

Zorginstituut Nederland
T.a.v. dhr. R. Ophuis en/of mw. F. Diemer
Postbus 320
1110 AH Diemen

Den Haag, 28 februari 2020
Betreft: Reactie HollandBIO op concept update beoordelingsprocedure specialistische geneesmiddelen

Geachte mevrouw Diemer en meneer Ophuis, beste Robbin en Frederieke,

HollandBIO stelt het erg op prijs dat wij een reactie op het conceptrapport "Beoordelingsprocedure specialistische geneesmiddelen" mogen geven. In de bijlage treffen jullie het Word-document met hierin revisiemarkeringen en onze opmerkingen toegevoegd.

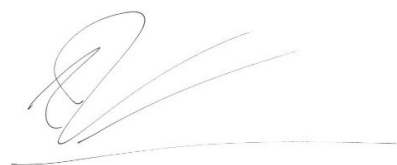
HollandBIO juicht het toe dat de beoordelingsprocedure geactualiseerd wordt. Om nieuwe reeds geregistreerde geneesmiddelen zo snel mogelijk toegankelijk te maken voor de patiënt is het essentieel dat de te volgen procedures voor alle belanghebbende glashelder zijn. Dit geldt ook voor specialistische geneesmiddelen die op basis van de horizonscan niet in de sluis zijn geplaatst. Het is voor ons nog niet geheel duidelijk op basis van welke criteria en binnen welke termijnen partijen kunnen besluiten een beoordeling te starten voor deze niet-sluisgeneesmiddelen (paragraaf 2.2.2). Naast een duidelijke procedure, is het ook belangrijk dat de rollen en verantwoordelijkheden van de verschillende belanghebbenden expliciet worden gemaakt.

Uiteraard onderschrijven wij het belang van optimale samenwerking tussen alle relevante partijen om het beoordelingsproces zo soepel mogelijk te laten verlopen. Het is wat HollandBIO betreft dan ook een gemiste kans dat registratiehouders niet betrokken zijn bij het scoping overleg. De uitkomsten van dit overleg kunnen invloed hebben op de dossier eisen. De registratiehouder is verantwoordelijk voor het indienen van het dossier. Het bevordert de kwaliteit van het dossier en de efficiëntie van het proces wanneer alle betrokkenen vanaf het begin aan tafel zitten.

In jullie begeleidend schrijven geven jullie terecht aan dat nieuwe ontwikkelingen, zoals cel- en gentherapie en geneesmiddelen voor kleine groepen patiënten, het huidige beoordelingskader op de proef stellen. HollandBIO kijkt dan ook vol verwachting uit naar eerste uitkomsten van jullie project 'Toekomstgericht beoordelingskader' en denkt graag met jullie mee over mogelijke oplossingen.

Wij hopen dat jullie kans zien om onze suggesties mee te nemen in de definitieve procedure. Mocht deze brief aanleiding geven tot vragen, dan zijn wij uiteraard bereikbaar voor toelichting.

Met vriendelijke groet,



Annemiek Verkamman
Directeur HollandBIO

Zorginstituut Nederland
t.a.v. de heer dr. J. Wijma
voorzitter raad van bestuur
Willem Dudokhof 1
1112 ZA Diemen
Postbus 320

Datum	Referentie NFU	Pagina
4 maart 2020	NFU-2030043/FdB/YK	1/4

Onderwerp

Consultatie beoordelingsprocedure specialistische geneesmiddelen

Geachte heer Wijma,

Hartelijk dank voor het toezenden van de conceptversie van de update van de beoordelingsprocedure specialistische geneesmiddelen. Hieronder treft u het gezamenlijke commentaar aan van de Nederlandse Federatie van Universitair Medische Centra (NFU), de Federatie Medisch Specialisten (FMS), de Nederlandse Vereniging van Ziekenhuisapothekers (NVZA) en de Nederlandse Vereniging van Ziekenhuizen (NVZ).

Wij onderschrijven de grote lijnen van de conceptprocedure beoordeling. Maar wij zien ook aspecten die nog niet goed zijn benoemd of uitgewerkt. Onze suggestie is om aan die zaken (zie hieronder) aandacht te schenken.

Algemeen

In het stuk staat dat de beoordelingen van het Zorginstituut niet beperkt zijn tot sluisgeneesmiddelen. Wij zijn het eens met die taakopvatting. Op dit moment beoordeelt het Zorginstituut alleen sluisgeneesmiddelen. We vinden dat het Zorginstituut meer beoordelingen van risicovolle specialistische geneesmiddelen zou moeten doen dan nu gebeurt.

U onderkent het belang van maatwerk door samenwerking met het zorgveld. Wij onderschrijven dat volledig. Het gaat hierbij niet alleen om samenwerking en afstemming bij de inhoudelijke beoordelingen en de afwegingen die daar bij spelen, maar ook om de agendering en selectie van de geneesmiddelen die door het Zorginstituut worden beoordeeld. Met name de afstemming en samenwerking met het veld hierbij is een onderwerp dat verder moet worden uitgewerkt.

