



Zorginstituut Nederland

Inventarisatie indicatiecommissies

Hoe functioneren indicatiecommissies in
de praktijk?

13 november 2024

| Van goede zorg verzekerd |



Inhoudsopgave

Inleiding & conclusie	3
1 Indicatiecommissies zijn nuttig bij inzet van risicovolle en zeldzame behandelingen	4
1.1 Bij zeldzame behandelingen is risico op ongepaste inzet relatief groot	4
1.2 Landelijke indicatiecommissie alleen haalbaar bij kleine patiëntaantallen	5
2 Een goede inrichting draagt bij aan het functioneren van indicatiecommissies	7
2.1 Eigenaarschap en samenstelling vormen fundament commissie	7
2.2 Indicatiecommissie kent proces van aanmelding, voorbereiding, bespreking tot verslaglegging	8
2.3 Commissies kunnen adviseren over starten en stoppen van individuele patiënten	10
2.4 Commissies dragen bij aan kwaliteitsverbetering, onderzoek en doelmatigheid	12
2.5 Goede ondersteuning, registratie en bekostiging bepalen mede het succes	14
3 Indicatiecommissies dienen de belangen van betrokkenen in brede zin	17
3.1 Patiënten waarderen gedegen, multidisciplinaire afweging van commissie	17
3.2 Zorgprofessionals waarderen ondersteuning bij risicovolle behandeling en vinden deelname commissie inspirerend	17
3.3 Zorgverzekeraars waarderen indicatiecommissie om het bevorderen van de kwaliteit en doelmatigheid van zorg	18
Bijlage I – Beschrijving indicatiecommissies	19
Bijlage II – Methodiek en respondenten	23
Colofon	25

Inleiding & conclusie

De eerste landelijke indicatiecommissies (hierna: indicatiecommissie) – in de vorm zoals we die nu kennen – zijn de commissies voor behandeling van de ziekten van Pompe en Fabry (2012). Deze commissies zijn opgericht om de doelmatige inzet van zeer dure enzymtherapieën te bevorderen. Betrokkenen waren het erover eens dat de gepaste inzet van deze middelen veel aandacht zou moeten krijgen, en besloten hiervoor indicatiecommissies in te richten.

In de jaren hierna zijn meerdere indicatiecommissies gestart. Niet alleen voor weesgeneesmiddelen, maar ook voor risicovolle en zeldzame behandelingen in de medisch-specialistische zorg en voor geneesmiddelen die voorwaardelijk zijn toegelaten.

Het primaire doel van een indicatiecommissie is om passende inzet van een behandeling te bevorderen en het risico op ongepaste inzet te verminderen. Commissies doen dit onder meer door te bepalen welke individuele patiënt met een bepaalde behandeling mag starten. En door te bespreken wanneer het passender is om de behandeling te stoppen.

Het doel van deze inventarisatie is om lessen te trekken uit de manier waarop we tot nog toe werken met indicatiecommissies. Hierin staan de volgende vragen centraal:

- In welke situaties is een indicatiecommissie zinvol?
- Wat zijn de voordelen van het werken met een indicatiecommissie voor patiënten, zorgprofessionals en zorgverzekeraar?
- Hoe richt je een indicatiecommissie op een goede manier in?

We hanteerden de volgende definitie voor "indicatiecommissie":

Een landelijk overleg waarin wordt besloten welke individuele patiënten kunnen starten met een behandeling en welke patiënten beter kunnen stoppen, en waarin alle relevante behandelcentra en medische disciplines zijn vertegenwoordigd.

Voor de beantwoording van deze vragen voerden wij een inventarisatie uit op basis van deskresearch en interviews. We spraken met zorgprofessionals, verzekeraars, een patiëntvertegenwoordiger, beleidsmedewerkers van het Zorginstituut en vertegenwoordigers van 12 indicatiecommissies. Van deze commissies zijn acht gericht op de inzet van weesgeneesmiddelen, twee op een chirurgische behandeling en twee zijn onderdeel van voorwaardelijke toelating (VT). In Bijlage I en II zijn respectievelijk de gesproken commissies, en de onderzoeksopzet en respondenten nader uitgewerkt.

Op basis van deze inventarisatie trekken wij de volgende lessen:

1. Indicatiecommissies zijn nuttig bij inzet van risicovolle en zeldzame behandelingen;
2. Een goede inrichting draagt bij aan het functioneren van indicatiecommissies;
3. Indicatiecommissies dienen de belangen van betrokkenen in brede zin.

Deze bevindingen werken we in de hoofdstukken van dit rapport verder uit.

De rapportage is ten eerste geschreven voor zorgprofessionals die deelnemen aan bestaande indicatiecommissies en graag willen leren en verbeteren, of zorgprofessionals die overwegen een nieuwe indicatiecommissie op te richten. Daarnaast is de rapportage bedoeld ter informatie en inspiratie van medewerkers bij wetenschappelijke verenigingen, zorgverzekeraars en het Zorginstituut.

1 Indicatiecommissies zijn nuttig bij inzet van risicovolle en zeldzame behandelingen

Zoals beschreven in de inleiding is het doel van een indicatiecommissie om passende inzet van een behandeling te bevorderen en het risico op ongepaste inzet te verminderen.¹ Met passende inzet van zorg bedoelen we zorg die past bij de behoefte van de patiënt, waarvan is bewezen dat het werkt en die meerwaarde heeft voor de patiënt. De commissie bevordert passende inzet door te beoordelen welke individuele patiënt met een bepaalde behandeling kan starten en wanneer het passend is om de behandeling te continueren of te stoppen op basis van de meest recente wetenschappelijke inzichten.

Indicatiecommissies zijn nuttig bij risicovolle behandelingen en bij behandelingen voor zeldzame aandoeningen (hierna: zeldzame behandelingen). Ten eerste omdat bij zeldzame behandelingen het risico op ongepaste inzet relatief groot is (1.1). En ten tweede omdat een landelijke indicatiecommissie alleen haalbaar lijkt te zijn bij kleine patiëntaantallen zoals in geval van zeldzame behandelingen (1.2). In dit hoofdstuk werken we dit verder uit.

1.1 Bij zeldzame behandelingen is risico op ongepaste inzet relatief groot

De aanleiding voor het instellen van een indicatiecommissie is altijd gerelateerd aan een risico op ongepaste inzet van een behandeling. Dit risico op ongepaste inzet is een glijdende schaal. Het is daarom belangrijk om te herkennen wanneer het risico op ongepaste inzet van een behandeling groot is.

Het risico op ongepaste inzet van een behandeling wordt bepaald door de *kans* op ongepaste inzet, en de *impact* die dit heeft (Figuur 1). Er zijn verschillende factoren die invloed hebben op de *kans* op ongepaste inzet, zoals een complexe indicatiestelling en onzekerheid over bij welke patiënten de behandeling meerwaarde heeft. Over het algemeen geldt dat hoe meer van deze factoren van toepassing zijn, hoe groter de kans op ongepaste inzet van een behandeling.



Figuur 1. Omvang van het risico op ongepast gebruik.

Daarnaast zijn er factoren die de *impact* van ongepaste inzet bepalen. Factoren zoals een groot aantal patiënten dat in aanmerking komt, de ernst van de (ongewenste)

¹ Zie ook de publicatie [Pakketbeheer weesgeneesmiddelen van het Zorginstituut \(2015\)](#)

behandeleffecten en hoge behandelkosten. Ook voor de impact geldt dat hoe meer van deze factoren van toepassing zijn, hoe groter het risico op ongepaste inzet van een behandeling.

De factoren die het risico op ongepaste inzet kunnen beïnvloeden zijn generiek en niet voorbehouden aan zeldzame behandelingen. Maar de factoren zijn wel vaker van toepassing bij zeldzame behandelingen, waardoor het risico op ongepaste inzet van deze behandelingen vaak groot is. Dat zien we ook terug bij de zeldzame behandelingen waarvoor indicatiecommissies zijn opgericht (Tabel 1).

