



Uitvoeringstoets Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen

Datum	13 maart 2019
Status	Definitief

Colofon

Volgnummer 2019014923

Uitgebracht aan Ministerie van VWS

Inhoudsopgave

Colofon—1

Inleiding—5

- 1.1 Aanleiding—5
- 1.2 Opdracht—5
- 1.3 Doel van dit document—6
- 1.4 Verwachte resultaten—6

2 Probleemschets—9

- 2.1 Achtergrond en historie—9
- 2.2 Huidige situatie—9
- 2.3 Aandachtspunten voor gewenste situatie—11

3 Visie op de opdracht—13

- 3.1 Doelstelling—13
- 3.2 Invulling regierol—14

4 Aanpak—17

- 4.1 Uitgangspunten—17
- 4.2 Projectmatige aanpak—18
 - 4.2.1 Deelproject "Inhoud"—18
 - 4.2.2 Deelproject "Data/ICT"—19
 - 4.2.3 Deelproject "Governance"—20
 - 4.2.4 Case studies—20
 - 4.2.5 Wettelijke kaders en randvoorwaarden—20
- 4.3 Fasering—21
- 4.4 Veldpartijen—24
- 4.5 Relatie met lopende initiatieven—24
- 4.6 Relatie met internationale initiatieven—26
- 4.7 Risico's—26
- 4.8 Communicatie—27

5 Vervolg—29

- 5.1 Stappen—29
- 5.2 Organisatie—29
- 5.3 Planning—30

Inleiding

1.1 Aanleiding

Steeds vaker worden specialistische geneesmiddelen op de markt toegelaten terwijl er nog sprake is van onzekerheid ten aanzien van (kosten-)effectiviteit, de juiste plaatsbepaling of indicatiestelling. Door ons open systeem komen deze middelen vaak automatisch in het pakket terwijl het gaat om niet-volwassen producten, waar wel een volwaardige prijs voor wordt berekend. Zoals bijvoorbeeld de Horizonscan Geneesmiddelen¹ laat zien. Gezien deze ontwikkeling groeit de behoefte om de effectiviteit, de kosteneffectiviteit en (bij)werking van (nieuwe) geneesmiddelen in de praktijk goed te blijven volgen. Dit is ook van belang om de kwaliteit van de zorg voor de patiënt te blijven verbeteren. Om dit te kunnen doen, zal structureel informatie uit de klinische praktijk moeten worden vastgelegd. De vastlegging vindt plaats op zo'n manier dat het mogelijk is om de uitkomsten van de nieuwe behandeling te kunnen meten. Via patiënt- of aandoeningenregistraties kan deze informatie in de praktijk verzameld worden. Tevens bieden deze registraties de mogelijkheid om artsen en patiënten tijdig van betere informatie voorzien zodat een behandeling meer persoonlijk en gericht kan worden gegeven. We zien dat veel partijen, nationaal en internationaal, actief bezig zijn met dergelijke registraties. In de praktijk vindt de ontwikkeling van patiëntenregistraties ten behoeve van de monitoring van gebruik en (kosten)effectiviteit van dure geneesmiddelen echter versnipperd plaats. Een structurele, uniforme, aanpak voor dit specifieke doel komt niet vanzelf tot stand.

1.2 Opdracht

De minister geeft het Zorginstituut de opdracht om te komen tot gegevensverzamelingen die tenminste beantwoorden aan de informatiebehoefte vanuit pakketbeheer voor dure geneesmiddelen. Ongeacht of deze geneesmiddelen bij de start van instroom in het pakket wel of niet beoordeeld zijn. Om tot een structurele oplossing te komen voor dit probleem, geeft de minister als eerste de opdracht te komen tot meer regie op de registraties en op die wijze tot meer uniformiteit.

Hij ziet in ieder geval de volgende taken verbonden aan deze rol:

- a) Het vaststellen en uitwerken van de standaard voorwaarden van het kader voor de uniformering van registers.
- b) Hij verzoekt het Zorginstituut de prioriteit bij die registers te leggen die gerelateerd zijn aan aandoeningen waarbij nieuwe en/of dure geneesmiddelen op de markt zijn of komen, die vragen om inzicht in de effecten en het gebruik in de dagelijkse praktijk
 - o Geneesmiddelen die in de 'sluis' zijn geplaatst
 - o Geneesmiddelen die in een financieel arrangement zijn opgenomen
 - o Weesgeneesmiddelen, met een weesgeneesmiddelenarrangement
 - o Geneesmiddelen uit de risicogerichte beoordelingen door het Zorginstituut

¹ <https://www.horizonscangeneesmiddelen.nl/>

De minister verzoekt het Zorginstituut in de uitvoeringsanalyse specifiek in te gaan op:

- De uitvoerbaarheid;
- De uitvoeringsrisico's;
- De gevolgen van de uitvoering van de taak op de organisatie van het Zorginstituut in financiële en personele zin;
- De noodzakelijkheid van de juridische inbedding van deze adviestaak in de wet.

1.3 Doel van dit document

Het doel van dit document is om de visie van het Zorginstituut op deze opdracht weer te geven en op grond daarvan een plan van aanpak te presenteren. Ter voorbereiding hierop hebben we een verkenning gedaan van de huidige situatie met betrekking tot informatie over de inrichting, ontsluiting en het gebruik van patiëntenregistraties. Er is met belanghebbenden gesproken over de invulling van het beoogde doel van de registraties. Het Zorginstituut is zich zeer bewust van de verschillende doelstellingen voor het gebruik van patiëntenregistraties zoals bijv. geneesmiddelenonderzoek en gerichte individuele patiëntenzorg. En van de raakvlakken met andere initiatieven (zie paragraaf 4.5) die nauw aansluiten op deze opdracht. Om deze opdracht een helder startpunt met concrete resultaten te geven, gebruikt het Zorginstituut pakketbeheer als uitgangspunt. Bij pakketbeheer gaat het namelijk om de relatie tussen effecten en kosten, de relevantie van zorg voor patiënten, de verbetering van kwaliteit van zorg maar ook om de doelmatigheid en houdbaarheid van zorg. Hierdoor bevindt pakketbeheer zich in een centrale en verbindende positie tussen innovatie en reguliere zorg. En dit betekent dat het realiseren van het project ook staat voor het bijeenbrengen van uiteenlopende en gerelateerde doelen. In onze aanpak zullen we dan ook duidelijk maken hoe we hier mee omgaan, welke uitgangspunten en randvoorwaarden we daarbij hanteren. Belangrijk onderdeel daarvan is dat wij nadrukkelijk zullen aansluiten bij andere aanpalende activiteiten en initiatieven. Om hier voldoende ruimte voor te maken, zullen wij het project gefaseerd en in nauwe afstemming met relevante betrokkenen uitvoeren.

1.4 Verwachte resultaten

Onze geplande activiteiten leiden tot de volgende resultaten:

- Een helder (architectuur)kader voor het registreren (en rapporteren) van gegevens over het gebruik van dure geneesmiddelen in de praktijk inclusief de klinische en relevante uitkomsten van de behandeling voor de patiënt (registerkader);
- Een aantal afspraken² over:
 - een gemeenschappelijk vocabulaire (taal) voor geneesmiddelenregistraties waarbij het vocabulaire bestaat uit zowel de concepten als hun onderlinge relaties.
 - de gegevens die minimaal uitgevraagd worden en opgenomen worden in de registraties;
 - de herkomst (zoveel mogelijk bij de bron ophalen van gegevens en meervoudig gebruiken) en registratie van die gegevens;
 - de vindbaarheid van geneesmiddelenregistraties;
 - de toegankelijkheid en machineleesbaarheid van deze set van gegevens (

² Deze afspraken zullen in nauwe samenwerking met andere initiatieven zoals benoemd in paragraaf 4.5 worden opgesteld.

- uitwisselingsformaat voor kennisrepresentatie, technische standaard, etc.);
- de herbruikbaarheid van de gegevens;
- de bewerking van de gegevens.

Deze resultaten zullen vervolgens moeten bijdragen aan de volgende doelen:

- Een continu evoluerend raamwerk van patiëntenregistraties die voldoen aan deze afspraken en beschikbaar zijn om vragen over het gebruik van geneesmiddelen voor verschillende doelen consistent en efficiënt te kunnen beantwoorden.
- Een meer interactieve vorm van pakketbeheer waarbij deze gegevens uit de praktijk zullen worden gebruikt om in samenspraak met patiënten en behandelaren tot de meest effectieve en doelmatige zorg te komen (zinnige en gepaste zorg);

Uiteindelijk zal dat moeten leiden tot de beste zorg voor de beste prijs waarbij enerzijds nieuwe innovatieve geneesmiddelen tijdig bij de juiste patiënten kunnen worden gestart terwijl anderzijds dure behandelingen kunnen worden beëindigd indien zij niet het gewenste effect hebben.

