



Expertisegroep Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen

verslag

Zorginstituut Nederland

Zorg
Projectmanagement

Willem Dudokhof 1
1112 ZA Diemen
Postbus 320
1110 AH Diemen
www.zorginstituutnederland.nl
info@zinl.nl

T +31 (0)20 797 85 55

Contactpersoon

mw. K. Cikot
T +31 (0)6 482 204 35

Datum

24 september 2021

Onze referentie

2021035441

Omschrijving	ROR DGM
Vergaderdatum	Woensdag 22 september 2021, 17.00 uur
Vergaderplaats	Webex
Aanwezig	De heer Jos Kosterink (voorzitter, UMCG/NVZA) De heer Wim Goetsch (secretaris, ZIN) De heer Ewoudt van Garde (Santeon/UU) De heer Joep Rijnierse (VIG/Amgen) Mevrouw Mariëtte Driessens (VSOP) Mevrouw Brenda Leenman (IMTA) De heer Valery Lemmens (IKNL) De heer Michel Wouters (DICA/AvL) De heer Gerrit Meijer (Health RI) De heer Peter Mol, (waarnemer, CBG) De heer Jan Hazelzet, (Erasmus MC) De heer Dennis van Veghel, (NHR) De heer Stef Meihuizen, (DHD) De heer Paul Oude Luttighuis, (Le Blanc Advies) Mevrouw Benien Vingerhoed (waarnemer, ZonMw) Mevrouw Lonneke Timmers (waarnemer, ZIN) De heer René Hietkamp (waarnemer, ZIN) Mevrouw Ghislaine Steenberghe (ZN) Mevrouw Marina van den Bosch (waarnemer, VWS)
Bij agendapunt 2	Mevrouw Nicole Wolf Mevrouw Daphne Schoenmakers De heer Sibren van den Berg
Namens ZIN nemen deel	De heer Hans Paalvast Mevrouw Dorien Lobbezoo Mevrouw Tessa van den Beukel De heer Niels Bolding De heer Jasper Oudshoorn Mevrouw Karin Cikot De heer Daan Bardie Mevrouw Angelique Kippersluis
Afwezig	Mevrouw Carla Hollak (AMC) Mevrouw Pauline Evers (NFK) De heer Henk Hutink (Nictiz) Mevrouw Miriam Koopman (UMCU) De heer Kit Roes (Radboud UMC)

Datum
24 september 2021

Onze referentie
2021035441

1 Opening, 17.05

Jos Kosterink opent de vergadering.

1.1 Mededelingen

Jos kondigt Hans Paalvast aan als nieuwe programmamanager. Hans stelt zich voor. Alle leden van de expertisegroep en de andere aanwezigen stellen zich kort voor.

1.2 Conflicterende belangen

Geen conflicterende belangen.

2 Casestudie MLDi (casestudie 3)

2.1 Doel sessie en introductie casestudie (Dorien Lobbezoo)

Dorien geeft een introductie m.b.t. casestudie 3. De casestudie kent een aantal unieke elementen, waarin we vanuit de expertisegroep graag input op halen welke van deze elementen cruciaal zijn voor toekomstige registers voor weesgeneesmiddelen.

De twee nog niet besproken casestudies (CS2 hemofilie en CS4 multipelmyeloom) komen in de volgende bijeenkomsten aanbod. Dorien geeft in het kort aan waar we nu staan in de casestudies. Met de visie van ROR DGM die duidelijker vorm krijgt, kunnen ook de doelen in de casestudies nog worden aangescherpt. Op dit moment hebben we in casestudie 1 en 2 de concept gegevensset voorgelegd aan een grote groep stakeholders en zijn we bezig om bijvoorbeeld PROMs te implementeren. Het daadwerkelijk koppelen van data levert ook weer nieuwe juridische en governance vragen op.

2.2 Introductie metachromatische leukodystrofie (MLD); ziekte, behandeling en register (Nicole Wolf, Amsterdam UMC)

Nicole stelt zichzelf voor en introduceert leukodystrofie centrum en het betrokken team. Vervolgens bespreekt ze metachromatische leukodystrofie (MLD) en de mogelijke behandelingen.

