



Federatie  
**Medisch  
Specialisten**

Visiedocument

# Dure Geneesmiddelen



## Visiedocument

# Dure Geneesmiddelen

### Colofon

Het Visiedocument Dure Geneesmiddelen  
is een uitgave van de Federatie Medisch Specialisten

### Postadres:

Postbus 20057  
3502 LB Utrecht  
T (088) 505 34 34  
E [info@demedischspecialist.nl](mailto:info@demedischspecialist.nl)

Vormgeving: IJzersterk.nu

### Copyright

© 2016. Alle opgenomen informatie is eigendom van de Federatie Medisch Specialisten. Overnemen van inhoud, geheel of gedeeltelijk, is toegestaan mits met bronvermelding.

### Vrijwaring

De Federatie Medisch Specialisten heeft de grootst mogelijk zorg besteed aan de samenstelling van het Visiedocument Dure Geneesmiddelen. Desondanks accepteren wij geen aansprakelijkheid voor eventuele onjuistheden in de informatie, noch voor schade, overlast of ongemak dan wel andersoortige gevolgen die voortvloeien uit of samenhangen met het gebruik van de informatie.

### Alle rechten voorbehouden

De tekst uit deze publicatie mag worden veelevoudigd, opgeslagen in een geautomatiseerd gegevensbestand, of openbaar gemaakt in enige vorm of op enige wijze, hetzij elektronisch, mechanisch door fotokopieën of enige andere manier, echter uitsluitend na voorafgaande toestemming van de uitgever. Toestemming voor gebruik van tekst (gedeelten) kunt u schriftelijk of per e-mail en uitsluitend bij de uitgever aanvragen.

# Voorwoord

De ontwikkelingen op het gebied van geneesmiddelen en nieuwe medische technologieën gaan razendsnel en bieden perspectief aan patiënten met ernstige aandoeningen. Keerzijde van deze medaille is echter dat hiermee hoge kosten gepaard gaan. Dure geneesmiddelen krijgen in toenemende mate aandacht omdat ze een bedreiging vormen voor kostenbeheersing en toegankelijkheid van de zorg.

De discussie over dure geneesmiddelen is niet nieuw gezien de vele maatregelen die reeds genomen zijn door de belangrijkste stakeholders. Maar de stortvloed aan nieuwe dure geneesmiddelen die, met name in de oncologische zorg, op ons afkomt, vraagt om meer actie. De Federatie deelt deze sense of urgency en wil voortvarend met het dilemma rondom dure geneesmiddelen aan de slag.

Dit document geeft de visie van medisch specialisten over dit onderwerp weer. Het visiedocument is opgesteld door een speciaal daartoe ingestelde taakgroep en geaccordeerd door de Raad Kwaliteit van de Federatie Medisch Specialisten.

*Dr. D. (Doranne) L. Hilarius,  
ziekenhuisapotheker en voorzitter  
taakgroep Dure Geneesmiddelen*

*Dr. M. (Marcel) C.G. Daniëls,  
cardioloog en voorzitter Raad Kwaliteit,  
Federatie Medisch Specialisten*



# INHOUD

INLEIDING	6
01. DOELMATIGHEID VAN ZORG	9
02. DE MEDISCH SPECIALIST EN WETENSCHAPPELIJKE VERENIGING ALS BEWAKERS VAN KWALITEIT EN DOELMATIGHEID	13
03. DE MEDISCH SPECIALIST ALS EXPERT EN MEDISCH ADVISEUR BINNEN DE ZIEKENHUISORGANISATIE	21
04. DE MEDISCH SPECIALIST ALS EXPERT EN ADVISEUR RICHTING DE OVERHEID	25
05. DE MEDISCH SPECIALIST ALS ONDERZOEKER EN EXPERT RICHTING DE FARMACEUTISCHE INDUSTRIE	29
06. SAMENVATTING, CONCLUSIES EN AANBEVELINGEN	31
07. ALLE AANBEVELINGEN OP EEN RIJ	36
BIJLAGE 1: SAMENSTELLING EN WERKWIJZE TAAKGROEP DURE GENEESMIDDELEN	38

# Inleiding

De hele artsenopleiding, van de start tot en met het afleggen van de belofte of de eed van Hippocrates, is gericht op het belang van de patiënt. Artsen zetten zich in voor iedere individuele patiënt, maar zijn zich ook bewust van hun verantwoordelijkheid voor de samenleving als geheel.

*“Ik zweer/beloof dat ik de geneeskunst zo goed als ik kan zal uitoefenen ten dienste van mijn medemens. Ik zal zorgen voor zieken, gezondheid bevorderen en lijden verlichten. Ik stel het belang van de patiënt voorop en eerbiedig zijn opvattingen. Ik zal aan de patiënt geen schade doen. Ik luister en zal hem goed inlichten. Ik zal geheim houden wat mij is toevertrouwd. Ik zal de geneeskundige kennis van mijzelf en anderen bevorderen. Ik erken de grenzen van mijn mogelijkheden. Ik zal mij open en toetsbaar opstellen, en ik ken mijn verantwoordelijkheid voor de samenleving. Ik zal de beschikbaarheid en toegankelijkheid van de gezondheidszorg bevorderen. Ik maak geen misbruik van mijn medische kennis, ook niet onder druk. Ik zal zo het beroep van arts in ere houden. Zo waarlijk helpe mij God almachtig / Dat beloof ik.”*

## DE UITGANGSPUNTEN

Medisch specialisten zijn in hun dagelijkse handelen gebonden aan de eed die zij hebben afgelegd en aan de verplichtingen die voortvloeien uit de Wet op de Beroepen in de Individuele Gezondheidszorg (Wet BIG) en de Wet op de Geneeskundige Behandelingsovereenkomst (WGBO). Vanuit die verplichtingen heeft de medisch specialist als behandelaar de professionele ruimte nodig om alle - dus ook de nieuwste - behandelingen en geneesmiddelen in te kunnen zetten bij patiënten die dit nodig hebben volgens de op dat moment geldende stand van de wetenschap en de praktijk. Hierbij geldt het principe dat niet alles wat kan of mag ook moet. Een geregistreerd geneesmiddel is niet automatisch ook een geïndiceerd geneesmiddel.

## DURE GENEESMIDDELEN<sup>1</sup>

Nieuwe unieke geneesmiddelen zijn vaak duur. Hiervoor zijn meerdere mogelijke redenen aan te wijzen:

- Op nieuwe unieke middelen rust vaak een patent waardoor ze een economisch beschermde positie genieten;
- de producent/ontwikkelaar is een private onderneming met een winstoogmerk voor de aandeelhouders;
- de producent claimt hoge ontwikkel- en productiekosten voor nieuwe unieke geneesmiddelen;
- producenten gaan bij de prijsstelling uit van een value based marketing-model. Dit wil zeggen dat een prijs gevraagd wordt waarvan wordt aangenomen dat de maatschappij bereid is hem te betalen;
- producenten gaan bij de prijsstelling ook uit van het principe van willingness to pay. Dit betekent dat ze rekening houden met het nationale vergoedingensysteem, prijsreguleringsystemen en de prijzen van bestaande behandelingen.

Hoewel de meerwaarde van een geneesmiddel niet blijkt uit de prijs maar uit de relatie tussen prijs en gezondheidswinst voor een patiënt, bestempelen politiek, zorgverzekeraars en ziekenhuizen deze geneesmiddelen momenteel als duur. De dure geneesmiddelen vormen een relatief klein aandeel binnen het geneesmiddelengebruik als geheel, maar de kosten ervan leggen een relatief groot (en groeiend) beslag op het totale geneesmiddelenbudget. De introductie van steeds meer dure geneesmiddelen zorgt

---

1. In dit visiedocument gaan we uit van de definitie van dure geneesmiddelen zoals opgenomen in de 'Prestatie- en tarieventabel add-on geneesmiddelen' van de Nederlandse Zorgautoriteit: de kosten bedragen gemiddeld meer dan €10.000 per patiënt per jaar.

bovendien voor een belangrijke stijging van de kosten van geneesmiddelen binnen het gezondheidszorg-budget. De toenemende vraag naar innovatieve, vaak dure geneesmiddelen knelt dan ook steeds meer in financiële zin. De toename van zorgkosten veroorzaakt door het gebruik van dure geneesmiddelen, overstijgt de afgesproken maximale groei van de kosten van de medisch-specialistische zorg in het Bestuurlijk Hoofdlijnen Akkoord.

Artsen voelen zich medeverantwoordelijk voor de kosten van de zorg. Zij staan voor het maken van heldere afspraken over het voorschrijven en doelmatig toepassen van innovatieve en dure geneesmiddelen. Doel van deze afspraken is te voorkomen dat, door een discussie over de financiële knelpunten, de kwaliteit van de individuele patiëntenzorg in het gedrang komt. De kosten van een behandeling mogen op zichzelf geen doorslaggevende rol spelen in het besluit deze wel of niet toe te passen bij een individuele patiënt. Patiënten moeten er altijd op kunnen vertrouwen dat zij optimaal behandeld worden volgens de stand van de wetenschap en de praktijk.

Dit visiedocument beschrijft de rol van specialisten (medisch specialisten en ziekenhuisapothekers) en wetenschappelijke verenigingen, verenigd in de Federatie Medisch Specialisten, bij het beheersbaar houden van de zorgkosten rondom het gebruik van dure geneesmiddelen. De eed van Hippocrates en de regels die voortvloeien uit de Wet BIG en de WGBO gelden hierbij als uitgangspunt.

Naast wetenschappelijke verenigingen die deel uitmaken van de Federatie Medisch Specialisten bestaan er diverse samenwerkingsverbanden van medisch specialisten rond specifieke patiëntcategorieën/aandoeningen. Voorbeelden hiervan zijn de Nederlandse Vereniging voor Medische Oncologie (NVMO), de stichting Hemato-Oncologie voor Volwassenen Nederland (HOVON) en de Stichting Oncologische Samenwerking (SONCOS). Voor dit visiedocument is ook gebruik gemaakt van de beschikbare expertise binnen deze samenwerkingsverbanden.

Dit document is opgesteld naar aanleiding van de toenemende politieke- en maatschappelijke discussie over de kosten van geneesmiddelen. Hoewel niet met die intentie geschreven, is het voorstelbaar dat de in dit document verwoorde visie en de aanbevelingen ook van toepassing zijn op de introductie en inzet van dure (technische-) interventies in de diagnostiek en behandeling van patiënten.

De aanbevelingen in het visiedocument zijn bedoeld als adviezen aan individuele medisch specialisten en hun wetenschappelijke verenigingen om actief bij te kunnen dragen aan een doelmatige inzet van dure geneesmiddelen. Het document beoogt daarmee aanknopingspunten te bieden voor de beroepsgroepen zelf. Tegelijkertijd biedt het document andere betrokken partijen inzicht in de manier waarop zij de expertise van de medisch specialist en de wetenschappelijke vereniging, optimaal kunnen benutten voor een doelmatige inzet van dure geneesmiddelen.

## LEESWIJZER

Hoofdstuk 1 van dit visiedocument geeft een korte weergave van bestaand (landelijk) beleid gericht op de doelmatigheid van zorg. De hoofdstukken 2 t/m 5 beschrijven de taken en verantwoordelijkheden van medisch specialisten en ziekenhuisapothekers vanuit de verschillende rollen die zij bekleden binnen de wetenschappelijke vereniging (H2), binnen het ziekenhuis (H3) en richting overheid (H4) en farmaceutische industrie (H5). In elk van deze hoofdstukken is een aantal aanbevelingen opgenomen voor de individuele medisch specialist en/of de wetenschappelijke vereniging. In het laatste hoofdstuk (6) van dit visiedocument volgt een opsomming van alle relevante conclusies en aanbevelingen.





# 01 Doelmatigheid van zorg

**Primair is de medisch specialist als behandelend arts de natuurlijke bondgenoot van de patiënt. In de driehoek zorgaanbieder, zorgvrager en zorgverzekeraar heeft de medisch specialist een behandelrelatie met de patiënt, geformaliseerd in de Wet Geneeskundige Behandelingsovereenkomst (WGBO). Hierbij mag de patiënt ervan uitgaan dat er steeds sprake is van een optimale en onderbouwde behandeling volgens de stand van de wetenschap en de praktijk.**

## EED VAN HIPPOCRATES DEEL 1

Het eerste deel van de eed van Hippocrates beschrijft de directe relatie met de patiënt. De medisch specialist zal de patiënt altijd de best mogelijke zorg bieden. Hij baseert zich hierbij op bestaande kennis en vaardigheden, bij voorkeur vervat in richtlijnen. Kosten en organisatie van zorg spelen geen rol in de relatie tussen patiënt en arts en dus ook niet bij de therapiekeuze.

## KWALITEIT IS OOK DOELMATIGHEID

Het landelijke gezondheidszorgbeleid (en ook dat van de Federatie Medisch Specialisten) richt zich niet alleen op kwaliteit maar ook op doelmatigheid van zorg. Hierbij definiëren we doelmatigheid als de relatie tussen kwaliteit en kosten. Meer concreet: het realiseren van zoveel mogelijk gezondheidswinst tegen zo laag mogelijke kosten. Door doelmatig te werk te gaan, kunnen zoveel mogelijk patiënten geholpen worden binnen het beschikbaar gestelde financieel kader. Verschillende landelijke beleids-trajecten richten zich hierop:

### Gepast gebruik van zorg

Medisch specialisten handelen primair in het belang van de patiënt. In de eed van Hippocrates is echter ook de verantwoordelijkheid voor het bevorderen van de beschikbaarheid en toegankelijkheid van zorg verankerd. De eed vormt het uitgangspunt voor het kwaliteitsbeleid van medisch specialisten. Medisch-specialistische zorg is gebaseerd op richtlijnen voor kwaliteit en veiligheid van zorg. Tegelijkertijd voelen medisch specialisten zich verantwoordelijk voor de toegankelijkheid en beschikbaarheid van die zorg voor alle patiënten en dus voor de kosten van de zorg.