2 Probleemschets

2.1 Achtergrond en historie

Het Zorginstituut heeft uitvoerige ervaring met het gebruik van patiëntenregistraties voor pakketbeheer. Het meest sprekende voorbeeld is het uitkomstenonderzoek in het kader van de Beleidsregels Dure en Dure Weesgeneesmiddelen. In 2005 gaf de Minister van VWS opdracht tot de inrichting van NZa beleidsregels Dure (CI-911)³ en Dure Weesgeneesmiddelen (CI-892)⁴ (2006-2011). Hierdoor kwam additionele financiering voor deze geneesmiddelen beschikbaar. Een belangrijke voorwaarde van deze beleidsregels was (vanaf 2006) dat de partijen gedurende 4 jaar gegevens over het gebruik van deze geneesmiddelen in de praktijk zouden verzamelen (uitkomstenonderzoek) met behulp van patiëntenregistraties. Bij een herbeoordeling van deze geneesmiddelen zouden deze gegevens worden gebruikt om een definitief besluit over opname in het verzekerde pakket te nemen.

Vanaf 2012 werden deze NZa Beleidsregels afgeschaft en vervangen door de Beleidsregel Prestaties en tarieven medische specialistische zorg en werden er in principe niet meer structureel dure nieuwe geneesmiddelen voorwaardelijk opgenomen/vergoed. Van de 57 geneesmiddelen die in de beleidsregels waren opgenomen zijn er uiteindelijk maar 12 door het Zorginstituut herbeoordeeld⁵. Hoewel het Zorginstituut bij deze herbeoordelingen zoveel mogelijk maakte van het uitkomstenonderzoek op basis van patiëntenregistraties, was de uiteindelijke bijdrage van deze gegevens aan het uiteindelijke advies vaak beperkt⁵. De belangrijkste redenen waren dat deze gegevens vaak van onvoldoende kwaliteit waren en niet toegespitst op de uiteindelijke pakketvraag (het gaf geen inzicht in de effectiviteit en de waarde voor de patiënt). In de gevallen dat het uitkomstenonderzoek wel een toegevoegde waarde had, leidden deze herbeoordelingen in specifieke gevallen tot veel bediscussieerde adviezen⁶ die vervolgens niet door VWS werden overgenomen.

Na de afschaffing van de deze beleidsregels is er in 2012 een breder programma voor voorwaardelijke vergoeding gestart. Hierin werd zorg, waaronder geneesmiddelen tijdelijk toegelaten tot het basispakket met de voorwaarde dat in deze periode van tijdelijke toelating door onderzoekers gegevens worden verzameld over de effectiviteit en/of kosteneffectiviteit van de zorg. In meeste gevallen werd om RCT-gegevens gevraagd en niet om gegevens uit de dagelijkse praktijk, zodat een structurele verzameling van gegevens over het gebruik van dure geneesmiddelen in de dagelijkse praktijk behoefte van pakketbeheer niet meer heeft plaatsgevonden.

2.2 Huidige situatie

Recente ervaringen van het Zorginstituut met pakketadvisering van dure geneesmiddelen laten zien dat er een sterke behoefte is voor ons, voor

³ https://puc.overheid.nl/nza/doc/PUC_19280_22/1/

⁴ https://puc.overheid.nl/nza/doc/PUC_19307_22/1/

⁵ Implementing managed entry agreements in practice: The Dutch Reality Check. Makady et al. Health Policy 2018; Sep 28. Pii: S0168-8510 (Epub ahead of print)

⁶ Aparte financieringsvorm voor middelen bij Pompe en Fabry

(<https://www.zorginstituutnederland.nl/actueel/nieuws/2012/11/30/aparte-financieringsvorm-voor-middelen-bij-pompe-en-fabry>)

behandelaren, voor patiënten en verzekeraars om het gebruik van geneesmiddelen in de praktijk te volgen. Het gaat namelijk veel meer om de vraag of de geneesmiddelen in het pakket juist, passend en zinnig worden gebruikt. Steeds centraler staat het gebruik van patiëntenregistraties bij de bevordering van **gepast gebruik**. We wijzen bijv. op *idursulfase/galsulfase*⁷ maar ook op *geneesmiddelen voor castratie refractair prostaatacarcinoom*⁸. Het gaat hier om, in samenwerking met de beroepsgroepen/behandelaren, een duidelijke indicatiestelling of start- en stopcriteria vast te stellen. Dat laat ook zien dat het Zorginstituut voor elk nieuw duur geneesmiddel, waar een informatiebehoefte met betrekking tot pakketbeheer bestaat, exact zal moeten weten welke data verzameld moeten worden en hoe deze gegevens vervolgens gebruikt worden voor pakketbeheer. Patiëntenregistraties zullen ook gebruikt worden om meer duidelijkheid te krijgen over de **effectiviteit** (stand van de wetenschap en praktijk) van geneesmiddelen zoals in het geval van *fampridine* en de **kosteneffectiviteit** zoals het geval van *eculizumab voor aHUS*⁹ waarbij door aangepaste behandelingsschema's de kosteneffectiviteit beter zou moeten worden in vergelijking tot de originele behandelingsschema's. Daarbij dient te worden opgemerkt dat de analyse van het gebruik van geneesmiddelen steeds meer verschuift van een **individuele benadering** (per nieuw geneesmiddel) naar een **groepsbenadering** (bijv. per geneesmiddelengroep en/of indicatie). Daarbij kunnen patiënten en artsen actueler door het Zorginstituut worden bijgestaan door de gegevens over gepast gebruikt steeds meer gericht aan te bieden.

Hoewel deze opdracht specifiek het gebruik van patiëntenregistraties voor dure geneesmiddelen adresseert, lijkt het ons zinvol om bij de beschrijving van de huidige situatie rond patiëntenregistraties gebruik te maken van een breed perspectief. Daarbij kunnen we gebruik maken van de samenvatting die het Health-RI¹⁰ initiatief heeft opgesteld:

- 1 Het huidige landschap aan registraties is versnipperd, lijdt aan gebrek aan standaardisatie en is daarmee onvoldoende effectief. Er ontstaan telkens nieuwe initiatieven op basis van een specifieke aandoening of zelfs op basis van individuele interventies, bijvoorbeeld ter onderbouwing van de vergoeding bij nieuwe dure geneesmiddelen of medische hulpmiddelen.
- 2 Registraties begeven zich op het snijvlak tussen organisaties, waardoor de verantwoordelijkheden zeer diffuus zijn en er veel stroperigheid is die de benodigde grootschalige veranderingen ophoudt. Overheid, ziekenhuizen en andere zorgaanbieders, beroepsverenigingen van medische zorgverleners, zorgverzekeraars en research infrastructures hebben allen een belang in registraties en het registratieproces, maar niemand heeft de eindverantwoordelijkheid.
- 3 Registratie is over het algemeen losgekoppeld van het zorgproces en vergt daardoor een aanzienlijke extra inspanning van behandelaars of speciaal daarvoor ingehuurd personeel, de zogenaamde registratielast.
- 4 Continuïteit is vaak onvoldoende geborgd door korte termijn financieringsinstrumenten op basis van deeloplossingen.
- 5 Kruisbestuiving tussen registraties voor kwaliteitsbewaking, kostenevaluaties van interventies en die voor onderzoek en innovatie wordt nog maar zeer

⁷ Monitor Weesgeneesmiddelen (<https://www.zorginstituutnederland.nl/werkagenda/overige-onderwerpen/monitor-weesgeneesmiddelen>)

⁸ Zinnige Zorg – Zinnige gebruik van geneesmiddelen bij patiënten met castratierefractair prostaatacarcinoom (evaluatiefase) (<https://www.zorginstituutnederland.nl/werkagenda/kanker/zinnige-zorg---zinnig-gebruik-van-geneesmiddelen-bij-patienten-met-castratierefractair-prostaatacarcinoom-evaluatiefase>)

⁹ Monitor Weesgeneesmiddelen in de praktijk 2018

<https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/rapport/2018/12/13/monitor-weesgeneesmiddelen-2018>

¹⁰ <https://www.health-ri.org/>

beperkt gerealiseerd.

- 6 Systematische standaardisatie ontbreekt op alle fronten: datasets, data-formats, communicatieprotocollen, aanvraagprocedures, juridisch raamwerk, etc. Dit betekent dat elke registratie veel maatwerk met zich meebrengt.

