

XLH	BELGIUM
	BELGIE
	BELGIQUE
	BELGIEN

Association of patients with hypophosphatemic rickets

*General Assembly
January 2024*

*Assemblée Générale
Janvier 2024*

*Algemene Vergadering
Januari 2024*

 www.xlhbelgium.be

 xlhbelgium@gmail.com

 [XLH Belgium](#)



Founded / Fondée / Opgericht 2020

20+ members / membres / leden

XLH Belgium aims to contribute to the well-being of people with XLH and their relatives. It pursues the following actions:

Gathering information and explanations about XLH, the treatments and therapies recommended, and all the available means of help.

Communicating and sharing this information and explanations with people with the disease

Form a national and international support network

Representing patients and their families to medical, political, social security and other authorities.

XLH Belgium a pour but de contribuer au bien-être des personnes atteintes de XLH et de leurs proches. Elle poursuit les actions suivantes :

Recueillir des informations et des explications sur le XLH, les traitements et thérapies préconisés, et tous les moyens d'aide disponibles.

Communiquer et partager ces informations et explications avec les personnes atteintes de la maladie.

Former un réseau de soutien national et international

Représenter les patients et leurs familles auprès des autorités médicales, politiques, de sécurité sociale, etc.

XLH Belgium wil bijdragen tot het welzijn van mensen met XLH en hun verwanten. Zij voert de volgende acties:

Het verzamelen van informatie en uitleg over XLH, de aanbevolen behandelingen en therapieën, en alle beschikbare hulpmiddelen.

Het communiceren en delen van deze informatie en uitleg met mensen met de ziekte

Een nationaal en internationaal ondersteuningsnetwerk vormen

Patiënten en hun families vertegenwoordigen bij medische, politieke, sociale zekerheids- en andere instanties

Achievements

[1] The association day to day
GDPR

[2] Communicate about the association

Maintain communication channels
Contribute to scientific articles (*)

[3] Supporting patients and their relatives and give voice to the association and its members

Welcoming new members
Send letters to the Minister for Health F. Vandenbroucke (*)
Discuss with
LUSS/Radiorg on reimbursement processes

Réalisations

[1] La gestion de l'association
RGPD

[2] Communiquer à propos de l'association

Maintenir les canaux de communication
Participer aux articles scientifiques (*)

[3] Soutenir les patients et leurs proches et donner de la voix à l'association

Accueillir les nouveaux membres
Envoyer des lettres au ministre de la santé F. Vandenbroucke (*)
Discuter avec
LUSS/Radiorg sur les processus de remboursement

Prestaties

[1] Het beheer van de vereniging
GDPR

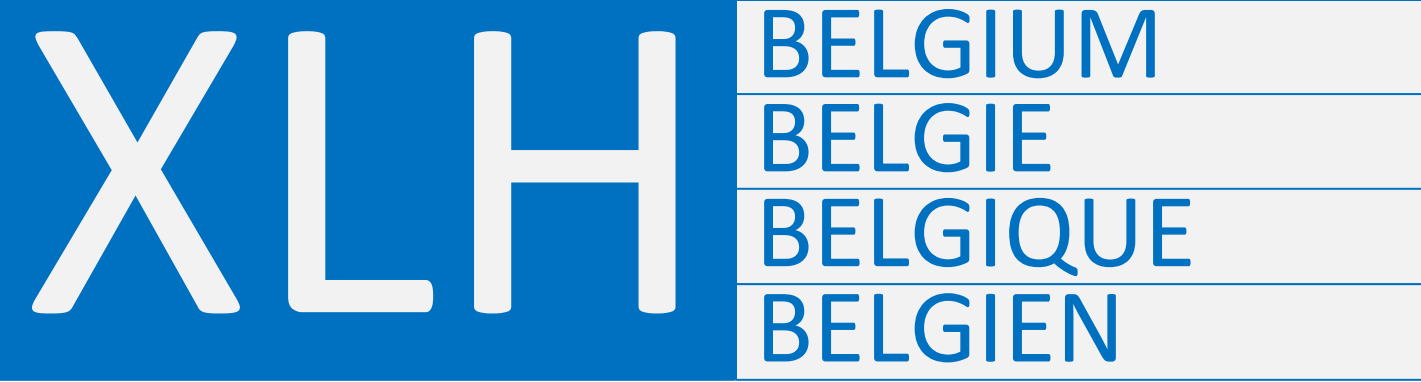
[2] Communiceer over de vereniging

Communicatiekanalen onderhouden
Bijdragen aan wetenschappelijke artikelen (*)