In 2014 heeft de Orde van Medisch Specialisten (de voorloper van de Federatie Medisch Specialisten) het tweede convenant *Gepast gebruik van zorg* ondertekend. Met dit convenant committeren verschillende partijen, zoals zorgverleners, patiënten en zorgverzekeraars, zich om goede zorg te bevorderen en minder gepaste zorg te ontmoedigen. Medisch specialisten doen dit, samen met de wetenschappelijke verenigingen, bijvoorbeeld met de ontwikkeling van richtlijnen en start- en stopcriteria voor behandelingen, en in toenemende mate met het registreren van patiëntengegevens en uitkomstmaten in databases. Gegevens uit deze registratie kunnen worden gebruikt bij de ontwikkeling van richtlijnen.

### Verstandig kiezen

Het programma *Verstandig Kiezen* ondersteunt medisch specialisten en hun patiënten bij het nemen van gezamenlijke beslissingen over gepast gebruik van zorg. Het programma helpt om de zorggeuro zo efficiënt en doelmatig mogelijk uit te geven, zonder dat dit ten koste gaat van de hoge kwaliteit van zorg die we in Nederland bieden. Het programma is onderdeel van de Kwaliteits- en doelmatigheidsagenda.

*Verstandig Kiezen* is een samenhangend geheel van activiteiten die leiden tot kwaliteitsverbetering en, in het verlengde daarvan, tot meer (kosten)efficiëntie. Het programma bestaat uit meerdere elementen die raakvlakken hebben met elkaar:

- **Verstandige Keuzes:** evidencebased- aanbevelingen vanuit de wetenschappelijke verenigingen waarmee artsen en patiënten samen kunnen beslissen over de best passende behandeling voor een individuele patiënt.
- **Praktijkvariatie:** onderzoek om inzicht te krijgen in de oorzaken hiervan en waar nodig door benchmarking, aanscherping van richtlijnen of anderszins ongewenste vormen van praktijkvariatie terug te dringen.
- **Zorgevaluatie:** het vaststellen en onderzoeken van vragen over de effectiviteit van bestaande behandelingen (opsporen kennislacunes) in zogenaamd klinisch evaluatieonderzoek.
- **Samen Beslissen:** het ondersteunen van de gezamenlijke besluitvorming door patiënten en artsen.

### Samen Beslissen

Het programma *Samen Beslissen* is samen met Patiëntenfederatie NPCF opgesteld en ondersteunt medisch specialist en patiënt om samen een behandeling te kiezen die bij de patiënt past. Ervaring met en inzicht in de effecten van innovatieve geneesmiddelen - gepositioneerd binnen richtlijnen - en de informatie uit registraties zorgen ervoor dat artsen hun patiënten steeds beter kunnen informeren over het verwachte effect van deze geneesmiddelen in hun situatie. Dit bevordert het gepast gebruik en de mogelijkheid voor patiënten om zelf goed geïnformeerde keuzen te maken. *Shared decision making* én *informed decision making* zijn in alle fasen van de behandeling essentieel. Dit vraagt van dokters om complexe gesprekken te voeren met patiënt en familie over de eventuele meerwaarde van bepaalde diagnostiek en behandelingen. Daarbij hoort soms ook de uitleg waarom een bepaalde dure behandeling die de patiënt wenst, mogelijk niet zinvol is in zijn of haar geval.

In het gesprek met de patiënt moet er ook aandacht zijn voor andere opties dan behandelen, in het bijzonder in de laatste levensfase. Bij voorkeur maken patiënt en behandelaar hierin een gezamenlijke afweging. Om informatie te krijgen over de effectiviteit en veiligheid van een behandeling in de dagelijkse praktijk is het belangrijk om gegevens te registreren. Dat kan (aanvullende) wetenschappelijke onderbouwing opleveren over situaties waarin deze behandeling wel of niet zinvol is.

### Doelmatig voorschrijven

In 2012 heeft de toenmalige Orde van Medisch Specialisten een leidraad voor het doelmatig voorschrijven van geneesmiddelen opgesteld. Het algemene uitgangspunt hierin is: *goedkoop als het kan, duurder als het moet*. Doel van de leidraad is medisch specialisten aan te sporen om geneesmiddelen op stofnaam voor te schrijven én in alle gevallen waar dat redelijkerwijs mogelijk is te kiezen voor zogenaamde *multisource* geneesmiddelen. Daarnaast is het advies om zo mogelijk te kiezen voor goedkopere, therapeutisch gelijkwaardige, alternatieven. De Federatie Medisch Specialisten biedt op ziekenhuis- en vakgroepniveau spiegelinformatie over het voorschrijfgedrag bij een aantal geneesmiddelen met aangetoonde vergelijkbare kwaliteit en effectiviteit. Met deze informatie ondersteunt en bevordert de Federatie het doelmatig voorschrijven van geneesmiddelen.

### Dure geneesmiddelen

Ondanks bovenstaande initiatieven om doelmatigheid van zorg te verbeteren, vragen nieuwe ontwikkelingen om beleid dat zich specifiek richt op dure geneesmiddelen. De ontwikkelingen op het gebied van geneesmiddelen gaan razendsnel. Jarenlang was er een balans tussen het aflopen van patenten en de introductie van nieuwe dure medicijnen. Momenteel komt een aantal farmaceutische ontwikkelingen in een stroomversnelling, mede dankzij nieuwe technologieën. Nieuwe medicijnen bieden perspectief aan mensen met aandoeningen die voorheen niet of nauwelijks te behandelen waren, zoals longkanker, taaislijmziekte en hepatitis-C. Zij leven langer, krijgen een betere kwaliteit van leven of genezen. Tegelijkertijd stelt dit ons maatschappelijk voor grote dilemma's: de kosten van deze innovatieve geneesmiddelen zijn veelal (erg) hoog.

## ROL VAN MEDISCH SPECIALISTEN

In de discussie over kosten en baten kan de medisch specialist zich niet beperken tot zijn rol als behandelend arts en bondgenoot van de individuele patiënt. Vanuit en samen met de wetenschappelijke vereniging speelt de medisch specialist een belangrijke rol om de doelmatige inzet van dure geneesmiddelen te bevorderen: door zijn kennis en gedrag; door het opstellen van richtlijnen en behandelprotocollen, en door transparantie over uitkomsten. Ook in zijn rol als adviseur binnen een ziekenhuis of richting overheid en de farmaceutische industrie kan de medisch specialist een bijdrage leveren. In de nu volgende hoofdstukken gaan we hier verder op in.





# 02 De medisch specialist en wetenschappelijke vereniging als bewakers van kwaliteit en doelmatigheid

**Naast zijn primaire rol als behandelaar van de patiënt heeft de medisch specialist ook een maatschappelijke verantwoordelijkheid om beschikbare middelen zo doelmatig mogelijk in te zetten en hierin transparant te zijn. Deze verantwoordelijkheid staat beschreven in het tweede deel van de eed van Hippocrates.**

## EED VAN HIPPOCRATES DEEL 2

*“...Ik zal mij open en toetsbaar opstellen, en ik ken mijn verantwoordelijkheid voor de samenleving. Ik zal de beschikbaarheid en toegankelijkheid van de gezondheidszorg bevorderen. ...”*

Op individueel niveau geeft de medisch specialist vorm aan deze verantwoordelijkheid door gepaste diagnostiek en behandeling in te zetten conform de richtlijnen van de wetenschappelijke vereniging en door gebruik te maken van instrumenten die programma's zoals Samen Beslissen en Verstandig Kiezen bieden. Het is de primaire taak van de wetenschappelijke verenigingen om kwaliteitsbeleid te ontwikkelen waarmee zij de zorg ondersteunen en passende en doelmatige diagnostiek en behandeling stimuleren, waaronder de inzet van dure geneesmiddelen.

## Kosteneffectiviteit en maatschappelijke opbrengst

Een discussie over de kosten en opbrengsten van dure geneesmiddelen is complex. Medisch specialisten, patiënten, ziekenhuisbestuurders, zorgverzekeraars, de farmaceutische industrie en de overheid zijn elk vanuit een ander perspectief in deze discussie betrokken. Medisch specialisten realiseren zich dat zij niet alleen verantwoordelijkheid hebben voor hun eigen patiënt maar ook voor alle andere patiënten in de samenleving.

In kosteneffectiviteitsstudies worden nieuwe dure interventies en geneesmiddelen vergeleken met bestaande behandelopties op basis van registratiestudies. Registratiestudies zijn ontworpen om de eigenschappen van bijvoorbeeld een geneesmiddel zorgvuldig te onderzoeken. Daartoe worden patiënten geselecteerd en minutieus gevolgd gedurende beperkte tijd. Kosteneffectiviteitsstudies op basis van deze trials zijn dan ook beperkt te generaliseren. Zowel als het gaat om de patiëntenpopulatie die het geneesmiddel gaat gebruiken, als om de periode waarin geneesmiddelen gebruikt worden. Het verschil in gezondheidswinst (effectiviteit) ten opzichte van een placebo of vergelijkbaar geneesmiddel in relatie tot de kosten, wordt uitgedrukt in prijs per QALY<sup>2</sup>. Recente discussies over een grens aan de maximale kosten per gewonnen levensjaar laten zien dat maatschappelijke belangen soms lijnrecht tegenover de belangen van individuele patiënten staan. Wat in het debat vaak onderbelicht blijft, zijn de maatschappelijke opbrengsten van dure interventies en geneesmiddelen. Geneesmiddelen verhelpen, vertragen of voorkomen (verdere) gezondheidsklachten. Daarmee kunnen ziekenhuisopnames worden uitgesteld en soms zelfs vermeden. Mensen kunnen langer en in een betere conditie blijven deelnemen aan het maatschappelijke leven. Een discussie over kosten van de gezondheidszorg, zonder de maatschappelijke baten daarin mee te nemen, doet daarom de werkelijkheid tekort.

In het Verenigd Koninkrijk is de prijs per gewonnen QALY (zoals aangeleverd door de producent en gecorrigeerd door het National Institute for Health and Care Excellence) bepalend voor de toelating tot

2. QALY: Quality Adjusted Life Year is een extra levensjaar gecorrigeerd voor de kwaliteit van leven



de geneesmiddelenmarkt. In Nederland maakt het Zorginstituut Nederland een afweging over de toegevoegde waarde van een nieuw geneesmiddel waarbij farmaco-economische gegevens een rol spelen. Er is echter geen afgesproken hard afkappunt.

### INTRODUCTIE VAN INNOVATIEVE GENEESMIDDELEN

Medisch specialisten en hun wetenschappelijke verenigingen kunnen vanuit medisch-inhoudelijk perspectief bijdragen aan een doelmatige inzet van middelen door een oordeel te geven over de klinische toegevoegde waarde van een nieuw(e) interventie of geneesmiddel.

#### Plaatsbepaling nieuwe geneesmiddelen

In Europa is de European Medical Agency (EMA) de registratie-autoriteit die beslist over toelating van geneesmiddelen tot de markt. Geneesmiddelen voor medisch-specialistische zorg worden na registratie bij de EMA automatisch toegelaten tot de markt in Nederland en zijn (in principe) direct beschikbaar voor medisch specialist en patiënt. Als er een risico voor de betaalbaarheid of kwaliteit van het verzekerde pakket ontstaat (denk aan verdringing van andere behandelingen) kan het Zorginstituut Nederland de opname van nieuwe geneesmiddelen in het pakket aan banden leggen.

Op het moment dat er voor een geneesmiddel een nieuwe indicatie ontstaat óf op het moment dat een nieuw middel op de markt beschikbaar komt (bijvoorbeeld na registratie bij de EMA) kan een wetenschappelijke vereniging de toepassingsmogelijkheden duiden én uitspraak doen of het geneesmiddel een plek verdient in het behandelarsenaal. Het samenwerkingsverband van medisch oncologen (NVMO) maakt daartoe gebruik van een commissie voor de Beoordeling van Oncologische Middelen (de cie BOM). Deze commissie adviseert over de plaatsbepaling van nieuwe oncologische geneesmiddelen.

---

*'De commissie ter Beoordeling van Oncologische Middelen (BOM) is in oktober 1999 door het NVMO-bestuur ingesteld met de opdracht 'de klinische waarde van nieuwe geregistreerde geneesmiddelen, behandelmethoden en behandelindicaties op het gebied van de medische oncologie te beoordelen, met het doel te komen tot een betere landelijke afstemming binnen de beroepsgroep aangaande het toepassen van nieuwe en vaak kostbare geneesmiddelen in de oncologische praktijk'.*  
[www.nvmo.org/jan 2016](http://www.nvmo.org/jan 2016)

*De cie BOM hanteert vijf criteria om de klinische waarde van een nieuw middel te beoordelen, de zogeheten PASKWIL-criteria.*  
*cie BOM – Systematische beoordeling van oncologische middelen*

---

Bij gelijke geschiktheid van twee of meer geneesmiddelen bij een bepaalde indicatie is het juist om voor het goedkoopste alternatief te kiezen. Transparantie over de totstandkoming van het indicatieadvies of de plaatsbepaling, en het opvolgen van dit advies door de eigen beroepsgroep is belangrijk voor gepast gebruik van dure geneesmiddelen.

#### Kwaliteitsnormen voor de inzet van nieuwe (unieke) geneesmiddelen

Een innovatief geneesmiddel is bij introductie op de Nederlandse markt geregistreerd voor de behandeling van een specifieke patiëntengroep (indicatie). Deze specifieke patiëntengroep kan niet altijd, om voor de hand liggende redenen, in elk ziekenhuis in Nederland worden behandeld. Op basis van landelijk vastgestelde kwaliteitscriteria, zoals de kennis en ervaring van de behandelaar, is aanvullende diagnostiek en/of behandeling van enkele aandoeningen geconcentreerd in een aantal ziekenhuizen met voldoende expertise. Een innovatief geneesmiddel wordt dan ook niet altijd zonder meer in alle ziekenhuizen toegepast. Het is aan de beroepsgroep om vast te stellen aan welke randvoorwaarden een instelling of team van medisch specialisten moet voldoen om behandelingen met innovatieve, vaak dure, geneesmiddelen uit te voeren.