Hierbij moet worden opgemerkt dat Health-RI expliciet verwijst naar de medische hulpmiddelen. Binnen de huidige opdracht zal de focus, wat betreft pakketbeheer, komen te liggen op de dure geneesmiddelen en de Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP's) en zal voor de aansluiting naar andere vormen van zorg aansluiting worden gezocht met andere initiatieven. Dat geldt ook voor vragen over de informatievoorziening naar de patiënt en de toegankelijkheid en beschikbaarheid van de gegevens uit de patiëntenregistraties.

2.3 Aandachtspunten voor gewenste situatie

Zoals reeds benadrukt, voor de uitvoering van deze opdracht is een gedeelde basis en actieve betrokkenheid van veld en systeempartijen essentieel. Hier zijn we reeds bij de voorbereiding van deze startnotitie vanuit gegaan. Om die reden hebben we een aantal partijen die in het verleden en maar nu ook betrokken zijn bij patiëntenregistraties geraadpleegd. Ook hebben we geput uit een drietal inventarisaties die we gebruiken als leerpunten en randvoorwaarden voor de uitvoering van de opdracht:

- Naar aanleiding van een analyse van alle middelen die voorwaardelijk waren opgenomen in de NZa beleidsregels dure (wees)geneesmiddelen (2006-2012) zijn de betrokkenen geïnterviewd over de waarde van de additionele gegevens over het gebruik van geneesmiddelen voor pakketbeheer¹¹. Hoewel de meest betrokken partijen in principe positief waren over het gebruik van gegevens uit de dagelijkse praktijk voor voorwaardelijke toelating van dure geneesmiddelen, zag men vele tekortkomingen in de manier hoe dit was vormgegeven in de t=0/t=4 systematiek. Over het algemeen vonden de stakeholders gegevens uit de patiëntenregistraties van onvoldoende kwaliteit en niet genoeg bruikbaar voor pakketbeslissingen. Ook vond men het systeem inflexibel. Tot slot was er, volgens de meeste partijen, onvoldoende bij de start (t=0) nagedacht hoe uitkomsten van het uitkomstenonderzoek gebruikt zouden moeten worden voor pakketbeslissingen.
- Vanuit VWS/GMT is de afgelopen jaren een inventarisatie naar patiëntenregistraties uitgevoerd. Daaruit kwam duidelijk naar voren dat alle partijen in de zorg behoefte hebben aan een betere regie op de patiëntenregistraties. Er is vooral behoefte aan een uniform kader, standaardisatie aan de bron en duidelijke regels over **financiering en governance**.
- In de afgelopen maanden waren er opnieuw gesprekken met een aantal partijen om naar aanleiding van de opdracht van VWS aan het Zorginstituut verder na te denken over de ontwikkeling van de patiëntenregistraties voor de monitoring van dure geneesmiddelen t.b.v. pakketbeheer. De volgende aandachtspunten werden vooral benoemd:

¹¹ Real-World Evidence for Health Technology Assessment of Pharmaceuticals: Opportunities and Challenges. Proefschrift.

(<https://www.narcis.nl/publication/RecordID/oai%3Adspace.library.uu.nl%3A1874%2F364283/genre/doctoralthesis/uquery/makady/id/1/Language/NL>)

- o Vraag gerichte ontwikkeling en flexibele modellen om patiëntenregistraties zowel te kunnen gebruiken voor vaststellen van effectiviteit/kosteneffectiviteit als ook gepast gebruik voor de patiënt;
- o Gebruik bestaande registraties (zoals Nederlandse Kankerregistratie (NKR)¹², Dutch Hospital Data (DHD)¹³, Dutch Institute for Clinical Auditing (DICA)¹⁴, etc.) en probeer door het koppelen van gegevens uit deze bestaande registraties een meerwaarde te krijgen. Een voorbeeld hiervan is de reeds bestaande patiëntenregistratie) voor patiënten met dikkedarmkanker (PLCRC)¹⁵;
- o Probeer een structureel en transparant systeem van dataverzameling bij de bron tot stand te brengen. Maak daarbij gebruik van de FAIR¹⁶ principes. Dit betekent dat de data vindbaar (Findable), toegankelijk (Accessible), uitwisselbaar (Interoperable) en herbruikbaar (Reusable) zijn;
- o Beperk registratielast tot een minimum door alleen zeer specifieke additionele registratievragen toe te voegen bij de dataverzameling aan de bron;
- o Maak gebruik van nieuw ontwikkelde tools en methoden om registratie zoveel mogelijk te automatiseren zodat de registratielast voor zorgverlener en patiënt geminimaliseerd wordt;
- o Verdere ontwikkeling van methoden om gegevens uit patiëntenregistraties goed te kunnen gebruiken voor de vaststelling van gepast gebruik, effectiviteit en kosteneffectiviteit van geneesmiddelen is essentieel. Voorbeelden van dergelijke modellen zijn ziektemodellen, indirecte vergelijkingen en netwerk meta-analyse (NMA);
- o Internationale samenwerking is voornamelijk essentieel voor indicaties/ziektes met kleine patiënten aantallen zodat analyses kunnen worden gebaseerd op grotere patiënten aantallen. Voorbeelden van deze samenwerking zijn: BeneluxA; EUnetHTA; IMI projecten (IMI-GetReal, big data) en European Reference Networks (ERN) (zie ook 4.6);
- o Maak het mogelijk om aan te sluiten bij de activiteiten van het CBG en Lareb waar veel ervaring is met het routinematige monitoring van het gebruik van geneesmiddelen in de praktijk waarbij de focus ligt op de veiligheid en bijwerkingen van geneesmiddelen. Toekomstige patiëntenregistraties zouden ook de juiste informatie moeten verzamelen zodat ook deze activiteiten van CBG en Lareb volledig kunnen worden ondersteunend;
- o Sluit zoveel als mogelijk aan bij activiteiten rond het verzamelen van gegevens ten behoeve van het programma Uitkomstgerichte Zorg.

De oproep is om vooral aan te sluiten bij bestaande initiatieven en de vraagstukken die daar spelen mee te nemen. Deze aandachtspunten sluiten aan bij de activiteiten zoals in de brief van Minister zijn genoemd. De verkenning laat ook zien dat om de opdracht uit te kunnen voeren medewerking van en implementatie door vele partijen onontbeerlijk en zeer noodzakelijk is.

¹² <https://www.cijfersoverkanker.nl/>

¹³ <https://www.dhd.nl/Paginas/home.aspx>

¹⁴ <http://dica.nl/>

¹⁵ <https://plcrc.nl/>

¹⁶ <https://www.dtlis.nl/fair-data/fair-data/>

3 Visie op de opdracht

Gezien de eerder genoemde ontwikkelingen m.b.t. de beschikbaarheid van nieuwe geneesmiddelen met een beperkte set van gegevens is het noodzakelijk om onze rol als pakketbeheerder aan te passen. Het Zorginstituut wil op een meer structurele manier gegevens over het gebruik van dure geneesmiddelen in praktijk analyseren en deze gebruiken voor pakketadviezen over (kosten)effectiviteit en bijdragen aan een gepast gebruik van deze geneesmiddelen samen met de partijen in de zorg. Het gaat dan niet om generieke ja/nee beslissingen, maar om het bevorderen van de juiste inzet van deze geneesmiddelen. Om die reden is het noodzakelijk dat er een coherente, structurele organisatie van patiëntenregistraties wordt opgezet zodat het Zorginstituut op een consistente, coherente, transparante wijze vorm kan geven aan deze nieuwe vorm van *cyclisch pakketbeheer*. Alleen op deze wijze kan het Zorginstituut sneller en accurater beslissingen nemen zodat enerzijds innovatieve zorg snel bij de patiënt kan komen terwijl anderzijds het gebruik van ineffectieve dure zorg mogelijk snel kan worden ingeperkt of de prijs van deze zorg kan worden aangepast. Het Zorginstituut haakt ook aan bij initiatieven rond het beschikbaar maken van gegevens voor uitkomstgerichte zorg (programma Uitkomstgerichte Zorg). Dit biedt ook een mogelijkheid om bij te dragen aan de verbetering van de kwaliteit van de individuele patiëntenzorg voor patiënten en hun zorgverleners.

3.1 Doelstelling

Het ontwikkelen van een eenduidig toekomstbestendig systeem van patiëntenregistraties voor de monitoring van het gebruik en (kosten)effectiviteit van dure geneesmiddelen. Dit systeem zal bruikbaar moeten zijn voor innovatief, cyclisch pakketbeheer voor dure geneesmiddelen. Het zal daarnaast aansluiten bij de kwaliteitsontwikkeling voor beslissingen van artsen en kan het gezamenlijk beslissen door arts en patiënt faciliteren. Tot slot helpt het systeem om de stap te maken van vaststellen van beslissingen over effectiviteit naar de juiste plaatsbepaling van het geneesmiddel. We kunnen zo idealiter voor elke patiënt de juiste diagnose interventie combinatie duiden.