Tabel 1. Weergave risico op ongepast gebruik behandelingen met indicatiecommissie

	Factoren die de kans op ongepaste inzet bepalen					Factoren die de impact van ongepaste inzet bepalen			
	Complexe indicatstelling	Niet beschreven in richtlijn	Onzekerheid over indicatie / behandeling	Benodigde expertise schaars	Onvervulde behandelbehoefte patiënten buiten	Hoge kosten behandeling	Groot aantal patiënten	Lange duur van behandel-effecten	Ernst van bijwerkingen behandeling
Ataluren	-	+	-	?	?	+	-	?	?
CAR-T	+	-	+	-	+	+	+	+	+
Eculizumab (MG)	-	+	-	-	+	+	-	+	+
Fabry	+	+	+	?	+	+	?	+	-
Kanuma	+	+	+	?	+	+	-	+	-
Libmeldy	+	+	+	+	+	+	-	+	+
Luxturna	-	+	-	-	-	+	-	+	+
Natpar	+	+	+	-	+	+	-	?	?
Patisiran	-	-	-	-	?	+	?	+	-
RRMS	+	+	-	-	?	+	-	+	+
SMA	-	+	-	+	+	+	-	+	-

Plus = factor wel van toepassing; Min = factor niet van toepassing; ? = onduidelijk of factor van toepassing is²

In de tabel zijn gangbare namen voor de commissies aangehouden - Bijlage 1 geeft meer informatie per commissie

1.2 Landelijke indicatiecommissie alleen haalbaar bij kleine patiëntaantallen

Deelname aan een indicatiecommissie is behoorlijk tijdsintensief voor commissieleden, daarom is een landelijke indicatiecommissie alleen haalbaar bij kleine patiëntaantallen. Hoe meer patiënten een commissie bespreekt, hoe meer intensief het commissiewerk is.

Daarbij speelt mee dat bij kleine patiëntaantallen de zorg vaak geconcentreerd is bij een klein aantal zorgaanbieders, zoals bij expertisecentra voor zeldzame aandoeningen.³ Samenwerking tussen een handvol centra gebeurt veelal op landelijk niveau, terwijl samenwerking over zorg waar een groter aantal centra actief in is - zoals bij de meeste oncologische zorg - meer op regionaal niveau plaatsvindt. Ook het

² Figuur is ingevuld op basis van een globale analyse door het Zorginstituut en aangevuld vanuit de commissies.

³ <https://www.rijksoverheid.nl/onderwerpen/kwaliteit-van-de-zorg/expertisecentra-zeldzame-aandoeningen>

aantal centra dat zorg levert speelt dus mee bij de keuze voor een landelijke indicatiecommissie.

Het merendeel van de indicatiecommissies die gesproken is voor dit onderzoek bespreekt enkele tientallen patiënten per jaar. De commissie die de meeste patiënten besprak is de indicatiecommissie van CAR-T; deze commissie heeft in twee jaar tijd 250 patiënten besproken. Een 'kleinere' commissie was bijvoorbeeld de indicatiecommissie van eculizumab voor Myasthenia Gravis (MG) die sinds de oprichting in 2022 over acht patiënten sprak.

2 Een goede inrichting draagt bij aan het functioneren van indicatiecommissies

Indicatiecommissies kunnen op verschillende manieren ingericht worden. Dit hoofdstuk beschrijft welke elementen kunnen bijdragen aan een goede oprichting en inrichting.

In bijlage I staat een beknopte beschrijving van de inrichting per indicatiecommissie.

2.1 Eigenaarschap en samenstelling vormen fundament commissie

De inrichting van een indicatiecommissie start met een keuze over het eigenaarschap en de samenstelling. Beide aspecten zijn fundamenteel voor het functioneren van de commissie. Het is aan de beroepsgroep om zorg te dragen voor een goede, evenwichtige samenstelling.

Duidelijkheid over eigenaarschap nodig voor effectief functioneren

Indicatiecommissies ontstaan geregeld vanuit gezamenlijke afspraken tussen vertegenwoordigers vanuit de beroepsgroep, patiënten, zorgverzekeraars en/of het Zorginstituut. Uit de interviews blijkt dat door de gezamenlijke start, bij een aantal commissies niet duidelijk was bij wie het eigenaarschap van de commissie precies ligt. Oftewel, wie heeft de regie over de inrichting, het effectief functioneren en over het (door)ontwikkelen van de commissie bij veranderingen in de omgeving?

In de praktijk begint onduidelijkheid over eigenaarschap met name te schuren als er veranderingen zijn in de omgeving – zo blijkt uit de interviews. Bijvoorbeeld in een situatie waar er meer routine komt in de indicatiestelling en deze toenemend eenduidiger wordt. Dan kan het steeds minder zinvol worden om de indicatiestelling van alle patiënten standaard te bespreken in de indicatiecommissie. In de interviews werd enkele malen genoemd om bijvoorbeeld alleen nog patiënten te bespreken waarbij twijfels zijn over de indicatiestelling.

Het Zorginstituut is van mening dat voor het goed functioneren van een indicatiecommissie het eigenaarschap hoort te liggen bij de beroepsgroep. De beroepsgroep vormt immers de commissie en is het beste op de hoogte van de ontwikkelingen in de omgeving. Commissies waarbij de beroepsgroep dit eigenaarschap voelt en pakt, functioneren beter dan de commissies waarin dit niet het geval is – zo maakt het Zorginstituut op uit de interviews. Dat betekent overigens niet dat de beroepsgroep geen rekening hoeft te houden met de overige betrokkenen – patiënten, zorgverzekeraars en Zorginstituut. Juist een goede samenwerking met deze betrokkenen dient het gedeelde belang en biedt een goede basis voor passende inzet van zeldzame behandelingen, zo vindt het Zorginstituut.

Samenstelling op basis van benodigde expertise en betrokken expertisecentra

Het functioneren van een indicatiecommissie hangt ook af van de samenstelling van de leden. Ten eerste dienen in de commissie alle relevante specialismen en expertises vertegenwoordigd te zijn die nodig zijn voor de uitvoering van de taken van de commissie. Bijvoorbeeld de verschillende medisch specialisten die betrokken zijn bij de diagnose en behandeling van de patiëntengroep, of verschillende subspecialisten met specifieke expertisegebieden. Deze expertise is nodig voor een goede, gedegen advisering door de commissie.

Bij landelijke indicatiecommissies is het belangrijk dat alle betrokken expertisecentra vertegenwoordigd zijn in de commissie. Dit is belangrijk voor het draagvlak voor de

landelijke commissie.⁴ Idealiter wordt op basis van objectieve, transparante criteria bepaald wat de expertisecentra zijn. De VWS erkenning als expertisecentrum voor zeldzame aandoeningen kan hiervoor gebruikt worden.⁵ Daarbij is het belangrijk specifiek te maken welk expertisegebied (i.e. Disease Name / Orphacode) relevant is voor de samenstelling van een indicatiecommissie. Zodra een nieuw centrum een erkenning krijgt als expertisecentrum voor het betreffende expertisegebied, zou dit centrum ook vertegenwoordigd moeten worden in de indicatiecommissie.

Bijzondere leden indicatiecommissies

Naast leden die de verschillende expertises en/of expertisecentra vertegenwoordigen, bevatten enkele bestaande indicatiecommissies bijzondere leden:

- Aan de indicatiecommissies van SMA en de ziekte van Pompe neemt een medisch ethicus deel. Hiervoor is gekozen omdat de medisch ethicus ervaring heeft met de complexiteit van keuzes rondom het starten en stoppen van een behandeling, en breder kijkt dan alleen het medische perspectief.
- De indicatiecommissies van SMA, Pompe en Luxturna hebben een onafhankelijk voorzitter aangesteld.⁶ Dit is iemand die niet bij de primaire behandeling of interventie betrokken is, of zelfs niet werkzaam is binnen één van de centra waar de behandelingen plaatsvinden. Een onafhankelijk voorzitter kan bijdragen aan het kritisch vermogen van de commissie, doordat diegene geen direct persoonlijk of organisatie belang heeft bij wat wordt besproken.

2.2 Indicatiecommissie kent proces van aanmelding, voorbereiding, bespreking tot verslaglegging

In deze inventarisatie is ervoor gekozen het werk van indicatiecommissies in te delen in vier stappen: aanmelding, voorbereiding, bespreking en verslaglegging (Figuur 2). Binnen elke fase voeren de betrokkenen verschillende activiteiten uit.



Figuur 2. Proces indicatiecommissie

⁴ Uit de [evaluatie van het weesgeneesmiddelenarrangement eculizumab voor de indicatie aHUS](#), kwam naar voren dat de indicatiecommissie niet door alle behandelde centra werd omarmt. Zo hebben "een aantal centra niet tot nauwelijks deelgenomen aan de vergaderingen." Dit verminderde de impact van de commissie op passende inzet van eculizumab.