---

*De Stichting Oncologische Samenwerking heeft in 2012 een eerste versie van het normendocument van de Samenwerkende Oncologische Specialisten (SONCOS) gepubliceerd. Dit is een multidisciplinaire normering voor de oncologische zorg in Nederland. Het rapport bevat een algemeen deel waarin de eisen die aan een oncologisch centrum gesteld kunnen worden, beschreven staan en daarnaast een tumor-specifiek deel.*

---

Recent heeft de Nederlandse Vereniging van Artsen voor Longziekten en Tuberculose (NVALT) kwaliteitscriteria opgesteld waaraan behandelend medisch specialisten en ziekenhuizen moeten voldoen om een behandeling met het nieuwe en dure geneesmiddel nivolumab te kunnen uitvoeren.

---

*“Nivolumab BMS is een geneesmiddel tegen kanker dat wordt gebruikt voor de behandeling van volwassenen met niet-kleincellige longkanker (NSCLC) van het plaveiselceltype. Het wordt gebruikt bij patiënten bij wie de ziekte zich plaatselijk of naar andere delen van het lichaam heeft verspreid en die eerder zijn behandeld met andere geneesmiddelen tegen kanker (chemotherapie).”EPAR-samenvatting voor het publiek De (NVALT) heeft normen opgesteld waaraan een centrum idealiter zou moeten voldoen om het middel te kunnen geven. Deze normen zijn:*

- 1. > 20 patiënten per jaar;*
  - 2. Regelmatig multidisciplinair overleg waarin specialisten zitting nemen die bij immunotherapie noodzakelijk zijn (dermatoloog, MDL-arts, immunologisch georiënteerde arts);*
  - 3. Patiëntenregistratie verplichting;*
  - 4. Ervaring met immunotherapie door deelname aan studies.*
- 

Toepassing van de door wetenschappelijke verenigingen vastgestelde kwaliteitsnormen kan (verdere) concentratie van zorg tot gevolg hebben. Dit brengt echter de waarborg mee dat iedere patiënt die in aanmerking komt voor het middel, wordt behandeld door een multidisciplinair team dat voldoende ervaring heeft met de indicatiestelling van het geneesmiddel, de toediening ervan, de bijwerkingen en de behandeling van die bijwerkingen. Zorginstellingen en zorgverzekeraars dienen deze normen te hanteren bij de zorginkoop.

### **Opname van nieuwe unieke geneesmiddelen in richtlijnen**

Wetenschappelijke verenigingen stellen richtlijnen op voor de diagnostiek en behandeling van aandoeningen. Richtlijnen bevatten expliciete, zo veel mogelijk op wetenschappelijk onderzoek gebaseerde, aanbevelingen en inzichten waaraan zorgverleners moeten voldoen om kwalitatief optimale zorg te verlenen.<sup>3</sup> Op het moment van introductie van een innovatief geneesmiddel is vaak nog onvoldoende wetenschappelijk bewijs voorhanden om tot een goed onderbouwde plaatsbepaling in een behandelrichtlijn te kunnen komen. Het is aan de wetenschappelijke verenigingen om bij het ontbreken van hard bewijs een standpunt te formuleren over de positie van het nieuwe geneesmiddel in het behandelarsenaal.

---

3. Brummen-definitie van richtlijnen: Een richtlijn is een document met aanbevelingen ter ondersteuning van zorgprofessionals en zorggebruikers, gericht op het verbeteren van de kwaliteit van zorg, berustend op wetenschappelijk onderzoek aangevuld met expertise en ervaringen van zorgprofessionals en zorggebruikers. Richtlijn voor Richtlijnen – Regieraad 2010



### INZICHT IN DE EFFECTIVITEIT VAN DURE GENEESMIDDELEN

Kosteneffectiviteit in de geneeskunde betekent maximale gezondheidswinst voor de patiënt tegen zo laag mogelijke kosten. Sturen op een optimale balans tussen gezondheidswinst en kosten is niet alleen van belang bij geneesmiddelen maar bij alle besluiten in en over de gezondheidszorg. Om te weten hoeveel winst de zorg oplevert, moet duidelijk worden wat het resultaat is van investeringen in die gezondheidszorg (de kosten). Gezondheidsresultaat wordt hierbij gemeten in de feitelijke, meetbare gezondheidswinst en in de gezondheidswinst vanuit het patiëntperspectief: de kwaliteit van leven.

#### Monitoring en feedback

Het is van groot belang om gegevens over diagnostiek, indicatiestelling en uitkomsten van de behandeling met nieuwe (dure) geneesmiddelen in de klinische praktijk te verzamelen. Zoals gezegd zijn patiënten die meedoen aan registratiestudies en andere wetenschappelijke onderzoeken met geneesmiddelen volgens strenge regels geselecteerd. Dat betekent dat ze niet per definitie volledig vergelijkbaar zijn met de gemiddelde ziekenhuispatiënt. Op het moment dat een geneesmiddel op de markt komt, is er dus relatief weinig bekend over de effectiviteit, de bijwerkingen en de effecten op het welbevinden van patiënten die tot de dagelijkse ziekenhuispopulatie behoren.

Om de effectiviteit van een nieuw geneesmiddel in de klinische praktijk te onderzoeken, is zogeheten fase IV<sup>4</sup> of uitkomstenonderzoek nodig. Het registreren van real life data (RLD) draagt bij aan het zo optimaal mogelijk inzetten van nieuwe geneesmiddelen.

Het volgen van patiënten die behandeld worden met innovatieve geneesmiddelen gebeurt bijvoorbeeld in de hemato-oncologie (PHAROS<sup>5</sup>), bij de behandeling van melanoom (Dutch Melanoma Treatment Registry (DMTR)), bij de behandeling van niet-kleincellig longcarcinoom (NVALT Immunotherapy Registry) en reumatische ziekten (DREAM). Medisch specialisten kunnen zo beter de plaats van het middel ten opzichte van of in combinatie met andere behandelingen evalueren.

4. Fase IV wordt ook wel de post-marketing fase genoemd. Hierbij mag het middel worden voorgeschreven door artsen aan de patiënten met de indicatie waarvoor het geneesmiddel geregistreerd is. Fase VI-onderzoek wordt op diverse redenen uitgevoerd, bijvoorbeeld:

- een effectief gebleken behandeling wordt in een onderzoek voor een andere ziekte of bij een andere groep patiënten toegepast
- het wordt vergeleken met een ander effectief gebleken behandeling. Er worden vaak vele duizenden patiënten behandeld voor langere tijd zonder dat deze aan strenge in- en exclusiecriteria moeten voldoen, zoals in de eerdere fasen wel het geval was.

5. PHAROS is een 'population based registry', een registratie die inzicht geeft in de kwaliteit en doelmatigheid van de hemato-oncologische zorg in Nederland.



## Registraties

Het is van belang dat uitkomstenonderzoek wordt gedaan in de dagelijkse ziekenhuispraktijk. Alleen zo kan de werkelijke waarde van een nieuw duur geneesmiddel worden vastgesteld. Registratie is hierbij noodzakelijk. Er is inmiddels een groot aantal registraties opgezet die vaak lokaal of regionaal gevuld worden door medisch specialisten. Er is behoefte aan regie op deze hoeveelheid registraties vanwege de toenemende registratielast en de bijkomende kosten. Diverse initiatieven laten de toegevoegde waarde van registraties voor Nederland zien, maar ze kampen allen met het probleem van structurele financiering. Samenwerking, leren van elkaars krachten en structurele financiering van kwaliteitsmonitoring is onvermijdelijk als we de kwaliteit en de toegankelijkheid van de gezondheidszorg willen garanderen.

## Biologische geneesmiddelen

Met de introductie van biosimilars is discussie ontstaan over de kwaliteit en uitwisselbaarheid van geneesmiddelen. De Federatie Medisch Specialisten heeft in 2015 een standpunt geformuleerd over biosimilars. In dit standpunt wordt de ontwikkeling van biologische geneesmiddelen omarmd. De Federatie stelt dat het originele biologisch geneesmiddel (het referentieproduct) en een geregistreerd biosimilar van dat product gelijkwaardig zijn. Om deze reden vindt de Federatie dat, vanwege de doelmatigheid van zorg, de keuze voor het goedkoopste middel de voorkeur verdient.

Het is van belang om te bewaken welke patiënten (in goed beschreven populaties) op welke momenten behandeld worden met welk product (inclusief batchnummerregistratie). Zo kunnen alle geobserveerde (ernstige) bijwerkingen gerapporteerd worden en gekoppeld worden aan het juiste product. Samenwerking tussen wetenschappelijke verenigingen, behandelend medisch specialisten, farmacovigilantie instituten (Lareb) en ziekenhuisapothekers is hierbij van belang. De DREAM-registratie en Lareb hebben reeds afspraken gemaakt over de biologicals, inclusief de biosimilars, voor de immuungemedieerde ziekten.

## Doelmatigheidsonderzoek

Naast registraties die van belang zijn voor inzicht in de effectiviteit en plaatsbepaling van een nieuw geneesmiddel, is wetenschappelijk onderzoek op het gebied van doelmatigheid nodig. Doelmatigheidsonderzoek rond dure geneesmiddelen is vaak beperkt tot één instelling of samenwerkingsverband van een aantal instellingen. Voor doelmatigheidsonderzoek moeten echter veel meer data prospectief worden verzameld en zijn pragmatische studies en evaluaties nodig. Een relevant aspect bij de inzet van dure geneesmiddelen dat met doelmatigheidsonderzoek kan worden onderzocht, is het definiëren van start- en stopcriteria: bij welke patiënt, in welke fase van de aandoening (inclusief biomarkers) is het geneesmiddel het meest effectief en wanneer is het beter om behandeling met het betreffende geneesmiddel te stoppen. Hiervoor moeten nagenoeg alle diagnostische informatie, procesvariabelen, patiëntgerapporteerde uitkomsten (PROMS), complicaties en kostendata worden verzameld en geanalyseerd. Dergelijke registraties zijn bij uitstek geschikt voor prospectieve fase IV-studies (doelmatigheid in dagelijkse praktijk). Om registraties die op doelmatigheid gericht zijn goed te laten functioneren, is samenwerking nodig met andere datasystemen zoals het Ziekenhuis Informatie Systeem, de farmaco-vigilantie systemen en met datasystemen van zorgverzekeraars.

Een goed voorbeeld zijn de DREAM-registraties die diverse doelmatigheidsstudies hebben gepubliceerd en voor de Nederlandse vereniging voor Reumatologie de Landelijk Stopstudie TNFi POEET hebben uitgevoerd<sup>6</sup>.

6. Moghadam MG1, Vonkeman HE1, Ten Klooster PM1, et al: Stopping Tumor Necrosis Factor-inhibitors in Patients with Established Rheumatoid Arthritis in Remission or Stable Low Disease Activity: A Pragmatic Randomized Multicenter Open-Label Controlled Trial. *Arthritis Rheumatol.* 2016 Feb 11. doi: 10.1002/art.39626. [Epub ahead of print]

---

Het samenwerkingsverband DREAM is in 2003 opgericht met als doel de kwaliteit en doelmatigheid van de reumazorg te verbeteren en wetenschappelijk onderzoek te stimuleren. DREAM was toen een acroniem voor Dutch Rheumatoid Arthritis Monitoring (DREAM).

DREAM is begonnen met het systematisch vastleggen van gegevens van patiënten met reumatoïde artritis (RA) die starten met tumor necrose factor (TNF-) blokkerende middelen. Vanaf het moment dat gestart wordt met deze dure biologicals, worden systematisch driemaandelijkse de gegevens van de patiënten vastgelegd. Analyses van deze gegevens laten zien dat de juiste patiënten worden behandeld, dat ze op een veilige manier behandeld worden en dat het behandelresultaat voor de maatschappij acceptabel is vanuit gezondheidseconomisch perspectief.

<http://www.dreamregistry.nl>

---

Concluderend kunnen we stellen dat landelijke registraties ingezet kunnen worden om inzicht te krijgen bij welke patiëntengroepen nieuwe behandelingen effectief zijn en bij welke groepen deze minder of nauwelijks effectief zijn. Doelmatigheidsonderzoek is hier een onderdeel van. Een dergelijk lerend systeem is essentieel om uiteindelijk gepaste en doelmatige zorg te kunnen waarborgen. Met de gegevens uit dergelijke registraties kunnen we ook vroegtijdig praktijkvariatie op ziekenhuisniveau herkennen en duiden, en indien ongewenst bijsturen.

Over de meerwaarde van de hiergenoemde registraties bestaat geen discussie: zij genereren informatie waarmee een doelmatige inzet van dure geneesmiddelen kan worden bevorderd. Hierbij moeten we echter het hele palet van landelijke registraties in ogenschouw nemen: niet alles wat wenselijk is, kan ook: capaciteit, en structurele financiering spelen hierbij een rol.

### EVALUATIE VAN HET GEBRUIK VAN EEN GENEESMIDDEL

Naarmate een nieuw en duur geneesmiddel langere tijd wordt toegepast, geven de opgezette registraties steeds meer informatie over de effectiviteit van het geneesmiddel en de betekenis ervan voor de kwaliteit van leven van de patiënt. Deze informatie kan voor meerdere doeleinden gebruikt worden.

#### Borgen van off-label gebruik van geneesmiddelen

Er zijn steeds meer innovatieve (dure) geneesmiddelen die off-label toegepast worden. Off-label gebruik betekent dat een geneesmiddel wordt voorgeschreven voor een indicatie, leeftijdsgroep of toepassing waar het middel niet voor is geregistreerd. Off-label toepassing van geneesmiddelen komt bijvoorbeeld in de kindergeneeskunde veel voor. Dat komt omdat de relatief kleine patiëntaantallen nooit zullen leiden tot initiatieven van de fabrikant om het geneesmiddel voor deze patiëntengroep en indicatie te laten registreren. Daarmee zal behandeling van kinderen met bepaalde geneesmiddelen altijd off-label blijven. Nieuwe dure oncologische geneesmiddelen worden vaak voor een beperkt oncologisch indicatiegebied geregistreerd. Deze middelen zijn op grond van het werkingsmechanisme in veel gevallen ook toe te passen voor andere oncologische behandelindicaties en worden dan dus off-label ingezet.

