

# Patiëntenparticipatie in Nederland

Bijeenkomst 'Samenwerken met en voor de patient', Brussel, 25 sept 2018

Annemiek van Rensen



### Korte introductie:

- MSc: Bio-Farmaceutische Wetenschappen, Universiteit Leiden
- PhD: Biofarmacie en Immunologie, Universiteit Utrecht
- 1999: Yamanouchi Europe BV (nu: Astellas)
- 2003: Nederlandse Brandwonden Stichting
  
- Sinds 2009: PGOsupport, adviseur Inbreng Cliëntenperspectief
- Sinds 2015: Lid van het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG) en voorzitter van het overleg met patiënten- en consumentenorganisaties



- **PGOsupport** is een netwerkorganisatie voor patiënten- en cliëntenorganisaties.
- Met en via **PGOsupport** delen cliëntenorganisaties kennis en ervaring. **PGOsupport** staat de organisaties bij met raad en daad. Wij informeren en adviseren over versterking van hun strategische positie, het verenigingsmanagement, organisatieontwikkeling en inbreng van het cliëntenperspectief. Zo zorgen we dat de organisaties hun werk beter kunnen doen.
- **PGOsupport** is een onafhankelijke stichting, opgericht in 2009. **PGOsupport** is gefinancierd uit een aanbesteding van het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport.
- Vanaf 2017 richt **PGOsupport** zich in toenemende mate op het versterken van de inbreng vanuit patiëntenperspectief, **bij ALLE stakeholders**

## Waarom patiënten betrekken bij geneesmiddelontwikkeling?





# Waarom patiënten betrekken bij onderzoek?

1. Nieuwe onderzoeksthema's en –vragen
2. Toename van de maatschappelijke waarde
3. Verbeterd ontwerp van het onderzoek
4. Grotere kans op correcte data interpretatie
5. Betere toegang tot de beoogde patiëntengroep (rekrutering van patiënten / verspreiding van resultaten)
6. (In Nederland) Meer kans op financiering ....
7. *'Niets over ons, zonder ons'*



Boek van: Cees Smit,  
patient advocate, 2015

## Verschillende typen patiënteninbreng ...

- **Verhaal** van de patiënt: hoe is het om met een bepaalde aandoening te leven?
  - **Behoeften** van de patiënt: wat hebben mensen met deze aandoening nodig?
  - **Advies** van de patiënt: hoe kan ik een klinische studie het beste ontwerpen?
  - **Mening** van de patiënt: is de onderzoeksvraag relevant voor een bepaalde patiëntengroep?
  - **Hulp** van patiënten: voor rekrutering / verspreiding van resultaten / ....
- 
- Patiënten **data**: wat doet deze behandeling?
    - 'Harde' uitkomsten (biomarkers, PK / PD, overleving)
    - 'Zachte' uitkomsten (door de patiënt gerapporteerde uitkomsten (PROMs), kwaliteit van leven)



## Welke patiënten?

- Individuele patiënten delen hun 'authentieke' verhaal
- Patient experts hebben vaak (ook) inhoudelijke kennis van het onderwerp (bijv. geneesmiddelontwikkeling)
- Patiëntvertegenwoordigers/patiëntenorganisaties hebben toegang tot ervaringskennis van een grotere groep patiënten
- Bijzondere situaties: naasten of mantelzorgers als 'patiëntvertegenwoordiger'





# Patiëntenorganisaties in Nederland

- > 200 landelijke organisaties (daarnaast vele regionale en lokale)
- 3 koepelorganisaties (Patiëntenfederatie Nederland, Ieder(in), Mind)
- Aandoeningspecifieke koepels (bijvoorbeeld zeldzame aandoeningen, oogaandoeningen, kanker)



10 patiënten in NL, vrijwilligersorganisatie



>38.000 leden, > 50 fte betaalde staf

# Patiëntenorganisaties in Nederland

- **Klassieke type** (lotgenotencontact, voorlichting & belangenbehartiging)
  - Ruim 200 organisaties, financiële ondersteuning door het Ministerie van VWS en contributiegelden
- **Gemengde type**: klassieke rollen en eigen fondsenwerving (bijv. voor onderzoek)
  - 10-20 organisaties, aantal neemt toe, financiële ondersteuning door het Ministerie van VWS, contributiegelden en daarnaast eigen fondsenwerving/crowdfunding
- Sinds 5-10 jaar: meer focus op **onderzoek of geneesmiddelontwikkeling**
  - ? organisaties, vaak zeldzame aandoeningen, geen subsidie, alleen eigen fondsenwerving
- Sinds 5 jaar ook **nieuwe netwerkstructuren en organisatievormen** (Facebook, platforms, ....)

