



**Zorginstituut Nederland**  
Pakket

Eekholt 4  
1112 XH Diemen  
Postbus 320  
1110 AH Diemen  
www.zorginstituutnederland.nl  
info@zinl.nl

T +31 (0)20 797 89 59

**Contactpersoon**

J. Zwaap  
T +31 (0)20 797 8808

**Datum**

26 oktober 016

**Onze referentie**

ACP 63-2

# verslag

ACP 62  
Vergadering Adviescommissie Pakket

---

Vergaderdatum	14 oktober 2016
Vergaderplaats	Zorginstituut Nederland, Diemen.
Aanwezig	Jan van Busschbach Claudi Bockting Marcel Canoy Heleen Dupuis Carina Hilders Cor Oosterwijk Romke van der Veen (voorzitter) Marcel Verweij Jacqueline Zwaap (secretaris, verslag)

Afwezig

---

## 5 **1 Opening en mededelingen**

De voorzitter opent de vergadering en heet alle aanwezigen welkom.

### 1.1 Mededelingen

10 De secretaris heeft twee mededelingen. Ten eerste dat zij een stuk heeft nagestuurd aan de commissie met betrekking tot agendapunt 6: extramurale behandeling. Het gaat om de reactie van de Patiëntenfederatie op het conceptrapport van het Zorginstituut. Ten tweede zijn er verzoeken om inspraak bij de agendapunten 2 over het pakketadvies eculizumab (drie sprekers) en 5 over de overige zorg en ADL-assistentie.

### 1.2 Conflicterende belangen

15 De voorzitter vraagt of er leden zijn die melding willen maken van een potentieel conflicterend belang bij een van de agendapunten. Dat is niet het geval.

## 20 **2 Verslag van de vergadering van 27 mei 2016 (61)**

Er zijn geen opmerkingen bij het verslag.

25

### 3 Pakketadvies eculizumab bij aHUS

Een medewerker van het Zorginstituut geeft een inleidende presentatie.<sup>1</sup>

Vervolgens worden achtereenvolgens de heer Altena van Nierpatiënten Vereniging Nederland, de heer Wetzels van het RadboudUMC en mevrouw de Vries van Stichting aHUS Nederland in de gelegenheid gesteld om in te spreken.<sup>2</sup> Aan de heer Wetzels worden enkele vragen gesteld over het doen van internationaal onderzoek, over actieve opsporing en screening en over de kans op terugkeer van de ziekte bij een kortere behandelduur. De commissie heeft verder geen vragen. Alle leden spreken grote waardering uit voor de sprekers. Vervolgens opent de voorzitter de discussie. Een eerste lid meent dat patiënten een groot risico nemen door mee te werken aan een onderzoek waarin het middel korter wordt toegediend. Hij mist de hele donordiscussie bij dit onderwerp. Doordat patiënten geen niertransplantatie nodig hebben, zijn er minder donoren nodig. Waar hij tot nu toe sympathie had voor fabrikanten van weesgeneesmiddelen, wordt dat steeds minder. Hij meent dat de fabrikant aan korte termijn denken doet en zichzelf in de voet schiet. Een volgend lid meent dat dit één van de meest ingewikkelde adviezen is dat aan de commissie is gevraagd. Hij heeft het gevoel in een spagaat te zitten. Aan de ene kant zijn er heldere verhalen van de sprekers waaruit blijkt dat zij actief willen meewerken aan een manier om samen te werken aan een betere kosteneffectiviteit; zij nemen daarbij het risico op recidieven. Dit soort initiatieven zou men vaker willen zien en dat wil je belonen. Bovendien lijken er nauwelijks tot geen nadelige effecten te zitten aan de behandeling. Aan de andere kant ziet hij een fabrikant die zich reciverend misdraagt, eenvoudige vragen niet beantwoordt en niet wil meewerken aan onderzoek om de kosten omlaag te brengen. Uitstel van een beslissing vindt hij slecht voor de premiebetaler, want het middel wordt nu al vergoed. En voor de fabrikant zijn er geen prikkels om zich anders te gaan gedragen. Het gaat niet om een hele kleine populatie, want het middel wordt ook voor andere indicaties ingezet.

Een volgend lid is het eens met de vorige sprekers. De commissie heft inmiddels regelmatig nee gezegd tegen geneesmiddelen en dat is niet omdat zij de patiënten deze niet gunt, maar omdat zij vindt dat er een fatsoenlijke prijs moet komen. De commissie zit hier voor alle patiënten. Dat is haar morele plicht. De commissie wil weg uit de situatie waarin zij schaakmat wordt gezet. Een volgend lid is het met de laatste twee leden eens; het is lovenswaardig dat is nagedacht over het verbeteren van de kosteneffectiviteit. Dergelijke initiatieven wil je stutten en ondersteunen, want het is goed voor alle patiënten en heel Nederland. Het lid waarschuwt wel dat dit alleen geldt als het inderdaad zo gaat lopen. Er zijn ook andere trajecten voorstelbaar. De commissie moet ook de belangen van andere patiënten in het oog houden. De kosteneffectiviteit bij levenslange behandeling is slecht onderzocht, maar je hebt geen goed model nodig om te weten dat dit ongunstig zal zijn.

Een volgend lid juicht het initiatief toe waarbij verantwoordelijkheid wordt genomen voor de kosten. Dit is een voorbeeld voor de farmaceutische industrie en voor andere landen. De Kosteneffectiviteit is onaanvaardbaar ongunstig, maar door het onderzoek kan dit verbeteren. Daarom zou dit lid voor scenario 1 kiezen. Het eerste lid sluit zich aan bij de andere leden wat betreft de irritatie naar de fabrikant. Dit gedrag zou moeten worden afgestraft, maar niet door een negatief

Zorginstituut Nederland  
Pakket

**Datum**  
27 oktober 2016

**Onze referentie**  
ACP 63-2

<sup>1</sup> De presentatie is als bijlage 1 bijgevoegd

<sup>2</sup> De inspraakteksten van de heer Altena en mevrouw de Vries en de presentatie van de heer Wetzels zijn respectievelijk als bijlagen 2, 4 en 3 bij dit verslag gevoegd.

- advies. Dat straft patiënten.
- 75 Een vorig lid meent een oplossing in te kunnen bouwen in het advies van de commissie. Het andere lid reageert hierop dat een oplossing in het systeem gezocht moet worden. Het is belangrijk dat het geneesmiddel beschikbaar blijft, ook voor kinderen. Het is belangrijk dat patiënten niet vier jaar in onzekerheid blijven.
- 80 Een volgend lid onderschrijft wat tot nu toe is gezegd. Hij vindt dat het middel niet op de normale manier zou moeten worden bekostigd. Maar het is belangrijk het goed te onderzoeken, dus daarvoor moet het wel worden vergoed. De patiënt moet niet de dupe worden, maar dat mag ook niet betekenen dat de samenleving het probleem opvangt.
- 85 Een volgend lid vraagt of het inderdaad vier jaar duurt om een antwoord te krijgen. Misschien kan er eerder een interim analyse plaatsvinden? Terwijl kan een financieel arrangement worden ingezet. Het lid vraagt welke stok er achter de deur moet zijn.
- 90 Een vorig lid benadrukt het belang van onafhankelijk onderzoek; dat moet niet zo maar aan de fabrikant worden over gelaten.

De voorzitter komt tot een eerste samenvatting van de discussie. Er is groot respect voor de sprekers. Het advies bevat drie elementen:

- Over de levenslange behandeling is er geen positief advies;
- 95 • Onafhankelijk onderzoek moet mogelijk worden gemaakt; hier is waardering voor en dit kan als voorbeeld worden gesteld. Bovendien is er een goede mogelijkheid dat de kosteneffectiviteit aanzienlijk verbetert;
- Het is belangrijk het gedrag van de fabrikant niet te belonen.

De voorzitter vraagt vervolgens naar de randvoorwaarden. Hoe geeft je een signaal af naar de fabrikant in combinatie met de eerste twee punten?

100

Een vorig lid vindt dat de commissie zich niet moet blindstaren op de scenario's. Hij denkt aan een combinatie van het eerste en derde scenario. Zoals het er nu uit ziet, doet de fabrikant niet mee. Hij stelt dat in dat geval de fabrikant een lagere prijs krijgt wanneer hij vergoeding vraagt voor een nieuwe indicatie en dat ook de prijs van het middel bij de eerdere indicaties omlaag gaat.