Wij merken op dat u de NFU en NVZ als brancheorganisatie van de umc's, respectievelijk ziekenhuizen en categorale instellingen niet noemt als betrokken partij. Wij verzoeken u ook de ziekenhuizen en umc's expliciet te noemen als belanghebbende partij (bijvoorbeeld p.8, par. 1.3, p.10, par. 2.2.2).

Datum

4 maart 2020

Referentie NFU

NFU-2030043/FdB/YK

Pagina

2/4

Meer beoordelingen door het Zorginstituut

Ziekenhuizen en behandelaren vinden het belangrijk dat nieuwe, veelbelovende medicijnen snel beschikbaar zijn voor patiënten. Open instroom in de basisverzekering is daarom een groot goed. Gelijktijdig vinden wij het belangrijk dat er waarborgen worden gecreëerd voor doelmatig en gepast gebruik van deze innovaties en dat er druk kan worden gezet op de prijzen.

Het Zorginstituut beoordeelt nu alleen de sluisgeneesmiddelen. Overige geneesmiddelen worden beoordeeld door CieBAG van ZN. Deze beoordelingen door zorgverzekeraars zijn een intransparant proces. De zienswijzen van patiënten en ziekenhuizen worden hierbij niet betrokken.

Het Zorginstituut zou meer beoordelingen moeten doen van risicovolle geneesmiddelen. Wij vinden het belangrijk dat er een snelle, zorgvuldige, transparante beoordeling wordt uitgevoerd, waarbij er nauwe samenwerking is met het hele zorgveld.

Samenwerking met het zorgveld

In par. 2.2.2 staat dat de beoordeling door het Zorginstituut niet is beperkt tot alleen de sluisgeneesmiddelen. Maar hoe dat gebeurt, wordt niet beschreven in de notitie. Wij zijn van mening dat een nieuwe werkwijze nodig is om patiënten tijdig toegang te geven, gepast gebruik te bevorderen, kostenstijgingen te beheersen en verdringing van andere zorg tegen te gaan.

Hier ligt een belangrijke relatie met de actielijnen die de HLA-partijen (partijen die het hoofdlijnenakkoord medisch-specialistische zorg hebben ondertekend) hebben afgesproken in het uitgebreide 'Integraal pakket aan maatregelen ter borging van de betaalbaarheid en toegankelijkheid van dure geneesmiddelen'.

Aan de hand van de Horizonscan Geneesmiddelen zouden veldpartijen en het Zorginstituut samen moeten bepalen welke geneesmiddelen centraal of decentraal worden beoordeeld. Een nieuwe set criteria hiervoor zou de komende periode door VWS/Zorginstituut samen met de veldpartijen verder moeten worden uitgewerkt.

Bij voorkeur worden hiervoor harde criteria opgesteld, zodat alle betrokken partijen vooraf weten waar ze aan toe zijn. Als dat niet mogelijk is, zou een ingestelde werkgroep met vertegenwoordigers van Zorginstituut en veldpartijen hiervoor verantwoordelijk kunnen worden, waarbij de uiteindelijke beslissing voor centrale beoordeling bij het Zorginstituut ligt. Onderdeel van de nieuwe werkwijze is in ieder geval dat de industrie tijdig, d.w.z. ruim voor marktintroductie, een dossier overlegt zodat partijen risico's kunnen inschatten. Met als beoogd resultaat een effectief, uitvoerbaar en voor alle partijen transparant proces.

Toets financiële gevolgen

Voor de medisch-specialistische zorg geldt een open systeem van verzekerde aanspraak. Innovaties met hoge kosten en hoge budgetimpact stromen automatisch in het verzekerde pakket, mits ze voldoen aan het 'criterium stand van wetenschap en praktijk'. Uitzondering hierop zijn de sluisgeneesmiddelen.

Datum

4 maart 2020

Referentie NFU

NFU-2030043/FdB/YK

Pagina

3/4

In de concept beoordelingsprocedure heeft u een budgetimpactanalyse opgenomen. Partijen vinden het belangrijk om daarbij ook te toetsen of het financiële kader voor de medisch-specialistische zorg wel toereikend is om de meerkosten van nieuwe geneesmiddelen of indicatie-uitbreidingen mee op te kunnen vangen. Doel hiervan is te borgen dat er voldoende ruimte is voor nieuwe geneesmiddelen. We willen voorkomen dat uitgaven aan geneesmiddelen de uitgaven aan noodzakelijke overige medisch-specialistische zorg of investeringen in ICT of personeel verdringen. Wij verzoeken u daarom deze toets op te nemen in de beoordelingsprocedure. De uitkomst ervan zou onderdeel moeten zijn van uw pakketadvies aan VWS.

Beoordelingen na introductie

In het pakketadvies is de (her)beoordeling van geneesmiddelen die al onderdeel zijn van het verzekerde pakket onderbelicht. Wij stellen voor deze (her)beoordeling expliciet te benoemen.

Wij zien het als een opdracht voor het Zorginstituut en veldpartijen om veelbelovende geneesmiddelen met grote onzekerheid over (kosten)effectiviteit en veiligheid in de dagelijkse praktijk adequaat te evalueren en het beleid aan te passen op de uitkomsten.