De ontwikkeling van de patiëntenregistraties voor de dure geneesmiddelen past bij onze ambitie om de komende jaren bij te dragen aan het stand brengen van een duurzaam informatiestelsel in de zorg. Daarom staat deze opdracht ook niet los van de informatiecomponent. Standaardisatie (coherente sets van afspraken) op alle lagen van interoperabiliteit¹⁷ is een vereiste. Daarbij ziet het Zorginstituut dat voor deze opdracht het maken van afspraken op het niveau van organisatie en proces een grote uitdaging zal zijn. Een vervolgstap is om daarna er voor te zorgen dat gegevens op gestandaardiseerde wijze geregistreerd, uitgevraagd en hergebruikt worden. Onderdeel van de regierol is ook dat het Zorginstituut toeziet op het tot stand komen van de benodigde afspraken en standaardisatie die gelden voor alle geneesmiddelen registers. De informatiecomponent is daarom onderdeel van het eerder genoemde kader (zie paragraaf 1.4) voor patiëntenregistratie voor dure geneesmiddelen ten behoeve van een effectief en efficiënt zorgstelsel. Het minimaliseren van de administratieve lasten is hierbij van belang.

Om de kennis over de kwaliteit en het resultaat van het gebruik van geneesmiddelen maximaal te benutten zouden de verschillende bronnen steeds

¹⁷Nictiz vijf lagen van interoperabiliteit (<https://www.nictiz.nl/standaardisatie/interoperabiliteit/>)

beter onderling verbonden moeten worden en steeds beter geautomatiseerd geïnterpreteerd moeten worden. Met zulke kennis zijn we steeds beter in staat de toelating en het beheer van de toegelaten geneesmiddelen te organiseren, maar ook de patiënten over de geneesmiddelen te informeren. De schaal en complexiteit van al die verbonden gegevens vragen er echter wel om dat geautomatiseerde systemen de mogelijkheid krijgen die gegevens passend te interpreteren (de machineleesbaarheid); anders leidt dat leren niet tot kennis van enige kwaliteit en wordt ook de kwaliteit van de toepasbaarheid bedreigd. Hiervoor zullen we aansluiten bij allerlei andere initiatieven die activiteiten ontplooiën die dit mogelijk maken (zie paragraaf 4.5).

Het Zorginstituut voorziet daartoe een globale stapsgewijze groeistrategie. Daarbij onderkennen we vier hoofdfasen, namelijk: beschikking over basale geneesmiddelengegevens, uitkomstinformatie over geneesmiddelen, uitkomstkennis en uitkomstintelligentie. In elke fase groeit de connectiviteit en de machineleesbaarheid. In deze ontwikkeling verschuift de inspanning gaandeweg van het passief produceren en gebruiken van informatie over geneesmiddelen naar een actieve vorm die door de geautomatiseerde werkwijze (waaronder kunstmatige intelligentie) een hoger voorspellend gehalte zal krijgen waarmee een betere ondersteuning kan worden gegeven voor het pakketbeheer. Hierbij willen we zoveel mogelijk profiteren van de krachten die daar al spelen. Daarbij zien wij synergie met een aantal al lopende programma's zoals de herziening van het toetsingskader kwaliteit, registratie aan de bron en Uitkomstgerichte Zorg. Ook zullen we in de eerste fase van dit project een structurele relatie met het Informatieberaad Zorg rond de thema's basisinfrastructuur en duurzaam Informatiestelsel opzetten. Dit is nodig om dit project goed te laten aansluiten op de ontwikkelingen met betrekking tot een duurzaam informatiestelsel in de zorg.

3.2 Invulling regierol

Het Zorginstituut is de opdrachtnemer en aangewezen als regievoerder. De opdracht wordt uitgevoerd met de relevante partijen aan tafel om zo sturing te geven aan de uitvoering van de opdracht. Het Zorginstituut stimuleert dit door een expertisegroep op te richten waar experts uit alle veldpartijen aan deelnemen (met name rond de thema's inhoud en data/ICT). Deze expertisegroep zal cruciaal zijn voor de ontwikkeling van registerkader en de implementatie hiervan in de praktijk. Daarnaast zal het Zorginstituut vanaf de start van dit project er voor zorgen dat de resultaten worden gedeeld in reeds bestaande overlegstructuren zoals het Landelijk Overleg Dure Geneesmiddelen¹⁸ en de ronde tafel oncologie van het Zorginstituut.

Naar verwachting zal het Zorginstituut met name in 2019 en 2020 zijn regierol moeten vullen vanuit een visie die nog in ontwikkeling is, en een situatie waarbij mogelijk nog geen sprake is van landelijk gedragen uitgangspunten. Het Zorginstituut zal een volledig beeld moeten krijgen van de lopende initiatieven, zoals de al beschikbare patiëntenregistraties¹⁹, en de initiatieven die de komende twee jaar mogelijk al gestart gaan worden. Bevorderen van kruisbestuiving tussen de initiatieven van partijen zal meteen vanuit de start van het project een belangrijke activiteit worden. De verwachting is dat gedurende 2019 in eerste instantie de nadruk zal liggen op het bevorderen van samenwerking tussen de relevante partijen en lopende initiatieven en het verkrijgen van draagvlak van producten uit het

¹⁸ Pagina 2 van kamerbrief over voortgang geneesmiddelenbeleid 2017

<https://www.rijksoverheid.nl/binaries/rijksoverheid/documenten/kamerstukken/2017/11/16/kamerbrief-over-voortgang-geneesmiddelenbeleid/kamerbrief-over-voortgang-geneesmiddelenbeleid.pdf>

¹⁹ <https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/publicatie/2015/02/15/inventarisatie-patientenregisters>

project zoals het registerkader en gemeenschappelijke informatiestandaarden om die ook te kunnen implementeren.

De mate waarop deze producten vervolgens in de praktijk worden gebruikt is leidend zijn voor het Zorginstituut en VWS om vast te stellen in hoeverre een meer sturende rol als regisseur van het Zorginstituut in dit traject noodzakelijk is. Daarbij kan dan ook de mogelijkheid om sommige van deze producten wettelijk te verankeren worden onderzocht.

4 Aanpak

4.1 Uitgangspunten

We verdelen de uitgangspunten onder in drie deelprojecten (die aansluiten bij de onder 3.1 genoemde fasen) die centraal zullen staan in de verdere uitwerking van de aanpak:

- **Inhoud**

- o We werken de criteria voor de selectie van dure geneesmiddelen (inclusief ATMP's)), voor welke deze patiëntenregistraties worden opgezet, verder uit. Daarbij staat de budgetimpact van deze geneesmiddelen, onzekerheid over effectiviteit en kosteneffectiviteit van deze geneesmiddelen en de plaats van de geneesmiddelen in het behandelrepertoire voor de relevante diagnose centraal;
- o Patiëntenregistraties voor dure geneesmiddelen zullen gegevens bevatten van patiënten met een bepaalde diagnose die al dan niet met deze dure geneesmiddelen behandeld worden (ziekteregistraties). Het gaat niet om geneesmiddelenregistraties waar alleen gegevens over patiënten die met 1 specifiek geneesmiddel worden behandeld, worden verzameld. Het gaat om het arsenaal aan geneesmiddelen die voor de patiënt beschikbaar is. We willen hierbij ook actief aanhaken bij activiteiten rond het Programma Uitkomstgerichte zorg;
- o Gegevens die worden verzameld in deze patiëntenregistraties zijn (tenminste) bruikbaar voor cyclisch pakketbeheer, dus zowel voor pakketadviezen met betrekking tot individuele geneesmiddelen als gepast gebruik voor groepen geneesmiddelen;
- o We ontwikkelen methoden voor de analyse van deze gegevens verder met als doel te komen tot nationaal en internationaal geaccepteerde methoderichtlijnen. We sluiten zoveel mogelijk aan bij reeds bestaande internationale initiatieven zoals de kwalificatie van patiëntenregistraties door EMA²⁰ en EUnetHTA voor gebruik in de uitvoering van beoordelingen voor markttoegang en vergoeding en methodiekontwikkeling in internationale projecten zoals IMI-GetReal²¹;
- o Internationale samenwerking is essentieel voor dure geneesmiddelen in zeer kleine patiëntengroepen waar op basis van alleen Nederlandse gegevens geen zinvolle analyse kan worden uitgevoerd.