105

Een vorig lid ziet geen verschil met wat eerder is gezegd. Dat is een kwestie van formuleren. Een lid begrijpt het argument van het eerdere lid. De samenleving neemt het risico over. Hij vindt het belangrijk dat de fabrikant wordt gestimuleerd om mee te werken. Wanneer de fabrikant het onderzoek zelf zou doen, is het van belang heel kritisch te zijn. De Nijmeegse groep is dat. Er moet wel op voorhand goed over het design worden gesproken. Een vorig lid vindt dit een soort voorwaardelijke toelating tot het pakket. Het vorige lid vindt dat tijdens de vier jaar onderzoek een financieel arrangement zou moeten gelden. Een ander lid benadrukt nogmaals het belang van onafhankelijk onderzoek.

110

115

De voorzitter komt tot de volgende conclusies:

Het advies vormt een combinatie van de scenario's 1 en 3.

- 120 1. Er is overeenstemming dat het onderzoek naar de kosteneffectiviteit niet aan de eisen voldoet, maar dat die bovendien zeer ongunstig is in geval van levenslange behandeling. Dat zou in principe leiden tot een negatief advies;
- 125 2. De commissie wil echter het onderzoek waaraan wordt gewerkt door patiëntenorganisaties en behandelaars mogelijk maken. Dat onderzoek moet zo onafhankelijk mogelijk plaatsvinden. Het onderzoek is niet alleen

in het belang van deze patiënten, maar kan als voorbeeld dienen hoe men zich kan ontworstelen van de houdgreep van de fabrikant. Bovendien is hiermee zicht op een gunstigere kosteneffectiviteit.

**Zorginstituut Nederland**  
Pakket

**Datum**  
27 oktober 2016

**Onze referentie**  
ACP 63-2

3. Omdat de commissie het ongewenste gedrag niet wil belonen, zou zij de Minister het volgende willen adviseren:

130

- Laat de fabrikant het onderzoek (mee)betalen zodat niet alle kosten uit de basisverzekering worden betaald;
- Zorg voor betrokkenheid van de WAR bij de inrichting en uitvoering van het onderzoek;

135

- Zorg dat zo veel mogelijk patiënten meedoen aan het onderzoek;
- Indien de fabrikant in de toekomst ook voor vergoeding van nieuwe indicaties gaat, zorg dan dat dit consequenties heeft voor de prijs, ook met terugwerkende kracht voor alle voorafgaande indicaties. De groep patiënten waarmee de kosten van het middel moeten worden terugverdiend wordt dan immers groter waardoor een prijsdaling mogelijk is.

140

Een lid vraagt of dit betekent dat alleen patiënten die meedoen aan het onderzoek, het middel krijgen vergoed. Andere leden bevestigen dit. Er bestaat niet de indruk dat dit een probleem zal zijn, getuige de voordrachten van de insprekers.

145

Een ander lid zou het expertisecentrum nog willen oproepen om hun resultaten ook in andere landen bekend te maken. De voorzitter stelt voor hierover een laatste punt toe te voegen, namelijk om de Minister op te roepen te zorgen dat er transparantie komt over de prijs, ook in andere landen. Alleen door goede samenwerking met andere landen kunnen dit soort middelen beschikbaar blijven voor patiënten. Hiermee sluit de voorzitter de discussie en schorst de vergadering voor een kort moment.

150

#### 155 **4 Pakketadvies vitaminen, mineralen en paracetamol 1000mg**

De secretaris, die tevens projectleider is van dit advies, geeft een korte introductie. De Minister heeft het Zorginstituut gevraagd of een aantal middelen dat in het GVS zit, wel kan worden aangemerkt als noodzakelijk te verzekeren zorg. Het gaat hierbij in een aantal gevallen over middelen die niet heel duur zijn en waarvan vaak een variant te koop is bij de drogist. De middelen worden over het algemeen preventief ingezet, maar in een aantal gevallen ook als behandeling. Er is geen twijfel of deze middelen effectief en kosteneffectief zijn en ook niet of ze medisch noodzakelijk zijn. De vraag is echter of ze uit collectieve middelen moeten worden vergoed. In mei is het onderwerp verkennend in de ACP besproken (scoping).

160

165

Een eerste lid vindt dat courante geneesmiddelen niet in het pakket thuishoren. Zij vraagt naar de ervaring van het Zorginstituut met het uit het pakket halen van interventies. Zij vindt het vreemd dat in de notitie dezelfde argumenten zowel vóór als tegen handhaving in het pakket worden gebuikt. Verder merkt zij op dat mensen met chronische ziekten vaak te maken hebben met stapeling van kosten. Tot slot zou zij het zorgelijk vinden wanneer uitsluiting zou leiden tot het voorschrijven van duurdere middelen.

170

Een volgend lid is het ermee eens dat dit soort middelen niet zou moeten worden vergoed, maar hij is onzeker over de substitutie effecten. Een volgend lid vindt dat het voorschrijven van zwaardere middelen risico's voor de patiënt met zich mee kan brengen. Niet alle oudere patiënten zijn kwetsbaar. Over het algemeen kunnen zij best eigen verantwoordelijkheid en regie hebben.

175

- 180 Een volgend lid vindt dat deze middelen niet in het pakket horen. Doorgaans dient een verzekering voor dingen die heel duur zijn en weinig voorkomen. De zorgverzekering is een iets andere verzekering. Hier gaat het echter om dingen die vaak voorkomen en niet duur zijn. Daar moet de patiënt een eigen verantwoordelijkheid voor voelen. Het is niet goed om dingen erin te laten omdat een subpopulatie daar last van heeft. Er zijn manieren om deze doelgroepen te compenseren. Dat is vooral een politieke discussie.
- 185 Het vorige lid is het hiermee eens. Hij vraagt wel de aandacht voor specifieke preparaten. Het kind moet niet met het badwater worden weggegooid. Een volgend lid gaat in op het bijzondere van de zorgverzekering, namelijk dat zij dient om gelijke toegang te waarborgen tot noodzakelijke zorg. Hiermee worden mensen "aan de onderkant" beschermd. Een lid reageert dat dit al via de
- 190 zorgtoeslag gebeurt en via het inkomensafhankelijke deel van de zorgpremie. Een ander lid brengt de mogelijkheid van substitutie te sprake. Zij vindt dat patiënten en zorgverleners een gezamenlijke verantwoordelijkheid hebben en vraagt dat in het advies te benadrukken en te monitoren.
- 195 De voorzitter formuleert een conclusie:
- Middelen die kunnen worden gezien als zelfzorg, horen niet in het pakket;
  - Er moet echter wel goed gekeken worden welke middelen dan worden uitgesloten; we moeten niet het kind met het badwater weggoien;
  - Inkomenseffecten moeten elders worden gecompenseerd;
- 200 - Het risico op substitutie wordt als oneigenlijk gezien. Het is van belang partijen daarop aan te spreken en te volgen of dit niet gebeurt.

## 5 Uitvoeringstoets meerzorg en ADL assistentie

- 205 Een medewerker van het Zorginstituut geeft een korte toelichting bij het onderwerp. Het gaat hier om een groep van ongeveer 200 personen die voorheen zorg kreeg uit de AWBZ. De doelgroep voldoet echter grotendeels niet aan de criteria voor de Wlz; bovendien is een combinatie van Wlz zorg en ADL assistentie uitgesloten. Op dit moment is er nog een overgangsregeling waarvan een deel van de mensen gebruik maakt. De rest van de groep krijgt de zorg uit de Zvw en
- 210 WMO geleverd. De vraag is of er ook voor de toekomst een uitzonderingspositie is gerechtvaardigd.