⁵ <https://www.rijksoverheid.nl/onderwerpen/kwaliteit-van-de-zorg/expertisecentra-zeldzame-aandoeningen>

⁶ In de eerdere publicatie van het Zorginstituut – [Pakketbeheer weesgeneesmiddelen \(2015\)](#) – ging het Zorginstituut er nog vanuit dat alle commissies een onafhankelijk voorzitter dienden te hebben.

Aanmelding patiënt

Het proces start in de behandelkamer waarin de behandelaar met de patiënt (en eventueel ouders/verzorgenden) besluit tot aanmelding bij de indicatiecommissie. De behandelaar meldt de patiënt aan bij de commissie. Dit kan bijvoorbeeld via een aanmeldformulier, zoals die voor indicatiecommissies voor Libmeldy en CAR-T.⁷ De behandelaar stuurt het ingevulde formulier naar de indicatiecommissie.

De aanmelding wordt ontvangen door de commissie. De meeste commissies beschikken over een bepaalde vorm van secretariële ondersteuning (zie 2.4). De commissie ontvangt de aanmeldingen, stuurt een ontvangstbevestiging en plant de vergadering van de commissie.

Bijzonder element commissie RRMS

Patiënten gaan voor een second-opinion langs een expert die tevens lid is van de indicatiecommissie. Als deze expert eveneens van mening is dat de patiënt in aanmerking komt voor behandeling, meldt zij/hij de patiënt aan voor bespreking in de indicatiecommissie. Op deze manier wordt maar een klein aantal patiënten in de indicatiecommissie besproken.

De meeste commissies kiezen voor een regelmatige vergaderfrequentie (merendeel vergadert digitaal). Deze is onder andere afhankelijk van het aantal patiënten. Hoe hoger het aantal patiënten, hoe vaker er overlegd wordt. Dit verband is ook zichtbaar bij de indicatiecommissies die voor dit onderzoek gesproken zijn (Tabel 2). Deze tabel is gebaseerd op globaal geschatte patiëntaantallen waardoor voorzichtigheid geboden is bij de interpretatie ervan. In het geval van de CAR-T indicatiecommissie is ook gekozen voor een hoge vergaderfrequentie vanwege de noodzaak de patiënt snel te kunnen screenen en behandelen.

Tabel 2. Relatie tussen het aantal patiënten en de vergaderfrequentie.

	~Wekelijks	~Maandelijks	Enkele keren per jaar	Ad hoc
< 10 patiënten per jaar		Natpar		Eculizumab (MG) RRMS Luxtorna
10 – 100 patiënten per jaar		Libmeldy	Ataluren SMA	
> 100 patiënten per jaar	CAR-T	Fabry	Pompe ⁸	

NB: De vergaderfrequentie is gebaseerd op de stabiele fase, na behandeling van de initiële patiëntengroep.

Voorbereiding

De behandelaar bereidt de bespreking van de patiënt met de indicatiecommissie voor. Meestal wordt gekozen hiervoor een presentatie uit te werken. De uitwerking dient alle relevante informatie te bevatten voor de commissie om tot een goed afgewogen advies te komen. Veelal betreffen dit patiëntkenmerken, voorgeschiedenis, eerder

⁷ Verwijsprocedure CAR-T: [Verwijsprocedure CAR-T - Hematologie-Wijzer](#)

Verwijsprocedure Libmeldy: [Treatment eligibility panel - \(mldinitiative.com\)](#)

⁸ Zorgpad Pompe – Bijlage Indicatiecommissie https://clmz.nl/media/Zorgpad_Pompe_160521_def.pdf

doorlopen behandeling en informatie over de huidige gezondheidsstatus van de patiënt zoals functionele uitkomsten, laboratoriumwaarden en beeldmateriaal.

De commissie, al dan niet met secretariële ondersteuning, zorgt voor het rondsturen van de agenda met eventuele voorbereidende stukken. De leden van de commissie nemen deze ter voorbereiding door. Daarnaast kan secretariële ondersteuning ook zorgdragen voor de aanwezigheid van de commissieleden.

Bespreking

Tijdens de bespreking presenteert de behandelaar de patiënt en alle relevante informatie aan de commissie. De commissie stelt vragen over onduidelijke aspecten. De commissieleden bespreken hun (individuele) overwegingen, en werken toe naar een gezamenlijk advies. De meeste commissies werken toe naar een advies waar alle leden zich unaniem in kunnen vinden. Afgezien van het advies of een patiënt al dan niet in aanmerking komt voor een behandeling, kunnen zij ook adviseren over stoppen (zie 2.3), en spreken over kwaliteitsverbetering, onderzoek en doelmatigheid van zorg (zie 2.4).

Een deel van de commissies beschikt over ondersteuning bij het opstellen van notulen. Bij andere commissies noteert één van de commissieleden de adviezen en overwegingen.

Verslaglegging

Een deel van de commissies legt na afloop van de bespreking het advies schriftelijk vast. Bijvoorbeeld door het advies (en overwegingen) uit te schrijven en te versturen aan de behandelend arts, of door een standaardbrief te versturen met de uitkomst van de bespreking. Bij andere commissies vindt geen formele verslaglegging plaats. De behandelaar – die deelnam aan de vergadering – werkt nadien het patiëntdossier bij naar aanleiding van het advies, bespreekt dit met de patiënt en communiceert dit eventueel aan de verwijzend specialist en/of huisarts van de patiënt.

Bijzonder element commissie eculizumab (MG)

Deze indicatiecommissie werkt met een formele brief die bij een positief besluit naar de behandelend arts gestuurd wordt. De indicatiecommissie stuurt deze brief tevens naar de financiële afdeling van het LUMC ten behoeve van de verantwoording van de inzet van eculizumab.

De meeste indicatiecommissies houden een administratie bij van het aantal besproken patiënten en de uitkomsten van de besprekingen per patiënt. Deze administratie gebruiken zij bijvoorbeeld voor rapportage naar betrokkenen – patiënten, zorgverzekeraars, het Zorginstituut - of voor wetenschappelijke publicaties. Deze rapportages faciliteren de samenwerking rondom het bevorderen van de passende inzet van zorg (zie 2.5 en 3.3).

Als de indicatiecommissie een registratie beheert, kan ook het bijwerken van de registratie een taak zijn van de commissie (zie 2.5). Dit kan overigens ook belegd worden bij een betrokken onderzoeker.

2.3 Commissies kunnen adviseren over starten en stoppen van individuele patiënten

Er zijn verschillende onderwerpen waarover indicatiecommissies kunnen adviseren. Wat betreft de individuele patiëntenzorg, kunnen zij adviseren over het starten en stoppen van een behandeling, en over geschiktheid van patiënten voor deelname aan

lopende wetenschappelijke onderzoeken. Deze gespreksonderwerpen werken we in deze paragraaf verder uit.

Naast individuele patiëntenzorg, dragen indicatiecommissies ook bij aan kwaliteitsverbetering, onderzoek en doelmatigheid van zorg – deze onderwerpen werken we uit in paragraaf 2.4.

Starten van een behandeling

De meeste indicatiecommissies hebben als kerntaak om te bespreken of een patiënt in aanmerking komt om te starten met een bepaalde behandeling. Bij deze taak baseren zij zich op eventuele indicatiecriteria (ook wel startcriteria genoemd) en behandelrichtlijnen die aangevuld worden met de expertise van de commissieleden. Deze dienen gebaseerd te zijn op actuele wetenschappelijke inzichten. Het doel hiervan is om passende inzet te bevorderen, namelijk dat de patiënt de voor haar/hem meest passende behandeling ontvangt.

De complexiteit van de keuze om te starten wisselt per behandeling en patiënt: bij sommige behandelingen is er veel onduidelijkheid en leunen commissieleden relatief veel op expertise van de leden, terwijl bij andere behandelingen de keuze om te starten meer eenduidig is. Indicatiecriteria helpen bij deze afwegingen, maar commissieleden dienen hierbij ook rekening te houden met de individuele patiënt. Wat passend is voor de meerderheid van de patiënten hoeft niet altijd passend te zijn voor iedere individuele patiënt.

Uit de interviews kwam naar voren dat indicatiecommissies vaak te maken hebben met de onderstaande afwegingen:

- Is de balans tussen de voor- en nadelen van behandelen gunstig voor deze patiënt?
- Is het ziekteproces bij de patiënt niet al te ver gevorderd, waardoor de behandeling weinig kans van slagen heeft?
- Zouden niet eerst alternatieve behandelopties doorlopen moeten worden?