Voor de zorgaanbieders maakt dit onderdeel uit van de kwaliteitscyclus: de uitkomsten van de zorgevaluatie hebben als doel om de praktijk te optimaliseren, zodat optimale zorg voor iedereen beschikbaar is en de zorg betaalbaar blijft. De uitkomsten van de evaluatie moeten breed zijn geaccepteerd en voor iedereen beschikbaar zijn, zodat ze snel kunnen worden opgenomen in de richtlijnen en de behandelprotocollen van de beroepsgroep.

De selectie van middelen die het Zorginstituut gaat (her)beoordelen zou, net zoals de selectie bij introductie, moeten plaatsvinden in nauwe afstemming met de ziekenhuizen en medisch specialisten. Hierdoor is een goede aansluiting mogelijk met de kwaliteitsagenda van de zorgaanbieders. Hierbij zou ook de inbreng van de patiëntenorganisaties gevraagd moeten worden.

Beoordelingen vernieuwde patenten

Wij vragen het Zorginstituut om ook geneesmiddelen te beoordelen waarbij sprake is van vernieuwde of uitgebreide patenten, of een nieuwe registratie die leidt tot marktexclusiviteit. Volgens de fabrikant is er dan met dat geneesmiddel iets nieuws ontwikkeld waarvoor een patent gerechtvaardigd is. Dat rechtvaardigt dan ook de nieuwe beoordeling. Als er (langer) sprake is van hogere kosten dan zonder dat patent of die registratie, dan kan dat in de beoordelingsprocedure worden meegenomen én worden vergeleken met de situatie zonder dat patent.

Snelheid en stroomlijning proces

Wij vinden het belangrijk dat de beoordelingsprocedure zorgvuldig verloopt, efficiënt (snel) en effectief is. In verband hiermee bepleiten wij dat zoveel mogelijk wordt aangesloten bij het registratieproces. Mogelijk kunnen onderdelen van de beoordeling parallel worden uitgevoerd. Het zou goed zijn hieraan aandacht te besteden in de notitie.

Ook zou het goed zijn om op te nemen of en in hoeverre het Zorginstituut bij de beoordelingen gaat samenwerken met andere EU-lidstaten. Hierbij kan worden gedacht aan de samenwerking in EUnetHTA-verband of BeNeLuxA.

Datum
4 maart 2020

Referentie NFU
NFU-2030043/FdB/YK

Pagina
4/4

Voldoende capaciteit

Meer beoordelingen vragen om vergrote input van stakeholders. Dit vraagt om capaciteitsuitbreiding niet alleen bij het Zorginstituut, maar ook bij de veldpartijen en met name de wetenschappelijke verenigingen van medisch specialisten. Verder is nodig dat de organisatie, financiering en governance van registers -op aandoeningsniveau- op orde is. Hiervoor zal extra capaciteit en geld beschikbaar moeten komen. Onze suggestie is ook deze aspecten van de nieuwe werkwijze van pakketbeoordelingen te benoemen in de notitie.

Stand van internationale wetenschap en praktijk

In het Besluit zorgverzekering staat dat de inhoud en omvang van de vormen van zorg of diensten mede bepaald worden door 'de stand van de wetenschap en praktijk' en, bij ontbreken van een zodanige maatstaf, door 'hetgeen in het betrokken vakgebied geldt als verantwoorde en adequate zorg en diensten'.

Wij zouden graag in de notitie toegelicht willen zien hoe zich dit verhoudt tot het criterium 'internationale' stand van wetenschap en praktijk.

Wanneer GVS en wanneer deze procedure?

Het is niet altijd helder welke beoordelingsprocedure moet worden gevolgd: GVS of beoordeling specialistische geneesmiddelen. Dit hangt samen met de definitie van een specialistisch geneesmiddel. Wij stellen voor om dit met voorbeelden te verduidelijken.

Personalized medicine

We zijn blij dat het Zorginstituut zich buigt over de vraag hoe nieuwe geneesmiddelen als ATMP's, gentherapieën en andere gepersonaliseerde geneesmiddelen-innovaties (met hoge kosten) te beoordelen. Deze ontwikkeling neemt een vlucht. Deze innovaties zullen niet beperkt blijven tot de umc's. We hebben er nu nog geen goed antwoord op en dat dreigt een groot probleem te worden voor de bekostiging en toegankelijkheid van deze veelbelovende innovaties.

Wij zijn graag bereid onze opmerkingen nader toe te lichten als daaraan behoefte is. Wij wensen u succes met de afronding van het rapport.