# Vroege betrokkenheid loont!



## Involving burn survivors in agenda setting on burn research: An added value?

Jacqueline E.W. Broerse<sup>a,\*</sup>, Marjolein B.M. Zweekhorst<sup>a</sup>,  
Annemiek J.M.L. van Rensen<sup>b</sup>, Monique J.M. de Haan<sup>c</sup>

<sup>a</sup> Athena Institute, VU university Amsterdam, The Netherlands

<sup>b</sup> PGO Support, The Netherlands

<sup>c</sup> Dutch Burns Foundation, The Netherlands

**Jeuk bij brandwondpatienten:  
Standard Treatment Or topical  
doxepin against Pruritus in burn  
patients  
(STOP-trial)**

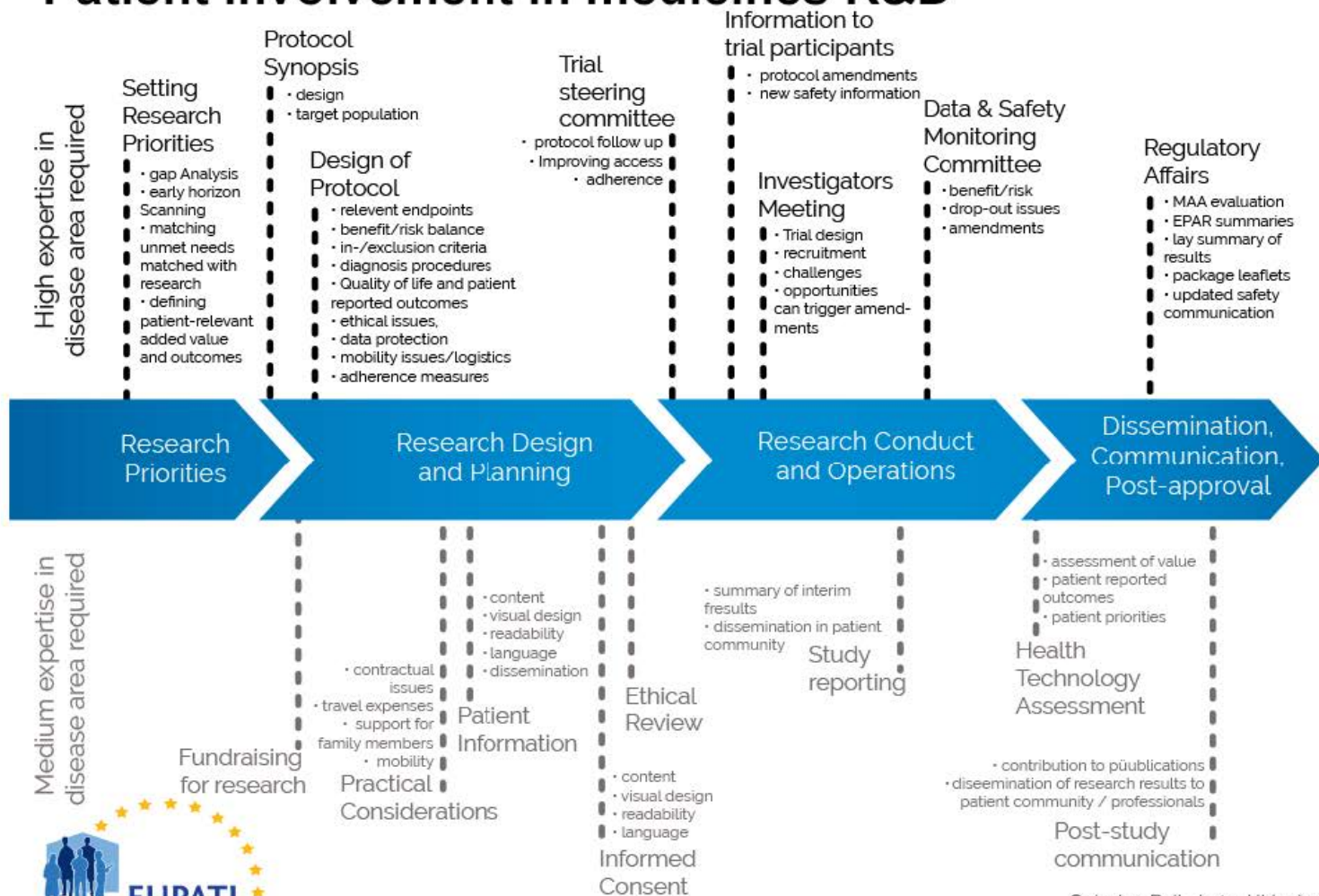
Drs. H. Kuipers, dr. J. Brins, drs. G.H. van Ramsborst, dr. W. Tuinheer, drs. M. Hop, dr. NEE van