Praktijkvoorbeeld commissie CAR-T

De indicatiecommissie van CAR-T heeft in een wetenschappelijke publicatie de activiteiten en ervaringen van de commissie uitgewerkt.⁹ Van de 250 patiënten die werden aangemeld bij de commissie, ging de commissie bij 58% (145) daadwerkelijk over tot behandeling met CAR-T. De overige patiënten vielen af met name omdat ze niet aan de indicatiestelling voldeden (40) of omdat de ziekte bij hen te snel progressief was (49).

Tot slot kan de complexiteit van de afweging welke behandeling te starten veranderen over tijd – zo blijkt uit onze interviews. Naarmate meer ervaring wordt opgedaan met een behandeling, of meer wetenschappelijke gegevens beschikbaar komen, kan het eenvoudiger worden om te besluiten over het starten van een behandeling. Daardoor neemt de noodzaak voor het standaard bespreken van alle patiënten in de commissie af, en zou in samenspraak met betrokkenen – patiënten, zorgverzekeraars, het Zorginstituut – besproken kunnen worden om wellicht alleen die patiënten te bespreken waarbij twijfels bestaan over de indicatiestelling of over het voortzetten van

⁹ Spanjaart AM, Pennings ERA, Mutsaers PGNJ, et al. The Dutch CAR-T Tumorboard Experience: Population-Based Real-World Data on Patients with Relapsed or Refractory Large B-Cell Lymphoma Referred for CD19-Directed CAR T-Cell Therapy in The Netherlands. *Cancers (Basel)*. 2023;15(17):4334. Published 2023 Aug 30. doi:10.3390/cancers15174334 ([link](#))

de behandeling (zoals eerder beschreven onder 2.1). Een aantal van de geïnterviewde commissies werkt inmiddels op deze manier.

Stoppen van een behandeling

Passende inzet gaat niet alleen over het kiezen van de juiste behandeling, maar ook - voor behandelingen die over een langere periode gegeven worden - wat het passende moment is om de behandeling te stoppen. Hierover is meestal veel minder wetenschappelijk bewijs beschikbaar dan over de indicatiestelling en het startmoment van een behandeling. Toch worden behandelaren hier in de praktijk mee geconfronteerd. Een gesprek met een patiënt over stoppen kan lastig zijn, als niet al bij aanvang duidelijk is gemaakt dat stoppen tot de mogelijkheden behoort.

De indicatiecommissie kan door de actieve samenwerking tussen experts, en met behulp van vooraf gedefinieerde stopcriteria als leidraad, hier een belangrijke bijdrage aan leveren. Deze stopcriteria kan de beroepsgroep zelfstandig opstellen, of in afstemming met betrokkenen zoals patiënten, zorgverzekeraars en het Zorginstituut. De criteria zijn vaak gebaseerd zijn op wetenschappelijk bewijs en expertise. Veel voorkomende redenen om een behandeling te stoppen zijn:

- onvoldoende effectiviteit van de behandeling
- (ernstige) bijwerkingen van de behandeling
- wens van patiënt om te stoppen
- een korte levensverwachting.

Net als bij indicatiecriteria, dient de commissie uiteindelijk per individuele patiënt te besluiten wanneer het passend is om te stoppen. Bovendien speelt mee dat voor sommige zeldzame behandelingen geen alternatieve behandeling beschikbaar is, wat invloed kan hebben op de afweging over stoppen.

Daarnaast kan het behulpzaam zijn om vast te leggen wanneer en op welke wijze de behandelresultaten per patiënt beoordeeld dienen te worden. Namelijk op welke tijdstippen, met welke diagnostiek / uitkomstmaten, en wanneer de indicatiecommissie de patiënt bespreekt. Op deze momenten kan ook besloten worden de behandeling te stoppen op basis van de stopcriteria en het advies van de indicatiecommissie.

Deelname patiënt aan lopend onderzoek

Tot slot spreken sommige indicatiecommissies ook over de geschiktheid van patiënten om deel te nemen aan lopend onderzoek. Deelname aan lopend onderzoek kan patiënten de mogelijkheid geven om een innovatieve behandeloptie te ontvangen. Dit is met name relevant voor patiënten waarvoor bestaande behandelopties niet passend (lijken te) zijn.

Spreken over deelname van patiënten aan lopend onderzoek komt meestal spontaan tot stand vanuit commissieleden. Bijvoorbeeld doordat er een onderzoek start binnen (één van de) centra van de commissieleden. Ook komt het voor dat een indicatiecommissie ontstaat vanuit een bestaand samenwerkingsverband die zich al langer richt op onderzoek.

2.4 Commissies dragen bij aan kwaliteitsverbetering, onderzoek en doelmatigheid

Naast spreken over individuele patiënten, dragen de meeste indicatiecommissies ook bij aan kwaliteitsverbetering, onderzoek en doelmatigheid van zorg. Deze onderwerpen werken we in deze paragraaf verder uit.

Kwaliteitsverbetering

Naast de individuele patiëntenzorg, speelt leren en verbeteren een belangrijke rol bij kwaliteitsverbetering van zorg. Door kennisuitwisseling tussen experts, wordt de expertise van de commissieleden bevorderd, wat weer zorgt voor verbetering van behandelrichtlijnen, doorontwikkeling van start- en stopcriteria en betere patiëntenzorg.

Daarnaast kan kwaliteitsverbetering plaatsvinden door structureel informatie te verzamelen over de uitkomsten van de behandeling in de praktijk. Deze *real-world* informatie kan een commissie bijvoorbeeld verzamelen in een kwaliteitsregistratie.¹⁰ Kwaliteitsregistraties zijn registraties waarin behandelaren de uitkomsten van zorg bijhouden van alle patiënten met een bepaalde aandoening. Daarnaast bevatten ze informatie over patiëntkenmerken en over de geleverde zorg. Deze informatie kan gebruikt worden voor evaluatie en verbetering van de kwaliteit van zorg. In paragraaf 2.5 staat beschreven hoe de huidige commissies registratie organiseren.

Onderzoek

Naast kwaliteitsverbetering van zorg, kan de zorg ook verbeteren via wetenschappelijk onderzoek. Bij veel commissies komt reguliere zorg en onderzoek samen doordat commissieleden vaak ook onderzoeker zijn. Het samenbrengen van onderzoek en reguliere zorg vindt het Zorginstituut positief, aangezien hierdoor de actuele vragen in de praktijk sneller beantwoord worden met onderzoek en onderzoeksresultaten sneller geïmplementeerd worden in de praktijk.

Ook voor onderzoek is informatie nodig. Dit kan observationele *real world* informatie zijn, zoals informatie over diagnostisch onderzoek of uitkomsten van zorg in kwaliteitsregistraties, of experimentele informatie uit prospectief wetenschappelijk onderzoek met patiënten. Doordat bij indicatiecommissies zorg en onderzoek samenkomen en beide gebaat zijn bij een goede informatieverzameling, zijn er veel verschillende manieren waarop indicatiecommissies de registratie van informatie hebben georganiseerd (zie 2.5). De onderzoeksinspanningen van indicatiecommissies hebben geresulteerd in verschillende wetenschappelijke publicaties.^{9, 11}

Doelmatigheid van zorg

Ook zetten veel indicatiecommissies zich gericht in voor doelmatigheid van zorg:

- Twee indicatiecommissies stonden aan de basis voor een ZonMw parel: zowel de behandeling van aHUS met eculizumab als de behandeling van Fabry met enzymtherapie bleken veel doelmatiger ingezet te kunnen worden.¹²
- Meerdere indicatiecommissies werken actief samen met Zorgverzekeraars Nederland binnen het Orphan Drug Access Protocol (ODAP) waarmee

¹⁰ Op moment van schrijven is het [wetsvoorstel](#) 'Wet kwaliteitsregistraties zorg' in behandeling bij de Tweede Kamer. Het wetsvoorstel lost meerdere knelpunten op rondom kwaliteitsregistraties en zorgt ook voor structurele maatschappelijke [financiering van kwaliteitsregistraties](#). Financiering is een veelvoorkomend knelpunt voor het opzetten en professionaliseren van kwaliteitsregistraties. Meer informatie over kwaliteitsregistraties is te vinden op de website <https://www.landelijkekwaliteitsregistratie.nl/>.

¹¹ Eskandari, S. K., Revenich, E. G., Pot, D. J., de Boer, F., Bierings, M., van Spronsen, F. J., ... & Lubout, C. M. (2024). High-Dose ERT, Rituximab, and Early HSCT in an Infant with Wolman's Disease. *New England Journal of Medicine*, 390(7), 623-629.