Met vriendelijke groet,



Sander Gerritsen,
directeur NVZ



Jacques Landman,
directeur NFU



Bart Heesen,
algemeen directeur FMS



Sabrina Sluiter
verenigingsmanager NVZA



ZINL

Mevrouw F. Diemer, De heer R. Ophuis

Postbus 8152
3503 RD Utrecht
Janssoenborch 3^e etage
Godebaldkwartier 365
3511 DT Utrecht
T 088 002 97 77
secretariaat@nfk.nl
nfk.nl

KvK Utrecht 40537545
IBAN NL86INGB0007070548
BIC INGBNL2A

Datum: 2 maart 2020

Kenmerk: 2020-015-PE-geneesmiddelen

onderwerp: consultatie beoordeling specialistische geneesmiddelen

Geachte Mevrouw Diemer en meneer Ophuis,

Middels dit schrijven maken de Nederlandse Federatie van Kankerpatiëntenorganisaties (NFK), de Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties (VSOP) en Patiëntenfederatie Nederland graag gebruik van de gelegenheid hun visie te geven op het door ZINL uitgestuurde document 'Beoordelingsprocedure Specialistische Geneesmiddelen.'

De bestaande procedure uit 2013 weerspiegelde niet meer de huidige werkwijze. Het is daarom goed dat dit document verschenen is. Het beschrijft adequaat de huidige gang van zaken bij de beoordeling van specialistische geneesmiddelen. Toch hebben we nog enige kanttekeningen.

Betrokkenheid veldpartijen: voorschrijvers en in het bijzonder patiëntenorganisaties

In het document wordt op diverse plekken melding gemaakt van de betrokkenheid van veldpartijen. Die is de afgelopen jaren wel groter geworden maar is nog steeds voor verbetering vatbaar. Behalve in de scoping bijeenkomst is er nergens echt sprake van 'hoor-en wederhoor' in een face-to-face meeting tussen ZINL en veldpartijen (voorschrijvers en patiëntenorganisaties).

Uiteraard heeft ZINL een eigenstandige verantwoordelijkheid (met andere belangen en andere criteria) dan de veldpartijen, maar een constructief overleg kan de standpunten soms op een verrassende manier nader tot elkaar brengen en daardoor tot een voor beide partijen acceptabele oplossing leiden. Eerder face-to-face overleg kan verspilling van kostbare tijd later voorkomen.

Het gaat er in een dergelijk overleg uiteindelijk niet om 'wie er gelijk heeft' (er zijn meerdere 'waarheden' afhankelijk van welke rol er te spelen is), maar wel om een betere dialoog en een discussie over de standpunten. Uiteindelijk zal dit leiden tot een beter eindresultaat en / of meer begrip voor elkaar's visies. Dit is eens te meer van belang omdat er steeds meer complexe dossiers naar de markt komen en behandelingen die een fundamentele paradigma shift inhouden (e.g. CART, gentherapie, agnostische indicaties in de oncologie, anti-sense-oligo-nucleotides (AONs), combinatie therapieën, meerdere introducties kort achter elkaar in een bepaalde indicatie).



Enige voorstellen voor de verbetering van patiëntparticipatie in het gehele traject:

- Voorstellen voor producten die voor beoordeling in aanmerking komen. Volgens de procedure beschrijving kan dit nu via VWS (sluis) of via voorschrijvers en verzekeraars. Selectie gebeurt o.a. op basis van de Horizonscan. Wij pleiten ervoor om ook aan patiëntenorganisaties dit recht toe te kennen. Zij zouden dat moeten kunnen doen bij onvoldoende inzet van geneesmiddelen zoals in het volgende voorbeeld beschreven. In een aantal gevallen (met name bij weesgeneesmiddelen) is, ondanks de automatische instroom, de daadwerkelijke toegankelijkheid nihil. Voorschrijvers en zorginstellingen verkeren in onzekerheid over de vergoeding, omdat er twijfel is over de stellingname van zorgverzekeraars t.a.v. het criterium stand van W&P. In een dergelijk geval moeten patiëntenorganisaties een verzoek tot beoordeling kunnen indienen bij ZINL (voor weesgeneesmiddelen en oncolytica kan dit via een initiële discussie in de ronde tafels).
- Scoping. ZINL organiseert voor sommige beoordelingsprocedures een scoping meeting. Naar onze mening zou een dergelijke meeting ook op initiatief van beroepsgroepen of patiëntenorganisaties moeten kunnen plaats vinden bij de start of wellicht ook later in de procedure als de beoordeling daar aanleiding tot geeft. Een vroeg gesprek en uitwisseling van informatie kan soms discussie en bijstelling achteraf voorkomen.
- Na het concept WAR rapport is er alleen een optie voor schriftelijke input. Een face-to-face bijeenkomst met de mogelijkheid voor hoor-en-wederhoor is naar onze mening in sommige gevallen gewenst. We hebben de ervaring dat dergelijke meetings soms in een veel later stadium alsnog georganiseerd worden en dan in elk geval tot meer begrip van de situatie en soms zelfs tot herziening van de rapporten leidt (al dan niet na indiening van additionele gegevens).
- De vraag is zelfs of in bepaalde heel complexe procedures en of daar waar sprake is van een paradigma shift in de behandeling (gentherapie, complexe combinatie therapieën, agnostische oncolytica, preventieve behandeling voor Alzheimer) een face-to-face ontmoeting van de WAR met specialisten en patiënten uit het veld tot een beter eindresultaat kan leiden. De EMA kent een dergelijke procedure bijvoorbeeld ook wanneer de CHMP in een beoordelingsprocedure advies vraagt van een Scientific Advisory Group (SAG) bestaande uit relevante voorschrijvers en patiënten (veldpartijen), die door de EMA geselecteerd en uitgenodigd worden.
- In de ACP bestaat de mogelijkheid voor schriftelijke en mondelinge input. Ook hier is geen echte dialoog mogelijk. In sommige gevallen kan het wel toestaan van een dergelijke dialoog het wederzijds begrip voor en soms zelfs de uitkomst van de procedure verbeteren.

