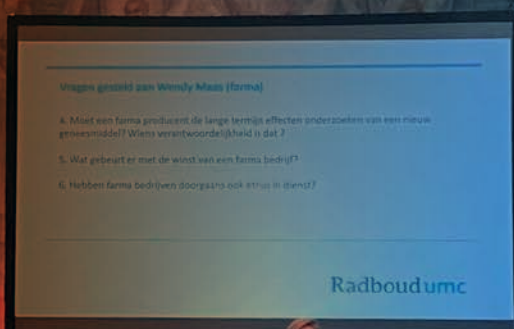


‘Niet tegen elke prijs’

Burgerraadpleging Dure Geneesmiddelen



Juni 2025

Radboudumc

‘NIET TEGEN ELKE PRIJS’

BURGERRAADPLEGING DURE GENEESMIDDELEN

Colofon

Auteurs

Prof Dr Rob Baltussen, Dr Ir Leon Bijlmakers, Dr Maarten Jansen,
Dr Marcia Tummers, Mw Flora Brok (allen Radboudumc).

Uitvoering

Radboudumc, in opdracht van het programma Maatschappelijk
Aanvaardbare Uitgaven Geneesmiddelen (MAUG), een
samenwerking van Autoriteit Consument & Markt, Nederlandse
Zorgautoriteit en het Zorginstituut Nederland.

Mogelijk gemaakt door

Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport.

Dankwoord

Met dank aan het M-Select team van Motivaction voor het werven
van deelnemers aan het Burgerforum; Marcel Voorn (Motivaction)
voor het modereren van het Burgerforum; Niek Stadhouders
(Radboudumc) voor methodologische ondersteuning bij het ontwerp
van de online enquête; en Jeroen Bruin (Motivaction) voor
assistentie bij het ontwerp en de uitvoering van de online enquête.

Met dank aan het programma MAUG voor de input en feedback.

Vormgeving & opmaak

Gloedcommunicatie, Nijmegen

Foto's

Paul van Laere

Filmverslag

Paul van Laere en Nelleke Dinnissen – Valadin Film, Nijmegen

Dit rapport, het bijbehorend burgerstandpunt en een kort film-
verslag zijn te downloaden via www.radboudumc.nl/Burgerforum en
www.maug.nl/maug/burgeronderzoek

Datum

Juni 2025



Inhoud

Samenvatting	6
1 Inleiding	10
Deel 1 – Het Burgerforum	13
2 Methodologie	14
3 Resultaten	20
4 Discussie en conclusies	28
Deel 2 – De online enquête	35
5 Methodologie	36
6 Resultaten	40
7 Discussie en conclusies	46
Deel 3 – Einddiscussie en conclusies	49
8 Einddiscussie en conclusies	50
Literatuur	56
Bijlagen	58



Samenvatting

Inleiding

Geneesmiddelen spelen een belangrijke rol in de zorg: ze verlengen levens, verlichten klachten en verbeteren de kwaliteit van leven. Tegelijkertijd worden veel nieuwe geneesmiddelen steeds duurder. Behandelingen boven de €100.000 per patiënt per jaar zijn geen uitzondering meer, terwijl vaak onzeker is hoe goed ze werken en voor wie. De uitgaven aan dure geneesmiddelen blijven stijgen, en het is moeilijk gebleken hier beleidsmatig voldoende grip op te krijgen.

Deze ontwikkeling roept fundamentele vragen op: zijn deze prijzen maatschappelijk verdedigbaar? En hoe moeten we het beperkte zorgbudget inzetten om publieke waarde te realiseren? Omdat de zorg uiteindelijk door burgers wordt betaald – via belastingen en premies – is het belangrijk dat de door de overheid gemaakte keuzes ten aanzien van vergoeding breed gedragen worden in de samenleving en rechtvaardig zijn.

De overheidsorganisaties Autoriteit Consument en Markt (ACM), Nederlandse Zorgautoriteit (NZa) en Zorginstituut Nederland (ZIN), ondersteund door het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS), zijn in 2023 gestart met het programma *Maatschappelijk Aanvaardbare Uitgaven Geneesmiddelen* (MAUG). Het doel van het programma is om vanuit het oogpunt van kwaliteit, betaalbaarheid en toegankelijkheid van zorg vast te stellen: I) wat maatschappelijk aanvaardbare prijzen van en uitgaven aan geneesmiddelen zijn, II) welke elementen dit bepalen en III) hoe deze elementen gezamenlijk en duurzaam kunnen worden toegepast zodat de uitgaven aan geneesmiddelen in lijn komen met wat maatschappelijk aanvaardbaar is.

Dit rapport draagt hieraan bij door te onderzoeken welke overwegingen burgers belangrijk vinden bij het beoordelen van hoge prijzen voor geneesmiddelen. Daarbij is gekeken of deze voorkeuren richting kunnen geven aan maatschappelijk legitimeerd pakketbeheer.

Deel 1 – Het Burgerforum

Het Burgerforum had als doel om inzicht te krijgen in de overwegingen die voor burgers een rol spelen bij het bepalen van de maatschappelijke aanvaardbaarheid van prijzen en uitgaven aan geneesmiddelen, en welke zij daarbij meer of minder belangrijk vinden. Het Burgerforum vond plaats tijdens twee weekenden in oktober en november 2024 en bracht 24 burgers samen, geselecteerd op basis van het Mentality™-model om een brede afspiegeling van de samenleving te waarborgen. Aan de hand van vijf casussen over dure geneesmiddelen gingen zij in

gesprek over de maatschappelijke aanvaardbaarheid van hoge prijzen. Deelnemers ontvingen toegankelijke informatie over aandoeningen, behandelingen, werking, kosten en impact, en spraken met vier experts. In gezamenlijke oefeningen formuleerden zij argumenten voor en tegen vergoeding, selecteerden de belangrijkste overwegingen en bespraken prioriteiten. Dit resulteerde in een lijst van 16 overwegingen, onderverdeeld in vier domeinen: kenmerken van de aandoening, kenmerken van behandeling, Prijsstelling en impact op het zorgsysteem en de maatschappij in het algemeen (Figuur 1).

Figuur 1: Overwegingen bij beoordeling van de maatschappelijke aanvaardbaarheid van hoge prijzen en uitgaven aan geneesmiddelen



Deelnemers bereikten brede overeenstemming over de noodzaak van kritische beoordeling van geneesmiddelenprijzen. Zij onderstreepten dat hogere prijzen alleen te rechtvaardigen zijn bij ernstige aandoeningen of aantoonbare maatschappelijke waarde, en vroegen om heldere grenzen, meer transparantie en een maatschappelijk verantwoorde houding van fabrikanten. De uitkomsten van het Burgerforum werden vastgelegd in een gezamenlijk burgerstandpunt met aanbevelingen aan overheid, fabrikanten, artsen en medeburgers.

Het forum liet zien dat burgers bereid zijn complexe afwegingen te maken, duidelijke voorkeuren hebben, waar nodig ‘nee’ te zeggen en dit ook van de overheid verwachten. Deelnemers toonden bovendien een duidelijke leercurve: hun inzichten verdiepten zich tijdens het proces, en zij kregen meer begrip voor de dilemma’s waarmee beleidsmakers zich geconfronteerd zien. De aanbevelingen die zij formuleerden sluiten nauw aan bij het bestaande beleid, maar roepen ook op tot verdergaande maatregelen – waaronder een striktere aanpak van excessieve prijsstelling en structurele betrokkenheid van burgers bij besluitvorming.

Deel 2 – De online enquête

Om de bevindingen uit het Burgerforum te toetsen bij een bredere groep burgers, is een representatieve enquête uitgevoerd onder 884 Nederlanders. Deelnemers werd gevraagd in hoeverre zij bereid zijn (meer of minder) te betalen voor geneesmiddelen, op basis van een set van overwegingen die voortkwamen uit het Burgerforum. De resultaten bevestigen grotendeels de lijn van het Burgerforum: burgers accepteren een hogere prijs als een geneesmiddel veel gezondheidswinst oplevert, er sprake is van rechtvaardige toegang en bijdraagt aan maatschappelijke participatie. Daarentegen zijn zij terughoudend bij onzekerheid over de effectiviteit of veiligheid van een geneesmiddel, als het om een bestaand geneesmiddel gaat dat slechts een geringe innovatie heeft ondergaan, of wanneer de prijs als onredelijk hoog wordt ervaren. Bovendien laat de enquête zien dat onzekerheid over de effectiviteit van een geneesmiddel niet alleen direct leidt tot minder draagvlak voor hogere prijzen, maar ook maakt dat burgers andere overwegingen kritischer beoordelen.

Deel 3 – Conclusies

Concluderend laten de bevindingen uit het Burgerforum en de enquête een rijk en consistent beeld zien van hoe burgers denken over hoge geneesmiddelenprijzen. Zij maken duidelijke inhoudelijke en morele afwegingen, en stellen grenzen aan wat zij maatschappelijk aanvaardbaar vinden. Deze inzichten bieden belangrijke aanknopingspunten voor beleid. Op basis hiervan kunnen de volgende conclusies en implicaties worden getrokken.

1. Duidelijk ‘nee’ durven zeggen hoort bij verantwoord pakketbeheer.

Burgers vinden dat de overheid, waar nodig, moet weigeren om dure geneesmiddelen te vergoeden die onvoldoende effectief zijn of waarvan de prijs maatschappelijk onaanvaardbaar is. Dat vraagt om politieke moed, maar ook om goed onderbouwde en transparante keuzes. Zulke duidelijkheid is cruciaal om het publieke vertrouwen in het zorgsysteem te behouden.

2. Burgers maken inhoudelijke en morele afwegingen over geneesmiddelenprijzen.

Zij zijn eerder bereid hogere prijzen te accepteren bij ernstige aandoeningen, volledige genezing of wanneer een geneesmiddel bijdraagt aan verbeterde kwaliteit van leven, gelijke toegang of maatschappelijke participatie. Tegelijkertijd trekken zij duidelijke grenzen: twijfel over effectiviteit, beperkte innovatie of buitensporige prijzen ondermijnen de aanvaardbaarheid. Beleidsmakers doen er goed aan deze voorkeuren expliciet te betrekken bij pakketbeheer.

3. Zowel het Burgerforum als de enquête laten zien dat burgers strategisch marktgedrag van fabrikanten kritisch beoordelen.

Zij accepteren commerciële belangen, maar wijzen buitensporige winst, gebrek aan transparantie en erg hoge prijzen bij minimale vernieuwing resoluut af. Ze vinden dat geneesmiddelenprijzen in verhouding moeten staan tot ontwikkelkosten en maatschappelijke waarde. De overheid moet daarom duidelijke grenzen stellen aan onredelijke prijzen en transparantie eisen van de zijde van fabrikanten.

4. De context waarin een geneesmiddel wordt beoordeeld is bepalend.

Bij onzekerheid over de effectiviteit van een geneesmiddel neemt niet alleen de bereidheid tot betaling af, maar worden ook andere overwegingen zoals kosteneffectiviteit en maatschappelijke participatie extra kritisch beoordeeld. Burgers lijken in zulke gevallen strengere eisen te stellen aan de waarde van een geneesmiddel. Beleidskaders zouden daarom expliciet rekening moeten houden met contextuele factoren zoals onzekerheid.

5. Het huidige beoordelingskader van het Zorginstituut sluit goed aan bij maatschappelijke voorkeuren, maar kan worden aangescherpt.

De 16 overwegingen uit het Burgerforum sluiten grotendeels aan bij de formele criteria van het Zorginstituut. Burgers benadrukken daarbij expliciet het belang van maatschappelijke verantwoording van winst, oftewel hoe farmaceutische bedrijven hun winst besteden. Ook onzekerheid over effectiviteit blijkt een cruciale contextfactor, omdat burgers daardoor kritischer naar andere afwegingen kijken. Hoewel internationale prijsvergelijking door burgers belangrijk werd gevonden, is deze lastig uitvoerbaar vanwege de vertrouwelijkheid van onderhandelde prijzen tussen landen. Deze inzichten bieden aanknopingspunten om het Argumentenkader Dure Geneesmiddelen verder aan te scherpen.

6. Informatie en dialoog ondersteunen een beargumenteerde meningsvorming van burgers.

De vergelijking tussen Burgerforum en enquête laat zien dat goed geïnformeerd overleg het oordeel van burgers beïnvloedt. Vooral bij complexe of moreel beladen onderwerpen – zoals leefstijl, beschikbaarheid van alternatieve behandelingen of marktgedrag van fabrikanten – verandert het oordeel aantoonbaar door toelichting en deliberatie. Dit benadrukt het belang van inzicht in hoe maatschappelijke opvattingen gevormd worden.

7. Heldere communicatie is cruciaal voor maatschappelijk draagvlak.

Burgers kunnen moeilijke keuzes beter accepteren als zij begrijpen hoe deze tot stand komen. Transparantie over de afwegingen, de rol van het Zorginstituut en het onderhandelingsproces is daarbij essentieel. Tegelijkertijd laat het verschil tussen Burgerforum en enquête zien dat een summier uitleg alleen niet volstaat: ook het niveau van informatie en begrip beïnvloedt de meningsvorming. Beleidsmakers moeten daarom niet alleen helder communiceren, maar daarbij ook anticiperen op wat burgers nodig hebben om die informatie goed te kunnen duiden.

8. Structurele participatie versterkt legitimiteit en vertrouwen.

Het Burgerforum laat zien dat burgers in staat zijn om complexe materie te doorgronden en genuanceerde adviezen te formuleren. Structurele vormen van participatie – zoals burgerfora, panels of raadplegingen – maken het mogelijk om beleid beter te laten aansluiten bij maatschappelijke voorkeuren. Beleidsmakers doen er goed aan burgers niet alleen te informeren, maar ook actief te betrekken bij besluitvorming. Dat versterkt zowel de kwaliteit als de legitimiteit van het beleid.



Inleiding

Geneesmiddelen spelen een belangrijke rol in de zorg. Ze kunnen levens verlengen, klachten verlichten en de kwaliteit van leven verbeteren. Maar veel nieuwe medicijnen zijn duur; behandelingen van meer dan €100.000 per patiënt per jaar zijn geen uitzondering meer, terwijl niet altijd duidelijk is hoe goed ze werken en voor wie. We geven steeds meer geld uit aan dure geneesmiddelen [1], en de overheid krijgt weinig grip op deze uitgaven en steeds hoger wordende prijzen van nieuwe geneesmiddelen. Ook voor de komende jaren worden aanzienlijke uitgavenstijgingen voorspeld. Zijn de vaak hoge vraagprijzen voor geneesmiddelen terecht? Of kunnen we dat geld beter aan andere zorg of andere publieke voorzieningen besteden?

De overheidsorganisaties Autoriteit Consument & Markt (ACM), Nederlandse Zorgautoriteit (NZa) en Zorginstituut Nederland (ZIN), ondersteund door het ministerie van VWS, werken sinds 2023 samen in het programma Maatschappelijk Aanvaardbare Uitgaven Geneesmiddelen (MAUG) om hier antwoorden op te vinden.

1.1 Het programma MAUG

Het programma MAUG is een vervolg op de maatregelen die de overheid al heeft genomen om grip te krijgen op geneesmiddelenprijzen en -uitgaven. Zo gebruikt ZIN voor de beoordeling voor opname van zorg (waaronder dure geneesmiddelen) in het basispakket onder andere kosten-effectiviteit als pakketcriterium en heeft de adviescommissie pakket (ACP) van het ZIN een argumentenkader ontwikkeld. De ACM heeft een leidraad gepubliceerd die de mogelijkheden van partijen in het veld beschrijft om binnen de concurrentieregels gezamenlijk geneesmiddelen voor de medisch-specialistische zorg in te kopen. De NZa signaleert en rapporteert zeer regelmatig over de geneesmiddelenuitgaven. Het ministerie van VWS heeft nieuwe wetgeving gemaakt voor een geneesmiddelenluis en voert prijsonderhandelingen. Al deze maatregelen hebben echter niet altijd voldoende effect.

Met het programma MAUG willen ACM, NZa en ZIN daarom op een transparante en maatschappelijk gedragen manier identificeren welke uitgaven wel en niet maatschappelijk aanvaardbaar zijn en hier vervolgens ook consequenties aan verbinden. Dit is in het belang van de burger. Iedereen die in Nederland woont of werkt wil immers toegang tot werkzame geneesmiddelen en betaalt mee aan de zorg uit het basispakket, via de zorgpremie en via belastingen. Het beschikbare zorgbudget kan maar één keer worden uitgegeven. Het MAUG programmateam streeft daarbij naar een

goede balans tussen kosten en effecten met zoveel mogelijk gezondheidswinst voor de samenleving en een rechtvaardige verdeling van het zorgbudget.

Daarom is het belangrijk dat objectief wordt beoordeeld wat de meerwaarde is van nieuwe geneesmiddelen. Werken de geneesmiddelen zo goed dat we ons gezamenlijke geld eraan willen uitgeven? En is de vraagprijs van het geneesmiddel daarbij ‘maatschappelijk aanvaardbaar’?

1.2 Aanvullende kaders voor maatschappelijke aanvaardbaarheid

Het MAUG programmteam werkt aan aanvullende kaders voor wat maatschappelijk aanvaardbaar is als het gaat om uitgaven aan en prijzen van geneesmiddelen. Tot op heden kijkt de overheid onder meer naar de ernst van de ziekte en de verhouding tussen de kosten en effecten van een geneesmiddel en stelt op basis daarvan vast of de prijs acceptabel is. In het nog op te stellen kader zoekt het programmteam naar meer mogelijkheden om vast te stellen wat maatschappelijk aanvaardbare prijzen en uitgaven van geneesmiddelen zijn. Het MAUG programmteam adviseert welke elementen anders dan wel zwaarder meegewogen dienen te worden om vast te stellen wat maatschappelijk aanvaardbare prijzen en uitgaven zijn. Dat kunnen bijvoorbeeld nieuwe aspecten zijn in bestaande elementen, zoals onzekerheid over effectiviteit, maar kunnen ook elementen zijn die te maken hebben met solidariteit, redelijkheid van prijs of het competitieve landschap. Ook is meer aandacht nodig voor factoren die ten onrechte het ontstaan van voldoende concurrentie tegengaan. Een advies over dit kader zal worden uitgebracht aan de minister van VWS.

Wat maatschappelijk aanvaardbaar is, bedenkt het MAUG-programmteam niet alleen. Om vast te stellen wat maatschappelijk aanvaardbaar is, is het essentieel om te weten hoe de maatschappij tegen dit vraagstuk aankijkt. Dit rapport brengt verslag uit over de burgerraadpleging zoals uitgevoerd door Radboudumc in opdracht van het programma MAUG.

1.3 Burgerraadpleging over dure geneesmiddelen

Wat vinden burgers van de prijzen van dure geneesmiddelen en is er wat hen betreft een grens hoeveel een geneesmiddel mag kosten? Wanneer is een geneesmiddel te duur en wanneer is een prijs acceptabel? Welke overwegingen

spelen daarbij een rol? Om meer inzicht te krijgen in hoe burgers denken over prijzen van en uitgaven aan dure geneesmiddelen, organiseerden onderzoekers van het Radboudumc de burgerraadpleging ‘Dure geneesmiddelen’. Hierbij luidde de centrale onderzoeksvraag “Welke overwegingen spelen voor burgers een rol bij de beoordeling van maatschappelijke aanvaardbaarheid van prijzen en uitgaven aan geneesmiddelen, en welke overwegingen vinden zij belangrijker of minder belangrijk”? Dit rapport bestaat uit drie onderdelen.

Deel 1 rapporteert over het Burgerforum waarin een geselecteerde groep van 24 burgers met verschillende achtergronden gedurende twee weekenden in het najaar van 2024 discussieerde over de prijzen van en uitgaven aan dure geneesmiddelen. Dit deden ze aan de hand van allerlei voorbeelden en dilemma’s. De deelnemers werd gevraagd om aan te geven wat zij redenen vinden om meer dan wel minder uit te geven aan een geneesmiddel en welke overwegingen zij daarbij het zwaarst vinden meewegen.

Deel 2 beschrijft een online enquête onder een representatieve steekproef van 884 personen uit de Nederlandse bevolking. Aan de respondenten werd een set overwegingen voorgelegd, gebaseerd op de resultaten van het Burgerforum. De enquête had tot doel inzicht te verkrijgen in welke overwegingen burgers belangrijk vinden voor de maatschappelijke aanvaardbaarheid van hoge prijzen en uitgaven aan geneesmiddelen. Een secundair doel was daarmee om te verifiëren of de uitkomsten van het Burgerforum, dat plaatsvond met een beperkt aantal deelnemers die in de gelegenheid waren om elkaar en een aantal uitgenodigde experts te bevragen, breder gedragen worden.

Als voorbereidende stap voor deze twee onderdelen heeft het Radboudumc een grijze literatuurstudie uitgevoerd, om een zo volledig mogelijk beeld te krijgen van alle elementen die een rol kunnen spelen bij het vaststellen van aanvaardbaarheid van de prijs van geneesmiddelen. De opzet en resultaten van de literatuurstudie zijn opgenomen als bijlage A in dit rapport.

Deel 3 biedt een integrale einddiscussie en conclusies waarin de bevindingen uit het Burgerforum en de enquête samenkomen. Dit deel bespreekt de belangrijkste inzichten, reflecteert op de maatschappelijke relevantie, en formuleert concrete aanbevelingen voor het beleid rond dure geneesmiddelen.

Deel 1

Het Burgerforum



Methodologie

Hoofddoelstelling van het Burgerforum was om inzicht te verkrijgen welke overwegingen voor burgers een rol spelen of prijzen en uitgaven aan geneesmiddelen maatschappelijke aanvaardbaar zijn, en welke overwegingen zij belangrijk of minder belangrijk vinden.

Het ging hierbij met name om geneesmiddelen die worden vergoed via de basiszorgverzekering, zoals geregeld in de Zorgverzekeringswet (Zvw).

2.1 Werving en selectie van deelnemers

Het Burgerforum bracht een groep van 24 burgers samen. De inzet was om de groep deelnemers zo divers mogelijk te laten zijn. Daarvoor is gebruik gemaakt van een al bestaand onderzoekspanel beheerd door onderzoeksbureau Motivaction. Het panel bestaat uit enkele tienduizenden Nederlandse burgers, die zich ooit bij Motivaction hebben aangemeld om mee te doen aan onderzoek. De groep deelnemers aan het Burgerforum werd samengesteld door drie personen uit elk van de acht *mentality* profielen te kiezen (figuur 2 en 3). Samen vormden zij een zo breed mogelijke afspiegeling van de in Nederland wonende burgers voor wat betreft levensinstelling. Doel was immers om een zo groot mogelijke diversiteit aan meningen vertegenwoordigd te krijgen in het Burgerforum.

Naast een gelijke vertegenwoordiging van de acht *mentality* profielen, is er ook gezorgd voor een evenredige verdeling naar geslacht, leeftijd en regio van Nederland (noord, zuid, oost, west). Als extra selectiecriteria gold dat deelnemers zich naar eigen zeggen prettig voelen in een groep, zich vrij gemakkelijk uitspreken en interesse hebben om gedurende een relatief lange tijd (twee weekenden) bezig te zijn met één thema.

Onderzoeksbureau Motivaction zorgde voor de selectie van de 24 deelnemers aan het Burgerforum. In eerste instantie zijn mensen gepolst die al eerder aan een Burgerforum hadden deelgenomen – bijvoorbeeld aan het Burgerforum Keuzes in de Zorg (in 2017)), of aan het online Burgerforum Vaccinatiebereidheid (januari 2021, in de eerste maand van de Covid-19 vaccinatiecampagne). De gedachte was dat deze mensen met hun opgedane ervaring de deliberaties tijdens het Burgerforum zouden vergemakkelijken. Dit leverde 13 deelnemers op. Om de resterende plekken op te vullen benaderde Motivaction vervolgens enkele honderden mensen uit haar onderzoekspanel van wie het *mentality* profiel bekend was. Voor elk van de acht *mentality* profielen zijn uiteindelijk drie personen geselecteerd, plus één

reserve. In de week voorafgaand aan het eerste weekend waren er inderdaad een aantal mensen die om uiteenlopende redenen afzegden. Zij zijn tijdig vervangen door mensen van de reservelijst. Met uitzondering van één deelnemer die wel aan het eerste weekend, maar vanwege familieomstandigheden niet aan het tweede weekend kon deelnemen, hebben alle andere 23 burgers het volledige programma doorlopen. Naast gratis hotelovernachtingen en maaltijden ontvingen de deelnemers ieder een geldbedrag voor hun deelname.

Tijdens het voortraject is slechts zeer summiere informatie verstrekt over de inhoud en het doel van het Burgerforum. Motivaction benaderde potentiële kandidaten met de vraag of zij interesse hadden om mee te doen aan een onderzoek over gezondheidszorg dat hun deelname gedurende twee weekenden zou vereisen. Er werd niet expliciet bij vermeld dat het over dure geneesmiddelen ging. Dit om te voorkomen dat deelnemers zich vooraf zouden gaan inlezen over het onderwerp en zich daarmee misschien minder onbevangen zouden opstellen in de discussies.

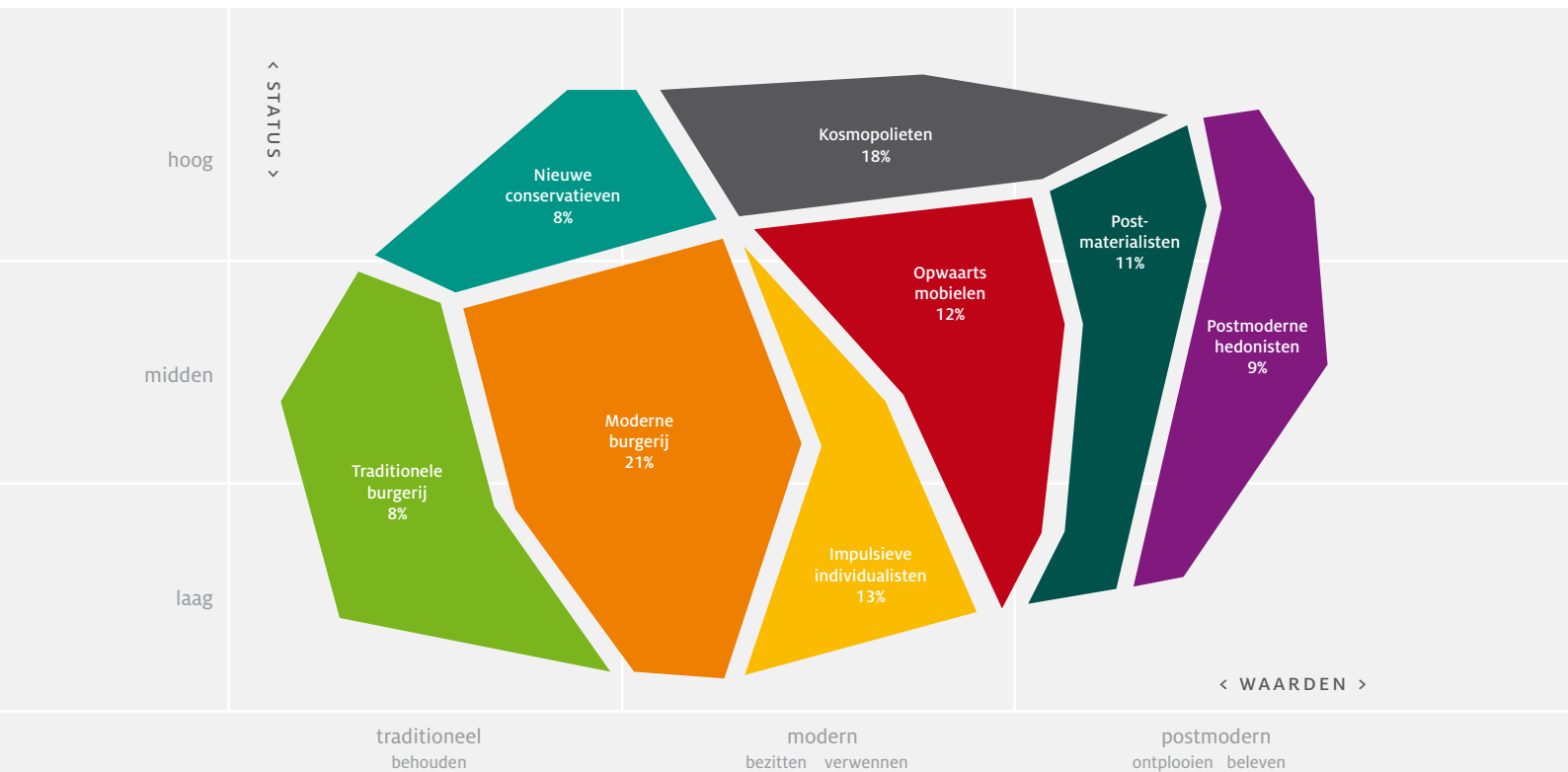
Profiel van de deelnemers

Het Burgerforum bestond uit 11 mannen en 13 vrouwen, in leeftijd variërend van 25 tot 77 jaar, gemiddeld 54 jaar oud. Ze woonden in verschillende delen van het land en waren alleenwonend of samenwonend met anderen – al of niet in gezinsverband – en een enkeling nog thuiswonend. Sommigen studeerden nog, anderen hadden een betaalde baan, waren werkzoekend, actief als vrijwilliger of gepensioneerd. Hun opleidingsniveau liep uiteen van Mulo/Vmbo/lager en middelbaar beroepsonderwijs tot VWO/hoger beroepsonderwijs/wetenschappelijk onderwijs; niemand was ongeletterd.

2.2 Principes

De opzet en werkwijze van het Burgerforum kenden enkele principes als uitgangspunt.

De inrichting van het Burgerforum moest allereerst voldoende ruimte bieden om de complexiteit van het thema 'Dure geneesmiddelen' aan bod te laten komen zonder overmatige cognitieve belasting van de deelnemers. Dat vereiste tegelijkertijd aandacht voor technische diepgang en een zekere eenvoud. Diepgang was bijvoorbeeld nodig door informatie te verschaffen over de aard en ernst van bepaalde aandoeningen; over de werking en het beoogde effect van geneesmiddelen beschikbaar ter behandeling van die aandoeningen; en over de prijsstelling van genees-



Figuur 2: Verdeling van sociale milieus in Nederland volgens het Mentality™-model van Motivaction



Figuur 3: Sociale milieus in Nederland volgens het Mentality™-model van Motivaction

middelen door fabrikanten inclusief winstmarges en marktgedrag.

Ten tweede moest de vorm van het Burgerforum het mogelijk maken om de verschillende persoonlijke meningen en ervaringen van burgers te verkennen en om te zetten in overwegingen die een rol spelen bij de bepaling of bepaalde vraagprijzen of uitgaven maatschappelijk aanvaardbaar zijn. Er is voor gekozen om dat te doen door het bespreken van een vijftal casussen van dure medicinale behandelingen, elk voor een specifieke ziekte of aandoening. Elke casus bracht uiteenlopende aspecten van zowel de aandoening, de behandeling, als de prijsstelling voor het voetlicht.

Ten derde moest de werkwijze van het Burgerforum enerzijds recht doen aan de reeds bestaande kennis onder de deelnemers en hun persoonlijke ervaringen, en anderzijds hen juist uitdagen om nieuwe inzichten te ontwikkelen. Dat laatste gebeurde door de deelnemers aan te moedigen vraagtekens te stellen bij wat anderen naar voren brachten. Daarmee was de opzet om een flinke stap verder te gaan dan het simpelweg bevragen van de deelnemers en hen standpunten te laten innemen. Het moest om deliberatie gaan, dus om uitwisseling van argumenten, onderbouwing, verdieping en uiteindelijk geïnformeerde meningsvorming. De deelnemers baseerden zich daarbij op nieuwe informatie, door anderen ingebrachte perspectieven en antwoorden op kritische vragen.

Motivaction hanteert het zogeheten Mentality™-model. Dit model onderscheidt acht kenmerkende waardenprofielen onder de inwoners van Nederland. Deze profielen zijn gebaseerd op de persoonlijke opvattingen, houdingen en waarden die aan de leefstijl van elk mentality profiel ten grondslag liggen. Binnen een profiel hebben mensen sterk overeenkomstige waarden en meningen ten aanzien van werk, vrije tijd en politiek, en tonen ze overeenkomstige ambities, drijfveren en consumentengedrag. Mentality™ heeft zich bewezen als een geschikt model om het gedrag van mensen te verklaren, beter dan de traditionele indelingen op basis van leeftijd, geslacht, opleiding en inkomen. De onderverdeling in de acht milieus is praktisch bruikbaar voor marktonderzoek en voor onderzoek rondom maatschappelijke thema's. Bijvoorbeeld op het gebied van arbeid & organisatie, cultuur & vrije tijd, energie, onderwijs, sport, telecommunicatie, vervoer & mobiliteit, wonen, en zorg (Figuur 2 en 3).

2.3 Casuïstiek

De behandelde casussen zijn welbewust en doelgericht gekozen. De deliberaties tijdens het Burgerforum moesten leiden tot een zo breed mogelijk spectrum aan argumenten, dilemma's en overwegingen. De projectgroep had de beschikking over een breed scala aan potentiële casussen van dure geneesmiddelen die door ZIN uitgebreid zijn beschreven en gedocumenteerd. Hiervan zijn de meeste ter beoordeling voorgelegd aan de Adviescommissie Pakket (ACP), die vervolgens haar advies heeft uitbracht aan de Raad van Bestuur van ZIN. Daarnaast heeft de projectgroep in haar grijze literatuuronderzoek (naar overwegingen die een rol spelen bij de maatschappelijke aanvaardbaarheid van de prijs van geneesmiddelen, zie Bijlage A) concrete casuïstiek geïdentificeerd. Ook deze zijn opgenomen in het brede overzicht van mogelijke casussen.

Om een evenwichtige selectie van de casussen te maken, heeft de projectgroep in nauw overleg met het MAUG-programmateam de volgende criteria als uitgangspunt genomen:

- A. Minimaal één aandoening waarbij sprake is van een doorontwikkeling van een bestaand geneesmiddel (zoals 'evergreening' en 'drug repurposing');
- B. Minimaal één casus van een geneesmiddel dat dient ter behandeling van een veelvoorkomende vorm van kanker;
- C. Minimaal één zeldzame aandoening waarvoor een geneesmiddel is ontwikkeld dat extreem duur is;
- D. Minimaal één casus van een aandoening met een hoge budget impact.

Dit resulteerde uiteindelijk in de selectie van onderstaande casussen ter bespreking, met de gedachte dat deze zo volledig mogelijk de diverse overwegingen weergeven die voor burgers een rol spelen of prijzen en uitgaven aan geneesmiddelen maatschappelijke aanvaardbaar zijn.

- Casus 1: Ecomab, ter behandeling van paroxismale nachtelijke hemoglobininurie (PNH) (voldoet aan criteria A en C)
- Casus 2: Oncomab, voor de tweedelijns-behandeling van niet-kleincellige longkanker (NSCLC) (voldoet aan criteria A, B)

- Casus 3: Obetide, voor gewichtsbeheersing bij volwassenen met obesitas of overgewicht (voldoet aan criteria A, D)
- Casus 4: Spinamab, ter behandeling van spinale musculaire atrofie (SMA) (voldoet aan criterium C)
- Casus 5: Leukogen, ter behandeling van metachromatische leukodystrofie (MLD) (voldoet aan criterium C)

Alle namen van geneesmiddelen zijn gefingeerd. De profielen van deze geneesmiddelen zijn gebaseerd op bestaande geneesmiddelen. Voor de discussie is informatie vereenvoudigd of aangepast. De resultaten van de deliberatie kunnen dus niet gezien worden als een exact oordeel over het geneesmiddel waar de casus grofweg op gebaseerd is.

Ter introductie van de deliberatie in kleine groepen kregen de deelnemers een korte casusbeschrijving op papier uitgereikt (zie Bijlage B) die telkens door een van de moderators mondeling werd toegelicht aan de hand van een paar op een groot scherm geprojecteerde dia's en een korte inleidende video. Ook was er gelegenheid voor deelnemers om informatieve vragen te stellen.

Elke casusbeschrijving bevatte summiere informatie over de aandoening (aard, ernst, symptomen, hoe vaak de aandoening voorkomt en wie het vooral treft, en de gevolgen indien onbehandeld), de beschikbare vormen van behandeling (inclusief hun effectiviteit en veiligheid of de onzekerheid daarover), en de kosten van behandeling (prijs, totale kosten per patiënt per jaar, totale jaarlijkse uitgaven, kosten per gewonnen levensjaar in goede gezondheid). Bij de casussen 1,2 en 3 kregen de deelnemers vervolgens aanvullende informatie aangereikt over de ontwikkelkosten, indicatie-uitbreiding en/of concurrentiepositie van het geneesmiddel.

Iedere dag werden vier groepen gevormd, van wisselende samenstelling, elk met zes deelnemers en een moderator. Eerst werden deelnemers gevraagd hun intuïtieve reacties te geven of de casus in kwestie voor vergoeding in aanmerking zou moeten komen tegen de voorgestelde prijs, aan de hand van de volgende vragen:

- (a) Ik vind de voorgestelde prijs voor dit geneesmiddel acceptabel / te hoog / te laag
- (b) Mijn argumenten vóór vergoeding tegen de voorgestelde prijs zijn ...

- (c) Mijn argumenten tégen vergoeding tegen de voorgestelde prijs zijn ...