- 215 De voorzitter geeft eerst het woord aan de heer Nagelsmith van Cliëntenraad Fokus om in te spreken.<sup>3</sup> De commissie heeft geen vragen aan hem. Een lid heeft wel een vraag aan het Zorginstituut. Tussen het verhaal van het Zorginstituut en van de inspreker zit spanning, klopt dat? De medewerker geeft aan dat dit inderdaad het geval is. Op zich is het geen probleem om deze zorg uit de Zvw en WMO te leveren. De Zvw heeft de mogelijkheid van een PGB, maar dit gaat niet altijd goed. Dat is vooral een uitvoeringsprobleem. Een lid vraagt of het één
- 220 duurder is dan het ander. De medewerker antwoordt dat dit niet zo is. Het is geen financiële vraag, maar een principiële.
- Een volgend lid geeft aan dat de regeling tot 2019 loopt. Het is belangrijk deze tijd te gebruiken om de knelpunten op te lossen, zodat de discussie er dan niet meer is. Niemand wordt gelukkig van het maken van een uitzondering.
- 225 Een volgend lid vindt dat het betoog van de inspreker de zaak heeft verhelderd. Het is belangrijk dat de cliënt de regie krijgt. Hij is niet voor het maken van een uitzondering omdat het gaat om uitvoeringsproblemen. Wanneer die niet opgelost

<sup>3</sup> De inspraaktekst van de heer Nagelsmith gaat hierbij als bijlage 5

kunnen worden, zou dat volgens dit lid het failliet van de hervorming van de langdurige zorg betekenen.

230 Een volgend lid vindt het belangrijk dat cliënten niet de dupe worden van getouwtrek. Zo lang de situatie niet is zoals die zou moeten zijn, zou je dit in de Wlz moeten regelen.

De voorzitter komt tot de volgende conclusie:

- 235
- Er is geen principiële reden om een uitzonderingspositie te creëren;
  - Maar het is wel duidelijk dat er uitvoeringsproblemen zijn; die moeten worden opgelost door partijen;
  - Wanneer dat niet lukt voor 2019 is verlenging van de subsidieregeling te overwegen.

240

Een lid voegt toe dat direct betrokkenen hierover met elkaar aan tafel moeten gaan. Er moet niet allerlei onderzoek worden gedaan, maar er moet worden gezocht naar concrete oplossingen waarover controleerbare afspraken worden gemaakt.

245

## **6 Uitvoeringstoets extramurale zorg**

Een medewerker geeft een korte toelichting. Hij ziet deze uitvoeringstoets als het sluitstuk van de hervorming van de langdurige zorg. In het rapport is beschreven op welke wijze de extramurale zorg in de Zvw zou passen. Om een goed beeld te krijgen om wat voor een soort zorg aan welke doelgroepen het hier gaat, heeft het Zorginstituut onderzoek laten doen door onderzoeksbureau Tangram. Het gaat vooral om zorg aan mensen met een verstandelijke beperking, aan ouderen en aan mensen met progressieve ziektebeelden. Het doel van deze zorg is doorgaans gericht op ondersteuning, participatie en coping.

255

Een lid opent de discussie door aan te geven dat hij het rapport met veel plezier heeft gelezen. Het kan geplaatst worden in de ontwikkelingen waarbij instituties worden afgebouwd. Hij had na lezing wel de zorg of nu standaard bij iedere oudere een medebehandelaar komt. Dat kan niet de bedoeling zijn. Je zou hier vooral voordeel uit halen bij mensen met complexe multimorbiditeit.

260

Een volgend lid zegt het systeem nog niet helemaal te begrijpen. Wat betekent dit voor de patiënt? Bijvoorbeeld dat de huisarts meer in verband komt te staan met de Arts voor verstandelijk gehandicapten (AVG)?

265

Een volgend lid vraagt wat het uitmaakt dat zorg wordt verleend door de specialist ouderzorg. Wanneer je recht hebt op specialistische zorg, krijg je dat dan ook?

Een volgend lid sluit daarbij aan. De specialist ouderengeneeskunde is een huisarts. AVG is een speciale opleiding.

270

Een volgend lid wijst op het gevaar van meer specialisatie. Dan moet erg op verbinding worden gelet. Bovendien moet worden geanticipeerd op de capaciteit; veel opleidingen worden gekort. Het zou goed zijn het capaciteitsorgaan hierbij te betrekken. Bovendien vereist dit specifieke skills en competenties zoals bewustwording van het belang van doelmatigheid en gedeelde besluitvorming. Daar moet ook in worden opgeleid.

275

Een ander lid merkt op dat deze doelgroepen te maken hebben met meerdere instanties en aanbieders. Mensen moeten niet van het kastje naar de muur worden gestuurd. Voor eenvoudige problemen volstaat de wijkverpleging en bij complexe problematiek is een ouderengeneeskundige aangewezen.

280 Een medewerker reageert op de vragen en opmerkingen van de commissie.  
Natuurlijk is het van belang dat er een centrale spil is en dat er duidelijke  
285 onderlinge afspraken worden gemaakt. Het is belangrijk dat er een complex  
zorgprogramma is waar een kop en een staart aan zit, met een regiebehandelaar.  
Cliënten moeten tijdelijk naar een expertisecentrum kunnen gaan en weer terug.  
290 Dat moet een fluïde overgang zijn zonder problemen. "Les is more", is het  
uitgangspunt. Het is belangrijk om het simpel te houden. Er zijn veel projecten op  
dit gebied. Dit kan leiden tot minder belasting van de SEH, minder 112 oproepen  
etc. Nu hebben veel patiënten nog een Wlz indicatie, maar in de toekomst zal dat  
niet zo zijn en wordt de zorg volledig uit de Zvw geleverd. De verwachting is dat  
de AVG in de toekomst binnen de Zvw tot wasdom zal komen. Ten aanzien van de  
opmerking over de capaciteit zegt de medewerker geen signalen te hebben  
gekregen dat dit een probleem zou zijn.

295 Een lid ziet nog een dilemma. De term geneeskundig specialist wekt een  
verkeerde suggestie. Dit is namelijk geen medisch specialist. Hij werkt in hoge  
mate generalistisch. Zou je daar geen andere term voor moeten bedenken.  
De medewerker antwoordt dat er inderdaad overlap is met wat huisartsen doen.  
Het gaat hier om nieuwe professionals in de Zvw. Het is de bedoeling dat de  
300 regiebehandelaar tijdelijk de verantwoordelijkheid overneemt en deze dan weer  
teruglegt. Het is de verantwoordelijkheid van de zorgverzekeraar welke zorg hij  
inkoopt.

Een lid heeft nergens in het rapport de term ketenzorg gezien. Wat is de functie  
daarvan in dit verhaal? Zij vindt verder dat Verenso een punt heeft in zijn reactie  
305 dat de specialist ouderengeneeskunde geen zorg biedt zoals huisartsen plegen te  
bieden, al is dit punt in het rapport wel opgevangen. Zij vindt het van belang dat  
de beschrijving van het werk zorgvuldig is.

Een vorig lid is juist blij dat hij de term ketenzorg niet is tegen gekomen. De  
medewerker reageert dat hier eerder gesproken moet worden van netwerkzorg,  
waarbij gespecialiseerde zorg wordt ingevlogen wanneer dat nodig is.  
310 Tot slot is er nog een vraag of alle vragen van de Minister, ook over de kosten,  
zijn beantwoord. De medewerker geeft aan dat er een speciale bijlage is over de  
kosten. Dit is daarom niet apart opgenomen in de samenvatting.

315 De voorzitter geeft aan dat er verder geen advies zal worden geformuleerd naar  
aanleiding van de bespreking van dit onderwerp. Hij ziet dit meer als een  
gedachtewisseling. Hiermee sluit hij de bespreking van dit onderwerp af.

## **7 Rondvraag en sluiting**


320 Er zijn geen opmerkingen; de voorzitter sluit de vergadering.

**Bijlage 1 bij verslag openbare vergadering ACP d.d. 14 oktober  
presentatie inleiding agendapunt 3: Pakketadvies eculizumab**

**Zorginstituut Nederland**  
Pakket

**Datum**  
27 oktober 2016

**Onze referentie**  
ACP 63-2




Zorginstituut Nederland

**Eculizumab (Soliris®)  
bij aHUS**

Martin van der Graaff  
Angèl Link  
Joost Enzing  
Pauline Pasman

ACP 14 oktober 2016



| Van goede zorg verzekerd |

## Stand van zaken eculizumab PNH

- April 2016 besproken in de ACP:
  - *Farmaco-economische rapportage fabrikant onvoldoende. Zeer hoge prijsstelling. % waarmee prijs zou moeten dalen om onder referentiewaarde € 80.000 te komen, niet te berekenen.*
  - *Mocht rapportage beter worden, zodat onderhandeling mogelijk wordt, acht ACP transparantie in de prijsstelling noodzakelijk. Daarom kan de commissie niet anders dan tot een negatief advies komen.*
- Advies Zorginstituut aan minister:
  - *Niet langer vergoeden, tenzij inzicht in de kosteneffectiviteit, en - in geval van een ongunstige kosteneffectiviteit - transparantie in de prijsopbouw tot een andere conclusie leidt.*
- Reactie VWS
  - Alexion krijgt vier maanden de tijd om aangepast model in te leveren





## Atypisch Hemolytisch Uremisch Syndroom (aHUS)

Oorzaak atypische HUS: ontregeling van het complementsysteem.