- **Data/ICT**

- o Het is essentieel dat we een kader voor een relevante uitkomstenset (minimale dataset) vaststellen zodat we alle gegevens die nodig zijn voor pakketbeheer kunnen worden verzameld;
- o Deze uitkomstenset zal bestaan uit gemeenschappelijke basis (bijv. de geneesmiddeleninformatie) en ziekte-specifieke informatie. ;
- o Bij de vaststelling van deze uitkomstenset zullen we gebruik maken van reeds beschikbare informatiestandaarden;
- o We zoeken aansluiting bij de activiteiten rond data/ICT in het kader van het programma Uitkomstgerichte Zorg;

²⁰ <https://www.ema.europa.eu/human-regulatory/post-authorisation/patient-registries>

²¹ <http://www.imi-getreal.eu/>

- o Bij het opzetten van patiëntenregistraties garanderen we dat partijen deze registraties volgens het FAIR principe gaan inrichten zodat beter het mogelijk is om gerichte vragen naar registraties te sturen;
 - o We streven niet naar dataverzamelingen waar alle data bij elkaar komen maar ondersteunen concepten zoals de Personal Health Train²² waar gebruik wordt gemaakt van 'distributed learning' technieken;
 - o Patiëntenregistraties gebruiken in beginsel gegevens direct vanuit de bron (uit het elektronisch patiënten dossier (EPD)). Additionele registratielast wordt geminimaliseerd.
 - o Vanuit dat beginsel zullen we de interoperabiliteit van systemen stimuleren om zo de koppeling van verschillende databronnen mogelijk te maken (voorbeeld Personal Health Train);
 - o Toegankelijkheid van de systemen gewaarborgd met in achtneming van de algemene verordening gegevensbescherming (AVG).
 - o We gaan uit van data die koppelbaar is in taal en ICT.
- **Governance** (inclusief financieringsmodel registraties):
 - o We streven naar een complete deelname van patiënten en zorgverleners en indien nodig overige stakeholders aan de patiëntenregistraties voor geprioriteerde geneesmiddelen. Het Zorginstituut zal met VWS en zorgverzekeraars onderzoeken op welke manier een complete deelname tot stand kan gebracht worden;
 - o De verantwoordelijkheid voor patiëntenregistraties ligt bij de partijen in de zorg i.h.b. zorgverleners, patiënten, verzekeraars en ziekenhuizen;
 - o Patiëntenregistraties worden onafhankelijk van de farmaceutische industrie bestuurd;
 - o Een structureel model voor de financiering van deze patiëntenregistraties lijkt noodzakelijk en een financiële bijdrage van partijen die belang bij hebben bij deze registratie dient te worden onderzocht;
 - o Bij alle activiteiten rond de Governance sluiten we aan bij het advies van de onafhankelijke commissie 'Governance van kwaliteitsregistraties' dat begin 2019 wordt verwacht.

4.2 Projectmatige aanpak

Het project wordt onderverdeeld in drie deelprojecten in lijn met de eerder genoemde thema's (inhoud, data/ICT en governance). Deze deelprojecten worden in hoge mate parallel aan elkaar uitgevoerd, waarbij onderlinge afhankelijkheden worden geminimaliseerd. Echter, enige overlap is echter niet te voorkomen en daarom zal er een projectgroep worden opgezet met de deelprojectleiders van de 3 thema's en de projectleider (voor opbouw management structuur project zie 5.2 organisatie).

Daarnaast zullen we een aantal case studies uitvoeren die een bijdrage leveren aan alle deelprojecten. Per case studie worden er case managers vanuit het Zorginstituut aangesteld die direct rapporteren aan de projectgroep en continue interactie hebben met de drie deelprojectgroepen.

4.2.1 Deelproject "Inhoud"

Op te leveren producten van dit deelproject zijn: :

- Vaststellen van selectiecriteria voor welke dure geneesmiddelen patiëntenregistraties dienen te worden opgezet (10 maanden, 04/2019 –

²² <https://www.dtlis.nl/fair-data/personal-health-train/>

- 01/2020). Relevante criteria hierbij zijn:
- o Budgetimpact;
 - o onzekerheid over de effectiviteit (bijv. conditional market authorisation (CMA) producten en kosteneffectiviteit;
 - o onduidelijkheid over de plaats van (een) geneesmiddel(en) in behandeling voor een bepaalde diagnose.
- Het vaststellen van richtlijnen met betrekking tot de analyse van gegevens uit patiëntenregistraties ten behoeve van pakketbeheer (21 maanden, 04/2019 – 1/2021)
 - o Definiëren van een conceptkader (v1.0) voor deze richtlijnen gebaseerd op reeds bestaande relevante literatuur en rapporten (04/2019-01/2020)
 - o Inventarisatie van mogelijke methodologische lacunes die moeten worden geadresseerd bijv. door extra onderzoek. Daarbij kan het gaan om de verdere ontwikkeling van methoden zoals ziektemodellen en network meta-analyses (04/2019-09/2019).
 - o Indien nodig, uitzetten en uitvoeren van onderzoek (09/2019-06/2020).
 - o Vaststellen van een definitief kader van richtlijnen op basis van bestaand en nieuw onderzoek, ook gebaseerd op reeds bestaande nationale en internationale initiatieven (07/2020-01/2021).
 - Het ontwikkelen van structureel raamwerk om de interactie tussen dit project en andere programma's zoals *Uitkomstgerichte Zorg*, *Zorgevaluatie Bestaande Zorg*, *Subsidieregeling Veelbelovende Zorg* en *sneller bij de patiënt en Regeling voorwaardelijke toegang geneesmiddelen* te waarborgen. Dit raamwerk zal zowel intern als ook i.s.m. met VWS ervoor moeten gaan zorgdragen dat er voldoende en tijdige afstemming plaatsvindt. Daarbij is het ook van belang dat we overeenkomsten maar ook de verschillen (doelstellingen en resultaten) tussen deze programma's duidelijk definiëren (10 maanden, 04/2019 – 01/2020).

4.2.2 Deelproject "Data/ICT"

Op te leveren producten van dit deelproject zijn:

- Vaststellen van de relevante uitkomstenset voor pakketbeheer. Hierin is bepaald welke vaste informatie minimaal aanwezig moet zijn in elke registratie en welke specifiek per diagnose/indicatie;
 - o Vaststelling concept (v1.0) relevante uitkomstenset (9 maanden, 04/2019 – 01/2020)
 - o Definitief voorstel voor relevante uitkomstenset V2.0 op basis van case studies (12 maanden 01/2020 – 01/2021)
- Ontwikkeling van informatiestandaarden voor dit project:
 - o Inventarisatie van reeds beschikbare informatiestandaarden (9 maanden, 04/2019 – 01/2020)
 - o Vaststellen definitieve informatiestandaarden mede op basis van case studies (12 maanden 01/2020 – 01/2021)
- Vaststellen van de uitgangspunten waaraan de IT-systemen moeten voldoen om te borgen dat verschillende initiatieven voldoen aan wetgeving met betrekking tot bescherming van privacy, FAIR zijn in opzet en aansluiten op de uitgangspunten van "Registratie aan de bron".
 - o Een eerste voorstel van uitgangspunten (6 maanden, 07/2019 – 01/2020)
 - o Definitieve uitwerking van de uitgangspunten op basis van case studies (12 maanden 01/2020 – 01/2021)

4.2.3 *Deelproject "Governance"*

Gedurende dit gehele project zal nauw aansluiting worden gezocht met de andere activiteiten zoals discussies rond de Governance van kwaliteitsregistraties maar ook de activiteiten en discussies als onderdeel van het VWS Informatieberaad.

Op te leveren producten van dit deelonderwerp in dit project zijn:

- Een visiedocument dat de verantwoordelijkheden en rollen van de verschillende veldpartijen en overheidsorganisaties, zoals VWS en het Zorginstituut, bij de opzet en continuering van de patiëntenregistraties van dure geneesmiddelen beschrijft. De uitvoering van dit product is afhankelijk van en zal aansluiten bij het advies van de onafhankelijke commissie 'Governance van kwaliteitsregistraties'. Het tijdspad voor deze activiteit zal afhangen van beschikbaarheid van dit advies (verwacht in 06/2019). Ons visiedocument kan ook een analyse over de rol van reeds bestaande registratiepartijen (DICA, IKNL, DHD, etc.) in de toekomstige governance van patiëntenregistraties voor dure geneesmiddelen bevatten (6 maanden, 05/2020-11/2020).
- Een inventarisatie van financieringsmodellen voor patiëntenregistraties. Dit deelonderwerp kan verder onderverdeeld worden in:
 - o Een visiedocument over wat de mogelijke acceptabele kosten- en baten van deze registraties kunnen zijn/worden (6 maanden, 05/2020 – 11/2020).
 - o Een analyse van de bestaande modellen van financiering en een verdere uitwerking van mogelijke structurele publieke en private modellen van financiering van registraties. Deze analyse betreft hierin ook de mogelijke rol van verschillende veldpartijen (12 maanden, 11/2020 – 11/2021);

4.2.4 *Case studies*

Minimaal 2 case studies zullen samen met de partijen uit de zorg worden opgezet.