Dit werd gevolgd door collectieve brainstorming en het elkaar actief bevragen op indrukken, argumenten (met betrekking tot de vragen b en c), en (waar van toepassing) eigen ervaringen. De moderator zette de verschillende opvattingen naast en tegenover elkaar, voor verdere verdieping. Aan het einde van elke groepsessie werd de eerste vraag (vraag a) herhaald om te zien of er een verschuiving had plaats gevonden.

De uitslag van de twee stemrondes en de aangevoerde argumenten werden telkens door de moderator vastgelegd op een flipover die vervolgens werd gebruikt voor terugrapportage in een plenaire sessie.

2.4 De twee weekenden

De twee weekenden vonden plaats in oktober en november 2024 (met een tussenpoos van twee weken). Het programma bestond grofweg uit drie onderdelen: bespreking van hogergeïdentificeerde casussen, ontmoetingen met vier experts, en een vijftal oefeningen. Daarnaast was er één extra casus ('Immunomab', een immunotherapie als behandeling bij ernstige COVID-19), die is gebruikt om de deelnemers te helpen zich een drietal lastige concepten eigen te maken: resultaat van behandeling uitgedrukt in gewonnen levensjaren van goede of minder goede kwaliteit; kosten van een gewonnen levensjaar van goede kwaliteit; en een eventuele grenswaarde voor dergelijke kosten.

De experts hadden uiteenlopende achtergronden: een ethica, een voormalig senior medewerker van een farmaceutisch bedrijf, een senior medewerker van een NGO die zich inspannt voor eerlijke toegang tot geneesmiddelen wereldwijd, en een voormalig lid van de Adviescommissie Pakket. Het optreden van de experts, verdeeld over de twee weekenden, gaf de deelnemers de gelegenheid vragen te stellen en in discussie te gaan over dure geneesmiddelen en daaraan verwante thema's.

De vijf oefeningen, elk met een specifiek doel, worden hier kort omschreven.

Oefening 1 – Stickeroefening

Oefening 1 had als doel om uit de volledige set van overwegingen (de longlist), zoals geïdentificeerd tijdens de vijf casussen, een selectie te maken van overwegingen die de deelnemers het belangrijkste vonden.

In deze oefening konden deelnemers drie blauwe stickers (zeer belangrijke overweging, elk 2 punten) en zeven groene stickers (belangrijke overweging, elk 1 punt) toekennen aan de longlist van overwegingen. Het was niet toegestaan om bij één overweging meerdere stickers te plakken. Wel hadden deelnemers de vrijheid om niet alle stickers te gebruiken. Overwegingen met minimaal drie toegekende punten werden opgenomen in de shortlist van belangrijke overwegingen.

Oefening 2 – Afweging van overwegingen

Deze oefening had als doel om een beeld te verkrijgen van hoe belangrijk deelnemers de overwegingen vonden in absolute zin, los van een vergelijking met andere overwegingen. In deze oefening beoordeelden de deelnemers in hoeverre zij het eens waren met de stelling: “Ik vind dat de prijs die we als maatschappij willen betalen voor een geneesmiddel zou moeten afhangen van ...”, gevolgd door één van de overwegingen van de shortlist uit oefening 1. De beoordeling vond plaats aan de hand van een Likertschaal met de volgende antwoordcategorieën: ‘Sterk mee oneens’, ‘Mee oneens’, ‘Neutraal’, ‘Mee eens’, ‘Sterk mee eens’.

Op basis van oefeningen 1 en 2 is vervolgens door het projectteam een selectie gemaakt van de 16 belangrijkste overwegingen. Hierbij zijn overwegingen met >70% in oefening 2 geselecteerd, dubbele of irrelevante aspecten verwijderd, en gecontroleerd of alle hoog scorende overwegingen uit oefening 1 vertegenwoordigd waren. Dit waarborgde een evenwichtige en representatieve selectie per domein. Zie Bijlage E voor details.

Oefening 3 – Prioriteren van casussen

Deze oefening was bedoeld om dieper in te gaan op de overwegingen die deelnemers maken bij de afweging voor of tegen vergoeding van geneesmiddelen tegen de vastgestelde prijzen. Hiervoor moesten de deelnemers eerst aangeven welk van de vijf geneesmiddelen zij als eerste zouden willen laten afvallen voor vergoeding; en daarna welk van de vijf de hoogste prioriteit zou moeten krijgen. Dit gebeurde in een plenaire sessie in een opstelling waarbij de casussen werden weergegeven middels grote vellen op de vloer en de deelnemers zich konden opstellen bij hun casus van keuze. Vervolgens gingen zij onder begeleiding van een moderator met elkaar in gesprek en wisselden zij argumenten uit.

Oefening 4 – Burgerstandpunt

In deze oefening konden deelnemers vrijelijk hun aanbevelingen doen aan de belangrijkste actoren rondom de prijsbepaling van dure geneesmiddelen, met name aan de

overheid, fabrikanten en medeburgers, met de aantekening dat ook andere actoren konden worden aangesproken. De deelnemers rapporteerden hun aanbevelingen op een flipover, voor plenaire terugkoppeling.

Oefening 5 – Leereffect en aha-momenten

De deelnemers hadden aan het begin en het eind van het Burgerforum een korte vragenlijst ingevuld met daarin enkele vragen rondom hun opvattingen over dure geneesmiddelen. Deze vragen werden hen aan het eind van het Burgerforum opnieuw voorgelegd, samen met de door hen eerder gegeven antwoorden. Ook werd hen toen gevraagd om hun belangrijkste ‘aha’-moment te benoemen en daarmee aan te geven welk(e) nieuw(e) inzicht(en) zij hadden verworven door deel te nemen aan het Burgerforum.

2.5 Totstandkoming van het Burgerstandpunt

Het projectteam heeft de aanbevelingen zoals door de deelnemers geformuleerd in Oefening 4 geïntegreerd en samengevat. Ook is een aantal belangrijke punten geïdentificeerd waar deelnemers overeenstemming over bereikten.

Dit alles is door het projectteam uitgeschreven in een Burgerstandpunt, dat korte tijd na afloop van het tweede weekend per e-mail aan de deelnemers is voorgelegd voor eventuele aanvullingen en/of correctie, en ter goedkeuring. In totaal hebben 17 deelnemers per e-mail gereageerd. Zij hebben allen aangegeven akkoord te gaan met het geformuleerde Burgerstandpunt. Geen deelnemers hebben aangegeven niet akkoord te gaan.



Resultaten

3.1 Bespreking van de vijf casussen – deelnemers zijn kritisch over de prijzen

De deelnemers benoemden een brede reeks overwegingen in de discussies over de vijf casussen, zowel voor als tegen de vergoeding van het geneesmiddel tegen de voorgestelde prijs. Over het algemeen waren de deelnemers kritisch over de vastgestelde prijzen van de geneesmiddelen.

In de basale beschrijving van de casussen kregen deelnemers informatie over de aandoening, de behandeling en de maatschappelijke kosten. Op basis hiervan, en onderlinge discussies, vond een wisselend deel van de deelnemers de vraagprijs van het geneesmiddel te hoog: casus 1 (behandeling van een zeldzame bloedziekte, 57%), casus 2 (behandeling van longkanker, 50%), casus 3 (behandeling van overgewicht, 42%), casus 4 (behandeling van een erfelijke spierziekte met Spinamab, 48%) en casus 5 (behandeling van een stofwisselingsziekte, 36%).

Bij de casussen 1, 2 en 3 kregen de deelnemers vervolgens aanvullende informatie aangereikt over de ontwikkelkosten, indicatie-uitbreiding en/of concurrentiepositie van het geneesmiddel, en daarna vond het merendeel van de deelnemers de vastgestelde prijs te hoog in alle casussen: casus 1 (behandeling van een zeldzame bloedziekte, 83%), casus 2 (behandeling van longkanker, 79%), casus 3 (behandeling van overgewicht, 54%). In casus 4 en 5 werd geen additionele informatie over prijsstelling aangereikt.

Zie Bijlage C voor een gedetailleerde rapportage van alle overwegingen en het stemgedrag van de deelnemers.

3.2 Resultaten oefening 1 - een brede verscheidenheid aan overwegingen

Het projectteam heeft op basis van de bespreking van de vijf casussen 38 verschillende overwegingen geïdentificeerd, en zo goed mogelijk omschreven in de woorden van de deelnemers. De overwegingen zijn daarbij geclassificeerd in vier domeinen, overeenkomend met de domeinen uit de literatuurstudie (zie Bijlage A): de aandoening, de behandeling, de prijsstelling, en de impact op het zorgsysteem en de maatschappij. Aan het begin van oefening 1 zijn deze overwegingen voorgelegd aan de deelnemers, die hier geen commentaar of aanvullingen op hadden. De 38 overwegingen zijn weergegeven in de opzet van oefening 1 (Bijlage D).

De stickeroefening liet behoorlijke verschillen zien tussen de deelnemers in welke overwegingen ze van groot of zeer groot belang achtten. Maar liefst 29 overwegingen hadden een totale score van drie of meer, en werden als zodanig door: i) minstens drie deelnemers als belangrijk geacht, of ii) minstens één deelnemer als zeer belangrijk en één deelnemer als belangrijk geacht. Deze overwegingen zijn vervolgens meegenomen in de vervolgoefeningen.

3.3 Resultaten oefening 2 – duidelijke verschillen in belang van overwegingen

De deelnemers hechtten sterk uiteenlopend belang aan de 29 overwegingen (tabel 1). Meer dan 90% van de deelnemers was het (sterk) eens met de stelling: “Ik vind dat de prijs die we als maatschappij willen betalen voor een geneesmiddel zou moeten afhangen van ...” de ernst van de aandoening (A1), of er andere behandelingen beschikbaar zijn (A5), de mate waarin de behandeling invloed heeft op de kwaliteit van leven van de patiënt (B1), of de behandeling het geld waard is in vergelijking met andere opties (B12), en of het gebruik van het geneesmiddel zorgt voor andere zorgkosten of juist besparingen binnen de zorg (D7). Minder dan 30% van de deelnemers was het (sterk) eens met de stelling “Ik vind dat de prijs die we als maatschappij willen betalen voor een geneesmiddel zou moeten afhangen van ...” de invloed van leefstijl (of ongezond gedrag mogelijk van invloed is geweest op het ontstaan van de aandoening of dat de aandoening de patiënt overkomt) (A3).

Code	Overweging	(Sterk) mee oneens	Neutraal	(Sterk) mee eens
De aandoening				
A1	De ernst van de aandoening (of deze mild, ernstig of levensbedreigend is)	0%	9%	91%
A5	Of er andere behandelingen beschikbaar zijn	0%	9%	91%
A4	Het aantal patiënten dat door de aandoening wordt getroffen (of het om een zeldzame of een vaak voorkomende aandoening gaat)	13%	26%	61%
A2	De leeftijd van patiënten (of het gaat om kinderen, ouderen of andere leeftijdsgroepen)	19%	33%	48%
A3	De invloed van leefstijl (of ongezond gedrag mogelijk van invloed is geweest op het ontstaan van de aandoening; of de aandoening de patiënt overkomt)	32%	41%	27%
De behandeling				
B1	De mate waarin behandeling invloed heeft op de kwaliteit van leven van de patiënt	0%	9%	91%
B12	Of behandeling het geld waard is in vergelijking met andere opties (=kosteneffectiviteit)	4%	4%	91%
B17	Of behandeling ervoor zorgt dat de patiënt weer mee kan doen in de samenleving, bijvoorbeeld via werk of sociale activiteiten	4%	9%	87%
B3	Of behandeling voorkomt dat een patiënt overlijdt	4%	22%	74%
B11	Of behandeling helpt in het voorkómen van andere aandoeningen	9%	17%	74%
B5	De duur van levensverlenging	9%	18%	73%
B4	Of behandeling de aandoening helemaal kan genezen	5%	27%	68%
B10	De duur van behandeling (of de behandeling eenmalig is, of voor een bepaalde periode of levenslang)	13%	22%	65%
B15	Of een medische oplossing wenselijk is voor de aandoening	14%	24%	62%
B16	Of het geneesmiddel ook bij andere aandoeningen kan worden ingezet en er daarmee meer patiënten geholpen kunnen worden	5%	36%	59%
B6	Onzekerheid over de effectiviteit van behandeling (op korte termijn en/of op lange termijn)	18%	41%	41%
B8	Onzekerheid over de veiligheid van de behandeling op lange termijn	14%	50%	36%
De prijsstelling				
C2	Of het gaat om een geheel nieuw geneesmiddel of om een bestaand middel waarvoor slechts kleine aanpassingen zijn gemaakt	9%	14%	77%
C4	Of het transparant is hoe de prijs van het geneesmiddel is opgebouwd	9%	17%	74%
C5	Of de fabrikant de winst gebruikt om het geneesmiddel verder te ontwikkelen	4%	22%	74%
C7	Of de prijs van het geneesmiddel verschilt met de prijs die wordt gehanteerd in het buitenland	9%	22%	70%
C8	Of er onderhandeld is over vergoeding op voorwaarde dat het middel werkt	4%	26%	70%
C1	Of de fabrikant een eerlijke winst maakt op het geneesmiddel	9%	23%	68%
Impact op zorgsysteem & maatschappij				
D7	Of gebruik van het geneesmiddel zorgt voor andere zorgkosten of juist besparingen binnen de zorg	4%	4%	91%
D3	Of de totale uitgaven aan het geneesmiddel ertoe leiden dat er geen of minder geld beschikbaar is voor andere zorg	5%	9%	86%
D5	Of iedereen die het geneesmiddel nodig heeft het ook echt kan krijgen	0%	17%	83%
D4	Of er een goede balans is tussen wat er wordt uitgegeven aan behandeling en het voorkómen van de aandoening	4%	22%	74%
D8	Of gebruik van het geneesmiddel geld bespaart buiten de zorg (bijvoorbeeld lagere ziekte-uitkeringen, minder arbeidsongeschiktheid)	13%	17%	70%
D1	Of de jaarlijkse uitgaven aan vergoeding van dit geneesmiddel een grote hap nemen uit het totale zorgbudget (=budget impact)	17%	17%	65%

Tabel 1: Resultaten van oefening 2

Op basis van de uitkomsten van oefeningen 1 en 2 heeft het projectteam vervolgens een *shortlist* gemaakt van de belangrijkste overwegingen, 16 in totaal (figuur 4, zie Bijlage E voor details). Hiervan hebben twee overwegingen betrekking op de aandoening (ernst van de aandoening, beschikbaarheid van alternatieve behandelingen) zeven op de behandeling (winst in kwaliteit van leven, levensreddend, lengte van levenswinst, kosten versus baten, maatschappelijke participatie, preventie, onzekerheid over effectiviteit),

drie op de prijsstelling door de fabrikant (transparantie over prijsopbouw, mate van innovatie, gebruik winst voor doorontwikkeling), en vier op de impact op het zorgsysteem en de maatschappij (gelijke toegang, verdringing van andere zorg, neveneffecten op zorgkosten, invloed op totale zorgkosten). Deze selectie is als onderdeel van het Burgerstandpunt voorgelegd aan de deelnemers, die er vervolgens hun instemming aan hebben verleend.



Figuur 4: De 16 belangrijkste overwegingen

3.4 Prioritering van casussen

De individuele deelnemers maakten uiteenlopende keuzes bij twee vragen die hen werden voorgelegd: i) welke van de vijf casussen zou je als eerste willen laten afvallen bij onvoldoende budget, en ii) welke casus heeft voor jou de hoogste prioriteit?

Deze oefening diende vooral ter voorbereiding op de vervolgoefening waarin de deelnemers hun aanbevelingen formuleerden. Het resultaat was divers, zoals weergegeven in onderstaande tabel.

Casus	Casus die als eerste zou mogen afvallen	Casus met de hoogste prioriteit
1. Ecomab bij PNH	-	7
2. Oncomab bij NSCLC	11	5
3. Obetide bij diabetes en ernstig overgewicht	6	2
4. Spinamab bij SMA	3	3
5. Leukogen bij MLD	3	5
TOTAAL	23	22*

* Eén deelnemers twijfelde bij hoogste prioriteit tussen casus 4 en 5.

Wat vooral opvalt is dat vier van de vijf casussen zowel stemmen trokken deze te laten vallen, als stemmen voor hoogste prioriteit. Conform de eerdere oefeningen waarin overwegingen werden geïdentificeerd en onderling afgewogen, varieerden de opgegeven redenen van aandoening-gerelateerde argumenten (al of niet te genezen) en behandeling-gerelateerde argumenten (mate van verbetering in de kwaliteit van leven), tot argumenten met betrekking tot de prijs dan wel de budget impact (totale kosten beperkt dan wel hoog vanwege het kleine/grote aantal patiënten), en argumenten over de impact op de zorg of de samenleving als geheel (verdringing van andere zorg). Ook leeftijd werd meerdere malen genoemd als argument (zowel jonge leeftijd om een hoge prioriteit toe te kennen – casus 1 en casus 5; als hoge leeftijd om niet te vergoeden – casus 2).

Bijlage F bevat de diverse uitspraken die deelnemers deden ter toelichting van hun keuze.

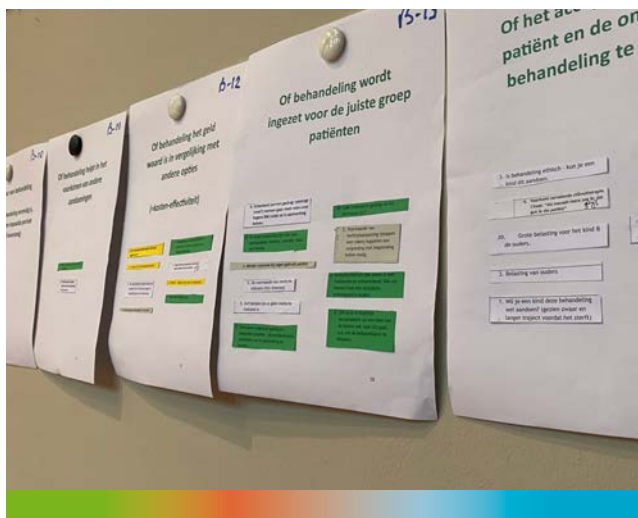
3.5 Burgerstandpunt

De deelnemers bereikten overeenstemming over vier belangrijke punten.

- Durf waar nodig 'nee' te zeggen:** Deelnemers benadrukken het belang van een kritische houding bij de vergoeding van dure geneesmiddelen. Ze onderkennen dat het besluit om een bepaald geneesmiddel te vergoeden invloed kan hebben op de beschikbaarheid van andere waardevolle zorg en op de premiehoogte. Daarom vinden ze het belangrijk dat de overheid waar nodig 'nee' durft te zeggen.
- Macht positie van fabrikanten:** De burgers uiten hun zorgen over het misbruik van machtsposities door fabrikanten bij het bepalen van medicijnprijzen. Hoewel ze begrijpen dat fabrikanten commercieel opereren, bekritisseren ze het gebrek aan transparantie en het sterke winstbejag.
- Redelijke prijzen:** De burgers voeren diverse redenen aan die hoge geneesmiddelenprijzen kunnen rechtvaardigen. Zo accepteren ze een hoge prijs eerder als het medicijn bedoeld is voor de behandeling van een ernstige ziekte. Tegelijkertijd zijn er ook factoren die acceptatie in de weg kunnen staan, zoals onzekerheid over de effectiviteit van het middel. Daarnaast vinden ze het onredelijk als de prijs veel hoger is dan de kosten voor ontwikkeling en productie, zelfs met ruimte voor een redelijke winstmarge. Bij hun uiteindelijke oordeel maken burgers een zorgvuldige afweging van dergelijke aspecten (zie figuur op p.7 voor een overzicht van de belangrijkste overwegingen).
- Overeenstemming met het huidig beleid:** Deelnemers herkennen zich in de aanpak van Zorginstituut Nederland (ZIN) en waarderen de zorgvuldigheid waarmee besluiten over vergoeding van dure geneesmiddelen worden genomen. Ze erkennen de complexiteit van deze keuzes en tonen begrip voor de afwegingen die hierbij gemaakt worden.

Aanbevelingen

De deelnemers kwamen daarnaast tot een reeks van aanbevelingen gericht aan respectievelijk de overheid, fabrikanten, medeburgers en behandelend artsen. Hieronder staan de belangrijkste aanbevelingen; voor een volledig overzicht zie Bijlage G.



Overheid

- **Plaats burgers centraal.** Zet bij keuzes in de gezondheidszorg het belang van burgers en de maatschappij als geheel altijd voorop. Hierbij gaat het om het garanderen van de betaalbaarheid van zorg en tegelijkertijd de toegankelijkheid van zorg voor iedereen.
- **Beperk de macht van fabrikanten.** Voer strengere regels in om prijsopdrijving tegen te gaan. Verplicht fabrikanten ertoe om duidelijk te maken wat de productiekosten en hun winsten zijn, en stel eerlijke winstmarges in.
- **Versterk communicatie.** Geef burgers duidelijke informatie over de kosten van dure medicijnen. Leg ook beter uit hoe ZIN werkt en dat het ministerie van VWS met fabrikanten onderhandelt over de prijzen van sommige geneesmiddelen, zodat er meer begrip ontstaat in de maatschappij.
- **Organiseer periodieke burgersraadpleging.** Voer gesprekken met burgers over thema's zoals hoge prijzen of beleidskeuzes rond specifieke medicijnen. Dit helpt te toetsen of besluiten aansluiten bij maatschappelijke voorkeuren.
- **Stimuleer preventieprogramma's.** Zet meer in op preventieve zorg om ziektes te voorkomen om zo hoge zorgkosten op lange termijn te verlagen.

Fabrikanten

- **Behoud de focus op het algemeen menselijk belang.** Zet bij alle bedrijfsactiviteiten de gezondheid en het welzijn van mensen centraal, en laat je minder drijven door winstbejag.
- **Garandeer maatschappelijk verantwoorde bedrijfsvoering.** Wees transparant over de prijsopbouw van geneesmiddelen, stel redelijke winstmarges vast om buitensporige prijzen te voorkomen en de zorg betaalbaar te houden. Herinvesteer minimaal 50% van de winst in onderzoek en ontwikkeling.
- **Aandeelhouders moeten hun maatschappelijke verantwoordelijkheid nemen.** Aandeelhouders en investeerders zouden meer aandacht moeten besteden aan de maatschappelijke gevolgen van winstbejag in de farmaceutische industrie in plaats van uitsluitend te streven naar winstmaximalisatie. Ze zouden hun invloed moeten inzetten om fabrikanten te stimuleren tot een maatschappelijk verantwoorde bedrijfsvoering.

Medeburgers

- **Wees je bewust van de gevolgen als wij als maatschappij geen 'nee' durven te zeggen.** Realiseer je dat vergoeding van dure behandelingen soms ten koste gaat van andere vormen van zorg die misschien waardevoller is. Het zorgbudget is niet oneindig, en zorg moet voor de maatschappij als geheel betaalbaar blijven.
- **Oordeel niet te snel, en informeer jezelf over besluitvorming in de zorg.** Lees je in over hoe beslissingen worden genomen over de vergoeding van dure geneesmiddelen. Het is complex en niet alle keuzes pakken voor alle partijen altijd goed uit. De overheid werkt er hard aan om voor iedereen goede zorg mogelijk te maken.
- **Erken dat de zorg in Nederland van hoge kwaliteit is:** Wees je bewust van de goede kwaliteit van zorg in Nederland, maar ook dat er grenzen zijn aan wat we kunnen uitgeven aan zorgkosten. Het helpt om reële verwachtingen te hebben over wat de zorg ons kan bieden.

Behandelend artsen

- **Leg bij behandeling de focus op behoud van de kwaliteit van leven.** Ga met ernstig zieke patiënten in gesprek over hun persoonlijke welzijn en kwaliteit van leven. Overweeg om behandelingen die weinig tot geen verbetering in de kwaliteit van leven bieden te vermijden, en om tijdig palliatieve zorg als alternatief aan te bieden.

3.6 Aha-momenten en leercurve

Op de laatste dag van het Burgerforum kregen alle deelnemers de vraag voorgelegd “Wat was voor u het belangrijkste ‘aha-moment’ tijdens dit Burgerforum? (bijvoorbeeld bij de bespreking van een bepaalde casus of tijdens het gesprek met één van de experts)”. Hierop kwamen uiteenlopende reacties. Het vaakst werd gerefereerd aan het gesprek met het voormalig ACP lid (aan het einde van dag 3), en wel op een heel positieve manier, met onder meer de volgende uitspraken:

- “De uitleg die we kregen: waar allemaal naar gekeken wordt bij dure geneesmiddelen voordat die commissie een advies uitbrengt.”
- “Mooi om te merken dat onze gedachten en criteria heel goed overeen blijken te komen met hoe de besluitvorming in werkelijkheid tot stand komt.”

Vervolgens werd de vraag gesteld “Tot welk inzicht (welke inzichten) kwam u toen?” Diverse reacties getuigden van een zekere leercurve:

- “Door alle experts ben ik breder gaan kijken naar de verschillende casussen.”
- “Keuzes maken in de zorg is niet makkelijk. Elk individu heeft zijn of haar eigen belangen of ervaringen. De vraag die we steeds weer moeten stellen is: wat is het beste voor de maatschappij, en hoe houden we de kosten zo laag mogelijk om toegang tot zorg te behouden voor iedereen.”
- “Dat de industrie bij de prijsbepaling van hun geneesmiddelen ook de kosten meerekent van O&O (onderzoek en ontwikkeling) van producten die nooit op de markt komen.”
- “Farma bedrijven zijn keihard; ze moeten winst maken om aandeelhouders tevreden te stellen. Inzicht in prijzen (van medicijnen) wordt hen gevraagd, maar geven ze niet.”
- “Dat de overheid meer toezicht moet krijgen op de farmaceutische industrie; en dat het lang gaat duren voordat er transparantie is.”



Deelnemers kregen drie vragen voorgelegd aan het begin van het Burgerforum, en deze kregen ze, met hun antwoorden, aan het einde nog een keer onder ogen, met de vraag of hun mening nu was veranderd.

- 1 *‘Wat vindt u: zou u zich als burger druk moeten maken over de hoge prijs van sommige geneesmiddelen. Geef graag uw reden(en) aan: waarom wel of waarom niet?’*

Antwoorden gegeven aan het begin van het Burgerforum liepen uiteen van “Ja, dan kan onze mening ook meegenomen worden bij besluitvorming”; “Ja, het bepaalt de hoogte van de zorgpremie die we met zijn allen betalen”; en “Ja, om de betaalbaarheid van de zorg te waarborgen”; tot “Ja en nee, je hebt als burger weinig invloed”. De meeste van de aanvankelijke antwoorden werden aan het einde van het Burgerforum nog eens onderschreven, maar er volgde ook een paar toevoegingen, zoals: “De burger mag er wat van vinden, hoeft het niet allemaal te accepteren; je stem laten horen is belangrijk”; en “De ingewikkelde afwegingen en dilemma’s komen soms best dichtbij; daarom gaat dit eigenlijk iedere burger aan”.

- 2 *‘In welk geval vindt u de hoge prijs van een geneesmiddel acceptabel?’*

Op deze vraag kwam bij aanvang het Burgerforum ook een verscheidenheid aan antwoorden: “Als het middel de levensduur verlengt”; “Als het de kwaliteit van leven verbetert”; “Bij volledig bewezen herstel”; “Bij hele bijzondere aandoeningen”, en “Als het om kinderen gaat”. Voor zover er veranderingen optraden betrof dat vooral de wens tot nadruk op geneesmiddelen die verslechtering van de kwaliteit van leven remmen of voorkomen.

- 3 *‘Wanneer vindt u de prijs van een geneesmiddel te hoog?’*

Ook hierop kwamen aanvankelijk uiteenlopende antwoorden. Eén deelnemer reageerde met “Als de prijs in vergelijking met andere landen de pan uit rijst”. Aan het einde van het Burgerforum, toen deze vraag opnieuw werd gesteld, stelden meerdere deelnemers de kwestie van transparantie aan de kaak: “Als niet inzichtelijk wordt gemaakt waar de hoge prijs op is gebaseerd”; “Als er meer dan 25% winst wordt gemaakt”; en “Inmiddels weet ik iets meer en heb ik echt het idee dat er iets te halen valt door lagere prijzen af te dwingen”.



Discussie en conclusies

Tijdens het Burgerforum hebben burgers uitvoerig gesproken over dure geneesmiddelen. Dit hoofdstuk plaatst de resultaten van het Burgerforum in een bredere context, benoemt enkele methodologische kanttekeningen, en omvat een aantal conclusies.

4.1 Overeenstemming met huidig beleid maar ook nieuwe inzichten

De deelnemers hebben een groot aantal overwegingen vastgesteld die voor hen een rol spelen bij de vraag of vraagprijzen en uitgaven aan geneesmiddelen maatschappelijk aanvaardbaar zijn. Op basis van de bespreking van de casussen kwamen zij tot een *longlist* van 38 overwegingen, welke vervolgens op basis van oefeningen werd ingekort tot een lijst van 29 en uiteindelijk een *shortlist* van 16 overwegingen die het belangrijkste werden geacht.

In deze *shortlist* (figuur 4) hebben twee overwegingen betrekking op de aandoening (ernst van de aandoening; en of er alternatieve behandelingen beschikbaar zijn); zeven op de behandeling van de aandoening met het geneesmiddel (winst in kwaliteit van leven; lengte van levenswinst; of de behandeling levensreddend is; onzekerheid over de effectiviteit van de behandeling; de kosten versus de baten van de behandeling; de impact op participatie van patiënt in de maatschappij; en of behandeling helpt in het voorkómen van andere aandoeningen); en vier op de impact op zorg en maatschappij (invloed op totale zorgkosten; verdringing van andere zorg; neveneffecten op zorgkosten; en gelijke toegang). Het merendeel van de overwegingen valt samen met de vier formele pakketcriteria van het ZIN en de argumenten genoemd in het *Argumentenkader Dure Geneesmiddelen* van de Adviescommissie Pakket van het ZIN, namelijk effectiviteit, noodzakelijkheid (waaronder ernst van de aandoening en of men de behandeling zelf kan betalen), kosteneffectiviteit en uitvoerbaarheid (waaronder budget impact) van de behandeling. [2] Andere overwegingen worden weliswaar niet formeel in het Argumentenkader benoemd, maar ze worden wel in de discussies van de Adviescommissie Pakket (ACP) aangehaald, zoals beschikbaarheid van alternatieve behandelingen. [3] In de *longlist* noemden de deelnemers ook overwegingen die niet door ZIN worden gebruikt, zoals de invloed van leefstijl - maar deze werden door de deelnemers feitelijk van relatief laag belang geacht.

In de *shortlist* staan ook een drietal overwegingen die betrekking hebben op de prijsstelling van het geneesmiddel (of het gaat om een geheel nieuw geneesmiddel of om een

bestaand geneesmiddel waarvoor slechts kleine aanpassingen zijn gemaakt; de mate van transparantie over hoe de prijs is vastgesteld; en of de fabrikant de winst gebruikt om het geneesmiddel verder te ontwikkelen). Deze overwegingen komen nauw overeen met de argumenten die ZIN noemt met betrekking tot 'Markt en concurrentie' en 'Redelijkheid van de prijsstelling' in het *Argumentenkader Dure Geneesmiddelen*. [2] De deelnemers benoemden in de longlist ook nog een aantal andere overwegingen rondom de prijsstelling van geneesmiddelen. Zo werd het belangrijk gevonden of de fabrikant een eerlijke winst maakt – dit argument komt ook expliciet naar voren in het genoemde Argumentenkader. Andere overwegingen komen niet terug in het Argumentenkader, zoals of de prijs van het geneesmiddel verschilt met de prijs die wordt gehanteerd in het buitenland.

Tijdens het Burgerforum gingen deelnemers met een van de experts in gesprek over hoe ZIN bovenstaande afwegingen maakt, inclusief de samenstelling, de deliberatieve werkwijze en de dynamiek binnen de adviescommissie. Bij het vaststellen van het Burgerstandpunt spraken zij hun waardering uit voor de zorgvuldigheid waarmee dit proces wordt doorlopen, al deden zij wel de suggestie dat burgers structureel geconsulteerd kunnen worden.

In het algemeen kan gesteld worden dat de opvattingen van de deelnemers grotendeels overeenkomen met de werkwijze van ZIN, en dat dit getuigt van maatschappelijk draagvlak voor die werkwijze. Het biedt ook handvatten om het bestaande beoordelingskader verder aan te scherpen en nog beter af te stemmen op maatschappelijke normen en verwachtingen.

Value-based vs cost-based benadering

Tijdens het Burgerforum hebben deelnemers overwegingen aangedragen die zowel passen bij een *value-based* benadering van pakketbeheer, waarbij de focus ligt op de meerwaarde van de gezondheidswinst en de maatschappelijke bereidheid om hiervoor te betalen, als bij een *cost-based* benadering van pakketbeheer, waarbij de nadruk ligt op de ontwikkelings- en productiekosten plus een winstmarge van een geneesmiddel. Hiervoor is inzicht in de prijsopbouw van een geneesmiddel nodig. Deze *cost-based* benadering is de basis van het veel geciteerde AIM model. [4] Zo accepteren deelnemers een hogere prijs eerder als het medicijn bedoeld is voor de behandeling van een ernstige ziekte (redenerend vanuit de *value-based* benadering), en tegelijkertijd vinden ze het onredelijk als de prijs veel hoger is dan de kosten voor ontwikkeling en productie, zelfs met ruimte voor een redelijke winstmarge (redenerend vanuit

de cost-based benadering). Beide benaderingen komen ook terug in de werkwijze van ZIN en in het *Argumentenkader Dure Geneesmiddelen*.

4.2 Burgers zijn kritisch over dure geneesmiddelen

Ondanks uiteenlopende persoonlijke opvattingen en ervaringen waren de deelnemers eensgezind in hun kritische houding ten aanzien van dure geneesmiddelen. Ze vonden dat de overheid, waar nodig, ‘nee’ moet durven zeggen om te voorkomen dat hoge prijzen de toegankelijkheid van andere zorg bemoeilijken of de betaalbaarheid van zorgpremies onder druk zetten. Er was brede consensus over de behoefte aan strengere regulering en transparantie over de prijsstelling, met een nadruk op eerlijke winstmarges.

4.3 Grondige afweging en weloverwogen keuzes

Deelnemers hebben laten zien dat zij in korte tijd de complexe discussie rondom dure geneesmiddelen redelijk goed kunnen doorgronden en genuanceerde adviezen kunnen formuleren. Dit blijkt uit verschillende constatering:

- **Rijke discussie en diversiteit aan overwegingen:** De besprekingen van de vijf casussen weerspiegelden een brede reeks aan argumenten, zowel vóór als tegen vergoeding van behandelingen tegen de voorgestelde prijs.
- **Complexe maar zorgvuldige afwegingen:** De deelnemers maakten weloverwogen keuzes en baseerden hun standpunten op een verscheidenheid aan overwegingen en de onderlinge afruil, zoals de ernst van de aandoening, alternatieve behandelingen, kosteneffectiviteit en prijsstelling van medicijnen.
- **Consistentie tussen oefeningen:** De resultaten van de verschillende oefeningen lieten een duidelijke samenhang zien. Zo was er een verband tussen de stickeroefening, waarin het relatieve belang van overwegingen werd gemeten, en de afwegingoefeningen, waarin het absolute belang werd beoordeeld. Dit geeft aan dat de deelnemers tot op zekere hoogte consistent waren in hun redeneringen en opvattingen.

- **Relevantie van de adviezen:** De geformuleerde adviezen waren niet alleen talrijk, maar ook goed onderbouwd en relevant voor het beleidsdebat rondom dure geneesmiddelen.

4.4 Draagvlak vergroten

Het Burgerforum telde slechts 24 deelnemers die volop de gelegenheid kregen zich in de materie te verdiepen en met elkaar in discussie te gaan. Het verkrijgen van een breed maatschappelijk draagvlak is essentieel om beslissingen over dure geneesmiddelen te legitimeren en het vertrouwen van burgers in het zorgbeleid van de overheid te versterken. Om het draagvlak te vergroten, kunnen landelijke communicatiecampagnes en regionale burgerfora worden ingezet om bredere participatie te stimuleren. Publieke consultaties, zoals enquêtes en groepsdiscussies, bieden daarnaast mogelijkheden om een groter publiek te informeren en feedback te verzamelen die eventueel kan worden meegenomen in de besluitvorming.

4.5 Methodologische kanttekeningen

Bij de interpretatie van de resultaten moet rekening worden gehouden met een aantal methodologische aandachtspunten:

- **Ervaring van deelnemers:** Een aantal deelnemers had al eerder deelgenomen aan burgerfora. Deze ervaring kan van invloed zijn geweest op de dynamiek van de discussies en heeft mogelijk bijgedragen aan een goed gestructureerde deliberatie. Tegelijkertijd kan dit hebben geleid tot een minder onbevangen blik onder de deelnemers.
- **Representativiteit:** Hoewel de samenstelling van het Burgerforum zorgvuldig is gekozen om een zo divers mogelijke deelnemersgroep te vormen, was het aantal deelnemers beperkt. Om bredere maatschappelijke legitimiteit te verkrijgen, is het op zijn minst belangrijk om de inzichten van dit Burgerforum te toetsen bij een grotere groep burgers.
- **Ontbreken patiëntenperspectief:** We kozen bewust voor het burgerperspectief. Hoewel het patiëntenperspectief relevant is bij vergoedingsbesluiten, zou het in deze brede maatschappelijke afweging mogelijk tot bias leiden, omdat patiënten begrijpelijkerwijs vooral de eigen gezondheid en toegang tot zorg centraal stellen.