[3] Ondersteuning van patiënten en hun familieleden en een stem geven aan de vereniging

Nieuwe leden verwelkomen
Brieven sturen naar de minister van gezondheid F. Vandenbroucke (*)
Bespreken met
LUSS/Radiorg over terugbetaling processen

(*) detailed after / détaillés après / gedetailleerd na



2023:
Contribute to scientific articles
Participer aux articles scientifiques
Bijdragen aan wetenschappelijke artikelen

GeneReviews® [Internet]. < Prev Next >
Show details
GeneReviews by Title
Search GeneReviews
GeneReviews Advanced Search Help

X-Linked Hypophosphatemia

Synonyms: X-Linked Hypophosphatemic Rickets (XLHR); X-Linked Vitamin D-Resistant Rickets; Hypophosphatemic Rickets, PHEX-Related

Michaël R Laurent, MD, PhD, Pol Harvengt, PhD, Geert R Mortier, MD, PhD, and Detlef Böckenhauer, MD, PhD.

Author Information and Affiliations

Initial Posting: February 9, 2012; Last Update: December 14, 2023.

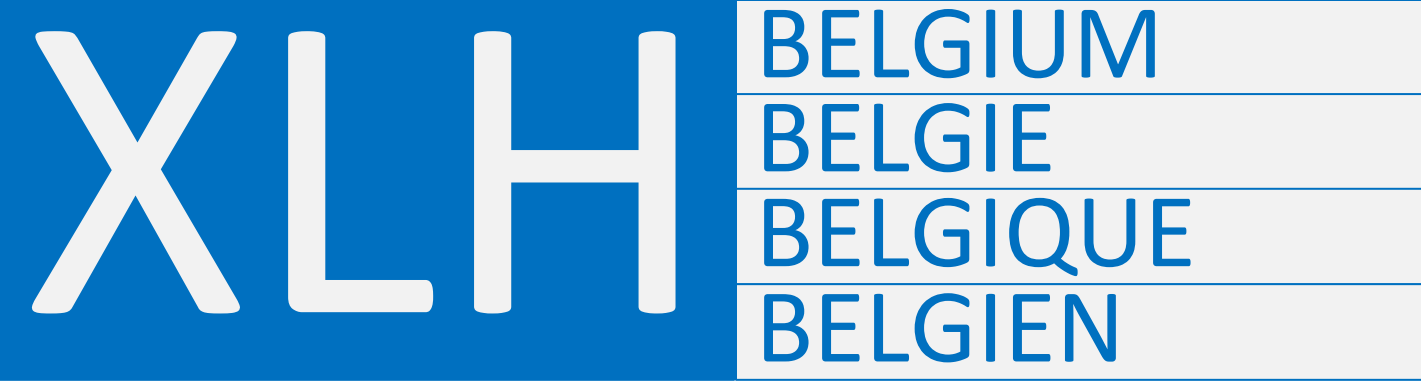
Estimated reading time: 59 minutes

Summary Go to: ☑

Clinical characteristics. The phenotypic spectrum of X-linked hypophosphatemia (XLH) ranges from isolated hypophosphatemia to severe lower extremity bowing and/or craniosynostosis, usually involving the sagittal suture with consequent scaphocephaly. XLH typically manifests in the first two years of life with lower extremity bowing due to the onset of weight-bearing; however, it sometimes does not manifest until adulthood, as previously unevaluated short stature. Adults may present with calcification of the tendons, ligaments, and joint capsules, joint pain, fatigue, insufficiency fractures, and impaired mobility. Persons with XLH are prone to spontaneous dental abscesses; sensorineural hearing loss has also been reported. Rarely, individuals with XLH can suffer from spinal stenosis, Chiari I malformation, syringomyelia, and/or raised intracranial pressure.

Laurent MR, Harvengt P, Mortier GR, Böckenhauer D. X-Linked Hypophosphatemia. 2012 Feb 9 [updated 2023 Dec 14]. In: Adam MP, Feldman J, Mirzaa GM, Pagon RA, Wallace SE, Bean LJH, Gripp KW, Amemiya A, editors. GeneReviews® [Internet]. Seattle (WA): University of Washington, Seattle; 1993–2023. PMID: 22319799.