Criteria voor deze case studies zijn:

- Bij voorkeur 1 case studie voor (een) oncologisch geneesmiddel(en) en 1 case studie voor (een) niet-oncologische weesgeneesmiddel(en);
- Deze geneesmiddelen zullen onderdeel worden van een pakketadvies;
- Sluit zoveel als mogelijk aan bij reeds bestaande patiëntenregistraties;
- Maakt gebruik van dataverzameling aan de bron en verbinding van verschillende databestanden;
- Betrokkenheid van de veldpartijen;
- Mogelijkheid om financierings- en governance modellen te testen;
- Bij voorkeur ook een internationale samenwerking (i.h.b. voor de case studie met (een) niet-oncologische weesgeneesmiddel(en)).

De case studies zullen i.s.m. de expertisegroep worden geselecteerd in de definitiefase en uitgevoerd in de productiefase

4.2.5 *Wettelijke kaders en randvoorwaarden*

Wettelijke kaders

- De uitkomsten van dit project 'regie op registers' kunnen leiden tot een wettelijk kader voor de patiëntenregistraties voor dure geneesmiddelen. Dit kader zou bindend kunnen worden voor alle nieuwe geneesmiddelen/groepen die in aanmerking komen;
- Het te ontwikkelen kader sluit aan op andere ontwikkelingen met betrekking het verzamelen van patiëntgegevens.

Randvoorwaarden

- Alle veldpartijen nemen deel aan de vormgeving van dit kader voor patiëntenregistraties voor dure geneesmiddelen;
- Het Ministerie is bereid om naar aanleiding van de uitkomsten van dit Project maatregelen te nemen die mogelijk een meer verplichtend karakter van de deelname van betrokken partijen aan deze patiëntenregistraties faciliteert.

4.3 Fasering

De 3 deelprojecten worden in 3 fases uitgevoerd: een definitiefase, een productiefase en implementatiefase. Daarbij zal in de definitiefase met name de nadruk liggen op het deelproject 'inhoud' en in mindere mate op 'data/ICT' terwijl in de productiefase de nadruk op 'data/ICT' zal liggen. De meeste activiteiten rond het deelproject 'governance' zullen starten in de productiefase en vorm krijgen in de implementatiefase. Aan het eind van de definitiefase volgt er een evaluatiemoment. VWS als opdrachtgever en het Zorginstituut als opdrachtnemer zullen gemeenschappelijk moeten vaststellen of de uitvoering in lijn is met de opdracht. Vervolgens zullen ze moeten bepalen of en op welke manier het project in daaropvolgende fasen zal moeten voortgezet worden.

Deze fases maken deel uit van een iteratief proces; zo zullen na 12 maanden de eerste resultaten worden opgeleverd, zoals een **relevante concept uitkomstenset V1.0** en **concept methodenkader V1.0** die gebruikt kunnen worden voor actuele vragen rond het gebruik van patiëntenregistraties voor dure geneesmiddelen in 2019 en 2020. Naar aanleiding van de ervaringen met de case studies en de andere activiteiten in het veld kunnen deze producten daarna worden geactualiseerd.

Definitiefase (04/2019 tot 05/2020):

- a Het samenstellen van een interne projectgroep en deelprojectengroepen voor de 3 projecten;
- b Het organiseren van een kick-off meeting met ruime deelname vanuit alle veldpartijen;
- c Het instellen en start van een externe expertisegroep. De expertisegroep bestaat uit deskundigen uit de verschillende relevante veldpartijen en houdt zich in eerste instantie bezig met de deelprojecten "inhoud" en "data/ICT". Activiteiten rond Governance vallen buiten de scope van deze expertisegroep²³
- d Het selecteren van een tweetal case studies. De criteria voor deze case studies zijn (worden nader ingevuld m.b.v. de expertisegroep):
 - Reeds bestaande patiëntenregistraties;
 - Aansluitend op een (toekomstige) pakketvraag van het Zorginstituut
 - Betrokkenheid van alle relevante veldpartijen;
 - Bij voorkeur gebaseerd op basis van verschillende databronnen;
- e Het ontwikkelen van een eerste voorstel voor een relevante uitkomstenset (V1.0). Dit gebeurt i.s.m. de expertisegroep. Deze uitkomstenset V1.0 zal leidend moeten zijn voor reeds lopende initiatieven rond patiëntenregistraties voor dure geneesmiddelen;
- f De ontwikkeling en vaststelling van een relevante set criteria om tot de selectie van dure geneesmiddelen te komen die aanmerking komen voor een patiëntenregistratie (deelproject "inhoud"). Deze set zal mede de agenda bepalen voor de selectie van patiëntenregistraties voor dure

²³Voor activiteiten rond Governance wordt aangesloten bij de Onafhankelijke Commissie 'Governance van kwaliteitsregistraties' van wie een advies wordt verwacht in het tweede kwartaal van 2019.

- geneesmiddelen vanaf de productiefase;
- g Het ontwikkelen van structureel raamwerk i.s.m. de betrokken directies binnen VWS om de interactie tussen dit project en andere programma's zoals Uitkomstgerichte Zorg, Zorgevaluatie Bestaande Zorg, Subsidieregeling Veelbelovende Zorg sneller bij de patiënt en het Informatieberaad te waarborgen. Daarbij is het ook van belang dat we overeenkomsten maar ook de verschillen (doelstellingen en resultaten) tussen deze programma's duidelijk definiëren;
 - h Het opstellen van een eerste kader (V1.0) van beschikbare methoden voor de analyse van gegevens uit patiëntenregistraties (deelproject "inhoud"). Onder methodiekontwikkeling verstaan we de ontwikkeling van epidemiologische en gezondheidseconomische methoden om gegevens uit praktijk accuraat en betrouwbaar te kunnen analyseren. Dit kader zal leidend moeten zijn voor pakketbeheer en gepast gebruik. Naast een kader op basis van reeds bestaande methoden zullen we ook adviseren waar nog additionele methodiekontwikkeling zal moeten plaatsvinden. Kan i.s.m. de expertisegroep en de Academische Werkplaats HT&A.
 - i Vaststelling van een advies m.b.t. relevante internationale ontwikkelingen op het gebied van patiëntenregistraties voor dure geneesmiddelen. Dit advies zal vaststellen op welke gebieden de internationale samenwerking een meerwaarde heeft. Gedurende deze periode zal ook al actief samenwerking worden gezocht met de meest relevante initiatieven.
 - j Regie op bestaande en nieuwe initiatieven zodat deze aansluiten bij de inhoudelijke en organisatorische ontwikkelingen binnen dit project.

Zoals eerder aangegeven zal aan het einde van de definitiefase een evaluatiemoment plaatsvinden. VWS als opdrachtgever en het Zorginstituut als opdrachtnemer zullen dan gemeenschappelijk moeten vaststellen of de uitvoering in lijn is met de opdracht en of en op welke manier het project in daaropvolgende fasen zal moeten voortgezet worden.

Productiefase (05/2020 tot 05/2022):

- a Het starten en uitvoeren van case studies;
 - Starten en uitvoeren van minimaal 2 case studies, bijv. op het gebied op de oncologie en niet-oncologische weesgeneesmiddelen;
 - Rapportage van case studies met daarbij adviezen voor alle 3 projecten;
- b Vaststellen informatiestandaarden voor de patiëntenregistraties (deelproject "data/ICT");
- c Vaststellen definitieve uitkomstenset op basis van de resultaten van de case studie (deelproject "data");
- d Roadmap registratie aan de bron (deelproject "data/ICT"). Dit project bestaat uit twee fasen:
 - Een rapport met een overzicht van de verschillende opties op de korte-, midden en lange termijn;
 - Voorstel om tot registratie aan de bron te komen;
- e Voorstel om tot implementatie van FAIR bij de opzet van patiëntenregistraties voor dure geneesmiddelen te komen (op basis van ZIN FAIR rapport)
- f Project interoperabiliteit IT systemen en verbinding verschillende databronnen (deelproject "data/ICT"). Dit project behandelt ook de toegankelijkheid tot data, voorwaarden AVG/GDPR. Dit project bestaat twee delen;

- Een rapport met een overzicht van de verschillende opties op de korte-, midden en lange termijn;
- Voorstel tot verbetering van interoperabiliteit IT systemen en databronnen;
- g Financieringsmodellen voor patiëntenregistraties (deelproject "governance"). Dit traject zal in een aantal onderdelen verdeeld dienen te worden:
 - Rapport Inventarisatie van gebruikte modellen, nationaal en internationaal;
 - Ontwikkeling van een aantal scenario's voor financiering van patiëntenregistraties;
- h Bepalen in hoeverre wettelijke kaders voor patiëntenregistraties mogelijk zijn (centraal in de projectgroep)

Implementatiefase (05/2022 tot 05/2024):

- a Publiceren pakketadviezen op basis van de case studies (deelproject "inhoud")
- b Uitlijnen van al lopende initiatieven naar nieuwe uitgangspunten (bijbehorende impactanalyse moet onderdeel zijn van de productiefase)
- c Aansturen van opzetten van nieuwe registraties waar nog geen registraties beschikbaar zijn voor diagnosegroepen met nieuwe high-impact behandelingen (Horizon scan)
- d Het mogelijk wettelijk verankeren van producten uit dit project zoals het registerkader en informatiestandaarden.