Voor het meenemen van patiëntenperspectief in de HTA assessment kan gebruik gemaakt worden van door HTAi ontwikkelde instrumenten (<https://htai.org/interest-groups/pcig/resources/for-patients-and-patient-groups/>). Wij missen in het document ook een link naar mogelijke beoordeling in EunetHTA verband.

Data waarop de beoordelingen zijn gebaseerd

In paragraaf 2.3.2 wordt aangegeven dat beoordeling plaats vindt op basis van het dossier van het bedrijf. In de praktijk wordt in elk geval de FT beoordeling vaak uitsluitend gedaan op basis van de publicatie van de cruciale RCT. Ondersteunde fase 2 data de EPAR, Nederlandse richtlijnen of een



standpunt van de Nederlandse beroepsgroep worden wel genoemd, maar voor ons gevoel niet heel uitvoerig beschouwd en meegenomen (behoudens wellicht de adviezen van de CIEBOM).

Wij wijzen we in dit kader ook op de openbaar toegankelijke EMA Orphan Medicinal product Assessment Reports (OMAR). De OMAR is een weerslag van de COMP evaluatie voor het behoud van weesgeneesmiddel status op het moment van markttoelating. De OMAR bevat voor die producten waar ook andere behandelingen op de markt zijn zelfs indirecte vergelijkingen met alle bestaande therapie.

De patiëntenorganisaties zijn van mening dat register data of real world evidence meegenomen zou moeten worden, e.g. bij het bepalen van het natuurlijk beloop van zeldzame aandoeningen, maar ook data van bijvoorbeeld compassionate use programma's of investigator initiated studies. ZINL zelf geeft in en aantal van hun procedure beschrijvingen aan dat zij genegen zijn dergelijke data mee te nemen, maar in de daadwerkelijke evaluaties worden deze data (door toepassing van de GRADE systematiek) al snel als 'van zeer geringe waarde' terzijde geschoven. Voor inspiratie over de manier waarop dat gedaan zou kunnen worden verwijzen we naar NICE – UK (<https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-guidelines/how-we-develop-nice-guidelines/data-and-analytics-statement-of-intent>).

Uitkomstmaten

Terecht wordt overlevingswinst als belangrijkste criterium gebruikt in de evaluatie van klinisch relevante meerwaarde. Echter in een aantal gevallen is dit criterium bij markttoelating niet te evalueren. Dit heeft diverse oorzaken: evaluatie tijd te kort, heterogene populatie, te kleine aantallen patiënten. Het beoordelingskader zou hier rekening mee moeten houden en dergelijke aan de ziekte inherente onzekerheden moeten niet leiden tot het buiten het pakket houden van veelbelovende nieuwe therapie.

Patiënten pleiten ervoor kwaliteit van leven en gebruiksgemak sterker mee te wegen.

Tijdslijnen procedure

In paragraaf 2.3.2 is sprake van een maximale termijn van 4 maanden voor beoordeling van sluismiddelen door ZINL. De praktijk leert dat deze termijn in een aantal gevallen niet wordt gehaald. Wij dringen erop aan dat ZINL evalueert waar dat aan ligt en wat er aan optimalisatie gedaan kan worden

Paragraaf 2.3.4. In een aantal recente procedures is er specifiek vertraging opgetreden (soms tot meer dan twee maanden) tussen de ACP vergadering en een uiteindelijk advies van de RVB van aan de minister. Patiëntenorganisaties vinden een dergelijke tijd voor het afronden van wat in feite een administratieve procedure is onacceptabel lang.

Diversen

ZINL heeft een aantal andere procedures voor de beoordeling of het toelaten van geneesmiddelen zoals Pakketbeheer Weesgeneesmiddelen, Voorwaardelijke Financiering, Regeling voor Veelbelovende Zorg, Beoordeling stand van wetenschap en praktijk etc, die raakvlakken hebben met deze procedure. Wij adviseren verwijzingen naar die procedures met een korte uitleg in de hoofdttekst op te nemen (en niet alleen een summiere verwijzing met een voetnoot). De samenhang



van de trajecten wordt op die manier helderder, ook voor partijen die niet dagelijks met de trajecten te maken hebben.

In paragraaf 2.3.3.1 wordt aangegeven dat bij non sluis procedures de uitkomst van een appraisal kan leiden tot een uitstroomadvies. Patiëntenorganisaties vragen om aan deze procedure een paragraaf toe te voegen dat, voordat een middel uit de het basispakket wordt verwijderd, er een plan moet zijn voor uitstroom, op zijn minst voor patiënten die op dat moment met het middel behandeld worden. Beroepsgroepen en patiëntenorganisaties hebben hierin een belangrijke stem. Het is onacceptabel om individuele patiënten die objectief baat hebben bij een behandeling deze therapie te onthouden.