¹² [Factsheet Parel voor aHUS.pdf \(zonmw.nl\)](#)
[Factsheet Parel voor ziekte van Fabry.pdf \(zonmw.nl\)](#)

veelbelovende geneesmiddelen voor zeldzame aandoeningen sneller beschikbaar komen, zoals het geneesmiddel lumasiran.¹³

- Enkele indicatiecommissies staan aan de basis van doelmatigheidsonderzoeken die onderdeel uitmaken van het GIDS-programma – een samenwerking tussen de NFU en ZN.¹⁴
- Ook zetten indicatiecommissies zich in om verspilling van medicatie te minimaliseren.¹⁵

2.5 Goede ondersteuning, registratie en bekostiging bepalen mede het succes

Naast een goed fundament en inrichting van activiteiten, zijn er een aantal specifieke organisatorische factoren die het succes van een commissie beïnvloeden – zo blijkt uit de interviews: ondersteuning, registratie en bekostiging. In deze paragraaf werken we die factoren verder uit.

Secretariële ondersteuning

Zoals beschreven in paragraaf 2.2, is een deel van de activiteiten van de commissie administratief van aard. Bijvoorbeeld het inplannen van de besprekingen, het zorgdragen dat de (juiste) commissieleden aanwezig zijn, het opstellen van de agenda en uitwerken van de notulen. Voor deze activiteiten kan secretariële ondersteuning erg behulpzaam zijn.

De geïnterviewde commissies richten deze activiteiten op verschillende manieren in. Dat kan bijvoorbeeld in de vorm van een medisch secretaresse zijn of een onderzoeker (Tabel 3). Bij sommige commissies is geen secretariële ondersteuning beschikbaar.

Registratie

Zoals eerder beschreven speelt registratie een cruciale rol bij kwaliteitsverbetering en onderzoek (2.4). Het gaat in de commissies vaak om behandelingen voor zeldzame aandoeningen met veel onzekerheid over uitkomsten op lange termijn. Registraties helpen hier zicht op te krijgen en stellen commissies in staat om te leren en verbeteren.

In de praktijk blijken commissies de registratie wisselend georganiseerd te hebben (Tabel 3). Een deel van de registraties zijn door onderzoekers opgezet en gefinancierd vanuit onderzoeksgelden en/of de farmaceutische industrie. Een deel hiervan bevat alleen informatie over patiëntkenmerken, en geen uitkomst informatie. Twee registers zijn opgezet vanuit een traject van voorwaardelijke toelating (VT).¹⁶ Enkele commissies beschikken niet over een aparte registratie, of alleen over informatie verzameld in het patiëntendossier. Van de indicatiecommissies die gesproken zijn, is er vooralsnog géén enkele die beschikt over een kwaliteitsregistratie op basis van

¹³ <https://medicijnvoordemaatschappij.nl/odap-orphan-drug-access-protocol/>;
<https://medicijnvoordemaatschappij.nl/odap-lumasiran/>

¹⁴ <https://www.nfu.nl/themas/bestendig-zorgstelsel/dure-medicijnen/projecten-en-initiatieven-dure-geneesmiddelen>

¹⁵ <https://english.zorginstituutnederland.nl/publications/publications/2023/10/24/orphan-drug-arrangement-givosiran-givlaari-for-the-treatment-of-acute-hepatic-porphyrria>
<https://www.zorginstituutnederland.nl/over-ons/publicaties/publicatie/2021/01/31/weesgeneesmiddelenarrangement-voretigene-neparvovec-luxturna-bij-visusverlies>

¹⁶ [Voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals | Werkagenda | Zorginstituut Nederland](#)

structurele maatschappelijke financiering, in lijn met het wetvoorstel Wet kwaliteitsregistraties zorg.¹⁰

Tabel 3. Overzicht organisatie ondersteuning en registratie per commissie

Commissie	Ondersteuning	Registratie
Ataluren	Geen	Landelijk register vanuit VT-procedure
CAR-T	CAR-T coördinatoren	Landelijke infrastructuur voor onderzoek en zorgevaluatie (zowel klinische data als patiënt gerapporteerde uitkomsten (PROs) en biobank data)
Eculizumab (MG)	Secretariaat	
Fabry behandelingen	Case manager of medisch secretaresse	Fabry register
Kanuma	Geen	Register van LAL-deficiëntie door de farmaceutische industrie op aanwijzen van de EMA
Libmeldy	Ondersteuning vanuit European Reference Network (ERN)	MLD initiative
Luxturna	Geen	RD5000
Natpar	Onderzoeker vanuit research unit	Landelijk register (Natpar Monitor) vanuit VT-procedure
Patisiran	Geen	Weefselbank buikbiopten
RRMS	Secretariaat, nu tijdelijk arts-onderzoeker	Landelijk MS-register
SMA	Secretariaat (deels), secretaris van de commissie (medisch specialist)	Landelijk SMA-register

In de tabel zijn gangbare namen voor de commissies aangehouden - Bijlage 1 geeft meer informatie per commissie

Registratie dient ook als basis voor rapportages vanuit de beroepsgroep aan de overige betrokkenen – patiënten, zorgverzekeraars en Zorginstituut. Hierover worden frequent afspraken gemaakt, bijvoorbeeld in weesgeneesmiddelarrangementen.¹⁷ In de rapportages staat bijvoorbeeld uitgewerkt hoeveel patiënten besproken zijn, hoe vaak de indicatiecommissie positief adviseerde over starten van de behandeling (en hoe vaak niet).¹⁸ Ook kan gerapporteerd worden over de looptijd van de behandeling, de dosering van een geneesmiddel en het aantal patiënten dat is gestopt evenals de reden om te stoppen. Deze rapportages faciliteren een doorlopend gesprek over bevorderen van de passende inzet van zorg.^{19,20}

¹⁷ [Weesgeneesmiddelenarrangement | Over ons | Zorginstituut Nederland](#)

¹⁸ Spanjaart AM, Pennings ERA, Mutsaers PGNJ, et al. The Dutch CAR-T Tumorboard Experience: Population-Based Real-World Data on Patients with Relapsed or Refractory Large B-Cell Lymphoma Referred for CD19-Directed CAR T-Cell Therapy in The Netherlands. *Cancers (Basel)*. 2023;15(17):4334. Published 2023 Aug 30. doi:10.3390/cancers15174334 ([link](#))

¹⁹ [Pakketadvies sluisgeneesmiddel emicizumab \(Hemlibra®\) voor de behandeling van matig-ernstige hemofilie A | Advies | Zorginstituut Nederland](#)

²⁰ [Evaluatie weesgeneesmiddelenarrangement eculizumab \(Soliris®\) voor de behandeling van atypische Hemolytisch Uremisch Syndroom \(aHUS\) | Advies | Zorginstituut Nederland](#)

Bekostiging

Ten slotte speelt ook bekostiging een rol bij de organisatie van de commissie. Uit de interviews blijkt dat het werk van commissies vanuit verschillende bronnen bekostigd wordt, zoals vanuit reguliere zorg, academische gelden, onderzoeksbudget, (additionele) financiering vanuit zorgverzekeraars, farmaceutische bedrijven, etc. Deze verscheidenheid aan bronnen voor bekostiging komt onder andere doordat indicatiecommissies actief zijn op gebied van zorg én onderzoek. Daarbij zoeken commissies geregeld additionele bekostiging voor hun registratie.

Uit de interviews maken we op dat de verscheidenheid in de wijze van bekostiging zowel kansen als uitdagingen biedt. Kansen, doordat de verscheidenheid mogelijkheden biedt voor innovatie, bijvoorbeeld op gebied van doelmatigheid (zie 2.4). Maar ook uitdagingen, bijvoorbeeld wanneer tijdelijke financiering afloopt en de continuïteit van een registratie in het geding komt, wanneer verzoeken om (additionele) bekostiging herhaaldelijk worden afgewezen, of wanneer er geen passende bekostiging beschikbaar lijkt voor een indicatiecommissie. Vanuit interviews komt naar voren dat veel indicatiecommissies behoefte hebben aan meer ondersteuning om in aanmerking te komen voor deze bekostigingsvormen.

De structurele maatschappelijke financiering voor kwaliteitsregistraties zal - naar verwachting van het Zorginstituut - uitkomst bieden voor indicatiecommissies.²¹ Commissies dienen hierbij rekening te houden met de geldende criteria en kunnen voor vragen contact opnemen via de website.