Off-label toepassing van geneesmiddelen leidt tot problemen met de bekostiging omdat deze toepassing wettelijk alleen mag worden vergoed door zorgverzekeraars indien dit naar de stand der wetenschap en praktijk is gedaan. Vanwege de vaak geringe patiëntaantallen ontbreekt ook voor veel dure en off-label toegepaste geneesmiddelen juist de benodigde wetenschappelijke bewijslast om de stand der wetenschap en praktijk te onderbouwen. Dit geldt in het bijzonder voor zeldzame aandoeningen.

Ook in gebieden waar off-label gebruik van geneesmiddelen een belangrijke rol speelt, kunnen registraties informatie opleveren om de off-label toepassingen zo snel mogelijk en onderbouwd in een richtlijn te verankeren en regelmatig opnieuw te beoordelen.

---

*Bekend voorbeeld van de waarde van registratie is het bestaan van Moleculaire Tumor Boards die op basis van specifieke en/of publieke kennis van driver mutaties bij oncologische aandoeningen een specifiek middel kunnen aanbevelen. Deze behandelingen zijn op de patiënt toegesneden: de zogenaamde personalized medicine. Het delen van deze kennis op internationaal niveau is noodzakelijk om zo efficiënt mogelijk met de middelen om te gaan. In deze gevallen is er behoefte aan een zorgvuldig geregeld project ter vergoeding en monitoring van het off-label gebruik.*

*Een ander voorbeeld is het RUBRIC-project. Hierin worden patiëntgegevens bijgehouden met betrekking tot de effectiviteit en veiligheid van de off-label behandeling met dure geneesmiddelen bij zeldzame immuungemedieerde aandoeningen (Immune-mediated inflammatory disease: IMID).*

---

### Bijstellen van richtlijnen

Het gebruik van richtlijnen bevordert de doelmatigheid van zorg. Het is dan ook van belang om ontwikkelingen op het gebied van geneesmiddelen zo snel mogelijk in een richtlijn te verwerken. In 2012 heeft de commissie Richtlijnen van de Raad Kwaliteit van de Federatie Medisch Specialisten opdracht gegeven tot het ontwikkelen van een richtlijndatabase. De opdracht wordt uitgevoerd door het Kennisinstituut van Medisch Specialisten en het Integraal Kankercentrum Nederland (IKNL). Daarbij is de afspraak dat de richtlijnen modulair van opbouw zijn en zodanig worden gepresenteerd. Dit maakt het mogelijk om bij een update alleen de betreffende onderdelen of modules te herzien, in plaats van de hele richtlijn. Op deze manier zijn updates snel te realiseren.

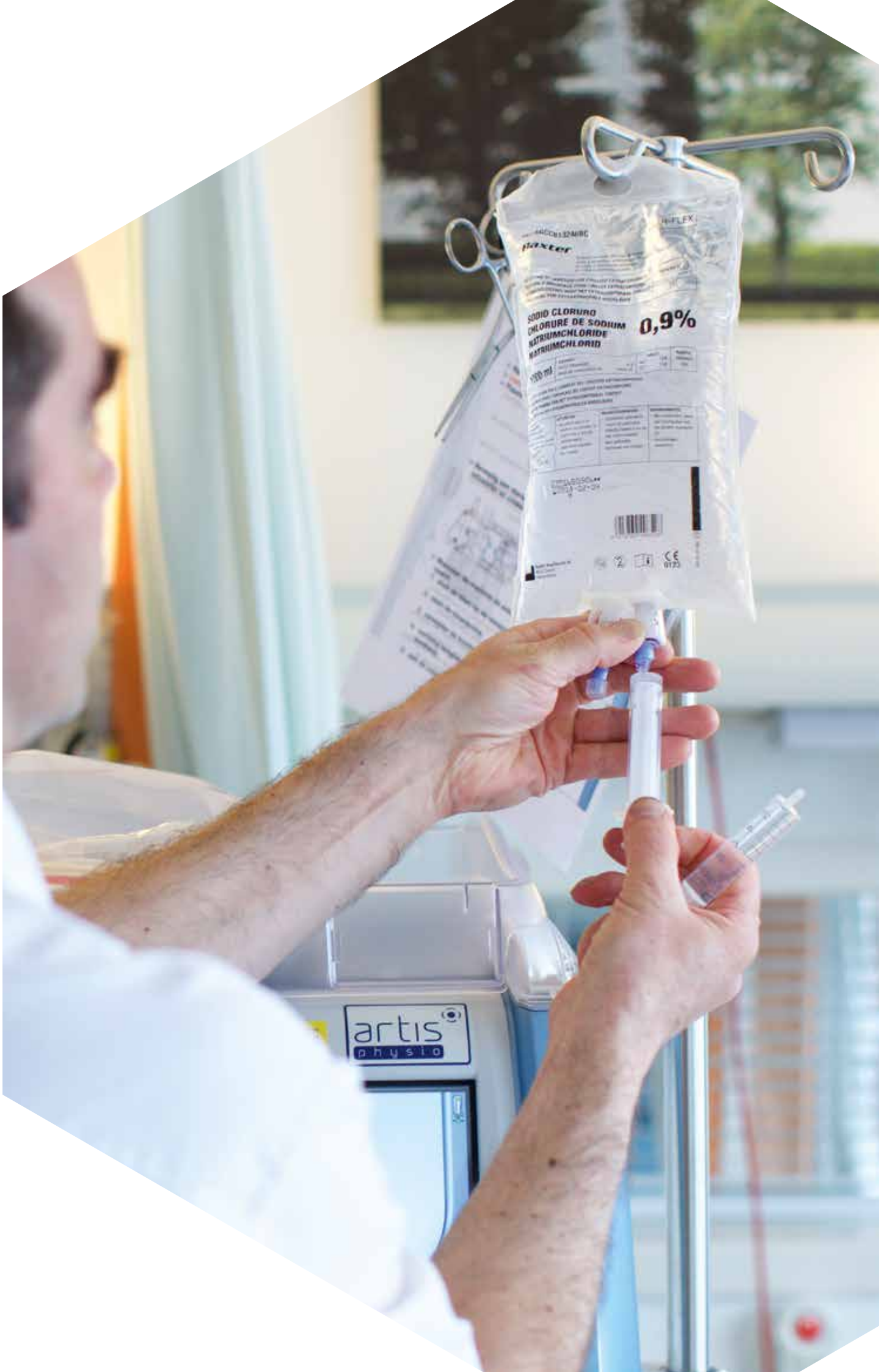
### Personalized medicine

Ook een protocollaire behandeling en monitoring stimuleert doelmatige zorg. Toch is een one size fits all-benadering niet voor alle patiënten optimaal. Er zijn grote verwachtingen van personalized medicine. Deze laten in specifieke voorbeelden grote voordelen zien. Maar het is momenteel nog onduidelijk hoe dit zich gaat ontwikkelen. Persoonskenmerken, shared decision making, patiënt preferenties en het meten en bespreken van patiëntgerapporteerde uitkomsten helpen de arts om samen met de individuele patiënt de meest kansrijke therapie te kiezen.

### Inzet van PROMs

Patient-Reported Outcome Measures (PROMs) zijn gezondheidsuitkomsten die de patiënt zelf rapporteert (FDA, 2006). Voorbeelden van PROMs zijn symptomen, functioneren en gezondheidgerelateerde kwaliteit van leven. PROMs bieden waardevolle informatie over de kwaliteit van leven van patiënten; ook bij de inzet van dure geneesmiddelen. Hiermee kan een juiste inzet van deze dure geneesmiddelen nog beter worden vastgesteld. De Federatie Medisch Specialisten heeft in het kader van de Kwaliteits- en doelmatigheidsagenda (onderdeel van het Hoofdlijnenakkoord 2014-2017) aangegeven dat PROMs worden toegevoegd aan kwaliteitsregistraties bij borst- en darmkanker. Ook de DREAM en RUBRIC registraties verzamelen op grote schaal PROMs.





# 03 De medisch specialist als expert en medisch adviseur binnen de ziekenhuisorganisatie

**Geneesmiddelen in de medisch-specialistische zorg worden in principe integraal gedeclareerd binnen een DBC-zorgproduct. Bij dure geneesmiddelen kan dit ertoe leiden dat de kosten van het geneesmiddel een onevenredig deel van het DBC-tarief uitmaken. Daarom is er een aparte bekostigingssystematiek ontwikkeld, de zogeheten add-on bekostiging. De NZa stelt vast of een geneesmiddel bij een bepaalde indicatie voor add-on bekostiging in aanmerking komt. Ziekenhuizen onderhandelen zelf, of in inkoopgroepen, met de fabrikanten / leveranciers over de inkoopprijs van de geneesmiddelen.**

Zorgverzekeraars kopen medisch-specialistische zorg in voor hun verzekerden. In de onderhandelingen met het ziekenhuis over de aard, omvang en kosten van te leveren zorg worden ook de kosten van de inzet van dure geneesmiddelen meegenomen. Het belang van goede contractafspraken over de kosten van dure geneesmiddelen is groot. Zorgverzekeraars dragen sinds 2015 meer risico voor de kosten van add-on bekostigde geneesmiddelen. Dat komt omdat zij vanaf 2015 niet langer achteraf gecompenseerd<sup>7</sup> worden voor onverwacht hoge kosten door het gebruik van dure geneesmiddelen. Om die reden stellen zorgverzekeraars in de onderhandelingen met de ziekenhuizen veelal een maximumbudget voor de bekostiging van dure geneesmiddelen vast. Wanneer de kosten voor dure geneesmiddelen boven het maximumbudget uitkomen, worden deze niet door de zorgverzekeraar vergoed maar komen direct ten laste van het ziekenhuis. Daarmee zijn dus de ziekenhuizen en niet de zorgverzekeraars risicodragend geworden voor een eventuele overschrijding.

Het is dan ook van belang dat het ziekenhuis met de beschikbare informatie en een juiste inschatting van het aantal te behandelen patiënten, goede afspraken maakt met de zorgverzekeraar over de inzet en bekostiging van dure geneesmiddelen. Ook is het belangrijk om afspraken te maken over het eventueel doorverwijzen van patiënten. De medisch specialist en de vakgroepen binnen het ziekenhuis hebben samen met de ziekenhuisapothekers een belangrijke taak in dit proces.

## MEDISCH SPECIALIST ALS MEDISCH ADVISEUR IN HET ZIEKENHUIS

De minister van VWS heeft veldpartijen in de medisch-specialistische zorg de opdracht gegeven om tot een goede inzet van beschikbare financiële middelen te komen in en tussen ziekenhuizen. Dat betekent niet alleen dat ziekenhuizen goede contractafspraken moeten maken met de zorgverzekeraar; zij moeten ook kritisch kijken naar een juiste inzet van middelen.

Voor het borgen van de doelmatige en veilige inzet van geneesmiddelen moeten medisch specialisten structureel betrokken worden bij het vaststellen van het formulier van het ziekenhuis, bij de afspraken met de zorgverzekeraar over de inzet van geneesmiddelen, bij het toetsen van die inzet aan de gemaakte afspraken (controlefunctie) en bij de (voorbereiding van de) inkoop van dure geneesmiddelen.

### De vakgroep

Medisch specialisten behandelen volgens (internationale) richtlijnen en protocollen. Dat geldt ook voor de inzet van dure geneesmiddelen. Het advies aan medisch specialisten is om binnen de vakgroep een

7. "De risicoverevening compenseert zorgverzekeraars voor verschillen in de samenstelling van hun verzekerdenpopulatie. Alle zorgverzekeraars ontvangen jaarlijks uit het Zorgverzekeringsfonds een vereveningsbijdrage, waarvan de hoogte afhangt van de verzekerdenpopulatie. Het Zorginstituut berekent per zorgverzekeraar de vereveningsbijdrage." Bron: Zorginstituut Nederland



medisch specialist te mandateren om op het gebied van geneesmiddelen aanspreekpunt te zijn voor de ziekenhuisorganisatie en de zorgverzekeraars. Deze medisch specialist brengt de (inter)nationale ontwikkelingen in kaart rondom de introductie van nieuwe (dure) geneesmiddelen en de uitbreiding van indicaties van bestaande (dure) geneesmiddelen binnen het vakgebied. De wetenschappelijke vereniging heeft hierin een belangrijke ondersteunende taak. De informatie die dit oplevert, geeft per geneesmiddel en per indicatie inzicht om lokaal een prognose te maken van de aantallen patiënten die voor een behandeling in aanmerking komen en de kosten die hiermee gepaard gaan. Het ziekenhuis is verantwoordelijk voor het verstrekken van de benodigde kengetallen om tot een juiste prognose te komen.

Naast het opstellen van een prognose voor de te verwachten aantallen patiënten en daarmee de kosten van specifieke geneesmiddelen, zou elke vakgroep de inzet van dure geneesmiddelen moeten monitoren aan de hand van protocollen die door een geneesmiddelencommissie zijn vastgesteld. Deze protocollen zouden, behalve de beschrijving van een strikte indicatiestelling, suggesties moeten doen voor het op vaste ijkmomenten evalueren van de effectiviteit van de behandeling op basis van vooraf vastgestelde behandeldoelen. De uitkomsten hiervan gebruikt de behandelaar om enerzijds per patiënt vast te stellen of de behandeldoelen worden behaald en of inzet effectief en doelmatig is, en anderzijds om uitkomsten op groepsniveau te verzamelen.

### Geneesmiddelencommissie en budgetcommissie

In steeds meer ziekenhuizen zijn geneesmiddelencommissies ingesteld. Deze commissies bestaan vaak uit een ziekenhuisapotheker, een medisch specialist en een zorgmanager / financieel manager, zo nodig aangevuld met specifieke expertise. De geneesmiddelencommissie is verantwoordelijk voor het opstellen en onderhouden van een geneesmiddelenformularium.

Daarnaast richt de geneesmiddelencommissie zich steeds vaker ook op de inzet van dure geneesmiddelen voor de individuele patiënt. De commissie is verantwoordelijk voor het uitbrengen van advies over de inzet van dure geneesmiddelen, het accorderen van de door de vakgroep opgestelde protocollen en de controle daarop. De commissie evalueert periodiek de inzet van dure geneesmiddelen en legt mogelijkheden voor verbeteringen schriftelijk vast. Cruciaal is ook de ICT-ondersteuning van het ziekenhuis om dit hele proces van voorschrijven tot uitgifte en bewaking te monitoren.