Farmaco-economische evaluatie: in een aantal gevallen zijn er al (centrale of decentrale) prijsarrangementen voor het betreffende middel of voor (een van de) vergelijkende behandelingen. Aangezien deze bijna altijd geheim zijn is het onduidelijk hoe hiermee rekening gehouden wordt in de FE evaluatie.

SLOT

Graag gaan de patiëntenorganisaties over bovenstaande suggesties met ZINL een gesprek. Bij het ontwikkelen van een verder toekomstgericht beoordelingskader moeten patiëntenorganisaties zeker betrokken worden.

Voor verdere informatie kunt u contact opnemen met Pauline Evers (088-0029777, p.evers@nfk.nl), M. Driessens (06-12192825, M.driessens@vsop.nl) Jan Benedictus, (06-55760082, j.benedictus@patientenfederatie.nl)

Drs. A.J. Broenland
Directeur-bestuurder
Nederlandse Federatie van Kankerpatiëntenorganisaties

Dr. M.H.E. Driessens,
beleidsmedewerker
Verenigde Samenwerkende Ouder- & Patiëntenorganisaties (VSOP)

Drs. D Veldman
Directeur-bestuurder Patiëntenfederatie Nederland

Geachte heer, mevrouw,
beste Robbin, Frederieke,

Wij danken u hartelijk dat u de Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen consulteert voor de beschrijving van de Beoordelingsprocedure specialistische geneesmiddelen. In deze mail willen wij graag onze reactie uiteenzetten. Allereerst zijn wij content dat het Zorginstituut heeft initiatief genomen om de beschrijving van de beoordelingsprocedure te herzien. Onze reactie richt zich niet alleen op de huidige procedure maar wij hebben ook vragen om en ideeën hoe de procedure te verbeteren. Wij zijn uiteraard bereid om deze mail mondelinge toe te lichten. Ten tweede geeft u aan dat het Zorginstituut in een separaat project 'Toekomstgericht beoordelingskader' aan de slag gaat met het toekomstbestendig maken van de procedure. Uiteraard denken wij heel graag mee met het Zorginstituut. De toekomst is er wat ons betreft al.

Wij hebben onze (uitgebreide) reactie per paragraaf van de beschrijving gerangschikt. In het algemeen hechten wij er belang aan om te benadrukken dat:

- de VIG mening is dat ook de registratiehouder aan tafel behoort te zitten bij de 'scoping meetings'. Alle onderwerpen die worden besproken bij de scoping zijn cruciaal voor het dossier en dan is het onwenselijk en inefficiënt dat de registratiehouder niet aan tafel zit en het dus 'opnieuw' moet doen. Dit is ook een dubbele belasting van het 'veld';
- het niet noodzakelijk is dat een sluistraject betekent: een beoordeling, een financieel arrangement en afspraken over gepast gebruik. Het is essentieel dat hier geen misverstanden over ontstaan. Het sluistraject kan ook volstaan met een beoordeling door het Zorginstituut;
- het Zorginstituut duidelijkheid geeft over de open instroom van specialistische geneesmiddelen en wat dit betekent voor alle stakeholders op het geneesmiddelenterrein.

Aanleiding en doel

De VIG is verheugd dat het Zorginstituut de beoordelingsprocedure specialistische geneesmiddelen actualiseert. De VIG hecht veel belang aan een transparante en voorspelbare procedure. Met een heldere en efficiënte procedure kunnen patiënten zo snel als mogelijk beschikking krijgen over specialistische geneesmiddelen. U geeft aan dat de beschrijving geen betrekking heeft op de extramurale geneesmiddelen. De VIG constateert dat u ook niet in gaat op off-label beoordelingen. De VIG heeft de indruk dat het Zorginstituut de verantwoordelijkheid van off-label bij de fabrikant neerlegt. Het Zorginstituut lijkt off-label niet te beoordelen terwijl off-label wel betrokken kan worden bij de sluisprocedure. Kunt u hierover meer helderheid geven in deze beschrijving?

Open instroom

De VIG ziet open instroom van specialistische geneesmiddelen als een groot goed. De VIG ziet graag dat het Zorginstituut duidelijk maakt wat open instroom precies betekent. Op [pagina 7](#) gaat u kort in op open instroom. U geeft aan dat specialistische geneesmiddelen deel uitmaken van het basispakket wanneer ze voldoen aan de stand van wetenschap en praktijk. Zorgverzekeraars hebben de plicht om specialistische geneesmiddelen te toetsen aan de stand van wetenschap en praktijk. Kunt u aangeven dat totdat zorgverzekeraars het tegendeel hebben bewezen een specialistische geneesmiddel in beginsel voldoet aan de stand van wetenschap en praktijk en dat patiënten tot die tijd aanspraak hebben op het betreffende geneesmiddel? De VIG kent namelijk voldoende voorbeelden van specialistische geneesmiddelen waar het tegendeel niet bewezen is maar de aanspraakstatus door