2.3 Discussiepunten (Daphne Schoenmakers, Amsterdam UMC).

Daphne beschrijft een aantal belangrijke elementen van casestudie 3, die later in de subgroepen worden besproken.

- Internationale samenwerking: bij een (zeer) zeldzame ziekte is internationale samenwerking cruciaal. Er wordt samengewerkt met 19 experts, 15 expertisecentra in 9 landen. Het is een uitdaging om dit internationaal te organiseren.
- Aansluiting bij beoordeling van de nieuwe behandeling voor MLD, de genterapie Libmeldy: de komst van Libmeldy dwingt organisaties als Orchard, Beneluxa en het Zorginstituut om samen te werken. MLDi probeert nauw bij de HTA-procedure betrokken te zijn. Het is een uitdaging om dit praktisch uit te voeren. Hoe krijgt de samenwerking vorm, wat is de rol van het register/registerhouder en wat is de verhouding met andere

- partijen zoals Orchard, Beneluxa, Zorginstituut etc.?
- Data/ICT: de grootste uitdaging op dit gebied is de internationale samenwerking. Ideaalbeeld is: de verschillende databronnen koppelen maar dit is moeilijk. MLDi kan fungeren als register en de Europese dataverzameling worden. Vragen met betrekking tot privacy, ontologie, EPD-koppeling en koppeling met andere registraties blijven aanwezig.

Zorginstituut Nederland
Zorg
Projectmanagement

Datum
24 september 2021

Onze referentie
2021035441

2.4 Plenaire discussie (Wim Goettsch)

Subgroep 1 (Dorien Lobbezoo koppelt terug)

- Internationale samenwerking is essentieel. Er moet vooral worden gezocht naar hoe deze samenwerking vorm kan worden gegeven.
- De betrokkenheid van de patiëntenorganisatie is besproken, deze is belangrijk en zij moeten dan ook betrokken zijn.
- Is het kostenefficiënt om dataverzameling te automatiseren of is het makkelijker om handmatig in te voeren? In dit geval, een kleine patiëntenpopulatie, is het misschien wel efficiënter om dit handmatig te doen.
- In het geval van een kleine patiëntenpopulatie is het belangrijk om te weten welke tijdlijnen zijn opgesteld, wanneer er voldoende data is en wanneer je uitspraken kan doen over effectiviteit.

Subgroep 2 (Tessa van den Beukel koppelt terug)

- Belangrijkste conclusie is dat je duidelijk moet maken wat generiek verzameld wordt en hoe dat wordt vastlegt. Generiek waar het kan, specifiek waar het moet. Probeer niet op nieuw het wiel uit te vinden.
- De benoemde data/IT uitdagingen zijn heel universeel en gelden voor veel projecten.

Subgroep 3 (Stef Meihuizen koppelt terug)

- Schaalbaarheid is belangrijk, het kan juist heel relevant zijn om in kleinere populaties te kijken.
- Belangrijk om het leerproces goed te borgen. Waar worden de geleerde lessen vastgelegd en hoe kunnen deze mee worden genomen naar de andere casestudies en aanpalende projecten?

Subgroep 4 (Jan Hazelzet koppelt terug)

- De procedure voor gegevensverzameling is belangrijk, tijdens de casestudie moet gekeken worden hoe deze wordt ingericht.
- Het is belangrijk dat er een gestandaardiseerd internationaal datamodel wordt gebruikt.
- De registratie is actief in veel landen maar het kopiëren naar een Europese database lijkt niet de toekomst. Het federatieve datamodel zou ook kunnen passen. Dit is niet de snelste oplossing maar wel de meest duurzame.
- Het is belangrijk dat iedereen dezelfde data registreert. Om dit te stimuleren is het gebruik van eenzelfde datamodel essentieel.
- Past het federatieve datamodel goed binnen kleinere indicaties omdat daar op patiëntniveau gekeken wordt? Dit kan moeilijkheden opleveren als het federatieve datamodel wordt gebruikt.
- Er wordt benoemd dat daar ook modellen voor zijn, maar dat het

- wel lastiger is.
- Het federatieve model is geen oplossing voor alles. Wanneer je rekenintensieve interacties wil uitvoeren is het belangrijk dat de data fysiek dichtbij elkaar staat, al dan niet met schotten ertussen.