Het is aan te bevelen om in ieder ziekenhuis ook een budgetcommissie te installeren die de kosten van de inzet van dure geneesmiddelen monitort op basis van de gemaakte prijsafspraken. Per ziekenhuis worden verschillende afspraken met zorgverzekeraars gemaakt, waarbij geneesmiddelen wel of niet worden gefinancierd als onderdeel van het totale ziekenhuisbudget.

Als er afspraken zijn gemaakt op basis van nacalculatie ziet de budgetcommissie er op toe dat er wordt voldaan aan de door de verzekeraar gestelde eisen voor nacalculatie. Zijn deze afspraken niet gemaakt, dan monitort de commissie de kosten en signaleert tijdig (dreigende) overschrijdingen van het plafond.

### Betrokkenheid bij zorginkoop

In de voorbereiding van de contractering met de zorgverzekeraar is een goede analyse van de inzet van dure geneesmiddelen in het ziekenhuis nodig, evenals informatie over het verwachte aantal te behandelen patiënten. Dit is informatie die bij uitstek van de behandelend medisch specialisten moet komen, ondersteund door managementinformatie vanuit het ziekenhuis. De betreffende vakgroepen dienen betrokken te zijn bij de zorginkoop en dus moeten zij ook vertegenwoordigd zijn in het ziekenhuisteam dat verantwoordelijk is voor de voorbereiding van de contractonderhandelingen.

In de afspraken die het ziekenhuis maakt met de zorgverzekeraar moet helder worden vastgelegd wat de voorwaarden zijn voor de bekostiging van dure geneesmiddelen. In geen geval mogen financiële aspecten van het voorschrijven van geneesmiddelen ten koste gaan van de kwaliteit van de behandeling van een patiënt.

Voorwaarden voor nacalculatie of enige andere verrekening van onvoorziene uitgaven als onderdeel van het budgettair kader moeten zorgvuldig worden afgewogen. Onderdeel hiervan zijn afspraken waarin wordt vastgelegd hoe de zorgverzekeraar omgaat met de bekostiging van dure geneesmiddelen wanneer eventuele plafondafspraken worden overschreden. Ook dienen afspraken te worden gemaakt over het verwijzingsbeleid bij patiënten die behandeld moeten worden met een duur geneesmiddel dat ofwel niet in het betreffende ziekenhuis verstrekt kan worden omdat dit niet gecontracteerd is, ofwel tot bekostigingsproblemen leidt omdat daarmee het omzetplafond wordt overschreden. Zorgverzekeraars hebben hierin ook een grote verantwoordelijkheid. Het is van belang dat medisch specialisten betrokken worden bij het tot stand komen van deze afspraken en toezien op naleving ervan, zodat patiënten niet tussen wal en schip terecht komen.

### De inkoop van geneesmiddelen

Van oudsher onderhandelen ziekenhuisapothekers met de leveranciers van geneesmiddelen over de inkoopprijs en inkoopvoorwaarden van alle geneesmiddelen. De toenemende complexiteit en de steeds groter wordende financiële risico's bij het inkopen van dure geneesmiddelen vragen om het versterken van deze inkoopfunctie. Dat kan met specifieke kennis op het gebied van inkoop en inbreng van voorschrijvers van innovatieve en dure geneesmiddelen. De inkoopactiviteiten worden daarmee multidisciplinair uitgevoerd met een coördinerende rol voor de ziekenhuisapotheker. Het is voor een succesvolle inkoopstrategie van belang dat medisch specialisten betrokken zijn en zich kunnen committeren aan afspraken over het voorschrijven van voorkeursgeneesmiddelen (inclusief biosimilars) met inachtneming van de behandeling volgens de stand van wetenschap en praktijk.

### CONCLUSIE

De inzet van multidisciplinaire adviesgroepen in ziekenhuizen met vertegenwoordiging van de specifieke voorschrijvers, ziekenhuisapothekers en het financieel management is essentieel. Medisch specialisten kunnen op grond van hun expertise aangeven voor welke behandeltrajecten nieuwe geneesmiddelen te verwachten zijn, hoe bestaande (nieuwe) dure geneesmiddelen het beste kunnen worden ingezet en welke alternatieve trajecten al dan niet mogelijk zijn. Deze medisch-inhoudelijke expertise is nodig voor een optimale contractering van zorg door het ziekenhuis en een optimale inzet van geneesmiddelen binnen het ziekenhuis. De inzet van medisch specialisten via vertegenwoordiging vanuit de vakgroep in de diverse gremia binnen het ziekenhuis moet dan ook worden geborgd.





# 04 De medisch specialist als expert en adviseur richting de overheid

**Naast de rol van behandelaar en medisch-inhoudelijk adviseur binnen de ziekenhuisorganisatie heeft de medisch specialist ook een adviesrol naar de overheid als het om de juiste inzet van geneesmiddelen gaat.**

Het ministerie van VWS heeft tot taak de toegankelijkheid en betaalbaarheid van de gezondheidszorg te waarborgen. In het systeem van toelating en bekostiging van geneesmiddelen heeft het ministerie recent een aantal maatregelen getroffen die moeten leiden tot een meer gecontroleerde en beheersbare introductie van nieuwe dure geneesmiddelen. Na een eerste periode van gebruik van een nieuw geneesmiddel kan informatie over de werkelijke waarde ervan in de dagelijkse praktijk, waaronder off-label indicaties en nieuwe patiëntgroepen, bijdragen aan een doelmatige inzet van het middel. Gedurende de hele life cycle van een duur geneesmiddel is informatie nodig over de indicatie, de patiëntenpopulatie en het te verwachten aantal patiënten dat het geneesmiddel zal gebruiken. De medisch specialist en de wetenschappelijke verenigingen hebben de expertise om de overheid van deze informatie te voorzien.

## INTRODUCTIE VAN EEN NIEUW (DUUR) GENEESMIDDEL

### Voorwaardelijke toelating en risicogericht pakketbeheer

Om nieuwe innovatieve geneesmiddelen snel beschikbaar te maken voor patiënt en behandelend arts komen deze middelen automatisch in de basisverzekering van de Zorgverzekeringswet. Met de instrumenten risicogericht pakketbeheer en voorwaardelijke toelating heeft de overheid de mogelijkheid de instroom van specifieke geneesmiddelen extra te toetsen of alleen onder voorwaarden toe te staan. Bij risicogericht pakketbeheer beoordeelt het Zorginstituut geneesmiddelen wanneer risicoanalyses daar aanleiding toe geven. Te verwachten hoge kosten door gebruik van het geneesmiddel zijn een belangrijke risicofactor. Bij de beoordeling van de ingeschatte risico's is van belang of het geneesmiddel door de beroepsgroep / patiënten wordt ondersteund.

Per 1 januari 2012 bestaat de mogelijkheid dure interventies en geneesmiddelen voorwaardelijk toe te laten tot het verzekerde pakket. Het betreft interventies of geneesmiddelen die niet voldoen aan de stand der wetenschap en praktijk, maar desondanks veelbelovend kunnen zijn voor de behandeling van een specifieke aandoening bij een specifieke patiëntengroep. Binnen vier jaar na voorwaardelijke toelating dienen gegevens verzameld te zijn over de (kosten)effectiviteit van de interventie of het geneesmiddel. Deze gegevens moeten van voldoende kwaliteit zijn om aan het eind van de voorwaardelijke toelatingsperiode een besluit te kunnen nemen over definitieve toelating tot of uitstroom uit het pakket. Fabrikanten zetten specifiek voor dit doel en onafhankelijk van elkaar, een patiëntenregistratie op. Met het verzamelen van patiëntgegevens in de klinische praktijk (real life data) kunnen de onderzoeksvragen worden beantwoord.

Het Zorginstituut geeft aan het eind van de periode van voorwaardelijke toelating een advies aan de minister van VWS over het al dan niet opnemen van de interventie/geneesmiddel in het verzekerde pakket. De Wetenschappelijke Adviesraad (WAR) Geneesmiddelen van het Zorginstituut stelt het adviesrapport op. Medisch specialisten participeren, veelal op persoonlijke titel, in de WAR. Bij het opstellen van de adviezen consulteert de WAR/het Zorginstituut altijd ook de veldpartijen,

waaronder de betreffende wetenschappelijke verenigingen, de commissie BOM, patiëntenverenigingen en ziektekostenverzekeraars. Na deze consultatie geeft de WAR een definitief advies aan het Zorginstituut.

De Federatie Medisch Specialisten moet het eerste aanspreekpunt zijn voor medisch-inhoudelijke adviesaanvragen in het kader van risicogericht pakketbeheer en voorwaardelijke toelating. Hierbij worden de wetenschappelijke verenigingen uiteraard betrokken.

### De sluis-regeling

In juli 2015 is voor het eerst de zogeheten sluis-regeling toegepast. Dat was bij het geneesmiddel nivolumab dat gebruikt wordt voor de behandeling van gemetastaseerd longcarcinoom. Vanwege het te verwachten aantal patiënten dat behandeld zou kunnen worden met dit dure geneesmiddel zouden de jaarlijkse kosten kunnen oplopen tot meer dan € 200 miljoen. Er was in dit geval dus sprake van een uitzonderlijk hoog kostenbeslag op het beschikbare budget voor gezondheidszorg waardoor een probleem ontstond in het pakketcriterium 'uitvoerbaarheid'.

Voor de periode dat nivolumab zich in de sluis bevond (juli 2015 – maart 2016), was met de fabrikant afgesproken dat deze het geneesmiddel kosteloos beschikbaar zou stellen aan de behandelaars in de vorm van een compassionate use-programma. De infrastructuurkosten die door het ziekenhuis gemaakt werden, kwamen echter ten laste van de bestaande contractafspraken. In deze periode is nivolumab door het Zorginstituut beoordeeld. Op het moment dat gepast gebruik gewaarborgd was, en er sprake was van een succesvolle prijsonderhandeling, is nivolumab alsnog opgenomen in het verzekerde pakket voor de behandeling van longkanker. Dit was per 1 maart 2016 het geval.

Het ministerie van VWS heeft goed onderbouwde informatie nodig over het gebruik van nieuwe dure geneesmiddelen nu en in de komende jaren. Deze informatie is essentieel om succesvolle prijsonderhandelingen met de fabrikanten te kunnen voeren. Het betreft informatie over het indicatiegebied, het aantal patiënten dat in aanmerking komt voor de behandeling en ook daadwerkelijk behandeld wordt, eerste-versus volgende lijnsbehandelingen, duur van de behandeling, aantal en dosering van de toedieningen, aantal patiënten dat een vervolgbehandeling krijgt met een eventueel ander (duur) geneesmiddel et cetera. VWS consulteert uitgebreid medisch specialisten en wetenschappelijke verenigingen om deze informatie bijeen te krijgen. Overigens betreft dit niet zelden zeer gedetailleerde informatie die ook voor de beroepsgroep vaak nog niet beschikbaar is. Er zijn veel onzekerheden en de informatie die de beroepsgroep aan kan leveren, is vaak nog gebaseerd op zeer grove schattingen. De beschikbaarheid van meer betrouwbare gegevens uit landelijke registraties zoals die voor het melanoom (DMTR) of de reumatoïde artritis (DREAM), kan de positie van VWS in de onderhandelingen sterk verbeteren. Voor zover de betrouwbaarheid van gegevens nog onvoldoende gestaafd kan worden vanuit registraties, is in ieder geval eenduidigheid van informatie essentieel. Wetenschappelijke verenigingen hebben de primaire taak om te zorgen dat de voor het ministerie van VWS benodigde informatie beschikbaar komt, eenduidig is en zoveel mogelijk is onderbouwd.

### Centrale inkoop van geneesmiddelen door VWS (prijsarrangementen)

Naast (voorwaardelijke) toelating tot het verzekerde pakket, waarbij nader onderzoek naar de therapeutische waarde van een nieuw geneesmiddel plaatsvindt, zijn financiële arrangementen mogelijk. De minister kan deze gebruiken als een nieuw geneesmiddel, dat voldoet aan de pakketcriteria, een zeer hoge prijs heeft of zeer hoge macro-uitgaven met zich meebrengt en het vanwege de marktsituatie niet aannemelijk is dat veldpartijen zelf in staat zijn de financiële risico's af te dekken.

Het Bureau Prijsarrangementen Geneesmiddelen van het ministerie van VWS onderhandelt met de leverancier van het geneesmiddel over de prijs om zo de financiële risico's te reduceren en/of te delen. Voor verschillende geneesmiddelen zijn inmiddels dergelijke arrangementen afgesproken met de fabrikanten. Meestal betreft het prijs-volumeaafspraken. Het eerste prijsarrangement betrof de nieuwe orale anti coagulantia (NOAC's). Andere voorbeelden zijn geneesmiddelen voor behandeling van de ziekte van Pompe en de ziekte van Fabry. Bij alle pilots die het ministerie in het kader van deze regeling heeft uitgevoerd, zijn voorafgaand aan en tijdens de onderhandelingen relevante patiëntenorganisaties en beroepsgroepen betrokken.

## TOEPASSING VAN DURE GENEESMIDDELEN BUITEN DE GEREGEREERDE INDICATIE (ORIGINATOR LABEL)

### Off-label use

Er zijn steeds meer innovatieve (dure) geneesmiddelen die off-label toegepast worden. Off-label use betekent dat een geneesmiddel wordt voorgeschreven voor een indicatie, leeftijdsgroep of toepassing waar het middel niet voor is geregistreerd. In de Geneesmiddelenwet (GW 2007) is het off-label voorschrijven aan strenge eisen gebonden. Het buiten de geregistreerde indicaties voorschrijven van geneesmiddelen is alleen geoorloofd wanneer daarvoor binnen de beroepsgroep protocollen en standaarden ontwikkeld zijn. De bekostiging van off-label use van dure geneesmiddel leidt tot problemen indien onvoldoende kan worden aangetoond dat het geneesmiddel naar stand der wetenschap en praktijk wordt toegepast. Het registreren van off-label use en het verzamelen van wetenschappelijke onderbouwing voor de toepassing en verankering van off-label gebruik in protocollen en richtlijnen, is een taak van de medisch specialist en de wetenschappelijke vereniging.