### Kenmerken aHUS

- Versnelde afbraak van bloedcellen
- Tekort aan bloedplaatjes
- Kans op acuut nierfalen, door stolsels/kleine bloedpropjes in de bloedvaatjes van de nier
  
- Kan op elke leeftijd voorkomen, elk moment van het jaar
- Jaarlijkse incidentie: ~3-5 kinderen en 10-15 volwassenen
- Uitlokkende factoren
  - Infecties, medicatie, zwangerschap, hoge bloeddruk,...
- De ernst van de aandoening hangt af van het type mutatie

3



## aHUS (2)

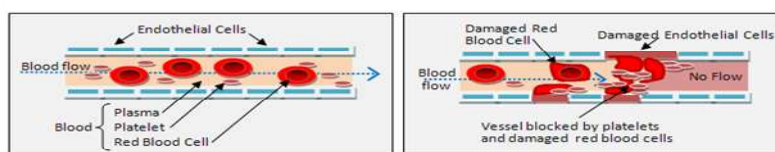


Figure 1: Diagram of a healthy capillary

Figure 2: Diagram of a capillary damaged by TMA

- Abnormale werking van complementsysteem
- Daardoor ontstaat schade aan endotheelcellen
- Bloedplaatjes en andere bloedcellen doen poging de schade te herstellen door trombus te vormen
- Door trombus wordt bloeddoorstroming in kleinere bloedvaten (vooral nier) verhinderd (met als gevolg nierfalen).
- Hierdoor gaan rode bloedcellen kapot en daalt het aantal rode bloedcellen (bloedarmoede) en het aantal bloedplaatjes.

4



## aHUS (3)

- Meest voorkomende **complicaties**:
  - bloedarmoede,
  - vermoeidheid,
  - nierfalen
- **Prognose** afhankelijk van mutatie: uiteenlopend van minder ernstig tot zeer ernstig.
- Kans op **overlijden** (ondanks plasmatherapie) in het eerste jaar is volgens beroepsgroep 10-20%
- Kans op **eindstadium nierfalen** (ondanks plasmatherapie) in het eerste jaar 46%
- Kans op **herhaling** aHUS volgens beroepsgroep 25% (range in literatuur 1–90%). Moeilijk te voorspellen bij wie recidief zal optreden.
- Hoge **ziektelast**: 0,71-1,00
- Schatting aantal patiënten met aHUS in Nederland is 100.

5



## Standaardbehandeling

- Voorheen standaardbehandeling:

Complicatie	Behandeling
Trombose	Plasmatherapie
Eindstadium nierfalen	Nierdialyse
Ernstige bloedarmoede	Bloedtransfusie
Hoge bloeddruk	Bloeddrukverlagende medicijnen



- Niertransplantaties leiden in veel gevallen ook weer tot aHUS in nieuwe nier
- Tegenwoordig standaardbehandeling: eculizumab
- Er worden op dit moment ongeveer 30 patiënten behandeld.

6



## Werkt het? Ja het werkt:

Effectiviteit plasmatherapie-resistente aHUS-patiënten

- Na 72 weken niemand overleden (n=13)
- Aantal interventies per dag (plasmatherapie en/of dialyse) daalde van 0.88 naar 0 (FU ongeveer 2 jaar).
- Nierfunctie verbeterde sterk:
  - 4 van de 5 nierdialyse-afhankelijke patiënten konden stoppen met dialyse.
  - Nierfunctie uitgedrukt in eGFR (normaal 100) verbeterde met 37 ml/min/1.73m<sup>2</sup>)
  - 12 van de 17 patiënten lieten ten minste een verbetering van 1 stadium zien op de Chronic Kidney Disease.
- Kwaliteit van leven verbeterde met 0.30 punten ( $\Delta 0.06$  is klinisch relevant) (follow-up 64 weken)

7



## Werkt het? Ja, het werkt (2)

- Nauwelijks bijwerkingen
- We vinden de resultaten overtuigend en de effecten groot genoeg om een positief oordeel te kunnen geven over de effectiviteit, ook al is het bewijs methodologisch gezien beperkt (één niet-vergelijkende studie van 17 proefpersonen)
- Effecten bij plasmatherapie-sensitieve patiënten zijn kleiner doordat deze groep aHUS-patiënten positief reageert op plasmatherapie en hierdoor het ziektebeeld grotendeels onder controle was.

8



## Levenslange of kortdurende behandeling?

- **Toelating tot de markt (SmPC)**
  - Levenslang gebruik (onderhoudsbehandeling elke 2 weken)
  - Kans op ernstige TMA na stopzetten van eculizumab
  - Alleen stoppen indien klinisch verantwoord op individuele basis
- **Nederlandse richtlijn**
  - Drie maanden behandelen, daarna stoppen (vanaf 6 jaar, <6 jaar afbouwen)
  - In geval van recidief onderhoudsbehandeling elke 2 weken (beroepsgroep heeft aangegeven ook te willen stoppen of intensiteit onderhoudsbehandeling verlagen)
  - Eerste resultaten (mediane FU 2 jaar, n=16)(niet gepubliceerd):
    - > In 15 van de 16 nierfunctie verbeterd en TMA remissie behaald
    - > Succesvol stoppen in 8 patiënten
    - > Intensiteit onderhoudsbehandeling verlaagd bij 6 patiënten
    - > Twee patiënten hebben een recidief, maar geen bewijs van permanente nierschade

9



## Conclusie volume en kosten

- |  |   |
|--|---|
| ■ Huidig aantal behandelde patiënten         | : ongeveer 30   |
| ■ Verwacht aantal patiënten in 2017          | : +/-35-50  |
| ■ Gemiddelde behandelduur                    | : <b>SmPC: levenslang</b><br><b>Ned. richtlijn: 3 mnd</b> |
| ■ Kosten/patiënt/jaar (levenlang)            | : € 478.400   |
| ■ Totale kosten alle aHUS patiënten in 2017: |   |
| ■ <b>Nederlandse richtlijn</b>               | : € 8 miljoen   |
| ■ <b>Levenslang</b>                          | : € 19 miljoen  |
| ■ Totale kosten alle aHUS patiënten in 2019: |   |
| ■ <b>Nederlandse richtlijn</b>               | : € 12 miljoen  |
| ■ <b>Levenslang</b>                          | : € 34 miljoen  |

10



## Kosteneffectiviteit

- **Model Alexion methodologisch onvoldoende onderbouwd: Alexion komt uit op €360.000 per QALY**
- Alexion was niet bereid om een scenario op te nemen in het model waarbij behandeld werd conform de Nederlandse richtlijn.

### Conclusie Zorginstituut

- Bij levenslange behandeling is deze schatting niet realistisch
- Op basis van onvoldoende model van Alexion hebben we geen eigen analyse kunnen maken van de kosteneffectiviteit conform de Nederlandse richtlijn.