- **Selectie van casussen:** Ondanks zorgvuldige selectie van casussen kan de keuze van casussen van invloed zijn geweest op de besproken overwegingen. Andere casussen hadden mogelijk tot enigszins andere argumenten en afwegingen geleid.
- **Rol van experts:** De keuze van experts en hun inbreng kunnen eveneens de discussie hebben beïnvloed. Experts met verschillende achtergronden brachten diverse perspectieven in, maar hun bijdragen kunnen bewust of onbewust sturend zijn geweest.
- **Beperkte aandacht voor perspectief farmaceutische industrie:** Hoewel deelnemers spraken met een voormalig medewerker uit de industrie, is het de vraag in hoeverre zij daardoor voldoende inzicht kregen in prijsopbouw, investeringsrisico's en verdienmodellen. Dit kan het debat over maatschappelijke aanvaardbaarheid beperkt hebben.
- **Preventie:** Binnen het Burgerforum kwamen twee belangrijke overwegingen rondom preventie naar voren. In onze analyse hebben we ervoor gekozen om de overweging "Of behandeling helpt in het voorkómen van andere aandoeningen" op te nemen in de shortlist van 16 overwegingen. Een andere relevante overweging, "Of er een goede balans is tussen wat er wordt uitgegeven aan behandeling en het voorkómen van de aandoening", viel buiten de shortlist, maar blijft van belang getuige ook het feit dat het op de laatste dag van het Burgerforum bij het prioriteren van casussen herhaaldelijk aan gereferreerd werd. Beide overwegingen raken aan de bredere vraag hoe schaarse middelen het beste kunnen worden ingezet om zowel op korte als op lange termijn gezondheidswinst te realiseren met voldoende oog voor betaalbaarheid.

4.6 Aanzienlijke overeenkomsten tussen Burgerforum en literatuurstudie

Er bestaan aanzienlijke overeenkomsten tussen de 38 overwegingen die deelnemers aan het Burgerforum hebben aangedragen en de 33 elementen uit de systematische verkenning van de grijze literatuur over maatschappelijk aanvaardbare prijzen van dure geneesmiddelen (Annex A). In beide onderzoeken staan elementen centraal zoals effectiviteit, kwaliteit van leven, het ontbreken van alternatieve behandelingen en de kosteneffectiviteit van dure geneesmiddelen.



Tegelijkertijd zijn er duidelijke verschillen in accenten en invalshoeken. De deelnemers aan het Burgerforum brachten meerdere overwegingen in die betrekking hebben op de persoonlijke en sociale context van een behandeling. Zij benadrukten onder meer om de invloed van een behandeling op het welzijn van naasten, het gebruiksgemak voor de patiënt, de mate van maatschappelijke en persoonlijke acceptatie van de behandeling en de wenselijkheid van een medische oplossing. Deze aspecten komen in de literatuurstudie nauwelijks aan bod en vormen een inhoudelijke aanvulling van de literatuurstudie.

Daartegenover staan verschillende beleidsmatige elementen die in de literatuurstudie werden geïdentificeerd, maar in het Burgerforum niet aan bod kwamen. Dit betreft onder andere de dekking van investeringsrisico's, eerdere publieke bijdragen aan R&D, specifieke vormen van marktgedrag van fabrikanten (zoals concurrentietraining) en prijsstrategieën. Doordat deze onderwerpen niet expliciet waren opgenomen in de casussen en discussievragen van het Burgerforum, kwamen zij mogelijk ook niet naar voren als overweging van de deelnemers. Dit vormt een methodologische beperking, aangezien beleidsmatige aspecten een cruciale rol spelen in de discussie over geneesmiddelenprijzen.

Daarnaast is er een verschil in de wijze waarop onzekerheid rondom geneesmiddelen wordt geanalyseerd. De literatuur richt zich op wetenschappelijke onzekerheden, zoals de voorspelbaarheid van toekomstige ziektebelasting en de robuustheid van bewijs over de effectiviteit van een behandeling op de lange termijn. Het Burgerforum benadert onzekerheid meer pragmatisch en vraagt zich af wat deze betekent voor



de patiënt en de samenleving. Hierbij komt bijvoorbeeld de vraag aan de orde of patiënten en hun omgeving bereid zijn het risico te accepteren dat een behandeling niet het verwachte effect heeft.

De vergelijking tussen de uitkomsten van het Burgerforum en de systematische literatuurstudie laat zien dat academische en maatschappelijke perspectieven complementair kunnen zijn bij de formulering van beleid rondom geneesmiddelenprijzen. Waar de literatuurstudie een sterk analytisch en beleidsmatig kader biedt, brengen de inzichten van het Burgerforum belangrijke sociale en praktische overwegingen in beeld. Een geïntegreerde benadering die beide perspectieven combineert, zoals ook reeds is gebleken uit dit Burgerforum, kan bijdragen aan een evenwichtiger en maatschappelijk breder gedragen geneesmiddelenbeleid.

4.7 Vergelijking met recente andere studies

De bevindingen van het Burgerforum sluiten aan bij eerdere burgerconsultaties over de vergoeding van dure geneesmiddelen. Een recente studie in Nederland onderzocht via een survey onder ruim duizend burgers opvattingen over, onder andere, de vergoeding van vier hypothetische dure geneesmiddelen.[5] Deelnemers in de studie verschilden van mening: voor de geneesmiddelen tegen chronische darm-

ziekten en neuromusculaire ziekten was er brede steun voor vergoeding, vooral vanwege het voorkomen van lijden, verbetering van kwaliteit van leven, bewezen effectiviteit en het ontbreken van alternatieve behandelingen. Vergoeding bij levensbedreigende kanker en Alzheimer werd door de meerderheid juist niet gesteund, vanwege twijfel over de effectiviteit, ongunstige kosteneffectiviteit en buitensporig hoge prijzen. Respondenten benadrukten dat fabrikanten een signaal moeten krijgen dat zulke hoge prijzen onacceptabel zijn. Een recente studie in Canada richtte zich op Geneesmiddelen voor de behandeling van uiterst zeldzame aandoeningen en betrof 16 burgers in een deliberatief proces.[6] Naast kosteneffectiviteit bespraken de deelnemers de ernst van de aandoening en maatschappelijke impact. De studie toont aan dat publieke voorkeuren een complex samenspel van factoren betreft. Deze bevindingen onderstrepen het belang van deliberatieve processen, zoals die plaatsvinden in een Burgerforum waar deelnemers de verschillende afwegingen in een bredere context plaatsen en argumenten uitwisselen om tot een goed onderbouwd breed gedragen advies te komen (zoals dat ook gebeurt in de Adviescommissie Pakket)

Het Burgerforum Dure geneesmiddelen bevestigt en verdiept de bevindingen van het eerder gehouden Burgerforum 'Keuzes in de Zorg'. [7] Net als in 2017 blijken burgers grote waarde te hechten aan overwegingen rondom

‘de aandoening’ en ‘de behandeling’, zoals effectiviteit, medische noodzaak en beschikbaarheid van alternatieve behandelingen. Tegelijkertijd brengt de nadruk op geneesmiddelenprijzen nieuwe overwegingen met zich mee, waar- onder transparantie over prijsopbouw en eerlijke winstmarges.

4.8 Conclusies

Het Burgerforum laat zien dat burgers waardevolle inzichten kunnen bieden over de maatschappelijke accep- tatie van dure geneesmiddelen. De belangrijkste conclusies zijn:

Overeenstemming met huidig beleid, maar ook nieuwe inzichten. De 16 benoemde overwegingen sluiten groten- deels aan bij het Argumentenkader Dure Geneesmiddelen van ZIN. Dit bevestigt dat dit beoordelingskader maatschap- pelijke voorkeuren weerspiegelt en een leemte opvult binnen het bredere ZIN-kader, maar ook ruimte laat voor aanscherping. Verdere operationalisering is nodig om het effectief te benutten in beleidsimplementatie.

Brede consensus over kritische houding. Er was brede overeenstemming onder de deelnemers over de noodzaak van een kritische houding ten aanzien van dure geneesmid- delen. De deelnemers benadrukten dat de overheid, waar nodig, ‘nee’ moet durven zeggen om de betaalbaarheid van zorgpremies en de toegankelijkheid van zorg te waar- borgen. Transparantie in de prijsstelling en strengere regulering werden gezien als essentieel om tot maatschap- pelijke aanvaardbare prijzen van geneesmiddelen te komen.

Consistente en genuanceerde standpunten. De deelne- mers konden zich in korte tijd goed verdiepen in de complexe problematiek rondom dure geneesmiddelen. De discussie kenmerkte zich door een diversiteit aan argu- menten, zorgvuldige afwegingen en consistentie tussen verschillende oefeningen. Dit laat zien dat burgers in staat zijn om onderbouwde adviezen te formuleren die relevant zijn voor het beleidsdebat.

Deel 2

De online enquête



5

Methodologie

5.1 Doelstelling

In dit hoofdstuk wordt de online enquête besproken die is gehouden onder een representatieve steekproef van de Nederlandse bevolking. Deelnemers kregen een reeks overwegingen voorgelegd, ontleend aan de resultaten van het Burgerforum en thematisch geordend op basis van vier domeinen: kenmerken van de aandoening, kenmerken van de behandeling, prijsstelling en impact op de zorg en op de maatschappij. Deze domeinen zijn eerder geïdentificeerd in een literatuurstudie en gaven ook vorm aan de inhoudelijke structuur van het Burgerforum.

De enquête had een tweeledig doel. Ten eerste om inzicht te krijgen in welke overwegingen burgers belangrijk vinden voor de maatschappelijke aanvaardbaarheid van hoge geneesmiddelenprijzen en -uitgaven. Ten tweede bood de enquête de mogelijkheid om te toetsen of de uitkomsten van het Burgerforum, dat met een kleine groep goed geïnformeerde deelnemers werd uitgevoerd, breder worden gedeeld in de samenleving. Dit laatste biedt inzicht in hoe burgers over deze thema's oordelen zonder eerst grondige informatie te hebben gehad of dialoog te hebben gevoerd – en waar beleid op kan aanhaken om geïnformeerde meningsvorming te ondersteunen.

5.2 Werving en selectie van deelnemers

De deelnemers werden geselecteerd via het bestaande onderzoekspanel van Motivaction. Dit panel omvat enkele tienduizenden personen die zich vrijwillig hebben aangemeld voor deelname aan allerhande onderzoek.

Voor de samenstelling van de steekproef voor de enquête gold hetzelfde streven als bij de selectie van deelnemers aan het Burgerforum, namelijk het verkrijgen van een zo breed mogelijke afspiegeling van de Nederlandse bevolking in termen van geslacht, leeftijd, woonregio en levensinstelling zoals onderscheiden in het Mentality™-model van Motivaction. Dit model maakt onderscheid tussen acht waardenprofielen, elk met hun eigen opvattingen, drijfveren en gedragspatronen. Voor nadere details over dit model en de wijze van selectie wordt verwezen naar paragraaf 2.1 van het methodehoofdstuk van het Burgerforum. Voor de enquête werd een steekproefomvang van rondom 1000 respondenten beoogd.

5.3 Opzet van de vragenlijst

De vragenlijst voor de online enquête bestond uit drie oefeningen (de gehele tekst is opvraagbaar bij de Radboudumc onderzoekers):

Oefening 1 – Bereidheid bij specifieke overwegingen

In Oefening 1 werd respondenten gevraagd naar hun bereidheid om een hoge prijs van een geneesmiddel te accepteren, afhankelijk van 35 uiteenlopende overwegingen. Deze zijn gebaseerd op de 29 overwegingen die in het Burgerforum aan deelnemers werden voorgelegd (zie sectie 3.2), geselecteerd uit een oorspronkelijke lijst van 38. Sommige overwegingen zijn opgesplitst om eenduidiger antwoorden te verkrijgen; zo werd bijvoorbeeld de rol van leeftijd gespecificeerd in twee afzonderlijke vragen over aandoeningen die kinderen betreffen en aandoeningen die ouderen treffen.

Een voorbeeldvraag was:

“Als behandeling voorkomt dat een patiënt overlijdt dan ben ik ... bereid om een hoge prijs van een geneesmiddel te accepteren.”

Beantwoording vond plaats op een 5-punts Likertschaal: 1 = veel minder bereid; 2 = minder bereid; 3 = neutraal (maakt niet uit); 4 = meer bereid; 5 = veel meer bereid. Daarnaast konden respondenten “9 = weet ik niet / geen mening” invullen.

Deze oefening mat het absolute belang van 35 afzonderlijke overwegingen, telkens gegroepeerd in vier categorieën: gerelateerd aan een aandoening, aan behandeling, aan de prijsstelling van het geneesmiddel, en aan de eventuele effecten op de zorg en/of de samenleving in algemene zin. De vier categorieën overwegingen werden in willekeurige volgorde aangeboden om de kans op een eventuele systematische bias te verkleinen.

Oefening 2 – Selectie van belangrijkste overwegingen

Op basis van de antwoorden in Oefening 1 selecteerden de respondenten, uit de overwegingen waaraan zij een extreme score (1 of 5) hadden gegeven, hun drie belangrijkste; zo werd het relatieve belang gemeten.

Oefening 1 en 2 vullen elkaar aan. Absoluut belang (Oefening 1) geeft zicht op hoe afzonderlijke overwegingen gewaardeerd worden, terwijl relatief belang (Oefening 2) duidelijk maakt welke overwegingen uiteindelijk het zwaarst wegen.

Oefening 3 – Effect van specifieke context

In Oefening 3 werd een fictieve casus rondom het geneesmiddel Xelviora gepresenteerd, als behandeling voor een bepaalde vorm van kanker. Respondenten werden willekeurig toegewezen aan één van twee scenario's:

- Scenario 1: Erg hoge uitgaven voor de maatschappij

Het geneesmiddel kost €100.000 per patiënt per jaar. Jaarlijks gebruiken ongeveer 2000 mensen het geneesmiddel, wat neerkomt op een uitgavenpost van ongeveer €200 miljoen per jaar. Daarnaast werd benadrukt dat vergoeding van dit geneesmiddel via de zorgverzekering ertoe zou kunnen leiden dat sommige andere zorg niet langer vergoed kan worden, óf dat de zorgpremie stijgt; en verder dat er in de toekomst een flink aantal nieuwe, vaak ook dure middelen op de markt komen, waardoor de overheid dergelijke keuzes steeds opnieuw zal moeten maken.

- Scenario 2: Grote onzekerheid over effectiviteit

Er bestaat grote onzekerheid over de effectiviteit van het geneesmiddel en de impact op kwaliteit van leven en maatschappelijke participatie.

In beide scenario's kregen respondenten wederom de lijst met overwegingen voorgelegd. Doel van deze opzet was om te onderzoeken hoe de context — erg hoge uitgaven of onzekerheid — de maatschappelijke oordeelsvorming over geneesmiddelenprijzen beïnvloedt.

5.4 Uitvoering

Deelnemers kregen instructies in eenvoudige taal waarin werd benadrukt dat er geen goede of foute antwoorden waren en dat het ging om hun persoonlijke mening. Voorafgaand aan de brede uitrol werd de vragenlijst getest door de Radboudumc-onderzoekers op begrijpelijkheid, logica en technische werking. In een pilot-studie, medio april 2025, is de vragenlijst getest onder ruim 100 respondenten, waarna er één enkele lichte wijziging is doorgevoerd in de tekst rondom oefening 3 (de term 'hoge budgetimpact' werd door het projectteam bij nader inzien te technisch bevonden en vervangen door 'erg hoge uitgaven voor de maatschappij'). De uiteindelijke enquête is eind april 2025 uitgevoerd via een beveiligd online platform van Motivaction. Deelname was vrijwillig, deelnemers ontvingen een vergoeding en alle antwoorden zijn anoniem verwerkt. De rapportage heeft betrekking op de gecombineerde resultaten van de pilot en de uiteindelijke enquête.

5.5 Data-analyse en interpretatie

Oefening 1 als uitgangspunt

In de analyse is oefening 1 als uitgangspunt genomen, waarin respondenten per overweging aangeven in hoeverre deze een hogere prijs rechtvaardigt. Dit sluit aan bij het doel van de enquête: inzicht krijgen in welke overwegingen respondenten belangrijk vinden, én of deze overeenkomen met die van deelnemers aan het Burgerforum. Zo ontstaat zicht op hoe respondenten oordelen zonder voorafgaand uitgebreide informatie of dialoog te hebben gehad, en waar beleid gericht kan aanhaken om geïnformeerde meningsvorming te versterken. Oefening 2, waarin een nieuwe prioritering wordt gemaakt, is daarvoor minder geschikt.

Respondenten beoordeelden in de oefening elke overweging op een vijfpuntsschaal, van 'veel minder bereid' (1) tot 'veel meer bereid' (5) om een hoge prijs te accepteren. Voor elke overweging zijn het gemiddelde, de mediaan en de standaarddeviatie (SD) berekend.

Voor de interpretatie van de gemiddelde scores zijn de volgende conventies gehanteerd:

- 1,00 – 1,80: zeer lage betalingsbereidheid
- 1,81 – 2,60: lage betalingsbereidheid
- 2,61 – 3,40: neutraal
- 3,41 – 4,20: hoge betalingsbereidheid
- 4,21 – 5,00: zeer hoge betalingsbereidheid

De schaal is symmetrisch rond het neutrale middelpunt van 3,00. Het algemene gemiddelde in deze analyse bedraagt 3,31, en vormt daarmee een praktisch referentiepunt voor vergelijking tussen afzonderlijke overwegingen.

Oefening 2 ter controle en bevestiging

De resultaten van oefening 2 worden gebruikt als aanvulling op oefening 1. Waar oefening 1 inzicht geeft in het belang dat burgers afzonderlijk toekennen aan verschillende overwegingen, laat oefening 2 zien hoe zij prioriteren wanneer zij expliciet moeten kiezen tussen de overwegingen waarvoor ze eerder een zeer lage of juist zeer hoge betalingsbereidheid hadden. Niet alle overwegingen die in oefening 1 extreem gewaardeerd werden, werden in oefening 2 ook daadwerkelijk als topprioriteit gekozen. Oefening 2 biedt zo aanvullende informatie over de interne samenhang en consistentie van de antwoorden en helpt

daarmee de resultaten uit oefening 1 te nuanceren en te versterken.

Interpretatie van effect van specifieke context

Om de mate van verschil tussen gemiddelden te duiden tussen oefening 1 en de twee contextscenario's in oefening 3, is gebruikgemaakt van Cohen's d . Cohen's d wordt berekend als het verschil tussen twee gemiddelden gedeeld door de standaarddeviatie. Deze is gebaseerd op de spreiding tussen items (in dit geval: overwegingen), wat passend is voor een algemene beoordeling van de verschuiving in het totale waarderingspatroon die toegeschreven kan worden aan de in oefening 3 verstrekte specifieke context. Voor de interpretatie van de effectgrootte zijn de volgende conventies gehanteerd:

$d \approx 0,2$ duidt op een klein effect

$d \approx 0,5$ duidt op een middelgroot effect

$d \approx 0,8$ duidt op een groot effect

Verschillen tussen gemiddelde scores zijn beoordeeld op hun betekenis, niet op statistische significantie. We hebben hiervoor gebruikgemaakt van Cohen's d , zodat duidelijk wordt of een verschil klein, gemiddeld of groot is. Zo kijken we vooral naar wat inhoudelijk belangrijk is, en niet alleen naar wat 'statistisch' opvalt.



Resultaten

6.1 Respons en steekproefkenmerken

In totaal vulden 884 personen de vragenlijst volledig in. Daarnaast waren er 118 respondenten die niet zijn opgenomen in de uiteindelijke steekproef, omdat zij als ‘verdacht’ werden beschouwd: zij vulden de vragenlijst in een zeer korte tijd in, gaven opvallend vaak hetzelfde antwoord of kozen veelvuldig voor de optie ‘ik weet het niet’.

De samenstelling van de steekproef vormt een goede afspiegeling van de Nederlandse bevolking naar leeftijd, geslacht, regio en levensinstelling, op basis van het Mentality™-model. Om de representativiteit verder te versterken, is de steekproef gewogen. De weging corrigeert kleine afwijkingen ten opzichte van de bevolkingssamenstelling, zodat alle groepen proportioneel zijn vertegenwoordigd. Dit voorkomt vertekening van de resultaten en verhoogt de generaliseerbaarheid van de bevindingen.

Tabel 2 toont de verdeling van de steekproef vóór en na weging, vergeleken met de verdeling in de Nederlandse bevolking. De verschillen zijn gering en blijven binnen aanvaardbare marges.

Kenmerk	Nederlandse bevolking	Respondenten	
		Voor weging	Na weging
Geslacht			
Man	49	47,9	49,1
Vrouw	51	52,1	50,9
Leeftijd			
18–24 jaar	11,6	8,3	11,4
25–34 jaar	16,9	16,0	16,2
35–44 jaar	15,4	13,9	15,0
45–54 jaar	17,8	19,5	17,7
55–64 jaar	17,4	18,1	18,0
65–80 jaar	20,9	24,3	21,7
Opleidingsniveau			
Hoog	31,6	39,1	32,0
Midden	49,3	46,9	48,8
Laag	19,0	13,9	19,2
Regio			
Grote steden + rand-gemeenten	16,4	15,6	16,0
West	29,4	30,2	29,6
Noord	9,8	9,6	9,9
Oost	20,9	19,6	20,5
Zuid	23,4	25,0	24,0
Mentality-profiel			
Kosmo-polieten	18,3	18,2	18,5
Postmateri-alisten	11,8	12,7	12,0
Post-moderne hedonisten	9,0	10,7	9,1
Opwaarts mobielen	11,1	10,0	11,1
Nieuwe conserva-tieven	8,1	8,7	7,9
Moderne burgerij	21,1	19,3	20,8
Traditione-le burgerij	8,5	9,6	8,9
Impulsieve individua-listen	12,1	10,7	11,6

Tabel 2: Basale kenmerken van de respondenten in vergelijking met de Nederlandse bevolking

Bron: Motivaction 2025.

6.2 Resultaten Oefening 1 – Absoluut belang van overwegingen

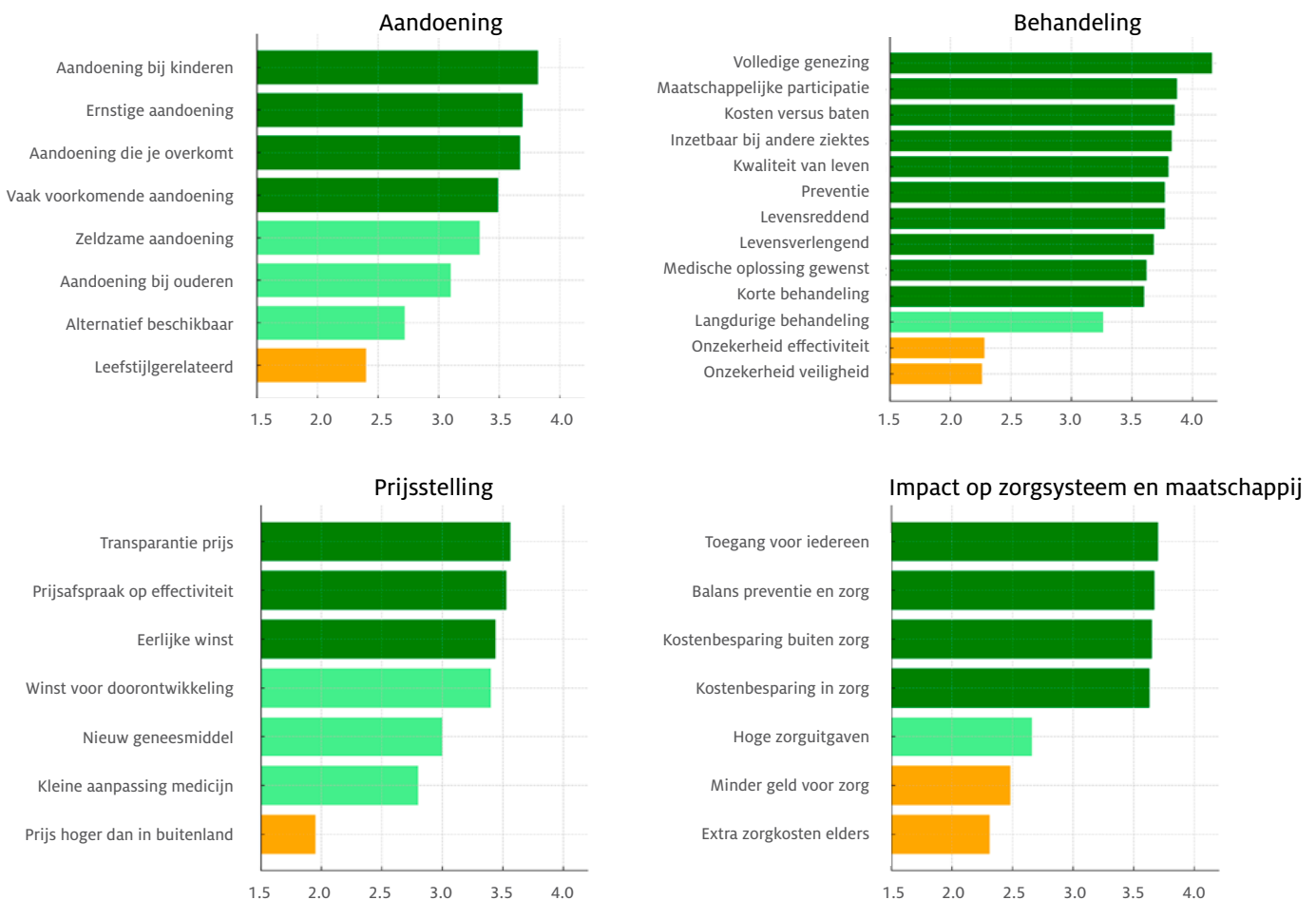
De weergegeven waarden van Oefening 1 zijn gemiddelde scores op een vijfpuntsschaal (1 = veel minder bereid, 5 = veel meer bereid). Hoewel Likert-antwoorden formeel ordinaal zijn en de verdeling afwijkt van normaal, wordt hier het gemiddelde gerapporteerd om verschillen tussen items zichtbaar te maken en de interpretatie te ondersteunen.

Sommige overwegingen vielen relatief gezien duidelijk hoger of lager uit, wat wijst op specifieke accenten in hoe burgers die maatschappelijke afweging maken (figuur 5, volledige resultaten in Bijlage H). De resultaten worden hieronder afzonderlijk gerapporteerd voor de vier domeinen van overwegingen.

Aandoening

De aard van een aandoening bleek een belangrijke factor voor de maatschappelijke aanvaardbaarheid van hoge geneesmiddelenprijzen. Respondenten toonden een hogere betalingsbereidheid voor geneesmiddelen bij aandoeningen die vooral kinderen treffen (3,82), ernstig zijn (3,69), in situaties waarin een aandoening iemand simpelweg overkomt zonder dat leefstijl daarbij een rol speelt (3,67), en bij vaak voorkomende aandoeningen (3,49). Een neutrale betalingsbereidheid werd gevonden bij zeldzame aandoeningen (3,34) aandoeningen die vooral ouderen treffen (3,10), en als er al andere behandelingen beschikbaar zijn (2,72). Wanneer een aandoening mede veroorzaakt wordt door ongezond gedrag of leefstijl (2,40), was de betalingsbereidheid laag.

Gemiddelde scores per categorie (Q1), gesorteerd op betalingsbereidheid



Figuur 5: Betalingsbereidheid per domein

Behandeling

Ook de kenmerken van de behandeling bleken sterk bepalend voor de acceptatie van hogere prijzen. Een hogere betalingsbereidheid werd gevonden voor behandelingen die de aandoening volledig kunnen genezen (gemiddelde score 4,16), maatschappelijke participatie bevorderen (3,87), een gunstige kosten-batenverhouding hebben (kosteneffectief zijn) (3,85), bij meerdere aandoeningen inzetbaar zijn (3,83), de kwaliteit van leven verbeteren (3,80), overlijden voorkomen (3,77), andere aandoeningen helpen voorkomen (3,77), de levensduur verlengen (3,68), een medische oplossing bieden (3,62) of kortdurend zijn (3,60). Voor langdurige of levenslange behandelingen (3,26) was de betalingsbereidheid neutraal, terwijl deze laag was we bij onzekerheid over effectiviteit (2,28) of veiligheid (2,26).

Prijsstelling

Rondom het domein marktgedrag van fabrikanten varieerde de maatschappelijke betalingsbereidheid van hoog tot laag. Respondenten hadden een hogere betalingsbereidheid voor geneesmiddelen waarbij er transparantie is over de prijsopbouw van een geneesmiddel (3,56), vergoeding afhankelijk wordt gemaakt van bewezen effectiviteit (3,53), en een eerlijke winst voor de fabrikant (3,44).

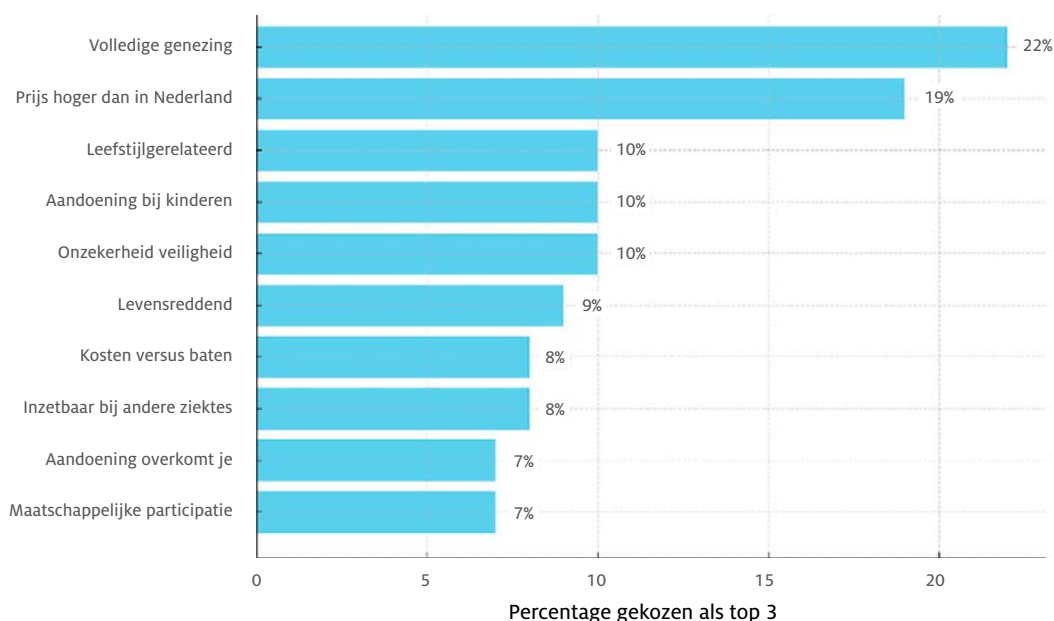
Behandelingen waarbij de winst wordt geïnvesteerd in verdere productontwikkeling (3,40) en kleine aanpassingen van reeds bestaande geneesmiddelen (2,80) scoorden neutraal, terwijl de betalingsbereidheid laag was voor geneesmiddelen waarvan de prijs in Nederland veel hoger is dan die in het buitenland (1,95).

Impact op zorgsysteem en maatschappij

Een hogere betalingsbereidheid werd gevonden bij geneesmiddelen die universele toegang garanderen (3,70), kosten besparen binnen (3,63) of buiten de zorg (3,65), of waarvoor een goede balans bestaat tussen behandeling en preventie (3,67). Voor geneesmiddelen met hoge zorguitgaven is de betalingsbereidheid neutraal (2,66). Voor geneesmiddelen waarbij hoge uitgaven mogelijk minder geld overlaten voor andere zorg (2,48), was de betalingsbereidheid laag. Die daalde verder bij middelen die leiden tot extra zorgkosten elders in het systeem (2,31), wat eveneens duidt op een lage betalingsbereidheid.

6.3 Resultaten Oefening 2 – Relatief belang van overwegingen

In Oefening 2 selecteerden respondenten uit hun eerdere antwoorden de drie belangrijkste overwegingen (figuur 6).



Figuur 6: Vermeldingen in de top-3 van belangrijkste overwegingen (volgens oefening 2)

De resultaten van oefening 2 tonen welke overwegingen burgers het vaakst aanduiden als meest relevant voor de maatschappelijke aanvaardbaarheid van hogere geneesmiddelenprijzen. De overweging 'volledige genezing' werd door 22% van de respondenten als een van de top 3 argumenten gekozen, gevolgd door 'prijs hoger dan in het buitenland' (19%), en overwegingen als 'leefstijlgerelateerd' (10%), 'aandoening bij kinderen' (10%) en 'onzekerheid veiligheid' (10%).

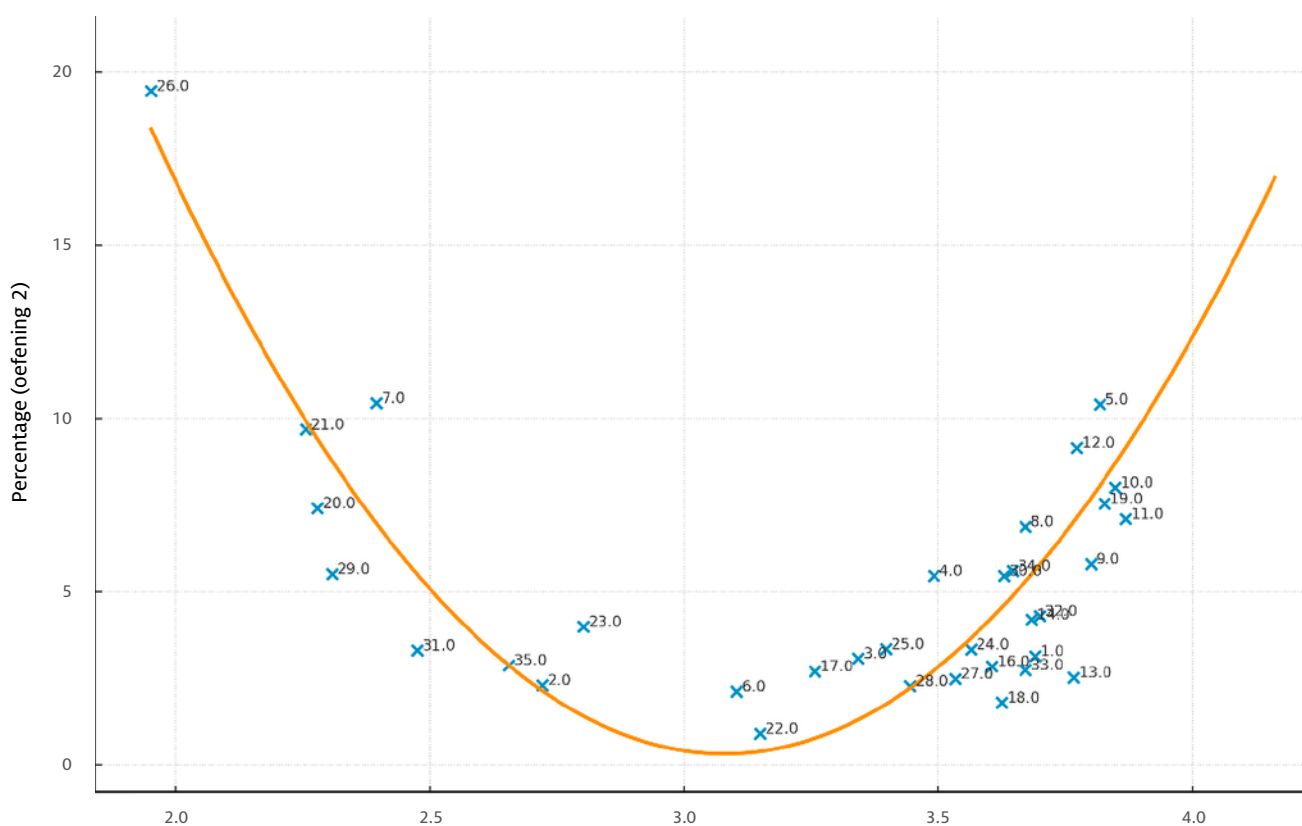
Overwegingen rond marktgedrag, zoals transparante prijs of eerlijke winst werden het minst vaak geselecteerd, wat erop wijst dat deze voor burgers minder doorslaggevend zijn in hun uiteindelijke oordeel.

Vergelijking van uitkomsten van oefeningen 1 en 2

Figuur 7 zet de uitkomsten van oefening 1 en oefening 2 in een scatterplot tegen elkaar uit, en laat, zoals verwacht, een U vormige spreiding zien. Sommige overwegingen scoren in beide oefeningen hoog, waaronder volledige genezing

(4,16; 22,4%) en kosten versus baten (3,85; 8,0%). Een andere overweging, hogere prijs dan in buitenland (1,95), heeft een lage score in oefening 1 maar wordt relatief vaak gekozen in oefening 2 (19,5%), net als de overwegingen ongezond gedrag als oorzaak van aandoening (2,40; 10,4%) en onzekerheid over veiligheid op lange termijn (2,26; 9,7%). Ook overwegingen als kwaliteit van leven (3,80; 5,8%), maatschappelijke participatie (3,87; 7,1%) en overlijden voorkomen (3,77; 9,1%) vertegenwoordigen in beide oefeningen een zekere mate van belang, zij het in wisselende mate. Voor andere overwegingen zijn de patronen minder uitgesproken of minder consistent.