In de loop der jaren hebben wetenschappelijke verenigingen richtlijnen ontwikkeld en geratificeerd waarin off-label use wordt omschreven. Met opname in een geratificeerde richtlijn ontstaat er in feite een nieuwe, niet-officiële, maar wel valide indicatie. Op grond van deze visie zou je kunnen spreken van een user label naast het bestaande originator label. Een user label is complementair aan een originator label. Beide labels zouden dan ook een vergelijkbare status moeten hebben. User labels moeten erkend worden als gelijkwaardig aan een originator label, ook wat betreft aanspraak en vergoeding.

### Drug rediscovery

Goed gedocumenteerde onderbouwing van off-label gebruik van een geneesmiddel kan bijdragen aan het registreren van een nieuw ontdekte toepassing. Het toevoegen van een nieuwe indicatie aan een geneesmiddel of het registreren van een nieuwe toedieningsvorm van een bestaand geneesmiddel wordt ook wel aangeduid als drug rediscovery. Vaak betreft het geneesmiddelen die al lang op de markt zijn en waarvan het patent verlopen is. Vanuit de innovatieve farmaceutische industrie is veelal weinig interesse voor de verdere ontwikkeling en eventuele registratie van andere indicaties, patiëntgroepen of doseringen dan waarvoor het initiële geneesmiddel ooit geregistreerd is. Dit vanwege de hoge kosten van onderzoek dat hiervoor nodig is en de langdurige registratietrajecten. Maar wanneer de mogelijkheid bestaat om een bestaand geneesmiddel effectief in te zetten bij een ziekte die anders behandeling met duurere alternatieven zou vergen, is het een aantrekkelijk en veel goedkoper alternatief. Het ZonMw-rapport Stimulering Drug Rediscovery staat uitvoerig stil bij wat nodig is om drug rediscovery een oplossing te laten zijn bij het breder toepassen van geneesmiddelen dan alleen voor de geregistreerde indicaties. Daarmee kan het ook een bijdrage leveren aan het verder terugdringen van de kosten van geneesmiddelen.

---

*Het middel 6-Thioguanine (6TG) is oorspronkelijk geregistreerd voor de behandeling van kinderen met leukemie, maar de laatste jaren wordt het eigenlijk uitsluitend nog off-label gebruikt voor de behandeling van patiënten met Inflammatory Bowel Diseases (Ziekte van Crohn en Colitis Ulcerosa). Na een jarenlange procedure heeft het College Beoordeling Geneesmiddelen (CBG) de registratie van 6TG voor behandeling van IBD-patiënten bekrachtigd.*

*De behandeling van patiënten met IBD omvat een spectrum van therapieën variërend van licht tot zwaar. De zware medicatie bestaat uit biologicals die per patiënt per jaar € 15.000 tot €30.000 kosten. Deze middelen worden alleen ingezet wanneer een patiënt voldoet aan de start-/stopcriteria van de Nederlandse Vereniging van Maag-Darm-Leverartsen.*

*Het middel 6TG is een metabooliet van azathioprine (Imuran) en purinethol (6MP). Het grote voordeel van 6TG is dat het minder bijwerkingen heeft dan de moederstof. Hierdoor kan het alsnog ingezet worden bij patiënten die Imuran en 6MP niet verdragen. Dit voorkomt de stap naar dure biologicals.*

---

## AANBEVELINGEN

Bovengenoemde ontwikkelingen geven aan dat de medisch specialist en diens wetenschappelijke vereniging als inhoudelijk deskundigen, belangrijke adviseurs zijn voor de overheid die streeft naar kosteneffectieve behandelingen om de gezondheidszorg betaalbaar te houden. Op individueel niveau participeren medisch specialisten, als experts op hun vakgebied, in diverse beoordelings- en adviescommissies. Het is essentieel dat de individuele medisch specialist hiertoe gemandateerd is door zijn wetenschappelijke vereniging. Elke wetenschappelijke vereniging dient een centraal aanspreekpunt te organiseren voor eenduidig advies aan overheidsinstellingen over de toepassing en wetenschappelijke onderbouwing van dure geneesmiddelen.

Op het niveau van de Federatie moet de inzet van expertise en het bewaken van eenduidigheid en kwaliteit van informatie breed afgestemd en geborgd worden.



# 05 De medisch specialist als onderzoeker en expert richting de farmaceutische industrie

De ontwikkeling van innovatieve geneesmiddelen is een complex en tijdrovend proces. Onderzoek naar moleculen en ziekteprocessen resulteert uiteindelijk in onderzoek met patiënten naar veiligheid en effectiviteit van het nieuwe middel, in het gunstige geval gevolgd door een registratie- en vergoedingsproces. Leidend in dit proces is de farmaceutische industrie. Onderzoekers, medisch specialisten, universiteiten en ziekenhuizen zijn in meerdere fasen betrokken.

## GENEESMIDDELENONDERZOEK EN DE ROL VAN DE MEDISCH SPECIALIST

*Geneesmiddelenonderzoek is gedefinieerd als:*

*'wetenschappelijk onderzoek met geneesmiddelen dat bedoeld is om de klinische, farmacologische of andere farmacodynamische effecten van een of meer geneesmiddelen voor onderzoek vast te stellen of te bevestigen of eventuele bijwerkingen van een of meer geneesmiddelen voor onderzoek te signaleren of de resorptie, de distributie, het metabolisme en de uitscheiding van een of meer geneesmiddelen voor onderzoek te bestuderen teneinde de veiligheid of werkzaamheid van deze geneesmiddelen vast te stellen'*

*(art 1 Wet medisch-wetenschappelijk onderzoek)*

Hoewel de geneeskunde in Nederland publiek (not for profit) georganiseerd is, is de innovatie van geneesmiddelen een commerciële activiteit waarin grote multinationals de leiding hebben. Dit betekent dat potentieel tegenstrijdige belangen in goed overleg en open benaderd moeten worden. Verschillende partijen kunnen het initiatief nemen tot het uitvoeren van geneesmiddelenonderzoek. Medisch specialisten en de wetenschappelijke verenigingen of onderzoeksorganisaties waaraan zij verbonden zijn, zijn vanwege hun expertise betrokken bij geneesmiddelenonderzoek. Ook overheidsorganisaties en particuliere instituten initiëren geneesmiddelenonderzoek en/of voeren dit uit. Geneesmiddelenonderzoek wordt publiek maar vooral privaat gefinancierd. Nederland heeft vrijwel geen eigen innovatieve farmaceutische industrie meer. De internationale farmaceutische bedrijven financieren ongeveer de helft van het geneesmiddelenonderzoek in Nederland.

De belangen van partijen in geneesmiddelenonderzoek kunnen strijdig zijn met elkaar. De medisch specialist dient zich bewust te zijn van zijn rol in en bijdrage aan geneesmiddelenonderzoek. Betrokkenheid van artsen bij de farmaceutische industrie ligt maatschappelijk en politiek gevoelig. Om zoveel mogelijk transparant te zijn over relaties tussen artsen en het bedrijfsleven zijn gedragsregels opgesteld voor geneesmiddelenreclame (CGR) en is het Transparantieregister opgezet. In dit register worden alle financiële relaties tussen een bedrijf en zorgverlener of -instelling vastgelegd. Het register is publiekelijk toegankelijk.

Medisch specialisten (en wetenschappelijke verenigingen) hebben een belangrijke rol in geneesmiddelenonderzoek. Met hun vakspecifieke kennis en ervaring dragen zij bij aan de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen in de vele fasen van het onderzoek. De medisch specialist die betrokken is bij de ontwikkeling en onderzoek van geneesmiddelen, moet zich bewust zijn van zijn rol en positie ten opzichte van de opdrachtgevers en financiers van het onderzoek.

## WETENSCHAPPELIJK ONDERZOEK NAAR NIEUWE GENEESMIDDELEN

Het onderzoek naar nieuwe geneesmiddelen vindt vooral buiten Nederland plaats, onder leiding van farmaceutische multinationals. Kennisinstellingen in Nederland verrichten op beperkte schaal onderzoek dat bijdraagt aan de ontwikkeling van of het begin kan zijn van een innovatief geneesmiddel.

Nederlandse onderzoekers en kennisinstellingen die een rol willen spelen in geneesmiddelenonderzoek dienen hun belangen over en weer zorgvuldig te beschrijven en openbaar te maken. Een financiële verwevenheid van onderzoekers en kennisinstellingen met farmaceutische bedrijven is onvermijdelijk, maar zoals gezegd moeten deze openbaar en dus toetsbaar te zijn. Het is op dit moment een illusie te denken dat Nederland en zelfs Europa een leidende rol kan spelen in het wetenschappelijk onderzoek met en naar innovatieve geneesmiddelen. Wel kan onderzocht worden of parallel aan de registratie van nieuwe geneesmiddelen of direct daarna, financiële middelen beschikbaar kunnen komen vanuit publieke en private partijen. Doel daarvan is onafhankelijk onderzoek te doen naar maatschappelijk en wetenschappelijk belangrijke vragen over innovatieve geneesmiddelen die uit commercieel perspectief niet opgepikt worden door de farmaceutische industrie.

Er zouden landelijke of, beter nog, Europese werkgroepen moeten komen, die onafhankelijk van de farmaceutische industrie een programma voor wetenschappelijk onderzoek per vakgebied of geneesmiddel opstellen. Deze werkgroepen zouden in staat moeten zijn de onderzoekprogramma's te financieren. VWS of een Europees equivalent zou in samenspraak met de farmaceutische industrie een programma voor financiering kunnen maken. Deelname aan of financiering van een dergelijk programma kan een voorwaarde worden voor toelating van medicijnen op de markt. Deze onderzoeksprogramma's zullen vooral betrekking hebben op doelmatigheid, veiligheid en op bijzondere en nieuwe indicaties die kansrijk, maar economisch niet interessant zijn.

## RICHTLIJNEN

Innovatieve geneesmiddelen vinden hun weg naar de markt traditioneel via publicaties en marketing, maar in toenemende mate ook via behandelrichtlijnen. Deze richtlijnen worden opgesteld door de beroepsgroep op basis van de relevante wetenschappelijke informatie. Het is de expertise van de beroepsgroep om alle wetenschappelijke informatie hierbij mee te nemen en transparant te zijn over potentiële bias. Het Transparantieregister laat zien dat er een verwevenheid bestaat tussen de opstellers van richtlijnen enerzijds en anderzijds de farmaceutische industrie die verantwoordelijk is voor het op de markt brengen van geneesmiddelen. Omdat er altijd een vorm van verwevenheid tussen betrokken medisch specialisten en de farmaceutische industrie zal zijn, ligt het gevaar van beroepsbias hierbij op de loer. (Leden van) richtlijnencommissies dienen transparant te zijn over eventuele belangen.

## EARLY ACCESS PROGRAMS

Geneesmiddelen komen in Nederland in de zorg beschikbaar nadat zij uitvoerig zijn getest en geregistreerd. In uitzonderlijke gevallen kan een geneesmiddel dat nog niet is toegelaten tot de markt, worden ingezet bij de behandeling van een ernstig zieke patiënt in een zogeheten early access program. Via een named patient-procedure (verstrekking op grond van een artsenverklaring die, specifiek voor een individuele patiënt, is ingediend bij de IGZ) of via een compassionate use-programma, kan een niet-geregistreerd geneesmiddel alsnog ter beschikking worden gesteld voor de behandeling van een patiënt. Bij een named patient-procedure en een compassionate use programma verstrekt de fabrikant de geneesmiddelen gratis, tot het moment dat aanspraak en vergoeding geregeld is.. Dergelijke programma's kunnen van invloed zijn op het zorgvuldige registratieproces dat normaalgesproken voorafgaat aan het verstrekken van een handelsvergunning in Nederland. Vanuit medisch-wetenschappelijk en medisch-ethisch perspectief is de named patient en compassionate use slechts in zeer bijzondere gevallen wenselijk.

## ALGEMEEN

Geneesmiddelontwikkeling en -productie is een commerciële activiteit in een gezondheidszorg die als not for profit wordt beschouwd. Beïnvloeding is onvermijdelijk. Het is aan de medisch specialist om ervoor te zorgen dat, daar waar een relatie wordt aangegaan met de farmaceutische industrie, deze de toets der kritiek kan doorstaan.



# 06 Samenvatting, conclusies en aanbevelingen

**De ontwikkelingen op het gebied van geneesmiddelen gaan snel. Nieuwe geneesmiddelen bieden perspectief aan patiënten met aandoeningen die voorheen niet of nauwelijks te behandelen waren. Maar deze nieuwe unieke geneesmiddelen zijn vaak duur. Naast hoge ontwikkel- en productiekosten en patentbescherming, spelen ook bedrijfseconomische prikkels zoals value based pricing en het principe willingness to pay een rol in de prijsstelling van deze medicijnen. Daarmee leidt de introductie van dure geneesmiddelen tot een toenemende druk op de kosten van geneesmiddelen als onderdeel van het gezondheidszorgbudget. De kwaliteit van de individuele patiëntenzorg kan daardoor op gespannen voet komen te staan met de beschikbare financiële ruimte om goede zorg te leveren.**

De medisch specialist is primair behandelend arts en de natuurlijke bondgenoot van de patiënt. Een patiënt moet erop kunnen vertrouwen dat hij optimaal wordt behandeld volgens de stand der wetenschap en praktijk. Medisch specialisten realiseren zich echter dat zij niet alleen verantwoordelijkheid hebben voor hun eigen patiënt, maar ook voor alle andere patiënten in de samenleving. In de discussie over doelmatige zorg en een juiste inzet van beschikbare middelen kunnen medisch specialisten en hun wetenschappelijke verenigingen een belangrijke bijdrage leveren aan een doelmatige inzet van nieuwe, innovatieve dure geneesmiddelen. Dit visiedocument beschrijft de rol van medisch specialisten en wetenschappelijke verenigingen, verenigd in de Federatie Medisch Specialisten, in het beheersbaar houden van de zorgkosten rondom het gebruik van dure geneesmiddelen. De eed van Hippocrates en de regels voorvloeiend uit de WGBO en de Wet BIG gelden hierbij als uitgangspunt.