11



## Kosteneffectiviteit

- Bij een ziektelast van 0,71-1.00 hanteert het Zorginstituut een referentiewaarde van € 80.000 / QALY
- De kans dat eculizumab kosteneffectief is bij deze referentiewaarde is 0% (levenslange behandeling) en ??% (Ned. richtlijn)
- Omdat we geen realistische schatting van de kosteneffectiviteit kunnen geven kunnen we ook niet aangeven welke prijsreducties noodzakelijk is om in de buurt te komen van de referentiewaarde van € 80.000 / QALY

12



## Vergelijking met andere ICER's

Geneesmiddel	Ziekte last	Kosten/ QALY	Kans kosten- effectief	Budgetim- pact (milj)	Kosten per patiënt
Nivolumab (longkanker)	0.7-0.9	134.000	3%	46-203	46.000
Pertuzumab (borstkanker)	0.86	148.824	2%	39.5	78.510
Alglucosidase alfa (Pompe klassiek)	0.90	300.000- 900.000		44	700.000
Agalsidase alfa en beta (Fabry)	0.35-0.67	3,3 miljoen		15	195.000
Alglucosidase alfa (Pompe niet-klassiek)	0.28-0.52	15 miljoen		44	400.000
Eculizumab (PNH)	0.77	390.000??? ondergrens	0%	25	360.000
<b>Eculizumab (aHUS) levenslang</b>	<b>0.71-1.0</b>	<b>360.000??? ondergrens</b>	<b>0%</b>	<b>19-34</b>	<b>480.000</b>
<b>Eculizumab (aHUS) Ned. richtlijn</b>	<b>0.71-1.0</b>	<b>???</b>	<b>???</b>	<b>8-12</b>	<b>128.800- 165.600</b>

13



## Reactie partijen (appraisal aspecten) (1)

- **Patiënten:**
  - Onvrede met procedure, dossier fabrikant ten onrechte door ZIN als uitgangspunt genomen
  - Patiënten mogen niet de dupe worden van het feit dat fabrikant in gebreke blijft.
  - CUREiHUS: 4-jarig Zon/Mw onderzoek naar (kosten)effectiviteit eculizumab behandeling conform Ned. richtlijn. Verzoek om expertisecentrum dit te laten onderzoeken.
- **NVK/Expertisecentrum**
  - Manuscript 16 patiënten behandeld conform Ned. richtlijn, waarvan 11 gestopt en na 2 jaar 2 recidieven. Bij vijf patiënten kon niet worden gestopt maar is frequentie van de onderhoudsbehandeling (normaal gesproken elke 2 weken) verlaagd (1 x per 8-12 weken).
  - CUREiHUS: 4-jarig Zon/Mw onderzoek naar (kosten)effectiviteit eculizumab behandeling conform Ned. richtlijn. Verzoek om expertisecentrum dit te laten onderzoeken.
  - Patiënten mogen niet de dupe worden van het feit dat fabrikant in gebreke blijft.

14



## Reactie partijen (appraisal aspecten) (2)

- **Alexion:**
  - Het berekenen van ICERs bij ultra-weesgeneesmiddelen leidt door het kleine aantal gegevens al snel tot negatieve oordelen en benadeelt daardoor patiënten met zeldzame aandoeningen
  - ZIN zou om die reden bij weesgeneesmiddelen niet de gebruikelijke FE-referentiewaarden moeten hanteren
  - Stoppen met behandeling zoals de beroepsgroep nu exploreert is niet toegestaan, want niet in overeenstemming met SmPC

15



## Vergoeding eculizumab aHUS in andere (EU-)landen

- Landen die vergoeden zijn (allen levenslange behandeling):
  - Duitsland (nooit beoordeeld)
  - Finland (nooit beoordeeld)
  - Oostenrijk
  - Italië
  - Engeland
  - Frankrijk
  - België
  - Slovenië en Zwitserland (op individuele basis)
  - Australië (twijfels continue behandeling)
  - Canada (Ontario)
- In Schotland is vergoeding niet aanbevolen (grotendeels op grond van kosten)
- In Portugal ligt eculizumab ter beoordeling voor (ondertussen op individuele basis vergoed).
- Nationale aanbeveling Zweden is om niet te vergoeden, maar elke county council beslist zelf

16



## Mogelijke scenario's

- **Nader onderzoek:** Er zijn voldoende argumenten om het expertisecentrum de komende vier jaar de tijd te geven om ervaring op te doen met behandeling conform de Nederlandse richtlijn en de kosteneffectiviteit hiervan te onderbouwen (CUREiHUS). Dit advies kan gekoppeld worden aan een financieel arrangement.
- **Positief advies:** Er zijn voldoende argumenten (bijvoorbeeld de zeldzaamheid van de aandoening of de ernst van de aandoening) om de onvoldoende onderbouwde, en daardoor onzekere en mogelijk zeer ongunstige kosteneffectiviteit te accepteren. Het advies luidt, eculizumab bij aHUS-patiënten kan opgenomen blijven in de basisverzekering met/zonder vereiste van een financieel arrangement met een aanzienlijke prijsreductie.
- **Negatief advies:** De kosteneffectiviteit is van onvoldoende methodologische kwaliteit. Er zijn geen doorslaggevende argumenten om deze onzekere en mogelijk zeer ongunstige kosteneffectiviteit te accepteren. Advies luidt: geen verzekerde zorg.



**Bijlage 2 bij verslag openbare vergadering ACP d.d. 14 oktober  
inspraaktekst de heer Altena NVD agendapunt 3: Pakketadvies  
eculizumab**

**Zorginstituut Nederland**  
Pakket

**Datum**  
27 oktober 2016

**Onze referentie**  
ACP 63-2

360

Mijn naam is Wim Altena , ik ben aHus patient en ik heb nog nooit Eculizumab gebruikt! Mijn ziektegeschiedenis in het kort: Mijn moeder en haar zus zijn jong gestorven aan de gevolgen van een nierziekte. Achteraf is hier de diagnose aHus aan te koppelen.

365

In 2006 stoppen mijn nieren met werken en ben ik dialyse patiënt, in 2008 ontvang ik een nier van mijn broer die in 2009 stopt ondanks een plasmaferese behandeling. Onderzoek wijst uit dat ik een erfelijke genetische afwijking heb die tot atyp Hus leidt. Dit alles gebeurd voordat Eculizumab op de markt komt.

370

Dankzij het beschikbaar komen durf ik in 2013 een nieuwe transplantatie aan. Dat gebeurd onder het protocol Wetzels in Nijmegen. Ik krijg geen Eculizumab maar wel de toezegging dat ik het bij een terugval wel ga krijgen. Deze aanpak brengt uiteraard de nodige onzekerheid met zich mee.

375

In 2014 word ik gevraagd deel te nemen aan de kennisgroep aHus van de NVN. Dat brengt mij in gesprek met een Engelse lotgenote. Zelfde ziekte maar ander behandelprotocol. Zij krijgt voor, tijdens en na haar transplantatie Eculizumab volgens het door Alexion voorgeschreven protocol en dosering. Bij mij ontstaat dan twijfel en ik besluit op onderzoek uit te gaan. Ik doe dat samen met Marjolein Storm van de NVN. Volgens de beeldspraak van het Zorginstituut stap ik uit het platteland en begin hun toren te beklimmen.

380

Gesprekken met Alexion, van Benelux directeur Jan Ruiters tot boardmember Heidi Wagner. We stellen steeds dezelfde vragen: Waarom moet ik jullie dosering gebruiken en waarom is het zo duur? Onduidelijke verhalen, ook van hun medisch specialist. Veel verder dan: "Het is een chronische ziekte dus je moet het levenslang gebruiken " en "Het staat op de bijsluiter " komt die ook niet.

385

Ook ga ik weer in gesprek met prof.Wetzels, ik vraag hem waarom ik Russisch Roulette met mijn nier moet spelen terwijl men in Engeland voor de zekere aanpak kiest.

390

Eculizumab is een fantastisch medicijn vertelt hij me, maar je kunt met start en stop criteria werken. Hij is met collega's bezig met een onderzoek om dat te onderbouwen . Jij krijgt het wanneer je het echt nodig hebt verzekert hij me nogmaals.

395

Ons onderzoek levert ook op dat we in het buitenland de lange arm van Alexion zien. Zowel artsen als patiënten die kritiekloos de Alexion aanpak promoten en daar soms actie voor voeren. Patientverenigingen die niet pleitten voor een onafhankelijk registratiesysteem, maar het prima vinden dat dit bij de farmaceut wordt ondergebracht.

400

Dan ziet de Nederlandse aanpak er toch anders uit: Artsen en patiënten die samenwerken en onafhankelijk van de farmaceut op zoek gaan naar de juiste en meest kosteneffectieve behandelwijze. Een onderzoek vanuit het expertisecentrum gesteund door ZON MW. Zorgverzekeraars die nieuwsgierig zijn en bijdragen. Met elkaar hebben we de aandacht en interesse van de Wetenschappelijke Advies Raad weten te wekken.