Een aanvullende kwadratische regressieanalyse bevestigt dit ook en toont een significant verband tussen de gemiddelde scores uit oefening 1 en de top 3-keuzepercentages in oefening 2 ($R^2 = 0,78$; $p < 0,001$) (Figuur 6.3). Dit laat zien dat de respondenten in algemene zin consistent zijn in hun antwoorden.



Figuur 7: Verband tussen uitkomsten van oefeningen 1 en 2*

* bijlage H voor nummering van overwegingen

6.4 Resultaten Oefening 3 – Effect van context

Scenario: erg hoge uitgaven voor de maatschappij

In het scenario waarin Xelviora werd gepresenteerd met erg hoge uitgaven voor de maatschappij, daalde de gemiddelde betalingsbereidheid naar 3,22. Dit is lager dan het algemene gemiddelde in oefening 1 (3,31) en valt daarmee net onder de d-drempel voor een 'klein effect' (Cohen's $d = 0,17$).

De overweging "Als het transparant is hoe de prijs van een bepaald geneesmiddel is opgebouwd" liet een daling zien van 3,56 naar 3,38, met een Cohen's d van $-0,20$ – het enige item in dit scenario dat volgens de gehanteerde criteria een klein effect liet zien.

Andere overwegingen lieten effecten zien die onder de d-drempel voor een klein effect vallen, en dus verwaarloosbaar zijn. Samenvattend wijst dit erop dat de context van hoge maatschappelijke uitgaven weinig invloed heeft op hoe respondenten andere overwegingen beoordelen bij het bepalen van de aanvaardbaarheid van een hogere geneesmiddelenprijs.

Scenario: grote onzekerheid over effectiviteit

In het scenario waarin Xelviora werd gepresenteerd met grote onzekerheid over de effectiviteit, daalde de gemiddelde betalingsbereidheid naar 3,06. Dit is duidelijk lager dan het algemene gemiddelde in oefening 1 (3,31) en daarmee kan de toevoeging 'grote onzekerheid over de effectiviteit' worden aangemerkt als een klein tot middelgroot effect (Cohen's $d = 0,46$).

Een groot deel van de overwegingen liet een klein tot middelgroot effect zien: bij 26 van de 35 overwegingen viel het effect binnen de bandbreedte voor een klein tot middelgroot effect (Cohen's d tussen 0,2 en 0,5), en bij negen als verwaarloosbaar. De grootste item-specifieke effecten werden gevonden bij de overweging "balans tussen behandeling en preventie", die daalde van 3,67 naar 3,27 (Cohen's $d = 0,44$), en bij "kosten versus baten", die daalde van 3,85 naar 3,45 (Cohen's $d = 0,43$); beide komen in de buurt van een middelgroot effect.

Samenvattend laat dit scenario zien dat onzekerheid over effectiviteit een systematisch klein tot middelgroot effect heeft op de betalingsbereidheid van burgers over nagenoeg de volle breedte van overwegingen die in de beoordeling van hoge prijzen van geneesmiddelen een rol spelen.



Discussie en conclusies

7.1 Inleiding

Dit hoofdstuk bespreekt de belangrijkste bevindingen van de online enquête onder burgers over de maatschappelijke aanvaardbaarheid van hoge prijzen en uitgaven aan geneesmiddelen. Daarbij wordt gereflecteerd op de sterktes en beperkingen van het onderzoek.

7.2 De belangrijkste bevindingen

De online enquête had als doel om inzicht te verkrijgen in welke overwegingen burgers belangrijk vinden bij hun oordeel over geneesmiddelenprijzen, en om te toetsen of de uitkomsten van het eerder uitgevoerde Burgerforum breed gedragen worden in de samenleving.

De resultaten van oefening 1 laten zien dat burgers eerder bereid zijn om hogere prijzen te accepteren wanneer een geneesmiddel aantoonbare maatschappelijke waarde biedt. Dit geldt met name bij volledige genezing (4,16), maatschappelijke participatie (3,87), een gunstige kosten-baten-verhouding (3,85), inzet bij kinderen (3,82) en verbetering van de kwaliteit van leven (3,80). Ook verantwoord marktgedrag verhoogt de aanvaardbaarheid van hogere prijzen — zoals transparantie over prijsopbouw (3,56), onderhandelingen op basis van effectiviteit (3,53) en een eerlijke winst voor de fabrikant (3,44).

Daarentegen is de betalingsbereidheid laag wanneer een geneesmiddel in Nederland veel duurder is dan in andere landen (1,95), wanneer sprake is van onzekerheid over effectiviteit (2,28) of veiligheid (2,26), tot extra zorgkosten leidt (2,31), of een aandoening mede wordt veroorzaakt door ongezond gedrag of leefstijl (2,40). Ook wanneer hoge uitgaven ten koste kunnen gaan van andere zorg (2,48), er alternatieve behandelingen beschikbaar zijn (2,72), en bij minimale innovatie (2,80) zijn burgers terughoudend. In deze situaties vinden zij het moeilijker te rechtvaardigen dat publieke middelen worden ingezet voor vergoeding van een duur geneesmiddel.

In oefening 2 worden veel van dezelfde overwegingen als hoge prioriteit aangemerkt als in oefening 1. Dit geldt bijvoorbeeld voor volledige genezing, kosten versus baten, ernstige aandoening en kwaliteit van leven, die zowel hoog gewaardeerd als vaak gekozen worden. Ook hogere prijs dan in het buitenland, dat in oefening 1 juist laag scoorde, wordt vaak als belangrijke overweging genoemd. De statistische analyse toont aan dat de uitkomsten van oefening 1 en 2 in belangrijke mate consistent zijn.

De resultaten van oefening 3 laten zien dat burgers kritischer worden wanneer de effectiviteit van een geneesmiddel onzeker is. In dit scenario neemt niet alleen hun bereidheid om te betalen af, maar worden ook overwegingen die doorgaans vanzelfsprekend zijn — zoals kosteneffectiviteit en maatschappelijke participatie — extra streng beoordeeld. Mogelijk stellen burgers hierdoor hogere eisen aan de waarde van een geneesmiddel zodra onzekerheid ontstaat over de effectiviteit: wat bij zekerheid nog acceptabel kosteneffectief lijkt, kan bij twijfel ontoereikend worden gevonden.

Wanneer daarentegen benadrukt wordt dat de kosten voor de samenleving hoog zijn, blijkt de invloed op de acceptatie van een hogere prijs beperkt. Slechts één overweging — transparantie van de prijsopbouw — krijgt duidelijk minder waardering. Dit suggereert dat burgers andere afwegingen nauwelijks anders beoordelen in het licht van hoge maatschappelijke uitgaven.

7.3 Sterktes en beperkingen van het onderzoek

Een belangrijke sterkte van het onderzoek is de methodologische opzet, waarin absolute waardering en relatieve prioritering zijn gecombineerd en de interne consistentie tussen beide zorgvuldig is getoetst. De steekproef is representatief samengesteld, zodat een brede afspiegeling van de Nederlandse bevolking naar leeftijd, geslacht, regio en levensinstelling is bereikt.

Bij de enquête worden enkele methodologische aandachtspunten geplaatst voor een juiste interpretatie van de resultaten. Allereerst zijn de overwegingen in vereenvoudigde vorm aangeboden, terwijl de werkelijkheid rondom geneesmiddelenprijzen vaak complex is en verweven met bredere beleidskwesties die in de enquête niet aan de orde worden gesteld. Daarnaast kan de omvang en inhoudelijke zwaarte van de vragenlijst voor sommige deelnemers hebben geleid tot cognitieve overbelasting, wat de scherpheid van antwoorden kan hebben beïnvloed. Ten tweede is, zoals bij elk onderzoek op basis van zelfrapportage, niet uit te sluiten dat sommige antwoorden sociaal wenselijk zijn ingevuld in plaats van volledig op eigen overtuiging gebaseerd. Ten derde ontvingen deelnemers vooraf geen uitgebreide informatie over de dynamiek van prijsstelling en vergoeding. Het was een bewuste keuze om het perspectief van minder geïnformeerde burgers te peilen, maar vormt wél een beperking en een duidelijk verschil in vergelijking met het Burgerforum, waarin deelnemers wél uitgebreid zijn geïnformeerd en ze met elkaar intensief in gesprek gingen.

Tot slot zijn in de enquête slechts twee contextscenario's onderzocht – hoge maatschappelijke uitgaven en onzekerheid over effectiviteit – terwijl er in de praktijk veel meer denkbare situaties zijn die de oordeelsvorming kunnen beïnvloeden. Dit beperkt de breedte van de conclusies over contextuele gevoeligheid.

7.4 Conclusies

Op basis van deze online enquête kunnen vijf belangrijke conclusies worden getrokken over hoe de respondenten, anders dan degenen die hebben deelgenomen aan het Burgerforum, aankijken tegen hoge prijzen en uitgaven aan geneesmiddelen.

- 1 **Respondenten zijn eerder bereid een hogere prijs te accepteren bij duidelijke meerwaarde.** De bereidheid om meer te betalen richt zich vooral op de verwachte impact van de behandeling: klinische uitkomsten zoals volledige genezing en verbeterde kwaliteit van leven, maar ook kosten versus baten en maatschappelijke meerwaarde zoals participatie in de samenleving spelen hierin een belangrijke rol.
- 2 **De bereidheid is lager bij morele grenzen of onzeker bewijs.** Respondenten zijn terughoudender wanneer zij morele grenzen overschreden achten — bijvoorbeeld als een aandoening mede voortkomt uit ongezond gedrag, of wanneer de prijsstelling als onrechtvaardig wordt ervaren, zoals bij geneesmiddelen die fors duurder zijn dan in andere landen. Ook onzekerheid over de effectiviteit of veiligheid verlaagt de betalingsbereidheid aanzienlijk.
- 3 **Respondenten zijn consistent in hun oordeelsvorming.** De overwegingen die in Oefening 1 hoog of laag worden gewaardeerd, worden in Oefening 2 ook vaak als meest belangrijk gekozen. Dit wijst op een consistente en herhaalbare manier van denken over wat burgers belangrijk vinden bij de beoordeling van geneesmiddelenprijzen.
- 4 **De context beïnvloedt het oordeel.** Onzekerheid over de effectiviteit van een geneesmiddel heeft een duidelijke negatieve invloed op overwegingen rondom de maatschappelijke acceptatie. Financiële druk, zoals hoge totale uitgaven, speelt een minder grote rol.

- 5 **De resultaten geven inzicht, maar geen volledige diepgang.** Vanwege de aard van de vragenlijst, waarin van respondenten een oordeel wordt gevraagd op basis van slechts korte omschrijvingen, zonder uitgebreide achtergrondinformatie, weerspiegelen de uitkomsten vooral spontane waarderings, en dus niet zozeer diepdoordachte afwegingen.

Deel 3

Einddiscussie en conclusies



Einddiscussie en conclusies

8.1 Introductie

Dit hoofdstuk vat de inzichten samen verkregen uit het Burgerforum en de online enquête over de maatschappelijke aanvaardbaarheid van hoge prijzen en uitgaven voor dure geneesmiddelen. Het presenteert de belangrijkste bevindingen uit het project, en bespreekt hun maatschappelijke relevantie, de beperkingen van het onderzoek en de belangrijkste conclusies.

8.2 Belangrijkste bevindingen

Een van de belangrijkste opbrengsten van het Burgerforum is de totstandkoming van een figuur met 16 overwegingen die volgens de deelnemers centraal zouden moeten staan bij het beoordelen van hoge prijzen van geneesmiddelen (figuur 8). Deze overwegingen zijn voortgekomen uit casusbesprekingen, groepsdiscussies en oefeningen, en zijn onderverdeeld in vier domeinen:



Figuur 8: De 16 belangrijkste overwegingen



Bereidheid om te betalen: gezondheidswinst, rechtvaardigheid en maatschappelijke relevantie

In het Burgerforum gaven deelnemers aan dat hogere geneesmiddelenprijzen vooral te rechtvaardigen zijn bij ernstige aandoeningen, en wanneer een behandeling leidt tot levensredding, verbetering van kwaliteit van leven, deelname aan de samenleving, of een gunstige kosten-baten verhouding heeft. De enquête laat een vergelijkbaar patroon zien. Respondenten zijn eerder bereid om meer te betalen voor geneesmiddelen die veel gezondheidswinst opleveren, zoals volledige genezing of levensverlenging, en voor behandelingen die waar voor hun geld bieden, rechtvaardige toegang bevorderen of maatschappelijke deelname mogelijk maken.

Grenzen aan prijsstelling: maatschappelijke rechtvaardigheid als uitgangspunt

Zowel het Burgerforum als de online enquête laten zien dat burgers duidelijke grenzen trekken aan wat zij een maatschappelijk aanvaardbare prijs voor geneesmiddelen vinden. Die grenzen komen naar voren in situaties waarin de waarde van een geneesmiddel onzeker is, wanneer het wordt ingezet bij aandoeningen die (mede) voortkomen uit ongezond gedrag, of wanneer de prijs buiten proportie is ten opzichte van de maatschappelijke baten. In dergelijke

gevallen neemt de bereidheid om een hogere prijs te accepteren merkbaar af. Burgers zijn dan terughoudender en stellen hogere eisen aan de rechtvaardiging van de prijs, omdat zij het gevoel hebben dat publieke middelen zorgvuldig en eerlijk moeten worden besteed.

Specifieke kritiek op marktgedrag van fabrikanten

Binnen deze bredere normatieve afwegingen richtten deelnemers aan het Burgerforum hun zorgen nadrukkelijk op het gedrag van farmaceutische bedrijven. Ondanks uiteenlopende persoonlijke ervaringen was er een gedeeld besef dat de overheid, waar nodig, ‘nee’ moet kunnen zeggen tegen buitensporige prijzen om de toegankelijkheid en betaalbaarheid van zorg te beschermen. Er was brede consensus over het belang van strengere marktregulering, transparantie over prijsopbouw, en het stellen van redelijke winstmarges.

Deelnemers erkenden dat fabrikanten commercieel opereren, maar spraken zich krachtig uit tegen strategische prijsopdrijving — zoals het op de markt brengen van nauwelijks vernieuwde middelen tegen hoge prijzen. Zij vonden dat een hogere prijs alleen gerechtvaardigd is als deze in verhouding staat tot de werkelijke maatschappelijke waarde, de ontwikkelkosten en een redelijke winst. Deze

opvatting ging gepaard met een oproep aan fabrikanten en aandeelhouders om hun maatschappelijke verantwoordelijkheid te nemen.

De enquête bevestigt deze kritische houding. Respondenten tonen een lage betalingsbereidheid wanneer de prijs van een geneesmiddel veel hoger ligt dan in andere landen, of als het gaat om kleine aanpassingen aan bestaande middelen. Daarentegen is er meer draagvlak voor hogere prijzen wanneer sprake is van transparantie, prijsafspraken op basis van effectiviteit, herinvestering van winst, en een redelijke marge voor de fabrikant. Beide instrumenten laten zien dat burgers kritisch maar genuanceerd kijken naar de rol van de markt, en nadrukkelijk rechtvaardigheid en maatschappelijke verantwoording als leidraad hanteren.

De invloed van context: onzekerheid over effectiviteit zorgt voor minder betalingsbereidheid

Uit de enquête blijkt dat respondenten aanzienlijk terughoudender worden in hun bereidheid om een hogere prijs te accepteren wanneer de effectiviteit van een geneesmiddel onzeker is. In zulke situaties daalt het vertrouwen in de werking, en neemt het draagvlak voor vergoeding af — zelfs bij middelen die onder normale omstandigheden als maatschappelijk waardevol worden gezien. Respondenten stellen dan strengere eisen aan de rechtvaardiging van de prijs, juist omdat het verwachte effect minder zeker is.

8.3 Worden uitkomsten van het Burgerforum breed gedeeld in de samenleving?

Een belangrijk doel van de enquête was om te toetsen of de uitkomsten van het Burgerforum — waarin een kleine groep goed geïnformeerde burgers na uitgebreide informatie en onderlinge dialoog tot gezamenlijke conclusies kwam — ook herkenning vinden bij burgers in het algemeen. Omdat deelnemers aan de enquête geen toelichting of interactie ontvingen, biedt de vergelijking tussen beide onderdelen inzicht in hoe mensen oordelen zonder voorafgaande informatie — en waar communicatie of ondersteuning vanuit beleid kan helpen om geïnformeerde meningsvorming te versterken.

De enquête bevestigt in grote lijnen de voorkeuren uit het Burgerforum. Toch zijn er enkele opvallende verschillen, met name bij complexe en/of moreel beladen onderwerpen waar toelichting en deliberatie het oordeel zichtbaar beïnvloeden. Zo kreeg de beschikbaarheid van alternatieve behandelingen in de enquête weinig gewicht, terwijl dit in

het Burgerforum uitvoerig besproken werd en als belangrijke overweging naar voren kwam. Leefstijlgerelateerde aandoeningen werden in de enquête strenger beoordeeld: respondenten gaven een lage betalingsbereidheid als ongezond gedrag mogelijk een rol speelt, terwijl forumdeelnemers hierover genuanceerd discussieerden en persoonlijke verantwoordelijkheid afwogen tegen pech of aanleg.

Ditzelfde patroon geldt voor prijsvorming en marktgedrag van fabrikanten. In het Burgerforum spraken deelnemers zich uitgesproken uit over buitensporige prijzen, gebrek aan transparantie en strategische prijsopdrijving. In de enquête was de kritiek eveneens zichtbaar, bijvoorbeeld bij lage scores voor geringe innovatie of prijsverschillen met het buitenland, maar minder uitgesproken. Deelnemers aan het forum hadden door gesprekken met experts en onderlinge reflectie meer zicht op prijsvorming, en gaven expliciete aanbevelingen over het stellen van grenzen en eisen aan fabrikanten.

Deze verschillen onderstrepen dat geïnformeerde dialoog het oordeel van burgers beïnvloedt. Waar enquête-deelnemers zich vooral baseren op eerste indrukken, laat het Burgerforum zien dat meningen kunnen veranderen en zich verdiepen door informatie-uitwisseling en gesprek. Daarmee ontstaat zicht op hoe maatschappelijke voorkeuren zich vormen — en hoe beleid burgers beter kan ondersteunen bij het ontwikkelen van evenwichtige opvattingen over complexe zorgvraagstukken. Hiervoor zijn toegankelijke informatievoorziening, transparantie over gemaakte afwegingen en ruimte voor dialoog essentieel. Instrumenten zoals burgerfora, publieksvriendelijke uitleg en interactieve simulaties kunnen bijdragen aan bredere maatschappelijke betrokkenheid en het versterken van draagvlak voor moeilijke keuzes in de zorg.

8.4 Reflectie op de beperkingen

Het Burgerforum bood ruimte voor een rijke discussie, maar kent enkele belangrijke beperkingen. Hoewel de deelnemers een brede variatie aan opvattingen vertegenwoordigden, was het aantal deelnemers beperkt. Dat roept vragen op over de representativiteit van de resultaten voor de samenleving als geheel. Bovendien hadden sommige deelnemers eerder aan burgerfora deelgenomen. Dat kan positief hebben bijgedragen aan de kwaliteit van de deliberatie, maar mogelijk ook geleid hebben tot voorkeuren of groepsdynamieken die niet representatief zijn voor een willekeurige groep burgers.

Ook de online enquête kent methodologische beperkingen. De overwegingen zijn vereenvoudigd ten opzichte van de complexe beleidscontext, en de cognitieve belasting van de vragenlijst kan de scherpte van sommige antwoorden hebben beïnvloed. Daarnaast is sociale wenselijkheid niet uit te sluiten. Bovendien zijn slechts twee scenario's onderzocht (hoge maatschappelijke uitgaven en onzekerheid over effectiviteit), terwijl er in de praktijk meer denkbaar zijn. Dit beperkt de conclusies over contextgevoeligheid.

De enquête sluit bovendien niet in alle opzichten naadloos aan op het Burgerforum. Om de interpretatie te verduidelijken, zijn enkele vraagstellingen aangepast. Zo zijn bepaalde algemene overwegingen uit het Burgerforum in de enquête opgesplitst in twee afzonderlijke items. Een voorbeeld is de vraag of leeftijd een rol speelt, die is gesplitst naar aparte overwegingen voor kinderen en ouderen. Daarnaast is de antwoordcategorie aangepast: in plaats van een schaal van 'helemaal mee oneens' tot 'helemaal mee eens', is gevraagd naar de bereidheid om 'veel minder' tot 'veel meer' te betalen. Deze aanpassingen vergroten de duidelijkheid, maar kunnen ertoe leiden dat bepaalde nuances uit het Burgerforum niet één-op-één zichtbaar zijn in de enquêtegegevens.

8.5 Conclusies en implicaties voor beleid

De bevindingen uit het Burgerforum en de online enquête bieden een rijk en consistent beeld van hoe burgers denken over de maatschappelijke aanvaardbaarheid van prijzen en uitgaven voor dure geneesmiddelen. Op basis van deze inzichten zijn de volgende conclusies en beleidsimplicaties te trekken:

Duidelijk 'nee' durven zeggen hoort bij verantwoord pakketbeheer.

Burgers vinden dat de overheid, waar nodig, moet weigeren om dure geneesmiddelen te vergoeden die onvoldoende effectief zijn of waarvan de prijs maatschappelijk onaanvaardbaar is. Dat vraagt om politieke moed, maar ook om goed onderbouwde en transparante keuzes. Zulke duidelijkheid is cruciaal om het publieke vertrouwen in het zorgsysteem te behouden.

Burgers maken inhoudelijke en morele afwegingen over geneesmiddelenprijzen.

Zij zijn eerder bereid hogere prijzen te accepteren bij ernstige aandoeningen, volledige genezing of wanneer een geneesmiddel bijdraagt aan verbeterde kwaliteit van leven, rechtvaardige toegang of maatschappelijke participatie.

Tegelijkertijd trekken zij duidelijke grenzen: twijfel over effectiviteit, beperkte innovatie of buitensporige prijzen ondermijnen de aanvaardbaarheid. Beleidsmakers doen er goed aan deze voorkeuren expliciet te betrekken bij pakketbeheer.

Zowel het Burgerforum als de enquête laten zien dat burgers strategisch marktgedrag van fabrikanten kritisch beoordelen.

Zij erkennen commerciële belangen, maar wijzen buitensporige winst, gebrek aan transparantie en erg hoge prijzen bij minimale vernieuwing resoluut af. Ze vinden dat geneesmiddelenprijzen in verhouding moeten staan tot ontwikkelkosten en maatschappelijke waarde. De overheid moet daarom duidelijke grenzen stellen aan onredelijke prijzen en transparantie eisen van de zijde van fabrikanten.

De context waarin een geneesmiddel wordt beoordeeld is bepalend.

Bij onzekerheid over de effectiviteit van een geneesmiddel neemt niet alleen de bereidheid tot betaling af, maar worden ook andere overwegingen zoals kosteneffectiviteit en maatschappelijke participatie extra kritisch beoordeeld. Burgers lijken in zulke gevallen strengere eisen te stellen aan de waarde van een geneesmiddelmiddel. Beleidskaders zouden daarom expliciet rekening moeten houden met contextuele factoren zoals onzekerheid.

Het huidige beoordelingskader van het Zorginstituut sluit goed aan bij maatschappelijke voorkeuren, maar kan worden aangescherpt.

De 16 overwegingen uit het Burgerforum sluiten groten-deels aan bij de formele criteria van het Zorginstituut. Burgers benadrukken daarbij expliciet het belang van maatschappelijke verantwoording van winst, oftewel hoe farmaceutische bedrijven hun winst besteden. Ook onzekerheid over effectiviteit blijkt een cruciale contextfactor, omdat burgers daardoor kritischer naar andere afwegingen kijken. Hoewel internationale prijsvergelijking door burgers belangrijk werd gevonden, is deze lastig uitvoerbaar vanwege de vertrouwelijkheid van onderhandelde prijzen tussen landen. Deze inzichten bieden aanknopingspunten om het Argumentenkader Dure Geneesmiddelen verder aan te scherpen.

Informatie en dialoog ondersteunen een beargumenteerde meningsvorming van burgers.

De vergelijking tussen Burgerforum en enquête laat zien dat goed geïnformeerd overleg het oordeel van burgers beïnvloedt. Vooral bij complexe of moreel beladen onderwerpen – zoals leefstijl, beschikbaarheid van alternatieve behande-

lingen of marktgedrag van fabrikanten – verandert het oordeel aantoonbaar door toelichting en deliberatie. Dit benadrukt het belang van inzicht in hoe maatschappelijke opvattingen gevormd worden.

Heldere communicatie is cruciaal voor maatschappelijk draagvlak.

Burgers kunnen moeilijke keuzes beter accepteren als zij begrijpen hoe deze tot stand komen. Transparantie over de afwegingen, de rol van het Zorginstituut en het onderhandelingsproces is daarbij essentieel. Tegelijkertijd laat het verschil tussen Burgerforum en enquête zien dat een summiere uitleg alleen niet volstaat: ook het niveau van informatie en begrip beïnvloedt de meningsvorming. Beleidsmakers moeten daarom niet alleen helder communiceren, maar daarbij ook anticiperen op wat burgers nodig hebben om die informatie goed te kunnen duiden.

Structurele participatie versterkt legitimiteit en vertrouwen.

Het Burgerforum laat zien dat burgers in staat zijn om complexe materie te doorgronden en genuanceerde adviezen te formuleren. Structurele vormen van participatie — zoals burgerfora, panels of raadplegingen — maken het mogelijk om beleid beter te laten aansluiten bij maatschappelijke voorkeuren. Beleidsmakers doen er goed aan burgers niet alleen te informeren, maar ook actief te betrekken bij besluitvorming. Dat versterkt zowel de kwaliteit als de legitimiteit van het beleid.



Literatuur

Literatuur

[1] Nederlandse Zorgautoriteit (NZA). Expenditure on expensive drugs in the Netherlands, period from 2018 to 2022, and provisional figures for 2023. Geraadpleegd van https://puc.overheid.nl/nza/doc/PUC_781398_22/1/

[2] Kleinhout-Vliek T, de Bont A, Boysen M, Perleth M, van der Veen R, Zwaap J, Boer B. Around the tables - Contextual factors in healthcare coverage decisions across Western Europe. *Int J Health Policy Manag.* 2020 Sep 1;9(9):390-402. doi: 10.15171/ijhpm.2019.145. PMID: 32610740; PMCID: PMC7557427.

[3] Zorginstituut Nederland. (2023). *Argumentenkader dure geneesmiddelen*. Geraadpleegd van <https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/rapport/2023/07/10/argumentenkader-dure-geneesmiddelen>

[4] AIM fair pricing model. Geraadpleegd van: <https://www.aim-mutual.org/wp-content/uploads/2019/12/%20AIMfairpricingModel.pdf>

[5] Scheijmans FEV, van der Wal R, Zomers ML, van Delden JJM, van der Pol WL, van Thiel GJM (2025). Views and opinions of the general public about the reimbursement of expensive medicines in the Netherlands. *PLoS ONE* 20(1): e0317188. <https://doi.org/10.1371/journal.Pone.0317188>

[6] Stafinski T, Street J, Young A, Menon D. Moving beyond the court of public opinion: a citizens' jury exploring the public's values around funding decisions for ultra-orphan drugs. *Int. J. Environ. Res. Public Health* 2023, 20, 633. <https://doi.org/10.3390/ijerph20010633>

[7] Baltussen, R., Bijlmakers, L., Jansen, M., et al. (2018). Draagvlak voor lastige keuzes: Eindrapport van het Burgerforum 'Keuzes in de Zorg'. Radboudumc, Erasmus Universiteit Rotterdam & Zorginstituut Nederland. Beschikbaar via: www.radboudumc.nl/Burgerforum.

Voetnoten:

- 1 <https://www.motivaction.nl/>
- 2 Zorginstituut Nederland. Adviezen aan de Raad van Bestuur. <https://www.zorginstituutnederland.nl/over-ons/commissies/adviescommissie-pakket-acp/adviezen-aan-de-raad-van-bestuur>
- 3 Casus 1: Ravulizumab (Ultomiris®); casus 2: Pembrolizumab (Keytruda®); casus 3: Semaglutide (Wegovy®); casus 4: Nusinersen (Spinraza®); casus 5: Libmeldy® (atidarsagene autotemcel).
- 4 Het Burgerstandpunt is ook als zelfstandige publicatie beschikbaar. Deze bevat een figuur met de 16 belangrijkste overwegingen. Om duplicatie met Figuur 4.1 te vermijden is deze figuur hier niet opgenomen.



Bijlagen

Bijlage A Literatuurstudie

Systematische verkenning van de grijze literatuur in Nederland over maatschappelijk aanvaardbare prijzen van dure geneesmiddelen.

Inleiding

Dit document beschrijft de gebruikte methode en resultaten van een systematische verkenning van de grijze literatuur in Nederland met als doel om elementen te identificeren die invloed hebben op de maatschappelijke aanvaardbaarheid van geneesmiddelenprijzen.

Onderzoeksvragen

Hoofdvraag

Welke elementen (overwegingen) spelen een rol bij het bepalen van een maatschappelijk aanvaardbare prijs voor geneesmiddelen volgens de grijze literatuur in Nederland?

Afgeleide vraag

Bij welke casussen zijn deze overwegingen ingebracht?

Achtergrond

De Nederlandse burger is uiteindelijk de koper van geneesmiddelen. Dit kan gebeuren via directe betalingen uit eigen zak, premies voor particuliere verzekeringen, of belastingen voor publiek gefinancierde zorgverzekeringen. De maatschappelijke aanvaardbaarheid van geneesmiddelenprijzen kan vanuit verschillende perspectieven worden bekeken. Vaak wordt in de literatuur onderscheid gemaakt tussen de belangen van ‘verkopers’ (zoals ontwikkelaars, fabrikanten, en distributeurs) en ‘kopers’ (zoals patiënten, verzekeraars, en overheden).

Eerdere studies hebben elementen beschreven die bijdragen aan een ‘eerlijke prijsstelling’. Voor het huidige rapport zijn drie vooraanstaande bronnen als uitgangspunt genomen:

De publicatie van Moon et al. (2020), waarin een onderscheid wordt gemaakt tussen elementen van belang voor verkopers en kopers (Tabel 1).¹

Het AIM-model (International Association of Mutual Benefit Societies), dat een concreet alternatief biedt voor de prijsstelling van nieuwe geneesmiddelen (Tabel 2).²

Een review van Roediger et al., waarin elementen worden beschreven zonder onderscheid tussen verkopers en kopers (Tabel 3).³

Perspectief	Elementen
Verkopers	• Kosten van R&D • Kosten van productie en distributie • Eerlijke winst • Andere kosten (registratie, administratie, farmacovigilantie)
Kopers	• Betaalbaarheid • Waarde voor het individu en het gezondheidssysteem • Voorraadzekerheid

Tabel 1. Elementen voor eerlijke prijsstelling volgens Moon et al.

Parameter	Beschrijving
R&D/number of patients	Onderzoekskosten gedeeld door aantal patiënten
Production & overhead costs	Productiekosten inclusief overhead
Sales & medical information	Verkoop en medische voorlichting
Basic profit	Basiswinst
Innovation bonus	Innovatiebonus voor unieke doorbraken

Tabel 2. Parameters in het AIM-model

Elementen
Betaalbaarheid: ‘equitable access’
Betaalbaarheid: verdelingsrechtvaardigheid (egalitair, wees-geneesmiddelen)
Betaalbaarheid: in salaris termen (PPP) of budget impact
Winstgevendheid
Waarde
R&D-investering
Productiekosten
Kosteneffectiviteit/HTA
Onvervulde medische behoefte
Transparantie (R&D-kosten, productie, winst, etc.)
Transparantie (proces)
Voorraadzekerheid
Dynamische efficiëntie

Tabel 3. Elementen van een eerlijke prijs volgens Roediger et al.

Doel van de grijze literatuur review

Het doel van deze review is niet om bestaande lijsten te verifiëren vanuit een specifiek perspectief, maar om een zo volledig mogelijk overzicht te genereren van elementen die in de grijze literatuur in Nederland worden genoemd. Er wordt daarom een brede inclusie gehanteerd van documenten, ongeacht het perspectief van waaruit ze worden geschreven.

Methode en analyse

Zoekstrategie en informatiebronnen

Een zoekstrategie voor grijze literatuur werd ontwikkeld door drie verschillende zoekstrategieën te combineren: (1) Google Advanced Search (GAS) en *snowballing*, (2) handmatig zoeken en (3) raadplegen van door MAUG aange dragen artikelen.

GAS is nuttig bij het identificeren van grijze literatuur en wordt vaak gebruikt; het is echter niet precies te herleiden hoe Google tot bepaalde zoekresultaten komt; ook kunnen de zoekresultaten incompleet zijn en is het zoeken arbeidsintensief. ‘Handmatig zoeken’ gericht op specifieke websites van organisaties blijkt efficiënter te zijn bij het identificeren van relevante doelgerichte documenten en is een waardevolle aanvulling op GAS.

Deze aanvulling zorgde ervoor dat eventueel gemiste relevante publicaties alsnog werden geïdentificeerd. Om de relevantie van de zoekstrategie te waarborgen, werden uitsluitend publicaties tussen 1 januari 2019 en 31 juli 2024 meegenomen. Deze periode was gekozen om het huidige denken over maatschappelijk aanvaardbare prijzen van geneesmiddelen vast te leggen. In GAS kon dit ingesteld worden als filter. Voor het handmatig zoeken van publicaties of artikelen via relevante websites werd dezelfde periode gehanteerd.

Ter verdere aanvulling werd het programmteam MAUG geraadpleegd voor aanbevolen publicaties van grijze literatuur, die, indien relevant, werden opgenomen voor analyse op een vergelijkbare manier als de literatuuropbrengsten van de andere twee zoekstrategieën.

Door deze drievoudige aanpak was de kans het grootst dat alle relevante publicaties over het onderwerp in de grijze literatuur werden geïdentificeerd. Hieronder worden deze drie onderdelen in detail beschreven.

Google Advanced Search en snowballing

Het doel van de verkenning van de grijze literatuur via GAS is om zoveel mogelijk relevante publicaties te vinden, zodat er een zo volledig mogelijk beeld ontstaat van de mogelijke elementen die een invloed hebben op de aanvaardbaarheid van de prijs van geneesmiddelen. Google gebruikt allerlei zoekalgoritmen en zoekt daarmee in een seconde of minder het totale web af om tot een lijst van zoekresultaten te komen. Het is niet precies te herleiden hoe het algoritme van Google tot bepaalde resultaten komt. Wel geeft Google enig inzicht in wat voor factoren over het algemeen meespelen in het bepalen van de zoekresultaten.⁵ Zo gebruikt Google taalmodellen en algoritmen om de betekenis van de zoekopdracht te achterhalen en analyseert het de relevantie, kwaliteit en bruikbaarheid van pagina's. Dit om ervoor te zorgen dat de zoekresultaten zo goed mogelijk aansluiten bij datgene wat men zoekt, en dat de meest bruikbare en betrouwbare pagina's bovenaan verschijnen. Dit houdt in dat Google niet altijd letterlijk de gegeven zoektermen aanhoudt, maar zelf betekenis geeft aan de zoekopdracht en op basis daarvan zoekresultaten geeft. Om Google de goede kant op te sturen is het daarom belangrijk om een gepaste combinatie van individuele zoekstrategieën, elk met steeds iets andere zoektermen, te ontwikkelen.

Zoekstrategie 1

Om deze verschillende zoekstrategieën te definiëren zijn allereerst drie kernconcepten geïdentificeerd die in elke zoekstrategie aan bod dienen te komen: ‘medicatie’ en synoniemen, ‘prijs’ of ‘kosten’ en synoniemen van die twee, en ‘aanvaardbaarheid’ en synoniemen of vergelijkbare constructen. Vervolgens zijn alle mogelijke synoniemen en gelijkende constructen geïdentificeerd die kunnen voorkomen in relevante artikelen. Bij Google kunnen echter maximaal 32 termen tegelijkertijd ingevoerd worden. Door middel van een brainstormsessie zijn de belangrijkste zoektermen geïdentificeerd op elk van de drie kernconcepten. Belangrijk om te weten is dat Google ook zelf op zoek gaat naar synoniemen voor bepaalde termen en op die manier artikelen met hetzelfde onderwerp maar andere terminologie alsnog gevonden worden. Deze zoektermen samen zijn gebruikt om allereerst tot één brede zoekterm te komen. Deze is weergegeven in Tabel 4.

Voor het concept ‘medicatie’ zijn algemene synoniemen toegevoegd zoals ‘medicijnen’ en ‘geneesmiddelen’, en de term ‘farmaceutisch’ is toegevoegd om ook artikelen te vinden die bijvoorbeeld ‘farmaceutisch middel’ in hun tekst gebruiken.

Voor het concept 'prijs' en 'kosten' zijn de woorden 'vergoeding' en 'uitgaven' toegevoegd, om ook artikelen te vinden die prijs en kosten beschrijven als ook het wel of niet vergoeden van bepaalde geneesmiddelen, en om artikelen te vinden die spreken over uitgaven aan bepaalde geneesmiddelen, in plaats van de prijs of de kosten van een geneesmiddel.