²¹ [Financiering van kwaliteitsregistraties - Landelijke kwaliteitsregistratie.nl](#)

3 Indicatiecommissies dienen de belangen van betrokkenen in brede zin

Indicatiecommissies hebben niet alleen een positief effect op de geleverde zorg, maar dienen ook in bredere zin belangen van de betrokkenen. Zowel voor patiënten, zorgprofessionals als zorgverzekeraars. Het gaat hierbij bijvoorbeeld om positieve ervaringen van betrokkenen, goede communicatie en samenwerking. Ook het Zorginstituut werkt graag samen met indicatiecommissies, gezien de voordelen die in dit rapport zijn belicht.

In dit hoofdstuk beschrijven we – op basis van de interviews - hoe indicatiecommissies deze bredere belangen dienen. We gaan niet specifiek in op de belangen van het Zorginstituut, aangezien deze overlappen met de belangen van de verschillende betrokkenen.

3.1 Patiënten waarderen gedegen, multidisciplinaire afweging van commissie

Naast dat indicatiecommissies bijdragen aan passende zorg voor patiënten, waarderen zij ook de gedegenheid van de commissie, zo blijkt uit gesprekken met de behandelaren.²² De commissie bestaat uit de (beste) experts die samen hebben nagedacht welke behandeling het best passend is voor de patiënt. Dit geeft patiënten vertrouwen en berusting in de uitkomst. Heldere communicatie door de behandelaar, een goede uitleg over het proces, en verwachting management (ook over stoppen) draagt hier verder aan bij.

3.2 Zorgprofessionals waarderen ondersteuning bij risicovolle behandeling en vinden deelname commissie inspirerend

Voor de behandelaar is een indicatiecommissie prettig als sparringpartner bij de keuze voor een risicovolle behandeling of een behandeling met veel onzekerheden. De behandelaar neemt de complexe keuzes niet zelfstandig, maar samen met andere experts. Dit resulteert in een weloverwogen, onafhankelijke en gezamenlijke beslissing over het al dan niet behandelen van een patiënt, of het stoppen van de behandeling. Dit is tevens behulpzaam bij de communicatie naar de patiënt (3.1).

Ook de voorbereiding op de vergaderingen wordt door behandelaren vaak waardevol gevonden. Alle relevante gegevens over de patiënt moeten verzameld en samengevat worden. Het opnieuw doornemen van deze informatie houdt de professional scherp en verkleint de kans dat er belangrijke informatie over het hoofd wordt gezien.

Commissieleden ervaren de deelname aan de commissie veelal als inspirerend en plezierig. Leden leren elkaar beter kennen, en hebben vaak ook buiten de indicatiecommissie om regelmatig contact. Indicatiecommissies die een registratie hebben en dit koppelen aan wetenschappelijk onderzoek genereren extra impact. Publicaties en het delen van informatie tijdens congressen dragen verder bij aan het leereffect voor de commissieleden.

²² Voor deze inventarisatie is niet direct met patiënten gesproken, wel met één patiëntvertegenwoordiger. Deze alinea baseren we daarom op signalen die we vanuit behandelaren kregen.

Ondanks de toegevoegde waarde voor de zorgprofessional, vraagt deelname aan een indicatiecommissie vaak veel tijd. Sommige zorgprofessionals nemen zelfs deel aan meerdere indicatiecommissies. Het Zorginstituut vindt het daarom belangrijk om te bewaken dat de tijdsbesteding zinvol blijft. Twijfels hierover kunnen besproken worden met betrokkenen (zie ook 2.3).

3.3 Zorgverzekeraars waarderen indicatiecommissie om het bevorderen van de kwaliteit en doelmatigheid van zorg

Indicatiecommissies helpen zorgverzekeraars meer grip te krijgen op de kwaliteit en doelmatigheid van zorg. Ten eerste doordat indicatiecommissies fungeren als centraal aanspreekpunt voor zorgverzekeraars. Daardoor worden lijntjes korter en is het makkelijker elkaar te vinden voor samenwerking rondom passende zorg. Niet alleen voor zorgverzekeraars, maar voor het bredere netwerk om de commissie heen – patiënten, beleidsmakers en onderzoekers. Hierdoor ontstaan makkelijker initiatieven om de kwaliteit en doelmatigheid van de zorg verder te bevorderen (2.4).

Daarnaast zorgen indicatiecommissies ook voor meer transparantie in het zorgproces richting zorgverzekeraars. Onder andere door transparant te zijn over start- en stopcriteria, en door rapportages op te stellen voor betrokkenen – waaronder zorgverzekeraars. Hierdoor kunnen zij meepraten over verdere bevordering van de kwaliteit en doelmatigheid van zorg.

Praktijkvoorbeeld

Bij sommige behandelingen kan een positief besluit van een commissie een vereiste zijn om voor (vergoeding van) de behandeling in aanmerking te komen. In die gevallen geldt dit ook voor behandeling gegeven in het buitenland. Dit passen zorgverzekeraars toe bij de beoordeling van machtigingsaanvragen van verzekerden voor behandeling in het buitenland, wat bijdraagt aan gelijke aanspraak.

In de praktijk kan er ook frictie ontstaan tussen zorgverzekeraars en indicatiecommissies, zoals rondom het toepassen van stopcriteria. Vanwege beperkt wetenschappelijk bewijs kan het lastig zijn om duidelijke stopcriteria gebaseerd op klinisch relevante uitkomsten te formuleren. Het volgen van de stopcriteria blijkt ook geregeld lastig in de praktijk. Een voorbeeld hiervan is als een behandeling volgens de stopcriteria niet voldoende effectief blijkt te zijn voor een patiënt, maar wanneer er ook geen alternatieve behandelingen beschikbaar zijn. Deze situatie zou volgens meerdere geïnterviewde leden van indicatiecommissies geen reden horen te zijn om de behandeling voort te zetten, maar zij merken dat het in de praktijk vaak leidt tot lastige situaties.

Als in de praktijk behandelingen nauwelijks gestopt worden, is dat zichtbaar in de declaratiedata voor zorgverzekeraars en kunnen zij aandringen op een gesprek hierover. Het is in ieders belang dat betrokkenen deze gesprekken voeren en gezamenlijk zoeken naar een goede oplossing. Het Zorginstituut helpt graag mee om deze gesprekken in goede banen te leiden.

Bijlage I – Beschrijving indicatiecommissies

In deze bijlage staan de indicatiecommissies uitgewerkt waarmee is gesproken in het kader van de inventarisatie. Het doel van de gesprekken was om een beeld te krijgen van het functioneren van de betreffende commissie, niet om zo volledig mogelijk te zijn. De consequentie hiervan is dat niet voor elke indicatiecommissie dezelfde soort informatie opgehaald is.

We beschrijven de commissies op alfabetische volgorde van de gangbare namen (Ataluren, CAR-T, Eculizumab (MG), Fabry, Kanuma, Libmeldy, Luxturna, Natpar, Patisiran, RRMS, en SMA).

Ataluren

Ataluren (Translarna) bij spierdystrofie van Duchenne

Oprichting: De oprichting van de indicatiecommissie was een voorwaarde voor deelname aan het traject Voorwaardelijke Toelating van het Zorginstituut. **Frequentie vergaderingen:** De officiële vergaderingen zijn twee keer per jaar, maar als er snel gehandeld moet worden gaat de afstemming per mail. **Bespreekpunten:** De indicatiecriteria zijn zo helder dat hier veelal geen bespreking voor nodig is, hoewel dit formeel wel gebeurt. Tijdens de bespreking is er veel aandacht voor het beloop van de patiënt en de stopcriteria. Vanwege het vroegtijdig [stopzetten](#) van het VT-traject, zijn gesprekken over stoppen van een behandeling niet aan bod gekomen. **Verslaglegging:** Er worden geen formele notulen gemaakt, maar bepaalde informatie wordt wel bijgehouden, zoals presentaties. **Registratie:** Patiënten worden bijgehouden in een landelijk register.