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/22319799/>



2023:

Send letters to the Minister for Health F. Vandenbroucke (*)
Envoyer des lettres au ministre de la santé F.
Vandenbroucke
Brieven sturen naar de minister van gezondheid F.
Vandenbroucke

Communicate with the authorities on the subject of Crysvida reimbursement for adults

1. Letters sent to the Ministry of health by our members (including board member)
2. Ministry reiterated its opposition to reimbursement for adults (cost)
3. Hypothetical new reimbursement procedure filled by Kirin Kyowa (no fresh information)

NB for information, decision of RIZIV not to reimburse dates back from end of 2022,

XLH

BELGIUM

BELGIE

BELGIQUE

BELGIEN

2023:

Send letters to the Minister for Health F. Vandenbroucke (*)
Envoyer des lettres au ministre de la santé F.
Vandenbroucke
Brieven sturen naar de minister van gezondheid F.
Vandenbroucke

Geachte minister van Volksgezondheid,

Geachte professor Vandenbroucke,

Ik schrijf u om mijn onbegrip te uiten over de recente beslissing van het RIZIV om de terugbetaling te weigeren van het farmaceutische product burosumab (merknaam Crysvida, producent Kyowa Kirin) voor de behandeling van volwassenen die lijden aan X-gebonden hypofosfatemie (XLH), een zeldzame ziekte van het botmetabolisme.

Hoe kan deze beslissing gerechtvaardigd worden als onze buurlanden (Frankrijk, Duitsland, Nederland, Luxemburg) allemaal een voorwaardelijke toelating voor terugbetaling hebben gegeven? Beperkende criteria zouden natuurlijk gerechtvaardigd zijn geweest, gezien de (exorbitante en puur speculatieve) prijs die het farmaceutische bedrijf eist. Maar een regelrechte weigering suggereert dat financiële criteria zwaarder wogen dan de belangen van de patiënt.

Ik wil de situatie van XLH-patiënten graag in perspectief plaatsen. Kinderen kunnen genieten van een voorwaardelijke terugbetaling van burosumab. Zodra ze volwassen zijn, zal hun toegang tot behandeling echter stoppen omdat de terugbetaling wordt geweigerd door het RIZIV. Deze situatie suggereert dat de commissarissen die verantwoordelijk zijn voor deze beslissing, geloven dat XLH een groeistoornis is. En dat wanneer de groei stopt, behandeling niet langer nodig is. Ik maak ernstig bezwaar tegen deze achterhaalde visie, die noch de realiteit van patiënten weerspiegelt, noch de huidige klinische consensus. XLH wordt immers beschreven als een progressieve ziekte met symptomen die gedurende het hele leven voortduren en vaak leiden tot zeer aanzienlijke functionele beperkingen. Er is inderdaad een alternatieve, veel goedkopere behandeling op basis van geactiveerde vitamine D en fosfaat-zouten beschikbaar. Recente gegevens tonen echter ondubbelzinnig het gebrek aan van enige klinische werkzaamheid bij volwassenen. Dit in tegenstelling tot een aanzienlijk deel van de pediatrische populatie die positief reageert op deze zogenaamde 'conventionele' behandeling. Toch vergoedt u Crysvida voor pediatrische indicaties en niet voor volwassenen! Dit is volledig in tegenspraak met klinische en wetenschappelijke gegevens. Nogmaals, de enige logica lijkt budgettair te zijn. Hoewel dit begrijpelijk kan zijn, gezien de prijs die het bedrijf vraagt, kan deze logica niet boven de belangen van de patiënt geplaatst worden. Noch kan deze de wetenschappelijke en medische gegevens negeren die de aanpak van het RIZIV sterk in vraag stellen.

Ik zou u dan ook willen vragen om mij uit te leggen waarom het RIZIV vindt dat de terugbetaling moet worden geweigerd. Is het niet onaanvaardbaar dat Belgische patiënten geen toegang hebben tot dezelfde behandelingen als andere Europese patiënten? Is dit niet volledig in tegenspraak met de geest van de Europese verdragen?

Bij voorbaat dank voor uw antwoord.

Met vriendelijke groeten,

Pol Harvengt

XLH

BELGIUM

BELGIE

BELGIQUE

BELGIEN

Association of patients with hypophosphatemic rickets

X-Linked Hypophosphatemia (XLH) is a rare genetic disorder that affects about one in 20,000 people. The key characteristic of XLH is a low level of phosphate in the blood, called Hypophosphatemia. When a person is affected by XLH, their kidneys do not properly handle Vitamin D and phosphate. This causes a variety of symptoms and disorders that usually affect their bones and teeth.