Voor het laatste concept is een verscheidenheid aan termen geselecteerd die iets zeggen over de 'maatschappelijke aanvaardbaarheid' of die een bepaalde discussie of een bepaald dilemma rondom het thema beschrijven. Voor 'maatschappelijke aanvaardbaarheid' zijn woorden toegevoegd rondom acceptatie, eerlijkheid, betaalbaarheid, en ethisch of onethisch. De intentie van deze eerste zoekstrategie, die alle woorden omvat, is om breed te zoeken.

Deze eerste, brede zoekstrategie zoals weergegeven in Tabel 4 is gebruikt als basis om vervolgens te variëren op verschillende concepten om een breder palet aan pagina's te kunnen identificeren. Met de brede zoekstrategie van 1 worden over de gehele linie de meest relevante pagina's gevonden; er vindt echter ook verdringing plaats van artikelen die specifiekere termen of net andere bewoordingen gebruiken. Het uitlichten van bepaalde termen en daarmee variëren kan net andere, eveneens relevante zoekresultaten geven. Om deze relevante zoekresultaten te vinden hebben we acht aanvullende zoekstrategieën uitgevoerd.

Zoekstrategieën 2 t/m 9

Allereerst is er gevarieerd binnen het concept 'medicatie'. Waar in zoekstrategie 1 hierop zo breed mogelijk gezocht wordt, zijn in zoekstrategie 2 de algemene termen hiervoor vervangen door de specifieke termen 'kankermedicijnen' en 'weesgeneesmiddelen'. Op basis van een eerste inventarisatie van grijze literatuur kwamen deze twee groepen geneesmiddelen naar voren als de twee grootste en zijn er veel artikelen die hun afwegingen specifiek rondom deze twee groepen beschrijven, waardoor het van toegevoegde waarde is om artikelen te identificeren die specifiek deze groepen benoemen. Om met deze zoekstrategie ook artikelen te vinden over andere specifieke geneesmiddelen, niet behorend tot kankermedicijnen of weesgeneesmiddelen, is de term 'specialistisch geneesmiddel' ook toegevoegd aan de zoekstrategie. Deze term wordt door Zorginstituut Nederland gebruikt voor geneesmiddelen die uitsluitend intramuraal en onder de verantwoordelijkheid van een medisch specialist worden verstrekt en toegepast.⁶ Dergelijke middelen ondergaan vaak een beoordeling voor eventuele vergoeding door het Zorginstituut.

Met zoekstrategie 3 werd vervolgens gevarieerd door de term 'dure geneesmiddelen' voor het concept 'medicatie' toe te passen. In zoekstrategie 1 wordt, behalve dat het gaat om 'prijs' en 'kosten', niet gespecificeerd dat het om dure geneesmiddelen gaat, terwijl dit een veelgebruikte term is in de recente grijze literatuur en te verwachten is dat dit veel aanvullende artikelen gaat opleveren in aanvulling op de breder opgezette zoekstrategie 1.

Zoekstrategie 4 beoogde artikelen te vinden die vanuit de farmaceutische hoek zijn geschreven, dan wel de term 'farmacie' of 'farmaceutische middelen' bevatten. We denken dat de termen 'geneesmiddelen', 'medicatie', 'medicijnen' over het algemeen vaker gebruikt worden, en vermoeden dat deze in het geval van zoekstrategie 1 artikelen over farmaceutische middelen of geschreven vanuit de farmacologische wereld verdringen.

Voor zoekstrategie 5 werd weer de brede combinatie termen gebruikt voor het concept 'medicatie' zoals bij 1, maar nu wordt er gevarieerd op het concept 'prijs' door in te zoomen op het vergelijkbare concept 'uitgaven' en zaken als 'budget impact'. Op deze manier worden artikelen die kosten op die manier benaderen ook gevonden. Hiervoor worden de woorden 'budgettaire impact', 'budget impact' en 'financiële impact' toegevoegd.

Vanaf zoekstrategie 6 werden 'medicatie' en 'prijs' weer breed meegenomen en werd er met name gevarieerd in de terminologie voor aanvaardbaarheid. Voor zoekstrategie 6 worden termen rondom 'acceptatie' van een bepaalde prijs toegevoegd, zoals weergegeven in de tabel. Voor zoekstrategieën 7 en 8 werd hetzelfde gedaan maar dan voor eerlijkheid en betaalbaarheid. Dit opnieuw om een zo breed mogelijk pallet aan relevante artikelen te verkrijgen.

Voor zoekstrategie 9 werden de termen 'ethisch' en 'onethisch' benadrukt en samengevoegd met de woorden 'discussie', 'dilemma' en 'afweging', omdat stukken die over ethische aanvaardbaarheid schrijven vraagstukken vaak beschrijven in termen van een dilemma, een discussie of een te maken afweging.

Nr.	Zoekstrategie	Intentie
1	• Medicatie OR medicijnen OR geneesmiddelen OR farmaceutisch • Prijs OR kosten OR vergoeding OR uitgaven • 'maatschappelijk aanvaardbaar' OR 'maatschappelijke aanvaardbaarheid' OR acceptabel OR onacceptabel OR acceptatie OR goedkeuring OR draagvlak OR eerlijk OR oneerlijk OR redelijk OR onredelijk OR betaalbaar OR onbetaalbaar OR betaalbaarheid OR ethisch OR onethisch OR beleid OR discussie OR dilemma	Het vinden van de belangrijkste algemene artikelen.
2	• Kankermedicijnen OR weesgeneesmiddelen OR 'specialistisch geneesmiddel' • Prijs OR kosten OR vergoeding OR uitgaven • 'maatschappelijk aanvaardbaar' OR 'maatschappelijke aanvaardbaarheid' OR acceptabel OR onacceptabel OR acceptatie OR goedkeuring OR draagvlak OR eerlijk OR oneerlijk OR redelijk OR onredelijk OR betaalbaar OR onbetaalbaar OR betaalbaarheid OR ethisch OR onethisch OR beleid OR discussie OR dilemma	Het vinden van artikelen specifiek geschreven over de context van kankermedicijnen, weesgeneesmiddelen of specialistische geneesmiddelen.
3	• 'Dure geneesmiddelen' OR 'Dure medicijnen' OR 'Dure medicatie' • Prijs OR kosten OR vergoeding OR uitgaven • 'maatschappelijk aanvaardbaar' OR 'maatschappelijke aanvaardbaarheid' OR acceptabel OR onacceptabel OR acceptatie OR goedkeuring OR draagvlak OR eerlijk OR oneerlijk OR redelijk OR onredelijk OR betaalbaar OR onbetaalbaar OR betaalbaarheid OR ethisch OR onethisch OR beleid OR discussie OR dilemma	Het vinden van artikelen die specifiek gaan over dure geneesmiddelen, een veelgebruikte term in de actuele grijze literatuur.
4	• Farmaceutisch OR farmacie • Prijs OR kosten OR vergoeding OR uitgaven • 'maatschappelijk aanvaardbaar' OR 'maatschappelijke aanvaardbaarheid' OR acceptabel OR onacceptabel OR acceptatie OR goedkeuring OR draagvlak OR eerlijk OR oneerlijk OR redelijk OR onredelijk OR betaalbaar OR onbetaalbaar OR betaalbaarheid OR ethisch OR onethisch OR beleid OR discussie OR dilemma	Het vinden van artikelen die gaan over medicatie als farmaceutische middelen of over middelen of overwegingen vanuit de farmacie.
5	• Medicatie OR medicijnen OR geneesmiddelen OR farmaceutisch • Uitgaven OR 'budget impact' OR budgettaire OR financieel OR begroting • 'maatschappelijk aanvaardbaar' OR 'maatschappelijke aanvaardbaarheid' OR acceptabel OR onacceptabel OR acceptatie OR goedkeuring OR draagvlak OR eerlijk OR oneerlijk OR redelijk OR onredelijk OR betaalbaar OR onbetaalbaar OR betaalbaarheid OR ethisch OR onethisch OR beleid OR discussie OR dilemma	Het vinden van artikelen die de uitdagingen rondom dure geneesmiddelen beschrijven als uitdagingen rondom de uitgaven aan of de budgettaire impact van deze groep geneesmiddelen.
6	• Medicatie OR medicijnen OR geneesmiddelen OR farmaceutisch • Prijs OR kosten OR vergoeding OR uitgaven • 'maatschappelijk aanvaardbaar' OR 'maatschappelijke aanvaardbaarheid' OR acceptabel OR onacceptabel OR acceptatie OR goedkeuring OR draagvlak	Het vinden van artikelen die gaan over de aanvaardbaarheid van dure geneesmiddelen in termen van 'maatschappelijke aanvaardbaarheid' en 'acceptatie'.
7	• Medicatie OR medicijnen OR geneesmiddelen OR farmaceutisch • Prijs OR kosten OR vergoeding OR uitgaven • eerlijk OR oneerlijk OR redelijk OR onredelijk	Het vinden van artikelen die gaan over de aanvaardbaarheid van dure geneesmiddelen in termen van 'eerlijkheid' en 'oneerlijkheid'.
8	• Medicatie OR medicijnen OR geneesmiddelen OR farmaceutisch • Prijs OR kosten OR vergoeding OR uitgaven • betaalbaar OR onbetaalbaar OR betaalbaarheid	Het vinden van artikelen die gaan over de aanvaardbaarheid van dure geneesmiddelen in termen van 'betaalbaarheid'.
9	• Medicatie OR medicijnen OR geneesmiddelen OR farmaceutisch • Prijs OR kosten OR vergoeding OR uitgaven • ethisch OR onethisch OR discussie OR dilemma OR afweging	Het vinden van artikelen die gaan over de aanvaardbaarheid van dure geneesmiddelen in termen van wat 'ethisch' of 'onethisch' is, en de discussies en dilemma's die zich rondom dit onderwerp afspelen.

Tabel 4: Zoekstrategieën

Zoektermen die uit meer dan één woord bestaan worden omsloten door aanhalingstekens, waardoor Google ze identificeert als één term in plaats van twee aparte termen.

Van elke zoekopdracht werden de resultaten van de eerste tien pagina's (oftewel 100 resultaten) opgeslagen. Voor deze beperking is gekozen uit oogpunt van praktische haalbaarheid: de aanname was dat de meest relevante resultaten bovenaan staan, en dat voorbij de 100 relatief minder relevante bronnen volgen. Een filter werd toegepast op elke zoekopdracht om alleen Nederlandstalige websites vast te leggen en uitsluitend artikelen te vinden die tussen 1 januari 2019 en 31 juli 2024 zijn verschenen. Tussen de uitvoering van opeenvolgende zoekstrategieën door, werd de zoekgeschiedenis steeds verwijderd, om te voorkomen dat Google de opbrengsten van de voorgaande zoekstrategie meeneemt in het genereren van de daaropvolgende zoekstrategie. Alle URL's van de aldus verkregen bronnen zullen door middel van een Google Safe Search Results tool worden opgeslagen in een Excel-bestand.

Screening en inclusieproces

Vervolgens werden de verschillende zoekresultaten onderling vergeleken en gescreend. Allereerst werden de dubbele URL's die vanuit de verschillende zoekstrategieën gevonden werden, verwijderd. Hierna werden de achterliggende pagina's gescreend op relevante inhoud. Titels, eventuele abstracts, managementsamenvattingen en inhoudsopgaven (voor zover beschikbaar) van elk van de gevonden items werden beoordeeld op relevantie voor de onderzoeksdoelstellingen door één van de onderzoekers. Indien artikelen op het eerste gezicht relevant leken werden deze meegenomen naar de tweede screeningsfase, waarin de volledige tekst van alle items werd beoordeeld.

Als het tijdens de screening onduidelijk was of een item voldeed aan de inclusiecriteria (zie hierna) werd uit voorzorg besloten het item door te laten gaan voor verdere screening. Voor elk item werd een screeningscode toebedeeld ('o' voor uitsluiten van het artikel, 'i' voor inclusie van het artikel). Alle items die na de volledige tekstscreening overblijven, werden in de review opgenomen.

Inclusiecriteria

- I. Nederlandse taal;
- II. Gepubliceerd tussen januari 2019 – juli 2024.
- III. Grijze literatuur: elk document dat meestal niet wordt gepubliceerd als een *peer-reviewed* artikel en voornamelijk (deskundige) meningen, kennis syntheses of aanbevelingen bevat, inclusief:
 - Standpuntverklaringen, white papers, inzendingen.
 - Beleidsdocumenten en beleidsnota's.
 - Jaarverslagen.
 - Richtlijnen en aanbevelingen.
 - Proefschriften/dissertaties.
 - Boekhoofdstukken.
 - Opinieartikelen/essays gepubliceerd in *peer-reviewed* tijdschriften of dagbladen.
- IV. Met relevantie tot het review onderwerp: publicaties die een maatschappelijk aanvaardbare prijsstelling van geneesmiddelen bespreken, en/of elementen die een rol spelen bij het bepalen van een maatschappelijk aanvaardbare prijs voor geneesmiddelen, en/of een onderlinge afweging van deze elementen.

Exclusiecriteria

- Niet Nederlandse taal.
- Gepubliceerd vóór januari 2019.
- Publicaties die geen betrekking hebben op de Nederlandse context.
- Publicaties die geen betrekking hebben op de onderzoeksvragen; bijvoorbeeld publicaties over enkel de prijs van medicijnen zonder individuele elementen aan te dragen die een rol spelen bij een maatschappelijk aanvaardbare prijsstelling, publicaties die geen betrekking hebben op dure geneesmiddelen.
- *Peer-reviewed* wetenschappelijke publicaties.

Datasaturatie

Om de haalbaarheid van het literatuuronderzoek te vergroten werd er een methode voor het vaststellen van datasaturatie toegepast. Aangezien het doel van het onderzoek was om een longlist te maken van alle elementen die voorkomen in de grijze literatuur (en niet om aantallen per element te bepalen) was het met name belangrijk om een complete lijst van elementen samen te stellen. Omwille van efficiëntie werd daarom gekozen voor een afkappunt, waarbij het waarschijnlijk was dat alle mogelijk nieuwe elementen binnen een zoekstrategie waren geïdentificeerd. Indien er binnen een zoekstrategie in vijf opeenvolgende geïnccludeerde artikelen geen nieuwe elementen meer werden geïdentificeerd, werd aangenomen dat datasaturatie was bereikt: de kans was groot dat alle elementen die met die zoekstrategie konden worden gevonden daadwerkelijk waren geïdentificeerd.

Snowballing

Ten slotte werden door middel van *snowballing* eventuele aanvullende artikelen geïdentificeerd. Als in een publicatie uit de GAS werd verwezen naar een andere mogelijk relevante publicatie werd deze genoteerd en op een later moment op een vergelijkbare manier gescreend en geanalyseerd als artikelen gevonden met de GAS zoekstrategie. Alleen nieuwe, niet eerdergenoemde elementen werden genoteerd in de Excel-spreadsheet.

Handmatig zoeken van artikelen

De tweede zoekstrategie omvatte het handmatig doorzoeken van gerichte websites. Dit proces wordt opgedeeld in twee stappen. Eerst wordt er een lijst samengesteld met mogelijk relevante organisaties en websites, hierin worden onder andere opgenomen: vakbladen (zoals Medisch Contact, Nederlands Tijdschrift voor Geneeskunde), relevante overheidsorganisaties, en maatschappelijke organisaties, programma's en samenwerkingsverbanden. Vervolgens werden vanuit de resultaten van de GAS zoekopdrachten aanvullende relevante organisaties en websites geïdentificeerd en aan de lijst toegevoegd.

Ook werd de lijst ter aanvulling voorgelegd aan het MAUG-programmateam, zodat een compleet beeld van relevante organisaties ontstond. Vervolgens werd gekeken welke organisaties nog niet belicht zijn geweest in de GAS. Organisaties of webpagina's die al veelvuldig in de GAS naar voren kwamen werden geëxcludeerd, zodat er een lijst ontstond van pagina's die onderbelicht zijn geweest in de resultaten van de GAS. Dit zorgde ervoor dat er zoveel mogelijk onderbelichte bronnen alsnog werden meegenomen in de analyse, en dat het handmatig zoeken een aanvulling is op de GAS opbrengsten.

Vervolgens werden van elke geïdentificeerde website de achterliggende pagina's doorzocht op relevante informatie over het onderwerp met behulp van de GAS-tool. GAS biedt de mogelijkheid om met een zoekterm binnen een specifieke website te zoeken. Zoekstrategie 1, de brede zoekstrategie, werd toegepast op ieder van de geïdentificeerde websites. Dit leverde telkens een lijst met zoekresultaten op. Van de zoekresultaten werden steeds de eerste 10 resultaten opgeslagen, gescreend en geanalyseerd.

Voor het handmatig zoeken werden dezelfde in- en exclusiecriteria gebruikt als bij de zoekopdrachten via GAS, en geïnccludeerde artikelen werden toegevoegd aan de Excel-spreadsheet van de eerdere zoekstrategieën. Er werd gecontroleerd of de pagina's niet al eerder middels de negen GAS-strategieën waren gevonden. Indien dat het geval was,

werden deze geëxcludeerd. Evenals bij snowballing werden alleen nieuwe, niet eerder geïdentificeerde elementen genoteerd in de Excel-spreadsheet.

Door MAUG aangedragen artikelen

De derde zoekstrategie die werd gebruikt om documenten te identificeren, betrof het doornemen van bronnenlijsten die het programmteam MAUG in de afgelopen jaren had verzameld ten behoeve van eerdere onderzoeken naar het thema dure geneesmiddelen en marktwerking in de farmaceutische sector. De lijsten werden gescreend aan de hand van dezelfde in- en exclusiecriteria als de resultaten van de Google Advanced Search. Alleen nieuwe bronnen, inclusief niet eerder geïdentificeerde elementen, werden in de Excel-spreadsheet opgenomen.

Data management

De resultaten van de bovenstaande drie zoekmethoden werden samengevoegd in een Excel-spreadsheet met alle verkregen relevante artikelen en pagina's voor verdere data-extractie. In deze Excel-spreadsheet werden documenttitels, auteurs, jaar van publicatie, relevante organisaties die de documenten hadden gepubliceerd, en de URL van het document genoteerd en opgeslagen.

Dataverwerking en data items

Na het selecteren van de documenten werd een volledige analyse van alle opgenomen documenten uitgevoerd. De beoordelaars kwamen vóór het uitvoeren van de volledige tekstbeoordeling bijeen om de definities en reikwijdte van de te extraheren data-elementen te bespreken en zo een gemeenschappelijk begrip te waarborgen. De beoordelaars kwamen ook regelmatig bijeen tijdens de fase van de volledige tekstbeoordeling om eventuele interpretatieproblemen te bespreken.

De Excel-spreadsheet werd uitgebreid om, naast het data management, ook te dienen als data-extractieformulier. Hiermee werden systematisch de data-items uit de geselecteerde documenten geëxtraheerd met betrekking tot de volgende data-items:

Element(en) en hun definities: Identificatie van specifieke elementen die genoemd worden in relatie tot een maatschappelijk aanvaardbare prijs voor geneesmiddelen.

Specifieke casussen: Naam of aard van de casus(sen) of medicijn waarbij de genoemde elementen en argumenten zijn besproken of aangehaald.

Data synthese

Het iteratieve kwalitatieve proces om tot een elementen longlist te komen

De onderzoekers kwamen tot de uiteindelijke longlist van elementen door de elementen zoals geïdentificeerd in de Excel-database te groeperen tot overeenkomende constructen en deze vervolgens in logische categorieën te organiseren. Hiervoor kwamen de onderzoekers meerdere keren bijeen om de individuele elementen uit te schrijven op post-its, deze te groeperen en te bediscussiëren om iteratief tot een longlist te komen. De interpretatie van de resultaten werd aangevuld en versterkt door de lijst van elementen met het MAUG programmteam te bespreken. Dit overleg diende om onduidelijke namen van elementen verder te verduidelijken en het programmteam de kans te bieden aanvullende literatuur aan te dragen, waaruit mogelijk nog ontbrekende elementen konden worden geïdentificeerd.

Resultaten

1. GAS en snowballing

De negen zoekstrategieën zoals geformuleerd in het onderzoeksprotocol brachten na het verwijderen van duplicaten 568 unieke pagina's op. Doordat er in zoekstrategie 1 al veel elementen waren geïdentificeerd, werd in de overige zoekstrategieën relatief snel datasaturatie bereikt. In totaal zijn 86 geïnccludeerde artikelen volledig gelezen en onderworpen aan analyse, waarbij elementen geïdentificeerd zijn die betrekking hadden op de maatschappelijke aanvaardbaarheid van de prijs van geneesmiddelen.

Snowballing

Snowballing in de artikelen van de GAS leverde vier aanvullende artikelen op, welke zijn gescreend op eenzelfde manier als de artikelen van de GAS. Alleen nieuwe elementen, aanvullend op de GAS zijn genoteerd in de Excel-spreadsheet en toegevoegd aan de lijst met elementen.

2. Handmatig zoeken van artikelen

Na het excluseren van eventuele bronnen voor handmatig zoeken die al reeds in de GAS-resultaten naar voren waren gekomen, bleef er een aanvullende lijst van 13 onderbelichte bronnen over. Na het doorzoeken van deze bronnen door middel van GAS en het verwijderen van duplicaten bleven er 64 unieke webpagina's over die ieder zijn gescreend volgens dezelfde in- en exclusiecriteria. Enkel nieuwe elementen die naar voren kwamen uit deze

bronnen zijn genoteerd in de Excel-spreadsheet.

3. Door MAUG aangedragen artikelen

Vanuit het programmteam MAUG werden twee bestaande lijsten en een aanvullende bron aangereikt als mogelijk relevant. Totaal leverde dit 103 aanvullende pagina's op welke zijn gescreend en waaruit enkel nieuwe elementen zijn toegevoegd aan de Excel-spreadsheet.

Bronnen en perspectieven in de grijze literatuur over dure geneesmiddelen

De grijze literatuur in deze review bestaat uit een breed scala aan bronnen, waaronder beleidsdocumenten van overheidsinstanties (bijv. Zorginstituut Nederland en NZa), wetenschappelijke en journalistieke artikelen (bijv. NTVG en NOS), publicaties van NGO's en belangenorganisaties (bijv. Fair Medicine, en Stichting Farma ter Verantwoording), en stukken vanuit de farmaceutische industrie (bijv. Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen). Deze diversiteit biedt inzicht in de verschillende perspectieven op maatschappelijke en economische vraagstukken rond dure geneesmiddelen. Actuele bronnen uit 2023 en 2024, zoals het *Argumentenkader dure geneesmiddelen* (Zorginstituut Nederland), leggen de nadruk op thema's als de 'Pakkettsluit' en nieuwe prijsmodellen, terwijl oudere publicaties zoals Monitor weesgeneesmiddelen in de praktijk 2021 (Zorginstituut Nederland) bijdragen aan het begrijpen van historische trends en beleidsontwikkelingen. Hierdoor ontstaat een genuanceerd beeld dat zowel de actuele als historische context omvat.

De verschillende typen bronnen leggen specifieke accenten. Beleidsdocumenten richten zich op regelgeving en de balans tussen zorgvuldigheid en snelheid in toelatingsprocedures. Journalistieke en opinieartikelen, zoals die van het Financieel Dagblad en NOS, belichten vaak de maatschappelijke impact en toegankelijkheid van dure medicijnen. Publicaties van NGO's, zoals *European Fair Pricing Network* van KWF, leggen de nadruk op ethische vraagstukken en transparantie in prijsbepaling. Stukken vanuit de farmaceutische industrie, zoals die van de Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen, benadrukken innovatie en het belang van betaalbaarheid. Een centraal thema dat door alle typen bronnen heen loopt, is de spanning tussen betaalbaarheid, toegankelijkheid en innovatie. Deze thema's maken de urgentie en veelzijdigheid van het debat zichtbaar en bieden aanknopingspunten voor beleidsvorming en verdere evaluatie. Zie Annex I voor een overzicht van bronnen die na screening zijn gebruikt voor identificatie van elementen.

Geïdentificeerde elementen

De elementen longlist is hieronder weergegeven en is verdeeld in vier categorieën: de aandoening, de behandeling, de prijsstelling van het geneesmiddel en de impact op het zorgsysteem en de maatschappij. De 33 elementen zijn zo geformuleerd dat ze een antwoord kunnen geven op de stelling: 'Ik vind dat de prijs die we als maatschappij willen betalen voor een geneesmiddel zou moeten afhangen van:' Dit met het idee dat de elementen genoemd zouden kunnen worden door burgers, waardoor de lijst dicht bij de beleving van burgers blijft en de lijst gebruikt kan worden in de voorbereiding op het Burgerforum dat na het literatuuronderzoek plaatsvindt.

Elementen longlist

Elementen die betrekking hebben op de maatschappelijke aanvaardbaarheid van prijzen van geneesmiddelen, geïdentificeerd in Nederlandse grijze literatuur.

'Ik vind dat de prijs die we als maatschappij willen betalen voor een geneesmiddel zou moeten afhangen van:'

A. De aandoening (7):

- Ziekte last
- Onzekerheid over de ziekte last
- Leeftijd
- Invloed van leefstijl
- Zeldzaamheid
- Of er een alternatieve behandeling beschikbaar is
- Hoeveel kosten al zijn gemaakt aan de behandeling van de aandoening

B. De behandeling (7):

- Effectiviteit
 - Impact op kwaliteit van leven
 - Klinische relevantie voor de patiënt
 - Of het middel levensreddend is
 - Of er sprake is van mogelijke genezing
 - Of er sprake is van levensverlenging
 - Kwaliteit van levensverlenging
 - Grootte van het effect
 - Eventuele onzekerheid over de effectiviteit op korte en lange termijn

- Ernst van eventuele bijwerkingen
 - Aanwezigheid van 'real world evidence'
 - Verbetering in maatschappelijke deelname (maakt het geneesmiddel maatschappelijke deelname mogelijk bijvoorbeeld doordat de patiënt niet meer veroordeeld is tot een rolstoel, ziekenhuisbed of sociaal isolement)
 - Kosteneffectiviteit
 - Onzekerheid over de kosteneffectiviteit
 - Gepast gebruik (voor wie, dosis, duur)
- C. De prijsstelling van het geneesmiddel (11):
- Redelijke winst
 - Of het gaat om een innovatie (is er sprake van vernieuwing of vergroting van behandelmogelijkheden)
 - Dekking van R&D kosten
 - Dekking van investeringsrisico
 - Transparantie over prijsopbouw (R&D, marketing, distributie, afdracht belasting, overhead, bijdrage 'real world evidence' studies)
 - Of er eerder is meebetaald via overheidssubsidie
 - Of er sprake is van doorinvestering in nieuwe R&D uit de winstmarge
 - Marktgedrag van de fabrikant
 - Behouden van economische machtspositie door strategisch gebruik te maken van patenten of monopoliepositie
 - Evergreening
 - Drug repurposing
 - Opkopen grondstoffen
 - Opkopen concurrenten
 - Van de markt halen van gepatenteerd product om voor een ander/nieuw geneesmiddel een hoge prijs te kunnen vragen
 - Kosteneffectiviteitsanalyse gebaseerd op een vergelijking met een niet-kosteneffectieve standaardbehandeling
 - Vervanging van apotheekbereiding door merkgeneesmiddel

- Concurrentietrainering (is er sprake van belemmering van concurrentie)

- Onderlinge vervangbaarheid (MAUG) (Zijn er geneesmiddelen die bij een gelijksoortig indicatiegebied kunnen worden toegepast, via gelijke toedieningsweg worden toegediend, en in het algemeen voor dezelfde leeftijdscategorie zijn bestemd.)
- Mate van concurrentie (MAUG)
- Redelijke verhouding tussen uitgaven preventie en behandeling

D. De impact op het zorgsysteem en de maatschappij (8):

- Uitvoerbaarheid (is opname van het geneesmiddel in het basispakket praktisch realiseerbaar?)
 - Budget impact
- Verdringing van andere zorg
- De bijdrage aan vermindering van gezondheidsverschillen
- De bijdrage aan gelijke toegang tot het geneesmiddel
- Bredere economische waarde (zijn er besparingen buiten de zorg, zoals snellere re-integratie in het arbeidsproces?)
- Maatschappelijke neveneffecten (zijn er (on)bedoelde negatieve of positieve effecten op de maatschappij?)
- Impact op het innovatieklimaat (Stimuleert vergoeding het ontwikkelen van nieuwe geneesmiddelen?)
- Maatschappelijke behoefte (Is er vanuit de maatschappij behoefte aan het geneesmiddel?)

Er is voor gekozen om alle elementen die betrekking hebben tot de effectiviteit onder 'Effectiviteit' te groeperen. Hetzelfde geldt voor het kopje 'Marktgedrag van de fabrikant'. In de grijze literatuur worden verschillende vormen van atypisch marktgedrag beschreven welke op deze manier inzichtelijk zijn gemaakt. Het lijstje 'Marktgedrag van de fabrikant' zoals het hier staat uitgesplitst in verschillende elementen is gebaseerd op marktgedragingen zoals

beschreven in de grijze literatuur en aangevuld met marktgedragingen zoals beschreven in het recente SiRM rapport over Evergreening⁷ dat is geschreven in opdracht van Zorginstituut Nederland.

Voor elementen waar dit wenselijk werd geacht is tussen haakjes een definitie toegevoegd ter verduidelijking van het element. Bovendien geeft deze lijst een beeld van alle elementen die volgens de grijze literatuur, afhankelijk van het element, in (zowel) positieve of negatieve zin kunnen bijdragen aan de maatschappelijke aanvaardbaarheid van prijzen van geneesmiddelen in Nederland.

De elementen 'Onderlinge vervangbaarheid' en 'Mate van concurrentie' zijn door het programmteam als aanvullende elementen voorgesteld.

Geïdentificeerde casussen

Uit de bronnen van het literatuuronderzoek kwam daarnaast een lijst met gerelateerde casussen naar voren, die gebruikt kon worden voor het Burgerforum dat na het literatuuronderzoek plaatsvond. Zie hiervoor tabel 5.

Geneesmiddel	Aandoening
Carfilzomib	Multipel myeloom
Chenodeoxycholzuur (CDCA)	Cerebrotendineuze xanthomatose (CTX)
Colchicine	Acute jicht
Daratumumab	Multipel myeloom
Everolimus	Kanker
Glivec® (imatinib)	Chronische myeloïde leukemie (onder andere)
Humira® (adalimumab)	Reumatoïde artritis en psoriasis
Isatuximab	Multipel myeloom
Kaftrio®	Cystische fibrose
Keytruda® (pembrolizumab)	Melanoom en andere vormen van kanker
Lenalidomide	Multipel myeloom
Libmeldy®	Metachromatische leukodystrofie (MLD)
Mexiletine	Onregelmatige hartslag
Myozyme®	Ziekte van Pompe
Opdivo® (nivolumab)	Verschillende vormen van kanker
Orkambi®	Cystische fibrose
Ozempic/Wegovy® (semaglutide)	Diabetes en obesitas
Pomalidomide	Multipel myeloom
Remdesivir	Covid-19
Risdiplam	Spinale spieratrofie (SMA)
Sebelipase	Lysosomale lipase (LAL-)deficiëntie
Soliris® (eculizumab)	Atypisch hemolytisch uremisch syndroom (aHUS)
Somavert®	Acromegalie (groeistoornis)
Spinraza® (nusinersen)	Spinale musculaire atrofie (SMA)
Tracleer®	Pulmonale arteriële hypertensie (PAH) en reumatoïde artritis
Trodelvy®	Borstkanker (triple negatief)
Zolgensma®	Spinale spieratrofie (SMA)

Tabel 5: Casussen omtrent dure geneesmiddelen en de bijbehorende aandoeningen.

Annex I

Overzicht van bronnen die na screening zijn gebruikt voor identificatie van elementen

URL	Titel	Publicatie-datum	Bron
1 https://www.ceg.nl/actueel/nieuws/2024/05/06/argumentenwijzer-door-dik-en-dun	Vergoeding van gewichtsverlagende medicatie vraagt om een brede ethische afweging	06/05/2024	Centrum voor Ethiek en Gezondheid
2 https://www.farmacotherapeutischkompas.nl/algemeen/kosten	De kosten voor farmaceutische zorg	onbekend	Farmacotherapeutisch Kompas
3 https://www.eur.nl/nieuws/innovatieve-medicijnen-maken-pijnlijk-duidelijk-dat-de-betalbaarheid-van-de-gezondheidszorg-grenzen	Innovatieve medicijnen 'maken pijnlijk duidelijk dat de betaalbaarheid van de gezondheidszorg grenzen heeft'	26/10/2022	ErasmusMC
4 https://www.ntvg.nl/artikelen/wat-kost-onderzoek-en-ontwikkeling-van-een-medicijn	Wat kost onderzoek en ontwikkeling van een medicijn? Een oproep tot meer transparantie	18/08/2020	NTVG
5 https://www.zorginstituutnederland.nl/over-ons/werkwijzen-en-procedures/adviseren-over-en-verduidelijken-van-het-basispakket-aan-zorg/beoordeling-van-geneesmiddelen/geneesmiddelen-beoordelen-balans-tussen-zorgvuldigheid-en-snelheid	Geneesmiddelen beoordelen: balans tussen zorgvuldigheid en snelheid	onbekend	Zorginstituut Nederland
6 https://iknl.nl/nieuws/2023/uitgaven-geneesmiddelen	Uitgaven geneesmiddelen kanker nemen fors toe, overleving stijgt niet overal	03/10/2023	IKNL
7 https://www.medischcontact.nl/actueel/laatste-nieuws/nieuwsartikel/betaalt-de-samenleving-nog-steeds-twee-keer-voor-nieuwe-geneesmiddelen	Betaalt de samenleving nog steeds twee keer voor nieuwe geneesmiddelen?	22/02/2023	Medisch contact
8 https://www.nza.nl/onderwerpen/stand-van-de-zorg/tussenmap/sectoren/medisch-specialistische-zorg-en-dure-geneesmiddelen	Medisch-specialistische zorg en dure geneesmiddelen	2023	NZa
9 https://www.vereniginginnovatievegeneesmiddelen.nl/actueel/het-is-hard-nodig-medicijnmythes-te-doorbreken	Het is hard nodig medicijnmythes te doorbreken	23/04/2024	Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen
10 https://www.ntvg.nl/artikelen/prijsbepaling-van-medicijnen	Prijsbepaling van medicijnen	18/08/2020	NTVG
11 https://nos.nl/l/2492750	Gerichtere inzet van dure medicijnen nodig om kankerzorg betaalbaar te houden'	03/10/2023	NOS
12 https://www.zorginstituutnederland.nl/actueel/nieuws/2023/08/16/sluis-voor-dure-geneesmiddelen-beperkt-verdringing-andere-goede-zorg	Sluis voor dure geneesmiddelen beperkt verdringing andere goede zorg	16/08/2023	Zorginstituut Nederland
13 https://www.rekenkamer.nl/publicaties/rapporten/2020/04/23/paardenmiddel-of-noodverband-resultaten-prijsonderhandelingen-geneesmiddelen	Paardenmiddel of noodverband? Resultaten prijsonderhandelingen geneesmiddelen	23/04/2020	Algemene rekenkamer
14 https://eenvandaag.avrotros.nl/item/waarom-minister-kuipers-vaker-nee-zegt-tegen-het-vergoeden-van-dure-nieuwe-medicijnen/	Waarom minister Kuipers vaker nee zegt tegen het vergoeden van dure nieuwe medicijnen	15/04/2023	EenVandaag
15 https://www.rtl.nl/economie/bedrijven/artikel/4836901/dure-medicijnen-zorgstelsel-betalbaar-bruno-bruins-kosten	Maken dure medicijnen ons zorgstelsel onbetaalbaar?	05/09/2019	RTL
16 https://www.rijksoverheid.nl/actueel/nieuws/2023/01/24/meer-prijsonderhandelingen-over-nieuwe-dure-geneesmiddelen	Meer prijsonderhandelingen over nieuwe dure geneesmiddelen	24/03/2023	Rijksoverheid
17 https://www.mednet.nl/nieuws/druk-op-zorg-door-dure-geneesmiddelen-maar-is-dat-wel-zo/	Druk op zorg door dure geneesmiddelen. Maar is dat wel zo?	2020	MedNet