# Waar toetsen financiers van onderzoek op?

Categorie	Onderdelen
1. Publiekssamenvatting	Leesbaarheid
2. Relevantie doelgroep	Onderzoeksvraag, KvL, KvZ, zelfredzaamheid, bruikbaarheid, uitkomstmaten
3. Relevantie maatschappij	Maatschappelijke participatie, preventie, diagnostiek, begrip, kosten
4. Risico's studiedeelnemers	Duidelijkheid, aanvaardbaarheid
5. Belasting studiedeelnemers	Duidelijkheid, aanvaardbaarheid
6. Haalbaarheid onderzoek	Uitvoerbaarheid, samenwerking, voldoende deelnemers?
7. Cliëntenparticipatie	Bij opzet, bij uitvoering, ondersteuning, begroting
8. Representativiteit	Diversiteit, inclusie, exclusie, cliëntvertegenwoordigers
9. Ethiek & veiligheid	PIF, relevante informatie, expliciete keuzevrijheid, privacy, veiligheid toegang voorzieningen
10. Communicatie	Naar studiedeelnemers, naar algemeen publiek
11. Implementatie	Kansen implementatie, plan van aanpak

# Patient involvement in medicines R&D



# Betrokkenheid van patiënten bij het CBG



- Periodiek overleg met vertegenwoordigers van patiënten- en consumentenorganisaties
- Ad hoc overleg met specifieke organisaties (Thyrax, valproaat, methylfenidaat)
- Strategisch businessplan (2014-2018): Patiëntgerichte beoordeling van medicijnen
- Benoeming collegelid met aandachtsgebied Patiëntenperspectief (okt 15)
- Vanaf sept 18: Pilot Patiëntenparticipatie bij nationaal wetenschappelijk advies
- Nieuwe positionering (2018): *waakzaam – wetenschappelijk – in verbinding*

# Patiënteninbreng bij geneesmiddelontwikkeling

*Thema's vanuit patiëntenperspectief*

## 1. Beschikbaarheid



Waar te starten?

..... CBG ZiNL VWS verzekeraar .....

# 1. Beschikbaarheid omvat meer dan een handelsvergunning!

do 14 jan 2016, 23:32

## Run op schildkliermedicijn

René Steenhorst

DEN HAAG - Thyrox is op de bon. Het door honderduizenden schildklierpatiënten gebruikte hormoon (levothyroxine) wordt op dit moment door de groothandel mondjesmaat aan de circa 700 apotheken in Nederland geleverd.

*geneesmiddeltekorten*



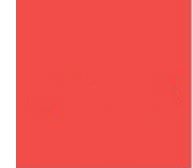
*vergoeding*

**'Patiënten krijgen medicatie opgedrongen'**  
 door René Steenhorst  
 AMSTERDAM - Patiënten voelen zich zwaar onder druk gezet door apothekers die hun eigen merk of merkloze medicijnen opdringen. Daarbij wordt dan verwezen naar de zorgverzekeraars. Die zouden afspraken hebben gemaakt, waardoor de vergoeding



*preferentiebeleid*





# Patienteninbreng bij geneesmiddelontwikkeling

## *Thema's vanuit patiëntenperspectief*

### 2. (Meer) focus op de relevante uitkomstmaten

- Patient-reported outcomes (PROs)
- Kwaliteit van leven (HR-QoL)

## 2. (Meer) focus op de relevante uitkomstmaten

- Bijvoorbeeld: **Overall survival** vs. progression-free survival, objective response rate, duration of response in oncologie
- Bijvoorbeeld: **6-minute walking test** in Duchenne muscular dystrophy

Statistisch relevant *versus*  
relevant voor patiënt



## Ervaringen na 3 jaar College lidmaatschap

- Toegenomen contact met patiëntvertegenwoordigers en –organisaties
- 1 – op – 1 contacten (met specifieke aanleiding) hebben toegevoegde waarde
- Patiëntenorganisaties weten het CBG te vinden; hun vragen ‘passen’ niet altijd bij het ‘systeem’
- Over en weer scholing en ondersteuning is wenselijk (EUPATI!)
- Structurele inbedding van het patiëntenperspectief bij de werkprocessen van CBG vergt enig experimenteren....