405

En nu staan we hier .....!

Inmiddels is bij mijn twee oudste kinderen ook de genetische afwijking aangetroffen, de twee jongsten zijn nog niet getest.

Toch pleit ik niet voor toelating van de dure Alexion behandelwijze. Ik geloof in de duurzame en gedegen aanpak van het expertisecentrum. Uiteraard hoort daar voor mij wel wetenschappelijk onderzoek bij.

410 Ik vertelde u al dat ik het nog steeds zonder Eculizumab doe. Desgevraagd meldde mijn zorgverzekeraar mij dat mijn laatste volledige dialysejaar een ton had gekost. Mijn eerste jaar zonder dialyse kostte 4000 euro!

**Zorginstituut Nederland**  
Pakket

**Datum**  
27 oktober 2016

415 Ik hoorde Dhr Moerkamp aan de vaste kamercommissie uitleggen dat het Zorginstituut niet alleen streeft naar "de goede dingen doen" maar ook naar "de dingen goed doen". Dat zal leiden van verspilling naar kwaliteit. Ik had de intentie van de door ons voorgestelde werkwijze niet mooier kunnen samenvatten.  
Dank u wel!

**Onze referentie**  
ACP 63-2

420

**Bijlage 3 bij verslag openbare vergadering ACP d.d. 14 oktober presentatie en tekst de heer Wetzels Radboud UMC agendapunt 3: Pakketadvies eculizumab**

425

**Zorginstituut Nederland**  
Pakket

**Datum**  
27 oktober 2016

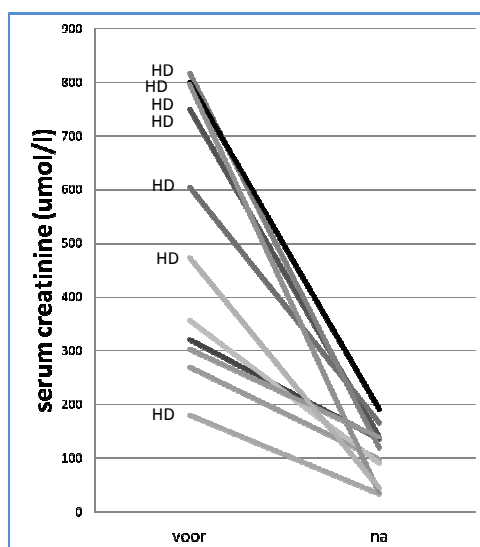
**Onze referentie**  
ACP 63-2

## Behandeling is effectief, het effect is groot

3 kinderen

8 volwassenen  
(leeftijd 33 jaar)

Zonder behandeling  
Levenslang dialyse



# Transplantatie met nieren van levende donoren: de behandeling is kosten-effectief

Nephrol Dial Transplant (2016) 0: 1–8  
doi: 10.1093/ndt/gfw353



Zorginstituut Nederland  
Pakket

Datum  
27 oktober 2016

Onze referentie  
ACP 63-2

Original Article

## Cost-effectiveness of eculizumab treatment after kidney transplantation in patients with atypical haemolytic uraemic syndrome

Q1, Q2, and Q3: no change

Q1 Jan A.J.G. van den Brand<sup>1</sup>, Jacobien C. Verhave<sup>1</sup>, Eddy M. Adang<sup>2</sup> and Jack F.M. Wetzels<sup>1</sup>

Q2 <sup>1</sup>Department of Nephrology, Radboud Institute for Health Sciences, Radboud University Medical Center, PO BOX 9101, 6500 HB Nijmegen,

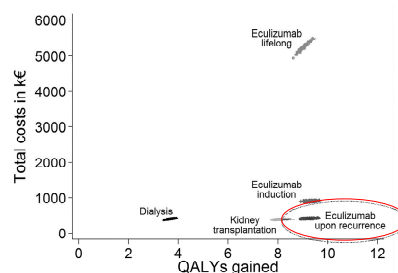
Q3 The Netherlands and <sup>2</sup>Department for Health Evidence, Radboud Institute for Health Sciences, Radboud University Medical Center, Nijmegen, The Netherlands

Correspondence and offprint requests to: Jan A.J.G. van den Brand; E-mail: jan.vandenbrand@radboudumc.nl

430

# Transplantatie met nieren van levende donoren: de behandeling is kosten-effectief

Periode 2011-2016  
N = 13 patienten  
1 met recidief



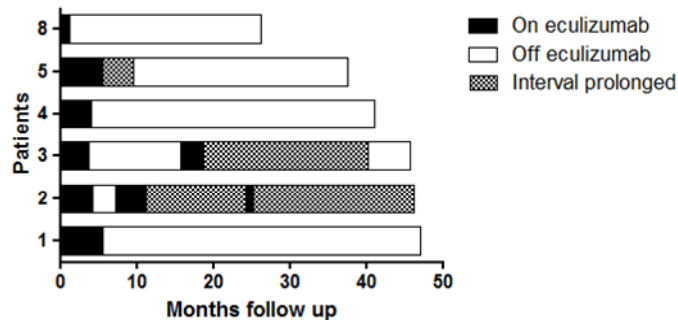
Strategy	Costs (€)	QALYs gained	ICER (Δ€/ΔQALY)
Transplantation w/o eculizumab	402,412	8.34	
Dialysis	406,897	3.73	dominated
Eculizumab upon recurrence	425,097	9.55	<b>18,748</b>
Eculizumab induction	918,347	9.53	dominated
Eculizumab lifelong	5,441,576	9.36	dominated

## Behandeling van aHUS in eigen nier met een restrictief beleid: veilig met minder kosten

Zorginstituut Nederland  
Pakket

Datum  
27 oktober 2016

Onze referentie  
ACP 63-2



Kosten bij continue behandeling: € 9.685.686  
Kosten van onze behandeling: € 1.929.024

Reductie 80%

435

### ***Tekst die de heer Wetzels ongeveer heeft gesproken bij de presentatie***

440 Ik wil graag gebruik maken van de mogelijkheid om namens te behandelaars enkele punten te verduidelijken.

Het farmacotherapeutisch rapport zou de suggestie kunnen wekken dat er onzekerheid is over de grootte van het effect. Wij als behandelaars hebben daarover geen twijfel. Deze dia illustreert onze ervaringen. In de afgelopen 4 jaar behandelden wij in ons centrum 8 volwassen patiënten en 3 kinderen met aHUS die zich presenteerden met ernstig nierfalen. Het betrof jonge patiënten (mediane leeftijd volwassenen 33 jaar), onvoldoende reagerend op plasmatherapie, en 6/11 moesten bij presentatie al behandeld worden met dialyse.

445

Ik heb in de afgelopen 30 jaar veel van degelijke patiënten gezien. Tot 2010 was de prognose ronduit slecht, deze patiënten waren voor de rest van leven aangewezen op nierfunctievervangende therapie. De behandeling met eculizumab heeft geleid tot herstel van nierfunctie.

450

De beschikbaarheid van eculizumab heeft het ook mogelijk gemaakt om weer niertransplantaties te verrichten bij patiënten met een atypisch hemolytisch uremisch syndroom, die vaak langdurig aangewezen zijn op dialyse behandeling.

455

In de afgelopen 4 jaar hebben we niertransplantaties verricht bij patiënten met aHUS. Alle patiënten hebben op dit moment nog een functionerend niertransplantaat. Ter vergelijking: in een eerdere na-onderzoek zagen wij dat ongeveer de helft van de patiënten door een recidief van aHUS de functie van het transplantaat verloor.

460

Het farmaco-economisch rapport concludeert dat behandeling met eculizumab niet kosten effectief is. Deze conclusie is niet moeilijk als je uitgaat van een levenslange behandeling met een medicament dat 500.000 euro per patient per jaar kost. In de samenvatting staat: mocht in de toekomst een farmaco-economisch model beschikbaar komen waarin de ervaringen met een korte

465

behandelingsmethoden zijn meegenomen dan zullen we de conclusie opnieuw bezien. Ons inziens wordt hier voorbijgegaan aan de huidige praktijk en de door ons ingebracht gegevens.