URL	Titel	Publicatie-datum	Bron
18 https://www.trouw.nl/opinie/een-betalbaar-medicijn-pak-de-farmapiraat-aan~bdd043b7/	Een betaalbaar medicijn? Pak de farmapiraat aan	19/03/2024	Trouw
19 https://www.cz.nl/over-cz/wat-wij-doen/zorg-verbeteren/farmacie	Medicijnen betaalbaar houden	onbekend	CZ
20 https://www.erasmusmc.nl/nl-nl/patientenzorg/dure-geneesmiddelen	Dure geneesmiddelen	onbekend	ErasmusMC
21 https://www.vereniginginnovatievegeneesmiddelen.nl/actueel/hoe-houden-we-medicijnen-betalbaar-voor-degenen-die-ze-nodig-hebben	'Hoe houden we medicijnen betaalbaar voor degenen die ze nodig hebben?'	28/10/2023	Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen
22 https://specials.fd.nl/hoe-nederland-de-uitgaven-aan-medicijnen-beteugelt	Hoe Nederland de uitgaven aan medicijnen beteugelt	2023 of 2024	Financieel Dagblad
23 https://www.avl.nl/nieuwsberichten/2023/gabe-sonke-in-rtl-nieuws-en-nrc-over-de-kosten-van-medicijnen/	Gabe Sonke in RTL Nieuws en NRC over de kosten van medicijnen	06/04/2023	Nederlands Kanker Instituut Antoni van Leeuwenhoek
24 https://www.umcutrecht.nl/nieuws/de-pakket-sluis-voor-dure-geneesmiddelen	De Pakketsluis voor dure geneesmiddelen	29/06/2022	UMC Utrecht
25 https://decorrespondent.nl/11455/de-ongemakkelijkste-rekensom-ooit-wat-mag-een-pil-voor-een-extra-levensjaar-kosten/f940d8d4-98f3-0c0a-0a16-6c6746bbbc4b	De ongemakkelijkste rekensom ooit: wat mag een pil voor een extra levensjaar kosten?	27/07/2020	De Correspondent
26 https://fd.nl/opinie/1511330/of-een-geneesmiddel-te-duur-is-valt-amper-te-controleren	Of een geneesmiddel te duur is, valt amper te controleren	24/03/2024	Financieel Dagblad
27 https://www.medischcontact.nl/actueel/laatste-nieuws/artikel/extreem-dure-medicijnen-door-verzinkt-patentsysteem	Extreem dure medicijnen door verzinkt patentsysteem	25/11/2021	Medisch Contact
28 https://www.umcutrecht.nl/nieuws/maak-nieuw-beleid-rondom-dure-geneesmiddelen	'Maak nieuw beleid rondom dure geneesmiddelen'	09/06/2022	UMC Utrecht
29 https://www.fairmedicine.eu/	Hoofdpagina (nvt)	onbekend	Fair Medicine
30 https://www.kwf.nl/toegang-tot-geneesmiddelen/european-fair-pricing-network	European Fair Pricing Network	onbekend	KWF
31 https://nvz-ziekenhuizen.nl/standpunten/dure-geneesmiddelen	Dure geneesmiddelen	onbekend	Nederlandse Vereniging van Ziekenhuizen
32 https://assets-eu-01.kc-usercontent.com/546dd520-97db-01b7-154d-79bb6d950a2d/2fa42a60-7633-4308-95c6-8966841c7b52/Onderzoeksrapport%20De%20Pakketsluis%20voor%20dure%20geneesmiddelen%20-%20een%20ethische%20evaluatie%202022.pdf	De Pakketsluis voor dure geneesmiddelen - Een ethische evaluatie	onbekend	UMC Utrecht; Spierziekten Nederland; ZonMw
33 https://iknl.nl/geneesmiddelen-en-beleid	Geneesmiddelen en beleid	onbekend	IKNL
34 https://medischeoncologie.nl/artikelen/2021/oktober/editie-8/medicijnen-goed-beschikbaar-tijdens-sluisprocedure	Medicijnen goed beschikbaar tijdens sluisprocedure	onbekend	Medische Oncologie
35 https://www.mo.be/nieuws/artsen-zonder-grenzen-medicijnen-ontwikkelen-veel-goedkoper-dan-farmasector-beweert	Artsen Zonder Grenzen: medicijnen ontwikkelen veel goedkoper dan farmasector beweert	03/05/2024	MO (België)
36 https://www.zorginstituutnederland.nl/over-ons/werkwijzen-en-procedures/adviseren-over-en-verduidelijken-van-het-basispakket-aan-zorg/beoordeling-van-geneesmiddelen/beoordeling-van-weesgeneesmiddelen	Beoordeling van weesgeneesmiddelen	onbekend	Zorginstituut Nederland

URL	Titel	Publicatie-datum	Bron
37 https://www.zorginstituutnederland.nl/actueel/nieuws/2022/01/28/afspraken-over-inzet-weesgeneesmiddelen-vaker-en-beter-uitvoeren	Afspraken over inzet weesgeneesmiddelen vaker en beter uitvoeren	28/01/2022	Zorginstituut Nederland
38 https://nos.nl/l/2525413	Artsen en politiek eensgezind: scherper kiezen bij kankermedicijnen	20/06/2024	NOS
39 https://www.ntvg.nl/artikelen/weesgeneesmiddelen-en-medicijnkapers	Weesgeneesmiddelen en medicijnkapers	19/06/2020	NTVG
40 https://www.bnr.nl/nieuws/wetenschap/10541549/nieuwe-kankermedicijnen-te-vaak-onvoldoende-effectief-kosten-stijgen-explosief	Nieuwe kankermedicijnen te vaak onvoldoende effectief, kosten stijgen explosief	02/03/2024	BNR
41 https://eenvandaag.avrotros.nl/item/hoogleraar-klinische-oncologie-kritisch-over-veel-nieuwe-kankermedicijnen-hoge-kosten-zonder-resultaat/	Hoogleraar klinische oncologie kritisch over veel nieuwe kankermedicijnen: 'Hoge kosten zonder resultaat'	18/10/2022	EenVandaag
42 https://www.avl.nl/nieuwsberichten/2023/jaren-verschil-in-toegang-tot-nieuwe-kankermedicijnen-voor-europese-patienten/	Jaren verschil in toegang tot nieuwe kankermedicijnen voor Europese patiënten	31/10/2023	Antoni van Leeuwenhoek (NKI)
43 https://www.zorginstituutnederland.nl/actueel/nieuws/2020/12/10/aantal-nieuwe-dure-geneesmiddelen-en-uitgaven-stijgen-snel	Aantal nieuwe dure geneesmiddelen én uitgaven stijgen snel	10/12/2020	Zorginstituut Nederland
44 https://iknl.nl/online-magazine-dure-geneesmiddelen	Dure geneesmiddelen: ontrecte hoop of perspectief op beterschap?	onbekend	IKNL
45 https://www.ntvg.nl/artikelen/dilemma's-rond-de-toegang-tot-niet-vergoede-behandelingen	Dilemma's rond de toegang tot niet-vergoede behandelingen	14/07/2023	NTVG
46 https://www.rekenkamer.nl/actueel/nieuws/2020/04/23/hogere-kortingen-op-dure-medicijnen-nodig-om-verdringing-in-de-zorg-te-voorkomen	Hogere kortingen op dure medicijnen nodig om verdringing in de zorg te voorkomen	23/04/2020	Algemene rekenkamer
47 https://www.nfu.nl/maatschappelijke-rol/maatschappelijke-opgaven/7-dure-geneesmiddelen	Dure geneesmiddelen	onbekend	NFU
48 https://www.zonmw.nl/nl/artikel/congres-goed-gebruik-geneesmiddelen-terugblik-2024/dure-geneesmiddelen-doelmatig-richting	Dure geneesmiddelen: doelmatig richting pakket via studies	01/04/2024	ZonMw
49 https://www.tweedekamer.nl/downloads/document?id=2024D14665	Geneesmiddelenbeleid	11/04/2024	Tweede Kamer brief van de minister voor Medische Zorg
50 https://www.eur.nl/nieuws/kosten-voor-dure-geneesmiddelen-zijn-vertwintigvoudigd	Kosten voor dure geneesmiddelen zijn vertwintigvoudigd	08/10/2021	ErasmusMC
51 https://www.kwf.nl/toegang-tot-geneesmiddelen/astrid-leeft-nog-dankzij-dure-medicijnen	Astrid leeft nog dankzij dure medicijnen	onbekend	KWF
52 https://www.pw.nl/nieuws/2019/uitgave-dure-medicatie-stijgt-naar-20ac-2-1-miljard	Uitgave dure medicatie stijgt naar € 2,1 miljard	01/02/2019	Pharmaceutisch weekblad (stuk door NZa)
53 https://www.medischcontact.nl/actueel/laatste-nieuws/nieuwsartikel/kuipers-extra-kritisch-op-toelating-dure-geneesmiddelen-in-basispakket	Kuipers extra kritisch op toelating dure geneesmiddelen in basispakket	25/01/2023	Medisch Contact
54 https://nvz-ziekenhuizen.nl/actualiteit-en-opinie/uitgaven-dure-geneesmiddelen-stijgen-gemiddeld-met-eu200-miljoen-jaar	Uitgaven dure geneesmiddelen stijgen gemiddeld met €200 miljoen per jaar	05/07/2022	NVZ
55 https://www.nfu.nl/themas/bestendig-zorgstelsel/dure-medicijnen	Dure medicijnen	onbekend	NFU

URL	Titel	Publicatie-datum	Bron
56 https://vavolksgezondheid.nl/app/uploads/2021/11/Werkwijzer-Farmacie-VAV-sept-21.pdf	Werkwijzer Farmacie	01/09/2021	Vereniging Artsen Volksgezondheid
57 https://ec.europa.eu/commission/presscorner/detail/nl/ip_20_2173	Betaalbare, toegankelijke en veilige geneesmiddelen voor iedereen: de Commissie presenteert een farmaceutische strategie voor Europa	25/11/2020	Europese Commissie
58 https://groenlinks.nl/zorg/wat-gaat-er-mis-in-de-farmaceutische-industrie	Wat gaat er mis in de farmaceutische industrie?	onbekend (2019/2020)	GroenLinks
59 https://www.volkskrant.nl/wetenschap/deze-goedkope-jichtpil-bleek-goed-voor-hartpatiënten-maar-werd-gekaapt-door-een-sluwe-farmaceut~b-51a41f3/	Deze goedkope jichtpil bleek goed voor hartpatiënten, maar werd gekaapt door een sluwe farmaceut	30/07/2023	Volkskrant
60 https://www.hersenstichting.nl/nieuws/behandelen-voor-een-redelijke-prijs/	Transparantie in de farmacie	01/09/2022	Hersenstichting
61 https://kce.fgov.be/nl/publicaties/alle-rapporten/budget-impact-projecties-voor-geneesmiddelen	Hoe de toekomstige uitgaven voor geneesmiddelen in ons land beter voorspellen?	30/04/2024	Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg
62 https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/publicatie/2024/02/05/argumentenkader-voor-dure-geneesmiddelen	Argumentenkader dure geneesmiddelen	05/02/2024	Zorginstituut Nederland
63 https://www.nza.nl/zorgsectoren/geneesmiddelenzorg/programma-maug-samenwerking-nza-acm-en-zorginstituut-nederland	Programma MAUG: samenwerking NZa, ACM en Zorginstituut Nederland	onbekend	NZa
64 https://www.eerstekamer.nl/overig/20230223/werkagenda_nza_zinl_acm/document	Op weg naar maatschappelijk aanvaardbare prijzen en uitgaven van geneesmiddelen in het basispakket	onbekend	Eerste kamer stuk
65 https://www.eur.nl/eshpm/nieuws/payback-systeem-zorgt-voor-evenwicht-tijdens-sluisperiode	Payback-systeem zorgt voor evenwicht tijdens sluisperiode	03/05/2024	ErasmusMC
66 https://www.tweedekamer.nl/downloads/document?id=2024D20121	Belang van goede medicijnen tegen een maatschappelijk aanvaardbare prijs	23/05/2024	Zorginstituut Nederland
67 https://www.zorginstituutnederland.nl/over-ons/werkwijzen-en-procedures/adviseren-over-en-verduidelijken-van-het-basispakket-aan-zorg/beoordeling-van-nieuwe-zorg	Beoordeling van nieuwe zorg	22/08/2024	Zorginstituut
68 https://www.vereniginginnovatievegeneesmiddelen.nl/actueel/farma-facts-inzicht-in-vertraging-bij-vergoedingsdossiers	Farma Facts: Inzicht in vertraging bij vergoedingsdossiers	30/05/2023	Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen
69 https://www.tno.nl/nl/newsroom/insights/2022/05/maatschappelijke-royalty-kosten-nieuwe/	Met maatschappelijke royalty's kunnen kosten nieuwe medicijnen omlaag	16/05/2022	TNO
70 https://www.vereniginginnovatievegeneesmiddelen.nl/actueel/nederlandse-patient-betaalt-hoge-prijs-voor-kostenfocus	Nederlandse patiënt betaalt hoge prijs voor kostenfocus	28/05/2024	Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen
71 https://zoek.officielebekendmakingen.nl/kst-29477-834.html	Geneesmiddelenbeleid	25/05/2024	Tweede Kamer-verslag
72 https://www.uva.nl/content/nieuws/nieuwsberichten/2022/01/transparantie-over-totstandkoming-kan-hoge-prijzen-kankermedicijnen-verlagen.html	Transparantie over totstandkoming kan hoge prijzen kankermedicijnen verlagen	28/01/2022	UvA
73 https://medicijnvoordemaatschappij.nl/interview-carla-hollak-modellen-reele-geneesmiddelen-prijs/	Een reële prijs voor geneesmiddelen: tijd voor andere modellen?	18/10/2021	Medicijn voor de Maatschappij

URL	Titel	Publicatie-datum	Bron
74 https://fd.nl/bedrijfsleven/1509395/begrip-voor-beperken-gratis-verstrekking-medicijnen-door-farma-bedrijven	Begrip voor beperken gratis verstrekking medicijnen door farmabedrijven	04/03/2024	Financieel Dagblad
75 https://d66.nl/wp-content/uploads/2020/08/Europees-geneesmiddelenbeleid.pdf	Voor één gezonde Europese geneesmiddelenmarkt	onbekend	Visie van Tweede Kamerlid Pia Dijkstra
76 https://www.tweedekamer.nl/downloads/document?id=2023D49078	Geneesmiddelenbeleid	2023-2024	Tweede Kamer stuk
77 https://www.rijksoverheid.nl/onderwerpen/geneesmiddelen/nieuwe-medicijnen-betaalbaar-en-toegankelijk	Nieuwe geneesmiddelen: betaalbaar en toegankelijk	onbekend	Rijksoverheid
78 https://www.vereniginginnovatievegeneesmiddelen.nl/actueel/wim-groot-kosten-geneesmiddelen-nederland-relatief-laag	Wim Groot: 'Kosten geneesmiddelen Nederland relatief laag'	05/09/2019	Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen
79 https://www.avl.nl/agenda/2022/promotie-nora-franzen-hoe-houden-we-de-kankerzorg-betaalbaar/	Promotie Nora Franzen - Hoe houden we de kankerzorg betaalbaar?	15/07/2024	AVL
80 https://www.telegraaf.nl/financieel/1492544247/hoe-houden-we-dure-geneesmiddelen-betaalbaar-voor-degenen-die-het-nodig-hebben	Hoe houden we dure geneesmiddelen betaalbaar voor degenen die het nodig hebben?	28/10/2023	Telegraaf
81 https://www.pfizer.nl/zorgthema/vandaag-de-handen-ineen-slaan-voor-de-toekomst	Vandaag de handen ineen slaan voor de toekomst	onbekend	Pfizer
82 https://www.medicijngebruik.nl/content/userfiles/files/Ozempic%20is%20een%20ingewikkeld%20ethisch%20vraagstuk%20geworden%20-%20Balance%20tussen%20toegang%20tot%20zorg%20en%20betaal.pdf	Ozempic is een ingewikkeld ethisch vraagstuk geworden	18/05/2024	Medicijngebruik
83 https://www.ceg.nl/ethische-dossiers/door-dik-en-dun-gewichtsverlagende-medicatie-in-het-basispakket	Door dik en dun? Gewichtsverlagende medicatie in het basispakket	onbekend	Centrum voor Ethiek en Gezondheid
84 https://www.rijksoverheid.nl/actueel/nieuws/2019/11/04/verdubbeling-resultaat-prijsonderhandelingen-geneesmiddelen	Verdubbeling resultaat prijsonderhandelingen geneesmiddelen	04/11/2019	Rijksoverheid
85 https://www.isala.nl/nieuws/wij-moeten-keuzes-maken/	Wij moeten keuzes maken'	29/12/2022	Isala ziekenhuis
86 https://www.consultancy.nl/nieuws/41486/vooral-de-verwachte-winst-bepaalt-of-een-medicijn-de-markt-haalt	Voor de verwachte winst bepaalt of een medicijn de markt haalt	24/06/2022	Consultancy.nl
87 https://www.pw.nl/nieuws/2022/nza-discussie-nodig-over-kosten-dure-geneesmiddelen	NZa: discussie nodig over kosten dure geneesmiddelen	27/06/2022	Pharmaceutisch Weekblad
88 https://www.pw.nl/nieuws/2023/acm-onderzoekt-mogelijk-excessieve-prijzen-geneesmiddelen	ACM onderzoekt mogelijk excessieve prijzen geneesmiddelen	24/01/2023	Pharmaceutisch Weekblad
89 https://www.pw.nl/nieuws/2021/nza-roept-op-tot-discussie-over-dure-medicijnen	NZa roept op tot discussie over dure medicijnen	19/02/2021	Pharmaceutisch Weekblad
90 https://www.pw.nl/nieuws/2023/online-dashboard-toon-doorlooptijd-nieuwe-dure-medicijnen	Online dashboard toont doorlooptijd nieuwe dure medicijnen	04/12/2023	Pharmaceutisch Weekblad
91 https://www.pw.nl/nieuws/2019/2018-verdubbel-prijs-door-fabrikant-is-acceptabel2019	'Verdubbelen prijs door fabrikant is acceptabel'	01/02/2019	Pharmaceutisch Weekblad
92 https://www.acm.nl/nl/over-ons/missie-en-strategie/onze-agenda/acm-agenda-2018-2019/prijzen-van-geneesmiddelen	Prijzen van geneesmiddelen	onbekend	ACM

URL	Titel	Publicatie-datum	Bron
93 https://www.acm.nl/nl/publicaties/acm-start-nieuwe-onderzoeken-geneesmiddelensector	ACM start nieuwe onderzoeken in geneesmiddelensector	24/01/2023	ACM
94 https://www.acm.nl/nl/publicaties/acm-nu-geen-vervolgonderzoek-drie-zaken-geneesmiddelensector-oproep-tot-delen-signalen	ACM: nu geen vervolgonderzoek in drie zaken geneesmiddelensector, oproep tot delen signalen	05/12/2023	ACM
95 https://www.acm.nl/nl/publicaties/acm-zet-onderzoek-naar-weesgeneesmiddel-cdca-leadiant-door	ACM zet onderzoek naar weesgeneesmiddel CDCA-Leadiant door	29/06/2020	ACM
96 https://www.acm.nl/nl/publicaties/zorgverzekeraars-en-ziekenhuizen-kunnen-meer-halen-uit-hun-samenwerking-bij-inkoop-geneesmiddelen	Zorgverzekeraars en ziekenhuizen kunnen meer halen uit hun samenwerking bij inkoop geneesmiddelen	04/11/2019	ACM
97 https://www.acm.nl/nl/publicaties/acm-medi-mag-eurocept-homecare-niet-overnemen	ACM: Mediq mag Eurocept Homecare niet overnemen	23/12/2021	ACM
98 https://www.acm.nl/nl/publicaties/brede-inspanning-nodig-voor-duurzame-concurrentie-reumageneesmiddelen	Brede inspanning nodig voor duurzame concurrentie reumageneesmiddelen	24/09/2019	ACM
99 https://www.medicijngebruik.nl/content/userfiles/files/05_DVS-nr4-2023_NASCHOLING-Doelmatig%20gebruik%20van%20nieuwe%20geneesmiddelen(c).pdf	Doelmatig gebruik van nieuwe geneesmiddelen	01/12/2023	De verpleegkundig specialist
100 https://farmaterverantwoording.nl/2020/10/15/historische-overwinning-in-een-rechtszaak-over-een-oneerlijke-geneesmiddelen-prijs/	Richtlijnen voor het gebruik van juridische procedures om de toegang tot geneesmiddelen te bevorderen	onbekend	Stichting Farmater Verantwoording
101 https://farmaterverantwoording.nl/2018/12/10/mensenrechten-en-de-farmaceutische-industrie/	Mensenrechten en de farmaceutische industrie	10/12/2018	Stichting Farmater Verantwoording
102 https://farmaterverantwoording.nl/doe-mee/	Wij werken om farmaceutische bedrijven verantwoordelijk te houden, in het algemeen belang. Uw steun kan verschil maken.	2022	Stichting Farmater Verantwoording
103 https://farmaterverantwoording.nl/wp-content/uploads/2021/11/20211118-%E2%80%98Wij-willen-bij-rechter-principes-toetsen-over-zorgplicht-farmaceuten-en-te-dure-medicijnen-%E2%80%94-Pharmaceutisch-Weekblad.pdf	'Wij willen bij rechter principes toetsen: over zorgplicht farmaceuten en te dure medicijnen'	19/11/2021	Stichting Farmater Verantwoording
104 https://www.fairmedicine.eu/onze-principes/	Onze principes	Onbekend	Fair Medicine
105 https://www.fairmedicine.eu/wp-content/uploads/2019/10/20190905-RTLnieuws-Maken-dure-geneesmiddelen-de-zorg-onbetaalbaar-1.pdf	RTL Nieuws (rtlnieuws.nl) Maken dure medicijnen ons zorgstelsel onbetaalbaar?	05/09/2019	RTL Nieuws
106 https://www.fairmedicine.eu/wp-content/uploads/2019/05/190428-Voor-betalbare-medicijnen-moet-ook-het-intellectuele-eigendom-op-de-schop-FD.pdf	Voor betaalbare medicijnen moet ook het intellectuele eigendom op de schop	Onbekend	Fair Medicine
107 https://www.fairmedicine.eu/samenwerking/opinie/kosten-op-een-rij/	Een zoektocht naar een nieuw model voor de farmaceutische industrie	01/04/2018	Fair Medicine
108 https://www.fairmedicine.eu/over-ons/charter/	Chartertekst van Fair Medicine	Onbekend	Fair Medicine
109 https://www.hollandbio.nl/nieuws/lieverkoekjes-worden-niet-gebakken/	Lieverkoekjes worden niet gebakken	21/05/2024	HollandBio
110 https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/rapport/2021/12/07/monitor-weesgeneesmiddelen-2021	Monitor weesgeneesmiddelen in de praktijk 2021	27/01/2021	Zorginstituut Nederland

URL	Titel	Publicatie-datum	Bron
111 https://nieuwsbriefzorgeninnovatie.nl/burgers-zouden-moeten-kunnen-rekenen-op-politici-die-hun-verantwoordelijkheid-pakken-en-grenzen-stellen-aan-de-kosten-van-farmaceutische-zorg/?utm_source=mailpoet&utm_medium=email&utm_source_platform=mailpoet&utm_campaign=totstandkoming-van-een-miljard-nakkoord-or-nieuwe-indeling-van-spoedpatienten-or-type-2-diabeteszorg-or-toepassingen-van-ehealth-or-preventie-van-acute-zorg-or-de-regio-is-aan-zet-or-het-leefstijloket-19	Burgers zouden moeten kunnen rekenen op politici die hun verantwoordelijkheid pakken, en grenzen stellen aan de kosten van farmaceutische zorg	15/08/2024	Nieuwsbrief Zorg & innovatie
112 https://nieuwsbriefzorgeninnovatie.nl/wrr-interview-scherpe-keuzes-in-de-zorg-ontbreken-in-beleidsnotas-van-vws/	WRR-interview: 'Scherpe keuzes in de zorg ontbreken in beleidsnota's van VWS'	15/08/2024	Nieuwsbrief Zorg & innovatie
113 https://www.sirm.nl/publicaties/op-naar-hoger-hangend-fruit	Op naar hoger hangend fruit, ex durante evaluatie geneesmiddelenvisie 2016-2018	04/07/2019	SiRM
114 https://www.tweedekamer.nl/kamerstukken/brieven_regering/detail?id=2020Z13162&-did=2020D27989	De inzet van dwanglicenties bij hoge prijzen van medicijnen	02/07/2020	DE MINISTER VAN ECONOMISCHE ZAKEN EN KLIMAAT
115 https://puc.overheid.nl/nza/doc/PUC_704644_22/1/	Oordeel NZa zorgplicht intramurale geneesmiddelen en werkwijze CieBAG	25/02/2022	NZA
116 https://www.umcutrecht.nl/nieuws/maak-nieuw-beleid-rondom-dure-geneesmiddelen	'Maak nieuw beleid rondom dure geneesmiddelen'	09/06/2022	UMC Utrecht
117 https://www.sirm.nl/publicaties/het-financi%C3%A4le-systeem-van-geneesmiddelenonderzoek	Het financiële ecosysteem van geneesmiddelenonderzoek en -ontwikkeling	22/06/2022	SiRM
118 https://www.medischcontact.nl/actueel/laatste-nieuws/artikel/zo-komen-dure-geneesmiddelen-sneller-beschikbaar	Zó komen dure geneesmiddelen sneller beschikbaar	30/06/2022	Medisch Contact
119 https://www.sirm.nl/publicaties/klim-op-schouder-van-reuzen-inventarisatie-van-gepast-gebruik-dure-geneesmiddelen-interventies	Inventarisatie van gepast gebruik dure geneesmiddelen interventies	13/07/2022	SiRM
120 https://www.avl.nl/nieuwsberichten/2022/oratie-gabe-sonke-onderzoek-naar-gepast-gebruik-moet-een-vast-onderdeel-worden-van-de-introductie-van-nieuwe-dure-geneesmiddelen/	Oratie Gabe Sonke: 'Onderzoek naar gepast gebruik moet een vast onderdeel worden van de introductie van nieuwe (dure) geneesmiddelen'	16/09/2022	Antonie van Leeuwenhoek ziekenhuis
121 https://www.sg.uu.nl/artikelen/2022/12/de-greep-van-big-pharma	In de greep van Big Pharma	07/12/2022	Universiteit Utrecht
122 https://www.ntvg.nl/artikelen/over-behandeling-gesproken-primum-non-nocere	Over-behandeling gesproken: primum non nocere	05/12/2022	NVTG
123 https://www.rijksoverheid.nl/documenten/kamerstukken/2023/03/28/kamerbrief-over-prijsonderhandelingen-trodelvy	Kamerbrief over prijsonderhandelingen Trodelvy	28/03/2023	Rijksoverheid
124 https://www.ftm.nl/artikelen/farmamarketing-gewiekst-gebruik-van-zorgbureaucratie#:~:text=Wat%20is%20het%20nieuws%3F,medicijnen%20vrijelijk%20mochten%20worden%20nagemaakt	Hoe farmaceuten als Pfizer concurrentie op de medicijnenmarkt frustreren	19/09/2023	Follow the money
125 https://fd.nl/bedrijfsleven/1492190/hoe-een-gronings-ziekenhuis-het-opneemt-tegen-big-pharma?utm_medium=social&utm_source=whatsapp&utm_campaign=earned&utm_content=20231014	Hoe een Gronings ziekenhuis het opneemt tegen big pharma	12/10/2023	Financieel dagblad

URL	Titel	Publicatie-datum	Bron
126 https://www.ftm.nl/artikelen/biogen-melkt-op-nieuw-lucratief-ms-medicijn-uit#:~:text=Wat%20is%20het%20nieuws%3F,monopolie%20op%20Tysabri%20(natalizumab)	Hoe een farmagigant met slimme deals MS-medicijn duur houdt	27/10/2023	Follow the money
127 https://fd.nl/economie/1499656/nederland-weet-uitgaven-medicijnen-goed-te-beteugelen#:~:text=Door%20onderhandelingen%20over%20kortingen%20en,bedongen%20op%20medicijnen%20tegen%20kanker	Nederland weet uitgaven medicijnen goed te beteugelen	15/12/2023	Financieel dagblad
128 https://fd.nl/opinie/1501147/prijzen-beteugelen-is-een-must-in-een-ongezonde-markt#:~:text=De%20geneesmiddelenmarkt%20functioneert%20niet%20als,toeneemt%2C%20of%20het%20patent%20verloopt	Prijzen beteugelen is een must in een ongezonde markt	21/12/2023	Financieel dagblad
129 https://www.medischcontact.nl/opinie/blogs-columnns/blog/we-gaan-dit-niet-vergoeden	We gaan dit niet vergoeden	23/01/2024	Medisch Contact
130 https://www.zorginstituutnederland.nl/publicaties/publicatie/2024/02/05/argumentenkader-voor-dure-geneesmiddelen#:~:text=In%20het%20argumentenkader%20dure%20geneesmiddelen,een%20positief%20of%20negatief%20pakketadvies	Argumentenkader dure geneesmiddelen	05/02/2024	Zorginstituut Nederland
131 https://www.sirm.nl/publicaties/analyse-evergreening-van-geneesmiddelen-en-beleidsopties-zorginstituut	Analyse 'evergreening' van geneesmiddelen en beleidsopties Zorginstituut	09/02/2024	SiRM
132 https://www.eur.nl/eshpm/nieuws/beperking-van-gratis-verstrekking-medicijnen-door-farmabedrijven	Beperking van gratis verstrekking medicijnen door farmabedrijven	05/03/2024	Financieel dagblad
133 https://fd.nl/opinie/1511330/of-een-geneesmiddel-te-duur-is-valt-amper-te-controleren?utm_medium=social&utm_source=app&utm_campaign=earned&utm_content=20240324&utm_term=app-ios&gift=ebleK	Of een geneesmiddel te duur is, valt amper te controleren	24/03/2024	Financieel dagblad
134 https://fd.nl/bedrijfsleven/1522526/rechter-zet-discussie-over-toelating-medicijnen-op-scherp	Rechter zet discussie over toelating medicijnen op scherp	04/07/2024	Financieel dagblad
135 https://nos.nl/artikel/2525413-artsen-en-politiek-eensgezind-scherper-kiezen-bij-kankermedicijnen	Artsen en politiek eensgezind: scherper kiezen bij kankermedicijnen	20/06/2024	NOS
136 https://puc.overheid.nl/nza/doc/PUC_764775_22/	Waarom aandacht voor de stijgende uitgaven aan medicijnen wel belangrijk is	06/05/2024	NZA
137 https://www.zorginstituutnederland.nl/binaries/zinl/documenten/rapport/2024/06/11/signalement-passende-zorg-kanker-waardegedreven-zorg/Signalement+Passende+zorg+voor+mensen+met+kanker+-+Waardegedreven+oncologische+zorg.pdf	Waardegedreven oncologische zorg	01/06/2024	Zorginstituut
138 https://www.sirm.nl/docs/Publicaties/Op-naar-hoger-hangend-fruit-Hoofdrapport_Definitief.pdf?v=1675090796	Ex durante evaluatie geneesmiddelenvisie 2016-2018	04/07/2019	VWS, SiRM
139 https://www.rijksoverheid.nl/documenten/rapporten/2020/06/16/persoonlijke-beschouwing-over-de-inzet-van-de-dwanglicenties-bij-hoge-prijzen-van-medicijnen	De inzet van dwanglicenties bij hoge prijzen van medicijnen	02/07/2020	Ministerie van Economische Zaken

URL	Titel	Publicatie-datum	Bron
140 https://www.ntvg.nl/artikelen/beoordeling-van-de-prijs-van-een-geneesmiddel#:~:text=Modellen-,Samenvatting,een%20klein%20of%20onze%20effect	Beoordeling van de prijs van een geneesmiddel: Niet alleen op basis van de waarde voor de patiënten	26/08/2021	NVTG
141 https://farmaterverantwoording.nl/juridisch-cases/	AbbVie bracht het Nederlandse zorgstelsel maar liefst € 1,2 miljard te veel in rekening voor Humira. De Stichting Farma ter Verantwoording daagt AbbVie voor de rechter.	01/02/2022	Farma ter Verantwoording
142 https://www.sirm.nl/publicaties/het-financi%C3%A4le-systeem-van-geneesmiddelenonderzoek	Het financiële ecosysteem van geneesmiddelenonderzoek en -ontwikkeling	22/06/2022	SiRM, RAND Europe, L.E.K. consulting, VWS
143 https://www.medischcontact.nl/actueel/laatste-nieuws/artikel/zo-komen-dure-geneesmiddelen-sneller-beschikbaar	Zó komen dure geneesmiddelen sneller beschikbaar: Plaats de geneesmiddelen-sluis vroeger in het toelatingsproces	30/06/2022	Medisch Contact
144 https://www.sirm.nl/publicaties/klim-op-schouder-van-reuzen-inventarisatie-van-gepast-gebruik-dure-geneesmiddelen-interventies	Inventarisatie van gepast gebruik dure geneesmiddelen interventies	13/07/2022	GGDG; SiRM; Radboudumc
145 https://demedischspecialist.nl/magazine-0/magazine-medisch-specialist-juni-2023/interview-gabe-sonke#:~:text=%27Bij%20de%20introductie%20van%20dure,Zorginstituut%2C%20VWS%2C%20et%20cetera	Onderzoek naar gepast gebruik moet een vast onderdeel worden van de introductie van nieuwe geneesmiddelen	16/09/2022	Magazine Medisch Specialist (van FMS)
146 https://www.zn.nl/dossier/dure-geneesmiddelen/	De Europese koepel van ziektekostenverzekeraars (AIM) doet mee met een belangrijk onderzoeksproject naar 'fair pricing' van dure geneesmiddelen.	01/12/2022	ZN
147 https://www.sirm.nl/publicaties/opbrengsten-huidige-r-d-ecosysteem	Opbrengsten huidige R&D ecosysteem van geneesmiddelen	14/02/2023	VWS, SiRM
148 file:///C:/Users/MHET/Downloads/kamerbrief-over-prijsonderhandelingen-trodelvy%20(2).pdf	Prijsonderhandelingen Trodelvy	28/03/2023	VWS
149 https://www.sirm.nl/publicaties/evaluatie-geneesmiddelenvisie-vws	Evaluatie geneesmiddelenvisie VWS	18/06/2023	VWS; SiRM
150 https://www.ftm.nl/artikelen/farmamarketing-ge-wiekst-gebruik-van-zorgbureaucratie#:~:text=Wat%20is%20het%20nieuws%3F,medicijnen%20vrijelijk%20mochten%20worden%20nagemaakt	Hoe farmaceuten als Pfizer concurrentie op de medicijnmarkt frustreren	19/09/2023	Follow the money
151 https://www.rijksoverheid.nl/documenten/kamerstukken/2024/02/13/antwoorden-op-kamervragen-over-het-bericht-dat-pfizers-gigawinsten-in-nederland-nog-verder-zijn-gestegen-naar-20-miljard-euro	Antwoorden op Kamervragen over bericht dat Pfizers gigawinsten in Nederland nog verder zijn gestegen naar 20 miljard euro	13/02/2024	VWS
152 https://fd.nl/ opinie/1510781/medicijnen-tegen-borstkanker-moeten-sneller-beschikbaar-komen	Medicijnen tegen borstkanker moeten sneller beschikbaar komen	17/03/2024	Financieel Dagblad
153 https://www.ftm.nl/artikelen/maker-kankermedicijn-intimideert-artsen-en-ziekenhuizen	Hoe een farmaceut een kankermedicijn uitmelkt en oncologen intimideert	19/07/2024	Follow the money

Bijlage B Informatiebrochure en beschrijving van de vijf casussen

Deze brochure bestaat uit twee delen: deel 1 gaat over Geneesmiddelen; deel 2 gaat over het programma Maatschappelijk Aanvaardbare Uitgaven Geneesmiddelen (MAUG).

Deel 1: Geneesmiddelen

Met veel geneesmiddelen kunnen we ziektes behandelen, en vaak ook genezen. Sommige geneesmiddelen dienen ertoe om bepaalde ziektes te voorkomen. Andere middelen worden gebruikt om bepaalde klachten te verminderen en zodoende de kwaliteit van leven te verbeteren.

Er bestaan in Nederland veel zorgen over de stijgende uitgaven aan geneesmiddelen; met name ook aan de uitgaven aan dure geneesmiddelen. Hierdoor bestaat het risico dat er minder geld beschikbaar is voor andere zorg, bijvoorbeeld voor vormen van zorg waar misschien helemaal geen geneesmiddelen bij te pas komen.

Tegelijkertijd worden er steeds weer nieuwe geneesmiddelen ontwikkeld, wat op zich een positieve ontwikkeling is. Met name deze nieuwe geneesmiddelen zijn soms heel duur. Vaak weten we niet of ze goed genoeg werken, voor wie ze werken, en hoe lang ze werken. Dat maakt het voor de overheid lastig om te bepalen of een dergelijk geneesmiddel in aanmerking komt voor vergoeding vanuit het basispakket van de zorgverzekering.

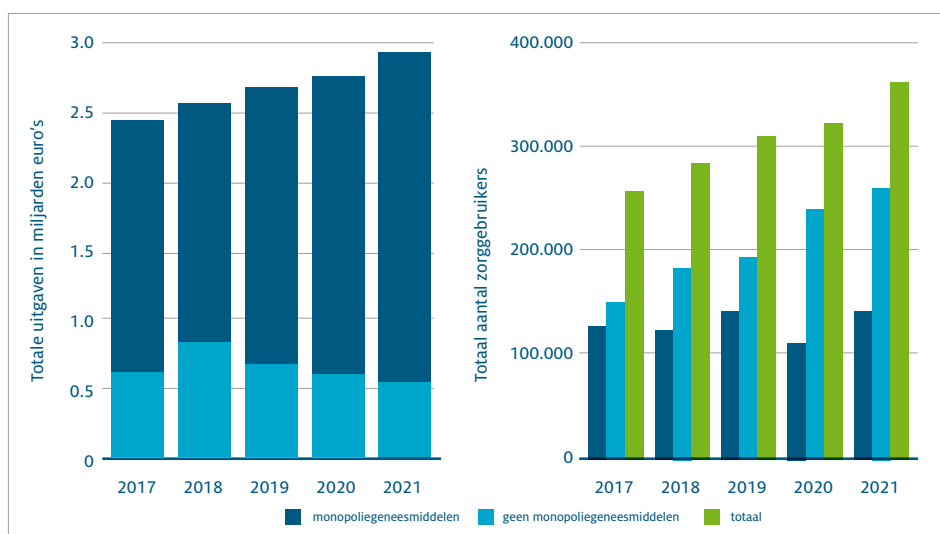
De uitgaven aan geneesmiddelen stijgen al jaren sterker dan de andere uitgaven aan zorg. De overheid krijgt hier weinig grip op. Ook voor de komende jaren worden aanzienlijke stijgingen voorspeld.