Zorginstituut Nederland
Zorg
Projectmanagement

Datum
24 september 2021

Onze referentie
2021035441

In de plenaire bespreking wordt gesuggereerd dat een Europees IMI project, genaamd H2O, zou kunnen bijdragen aan de samenwerking tussen HTA-organisaties en fabrikanten m.b.t. het verzamelen van data uit patiëntenregistraties.

Daarnaast wordt benoemd dat het voor *regulators*, zoals CBG, belangrijk is dat er vanuit farmacovigilantie perspectief een slag wordt gemaakt op de bijwerkingenregistraties.

Aan MLDi wordt meegegeven dat het interessant kan zijn om met de EBMT-registratie in gesprek te gaan. Er wordt gerefereerd aan een voorbeeld m.b.t. behandeling met CAR T-celtherapie. Vanuit MLDi wordt gereageerd dat hiernaar wordt gekeken maar dat de EBMT-registratie onvoldoende lijkt aan te sluiten.

3 Volgende stappen Regie op Registers Dure Geneesmiddelen.

3.1 Toekomstplannen (Hans Paalvast)

Hans Paalvast bespreek de Marsroute voor ROR DGM a.d.h.v. presentatie (deze wordt nagestuurd). De afgelopen periode was de scope te veel op pakketbeheer gericht en werd te weinig gekeken naar welke andere stakeholders behoefte hebben aan gegevens, en welke data het in totaal betreft. Daarnaast wordt er ook gekeken naar de datakwaliteit, de vulling van registraties en validatie van de data. ROR DGM is ook redelijk geïsoleerd ontwikkeld, terwijl er veel "aanpalende" projecten zijn waar veel raakvlakken mee zijn. Daarom moet er nu ook gekeken worden naar de aanpalende projecten en wordt er meer gezocht naar de regie op de verschillende regieprojecten.

De belangrijkste bijstellingen zijn:

- ROR DGM moet een programma zijn van en voor alle stakeholders.
- Het Zorginstituut is één van de stakeholders met soms specifieke wensen vanuit de rol als pakketbeheerder.
- We kijken naar de aanpalende projecten en mogelijkheden van synergie en samenwerking

Om de huidige situatie nu te duiden is het interoperabiliteitsmodel van Nictiz gebruikt. Dit model heeft vijf lagen, geconcludeerd is dat de laag IT-infrastructuur out-of-scope is. Het is wel belangrijk dat de data uitwisseling geregeld wordt maar dit kan niet vanuit dit project georganiseerd worden. Dit zou bijvoorbeeld bij het informatieberaad Zorg kunnen worden ondergebracht.

De belangrijkste resultaten van de analyse zijn:

- Globaal beeld van wie de stakeholders zijn en wat hun wensen zijn.
- In beeld gebracht wat de aanpalende projecten zijn en wat de overlap met deze projecten is.

- Op generiek niveau is het duidelijk welke inhoud vastgelegd moet worden. Per domein moet bepaald worden wat specifiek nodig is.
- ROR DGM wil de ZIBs als basis gebruiken.
- ROR DGM wil aansluiten bij Kwaliteitsregistraties. Dit betekent wel dat er over een bredere "inhoud" wordt gesproken, met ook klinische informatie en uiteraard informatie over geneesmiddelen (gebruik). Ook op governance data zullen een aantal zaken moet worden uitgewerkt om ook ROR DGM onder te kunnen brengen.
- De casestudies gaan goed. Niet alle casestudies hebben een pakketvraag. Voor twee casestudies wordt het proces 'verZIBben' van de SKMS gebruikt.