CAR-T

CAR-T behandeling bij specifieke vormen van lymfeklierkanker

Oprichting: De indicatiecommissie is ontstaan vanuit de beroepsgroep waarbij de inspiratie kwam van een soortgelijke commissie in Engeland. **Frequentie vergaderingen:** Vergaderingen vinden twee keer per week plaats vanwege het hoge patiëntvolume en de noodzaak tot snelle besluitvorming. **Aanmelding:** Patiënten worden aangemeld via een [centraal aanmeldpunt](#) met aanmeldformulieren. **Bespreekpunten:** Wanneer goedkeuring op papier heeft plaatsgevonden, wordt de patiënt beoordeeld in een CAR-T centrum (tenzij deze al onder behandeling was in het CAR-T centrum) en besproken in de indicatiecommissie. Veel patiënten worden afgewezen omdat de ziekte te snel progressief is. Na behandeling wordt het beloop van patiënten in geval van ernstige of onverwachte complicaties ook besproken in de indicatiecommissie. Daarnaast wordt tijdens de bespreking aandacht geschonken aan het verbeteren van protocollen en landelijke implementatie en worden relevante wetenschappelijke onderzoeken besproken. De indicatiecommissie [publiceert](#) zelf ook [artikelen](#). **Verslaglegging:** Notulen worden opgesteld door de CAR-T coördinatoren en binnen twee werkdagen na de bespreking gedeeld. **Registratie:** Er is een nationale infrastructuur voor onderzoek en zorgevaluatie opgezet waarin data van alle patiënten bijgehouden worden. Deze data bestaat uit zowel klinische data als patiënt gerapporteerde uitkomsten (PROM's), en een biobank. Ook data van patiënten die uiteindelijk niet in aanmerking komen voor behandeling worden verzameld, om inzicht te genereren in het aandeel patiënten dat uiteindelijk de behandeling niet heeft ontvangen.

Eculizumab (MG)

Eculizumab (Soliris®) bij Myasthenia gravis

Oprichting: De indicatiecommissie is ontstaan vanuit een overleg tussen de beroepsgroep en de zorgverzekeraars. De hoge prijs van het geneesmiddel en de wens om het middel zo doelmatig mogelijk in te zetten zijn de belangrijkste redenen voor oprichting van de indicatiecommissie. **Frequentie vergaderingen:** vergaderingen vinden ad hoc plaats wanneer er een aanvraag binnen komt. **Aanmelding:** Patiënten worden eerst voor second-opinion door een vertegenwoordiger van de indicatiecommissie gezien. Wanneer deze vertegenwoordiger denkt dat de betreffende patiënt een geschikte kandidaat is, wordt de patiënt in de indicatiecommissie besproken. Er is een aanmeldformulier beschikbaar. **Bespreekpunten:** Vanwege de heldere indicatiecriteria worden vrijwel alle aangemelde patiënten goedgekeurd. Er is nog onvoldoende bewijs over wanneer een patiënt het beste kan stoppen, maar vanwege de hoge belasting van de behandeling willen patiënten vaak zelf stoppen. Tijdens de vergaderingen van de indicatiecommissie worden stoppen en het beloop van patiënt niet besproken. Alle patiënten worden echter in één centrum behandeld, waardoor er goed overzicht is en de zorgprofessionals elkaar makkelijk weten te vinden. **Verslaglegging:** Er worden geen formele notulen gemaakt, alleen de noodzakelijke verslaglegging voor de huisarts en specialist. Bij een positief besluit stuurt de commissie een standaardbrief aan de behandelaar.

Fabry

Agalsidase-alfa (Replagal) en agalsidase-beta (Fabrazyme) bij ziekte van Fabry

Oprichting: De indicatiecommissie is ontstaan na advies van het kenniscentrum Federatie Medisch Specialisten, als uitkomst van kosteneffectiviteitsonderzoek (t= 0, t=4), gefinancierd door ZONMW. Er waren veel vragen over gepast gebruik en het betrof een zeer dure (niet kosteneffectieve) behandeling. **Frequentie vergaderingen:** Besprekingen vinden elke 6 weken plaats. **Bespreekpunten:** Tijdens de vergadering wordt besproken of een patiënt in aanmerking komt voor behandeling. Er worden van tevoren duidelijke afspraken gemaakt met de patiënt over de momenten waarop het beloop geëvalueerd wordt in de indicatiecommissie, en dat er een moment kan komen dat de behandeling gestopt moet worden. Tijdens de bespreking is er ook aandacht voor relevante onderzoeken binnen het indicatiegebied. **Verslaglegging:** Er worden geen formele notulen gemaakt, alleen de noodzakelijke verslaglegging voor de patiënt, huisarts en specialist. **Registratie:** In een onderzoeksregister worden het beloop en de uitkomsten van de patiënten vastgelegd.

Kanuma

Sebelipase alfa (Kanuma) bij (LAL-)deficiëntie (Lysomal sure lipase)

Oprichting: De indicatiecommissie is ontstaan vanuit een overleg tussen de beroepsgroep en ZN. **Frequentie vergaderingen:** De vergaderingen vinden 1 a 2 keer per jaar plaats, en ad hoc tussendoor indien nodig. De ad hoc overleggen gaan soms per telefoon of mail. **Bespreekpunten:** Alle patiënten met een mogelijke indicatie worden besproken. Het beloop van de patiënten en eventueel stoppen met de behandeling wordt ook besproken tijdens de vergadering. Daarnaast worden relevante publicaties ook besproken. De indicatiecommissie werkt zelf ook aan [publicaties](#). **Verslaglegging:** Er worden formele notulen gemaakt van elke bespreking. **Registratie:** De indicatiecommissie houdt een database bij. Daarnaast worden patiënten geregistreerd in een registratie van de registratiehouder.

Libmeldy

Atidarsagene autotemcel (Libmeldy) bij metachromatische leukodystrofie (MLD)

Oprichting: Het betreft een internationale indicatiecommissie die is ontstaan als onderdeel van het [MLD-initiatief](#) om patiënten in één keer gericht advies te kunnen geven over wel/niet behandelen. Dit geldt voor Libmeldy en ook voor de inzet van HSCT (Hematopoëtische stamceltransplantatie) of eventuele inclusie in een studie. Voorafgaand aan de oprichting van de commissie, gebeurde het vaak dat patiënten achtereenvolgens langs meerdere behandelcentra gingen in de hoop behandeld te worden. Dankzij de indicatiecommissie wordt dit voorkomen en is er eenduidige toegang tot deze behandelingen. **Frequentie vergaderingen:** De vergaderingen zijn elke twee maanden en ad hoc tussendoor indien nodig. **Aanmelding:** Patiënten worden aangemeld via een [centraal aanmeldpunt](#) met aanmeldformulieren. **Bespreekpunten:** Patiënten die duidelijk voldoen aan de indicatie worden niet besproken, de twijfelgevallen altijd wel. Een groot deel van deze patiënten wordt afgewezen omdat de ziekte te ver gevorderd is. Het beloop van behandelde patiënten wordt ook besproken, evenals relevante wetenschappelijke onderzoeken. De indicatiecommissie werkt zelf ook aan publicaties. **Verslaglegging:** Er worden formele notulen gemaakt van elke bespreking. **Registratie:** De patiënten worden bijgehouden in een internationale registratie (MLDi register).

Luxturna

Voretigene neparvovec (Luxturna) bij Retinale dystrofie

Oprichting: De oprichting van de indicatiecommissie was een advies bij het [pakketadvies](#) van het Zorginstituut over Luxturna. **Frequentie vergaderingen:** De vergaderingen hadden bij de start een hoge frequentie om alle bestaande patiënten te bespreken. Inmiddels zijn de meeste hiervan besproken en/of behandeld en kan de commissie met minder vergaderingen af. De overleggen vinden nu vaak schriftelijk plaats, omdat de commissie vaak snel op één lijn zit en goed op elkaar is ingespeeld. **Bespreekpunten:** Alle aangemelde patiënten worden besproken, ook als er weinig twijfel is over de indicatie. Het beloop van de patiënt is ook onderdeel van bespreking. **Registratie:** De registratie van patiënten vindt plaats in het al bestaande register van het [RD5000 consortium](#).

Natpar

rhPTH 1-84 (Natpar) bij Chronische hypoparathyreoïdie

Oprichting: De oprichting van de indicatiecommissie was een voorwaarde voor deelname aan het traject Voorwaardelijke Toelating van het Zorginstituut. **Frequentie vergaderingen:** Vergaderingen waren de eerste periode na oprichting elke maand, na verloop van tijd werd dit elke twee maanden. **Aanmelding:** Er is een aanvraagformulier beschikbaar voor de aanmelding. **Bespreekpunten:** Een deel van de patiënten wordt afgewezen omdat eerst andere behandelopties geprobeerd moeten worden. Het beloop van patiënten en eventueel stoppen zijn geen onderdeel van de bespreking. Hiervoor zijn aparte klankbordmeetings belegd. **Verslaglegging en registratie:** Het bijhouden van de database en het verzorgen van de notulen wordt gedaan door een betrokken research unit.