De belangrijkste cijfers op een rij:

- In 2023 gaven we in Nederland in totaal € 8,1 miljard uit aan geneesmiddelen. Dat is 14,7% van de totale uitgaven van de zorg die werd vergoed uit het basispakket van de zorgverzekering.
- Van dit bedrag van € 8,1 miljard geven we twee-derde deel (€ 5,4 miljard) uit aan geneesmiddelen die op recept kunnen worden opgehaald bij de apotheek (de zogeheten extramurale geneesmiddelen). De gemiddelde jaarlijkse groei van deze uitgaven is 2,5% sinds 2015.
- Het andere deel (een derde; € 2,7 miljard) geven we uit aan geneesmiddelen die onderdeel uitmaken van behandelingen in het ziekenhuis. De gemiddelde jaarlijkse groei van de uitgaven aan deze geneesmiddelen is 5,5% sinds 2015.
- In de budgetten van ziekenhuizen wordt het aandeel van de uitgaven aan geneesmiddelen elk jaar groter. In 2015 besteedden ziekenhuizen 8,6% van het hun budget aan geneesmiddelen. Dat aandeel is daarna gestegen tot 9,4% in 2023.
- In het Integraal Zorgakkoord 1 is afgesproken dat de jaarlijkse groei van ziekenhuisbudgetten tot stilstand moet komen in 2026. Als dit percentage namelijk zou blijven stijgen, wordt het geld dat besteed kan worden aan andere zorg steeds kleiner. Het kan dus ten koste gaan van andere waardevolle zorg, en dat zou niet wenselijk zijn.

Figuur: Totale uitgaven en gebruikers van geneesmiddelen die door ziekenhuizen worden verstrekt.

Bron: Waarom aandacht voor de stijgende uitgaven aan medicijnen wel belangrijk is. Nederlandse Zorgautoriteit.



Voor een goede discussie over dure geneesmiddelen, is het goed om te weten dat er een verschil is tussen zogeheten monopolie geneesmiddelen en generieke geneesmiddelen:

- Monopolie geneesmiddelen zijn recent ontwikkeld na een vaak lange periode van onderzoek (*research & development*, R&D). Ze zijn beschermd, via patenten of een zekere periode van marktexclusiviteit. De producent heeft daarmee een monopoliepositie (althans voorlopig) en ondervindt dus geen concurrentie. Daarmee zijn de prijzen vaak hoog.
- Generieke geneesmiddelen zijn al een lange tijd verkrijgbaar. Er rust geen patent meer op, zodat in principe elke farmaceutisch bedrijf deze geneesmiddelen kan produceren en verkopen. Er is dus (meestal) sprake van concurrentie, waardoor de prijzen relatief laag zijn.

Monopolie geneesmiddelen zijn vaak duur. We spreken van dure geneesmiddelen als deze duurder zijn dan €1.000 per patiënt per jaar.

De zorgverzekering en het basispakket

Iedereen die in Nederland woont of werkt, betaalt mee aan de zorg uit het basispakket. Dit gaat deels via de zorgpremie en deels via belastingen.

Wie beslist over de samenstelling van het basispakket?

De overheid bepaalt wat er in het basispakket van de zorgverzekering zit en dat pakket is voor iedereen gelijk.

Er zijn aanvullingen mogelijk op het basispakket van uw zorgverzekering. Deze aanvullende verzekeringen zijn vrijwillig en hier hoeft de zorgverzekeraar niet iedere burger tegen dezelfde voorwaarden te accepteren. De polis geeft aan wat er precies wordt vergoed en onder welke voorwaarden.

Hoe worden beslissingen genomen?

Zoals gezegd: er worden doorlopend nieuwe geneesmiddelen ontwikkeld. En regelmatig worden er nieuwe behandelingen toegevoegd aan het basispakket van de zorgverzekering. Als een nieuwe behandeling beschikbaar komt wordt die vaak automatisch opgenomen in het basispakket.

Soms zijn er twijfels of een nieuw geneesmiddel wel vergoed zou moeten worden. Bijvoorbeeld als de kosten per behandeling hoog zijn, of als de totale kosten van een geneesmiddel voor heel Nederland hoog zijn. In die gevallen adviseert het Zorginstituut Nederland (ZIN) de

minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS) of het middel opgenomen zou kunnen worden in het basispakket. Uiteindelijk neemt de minister daarover een besluit.

Bij grote twijfels, en vooral ook als het gaat om dure geneesmiddelen, buigt een speciaal daartoe ingesteld commissie (de Advies Commissie Pakket; ACP) zich over de vraag of vergoeding, en dus opname in het basispakket, gepast is.

Alle medische behandelingen waarbij geneesmiddelen worden ingezet worden beoordeeld op basis van een aantal uitkomstmaten. Allereerst wordt bekeken of het geneesmiddel werkt of niet, en ook of het veilig is voor de patiënt.

Vervolgens wordt bekeken:

(a) hoeveel gezondheidswinst gebruik van het geneesmiddel oplevert, rekening houdend met kwaliteit van leven; en (b) tegen welke kosten.

De verhouding tussen de kosten en de verwachte gezondheidswinst wordt uitgedrukt in één enkele maat, de zogeheten 'kosteneffectiviteit' (KE): de kosten per gewonnen levensjaar van bepaalde kwaliteit. Dit maakt het mogelijk om verschillende behandelingen onderling te vergelijken op hun KE-score.

Bijlage: Het Nederlandse zorgstelsel in vogelvlucht

De Zorgverzekeringswet (Zvw) regelt de **basisverzekering**, die geldt voor alle burgers in Nederland. Deze wet is sinds 1 januari 2006 van kracht en wordt uitgevoerd door zorgverzekeraars. De Zvw bepaalt dat verzekeraars verplicht zijn iedereen te accepteren en zorgverzekeringen niet zelf mogen beëindigen; dus ook niet voor mensen die vaak of ernstig ziek zijn en voor wie de zorgkosten flink kunnen oplopen. Er zijn aanvullingen mogelijk op het basispakket van de zorgverzekering. Die zijn vrijwillig en hier hoeft de zorgverzekeraar niet iedere burger tegen dezelfde voorwaarden te accepteren. In de polis van de zorgverzekering staat wat er precies wordt vergoed en onder welke voorwaarden. Verpleging en verzorging in de thuissituatie worden vaak aangeboden in de vorm van wijkverpleging. Zorgverzekeraars vergoeden deze vorm van zorg ook onder de basisverzekering.

Sinds 2015 zijn er twee zogeheten 'stelselwetten' van kracht: de Wet langdurige zorg (Wlz) en de Jeugdwet.

- De Wlz is er voor mensen die intensieve zorg of toezicht nodig hebben in een instelling, zoals een verpleeghuis. Bijvoorbeeld ouderen met vergevorderde dementie of mensen met een ernstige verstandelijke, lichamelijke of zintuiglijke beperking.
- De Jeugdwet regelt vrijwel alle zorg en ondersteuning aan kinderen, jongeren en hun ouders.

Daarnaast is er de Wet maatschappelijke ondersteuning (Wmo). Deze geeft gemeenten de verantwoordelijkheid om mensen te ondersteunen die niet volledig op eigen kracht thuis kunnen wonen. Daarbij gaat het bijvoorbeeld om begeleiding en dagbesteding; ondersteuning van mantelzorgers; het bieden van een beschermde woonomgeving voor mensen met een psychische stoornis; opvang van mensen die dakloos zijn of in geval van huiselijk geweld.

Deel 2: Burgerforum MAUG

Het programma Maatschappelijk Aanvaardbare Uitgaven Geneesmiddelen is een initiatief vanuit vier organisaties: (www.maug.nl)

(1) Zorginstituut Nederland

Het Zorginstituut is samensteller van het basispakket van de zorgverzekering en werkt aan goede verzekerde zorg voor iedereen in Nederland. Die toegankelijk en betaalbaar is, nu en in de toekomst. Het Zorginstituut beoordeelt onder andere of nieuwe medicijnen in aanmerking komen voor vergoeding uit het basispakket. Hierin vergelijken ze het medicijn met bestaande zorg uit het basispakket.

(2) Nederlandse Zorgautoriteit

De NZa zet zich als regelgever en toezichthouder in voor toegankelijke en betaalbare zorg voor alle inwoners van Nederland. Nu en in de toekomst. Daarbij staat passende zorg centraal. Dat is zorg die van waarde is voor de gezondheid en het functioneren van het individu.

(3) Autoriteit Consument en Markt

De ACM laat markten goed werken voor mensen en bedrijven, nu en in de toekomst. Eerlijke concurrentie in de geneesmiddelensector draagt bij aan de beschikbaarheid en betaalbaarheid van medicijnen voor patiënten en geeft fabrikanten een prikkel om te blijven innoveren. De ACM ziet erop toe dat partijen die actief zijn in de geneesmiddelensector zich houden aan de concurrentieregels.

Met ondersteuning van:

(4) Ministerie van VWS

De minister van VWS heeft om advies gevraagd. De ACM, NZa en ZIN vormen de programmapartijen en zullen de minister gezamenlijk adviseren. Elke organisatie houdt vanzelfsprekend de eigen wettelijke taken en verantwoordelijkheden. Het ministerie van VWS is bij het programma betrokken voor:

- het delen van feitelijke kennis;
- het faciliteren en financieel ondersteunen van processen;
- het faciliteren van afstemmingen met (internationale) stakeholders;
- het communiceren over de voortgang richting kabinet en Tweede Kamer.

Missie van MAUG	'het gezamenlijk zorgbudget zo passend mogelijk uitgeven'.
Aanpak	wat maatschappelijk aanvaardbaar is, bedenkt MAUG niet alleen. Om tot een advies te komen doorlopen de vier MAUG partijen een zorgvuldig traject. Daarbij worden experts en burgers betrokken; en ook diverse belanghebbende partijen, zoals patiënten, behandelaren, zorgaanbieders, zorgverzekeraars en fabrikanten.
Centrale vraag	Wanneer is de hoge prijs van een duur geneesmiddel aanvaardbaar? Zijn er grenzen?
Burgerraadpleging	Burgerforum, gevolgd door een landelijke peiling onder ongeveer duizend burgers.
Burgerforum	... om inzicht te verkrijgen in de argumenten die burgers aanvoeren bij de vraag of het maatschappelijk aanvaardbaar is dat bepaalde dure geneesmiddelen vergoed worden uit collectieve middelen (de basiszorgverzekering); en hoe deze argumenten van invloed zijn op de prijs die burgers bereid zijn te betalen.
Vijf casussen	vijf aandoeningen/ziektes, waarvoor verschillende geneesmiddelen beschikbaar zijn. Het gaat steeds om dure geneesmiddelen.

Bijlage B2 Casus beschrijvingen

Casus 1	Ecomab bij paroxismale nachtelijke hemoglobininurie (PNH)
Casus 2	Oncomab voor de tweedelijns-behandeling van niet-kleincellige longkanker (NSCLC)
Casus 3	Obetide voor gewichtsbeheersing bij volwassenen met (ernstig) overgewicht
Casus 4	Spinamab ter behandeling van spinale musculaire atrofie (SMA)
Casus 5	Leukogen bij behandeling van metachromatische leukodystrofie (MLD)

Casus 1: Ecomab bij paroxismale nachtelijke hemoglobininurie (PNH)

Wat is PNH?

- PNH is een zeldzame bloedziekte die ernstige bloedafbraak (hemolyse), een verhoogd risico op bloedstolsels (trombose) en een tekort aan verschillende bloedcellen veroorzaakt.
- De ziekte wordt veroorzaakt door een verandering in een stamcel van het beenmerg.
- Patiënten kunnen symptomen ervaren zoals extreme vermoeidheid, kortademigheid, buikpijn, donkergekleurde urine en geelzucht.
- Onbehandelde PNH-patiënten hebben een verminderde levensverwachting (door de verhoogde kans op trombose) en een lagere kwaliteit van leven. Er is sprake van een hoge ziektelast.
- PNH treft vooral jongvolwassenen en komt voor bij ongeveer 75 mensen per jaar.

Behandeling van PNH

- Ecomab is een medicijn dat het afweersysteem remt. Het moet om de acht weken worden toegediend, met een infuus rechtstreeks in de bloedbaan gedurende 1-2 uur. Dit gebeurt vaak in het ziekenhuis, maar kan ook thuis plaatsvinden.

Effectiviteit en veiligheid

- Ecomab heeft positieve effecten bij PNH-patiënten die voorheen afhankelijk waren van bloedtransfusies. Veel patiënten hebben minder of zelfs geen transfusies meer nodig. De behandeling verbetert de overlevingskansen, vermindert het risico op bloedstolsels en helpt de nierfunctie te behouden of zelfs te verbeteren.

- Er is onduidelijkheid over de effectiviteit en veiligheid van Ecomab op de lange termijn.

Verhouding tussen de kosten en baten

- Ecomab kost 370.000 euro per patiënt in het eerste jaar, en 312.000 in de jaren daarna. De levenslange behandeling van één PNH-patiënt met het geneesmiddel kost ongeveer 15 miljoen euro. Bij 75 patiënten zijn de totale uitgaven aan het geneesmiddel 27 miljoen.
- De geschatte kosten per gewonnen levensjaar in goede gezondheid zijn ongeveer €500.000 in vergelijking met best ondersteunende zorg. Er is echter sprake van een aanzienlijke onzekerheid over de werkelijke verhouding tussen de kosten en de baten.

Wat vindt u?

- Vindt u de voorgestelde prijs acceptabel? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u dat de voorgestelde prijs te hoog is? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u dat de voorgestelde prijs te laag is? Met als belangrijkste argument(en) ...?

Overzicht

	Casus 1: Ecomab
Aantal patiënten per jaar	75
Kosten per patiënt per jaar op basis van vraagprijs fabrikant	€370.000 in het eerste jaar, €312.000 in de jaren daarna
Gemiddelde kosten per patiënt gedurende zijn/haar leven op basis van de vraagprijs	€15 miljoen
De geschatte kosten voor een gewonnen levensjaar in goede gezondheid	€500.000
Totale jaarlijkse uitgaven aan het geneesmiddel	€27 miljoen

Verdieping casus 1

Doorontwikkeling van eerder geneesmiddel

- Het patent op Ecomab loopt binnenkort af, en dit betekent dat ook andere fabrikanten hetzelfde product mogen namaken. Dit zal waarschijnlijk leiden tot een (veel) lagere prijs.
- Nu heeft de fabrikant van Ecomab het geneesmiddel doorontwikkeld, en wil men dit onder de naam PNHmab op de markt brengen. PNHmab biedt meer gebruiksgemak, omdat patiënten slecht één keer in de acht weken aan het infuus hoeven. Door dit gebruiksgemak verwachten experts dat veel patiënten zullen overstappen van Ecomab op PNHmab.
- De fabrikant heeft een patent gekregen op PNHmab, en mag dus als enige het middel de komende 10 jaar verkopen. Het vraagt hiervoor een prijs die even hoog is als Ecomab, €300.000 per patiënt per jaar. Bij vergoeding van Ecomab tegen de voorgestelde prijs blijft de behandeling van PNH nog 10 jaar langer €300.000 per patiënt per jaar kosten.
- Omdat PNHmab op een vergelijkbare manier werkt als Ecomab, waren de ontwikkelkosten waarschijnlijk lager dan wanneer het om een compleet nieuw medicijn zou gaan. Bovendien heeft de fabrikant waarschijnlijk al een groot deel van de ontwikkelkosten van Ecomab terugverdiend in de jaren dat zij het patent erop had.

Wat vindt u?

Met deze nieuwe kennis...

- Vindt u de voorgestelde prijs van PNHmab acceptabel? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs van PNHmab te hoog? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs van PNHmab te laag? Met als belangrijkste argument(en) ...?

Casus 2: Oncomab voor de tweedelijns-behandeling van niet-kleincellige longkanker (NSCLC)

Wat is niet-kleincellige longkanker (NSCLC)?

- NSCLC is een veelvoorkomende vorm van longkanker die langzaam groeit en vaak al uitgezaaid is voordat er klachten ontstaan. In Nederland krijgen jaarlijks ongeveer 13.000 mensen longkanker, waarvan 85% de niet-kleincellige vorm heeft.
- Slechts 16% van de patiënten met longkanker is vijf jaar na diagnose nog in leven. Uitgezaaide longkanker is niet te genezen, en mensen leven na diagnose nog meestal 1-2 jaar. NSCLC komt vooral voor bij oudere patiënten en is meestal gerelateerd aan roken.

Behandeling van NSCLC

- Oncomab is een vorm van immuuntherapie en helpt het eigen afweersysteem om kankercellen op te ruimen. Oncomab moet gemiddeld zeven maanden worden toegediend.
- Voordat immuuntherapie beschikbaar kwam werden patiënten behandeld met chemotherapie: die is zeer beperkt effectief en gaat gepaard met veel bijwerkingen.

Effectiviteit en veiligheid

- Een deel van de NSCLC-patiënten die met Oncomab worden behandeld leeft 6 à 7 maanden langer dan mensen die alleen chemotherapie krijgen. Ook hebben ze minder last van bijwerkingen.
- Het is onduidelijk hoelang de patiënten die meededen aan het onderzoek na afloop nog in leven zijn gebleven. Wellicht dat de behandeling voor een aantal genezend is geweest.
- Het effect op de kwaliteit van leven is nog niet goed onderzocht, maar patiënten zeggen dat ze zich beter voelen dan degenen die alleen chemotherapie kregen.

Verhouding tussen kosten en baten

- Oncomab kost gemiddeld €75.000 per patiënt voor een behandeling van zeven maanden. Chemotherapie kost €3.000.
- De geschatte kosten per gewonnen levensjaar in goede gezondheid zijn €113.000 in vergelijking met chemotherapie.

- De totale impact op het zorgbudget van Oncomab bij NSCLC wordt geschat op €46-86 miljoen. Dit zorgt voor een aanzienlijke druk op het zorgbudget.

Prijstelling

- Het is onbekend hoe de fabrikant van Oncomab tot de voorgestelde prijs is gekomen.

Wat vindt u?

- Vindt u de voorgestelde prijs acceptabel? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs te hoog? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs te laag? Met als belangrijkste argument(en) ...?

Overzicht

	Casus 2: Oncomab
Aantal patiënt per jaar:	1.230 – 2.295 patiënten
Kosten per patiënt per jaar op basis van vraagprijs fabrikant:	€75.000 per behandeling
Gemiddelde kosten per patiënt gedurende zijn/haar leven op basis van de vraagprijs:	€100.000
De geschatte kosten voor een gewonnen levensjaar in goede gezondheid:	€113.000
Totale jaarlijkse uitgaven aan het geneesmiddel:	€46- €86 miljoen
Schatting gemaakte kosten voor ontwikkeling van het geneesmiddel:	Onbekend

Verdieping casus 2a:

Indicatie-uitbreiding naar andere soorten kanker

- Inmiddels is Oncomab voor veel verschillende vormen van kanker beschikbaar gekomen. In 2021 hebben we 250 miljoen euro uitgegeven aan Oncomab voor 6500 kankerpatiënten.
- Dit is ongeveer 10% van alle uitgaven aan dure geneesmiddelen.
- Deze fabrikant maakt met dit middel 20 miljard winst per jaar wereldwijd.

Wat vindt u?

Met deze nieuwe kennis ...

- Vindt u de voorgestelde prijs acceptabel? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs te hoog? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs te laag? Met als belangrijkste argument(en) ...?

Verdieping casus 2b:

Introductie van een andere toedieningsvorm

- Oncomab wordt momenteel vooral via een infuus toegediend, meestal in het ziekenhuis en soms thuis. Het patent op deze infuusbehandeling verloopt in 2028, waarna andere fabrikanten hun eigen, mogelijk goedkopere, versies kunnen aanbieden.
- De fabrikant heeft echter een nieuwe toedieningsmethode ontwikkeld: een injectie onder de huid, die thuis kan worden toegediend, zelfs door de patiënt zelf. Dit maakt de behandeling aanzienlijk eenvoudiger en vermindert de noodzaak voor ziekenhuisbezoeken. Hoewel de effectiviteit van de behandeling hetzelfde blijft, heeft de fabrikant voor deze nieuwe methode een nieuw patent verkregen, waardoor alleen zij de injectie-variant mogen verkopen. De fabrikant vraagt dezelfde prijs als voor de infuusbehandeling.
- Als de hoge prijs van de fabrikant wordt vergoed, krijgen patiënten wel meer gebruiksgemak met de nieuwe injectie. Maar de maatschappij mist besparingen, omdat mogelijk goedkopere infuusbehandelingen van andere fabrikanten niet worden gebruikt.

Wat vindt u?

Met deze nieuwe kennis...

- Vindt u de voorgestelde prijs acceptabel? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs te hoog? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs te laag? Met als belangrijkste argument(en) ...?

Casus 3: Obetide voor gewichtsbeheersing bij volwassenen met (ernstig) overgewicht

Wat is ernstig overgewicht?

- Ernstig overgewicht (ook wel obesitas genoemd) is een chronische aandoening waarbij overmatige vetopslag in het lichaam leidt tot ernstige gezondheidsrisico's.
- Mensen met ernstig overgewicht hebben meer kans op ziektes zoals diabetes type 2, hart- en vaatziekten en bepaalde vormen van kanker.
- In Nederland heeft ongeveer 50% van de volwassenen overgewicht (Body Mass Index ≥ 25) en 15% ernstig overgewicht (BMI ≥ 30).
- Overgewicht is een groeiend probleem: naar verwachting zal tegen 2040 62% van de volwassenen in Nederland overgewicht hebben.

Behandeling van ernstig overgewicht

- De standaardbehandeling bestaat uit een gecombineerde leefstijlinterventie (GLI), waarbij voeding, beweging en gedrag centraal staan. Duur van 2 jaar.
- In het eerste jaar valt 26% uit, in het 2e jaar nog eens 35%.
- Deelnemers verliezen gemiddeld 3,5% gewicht.
- Kwaliteit van leven neemt toe van 59 naar 67 op een schaal van 0 tot 100.
- In sommige gevallen werkt dit niet voldoende. Dan kunnen medicijnen zoals Obetide worden voorgeschreven om af te vallen.
- Obetide vermindert de eetlust, en wordt gebruikt bij volwassenen met ernstig overgewicht in combinatie met een caloriearm dieet en voldoende lichaamsbeweging.

Het wordt ook gebruikt door een bepaalde groep volwassenen met diabetes. Het betreft dan een lage dosis van Obetide.

Effectiviteit en veiligheid

- Onderzoek toont aan dat gebruik van Obetide leidt tot een gewichtsreductie van ongeveer 10% bij mensen met overgewicht en obesitas. Deze gewichtsreductie zal hopelijk zorgen voor minder hart- en vaatziekten, kanker en gewichtsproblemen die gerelateerd zijn aan overgewicht.
- We weten niet wat er gebeurt als mensen met ernstig overgewicht Obetide gedurende een lange tijd gebruiken. Wel is duidelijk dat als mensen ermee stoppen, hun gewicht vaak weer terugkomt op het oude hoge niveau.
- De veiligheid van deze hogere dosering op lange termijn is ook onduidelijk. Het gebruik van Obetide in de lagere dosering lijkt geen ernstige bijwerkingen te hebben.

Verhouding tussen kosten en baten

- Obetide in de hoge dosering kost €2.750 per patiënt per jaar. GLI kost €1.200 voor 2 jaar.
- Het is lastig om in te schatten hoeveel mensen daadwerkelijk in aanmerking komt voor Obetide als aanvulling op een GLI. Op basis van aannames zouden de kosten kunnen oplopen tot 1,3 miljard (oftewel €1.300 miljoen) per jaar.
- Er zijn momenteel geen betrouwbare schattingen van de kosten per gewonnen levensjaar in goede gezondheid.
- Daarnaast zijn er grote onzekerheden over de langdurige effecten van Obetide en de juiste inzet van het geneesmiddel bij verschillende patiëntengroepen.

Prijsstelling

- Het is niet bekend hoe de fabrikant van Obetide tot de door hen voorgestelde prijs is gekomen.

Wat vindt u?

- Vindt u de voorgestelde prijs acceptabel? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs te hoog? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs te laag? Met als belangrijkste argument(en) ...?

Overzicht

	Casus 3: Obetide
Aantal patiënten per jaar:	Mogelijk 4,2 miljoen mensen (onzeker)
Kosten per patiënt per jaar op basis van vraagprijs fabrikant:	€2750 met mogelijk levenslang gebruik
Gemiddelde kosten per patiënt gedurende zijn/haar leven op basis van de vraagprijs:	Onbekend
De geschatte kosten voor een gewonnen levensjaar in goede gezondheid:	Geen betrouwbare schatting beschikbaar
Totale jaarlijkse uitgaven aan het geneesmiddel:	Onzeker, mogelijk €1,3 miljard
Schatting gemaakte kosten voor ontwikkeling van het geneesmiddel:	Onbekend

Verdieping casus 3

Bestaand product, ontwikkeling vergelijkbare geneesmiddelen

- Obetide is een hogere dosering van een bestaand middel, waarvoor waarschijnlijk minder ontwikkelkosten zijn gemaakt.
- Hoewel het kan bijdragen aan het oplossen van een maatschappelijk probleem, zal vergoeding tegen de vraagprijs een aanzienlijke impact hebben op het zorgbudget. Met totale kosten die mogelijk oplopen tot 1,3 miljard euro, is het waarschijnlijk dat andere zorg onder druk komt te staan.
- Daarnaast zijn er veel nieuwe geneesmiddelen voor deze indicatie in ontwikkeling, wat op korte termijn al voor concurrentie kan zorgen en doorgaans tot een lagere prijs leidt.

Wat vindt u?

Met deze nieuwe kennis....

- Vindt u de voorgestelde prijs acceptabel? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs te hoog? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs te laag? Met als belangrijkste argument(en) ...?

Casus 4: Spinamab voor de behandeling van spinale musculaire atrofie (SMA)

Wat is SMA?

- Spinale musculaire atrofie (SMA) is een erfelijke spierziekte die geleidelijk steeds ernstiger wordt. Zenuwcellen in het ruggenmerg sterven af, wat leidt tot toenemende spierzwakte en verlies van motorische functies zoals kunnen zitten.
- SMA kent verschillende vormen. De ernstigste vorm, SMA type 1, komt voor bij zuigelingen. Zonder behandeling komt het kind meestal te overlijden binnen het eerste of tweede levensjaar. De overige vormen leiden minder vaak tot overlijden, maar tast wel de spierkracht aan waardoor kinderen moeite hebben met lopen en staan. Ze kunnen vaak wel zelfstandig zitten.
- Elk jaar worden er ongeveer 17-20 patiënten met SMA geboren waarvan 8 met type 1.

Behandeling van SMA

- Spinamab is het eerste medicijn dat beschikbaar is voor de behandeling van SMA.
- Hoe vroeger in het leven de behandeling gestart wordt, des te groter het verwachte effect is.
- Spinamab is een belastende behandeling doordat het via injecties in het ruggenmerg wordt toegediend. In het eerste jaar zijn er zes behandelingen per jaar nodig, daarna telkens drie.

Effectiviteit en veiligheid

- Spinamab verbetert de spierfunctie en levensverwachting van baby's met SMA type 1. Het kan bijdragen aan het verbeteren van hoofd- en ledemaatbewegingen en de voortgang van de ziekte vertragen. Onderzoek toont een 63% lagere kans op overlijden en 47% minder kans op permanente beademing.
- Spinamab verbetert bij overige SMA-vormen het zitten, kruipen en staan, vertraagt spierzwakte en helpt kinderen vaardigheden en kwaliteit van leven te behouden. Het kan zelfstandigheid en participatie vergroten, maar een normaal leven blijft voor deze patiënten onhaalbaar.
- Langetermijneffecten en bijwerkingen van Spinamab zijn onzeker.

Verhouding tussen kosten en baten

- Geneesmiddelenkosten zijn €500.000 in het eerste jaar, daarna €250.000 per jaar per patiënt.
- De geschatte kosten per gewonnen levensjaar in goede gezondheid zijn €600.000-1.7000.000.
- De totale uitgaven voor behandeling van 239 patiënten, bedragen 64 miljoen.
- Spinamab kan de levensverwachting en kwaliteit van leven verbeteren, maar de zorgkosten voor SMA-patiënten, zoals ademhalingsondersteuning en ziekenhuisopnames, blijven hoog.

Prijsstelling

- Het is niet bekend hoe de fabrikant van Spinamab tot de voorgestelde prijs is gekomen.
- De vraagprijs van Spinamab wordt deels toegeschreven aan de kosten van onderzoek en ontwikkeling van dit eerste effectieve SMA-geneesmiddel.
- Het kan als een innovatie worden gezien en de vergoeding ervan kan de ontwikkeling van medicijnen voor andere zeldzame ziekten stimuleren.

Wat vindt u?

- Vindt u de voorgestelde prijs acceptabel? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs te hoog? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs te laag? Met als belangrijkste argument(en) ...?

Overzicht

	Casus 4: Spinamab
Aantal patiënten per jaar:	239 bestaande en 17-20 nieuwe patiënten per jaar
Kosten per patiënt per jaar op basis van vraagprijs fabrikant:	In het eerste jaar €500.000 Vanaf het 2e jaar €250.000
Gemiddelde kosten per patiënt gedurende zijn/haar leven op basis van de vraagprijs:	Afhankelijk van de overleving lopen de kosten van een levenslange behandeling in de miljoenen.

	Casus 4: Spinamab
De geschatte kosten voor een gewonnen levensjaar in goede gezondheid:	€600,000 – 1.700.000
Totale jaarlijkse uitgaven aan het geneesmiddel:	€64 miljoen
Schatting gemaakte kosten voor ontwikkeling van het geneesmiddel:	Onbekend; de hoogte van de prijs van Spinamab wordt deels toegeschreven aan de kosten voor onderzoek en ontwikkeling

Verdieping casus 4

Innovatieve, veelbelovende gentherapie als eenmalige behandeling

SMA kan sinds kort ook behandeld worden met een eenmalige gentherapie genaamd Gensma.

Deze therapie wordt toegediend aan baby's die de aandoening van hun ouders hebben geërfd maar nog geen symptomen vertonen, met de hoop de ziekte volledig te voorkomen. Dit is echter nog niet zeker, omdat er weinig onderzoek is gedaan en onduidelijk is of de effecten blijvend zijn.

In tegenstelling tot Spinamab, dat levenslang moet worden toegediend, is Gensma een eenmalige behandeling. De kosten bedragen bijna €2 miljoen per patiënt. In Nederland komen jaarlijks 8 tot 10 jonge kinderen in aanmerking voor behandeling met Gensma.

Wat vindt u?

- Vindt u de voorgestelde prijs van Gensma acceptabel? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs van Gensma te hoog? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs van Gensma te laag? Met als belangrijkste argument(en) ...?

Casus 5: Leukogen bij de behandeling van metachromatische leukodystrofie (MLD)

Wat is MLD?

- Metachromatische leukodystrofie (MLD) is een zeldzame, erfelijke stofwisselingsziekte die de zenuwcellen en hersenen aantast, waardoor kinderen verstandelijke beperkingen krijgen en steeds minder goed kunnen bewegen.

- De eerste jaren hebben patiënten geen verschijnselen, maar vanaf de eerste klachten gaan ze verder achteruit. Het moment dat de eerste klachten optreden, en het verloop van de ziekte verschillen per patiënt. Hoe ernstiger het gendefect, hoe eerder en hoe sneller de ziekte verloopt. Lopen, praten, horen en zien gaan geleidelijk achteruit. Een kind dat eerst nog loopt, kan op een gegeven moment in een rolstoel belanden. Ook pijnlijke spierkrampen en epilepsie kunnen optreden. Uiteindelijk reageren MLD-patiënten nog maar weinig op hun omgeving. Kinderen overlijden vaak op jonge leeftijd.
- In Nederland worden jaarlijks twee kinderen met MLD geboren.
- Op dit moment worden patiënten symptomatisch behandeld met best-mogelijke ondersteunende zorg om een zekere kwaliteit van leven gedurende de resterende levensjaren te behouden.
- De duur van overleving na start van behandeling varieert van 1 tot 15 jaar.
- De gemiddelde totale kosten van de huidige behandeling bedragen 1 miljoen euro per kind.

Behandeling van MLD

- Leukogen is een eenmalige gentherapie waarbij stamcellen van de patiënt worden aangepast om het ontbrekende ARSA-gen te herstellen. Dit kan voorkomen dat de ziekte snel ernstiger wordt.

Effectiviteit en veiligheid

- Uit onderzoek blijkt dat behandeling van kinderen met Leukogen achteruitgang in motorische en cognitieve functies tegengaat. Zo scoorde ongeveer driekwart van de behandelde kinderen bijna normale waardes toen ze getest werden op motorische lichaamsfuncties en cognitieve vaardigheden.
- Langere-termijn gegevens (3 tot 8 jaar) laten zien dat sommige patiënten stabiel blijven, terwijl anderen op den duur toch verslechteren.
- Er is nog onzekerheid hoe lang de behandeling achteruitgang tegengaat.

Verhouding tussen kosten en baten

- Leukogen kost ongeveer €3 miljoen per patiënt voor een eenmalige behandeling.

- De totale impact op het zorgbudget bedraagt €6 miljoen per jaar.
- Sommige patiënten hebben mogelijk aanvullende ondersteunende zorg nodig, om een zekere kwaliteit van leven te behouden. Hoeveel deze aanvullende zorg kost is op dit moment onbekend, omdat het niet duidelijk is hoe lang het geneesmiddel effect heeft.
- De kosten van Leukogen per gewonnen levensjaar in goede gezondheid bedragen ongeveer €350.000 per patiënt.

Prijsstelling

- Het betreft een eenmalige behandeling van een zeer zeldzame aandoening.
- De fabrikant heeft zich bereid verklaard om vertrouwelijk inzicht te geven waarom het geneesmiddel zo duur is. Ook zegt de fabrikant dat het de afspraak wil maken dat alleen betaald hoeft te worden als de therapie daadwerkelijk heeft geholpen.

Wat vindt u?

- Vindt u de voorgestelde prijs acceptabel? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs te hoog? Met als belangrijkste argument(en) ...?
- Vindt u de voorgestelde prijs te laag? Met als belangrijkste argument(en) ...?

Overzicht

	Casus 5: Leukogen
Aantal nieuwe patiënten per jaar:	2 patiënten
Kosten per patiënt per jaar op basis van vraagprijs fabrikant:	€3 miljoen (eenmalige behandeling)
Gemiddelde kosten per patiënt gedurende zijn/haar leven op basis van de vraagprijs:	€3 miljoen
De geschatte kosten voor een gewonnen levensjaar in goede gezondheid:	€350.000
Totale jaarlijkse uitgaven aan het geneesmiddel:	€6 miljoen
Schatting gemaakte kosten voor ontwikkeling van het geneesmiddel:	Onbekend, maar fabrikant is bereid om inzicht te geven op vertrouwelijke basis

Bijlage C Resultaten van de bespreking van de vijf casussen

Deze bijlage bevat een rapportage van de bespreking van de vijf casussen, in de vorm van het stemgedrag van de deelnemers en de notities op de *flipovers* in de vier deelgroepen.

Voor het stemgedrag waren vooraf drie antwoordmogelijkheden gegeven 'Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel', 'Ik vind de voorgestelde prijs te hoog' en 'Ik vind de voorgestelde prijs te laag'. In sommige groepen is daar een vierde antwoordmogelijkheid toegevoegd 'ik twijfel' en dat wordt hier ook gerapporteerd. In onderstaande tabellen zijn de antwoorden van de deelnemers samengevat.

Er is in de groepen ook gevraagd naar de belangrijkste overwegingen voor en tegen vergoeding van de voorgestelde prijs, en deze zijn in de rapportage vetgedrukt. Deze zijn verder niet (kwantitatief) geanalyseerd.