zorgverzekeraars toch op NEE is gezet (de zogenoemde 'decentrale sluis'). Kunt u aangeven op grond van welke criteria en met welke tijdslijn zorgverzekeraars deze toetsing moeten doen? Op [pagina 13](#) zegt u dat een op de markt toegelaten geneesmiddel niet per definitie voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk. Kunt u aangeven wat deze zin betekent ten aanzien van open instroom? De positieve beoordeling van werkzaamheid en veiligheid bij markttoelating is wel een 'begin van bewijs' dat het geneesmiddel voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk. Het is de verantwoordelijkheid van zorgverzekeraars om te bepalen of bepaalde zorg die (mogelijk) bij hen wordt gedeclareerd voldoet aan het criterium van de stand van de wetenschap en praktijk en dus om deze zorg te duiden. Tot het tegendeel is vastgesteld (door het Zorginstituut of beroepsgroepen) kan worden uitgegaan van stand van wetenschap en praktijk en dus van verzekerde zorg. De zorgplicht van zorgverzekeraars zou moeten borgen dat patiënten behandeld kunnen worden en dat ziekenhuizen geen financiële barrière hebben.

Tabel 1

Moet bij de bekostiging van specialistische geneesmiddelen niet de add-on systematiek worden toegevoegd?

Sluisprocedure

Op [pagina 9](#) gaat u eerst in paragraaf 2.1 kort in op de sluisprocedure. De VIG heeft bij deze alinea drie vragen. U geeft aan dat het Zorginstituut tijdens de sluisprocedure een geneesmiddel **kan** beoordelen. Moet dit niet '**moet** beoordelen' zijn? Voorts geeft u aan dat de overige onderdelen van de sluisprocedure zijn het afsluiten van financiële arrangementen met de registratiehouder en het maken van afspraken over het gepast gebruik van het geneesmiddel. Dit zijn echter naar de mening van de VIG geen verplichte onderdelen. Hier zou moeten staan dat deze twee punten onderdelen **kunnen** zijn van de sluisprocedure. Als laatste geeft u aan dat de sluisprocedure wordt afgerond na besluit van de minister. De VIG is van mening dat dit slechts tijdelijk is tot afloop van het financieel arrangement, waarna een geneesmiddel weer in de sluis komt.

Horizonscan

Op [pagina 9](#) gaat u in op de horizonscan. U geeft aan dat u samenwerkt met allerlei partijen om een zo goed en volledig mogelijk beeld te krijgen. Kunt u aangeven waarom de fabrikanten hierbij niet worden betrokken? Fabrikanten hebben doorgaans een goed beeld, zo niet het beste beeld van de ontwikkeling rond hun eigen geneesmiddelen. U geeft tevens aan dat de minister op basis van de horizonscan middelen in de sluis plaatst. De VIG heeft de indruk dat de minister aanvullende informatie meeneemt in deze beslissing. Hoe ziet het Zorginstituut dit?

Overige specialistische geneesmiddelen

Op [pagina 10](#) geeft u aan dat op basis van risico's kan worden besloten een beoordeling te starten. De VIG ziet graag meer duidelijkheid in de tijdslijnen, wanneer dat besloten kan worden en wat een dergelijke beoordeling betekent voor de aanspraakstatus van het betreffende geneesmiddel.

Scopingmeeting

Op [pagina 11 en 12](#) spreekt u over de scoping meeting. U geeft aan dat registratiehouders in principe niet zijn betrokken bij de scoping. De VIG vraagt zich af of dit niet het moment is om dit te veranderen? Bij een overleg met alle relevante partijen hoort naar onze mening ook de registratiehouder. De registratiehouder moet een dossier indienen en daarvoor is het doel van de scoping zeer relevant. De VIG is van mening dat het ook bevorderlijk is voor de kwaliteit van

het dossier en de efficiëntie als de registratiehouder hier ook aan tafel zit. Wat bedoelt u in dit kader met 'in principe'?

Assessment

Op [pagina 12](#) gaat u in op de assessment. In de eerste alinea spreekt u over een wetenschappelijk inhoudelijke beoordeling van de relatieve effectiviteit en veiligheid. Naar het idee van de VIG is veiligheid niet één van de vier pakketcriteria. Kunt u aangeven hoe deze beoordeling zich verhoudt tot de beoordeling van de EMA (of het CBG)?

De tweede alinea roept een aantal vragen op. U geeft aan dat registratiehouders van specialistische geneesmiddelen die het Zorginstituut op eigen initiatief beoordeelt, zullen worden gevraagd het initiële beoordelingsdossier binnen drie maanden na het beoordelingsverzoek in te dienen. Bedoelt u met initiële beoordelingsdossier het zogenaamde proefdossier? U noemt hier een termijn van drie maanden. De VIG vraagt zich af in hoeverre dit een realistische termijn is. Normaliter is een half jaar minimaal nodig omdat ook de input van de beroepsgroep verkregen moet worden en de modellering nog opgestart moet worden. Als bijvoorbeeld ook een HE analyse moet worden ingediend dan is een termijn van drie maanden niet realistisch. Er zijn vendors die uitgaan van 4 maanden na oplevering van global CE-model voor lokale adaptatie, verzamelen input en schrijven van HE dossier. Dit geldt ook voor off-label. Kan het Zorginstituut aangeven of de middelen in de tussentijd wel vergoed zijn? Ze waren immers onderdeel van de open instroom.

