

Dossiereisen aanvraag voor voorwaardelijke toelating

De dossiereisen zijn de volgende:

Deel 1: Inhoudelijke achtergrondinformatie

- a. Beschrijving van de interventie.
- b. Beschrijving van de geregistreerde indicatie en indien van toepassing de specifieke indicatie binnen de geregistreerde indicatie waarvoor de registratiehouder vergoeding binnen het traject van voorwaardelijke toelating wil aanvragen.
- c. Gegevens over kwaliteit van leven (EQ-5D-5L) en levensverwachting van patiënten met de aandoening zonder behandeling met het nieuwe geneesmiddel.
- d. Beschrijving van de standaard- of gebruikelijke behandeling.
- e. Systematische review van de tot dan toe beschikbare effectiviteitsgegevens van het geneesmiddel.
- f. Beschrijving van de cruciale *evidence gap*.
- g. Beargumenteerde inschatting van het verwachte voordeel van toepassing van het geneesmiddel voor wat betreft effectiviteit.
- h. Welke plaats het geneesmiddel zal gaan krijgen in het behandelarsenaal en in de richtlijn.
- i. Voorstel voor (de-)implementatie en exit-strategie als het geneesmiddel niet aan de stand van de wetenschap en praktijk blijkt te voldoen.
- j. Mening van de relevante beroepsgroep(en).
- k. Mening van de relevante patiëntenorganisatie(s).

Deel 2: Informatie over haalbaarheid

- a. Intentieverklaringen van ziekenhuizen of zorgverleners over deelname aan het onderzoek.
- b. Intentieverklaring van onderzoekers dat (een deel van) de zorg (geneesmiddel en follow-up), indien en voor zover mogelijk en verantwoord, in de eigen regio van de patiënt wordt aangeboden, teneinde de toegang tot het geneesmiddel zo min mogelijk te belemmeren.
- c. Intentieverklaring van betrokken beroepsgroepen dat het geneesmiddel niet buiten studieverband wordt aangeboden en dat zij gegevens zullen invoeren in het register.
- d. Intentieverklaring van betrokken patiëntenorganisatie(s) dat zij de onderzoeken zullen ondersteunen (door deelname aan metingen en het invullen van vragenlijsten).
- e. Intentieverklaringen van commissieleden over deelname aan de indicatiecommissie (bestaande uit een onafhankelijk voorzitter en onafhankelijk deskundigen, waarbij het geheel bestaat uit een oneven aantal).

Deel 3A: Informatie over het voorgestelde onderzoek

- a. De onderzoeksvraag en het studieprotocol. Dit dient de *evidence gap* adequaat in kaart te brengen. Design, in- en exclusiecriteria, vergelijkende behandeling, powerberekening en groepsgrootte, looptijd, follow-up, *go/no go* momenten (moment en aantal), (intermediaire) uitkomstmaten (waaronder kwaliteit van leven, zoals de EQ-5D-5L), statistische analyse. Eventueel kan het hier gaan om een lopend (internationaal) onderzoek.
- b. Indien van toepassing: benodigde gegevens voor uitvoeren van een farmaco-economische analyse¹.
- c. Informatie over lopende studies elders.
- d. Haalbaarheid onderzoek en tijdschema. Indien van toepassing: de reden(en) opgeven waarom de gewenste duur van het onderzoek meer dan zeven jaar is.
- e. Begroting van het onderzoek.

Deel 3B: Informatie over het voorgestelde neven- of registeronderzoek

- a. De onderzoeksvraag en het studieprotocol. Dit onderzoek dient informatie op te leveren over gepast gebruik van het geneesmiddel in de Nederlandse praktijk. Van te voren moet vastgesteld worden welke gegevens worden verzameld in het nevenonderzoek.

¹ Zorginstituut Nederland. Richtlijn voor het uitvoeren van economische evaluaties in de gezondheidszorg. 2016

- b. Plan en tijdschema voor data-analyse aan het eind van de periode van voorwaardelijke toelating.
- c. Begroting van het onderzoek.

Deel 4: Het verslag van de bijeenkomst bij het Zorginstituut over de aspecten die relevant zijn voor het betreffende geneesmiddel (PICoT, klinische relevantie van het effect, subgroepen, start- en stopcriteria (objectief geformuleerd en medisch-inhoudelijk van aard), aanwezigheid expertisecentrum, indicatiecommissie en beschikbaarheid van (inter)nationale registers).