# Ervaringen na 3 jaar College lidmaatschap

## *Voorbeeld 1*

- Grootschalige substitutie luchtwegmedicatie (salbutamol, inhaler)
  - Klachten van verminderde werkzaamheid (door patiënten en zorgverleners)
  - Producten zijn bio-equivalent, geen product defect geconstateerd
  - Andere inhaler, spray-mist ziet er anders uit, mondgevoel niet gelijk

Bio-equivalent ≠ hetzelfde vanuit patiëntenperspectief!

## Patiëntenorganisaties roepen op wisselen medicijnen te stoppen

Publicatiedatum: 20 april 2018

**Patiënten die moeten overstappen op een ander merk medicijn kampen als gevolg daarvan vaak met gezondheidsklachten: 1 op de 3 wordt ziek van een medicijnwissel. Patiëntenorganisaties doen daarom een dringende oproep aan het ministerie van Volksgezondheid, zorgverzekeraars en apothekers om een einde te maken aan onnodige medicijnwisselingen.**

### Gezamenlijk onderzoek patiëntenorganisaties

De oproep komt na gezamenlijk onderzoek van 14 patiëntenorganisaties onder bijna 2000 patiënten. Uit het onderzoek van onder meer de Patiëntenfederatie Nederland, het Reumafonds, Nierpatiënten Vereniging Nederland en Schildklier Organisatie Nederland blijkt dat medicijnwisselingen als gevolg van het inkoopbeleid van zorgverzekeraars en apothekers zorgen voor onnodige gezondheidsklachten en onrust bij mensen die afhankelijk zijn van hun medicatie. Zo voelt 34 procent zich zieker of ongezonder na omzetting naar een ander merk van hun vertrouwde medicijn. Bijna een kwart van de mensen geeft aan hierdoor een extra medisch onderzoek te hebben ondergaan

### Preferentiebeleid

Ongeveer een miljoen mensen met een chronische aandoening worden jaarlijks, zonder medische reden, op een ander merk medicijn overgezet. Volgens de onderzoekers moet zo'n 60 procent van hen één of meer keer per jaar wisselen. Bij bijna 40 procent is dit zelfs 3 keer of vaker. Het wisselen van

# Ervaringen na 3 jaar College lidmaatschap

## Voorbeeld 2

- Veiligheidsinformatie Valproaat
  - Geregistreerd voor de behandeling van epilepsie en bipolaire stoornis (en migraine) sinds 1967
  - Verhoogd risico op ontwikkelingsstoornissen bij ongeboren kind bij gebruik tijdens zwangerschap
  - Risico is bekend en staat in patiënteninformatie/informatie voor arts
  - Toch aanwijzingen voor onjuist gebruik



The screenshot shows the BBC News website interface. At the top, there is a navigation bar with the BBC logo, a 'Sign in' button, and links for News, Sport, Weather, Shop, Earth, Travel, and M. Below this is a large red banner with the word 'NEWS' in white. Underneath the banner is a secondary navigation bar with links for Home, Video, World, UK, Business, Tech, Science, Stories, and Entertainment & Arts. The 'World' link is highlighted. Below this is a third navigation bar with links for World, Africa, Asia, Australia, Europe, Latin America, Middle East, and US & Canada. The 'Europe' link is highlighted. The main headline reads: 'New evidence in France of harm from epilepsy drug valproate'. At the bottom left, there is a date and location: '20 April 2017 | Europe'. At the bottom right, there are social media sharing icons for Facebook, Twitter, Messenger, Email, and a general 'Share' button.

## EMA's PRAC to Hold First Public Hearing on Use of Valproate Medicines

Posted 09 June 2017

By Zachary Brennan

The European Medicines Agency's (EMA's) Pharmacovigilance Risk Assessment Committee (PRAC) will hold its first public hearing on 26 September 2017 to discuss the safety of using valproate-containing medicines in the treatment of various conditions for women and girls who are pregnant or of childbearing age.

The public element of the meeting means EU citizens will be invited to share their experiences with these medicines, which are approved nationally in the EU to treat epilepsy, bipolar disorder and in some countries, migraines, according to EMA.