**Zorginstituut Nederland**  
Pakket

**Datum**  
27 oktober 2016

**Onze referentie**  
ACP 63-2

- 470 We transplanteren patiënten met een aHUS zonder gebruik te maken van profylaxe. We hebben een farmaco-ecomische analyse gedaan waarvan de resultaten in een eerder stadium met het Zorginstituut zijn gedeeld. Deze dia geeft een samenvatting van het artikel dat geaccepteerd is voor publicatie door het tijdschrift NDT. Deze tabel geeft een schatting van de kosteneffectiviteit voor de situatie met transplantatie met een levende donornier en laat een acceptabele waarde zien

- 480 Patiënten die door een aHUS nierfalen ontwikkelen van de eigen nier worden door ons niet levenslang behandeld. Deze dia illustreert de behandeling van de 6 volwassen patiënten met aHUS in de eigen nier. Bij de meeste patiënten kon de behandeling worden gestaakt en trad geen recidief op. De kosten van behandeling bedragen 1,8 miljoen Euro, een 75% reductie tov de kosten van standaardbehandeling. Deze data suggereren o.i. dat behandeling kosteneffectief kan zijn. Natuurlijk zijn de voor dit model noodzakelijke data nog slechts in
- 485 beperkte mate aanwezig. We willen dan ook pleiten om toestemming te geven voor gebruik van eculizumab voor de komende 4 jaar, op voorwaarde dat het gebruik plaatsvindt volgens de richtlijn, waarbij de toediening wordt overzien door indicatie commissie, en met de afspraak dat de data die de komende 4 jaar worden verkregen gebruikt worden voor een formele analyse.

490 ***Bijlage 4 bij verslag openbare vergadering ACP d.d. 14 oktober  
inspreektekst mevrouw de Vries Stichting aHUS Nederland bij  
agendapunt 3: Pakketadvies eculizumab***

**Zorginstituut Nederland**  
Pakket

**Datum**  
27 oktober 2016

**Onze referentie**  
ACP 63-2

1

495 Bijdrage Margreet de Vries, Stichting aHUS Nederland  
Adviescommissie Pakket 14 oktober 2016

Geachte leden,

Mijn naam is Margreet de Vries, moeder van Rosa. Rosa heeft aHUS.

500 Ik wil met u een verhaal delen dat gaat over emoties, ervaringen, feiten en  
rechtvaardigheid.

Ik realiseer mij dat u hier niet zit om op basis van onze emoties een advies te  
formuleren.

505 Dat hoeft ook niet. De feiten spreken voor zich. Toch hoop ik dat u het mij niet  
kwalijk neemt dat ik mijn emoties wel met u deel. Ik heb vaak speeches gegeven,  
heb voor veel groepen gestaan, maar dit is de lastigste speech van mijn leven.

Het voelt alsof het leven van onze dochter afhangt van mijn woorden. Want ieder  
woord lijkt onvoldoende, en toch is ieder woord te veel. Het spijt mij dus als ik het  
niet droog kan houden. Ik neem u graag terug naar de nacht van 29 oktober

510 2014. Vanaf die dag was het leventje van Rosa, onze dochter van toen net 1 jaar,  
voor altijd de ongedwongenheid en vanzelfsprekendheid voorbij. Na de diagnose  
aHUS kwamen we in een rollercoaster, die nog altijd voortraast. Het bracht ons  
van diepe wanhoop, naar een klein beetje hoop, naar een redelijk normaal leven  
en weer in diepe wanhoop. Het ene moment in shock door hoe doodziek zij was

515 toen zij werd opgenomen op de Intensive Care van het Sophia Kinderziekenhuis,  
het volgende moment ontzettend opgelucht door een 'wondermedicijn' dat  
blijkbaar nog maar vier jaar geleden beschikbaar was gekomen. We werden heen  
en weer geslingerd van dankbaarheid dat we in een land wonen waar dit soort  
medicijnen beschikbaar zijn en vergoed worden, naar angst dat dit misschien niet

520 voor altijd zo zal zijn. Met Rosa zelf gaat het goed. Ook wij zijn inmiddels  
conform de richtlijn van de landelijke werkgroep aan het afbouwen. Stap voor  
stap een weekje meer. Spannend want een recidive is nooit volledig uit te sluiten.  
Maar voor Rosa alleen maar heel erg fijn. Want hoe minder tijd zij in het  
ziekenhuis moet doorbrengen, hoe fijner en beter dat natuurlijk ook voor haar is.

525 En waarom meer medicatie in haar lichaam laten spuiten dan nodig is? Ons leven  
pakten we dus ook weer op, onze tweede dochter werd geboren – zonder aHUS.

530 En heel af en toe vergaten we weleens dat Rosa ziek was. En dan 18 maart van  
dit jaar. De angst die we voelden leek bewaarheid te worden: een negatief advies  
van uw commissie voor Eculizumab en PNH. Alsof de grond onder je voeten  
wegzakt. Sindsdien spookt iedere dag die vraag door ons hoofd: "wat nu als  
Eculizumab niet meer beschikbaar is."

535 Die vraag komt op de meest onverwachte momenten, bij het ontbijt, bij het  
buiten spelen, bij het voorlezen. En het antwoord daar willen we niet over  
nadenken. Rosa's leven ontvouwt zich nu redelijk normaal. Ik wil in een land  
wonen waarin de overheid haar levenspad volmondig beschermt op die  
onderdelen die voor haar en voor ons te groot, te duur en te ingewikkeld zijn. Een

540 land waarin we vertrouwen uitstralen naar onze eigen professionals. Waarin we in  
grote dankbaarheid medische doorbraken zoals Eculizumab benutten, maar er wel  
onze eigen draai aan durven te geven. Vanuit dit oogpunt is het proces van  
beoordeling tot en met vandaag op veel momenten lastig te begrijpen en soms  
ook frustrerend geweest. Moeilijk te begrijpen, waarom we in Nederland

545 procedures blijven volgen die de fabrikant in het middelpunt stelt en niet de  
patiënt. Tegen alle "patiënt centraal" slogans en - - missies in. En dit terwijl er  
een eigen Nederlandse aanpak is, die dat wel doet, en op en presenteerblaadje  
werd aangereikt. En frustrerend omdat we vaak het gevoel hadden, dat we bij het  
Zorginstituut in het verkeerde bakje terecht waren gekomen. Want hadden we