In deze uitvoeringstoets richten wij ons eerst op de definitiefase. Hierbij dient te worden opgemerkt dat een aantal activiteiten, die onderdeel uitmaken van de deelprojecten 'inhoud' en 'data/ICT', aan elkaar gerelateerd zijn. Zo is er een relatie tussen de ontwikkeling van methoden ("inhoud") en een relevante uitkomstenset ("data/ICT"). Om die reden zullen deze activiteiten iteratief worden uitgevoerd en zullen de projectleiders van de deelprojecten "inhoud" en "data/ICT" elkaar in de overkoepelende projectcommissie structureel informeren over de voortgang van deze activiteiten. Ook dient te worden opgemerkt dat activiteiten rond het deelproject 'governance' pas in de productiefase hun concrete vorm zullen krijgen en afgerond in de implementatiefase.

De precieze planning en inhoud van de productiefase en implementatiefase zal gedurende de definitiefase nader worden vastgesteld. En aan het eind van de definitiefase volgt het eerder genoemde evaluatiemoment waarbij ook het getoonde commitment van de veldpartijen een belangrijke rol zal spelen in keuze of en hoe dit project wordt voortgezet. Verder is het van belang op te merken dat gedurende het project kwesties rond (nieuwe en bestaande) registraties een bestaande activiteit is waar het Zorginstituut zich op zal richten. In hoofdstuk 4.6 zal hier nader op worden ingegaan.

4.4 Veldpartijen

De volgende partijen zullen worden betrokken gedurende de looptijd van de opdracht. Deze lijst is niet uitputtend en dynamisch.

Wie	Rol
Patiënten en hun koepels (PN, NFK, VSOP)	Actieve bijdrage m.b.t. relevante uitkomstmaten, toepassing van gegevens uit patiëntenregistraties voor shared decision making etc.
Zorgaanbieders, behandelaren (en koepels) (NVZ, NFU, MFS, etc)	Draagvlak zodat alle partijen gezamenlijk een kader voor de verzameling van gegevens van patiëntenregistraties gaan vormgeven.
CBG/EMA en Lareb	Aansluiting op (internationaal) regulator proces. Daarbij zal ook actief worden aangesloten bij de activiteiten van de European Medicines Agency (EMA) rond het gebruik van patiëntenregistraties.
Registratiepartijen/infrastructuur (IKNL, DICA, DHD, Health-RI ²⁴ etc.)	Draagvlak en technische ondersteuning om tot een gemeenschappelijk kader voor patiëntenregistraties te komen
ZonMW	Bijdrage aan toezicht en financiering patiëntenregistraties
Beleidsmakers (VWS)	Financiering en de ontwikkeling van mogelijke wetgeving om de deelname aan, en de organisatie van patiëntenregistraties vast te leggen.
Brancheorganisaties zoals Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen (VIG)	Maatschappelijk draagvlak voor uniformering en standaardisering van patiëntenregistraties.
Inhoudelijke experts	Methodologen uit Universitaire Centra
Zorgverzekeraars (ZN)	Link tussen registratietrajecten en vergoeding

Bij het inrichten van het project zal nader en in overleg met de desbetreffende partijen moeten worden bepaald wie er plaatsneemt in de expertisegroep.

4.5 Relatie met lopende initiatieven

Er zijn verschillende andere initiatieven en programma's waar deze opdracht aan raakt. Een eerste verkenning laat de volgende aanpalende gremia en ontwikkelingen zien waar dit project rekening mee houdt:

	Raakvlak
Programma "Zorgevaluatie en Gepast Gebruik"	Programma om tot een structurele rol van zorgevaluatie als onderdeel van de reguliere zorgprocessen en zorgverlening te komen. Focus ligt op gepast gebruik waaronder ook de dure geneesmiddelen vallen. Doel moet zijn dat een structuur voor patiëntenregistraties wordt ontwikkeld dat ook bruikbaar is voor deze zorgevaluatie taak.
Subsidieregeling Veelbelovende Zorg sneller bij de patiënt	Dit voorstel voor deze subsidieregeling is onderverdeeld in drie stromen in welke verschillende vormen van zorg voorwaardelijk

²⁴ <https://www.health-ri.org/>

	gefinancierd worden. In alle drie stromen zitten dure geneesmiddelen waarvoor we ook, naast RCTs, mogelijk patiëntenregistraties voor willen/moeten opzetten.
Regeling voorwaardelijke toegang geneesmiddelen	Geneesmiddelen worden in deze regeling voorwaardelijk toegelaten met een verplichting tot onderzoek, waarbij registers een onderdeel van kunnen vormen.
Programma Uitkomstgerichte Zorg	Het Zorginstituut heeft de afgelopen tijd met VWS een aanzet gegeven tot de ontwikkeling naar uitkomstgerichte zorg in brede zin. Het gaat over het proces van indicatorontwikkeling, registratie, analyse, terugkoppeling en gebruik in de spreekkamer doorlopen en afronden. Dus het maken van een keuze voor een behandeling in een proces van Samen Beslissen. Er wordt gekeken naar wat het beste past bij de specifieke situatie van de patiënt. Hierbij staan de gebruiksdoelen kwaliteit van zorg verbeteren, keuze voor een zorgaanbieder en zorginkoop informatie ook centraal. Op dit moment zijn het Zorginstituut en VWS in overleg met de bestuurlijke koepels om de governance en implementatie van dit programma verder vorm te geven.
Subsidieregeling Transparantie over kwaliteit van zorg	Subsidieregeling voor projecten gericht op het voor patiënten beter vindbaar en begrijpelijk maken van informatie over kwaliteit van zorg. Het thema voor 2019 is het gebruiken van uitkomstinformatie voor Samen Beslissen in de ketens in de curatieve zorg. Uitkomsten van projecten op basis van dit thema zijn gefinancierd kunnen ook relevant zijn voor ons programma.
Informatieberaad Zorg	Bestuurlijke samenwerking van VWS en deelnemers uit het zorgveld om te komen tot een duurzaam informatiestelsel in de zorg. Dit project zal ook aansluiten bij generieke doelen van het informatieberaad m.b.t. gegevensuitwisseling.
Commissie Van der Zande	Deze commissie kijkt naar de bestaande en gewenste rollen en verantwoordelijkheden (de 'governance') rond het beheer en de bewerking van kwaliteitsregistraties (inclusief het gebruik van bestaande databronnen) ²³ Het Zorginstituut zal de uitkomsten van deze commissie meenemen in zijn advies aan VWS.
ZonMw GGG programma Patiëntenregistraties	Vanuit dit programma wordt de opstartfase van patiëntenregistraties gefinancierd. Het Zorginstituut zal met ZonMw kijken hoe synergie tussen beide initiatieven te bereiken is.

4.6 Relatie met internationale initiatieven

Er zijn verschillende Europese initiatieven en programma's waar deze opdracht aan raakt. Een eerste verkenning laat een aantal projecten/initiatieven zien waar dit project rekening mee houdt. Deze lijst zal in de definitiefase verder uitgebreid en samenwerking met de meest relevante projecten zal worden gezocht.

	Raakvlak
BeneluxA ²⁵	Samenwerkingsverband tussen Benelux en Oostenrijk (en later Ierland) op het gebied van beoordeling, vergoeding en prijsonderhandeling van dure geneesmiddelen. In sommige gevallen leiden deze onderhandelingen ook een verzoek tot het opzetten van een multinationale patiëntenregistratie.
EUnethA ²⁶	Samenwerkingsverband tussen alle EU lidstaten op het gebied van beoordelingen van zorginterventies zoals geneesmiddelen. Gefinancierd door de Europese Commissie. Een werkpakket (WP5B) houdt zich bezig met patiëntenregistraties.
IMI-GetReal Initiative ²¹	Europees project gesubsidieerd door Innovative Medicines Initiative (IMI) waarin methodieken voor het gebruik van data uit patiëntenregistraties voor beoordelingen verder worden ontwikkeld
European Reference Networks (ERN) ²⁷	Europese Referentie Netwerken voor weesgeneesmiddelen waar expertisecentra in Europa samenwerken. Een doel is om gemeenschappelijk patiëntenregistraties op te zetten.