In het algemeen bij deze alinea vraagt de VIG zich af in hoeverre vooraf voldoende duidelijk is wat er in het dossier moet zitten opdat het Zorginstituut een dossier compleet acht. Het lijkt er op dat omwille van het borgen van de 4 maandentermijn er steeds meer vragen worden gesteld ten aanzien van het definitieve dossier die voorheen tijdens de procedure werden gesteld. Belangrijk onderdeel hierbij is dat de EPAR beschikbaar zou moeten zijn. Dit is vaak een vertragende factor. De VIG pleit er voor om te bezien of dit niet een vereiste is die vertraging kan voorkomen door er anders mee om te gaan. Kortom, de 4 maandentermijn lijkt naar voren te worden uitgebreid. In recente Kamervragen suggereert de minister dat de lange doorlooptijd van de sluis (mede) komt door het niet op tijd indienen van het definitieve dossier door de fabrikanten. Alhoewel dit doorgaans niet in het belang is van de fabrikant. De VIG pleit er bij het Zorginstituut voor om volledige transparantie na te streven voor wat betreft doorlooptijden.

Budgetimpactanalyse

Het valt de VIG op dat beslissingen worden genomen op basis van maximale budgetimpact, die sterk afhankelijk is van gemaakte aannamen. Het betreft vaak niet een realistische inschatting. Er zijn al diverse publicaties geweest waaruit blijkt dat het Zorginstituut in de adviezen de budgetimpact fors overschat door uit te gaan van niet-realistische aannamen. Hoe kijkt het Zorginstituut hier tegen aan? Verder geeft u op [pagina 13](#) aan dat substantiële bijkomende kosten worden meegenomen. Neemt het Zorginstituut hierbij ook de kosten voor diagnostiek (en in het bijzonder biomarkers) mee?

Kosteneffectiviteitsanalyse

Op [pagina 13](#) gaat u in op de kosteneffectiviteitsanalyse. In [figuur 1](#) geeft u aan dat de kosteneffectiviteit wordt beoordeeld indien het geneesmiddel voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk en er sprake is van een toegevoegd behandel-effect. Op [pagina 14](#) spreekt u over "indien een kosteneffectiviteitsanalyse is aangewezen ...". Kunt u aangeven in welke gevallen er wel een beoordeling van de kosteneffectiviteit wordt gedaan en wanneer niet? Is dit afhankelijk van de budgetimpactgrens van 10 miljoen euro? Wordt het in een sluisprocedure altijd gedaan?

Uitkomsten assessment

Op pagina 14 gaat u in op de uitkomsten van de assessment. De VIG heeft hier een aantal vragen bij. Allereerst vraagt de VIG zich af of altijd een tweede WAR van toepassing is? Of kan het ook af met één WAR (bijvoorbeeld als er geen CEA van toepassing is?) Verder is deze alinea onduidelijk in hoe de stand van wetenschap en praktijk wordt geëffectueerd. Toegevoegd behandel-effect lijkt leidend in de beoordeling van de stand van wetenschap en praktijk, maar hoe worden BI en CE dan meegewogen?

Appraisal

Op pagina 15 gaat u in op de appraisal. U geeft aan dat dit een maatschappelijke weging betreft. Zou de maatschappelijke weging ten principale niet bij de minister moeten liggen? Vanuit welk mandaat doet het Zorginstituut dit? De ACP heeft een belangrijke rol in de advisering aan de Raad van Bestuur van het Zorginstituut. Kan het Zorginstituut aangeven hoe bindend de adviezen van de ACP zijn? Op pagina 16 geeft u aan dat de Raad van Bestuur van het Zorginstituut een weging maakt van de vier pakketcriteria. Hoe verhoudt een integrale weging zich tot de maatschappelijke weging van de ACP? Beide wegingen worden gebaseerd op dezelfde aannames en rapporten.

Slot

U geeft aan dat het Zorginstituut door middel van dit rapport inzicht geeft in de beoordelingsprocedure van specialistische geneesmiddelen. In dit beoordelingsproces staat de samenwerking met relevante partijen, waaronder de registratiehouders, beroepsgroepen, zorgverzekeraars en patiëntenorganisaties, centraal om maatwerk te creëren. De VIG waardeert de inspanning van het Zorginstituut. De VIG hecht veel belang aan een heldere procedure en is van mening dat een heldere procedure leidt tot de beste uitkomsten voor de patiënt. Maatwerk kan daarbij van belang zijn. De VIG ziet wel graag helder gemaakt waar maatwerk wel en niet kan. Dit bevordert de transparantie van het beoordelingsproces.

Met vriendelijke groet,

Wim de Haart

manager gezondheidseconomie en vergoedingen