niet in het bakje innovatie, maatwerk, tegengaan van verspilling moeten komen? In plaats van het bakje van veel te duur medicijn. Met iedere keer dat bedrag van 360.000 euro per jaar dat gewoon niet klopte. Hoe wisten wij dat zo zeker? Door gesprekken met het expertisecentrum en nog beter, door gewoon naar ons zelf te kijken. Wim bespaart 360.000 euro per jaar, Rosa bespaart minstens 200.000 euro per jaar. Deze wetenschap en de eenvoud van het ophalen van deze informatie gaf ons gedurende het gehele proces ook constant hoop. Want ons verhaal is anders. Wij hebben een groep artsen o.l.v. het expertisecentrum zeldzame nierziekten in Nijmegen, die met elkaar en met patiënten een eigen behandelrichtlijn opstelden: goedkoper en patiëntvriendelijker. Tegen de krachtige stem van de fabrikant in. Een fabrikant die zich blijft verschuilen achter een door henzelf aangestuurde Europese behandelrichtlijn. Voor ons is het eenvoudig. Want wat denkt u? Wie zouden wij nu liever de behandeling van onze dochter toevertrouwen? Wiens behandelplan zouden wij nu liever volgen? We zijn dan ook ongelooflijk blij dat deze behandelrichtlijn nu door het Zorginstituut erkend wordt als mogelijk scenario. Ook de brief van het Zorginstituut van 30 september jl. geeft een hele duidelijke opening en was voor ons een steun in de rug. Natuurlijk worden er in uw stukken ook twee andere scenario's genoemd. Maar scenario 1 is zo evident beter voor alle partijen, dat die andere scenario's niet alleen onacceptabel zijn, maar dat het ook echt onbegrijpelijk zou zijn als u hiervoor zou kiezen. Want niet alleen is het voor de artsen en onszelf de beste optie, ook voor de samenleving als geheel. Met een kostenreductie van 75% kunnen we zelfs rond de QALY van 80.000 euro per jaar komen, het prijskaartje dat u hanteert voor een extra jaar kwaliteit van leven. Zonder deze onofficiële grens te erkennen, kan het niet anders dat dit voor uw commissie in ieder geval wel waardevol moet zijn. In discussies over dure medicijnen gaat het vaak tussen twee kampen, de een vindt dat we moeten optreden tegen fabrikanten die de hoofdprijs vragen, desnoods over de rug van patiënten; anderen vinden dat medicijnen die effectief zijn altijd vergoed moeten worden. Zo ook onze minister-president die vorige week vrijdag aangaf dat dit nou eenmaal hoort bij een beschaafd land. Wij vragen u echter vandaag niet voor een van deze twee kampen te kiezen. Ons pleidooi gaat over het uitspreken van vertrouwen in onze inzet, patiënten en behandelaren, om voor de bestrijding van aHUS een evidence based kosteneffectieve aanpak te ontwikkelen. Ons pleidooi gaat ook over erkenning dat wij als patiënten onze nek uitsteken om de aanpak kosteneffectief te kunnen maken. Wij nemen het risico op een recidive voor lief. Waarom? Door de gelijkwaardige manier waarop in ons geval de arts van Rosa, lid van de landelijke werkgroep ons meeneemt in iedere stap die we zetten. We vertrouwen op de behandelaren, die de risico's zo klein mogelijk en beheersbaar maken. Ons land laat zich in mijn ogen met deze aanpak van zijn sterkste kant zien. Dat zeg ik als moeder, als burger en als belastingbetaler. Onafhankelijke denkers, die zich niet blindstaren op een door de fabrikant gestuurde Europese richtlijn en al helemaal niet aan de leiband van die fabrikant lopen. Als u nou een voorbeeld wilt stellen van hoe de zorg van nu en de toekomst eruit moet zien, waar artsen hand in hand met de patiënt op zoek gaan naar de beste behandeling, voor die individuele patiënt. Dan is dit het wel. Welke reden zou er te bedenken zijn om onze aanpak niet te omarmen? Een aanpak die verspilling tegengaat, goedkoper is, ontwikkeld door artsen en patiënten en de wetenschap een stap verder helpt, daar waar Alexion gebleven is. Ik doe daarom nog eenmaal een dringend beroep op uw common sense en dus scenario 1 te omarmen en deze niet weg te schuiven, onder andere omdat een fabrikant zich niet in de kaarten wil laten kijken. Op alle punten valt dat niet uit te leggen, aan niemand niet en zeker niet aan Rosa.

**Zorginstituut Nederland**  
Pakket

**Datum**  
27 oktober 2016

**Onze referentie**  
ACP 63-2



600 ***Bijlage 5 bij verslag openbare vergadering ACP d.d. 14 oktober  
inspreektekst de heer Nagelsmith van de Cliëntgroep Fokus bij  
agendapunt 5: Uitvoeringstoets meerzorg en ADL assistentie***

Zorginstituut Nederland  
Pakket

**Datum**  
27 oktober 2016

**Onze referentie**  
ACP 63-2

605 Inspreektekst cliëntenraad Fokus  
14 oktober Vergaderzaal Kentaurus, Zorginstituut Nederland, Diemen

### **Inleiding**

610 Namens de cliëntenraad Fokus, cliëntenraad van 1400 mensen die wonen in een  
ADL-clusterwoning ga ik in op het onderzoek welke is gehouden door Xpertisezorg  
in opdracht van het Zorginstituut. Specifiek ga ik in op het consultatierapport  
ADL-assistentie en overige zorg. Mijn naam is Edwin Nagelsmith, voorzitter  
cliëntenraad Fokus.

### **Situatieschets**

615 Cliënten die onder de subsidieparagraaf ADL-assistentie in de Wlz vallen hebben  
een indicatie gekregen doordat zij ernstig lichamelijk beperkt zijn en afhankelijk  
van 24uur direct oproepbare assistentie met alarmopvolging binnen 3-5 minuten.  
Door deze regeling kunnen zij in hun aangepaste woning, opstaan wanneer nodig,  
naar het toilet wanneer het zich aandient, verpleegtechnische handelingen  
620 ontvangen en ga zo door. Buiten de woning is de 'aanvullende zorg' een  
onderwerp wat door Xpertisezorg is onderzocht.

### **Onderzoek Xpertisezorg**

625 Zvw-Wmo: niet adequate voorziening  
Zoals de uitvoeringstoets laat zien is vooralsnog een indicatie voor 24-uurs direct  
oproepbare/ beschikbare zorg met alarmopvolging binnen 3-5 minuten uit  
Zvw/Wmo niet te realiseren.  
Die 24-uurs direct oproepbare zorg is ín de ADL-woning beschikbaar, via pgb in de  
Zvw en Wmo niet Dat betekent dat cliënten die voor persoonlijke verzorging,  
630 verpleging of begeleiding buiten de woning op dergelijke zorg zijn aangewezen,  
deze niet kunnen organiseren. Zónder de direct beschikbare zorg kunnen deze  
cliënten niet veilig buiten de woning en niet zelfstandig en maatschappelijk  
functioneren.  
Wlz-financiering, zoals thans in de overgangsregeling geboden, maakt dat wél  
635 mogelijk en zorgt bovendien voor financiering van deze functies uit één bron,  
terwijl financiering uit Zvw/Wmo leidt tot afstemmingsproblemen (immers:  
verzorging en verpleging is het domein van de Zvw, begeleiding is het domein  
van de Wmo). In de dagelijkse praktijk lopen die functies door elkaar. De Wlz  
zorgt voor integrale financiering ervan en vermijdt afstemmings- én  
640 declaratieproblemen.  
De CRF is van mening dat de Wmo/Zvw in onvoldoende mate tegemoet kunnen  
komen aan de zorgvraag van (Fokus)cliënten, aanvullend op de ADL-assistentie.  
Het gaat dan om de beschikbaarheid van zorg buiten de woning (die nu niet  
gefinancierd wordt, er wordt geïndiceerd op handelingen, die veelal kort van duur  
645 zijn, niet op het feit dat die handelingen op afroep moeten gebeuren (binnen een  
korte responstijd, anders levensbedreigend), en/of samenhangen, samenvloeien  
met andere handelingen (verzorging, verpleging en begeleiding door elkaar),  
waarop de wetten niet zijn afgestemd. Daardoor wordt afbreuk gedaan aan de  
eigen regie van cliënt ten opzichte van de huidige situatie. De  
650 declaratiemogelijkheden en verantwoording zijn complex en omslachtig in de wmo  
en Zvw.

655 De conclusie is dat Zvw/Wmo- financiering van 'overige zorg' voor deze cliënten tot het ontbreken van adequate en noodzakelijke zorg leidt, waardoor zij buitenshuis niet kunnen functioneren en hen eigen regie op leven en zorg en zelfredzaamheid ontnomen of onthouden wordt. Dat laatste is in strijd met de doelstellingen van de hervorming langdurige zorg en ondermijnt de eigen regie die de cliënt met het ADL-clusterwonen nu juist kon versterken.

### **Eén loket**

660 Wlz-financiering van 'overige zorg' heeft als groot voordeel dat alle benodigde zorg met één loket, één indicatiesteller (CIZ) en via één administratief systeem (het zorgkantoor) kan worden afgestemd, nodig vanwege het feit dat zorgonderdelen onderling samenhangen, met elkaar uitwisselbaar zijn, in elkaar overlopen en binnen de integrale zorgbehoefte van de cliënt van dag tot dag in  
665 omvang en intensiviteit kan verschillen.

In een jarenlange politieke lobby is duidelijk geworden; ADL-clusterbewoners pasten in geen enkele regelgeving en hebben uiteindelijk een plek gekregen in de Wlz. Zo uniek zijn ADL-clusterbewoners. Ook voor overige zorg buitenshuis past deze doelgroep nergens in. De beperkingen van de Fokuscliënt zijn ernstig en  
670 langdurig. Dit maakt hen kwetsbaar en daarmee past men goed bij de doelstelling van de Wlz.

Concluderend is de CRF van mening dat de ADL-clusterbewoner de op ADL-assistentie aanvullende zorg uit de Wlz gefinancierd dienen te krijgen.