## BONDGENOOT VAN DE PATIËNT

Medisch specialisten handelen primair in het belang van de patiënt. De eed vormt het uitgangspunt voor het kwaliteitsbeleid van medisch specialisten. Medisch specialisten verlenen zorg op basis van richtlijnen die primair kwaliteit en veiligheid van zorg als uitgangspunt hebben, maar medisch specialisten voelen zich ook verantwoordelijk voor de kosten van de zorg en dus voor de toegankelijkheid en beschikbaarheid van die zorg. Met de landelijke programma's Samen Beslissen en Verstandig Kiezen geeft de Federatie Medisch Specialisten concreet invulling aan het convenant Gepast gebruik van zorg waarin veldpartijen afspraken hebben vastgelegd om gepast gebruik van zorg te bevorderen. Deze campagnes ondersteunen medisch specialisten om samen met de patiënt de voor de patiënt best passende behandeling te kiezen. Ervaring met en inzicht in de effecten van innovatieve geneesmiddelen, gepositioneerd binnen richtlijnen en informatie uit registraties, moeten ervoor zorgen dat artsen hun patiënten steeds beter kunnen informeren over de te verwachten effecten van innovatieve geneesmiddelen in hun individuele situatie. Dit bevordert het gepast gebruik en de mogelijkheid voor de patiënt om zelf goed geïnformeerde keuzen te maken.

## BEWAKERS VAN KWALITEIT EN DOELMATIGHEID

Vanaf het moment dat een nieuw duur geneesmiddel beschikbaar komt voor de medisch-specialistische zorg en gedurende de verdere implementatie ervan, kunnen medisch specialisten en hun wetenschappelijke verenigingen vanuit medisch-inhoudelijk perspectief bijdragen aan een doelmatige inzet van deze middelen.



Zodra er voor een geneesmiddel een nieuwe indicatie ontstaat óf op het moment dat een nieuw middel op de markt komt (bijvoorbeeld na EMA-registratie ) kan een wetenschappelijke vereniging de toepassingsmogelijkheden duiden én uitspraak doen over de plek van het geneesmiddel in het behandelarsenaal. Het samenwerkingsverband van medisch oncologen (NVMO) maakt bijvoorbeeld gebruik van een commissie Beoordeling van Oncologische Middelen (cie BOM). Deze commissie adviseert over de plaatsbepaling van nieuwe oncologische geneesmiddelen.

Het is aan medisch specialisten en hun wetenschappelijke verenigingen om hun expertise in te zetten voor een juiste plaatsbepaling van nieuwe geneesmiddelen binnen het eigen vakgebied. Wetenschappelijke verenigingen dienen zo mogelijk voor elk nieuw duur geneesmiddel, bij voorkeur voorafgaand aan introductie in de medisch-specialistische zorg, tot nadere indicatiestelling te komen. Transparantie over de totstandkoming van het indicatie-advies of de plaatsbepaling en het opvolgen van dit advies door de eigen beroepsgroep, is belangrijk voor gepast gebruik van dure geneesmiddelen.

De plaatsbepaling kan worden aangescherpt door criteria vast te stellen voor het uitvoeren van de betreffende behandeling. Innovatieve geneesmiddelen zijn geregistreerd voor een specifieke patiëntenpopulatie en/of in specifieke behandelingsituaties. De inzet van dergelijke geneesmiddelen vereist soms aanvullende faciliteiten of deskundigheid die niet in elk ziekenhuis voorhanden is. De beroepsgroep kan randvoorwaarden vastleggen waar een instelling of team van medisch specialisten aan moet voldoen om behandelingen met nieuwe dure geneesmiddelen uit te voeren. Toepassing van deze criteria kan (verdere) concentratie van zorg tot gevolg hebben, maar dan wel met de garantie dat iedere patiënt die in aanmerking komt, wordt behandeld door een multidisciplinair team dat de nodige ervaring heeft met de indicatiestelling van het geneesmiddel, de toediening ervan, de bijwerkingen en de behandeling van die bijwerkingen. Zorginstellingen en zorgverzekeraars dienen deze normen te hanteren bij de zorginkoop.

Op het moment van introductie van een innovatief geneesmiddel is vaak nog onvoldoende wetenschappelijk bewijs voorhanden om tot een goed onderbouwde plaatsbepaling in een behandelrichtlijn te kunnen komen. Het is aan de wetenschappelijke verenigingen om bij het ontbreken van hard bewijs een standpunt te formuleren over de positie van een nieuw uniek geneesmiddel in het behandelarsenaal.

Daar waar bij introductie van een innovatief geneesmiddel nog onvoldoende wetenschappelijk bewijs voorhanden is om tot een goed onderbouwde plaatsbepaling te komen, kan een leidraad een zorgvuldige en veilige introductie van het geneesmiddel (of de interventie) ondersteunen.

Na de introductieperiode is het van belang om gegevens over diagnostiek, indicatiestelling en uitkomsten van de behandeling met nieuwe (dure) geneesmiddelen in de dagelijkse klinische praktijk te verzamelen. De informatie die beschikbaar komt uit registraties kan voor meerdere doeleinden worden gebruikt zoals bijvoorbeeld het onderbouwen van off-label toepassingen van dure geneesmiddelen. De



off-label toepassing zoals bijvoorbeeld binnen de kindergeneeskunde en de oncologie kan echter tot problemen leiden. Enerzijds omdat de relatief kleine patiëntaantallen nooit zullen leiden tot initiatieven van de fabrikant om het geneesmiddel voor deze patiëntengroep en indicatie te laten registreren. Anderzijds omdat off-label inzet kan leiden tot problemen met aanspraak en bekostiging. Registraties kunnen hierbij de informatie opleveren om off-label toepassingen zo snel mogelijk en onderbouwd in een richtlijn te verankeren en deze regelmatig opnieuw te beoordelen.

Met opname in een geratificeerde richtlijn ontstaat er zo in feite een nieuwe, niet-officiële, maar wel valide indicatie voor het betreffende geneesmiddel. Op grond van deze visie zou men kunnen spreken van een user label naast het bestaande originator label. User labels moeten erkend worden als gelijkwaardig aan een originator label ook ten aanzien van aanspraak en vergoeding.

Goed gedocumenteerde onderbouwing van off-label gebruik van een geneesmiddel kan bijdragen aan het registreren van een nieuw ontdekte toepassing, ook wel aangeduid als drug rediscovery.

De gegevens uit registraties kunnen worden gebruikt voor het bijstellen van richtlijnen.

Wetenschappelijke verenigingen moeten richtlijnen dynamisch en flexibel maken zodat patiënten snel kunnen profiteren van innovatieve ontwikkelingen. Nieuwe richtlijnen worden modulair opgebouwd waardoor zij snel geactualiseerd kunnen worden.

Naast het onderbouwen van off-label toepassing van dure geneesmiddelen en het bijstellen van richtlijnen, kan de beroepsgroep de gegevens uit registraties en doelmatigheidsonderzoek voor andere doeleinden gebruiken. Bijvoorbeeld om start-stopcriteria te formuleren en om praktijkvariatie op ziekenhuisniveau vroegtijdig op te sporen, te duiden en waar nodig aan te pakken.

In toenemende mate worden Patient-Reported Outcome Measures (PROMs) opgenomen in de registraties voor kwaliteitsverbetering. PROMs bieden waardevolle informatie over de kwaliteit van leven van patiënten bij de inzet van dure geneesmiddelen. Hiermee kan een juiste inzet van deze geneesmiddelen nog beter worden vastgesteld.

Doelmatige zorg wordt gestimuleerd door protocollaire behandeling en monitoring. Toch is one size fits all geen optimale benadering van alle patiënten. Er zijn grote verwachtingen van personalized medicine maar het is nog onduidelijk hoe dit zich gaat ontwikkelen. Persoonskenmerken, shared decision making, patiënt preferenties en het meten en bespreken van patiënt gerapporteerde uitkomsten helpen de arts om samen met de patiënt de meest kansrijke therapie te kiezen.

Het is van belang uitkomstenonderzoek te doen in de dagelijkse klinische praktijk om de waarde van een nieuw duur geneesmiddel vast te stellen. Hiertoe kan een registratie opgezet worden. Inmiddels is er een groot aantal (lokale en regionale) registraties ontstaan. Vanwege de registratielasten die daarmee gepaard gaan en de bijkomende kosten, is er een toenemende behoefte aan regie. Landelijke regie maar ook structurele financiering van registraties zijn essentieel om informatie te genereren die een doelmatige inzet van dure geneesmiddelen bevordert.

#### EXPERT EN MEDISCH ADVISEUR BINNEN DE ZIEKENHUISORGANISATIE

Zorgverzekeraars kopen medisch specialistische zorg in voor hun verzekerden. In de onderhandelingen met het ziekenhuis over de aard, omvang en kosten van te leveren zorg worden ook de kosten van de inzet van dure geneesmiddelen betrokken. Het belang van goede contractafspraken over de kosten van dure geneesmiddelen is groot nu zorgverzekeraars meer risicodragend zijn voor deze kosten. Voor het ziekenhuis en de medisch specialisten is het van belang om afspraken over de inzet en bekostiging van dure geneesmiddelen te maken op basis van beschikbare informatie en een juiste inschatting van het aantal te behandelen patiënten. De medisch specialist en de vakgroep binnen het ziekenhuis hebben samen met de ziekenhuisapothekers een belangrijke taak in dit proces. Zowel binnen de vakgroep als in een geneesmiddelen- en budgetcommissie en in het team dat de contractering voorbereidt.

Het advies aan medisch specialisten is om binnen de vakgroep een medisch specialist te mandateren om op het gebied van geneesmiddelen aanspreekpunt te zijn voor de ziekenhuisorganisatie en de zorgverzekeraars. Deze medisch specialist brengt de (inter)nationale ontwikkelingen in kaart rondom de introductie van nieuwe (dure) geneesmiddelen en de uitbreiding van indicaties van bestaande (dure) geneesmiddelen binnen het vakgebied. De wetenschappelijke vereniging heeft hierin een belangrijke ondersteunende

taak. Elke vakgroep zou de inzet van dure geneesmiddelen moeten monitoren aan de hand van protocollen die door een geneesmiddelencommissie zijn vastgesteld.

Daarnaast is het verstandig om in elk ziekenhuis een geneesmiddelencommissie in te stellen. Deze commissie is verantwoordelijk voor het opstellen en onderhouden van een geneesmiddelenformularium, het adviseren over de inzet van dure geneesmiddelen, het accorderen van door de vakgroep opgestelde protocollen en controle daarop. Daarnaast kan de geneesmiddelencommissie periodiek de inzet van dure geneesmiddelen evalueren en de indicatiestelling zo nodig bijstellen. Het is tevens aan te bevelen om in ieder ziekenhuis een budgetcommissie te installeren die de inzet van dure geneesmiddelen monitort op basis van de gemaakte prijsafspraken. Een dreigende overschrijding van gemaakte bekostigingsafspraken kan dan tijdig gesignaleerd worden.

In de voorbereiding van de contractering met de zorgverzekeraar is een goede analyse van de inzet van dure geneesmiddelen in het ziekenhuis nodig evenals informatie over het aantal te behandelen patiënten. Dit is informatie die bij uitstek van de behandelend medisch specialisten moet komen, ondersteund door managementinformatie van het ziekenhuis. De betreffende vakgroepen dienen vertegenwoordigd te zijn in het team dat de contractering voor het ziekenhuis voorbereidt. In de afspraken die het ziekenhuis maakt met de zorgverzekeraar moet helder worden vastgelegd, wat de voorwaarden zijn voor bekostiging van dure geneesmiddelen. Onderdeel hiervan zijn afspraken over hoe de zorgverzekeraar omgaat met de bekostiging van dure geneesmiddelen wanneer plafondafspraken worden overschreden. Ook moet vastgelegd worden wat het verwijlsbeleid is bij patiënten die behandeld moeten worden met een duur geneesmiddel dat ofwel niet in het betreffende ziekenhuis verstrekt kan worden omdat dit niet gecontracteerd is, ofwel leidt tot bekostigingsproblemen omdat de omzetplafonds worden overschreden. Zorgverzekeraars hebben hierin ook een grote verantwoordelijkheid. In geen geval mogen financiële aspecten van het voorschrijven van dure geneesmiddelen ten koste gaan van de kwaliteit van de behandeling van een patiënt.

De toenemende complexiteit en de steeds groter wordende financiële risico's bij het inkopen van dure geneesmiddelen vragen om het versterken van de inkoopfunctie met specifieke kennis op het gebied van inkoop en inbreng van voorschrijvers. Het is voor een succesvolle inkoopstrategie van belang dat medisch specialisten betrokken zijn en zich kunnen committeren aan afspraken over het voorschrijven van voorkeursgeneesmiddelen (inclusief biosimilars) met inachtneming van de behandeling volgens de stand van wetenschap en praktijk.

Medisch-inhoudelijke expertise is nodig voor een optimale contractering van zorg en een optimale inzet van geneesmiddelen binnen het ziekenhuis. De inzet van medisch specialisten via vertegenwoordiging vanuit de vakgroep in de diverse gremia binnen het ziekenhuis moet worden geborgd.

### EXPERT EN ADVISEUR RICHTING OVERHEID

Het is aan het ministerie van VWS om de gezondheidszorg toegankelijk en betaalbaar te houden. In het systeem van toelating en bekostiging van geneesmiddelen is een aantal maatregelen getroffen om meer controle te houden op de introductie van nieuwe en dure geneesmiddelen. De sluis-maatregel en financiële prijsarrangementen zijn instrumenten om prijsafspraken te maken met de leverancier en daarmee de financiële risico's van de introductie van een duur geneesmiddel te beperken. De maatregel voorwaardelijke toelating biedt de mogelijkheid om dure interventies en geneesmiddelen tijdelijk toe te laten tot het verzekerde pakket. Voorwaarde hierbij is dat er binnen vier jaar aanvullend onderzoek komt over de (kosten) effectiviteit zodat het Zorginstituut een definitief oordeel kan geven over toelating tot verzekerde zorg.

De Federatie Medisch Specialisten moet het eerste aanspreekpunt zijn voor medisch-inhoudelijke adviesaanvragen in het kader van risicogericht pakketbeheer en voorwaardelijke toelating. Uiteraard worden de wetenschappelijke verenigingen hierbij betrokken.