Zorginstituut Nederland
Zorg
Projectmanagement

Datum
24 september 2021

Onze referentie
2021035441

Aan de hand van deze analyse wordt een aantal zaken voorgesteld. De belangrijkste:

- Een landelijke governance structuur is nodig, maar daarnaast moet er per domein ook een governance zijn.
- Het Zorginstituut moet een rol krijgen in de data governance en de toetsing. Ook wordt voorgesteld om het Zorginstituut een rol te geven in de begeleiding van registers, waarbij de casestudies een voorbeeld van zijn.
- Het project ROR DGM moet worden omgevormd naar een definitieve vorm, met een meer structurele organisatie.

De expertisegroep geeft aan dat het veel informatie is, op een later moment moet uitgebreid stil worden gestaan bij deze voorstellen. Hiervoor wordt een extra expertisegroep bijeenkomst in real-life gepland (zie agendapunt 5).

3.2 Plenaire discussie (Jos Kosterink)

Subgroep 1 (Jos Kosterink)

- Wat naar voren komt is dat bij aansluiting bij kwaliteitsregistraties specifiek aandacht moet zijn voor geneesmiddelen.
- Is de stip op de horizon een eenduidige manier van gestandaardiseerd data verzamelen of is een 'register van registers de' stip op de horizon.

Subgroep 2 (Michel Wouters)

- Positief over de inrichting van dit project. Omdat er veel overlap is met de commissies van de kwaliteitsregistraties en met de samenwerkende kwaliteitsregistraties (SKR).
- In de kwaliteitsregistraties worden verschillende behandelingen geëvalueerd daar zitten dus ook dure geneesmiddelen bij. Veel kwaliteitsregistraties bevatten nog niet alle data voor beoordeling van geneesmiddelen, dit moet worden verbeterd. Maar er is al wel veel informatie beschikbaar.

Subgroep 3 (Lonneke Timmers)

- Overwegend positieve reacties. De basisgedachte wordt gesteund.
- Binnen de subgroep ontstond de discussie over dat het gevoel bestond dat ROR DGM ging versmallen. Er volgde met name reactie op het overzicht van projecten, een aantal belangrijke aanpalende projecten miste in het overzicht.

- Daarnaast vroeg men zich af of door te verbreden de rol van ZIN niet te klein wordt. Deze moet in balans zijn. Het lijkt nu alsof het informatieberaad alle problemen gaat oplossen, dit lijkt niet reëel. Het is juist de overheid die regie moet nemen. Er ontstond discussie over wat de rol van de overheid is en zou moeten zijn.
- Een ander positief punt is dat er niet meer gewacht wordt op casestudies.
- Het belangrijkste is dat er ruimte komt om langer door te praten.

Zorginstituut Nederland
Zorg
Projectmanagement

Datum
24 september 2021

Onze referentie
2021035441

Subgroep 4 (Joep Rijnierse)

- Verrast door de presentatie. Maar overwegend positief verrast. De ambitie is er om regie te gaan nemen op alle registers, dat juichen wij toe. Het 'hoe' blijft een vraag met een aantal kanttekeningen. Ook de plek van ZIN was goed. Dat de scheiding tussen de verschillende functies wordt gehandhaafd is belangrijk. Over het algemeen werd er positief gereageerd.

Hans geeft aan blij te zijn met de terugkoppeling en de suggesties. Daarnaast scherpen de geschetste dilemma's het projectteam en de uitwerking. Heel waardevol om de expertisegroep achter ons te hebben. Jos is voorstander om dit op een ander moment in een andere setting te bespreken en daar meer tijd voor te nemen (zie agendapunt 5).

4 Verslag van de vergadering van 21 april 2021 (2021015645)

Verslag is ongewijzigd goedgekeurd.

5 Voorstel volgende vergadering Expertisegroep

Eind oktober of begin november wordt er een fysieke bijeenkomst met de expertisegroep gepland om (alleen) agendapunt 3 verder te bespreken. Er zal daarnaast een expertisegroep bijeenkomst worden gepland op 16 december waar in elk geval de casestudie 2 (hemofilie) aan bod zal komen.

6 Rondvraag en sluiting 19:05 uur

Geen vragen.