Patisiran

Patisiran (Onpattro) bij hATTR-amyloïdose

Oprichting: De indicatiecommissie is vanuit de beroepsgroep ontstaan vanwege de complexe afstemming over patiënten en het plichtsgevoel om dit als expertisecentrum via een indicatiecommissie te bespreken. **Frequentie vergaderingen:** Vergaderingen vinden structureel maandelijks plaats. **Vorbereiding:** Ter voorbereiding op de bespreking heeft de behandelaar de noodzakelijke onderzoeken uitgevoerd en in kaart gebracht. **Bespreekpunten:** Tijdens de vergadering wordt besproken of de patiënt een [indicatie](#) heeft voor patisiran. Patiënten die de afgelopen maand op controle zijn geweest worden ook besproken, waarbij er door de behandelaar teruggekoppeld wordt hoe de patiënt reageert op de behandeling. Indien er sprake is van progressie wordt er ook gesproken over stoppen. Andere bespreekpunten die aan bod komen zijn studies en congressen. **Verslaglegging:** Er worden geen officiële notulen gemaakt, maar elke specialist maakt aantekeningen van zijn eigen patiënten. **Registratie:** De indicatiecommissie houdt een lokale database bij met uitkomsten van reguliere patiëntenzorg en een weefselbank met buikbiopten.

RRMS

Stamceltransplantatie bij zeer actieve RRMS

Oprichting: De oprichting van de indicatiecommissie was een [voorwaarde](#) bij het [standpunt](#) van het Zorginstituut over RRMS. **Frequentie vergaderingen:** vergaderingen vinden ad hoc plaats. Per behandelcentrum is er een back-up voor als een lid van de indicatiecommissie niet kan aansluiten. **Aanmelding:** Patiënten worden eerst voor second-opinion door een vertegenwoordiger van de indicatiecommissie gezien. Wanneer deze vertegenwoordiger denkt dat de betreffende patiënt een geschikte kandidaat is, wordt de patiënt in de indicatiecommissie besproken. Hierdoor wordt er maar een klein aantal patiënten in de indicatiecommissie besproken, waarbij er vaker niet dan wel een indicatie wordt gezien voor stamceltransplantatie. **Bespreekpunten:** Het beloop van de patiënten die behandeld zijn wordt eveneens besproken in de vergadering, evenals relevante wetenschappelijke onderzoeken op het indicatiegebied. **Verslaglegging en registratie:** Het bijhouden van de registratie en het opstellen van de notulen wordt gedaan door een arts-onderzoeker.

SMA

Nusinersen (spinraza®), onasemnogene abeparvovec (Zolgensma®) en risdiplam (Evrysdi®) bij Spinale musculaire atrofie (SMA)

Oprichting: De oprichting van de indicatiecommissie was een advies bij het [pakketadvies](#) van het Zorginstituut over SMA. Bij de inrichting van de indicatiecommissie zijn de ervaringen vanuit andere indicatiecommissies meegenomen. **Frequentie vergaderingen:** Vergaderingen vinden elke twee maanden plaats en gaan over patiënten met SMA die binnen de reguliere vergoedingsregeling vallen. **Bespreekpunten:** De indicatie voor behandeling met nusinersen/risdiplam/onasemnogene abeparvovec wordt in principe niet besproken tijdens de vergadering, tenzij het om een twijfelgeval gaat. Redenen voor deze aanpak zijn dat de indicatiecriteria voor deze geneesmiddelen helder zijn en de behandeling snel gestart moet worden voor maximale effectiviteit. Het beloop van de patiënten wordt jaarlijks door het behandelteam geëvalueerd en laagdrempelig besproken in de vergaderingen van de indicatiecommissie als hier reden toe is, in het bijzonder bij aanwijzingen voor onvoldoende effectiviteit. Patiënten die in het kader van de VT-regeling voor nusinersen worden behandeld, worden niet door de indicatiecommissie besproken omdat behandelaren geblindeerd zijn voor de behandelresultaten. **Verslaglegging:** Er worden formele notulen gemaakt die in de volgende bespreking geaccordeerd worden. **Registratie:** Registratie vindt plaats in het landelijk SMA-register.

Bijlage II – Methodiek en respondenten

In deze bijlage beschrijven we de methode die we hanteerden voor deze inventarisatie en de personen die we geïnterviewd hebben.

Deze inventarisatie is uitgevoerd in de periode november 2023 tot en met juni 2024. Er is gestart met een verkennende fase waarin bureauonderzoek is gedaan om zoveel mogelijk (achtergrond)informatie over het onderwerp op te halen (Figuur 3). Daarnaast zijn er interne en externe verkennende gesprekken gevoerd met zorgprofessionals, verzekeraars, een vertegenwoordiger van de patiëntenvereniging en collega's van het Zorginstituut (Tabel 4). Doel van deze verkennende gesprekken was het vergaren van relevante (achtergrond) informatie over de indicatiecommissies ter voorbereiding op de interviews.



Figuur 3. Overzicht activiteiten per fase van evaluatie

In de dataverzamelingsfase zijn vervolgens interviews gehouden met vertegenwoordigers van 11 indicatiecommissies en 1 werkgroep (Tabel 5). Bij de selectie van de indicatiecommissies hebben we geprobeerd zo compleet mogelijk te zijn, maar het is niet gelukt om alle commissies te spreken. Dit komt enerzijds omdat er geen goed overzicht is van alle bestaande landelijke indicatiecommissies en anderzijds vanwege beperkte tijd voor deze inventarisatie. Voor de interviews maakten we gebruik gemaakt van een semigestructureerde interviewleidraad. De interviews zijn uitgevoerd door adviseurs vanuit de teams Evalueren en Monitoren, en Geneesmiddelen.

Tabel 4. Respondenten verkennende gesprekken

Respondent	Organisatie
Carla Hollak	Amsterdam UMC
Sibren van den Berg	Amsterdam UMC
Mariëtte Driessens	VSOP patiëntenkoepel voor zeldzame en genetische aandoeningen
Anke Pisters-van Roy	CZ
Silvia van der Flier	VGZ
Margot Overgaag- van Hemert	NZa
Nathalie van der Eijk	NZa
Angèl Link	Zorginstituut
Lonneke Timmers	Zorginstituut

Op basis van alle gesprekken en het bureauonderzoek is een conceptrapport opgesteld. Een aantal bevindingen zijn in deze fase nog getoetst bij zorgverzekeraars en de NZa. De bevindingen in het conceptrapport zijn daarna gepresenteerd in de Ronde Tafel Weesgeneesmiddelen en ter consultatie voorgelegd aan alle indicatiecommissies en overige respondenten uit dit onderzoek.

Tabel 5. Respondenten indicatiecommissies

Geneesmiddel/interventie	Indicatie	Respondenten
Agalsidase-alfa (Replagal), agalsidase-beta (Fabrazyme)	Ziekte van Fabry	Carla Hollak Mirjam Langeveld
Ataluren (translarna)	Spierdystrofie van Duchenne	Erik Niks
atidarsagene autotemcel (Libmeldy)	metachromatische leukodystrofie (MLD)	Nicole Wolf
CAR-T	Specifieke vormen van lymfeklierkanker	Marie José Kersten Tom van Meerten Elise Pennings
*Deep brain stimulation	Therapieresistente obsessief- compulsieve stoornis	Roel Mocking
eculizumab (soliris)	Myasthenia gravis	Jan Verschuuren
Nusinersen (spinraza), onasemnogene abeparvovec (Zolgensma) en risdiplam (Evrysdi®)	Spinale musculaire atrofie (SMA)	Ludo van der Pol
Patisiran (Onpattro)	hATTR-amyloïdose	Hans Nienhuis
rhPTH 1-84 (Natpar)	Chronische hypoparathyreoïdie	Natasha Appelman-Dijkstra Liesbeth Winter
Sebelipase alfa (Kanuma)	(LAL-)deficiëntie (Lysomal sure lipase)	Charlotte Lubout Francjan van Spronsen Marion Brands
Stamceltransplantatie bij zeer actieve RRMS	aHSCT-MS (autologe hematopoïetische stamceltherapie – bij zeer actieve relapsing remitting multiple sclerose)	Joep Killestein
Voretigene neparvovec (Luxturna)	Retinale dystrofie	Ingeborgh van der Born Camiel Boon Mies van Genderen Mary van Schooneveld

**Werkgroep, geen indicatiecommissie. Vanwege het wezenlijk anders functioneren van de werkgroep t.o.v. de indicatiecommissies is deze buiten beschouwing gelaten in dit rapport.*

Colofon

Uitgave door	Zorginstituut Nederland Postbus 320 1110 AH Diemen
Teams	Geneesmiddelen & Evalueren en monitoren
Contact	Maarten Cozijnsen & Leonie Veltman