## Public hearing van Pharmacovigilance Risk Assessment Committee (PRAC, EMA) op 26 sept, 2017

Hoe verbeteren we het gebruik van valproaat in de klinische praktijk?

- Mening van de patiënt
- Mening van de arts



**VALPROATE\*+ GROSSESSE = DANGER**

Ne pas utiliser chez les filles, adolescentes, femmes en âge de procréer ou enceintes, sauf en cas d'échec des autres traitements

# Ervaringen na 3 jaar College lidmaatschap

## *Voorbeeld 3*

- Beschikbaarheid Orkambi (lumacaftor/ivacaftor) - cystische fibrose
  - Handelsvergunning (EMA) in nov. 2015 voor CF patiënten >12 jaar met specifieke mutatie
  - Mei 2016: negatief advies vergoeding (Zorginstituut NL)
  - Mei 2017: Minister van VWS besluit dat Orkambi niet vergoed wordt
  - Okt 9, 2017: Bevestiging negatieve beslissing (VWS)
  - Okt 25, 2017: Orkambi wordt toch vergoed

Orkambi wordt niet bewezen kosten-effectief geacht



# Nederlandse Cystic Fibrose Stichting

- Publiciteitscampagne (#DaaromOrkambi)
- Juridische stappen
- Politieke lobby
- Verhalen van patiënten
- Q & A voor CF patiënten

## Is haar leven 170.000 euro waard?

### Zorg

Studente Robin Kok (25) heeft taaislijmziekte. Ze schreef NRC een brief over haar begrip voor minister Schippers, die een duur medicijn niet wil vergoeden.

✉ Rik Wassens © 18 oktober 2017

Stel: er is een nieuw medicijn op de markt. Het is veelbelovend voor mensen met een levensbedreigende ziekte die jij ook hebt. Het is alleen zo duur - 170.000 euro per patiënt - dat de minister zelf met de farmaceut Vertex over de prijs onderhandelt. Dan vraag je je als patiënt tegen wil en dank af: ben ik dit wel waard?

Masterstudente arbeid, organisatie en gezondheid Robin Kok (25) uit Utrecht staat voor dat dilemma. Ze heeft taaislijmziekte, schreef ze deze krant in een brief. Het medicijn



## Persbericht: UMC Utrecht en NCFS ondertekenen samenwerkingsovereenkomst

12-01-2017



### CF in toekomst wellicht geen dodelijke ziekte meer

Het UMC Utrecht en de Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting ondertekenden woensdag 11 januari een overeenkomst voor samenwerking in internationaal onderzoek. De ambitie is om de komende vijf jaar nee-individualiseerde behandeling voor alle mensen

## Dossier Orkambi



#daaromOrkambi



Orkambi® (lumacaftor/ivacaftor) is eind 2016 door de European Medicines Agency geregistreerd voor de behandeling van mensen met Cystic Fibrosis vanaf 12 jaar met een dubbele (homozygote) F508del mutatie. Orkambi is het eerste geneesmiddel dat zich richt op de onderliggende oorzaak van CF. Ivacaftor en lumacaftor zijn stoffen die aansluiten op het probleem bij de vorming van chloridekanalen in de cel.

Wat is er gebeurd in de besluitvorming rondom de vergoeding van Orkambi? Bekijk de tijdlijn.

25 oktober 2017 - Orkambi eindelijk beschikbaar!

Eindelijk goed nieuws over Orkambi: dit geneesmiddel zal worden opgenomen in het verzekerde zorgpakket!

## Pilot Patiënteninbreng wetenschappelijk advies

- Hoe kan het CBG op betekenisvolle wijze het patiëntenperspectief een plek geven in zijn nationale adviezen?
- Wat zijn de verwachtingen en wensen van verschillende stakeholders?
- Wat betekent dat voor de organisatie van de patiënteninbreng?
- Concrete toepassing bij enkele adviezen (dec 18 / jan 19)
- Hoe meten we de impact?

Leidt dit tot betere medicijnen die sneller beschikbaar komen voor de patiënt?

Iedereen die een medicijn gebruikt  
moet daarop kunnen vertrouwen.

Dit is waar het CBG elke dag aan werkt  
in Nederland en in Europa.

wetenschappelijk | in verbinding | waakzaam



**C B G**  
*M E B*

**GOEDE  
MEDICIJNEN  
GOED  
GEBRUIKT**