Gedurende het hele project maar vooral in de definitiefase zullen de stakeholders uitgebreid betrokken worden om de raakvlakken met allerlei initiatieven in kaart te kunnen brengen. Daarbij zullen we (niet-exclusief) onderscheid moeten maken tussen:

- Initiatieven waar het Zorginstituut de regiorol heeft en initiatieven waar andere partijen leidend zijn;
- Initiatieven waar de focus op pakketbeheer ligt en waar de focus op kwaliteit van zorg ligt;
- Initiatieven waar de focus op de inhoudelijke zorg ligt en initiatieven waar de focus op informatiemanagement ligt.

4.7 Risico's

Hieronder worden een aantal risico's opgesomd. Het gaat hier om een weergave van de belangrijkste risico's. In de uitwerking van de verschillende deelprojecten zal een gedetailleerde risicoanalyse worden gemaakt, aangevuld met maatregelen om deze risico's te minimaliseren.

- Interferentie met lopende initiatieven;

²⁵ <http://beneluxa.org/>

²⁶ <https://www.eunetha.eu/>

²⁷ <https://www.eurordis.org/european-reference-networks>

- Beperkte voortgang door het uitblijven van een gedeelde basis en als gevolg daarvan de bereidheid om bij te dragen aan de realisatie van het project door verschillende veldpartijen;
- "Project-creep" (verschuiving of verbreding van de scope van het project);
- Interne afhankelijkheden tussen de verschillende project-onderdelen die de planning kunnen bedreigen;
- Gebrek aan beschikbare capaciteit/expertise (binnen projectteam en expertisegroep);
- Werkzaamheden die vervallen wanneer het project na het evaluatiemoment niet of beperkt wordt voortgezet

Als tegenmaatregelen zullen deze risico's als uitgangspunten en voorwaardenscheppend zijn voor de manier waarop het project de eigen werkwijze zal vormgeven. Belangrijk onderdeel daarbij is het faseren van de uitvoering om voldoende ruimte te maken voor samenwerking met betrokkenen. De werkwijze wordt ingericht als een lerend proces, waarbij het organiseren van een permanente dialoog en communicatie van voortschrijdende inzichten een centrale rol speelt. Gedurende de hele doorloop van het project is nadrukkelijk aandacht voor de (tussentijdse) implementatie van de uitkomsten.

Aan het eind van de definitiefase (mei 2020) volgt een evaluatiemoment waarin we met VWS vaststellen of de gekozen werkwijze tot gewenste resultaten leidt. Hier kan besloten worden of en hoe dit project wordt doorgezet

In het geval dat dit project wordt gestopt, kan dit betekenen dat werkzaamheden en ingevulde functies komen te vervallen. Dat zal voor de definitiefase betekenen dat fulltime functies in hoge mate tijdelijk worden ingevuld.

Verder zal over de communicatie tussen projectteam en het bestuur van het Zorginstituut, en met VWS aparte afspraken gemaakt moeten worden. Dit om ervoor te zorgen dat de richting aansluit op de verschillende wensen.

4.8 Communicatie

Een goede communicatiestrategie en -uitvoering daarvan zijn essentieel voor dit project waar het creëren van draagvlak en de medewerking van alle betrokkenen de sleutel tot succes is. Er zijn ook verschillende andere lopende initiatieven en programma's waar deze opdracht aan raakt; een goede samenwerking en afstemming hiermee vraagt vanaf de start om een heldere en transparante projectcommunicatie. Daarom is het belangrijk dat de bij de start van het project benodigde communicatiestrategie en de bijbehorende -planning (van de uitvoering) voor die start al klaar zijn. Gedurende de looptijd van dit project (tot na 2022) worden op basis van de verdere invulling van het project ook de communicatieactiviteiten (op basis van de start geformuleerde strategie) verder ingevuld. Voor de voorbereiding en uitvoering (in het eerste jaar) van de op te stellen communicatiestrategie zijn in dit plan de benodigde budgetten opgenomen; deze zijn o.a. voor een communicatieadviseur, de productie van communicatiemiddelen (infographics, animaties, tekst, etc.) en de organisatie van bijeenkomsten.

5 Vervolg

5.1 Stappen

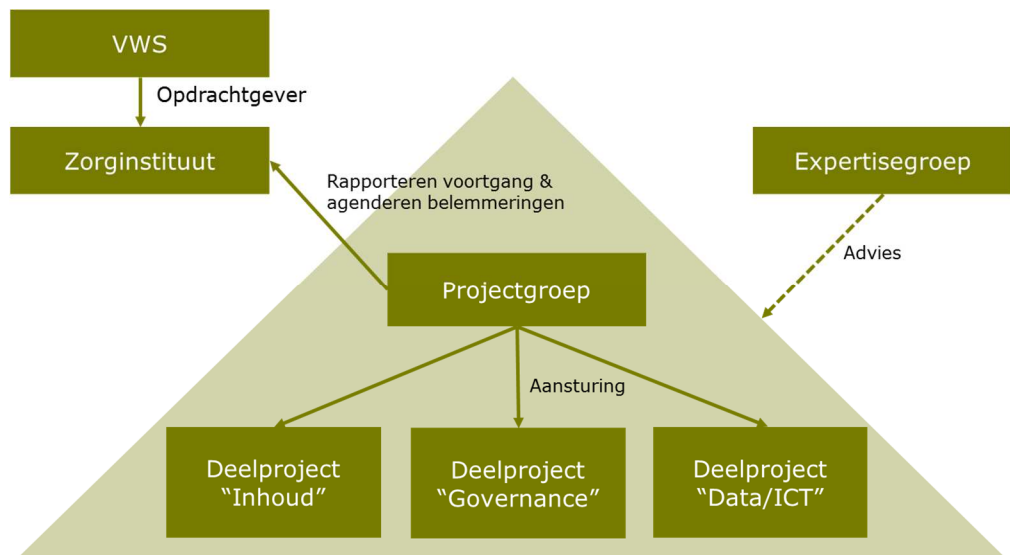
De eerste vervolgstap zal zijn om het project te gaan inrichten. Hiervoor zien wij de volgende activiteiten als noodzakelijk:

- Samenstellen intern projectteam Zorginstituut
- Samenstellen expertisegroep
- Communicatie richting de relevante veldpartijen
- Planning kick-off (symposium waarbij lopende initiatieven rondom patiëntenregistraties voor dure geneesmiddelen zich aan elkaar kunnen presenteren?)
- Uitwerken gedetailleerde planning definitiefase.

5.2 Organisatie

De organisatie van het project is weergegeven in figuur 1.

Figuur 1: Organogram Project Regie op Registers



VWS is de opdrachtgever aan het Zorginstituut. Het Zorginstituut zal VWS regelmatig in een voortgangsoverleg op de hoogte houden van de voortgang en benaderen voor nadere afstemming. Dit geldt specifiek voor de Directie Geneesmiddelen en Medische Technologie (GMT) en Directie Informatiebeleid (DI) binnen VWS.

De expertisegroep levert bijdrage aan het gehele project. Binnen de expertisegroep zal VWS een waarnemend lid aanwezig hebben.

5.3 Planning

De opdracht is nog niet definitief verleend. We hebben daarom een eerste ruwe planning op basis van de tijd die nodig is na verlening van de opdracht.

	Wat	Wanneer	Go / No go besluit
0	Uitvoeringstoets: richting voor opdracht	maart 2019	Sluit de richting aan bij beoogde opdracht voor opdrachtgever VWS?
0	Opdrachtverlening	Nnb	
1	Definitiefase • Verdere uitwerking van Visie (plan van aanpak) • Projectorganisatie • Betrokkenheid • Initiatie Expertisegroep • Kick-off bijeenkomst • Uitwerking financiën voor fase 2 • Plan van aanpak, incl planning, risico's, kwaliteitsmanagement • Beschrijving en start van de case studies • Uitvoering andere taken	april 2019 - mei 2020	Gaat VWS als opdrachtgever de middelen beschikbaar stellen voor de productiefase op basis van het resultaat in de definitiefase? Evaluatiemoment voor mei 2020 Is er voldoende draagvlak voor de aanpak vanuit de betrokkenen?
2	Productiefase • Verder uitwerking van de basisstructuur • Opzet en uitvoering van de case studies • Verder uitwerking van realistische planning	mei 2020-mei 2022	Verdere integratie met andere programma's
3	Implementatiefase	mei 2022-mei 2024	Wordt nader uitgewerkt in definitiefase en productiefase

Zorginstituut Nederland

Voorzitter Raad van Bestuur

Sjaak Wijma