Medisch specialisten en wetenschappelijke verenigingen participeren in diverse beoordelings- en adviescommissies van de overheid. In het belang van eenduidigheid en betrouwbaarheid van de expertise en de informatie is het de taak van de wetenschappelijke verenigingen om de inzet van deze expertise te coördineren. Individuele medisch specialisten die participeren in adviescommissies moeten hiervoor het mandaat krijgen van hun wetenschappelijke vereniging. Op het niveau van de Federatie is bredere afstemming noodzakelijk over de inzet van expertise en het bewaken van eenduidigheid en kwaliteit van informatie.

## ONDERZOEKER EN EXPERT RICHTING DE FARMACEUTISCHE INDUSTRIE.

Medisch specialisten en wetenschappelijke verenigingen leveren met hun vakspecifieke kennis en ervaring een belangrijke bijdrage aan de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen in de diverse fasen van onderzoek. De medisch specialist die betrokken is bij ontwikkeling en onderzoek van geneesmiddelen, dient zich bewust te zijn van zijn rol en positie ten opzichte van opdrachtgevers en financiers van onderzoek, ziektekostenverzekeraars en (non-) gouvernementele organisaties. Onderlinge verwevenheid van onderzoekers en kennisinstellingen is onvermijdelijk, maar dient openbaar en toetsbaar te zijn.

Kennisinstellingen in Nederland verrichten op beperkte schaal onderzoek dat bijdraagt aan de ontwikkeling van een innovatief geneesmiddel of daar het begin van kan zijn.

Het is op dit moment een illusie te denken dat Nederland en zelfs Europa een leidende rol kan spelen in het wetenschappelijk onderzoek met en naar innovatieve geneesmiddelen. Wel kan onderzocht worden of parallel aan de registratie van nieuwe geneesmiddelen of direct daarna, financiële middelen beschikbaar kunnen komen vanuit publieke en private partijen. Doel daarvan is onafhankelijk onderzoek te doen naar maatschappelijk en wetenschappelijk belangrijke vragen over innovatie geneesmiddelen die uit commercieel perspectief niet opgepikt worden door de farmaceutische industrie. Er zouden landelijke, of beter nog, Europese werkgroepen moeten komen die onafhankelijk van de farmaceutische industrie een onderzoeksprogramma per vakgebied of geneesmiddel opstellen. Deelname aan of financiering van een dergelijk programma kan een voorwaarde worden voor toelating van medicijnen op de markt.

Innovatieve geneesmiddelen vinden hun weg naar de markt traditioneel via publicaties en marketing, maar in toenemende mate ook via behandelrichtlijnen. De beroepsgroep stelt deze richtlijnen op. Het is de expertise van de beroepsgroep om alle wetenschappelijke informatie hierbij mee te nemen en transparant te zijn over potentiële bias. (Leden van) richtlijnencommissies dienen transparant te zijn over eventuele belangen.

In uitzonderlijke gevallen kan een geneesmiddel dat nog niet is toegelaten tot de markt, worden ingezet bij de behandeling van een ernstig zieke patiënt in een zogeheten early access program. Vanuit medisch-wetenschappelijk en medisch-ethisch perspectief is de named patient en compassionate use slechts in zeer bijzondere gevallen wenselijk. We moeten bewust zijn van het gegeven dat vroegtijdige toegang tot de markt van invloed is op het registratie- en vergoedingstraject van het nieuwe geneesmiddel. In het algemeen geldt dat geneesmiddelontwikkeling en -productie een commerciële activiteit is in een gezondheidszorg die als not for profit wordt beschouwd. Beïnvloeding is onvermijdelijk. Het is aan de medisch specialist om ervoor te zorgen dat daar waar een relatie wordt aangegaan met de farmaceutische industrie, deze de toets der kritiek kan doorstaan.



**De toenemende beschikbaarheid van dure innovatieve geneesmiddelen voor behandeling van patiënten geeft druk op de financiële middelen. De medisch specialist heeft samen met de wetenschappelijke vereniging een verantwoordelijkheid om de doelmatige inzet van dure geneesmiddelen te bevorderen. Behalve als behandelend arts kan de medisch specialist als adviseur binnen een ziekenhuis of richting overheid en de farmaceutische industrie hieraan een bijdrage leveren.**

#### ALS BEWAKERS VAN KWALITEIT EN DOELMATIGHEID:

Wetenschappelijke verenigingen dienen beroepsbeoefenaren te ondersteunen en te stimuleren bij de optimale inzet van geneesmiddelen. Ook moeten zij de effecten van die inzet zichtbaar maken met indicatoren, uitkomstmaten en maten voor de kwaliteit van leven. Zij geven invulling aan deze taken door:

- Bij introductie van een nieuw duur geneesmiddel de toepassingsmogelijkheden te duiden, en uitspraak te doen of het geneesmiddel een plek verdient in het behandelarsenaal.
- Normen vast te stellen met randvoorwaarden voor de instelling / beroepsbeoefenaren die de behandelingen met innovatieve dure geneesmiddelen uit mogen voeren. Zorginstellingen en zorgverzekeraars dienen deze normen te hanteren bij de zorginkoop.
- Bij voldoende beschikbare evidence een behandelrichtlijn te ontwikkelen om gepaste inzet van het geneesmiddel te ondersteunen.
- Het in samenspraak met andere partijen initiëren van registraties om de effecten van het betreffende geneesmiddel met behulp van indicatoren, uitkomstmaten of maten voor de kwaliteit van leven inzichtelijk te maken. Een randvoorwaarde hierbij is dat de registratie past binnen het totaal van registraties (rekening houdende met administratieve lasten) en de registratie structureel bekostigd wordt.

De gegevens die voortvloeien uit registraties en doelmatigheidsonderzoek kunnen voor vele doeleinden gebruikt worden. Dit leidt tot een aanbeveling aan de wetenschappelijke verenigingen:

- Gebruik de resultaten van registraties en uitkomstenonderzoek voor het herzien van richtlijnen en toets bestaande adviezen in richtlijnen regelmatig op bruikbaarheid en voortschrijdend inzicht van de stand van de wetenschap.

#### ALS EXPERT EN MEDISCH ADVISEUR BINNEN DE ZIEKENHUISORGANISATIE

De medisch specialist beschikt over de expertise om op diverse niveaus in de ziekenhuisorganisatie te adviseren over dure geneesmiddelen. Dit leidt tot de volgende aanbevelingen aan vakgroepen van medisch specialisten én aan management en bestuur van ziekenhuizen:

- Mandateer een medisch specialist binnen de vakgroep als aanspreekpunt voor de ziekenhuisorganisatie en zorgverzekeraars en stel hem verantwoordelijk voor het in kaart brengen van nationale en internationale ontwikkelingen met betrekking tot de introductie en implementatie van nieuwe dure geneesmiddelen.
- Laat de vakgroep de inzet van dure geneesmiddelen monitoren aan de hand van protocollen die door de geneesmiddelencommissie zijn goedgekeurd.
- Stel een geneesmiddelencommissie in die verantwoordelijk is voor het opstellen en onderhouden van een geneesmiddelenformularium, het adviseren over de inzet van dure geneesmiddelen, het accorderen van door de vakgroep opgestelde protocollen en de controle daarop.
- Zorg voor commitment van de medisch specialist / vakgroep aan afspraken over het voorschrijven van

voorkeursgeneesmiddelen.

- Installeer een budgetcommissie die de inzet van dure geneesmiddelen monitort op basis van de gemaakte prijsafspraken.
- Leg afspraken vast over het verwijsbeleid bij patiënten die niet in het eigen ziekenhuis behandeld kunnen worden. Het is van belang dat medisch specialisten betrokken worden bij het tot stand komen van deze afspraken en het toezicht op de naleving ervan.
- Benut de expertise van de medisch specialist en ziekenhuisapotheker in de voorbereiding van de contractering.
- Betrek medisch specialisten (en ziekenhuisapothekers) structureel bij het vaststellen van het ziekenhuis-formularium, de afspraken over de inzet van geneesmiddelen met de zorgverzekeraar, de toetsing van de inzet van geneesmiddelen aan de gemaakte afspraken (controle functie) en de inkoop van dure geneesmiddelen. Zo kan de medisch specialist samen met zijn vakgroep zijn adviserende rol waarmaken en zijn expertise optimaal benutten.

### ALS EXPERT EN ADVISEUR RICHTING DE OVERHEID

De overheid heeft voor het bewaken van de toegankelijkheid en betaalbaarheid van de zorg gedurende de hele levenscyclus van een duur geneesmiddel informatie nodig over de indicatie, de patiëntenpopulatie en het te verwachten aantal patiënten dat het geneesmiddel zal gebruiken. De medisch specialist en de wetenschappelijke verenigingen hebben de expertise om de overheid van de juiste informatie te voorzien. Hiertoe de volgende aanbevelingen:

- Om overheid en overheidsorganen eenduidig te informeren en te adviseren, dienen de wetenschappelijke verenigingen hierbij de regie en coördinatie te voeren.
- Medisch specialisten die individueel participeren in diverse (landelijke- of lokale) beoordelings- en adviescommissies dienen hiertoe gemandateerd te zijn door hun wetenschappelijke vereniging.
- Op het niveau van de Federatie moet brede afstemming over de inzet van expertise en het bewaken van eenduidigheid en kwaliteit van informatie, gewaarborgd worden.
- De Federatie Medisch Specialisten is het eerste aanspreekpunt voor medisch-inhoudelijke adviesaanvragen in het kader van risicogericht pakketbeheer en voorwaardelijke toelating. Uiteraard worden de wetenschappelijke verenigingen hierbij betrokken.

### ALS ONDERZOEKER EN EXPERT RICHTING DE FARMACEUTISCHE INDUSTRIE.

Medisch specialisten en de wetenschappelijke verenigingen of onderzoeksorganisaties waaraan zij verbonden zijn, zijn vanwege hun expertise betrokken bij geneesmiddelenonderzoek. De belangen van partijen in geneesmiddelenonderzoek kunnen strijdig zijn met elkaar. Dit leidt tot de volgende aanbevelingen:

- De medisch specialist die betrokken is bij ontwikkeling en onderzoek van geneesmiddelen, dient zich bewust te zijn van zijn rol en positie ten opzichte van de opdrachtgevers en financiers van onderzoek en zich transparant en toetsbaar op te stellen.
- (Leden van) richtlijnencommissies dienen transparant te zijn over eventuele belangen.

# Bijlage 1 Samenstelling en werkwijze taakgroep Dure Geneesmiddelen

## TAAKOPDRACHT

De opdracht aan de taakgroep was te komen tot een visiedocument waarin de rol en positie van de medisch specialist en de wetenschappelijke verenigingen wordt beschreven bij het beheersbaar houden van de zorgkosten rondom het gebruik van dure geneesmiddelen.

## SAMENSTELLING TAAKGROEP

De taakgroep Dure Geneesmiddelen bestaat uit vertegenwoordigers van tien wetenschappelijke verenigingen. Vanuit de NIV participeren ook afgevaardigden vanuit de subverenigingen endocrinologie, hematologie en infectiologie in de taakgroep. Daarnaast participeren vertegenwoordigers vanuit samenwerkingsverbanden van medisch specialisten rond specifieke patiëntengroepen/ziektebeelden, te weten de Stichting Oncologische Samenwerking (SONCOS) en de Nederlandse Vereniging voor Medische Oncologie (NVMO).

### Leden taakgroep:

- Dr. D.L. Hilarius	NVZA, voorzitter.
- Dr. M.W.J.M. Wouters	SONCOS
- Prof. dr. A.J. Gelderblom	NIV/NVMO
- Dr. A.A.M. Franken	NIV/Endocrinologie
- Prof. dr. N.M.A. Blijlevens	NIV/Hematologie
- Prof. dr. K. Brinkman	NIV/Infectiologie
- Dr. A. van Royen- van Kerkhof	NVK/werkgroep Geneesmiddelen
- Prof. dr. E.P. Prens	NVDV
- Dr. M.V. van Hecke	NOG
- Dr. J. Killestein	NVN
- Prof. dr. H.J.M. Groen	NVALT
- Prof. dr. M.A.F.J. van de Laar	NVR
- Dr. A.A. van Bodegraven	NVMDL
- Prof. dr. H.J. Metselaar	NVMDL
- Drs. B.L.R. Kam	NVNG
- Prof. dr. J.G.W. Kosterink	NVZA
- Drs. B. W.H. van de Lagemaat	secretaris
- Drs. A.L.J. Verhoeven	secretaris

## WERKWIJZE

In juni 2015 is de taakgroep Dure Geneesmiddelen ingesteld. Gezien de omvang, diepgang en breedte van de discussie is de taakgroep naast de bestaande werkgroep Geneesmiddelen van de raad Kwaliteit ingesteld. Een lid van de werkgroep Geneesmiddelen participeert ook in de taakgroep Dure Geneesmid-delen. Om de taakgroep een vliegende start te geven, heeft een kleine kerngroep bestaande uit drie leden, ondersteund door het Federatiebureau, de inrichting van de taakgroep voorbereid. (dr. D.L. Hilarius, (NVZA), prof. dr. A.J. Gelderblom (NIV/NVMO) en dr. M.W.J.M. Wouters (SONCOS)). Deze kerngroep heeft een voorstel gedaan voor (vertegenwoordigers van) de wetenschappelijke verenigingen die zouden moeten deelnemen aan de taakgroep.

De taakgroep is in het najaar van 2015 tweemaal bijeen gekomen. Tussentijds hebben leden van de taakgroep zowel gezamenlijk als individueel aan de verschillende delen van het visiedocument geschreven. Het bureau van de Federatie heeft dit proces begeleid en ondersteund, de inhoudelijke afstemming met andere beleidsdomeinen bewaakt en de verschillende inhoudelijke bijdragen geredigeerd tot één document.





Federatie  
**Medisch  
Specialisten**

**Bezoekadres:**  
Federatie Medisch Specialisten  
Domus Medica  
Mercatorlaan 1200  
3528 BL Utrecht

**Postadres:**  
Postbus 20057  
3502 LB Utrecht

[www.demedischspecialist.nl](http://www.demedischspecialist.nl)