Source: Learn About XLH (xlhnetwork.org)

Our association is called XLH Belgium, and aims to contribute to the well-being of people with XLH and their relatives. It pursues the following actions:

Gathering information and explanations about XLH, the treatments and therapies recommended, and all the available means of help.

Communicating and sharing this information and explanations with people with the disease

Form a national and international support network

Representing patients and their families to medical, political, social security and other authorities.

Partners and other associations:

RadiOrg Umbrella organisation for patient organisations concerning rare disease - www.radiorg.be

Orphanet The portal for rare diseases and orphan drugs - www.orpha.net

International XLH Alliance Alliance of international patient groups for people affected by X-linked hypophosphatemia and related disorders.- xlhalliance.org



www.xlhbelgium.be



xlhbelgium@gmail.com



XLH Belgium



XLH

BELGIUM

BELGIE

BELGIQUE

BELGIEN

Association de patients atteints de rachitisme hypophosphatémique

L'hypophosphatémie liée à l'X (XLH) est une maladie génétique rare qui touche environ une personne sur 20 000. La principale caractéristique de la XLH est un faible taux de phosphate dans le sang, appelé hypophosphatémie. Lorsqu'une personne est atteinte de XLH, ses reins ne traitent pas correctement la vitamine D et le phosphate. Cela provoque une variété de symptômes et de troubles qui affectent généralement les os et les dents.

Source : *En savoir plus sur le XLH (xlhnetwork.org)*

Partenaires et autres associations :

RadiOrg Organisation faîtière des associations de patients concernant les maladies rares - www.radiorg.be

Orphanet Le portail des maladies rares et des médicaments orphelins - www.orpha.net

International XLH Alliance Alliance de groupes internationaux de patients pour les personnes touchées par l'hypophosphatémie liée à l'X et les troubles connexes. - xlhalliance.org

Notre association s'appelle XLH Belgium, et a pour but de contribuer au bien-être des personnes atteintes de XLH et de leurs proches. Elle poursuit les actions suivantes :

Rassembler des informations et des explications sur le XLH, les traitements et thérapies recommandés, et tous les moyens d'aide disponibles.

Communiquer et partager ces informations et explications avec les personnes atteintes de la maladie.

Former un réseau de soutien national et international

Représenter les patients et leurs familles auprès des autorités médicales, politiques, de sécurité sociale et autres.



www.xlhbelgium.be



XLH
Belgique



XLH

BELGIUM

BELGIE

BELGIQUE

BELGIEN

Vereniging van patiënten met hypofosfatemische rachitis

X-gebonden hypofosfatemie (XLH) is een zeldzame genetische aandoening die bij ongeveer één op de 20.000 mensen voorkomt. Het belangrijkste kenmerk van XLH is een laag fosfaatgehalte in het bloed, Hypofosfatemie genoemd. Als iemand lijdt aan XLH, kunnen de nieren niet goed omgaan met vitamine D en fosfaat. Dit veroorzaakt een verscheidenheid aan symptomen en aandoeningen die meestal gevolgen hebben voor hun botten en tanden.

Bron: Meer informatie over XLH (xlhnetwork.org)

Partners en andere verenigingen:

RadiOrg Overkoepelende organisatie voor patiëntenorganisaties op het gebied van zeldzame ziekten - www.radiorg.be

Orphanet Het portaal voor zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen - www.orpha.net

International XLH Alliance Alliantie van internationale patiëntengroepen voor mensen die lijden aan X-gebonden hypofosfatemie en aanverwante aandoeningen. - xlhalliance.org

Onze vereniging heet XLH Belgium en heeft tot doel bij te dragen tot het welzijn van mensen met XLH en hun verwanten. Zij voert de volgende acties:

Het verzamelen van informatie en uitleg over XLH, de aanbevolen behandelingen en therapieën, en alle beschikbare middelen om hulp te bieden.

het doorgeven en delen van deze informatie en uitleg met mensen met de ziekte

Een nationaal en internationaal ondersteunend netwerk vormen

Vertegenwoordiging van patiënten en hun gezinnen bij medische, politieke, sociale zekerheids- en andere instanties.



www.xlhbelgium.be



XLH België