Casus 1: Ecomab bij paroxismale nachtelijke hemoglobininurie (PNH)

Groep 1

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	3	2	0

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Verbeterde kwaliteit van leven • Verbeterde overleving • Minder bijwerkingen • Verbeterde maatschappelijke deelname van patiënten • Patiënten-aantallen gelijkblijvend, geen onzekerheid over • Redelijk dat fabrikant investering terugverdient • Vergoeding biedt kans op doorontwikkeling geneesmiddel • Geen niertransplantatie nodig	• Effectiviteit – onzeker of patiënt helemaal beter wordt • Lange termijn effecten onbekend • Kosten heel hoog • Patiënt moet nog steeds naar ziekenhuis • Blijft gebruik maken van infuus en gerelateerde kosten

Overig: -

Eerste verdieping

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	0	5	0

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Meer gebruiksgemak	• Investering fabrikant al terugverdiend • Kosten doorontwikkeling onbekend • Voegt niets toe aan effectiviteit • Onbekende effecten op lange termijn • Onduidelijk hoeveel bloedtransfusies nog nodig zijn

Overig: -

Groep 2

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen		6	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Een redelijke winst (als dit het geval zou zijn) • Het aantal patiënten is laag • Vergoeding zou ervoor zorgen dat je dit middel op voorraad hebt • Het overkomt je • Ontwikkeling van medicijn moet betaald worden • Levensreddend (als dit het geval zou zijn)	• Risico op hoge kosten als blijkt dat het onveilig is • Prijsverschil met bloedtransfusie • Onzekerheid lange termijn-effect • Onzekerheid lange termijn veiligheid • Alternatieve behandelopties • Hoe erg is het om de huidige behandelingen te ondergaan? • Prijsverschil met andere EU-landen • Onduidelijkheid of de winst hoog is • Instandhouding machtspositie patenten en prijzen • Productiekosten laag

Overig: -

Eerste verdieping

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen		6	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
	• Machtspositie in standhouden (al is dit onduidelijk gezien onduidelijkheid prijsopbouw) • Nog steeds onzekerheid over veiligheid en effect op lange termijn • Niet levensreddend en dus niet genoeg toegevoegde waarde ten opzichte van alternatief • Weinig extra gemaakte ontwikkelkosten

Overig: -

Groep 3

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	2	4	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Het is willekeurig wie wordt getroffen door de ziekte • Impact op kwaliteit van leven • Iedereen heeft recht op zorg	• De effectiviteit op lange termijn is onzeker • Kosten – baten zijn niet in evenwicht • Onduidelijk hoe de prijs tot stand is gekomen • Het is geen acute aandoening • Het is zeldzame aandoening – populatie is klein. • Er is levenslang behandeling nodig

Overig: -

Eerste verdieping

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen		6	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Vermindert druk op zorgpersoneel • Gebruiksgemak	• Er is een goed alternatief voor een lagere prijs • Strategisch gedrag fabrikant

Overig: -

Groep 4

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Twijfel
Aantal stemmen	4	1	1

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Meer levensplezier – Betere kwaliteit van leven • Het overkomt je • Levensverlengend • Beter in staat mee te doen in de maatschappij ... • (met als gevolg:) Minder zorg nodig, minder uitkeringen.	• Alsnog bloedtransfusies nodig (en onduidelijk met welke frequentie) • Onzekerheid over lange-termijn effecten van behandeling vergt nader onderzoek • Leefstijl voorheen kan een rol hebben gespeeld (mogelijk ook van ouders)

Eerste verdieping

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	4	2	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Gemak voor de patiënt • Lagere bijkomende kosten van toediening in ziekenhuis • Eventueel gedeeltelijk vergoeden (al levert dat de vraag op of de behandeling nog voor iedereen toegankelijk is) • "Als echt niks anders werkt dan vind ik het duurste goed genoeg" • Als minder vaak toedienen zou betekenen dat de fabrikant minder omzet heeft, en daarmee ook minder winst maakt.	• Ontwikkelkosten (R&D) waren beperkt • "Shady business" van het farmaceutisch bedrijf. • Om de zorgpremie niet nog verder te laten stijgen.

Casus 2: Oncomab voor de tweedelijns-behandeling van niet-kleincellige longkanker (NSCLC)

Groep 1

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	2	4	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Er zijn minder bijwerkingen • Verlenging van leven, 6-7 maanden kunnen heel betekenisvol zijn	• Lage levenswinst • Onzekerheid over effectiviteit • Onzekerheid over kwaliteit van leven • Immunotherapie kan ernstige bijwerkingen hebben • Kosten-baten verhouding is niet goed • Fabrikant haalt veel geld op, is dat echt nodig om kostendekkend te zijn? • Fabrikant is niet transparant

Overig: -

- het is belangrijk om met patiënt te overleggen wat die wenselijk vindt

- Afdwingen transparantie bij fabrikant
- leeftijd mag op beleid geen rol spelen

Eerste verdieping

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen		6	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Levenswinst kan belangrijk zijn • Geneesmiddel is breed inzetbaar	• Winst is niet in verhouding tot ontwikkelkosten

Overig: -

- Voorwaarde voor vergoeding: overheid moet lagere prijs afdwingen
- Bedrijven mogen winst maken maar dit moet wel realistisch zijn en deels terug geïnvesteerd worden

Tweede verdieping

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen		6	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Verbetering gebruiksgemak	• Slechts verbetering gebruiksgemak • Geen verbetering effectiviteit • Minder controle bij eigen gebruik patiënt • Geen financieel voordeel voor maatschappij • Van winst die gemaakt is kan dit goedkoper

Overig: -

Groep 2

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	3	3	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Toegang willen geven voor de jongere patiënten (maar niet enkel voor deze groep) • Voorwaarde van leefstijlaanpassing (stoppen met roken) koppelen aan vergoeding met begeleiding indien nodig, gebruiksgemak	• Lage kwaliteit van leven • Weinig levensverlenging • Geld kan beter elders besteed worden in de zorg • Onduidelijkheid over het effect op kwaliteit van leven • Onduidelijkheid over opbouw van prijs door farmaceut

Overig: -

Eerste verdieping

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen		6	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
	• Extreem hoge winst farmaceut • Groot impact op zorgbudget

Overig: -

Tweede verdieping:
niet behandeld

Groep 3

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Twijfel
Aantal stemmen		4	2

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Minder bijwerkingen • Medicijn kan leiden tot genezing • Zorgt voor betere kwaliteit van leven	• Beperkte toevoeging levensverwachting • Ziekte is gerelateerd aan leefstijl • Er zijn alternatieven voor behandeling en daarmee alternatieven voor een menswaardig einde • Onzekere effectiviteit • De ziekte betreft primair ouderen • Behandeling zorgt voor een verlenging van het lijden • Hoe de prijs tot stand is gekomen is onduidelijk

Eerste verdieping

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen		6	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Breder inzetbaar (bij afwezigheid van alternatief) • Gelijke behandeling van verschillende kankersoorten	• Hogere kosten door brede inzetbaarheid • Winst fabrikant • Transparantie van het proces en de ontwikkeling en daarmee van de prijs ontbreekt • Remt mogelijk ontwikkeling van alternatieve geneesmiddelen

Overig: De overweging 'Winst fabrikant' (tegen vergoeding) hangt volgens de betreffende deelnemer nauw samen met 'Transparantie van het proces en de ontwikkeling en daarmee van de prijs ontbreekt'

Tweede verdieping:
niet behandeld

Groep 4 Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	5	1	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Levensverlengend • Betere (redelijke) kwaliteit van leven • Minder bijwerkingen • Voorkomt vervelende chemotherapie. Citaat: "Als mensen-mens zeg ik: dat gun ik die patiënt" • Biedt misschien kansen op verbetering van de behandeling (immunotherapie) voor NSCLC	• Beperkt effect (6-7 maanden levensverlenging) • Hoge kosten per gewonnen levensjaar (gecorrigeerd voor kwaliteit) • Onzekerheid over bijwerkingen • Forse budgetimpact

Eerste verdieping

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	5	1	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Kosten per behandeling lijkt lager geworden nu het middel ook voor andere soorten kanker beschikbaar is	• Winstmarge lijkt overdreven groot. (noodzaak om flink te onderhandelen om prijsverlaging af te dwingen) • Geen verdere ontwikkelkosten waren nodig (dus geen noodzaak om hoge prijs te blijven betalen bij uitbreiding naar andere soorten kanker)

Casus 3: Obetide voor gewichtsbeheersing bij volwassenen met obesitas of overgewicht

Groep 1 Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	2	4	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Verbeterde maatschappelijke deelname, waarschijnlijk over generaties heen • Voorkomt ziektes • Effectieve toevoeging op afvallen • Overgewicht is sowieso drukpost op kosten zorg	• Acceptabele prijs om zelf te betalen • Symptoombestrijding • Andere oplossingen zijn duurzamer • Onzekerheid over effecten en bijwerkingen • Enorme drukpost op zorgkosten • Lukt strategisch gedrag uit bij deelname GLT • Is gevolg van levensstijl / cultuur? Daarvoor allen betalen?

Overig: -

Eerste verdieping

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen		6	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
	• Prijs te hoog • Ontwikkeling is al geweest, kosten zijn er al uit gehaald • Er is perspectief op goedkoper alternatief, daarop wachten • Vergoeding verdrukt andere zorg

Overig:

- Kritiek op fabrikant: (i) onderzoek en rapporteer de bijwerkingen; (ii) wees transparant
- Er moeten nieuwe regels komen voor hoe ZIN met patenten omgaat. Als er niet echt een vernieuwing is kan dit reden zijn om prijs te verlagen.

Groep 2

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	1	5	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Mogelijke besparingen op ziektekosten voor andere ziektes die voorkomen worden. • (De prijs is mogelijk acceptabeler als een deel van de kosten ook naar GLI gaat, o.a. om de behandelaars te betalen).	• Onbekend wat lange termijneffect en veiligheid is • Effect op andere ziektes voorkomen is onduidelijk • Onduidelijk of er levenslang kosten zijn door langdurig gebruik • Mogelijkheid om op preventie in te zetten als alternatief • Vergelijking met alternatieven in termen van effect en kosten (b.v. maagverkleining) • Grootte van het effect is laag (de 10% gewichtsreductie) • Totale uitgaven zijn hoog • Prijsopbouw is onbekend • Leefstijl (dus evt. eigen bijdrage vragen bij stoppen GLI) • Schaarste die kan ontstaan voor het werkzame stofje dat ook in andere middelen gebruikt wordt

Overig: -

Eerste verdieping

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	1	5	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
	• Wij kunnen beter wachten op goedkopere geneesmiddelen • Daarnaast spelen ook hier dezelfde overwegingen als bij de basisbespreking.

Overig: -

Groep 3

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	5	1	

De prijs is acceptabel als duidelijk is gedefinieerd wie de doelgroep is.

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Psychologische aandoening • Voorkomt ziektes, bijvoorbeeld hart en vaat ziekten – voordeel op het niveau van het individu • Voorkomt toekomstige ziektekosten – voordeel op het niveau van de maatschappij • Afhankelijk van karakteristieken van de patiënt, bijvoorbeeld inkomen, kan een eigen bijdrage gevraagd worden met als doel de kosten te beheersen • Kan het percentage mensen dat overgewicht heeft in de toekomst reduceren	• Grote omvang van doelgroep • Inclusiecriteria BMI alleen is niet voldoende en ontoereikend. BMI van mensen met een Aziatische achtergrond is anders • Er moet vergoeding zijn voor een totaalpakket: leefstijl, obetide, maar ook nazorg • Het is onbekend wat de effecten op de lange termijn zijn • Commercie – Hype • Hoge budget impact • Stimuleert ongezond gedrag in bepaalde situaties – bijvoorbeeld extra aankomen om in aanmerking te komen • Belangrijker dat regering gezond eten stimuleert • Geen doelmatige zorg

Overig: Over de overweging 'hoge budget impact' was geen consensus of het tot de top 3 behoort.

Tijdens deze casus werden een aantal dilemma's uitgebreid besproken:

- Wie komt in aanmerking voor het medicijn?
- Wat voor een soort patiënten profiteren (het meest) van het medicijn?
- Wat voor een soort patiënten zouden het medicijn willen gebruiken?
- Wie bepaalt wie in aanmerking komt?
- Kun je er zelf iets aan doen dat je overgewicht aan hebt? Of zijn er onderliggende factoren die een belangrijke rol spelen?

Eerste verdieping

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	5	1	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Medicijn voor een bepaalde tijd accepteren tijdens de onderhandelingen – tot de beschikbaarheid van alternatieven.	

Overig: -

Groep 4 Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	6		

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Omdat het werkt ("als het werkt") • Verbeterd kwaliteit van leven • Voorkomt ander ongemak (helpt andere aandoeningen te voorkomen) • Voorkomt daarmee gepaard gaande kosten (bijv van insuline gebruik) • Op voorwaarde van medische indicatie (bijv diabetes) • Op voorwaarde dat verplichte GLI niet kleuterachtig is.	• Medicijn voor het leven • Jojo effect; m.a.w. effectiviteit op lange termijn is onzeker • Onzekerheid over eventuele schadelijke neveneffecten op lange termijn • Onbedoeld pervers gedrag: sommige (veel?) mensen gaan meer eten voor hogere BMI zodat ze in aanmerking komen • Zelf betalen als er geen medische indicatie is • Tenzij de verplichte GLI van serieus niveau is en daarmee complementair aan het geneesmiddel • Verkrijgbaar in het buitenland tegen een lagere prijs

Eerste verdieping

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	5	1	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Geen aanvullende overwegingen	• Geen aanvullende overwegingen

Casus 4: Spinamab voor de behandeling van spinale musculaire atrofie (SMA)

Groep 1 Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	3	3	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
- Aangeboren ziekte / willekeurig wie het treft Eerste beschikbare medicatie voor deze aandoening Verbeterde kwaliteit van leven, zowel van kind als ouders - Kleine groep, lage totale kosten Prijs is verdedigbaar gezien ontwikkelkosten - Kans op doorontwikkeling medicijn - Het gaat om kinderen - Ouders kunnen niet zelf betalen - Ernstige aandoening	- Exclusief medicijn voor een kleine groep - Per patiënt hoge kosten Verbeterd kwaliteit van leven genoeg? Lange termijneffect onbekend Lange termijn impact op zorgkosten onbekend - Ernstige aandoening

Overig: -

Eerste verdieping:
niet behandeld

Groep 2

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	4	1	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
- Het gaat om weinig patiënten - Totale uitgaven laag - Het gaat om jonge kinderen - Het is nog niet te voorkomen - Hogere onderzoekskosten en weinig terugverdienmogelijkheid bij weinig patiënten Het is de enige beschikbare optie (geen alternatief) - Type 3 en 4 krijgen er een normaal leven mee terug (als zij het zouden krijgen)	- Hoge prijs per kind Meer inzetten op vroegtijdige ontdekking (DNA test voor de zwangerschap) - Verdienmogelijkheid op een breder portfolio van geneesmiddelen door de fabrikant Is de behandeling wel ethisch (o.a. ruggenprik)? Is er voldoende kwaliteit van leven bij levensverlenging als het gaat om type 1 & 2? - Aandeel winst in de prijs onzeker

Overig: -

Eerste verdieping

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	5		

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
De uiteindelijke totale kosten per patiënt zijn in dit geval lager in vergelijking met de basiscasus	- Onzekerheid over duur van het effect - Meer inzetten op vroegtijdige ontdekking (DNA test voor de zwangerschap)

Overig:

Groep 3

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	1	5	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
Kans op overleving - Als langdurig onderzoek meer duidelijkheid geeft over meerwaarde - Er is geen alternatief - Genereert inzicht in effect op lange termijn	- Experimenteel - Lost het probleem (de ziekte) niet op. - Is behandeling ethisch – kun je een kind dit aandoen. - Impact op het zorgbudget vs. de omvang van de doelgroep. Effecten langere termijn onbekend (wat kan een kind straks wel of niet?) - Onbekend hoe de prijs tot stand is gekomen. - Hoge kosten - Doelgroep wordt groter met de jaren (kinderen blijven langer in leven) - Kinderen blijven zorgbehoefstig - Grote belasting voor het kind & de ouders.

Overig: Men vond dit een lastige casus en er werd gesproken over een ethisch dilemma:

- Levert behandeling een menswaardig bestaan op?
- Kun je een kind behandeling onthouden – perspectief van de ouder
- Wat is de kwaliteit van het levenseinde – hoe bereikt een kind zijn levenseinde. Overlijdt deze omdat bijvoorbeeld de ademhalingspijpen uiteindelijk niet meer werken?
- Wat is de kwaliteit van leven na behandeling?
- Wat is de impact om het leven van de ouders? En wie zorgt en is verantwoordelijk voor het kind als de ouders overlijden?

Eerste verdieping

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	6		

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Genezing is mogelijk • Goedkoper dan basiscasus. • Geen extra, additionele zorg meer nodig	

Overig:

Groep 4

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Twijfel
Aantal stemmen	2	2	2

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Het gaat om een kinderleven (c.q. onvoltooid leven) • Een geneesmiddel dat je een kind niet mag onthouden ("niet laten creperen") • Betere kwaliteit van leven (in dit geval: minder snelle verslechtering) • Allereerste medicijn voor deze aandoening	• Wil je een kind deze behandeling wel aandoen? (gezien zwaar en langer traject voordat het sterft) • Beperkte verbetering van kwaliteit van leven • Belasting van ouders • Maatschappelijk kosten • Niet genezend, niet levensreddend • Valse hoop • Geneesmiddel te vroeg op de markt; vergt doorontwikkeling alvorens het in te zetten en te vergoeden

Eerste verdieping:

niet behandeld

Casus 5: Leukogen bij de behandeling van metachromatische leukodystrofie (MLD)

Groep 1

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	6		

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
• Impact op de omgeving en arbeidsproductiviteit • Het gaat om kinderen • Klein aantal patiënten • Relatief lage budget impact • Groot effect • Prijsafpraak met fabrikant geeft een soort garantie	• Onzekerheid effect • Relatieve hoge kosten per gewonnen levensjaar • Als het niet aanslaat zijn er nog steeds hoge kosten

Overig: -

Groep 2

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	2	3	

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
- Het gaat om een kleine groep - De behandeling is eenmalig - Het gaat om kinderen - Het gaat om de enige optie - Het is goed dat er afgesproken kan worden om niet te betalen als het niet werkt - Het is acceptabel als je het op tijd kunt geven met resulterende kwaliteit van leven	- Onduidelijk of screening mogelijk is om de ziekte te voorkomen - Prijs per patient is hoog - Mogelijk betere investeringen mogelijk - Geen vertrouwen in de prijsafspraken - Als je het middel niet op tijd kunt geven leidt dit mogelijk tot onvoldoende kwaliteit van leven - Kwaliteit van leven van de ouders - Diagnose zal waarschijnlijk relatief laat zijn op basis van hoe het huidige zorgsysteem werkt - Het gaat om een kleine groep

Overig: -

Groep 3

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Ik vind de voorgestelde prijs te laag
Aantal stemmen	3	3	

* Twee deelnemers twijfelden of tussen ik vind de voorgestelde prijs acceptabel en ik vind de voorgestelde prijs te hoog. Zij zijn hierboven verdeeld over de antwoordcategorieën.

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
Bij vroegtijdige symptoom signalering: er moet nog voldoende kwaliteit van leven zijn Het betreft een kleine groep - Als achteruitgang van de aandoening daadwerkelijk wordt gestagneerd - Het gaat om een erfelijk ziekte - Zonder medicatie gaan kinderen dood Het is een eenmalige behandeling Als het effect van de behandeling tientallen jaren behouden blijft: gunstige kosteneffectiviteit - Het betreft kinderen.	Focus verleggen naar preventie, voorlichting en onderzoek – als het mogelijk is om op de aandoening te testen - Investeren in onderzoek om aandoening te voorkomen - Het betreft een kleine groep - Inzetten op ‘crowdfunding’ - Onzekerheid over het effect op de lange termijn.

Overig: -

Groep 4

Basis

	Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel	Ik vind de voorgestelde prijs te hoog	Twijfel
Aantal stemmen	3	2	1

Overwegingen vóór vergoeding tegen voorgestelde prijs	Overwegingen tegen vergoeding tegen voorgestelde prijs
- Het gaat om een ernstige aandoening - Het gaat om kinderen - Slechts 2 gevallen per jaar “No cure no pay”-regeling lijkt geschikt, al roept het vragen op (zoals wie bepaalt dat? Wat zijn de criteria? Zou dit bijdragen aan doorontwikkeling van het geneesmiddel?) - Behandeling heeft een positieve invloed op de omgeving van de patiënt, met name de ouders	- Voorkomen van prece-dentwerking (voor andere medicijnen) - Bestaande onduidelijkheid over de werkzaamheid van het middel “Niet alles is maakbaar” - d.w.z. soms moet je accepteren dat ziekte niet te genezen is en de patiënt zal overlijden

Overig: -

Bijlage C1 Samengevatte stemresultaten van de bespreking van de vijf casussen

Casus			Acceptabel *	(%)**	Te hoog	(%)	Twijfel
1	Ecomab bij paroxismale nachtelijke hemoglobininurie (PNH)						
	Basis						
		Groep 1	3		2		
		Groep 2			6		
		Groep 3	2		4		
		Groep 4	4		1		1
		Totaal	9	39%	13	57%	1
	Eerste verdieping						
		Groep 1			5		
		Groep 2			6		
		Groep 3			6		
		Groep 4	4		2		
		Totaal	4	17%	19	83%	0
2	Oncomab voor de tweedelijs-behandeling van niet-kleincellige longkanker (NSCLC)						
	Basis						
		Groep 1	2		4		
		Groep 2	3		3		
		Groep 3			4		2
		Groep 4	5		1		
		Totaal	10	42%	12	50%	2
	Eerste verdieping						
		Groep 1	0		6		
		Groep 2	0		6		
		Groep 3			6		
		Groep 4	5		1		
		Totaal	5	21%	19	79%	0
	Tweede verdieping						
		Groep 1	0		6		
		Groep 2	nvt		nvt		
		Groep 3	nvt		nvt		
		Groep 4	nvt		nvt		
		Totaal	0		6		0
3	Obetide voor gewichtsbeheersing bij volwassenen met obesitas of overgewicht						
	Basis						
		Groep 1	2		4		
		Groep 2	1		5		
		Groep 3	5		1		
		Groep 4	6		0		

Casus			Acceptabel *	(%)**	Te hoog	(%)	Twijfel
		Totaal	14	58%	10	42%	0
	Eerste verdieping						
		Groep 1	0		6		
		Groep 2	1		5		
		Groep 3	5		1		
		Groep 4	5		1		
		Totaal	11	46%	13	54%	0
4	Spinamab voor de behandeling van spinale musculaire atrofie (SMA)						
	Basis						
		Groep 1	3		3		
		Groep 2	4		1		
		Groep 3	1		5		
		Groep 4	2		2		2
		Totaal	10	44%	11	48%	2
	Eerste verdieping						
		Groep 1	nvt		nvt		
		Groep 2	5		0		
		Groep 3	6		0		
		Groep 4	nvt		nvt		
		Totaal	11	100%	0		0
5	Leukogen bij de behandeling van metachromatische leukodystrofie (MLD)						
	Basis						
		Groep 1	6		0		
		Groep 2	2		3		
		Groep 3	3		3		
		Groep 4	3		2		
		Totaal	14	64%	8	36%	0

* = de vraagstelling luidde telkens: 'Ik vind de voorgestelde prijs acceptabel' etc.

** = bij de berekening van de percentages is het aantal respondenten in de categorie 'twijfel' niet meegenomen

nvt: verdieping niet behandeld in de desbetreffende groep

Bijlage D Resultaten Oefening 1 – 'Sticker oefening'

In de rapportage van deze oefening zijn in de kolommen het aantal blauwe stickers ('ik vind dit overweging zeer belangrijk') en het aantal groene stickers ('ik vind dit overweging belangrijk') weergegeven die de deelnemers geplakt hebben. Tevens is in de laatste kolom een totaalscore berekend waarbij het aantal blauwe stickers twee punten kreeg en het aantal groene stickers een enkel punt. Op basis van deze oefening is er een verdere selectie van overwegingen van overwegingen gemaakt waarbij overwegingen met een score van, in totaal, twee of minder punten zijn afgevallen en niet meer zijn meegenomen in verdere oefeningen. Dit waren in totaal negen overwegingen.

A. De aandoening

"Ik vind dat de prijs die we als maatschappij willen betalen voor een geneesmiddel zou moeten afhangen van ..."

	Zeer belangrijk	Belangrijk	Totaal
De ernst van de aandoening (of deze mild, ernstig of levensbedreigend is)	8	3	19
De leeftijd van patiënten (of het gaat om kinderen, ouderen of andere leeftijdsgroepen)	2	3	7
De invloed van leefstijl (of ongezond gedrag mogelijk van invloed is geweest op het ontstaan van de aandoening; of de aandoening de patiënt overkomt)	1	5	7
Het aantal patiënten dat door de aandoening wordt getroffen (of het om een zeldzame of een vaak voorkomende aandoening gaat)	1	5	7
Of er andere behandelingen beschikbaar zijn	3	5	11

B. De behandeling

"Ik vind dat de prijs die we als maatschappij willen betalen voor een geneesmiddel zou moeten afhangen van ..."

	Zeer belangrijk	Belangrijk	Totaal
De mate waarin behandeling invloed heeft op de kwaliteit van leven van de patiënt	9	8	26
De mate waarin behandeling invloed heeft op het welbevinden van mensen in de directe omgeving van de patiënt	0	0	0
Of behandeling voorkomt dat een patiënt overlijdt	4	4	12
Of behandeling de aandoening helemaal kan genezen	2	5	9
De duur van levensverlenging	4	10	18
Onzekerheid over de effectiviteit van behandeling (op korte termijn en/of op lange termijn)	1	8	10
De ernst van eventuele bijwerkingen	0	2	2
Onzekerheid over de veiligheid van de behandeling op lange termijn	0	4	4
Gebruiksgemak voor de patiënt	0	0	0
De duur van behandeling (of de behandeling eenmalig is, of voor een bepaalde periode of levenslang)	0	8	8
Of behandeling helpt in het voorkómen van andere aandoeningen	3	4	10
Of behandeling het geld waard is in vergelijking met andere opties (=kosten-effectiviteit)	2	2	6

B. De behandeling - vervolg

“Ik vind dat de prijs die we als maatschappij willen betalen voor een geneesmiddel zou moeten afhangen van ...”

	Zeer belangrijk	Belangrijk	Totaal
Of behandeling wordt ingezet voor de juiste groep patiënten	0	2	2
Of het acceptabel is voor de patiënt en de omgeving om behandeling te ondergaan	0	1	1
Of een medische oplossing wenselijk is voor de aandoening	1	1	3
Of het geneesmiddel ook bij andere aandoeningen kan worden ingezet en er daarmee meer patiënten geholpen kunnen worden	0	5	5
Of behandeling ervoor zorgt dat de patiënt weer mee kan doen in de samenleving, bijvoorbeeld via werk of sociale activiteiten	4	8	16

C. De prijsstelling van het geneesmiddel

“Ik vind dat de prijs die we als maatschappij willen betalen voor een geneesmiddel zou moeten afhangen van ...”

	Zeer belangrijk	Belangrijk	Totaal
Of de fabrikant een eerlijke winst maakt op het geneesmiddel	1	5	7
Of het gaat om een geheel nieuw geneesmiddel of om een bestaand middel waarvoor slechts kleine aanpassingen zijn gemaakt	0	4	4
Of de ontwikkelkosten van het geneesmiddel nog niet zijn terugverdiend	0	0	0
Of het transparant is hoe de prijs van het geneesmiddel is opgebouwd	4	7	15
Of de fabrikant de winst gebruikt om het geneesmiddel verder te ontwikkelen	1	3	5
Of het geneesmiddel alleen bij deze aandoening kan worden gebruikt, waardoor de fabrikant de ontwikkelkosten niet kan terugverdienen via de inzet van dit middel voor de behandeling van andere aandoeningen	0	0	0
Of de prijs van het geneesmiddel verschilt met de prijs die wordt gehanteerd in het buitenland	1	2	4
Of er onderhandeld is over vergoeding op voorwaarde dat het middel werkt	1	4	6

D. De impact op het zorgsysteem en de maatschappij

“Ik vind dat de prijs die we als maatschappij willen betalen voor een geneesmiddel zou moeten afhangen van ...”

	Zeer belangrijk	Belangrijk	Totaal
Of de jaarlijkse uitgaven aan vergoeding van dit geneesmiddel een grote hap nemen uit het totale zorgbudget (=budget impact)	3	3	9
Onzekerheid hoe de totale uitgaven aan het geneesmiddel uitpakken, nu en in de toekomst	0	2	2
Of de totale uitgaven aan het geneesmiddel ertoe leiden dat er geen of minder geld beschikbaar is voor andere zorg	1	4	6
Of er een goede balans is tussen wat er wordt uitgegeven aan behandeling en het voorkómen van de aandoening	3	2	8
Of iedereen die het geneesmiddel nodig heeft het ook echt kan krijgen	2	5	9
Of het geneesmiddel ook bij andere aandoeningen kan worden ingezet waardoor er een grote impact is op het zorgbudget	0	2	2
Of gebruik van het geneesmiddel zorgt voor andere zorgkosten of juist besparingen binnen de zorg	4	7	15
Of gebruik van het geneesmiddel geld bespaart buiten de zorg (bijvoorbeeld lagere ziekte-uitkeringen, minder arbeidsongeschiktheid)	3	9	15

Bijlage E Belangrijkste 16 overwegingen

Op basis van de resultaten van oefeningen 1 en 2 is een selectie gemaakt van de 16 belangrijkste overwegingen, die tevens een korte benaming hebben gekregen (zie tweede kolom in de onderstaande tabel). De methodologie voor deze selectie is als volgt:

- **Selectie op basis van oefening 2**

Alle overwegingen met een percentage van meer dan 70% in oefening 2 zijn geselecteerd, wat resulteerde in een totaal van 15 overwegingen.

- Harmonisatie van overlappende overwegingen:

- Van deze 15 overwegingen behandelen D4 en B11 beide het thema preventie. Om overlap te voorkomen, is D4 verwijderd.

- **Aanvulling vanuit oefening 1:**

Een vergelijking tussen de resultaten van oefening 1 en oefening 2 liet zien dat twee overwegingen met relatief hoge scores in oefening 1 anders zouden wegvallen. Dit betreft:

- B6 ('onzekerheid effectiviteit'), dat op plek 11 stond in oefening 1.
- D1 (over 'totale zorgkosten'), dat op plek 12 stond in oefening 1.

Om de balans tussen beide oefeningen te waarborgen, zijn deze twee overwegingen toegevoegd aan de selectie.

Hiermee komt de uiteindelijke selectie uit op 16 belangrijkste overwegingen, gerangschikt per domein in de onderstaande tabel. Deze is vervolgens als onderdeel van het burgerstandpunt voorgelegd aan de deelnemers en door hen akkoord bevonden.

Code	Naam	Overweging	(Sterk) mee oneens	Neutraal	(Sterk) mee eens
De aandoening					
A1	Ernst	De ernst van de aandoening (of deze mild, ernstig of levensbedreigend is)	0%	9%	91%
A5	Beschikbaarheid alternatieve behandeling	Of er andere behandelingen beschikbaar zijn	0%	9%	91%
De behandeling					
B1	Winst in kwaliteit van leven	De mate waarin behandeling invloed heeft op de kwaliteit van leven van de patiënt	0%	9%	91%
B12	Kosten versus baten	Of behandeling het geld waard is in vergelijking met andere opties (=kosteneffectiviteit)	4%	4%	91%
B17	Maatschappelijke neveneffecten	Of behandeling ervoor zorgt dat de patiënt weer mee kan doen in de samenleving, bijvoorbeeld via werk of sociale activiteiten	4%	9%	87%
B3	Levensreddend	Of behandeling voorkomt dat een patiënt overlijdt -	4%	22%	74%
B11	Preventie	Of behandeling helpt in het voorkómen van andere aandoeningen	9%	17%	74%
B5	Lengte van levenswinst	De duur van levensverlenging	9%	18%	73%
B6	Onzekerheid effectiviteit	Onzekerheid over de effectiviteit van behandeling (op korte termijn en/of op lange termijn)	18%	41%	41%
De prijsstelling					
C2	Nieuwe ontwikkeling	Of het gaat om een geheel nieuw geneesmiddel of om een bestaand middel waarvoor slechts kleine aanpassingen zijn gemaakt	9%	14%	77%
C4	Transparantie	Of het transparant is hoe de prijs van het geneesmiddel is opgebouwd	9%	17%	74%
C5	Gebruik winst voor doorontwikkeling	Of de fabrikant de winst gebruikt om het geneesmiddel verder te ontwikkelen	4%	22%	74%
Impact op zorgsysteem & maatschappij					
D7	Neveneffecten op zorgkosten	Of gebruik van het geneesmiddel zorgt voor andere zorgkosten of juist besparingen binnen de zorg	4%	4%	91%
D3	Verdringing van andere zorg	Of de totale uitgaven aan het geneesmiddel ertoe leiden dat er geen of minder geld beschikbaar is voor andere zorg	5%	9%	86%
D5	Gelijke toegang	Of iedereen die het geneesmiddel nodig heeft het ook echt kan krijgen	0%	17%	84%
D1	Totale zorgkosten	Of de jaarlijkse uitgaven aan vergoeding van dit geneesmiddel een grote hap nemen uit het totale zorgbudget (=budget impact)	17%	17%	65%

Tabel 2: De 16 belangrijkste overwegingen, per domein

Bijlage F Resultaten Oefening 3 – 'Prioritering van casussen'

Voorafgaand aan deze oefening gaf een van de moderatoren een overzicht van de vijf besproken casussen; zie tabel hieronder.

Casus	1 Ecomab	2 Oncomab	3 Obetide	4 Spinamab	5 Leukogen
Aantal patiënten per jaar	75	1.230 tot 2.295 patiënten	Mogelijk €4,2 miljoen (onzeker)	240 bestaande; 17-20 nieuwe patiënten	2
Kosten per patiënt per jaar	€300.000 per jaar	€75.000 per behandeling	€2.750 met mogelijk levenslang gebruik	In het 1e jaar €500.000 Vanaf het 2e jaar €250.000	€3 miljoen (eenmalig)
Totale jaarlijkse uitgaven	€27 miljoen	Tussen €46 miljoen en €86 miljoen	Mogelijk €1.300 miljoen (onzeker)	€64 miljoen	€6 miljoen
Gemiddelde kosten per patiënt gedurende zijn/haar leven	€15 miljoen	€100.000	Onbekend	Afhankelijk van de overlevingsduur lopen de kosten van behandeling in de miljoenen	€3 miljoen
Geschatte kosten voor één gewonnen levensjaar in goede gezondheid	€500.000	€113.000	Geen betrouwbare schatting beschikbaar	Tussen €600.000 en €1.700.000	€350.000
Informatie over prijsstelling door de fabrikant	Onbekend	Onbekend	Onbekend	Onbekend, maar hoge prijs deels toegeschreven aan kosten voor onderzoek en ontwikkeling	Onbekend, maar fabrikant bereid om vertrouwelijk inzicht te geven in ontwikkelkosten

Vraag 1:

Welke casus zou je als eerste willen laten afvallen?

En waarom?

Vraag 2:

Welke casus heeft voor jou de hoogste prioriteit?

En waarom?

Casus	Zou als eerste mogen afvallen	Hoogste prioriteit
1 Ecomab bij PNH	-	7x
2 Oncomab bij NSCLC	11x	5x
3 Obetide bij diabetes en ernstig overgewicht	6x	2x
4 Spinamab bij SMA	3x	3½ x
5 Leukogen bij MLD	3x	5½ x
TOTAAL	23	23

Uitslag van de stemming onder 23 deelnemers

Uitgesproken argumenten mbt vraag 1

Casus 1:

door geen van de deelnemers aangewezen als behandeling die als eerste zou kunnen afvallen.

Casus 2:

- “Een beetje cru gezegd: de patiënten die behandeld worden gaan uiteindelijk toch dood aan deze aandoening.”
- “Ik heb het zelf meegemaakt in mijn directe omgeving, en die persoon was binnen drie maanden al weg; er zou echt meer aandacht moeten zijn voor preventie van roken, zodat mensen ermee kunnen stoppen. Het ligt natuurlijk niet altijd aan roken, maar voor het grootste gedeelte wel.”
- “Het gaat vooral om oudere mensen, en daarbij is het resultaat niet erg groot: zowel het aantal extra levensmaanden is beperkt, als ook de kwaliteit van de iets langere levensduur, omdat er vaak ook sprake is van onderliggende klachten.”
- “Mensen zijn sowieso niet te genezen; het lijkt vooral een kwestie van het levenseinde een beetje rekken.”

Casus 3:

- “We zouden eerst moeten inzetten op preventie voordat we geld gaan besteden aan dure medicatie. Dus meer geld gebruiken voor preventie onder mensen die nu nog niet in deze categorie vallen.”
- “Er wordt een enorme toename verwacht van obesitas, en daarmee ook een toename in het gebruik van dit middel: de kosten in de toekomst zijn gigantisch en niet op te brengen.”
- “Het geld dat hiermee is gemoeid leidt mogelijk tot verdringing van andere zorg; met de kosten die je hier bespaart kun je veel andere vormen van zorg verlenen.”
- “Je weet ook niet zeker of je dit middel levenslang zou gaan gebruiken, waardoor de kosten alleen maar zouden blijven groeien.”
- (uitspraak van een deelnemer die zelf momenteel Ozempic gebruikt:) “De kosten zijn enorm, zoals door mijn voorganger daarnet ook al werd gezegd. Ondanks dat het mijzelf niet erg lukt (om af te vallen), denk ik toch dat er heel veel andere manieren zijn om aan dit probleem te werken tegen duidelijk veel lagere kosten.”
- “Het is (vaak) een kwestie van eigen verantwoordelijkheid; preventie is hier in allereerste instantie noodzakelijk.”
- “De aandoening is niet direct levensbedreigend; dat kan het natuurlijk wel worden, op termijn. Anderzijds, ...”
- “... er zijn mensen die al heel lang hun best doen om dit (gewichtsvermindering) voor elkaar te krijgen, en het lukt hen maar niet: die mensen gun ik dit middel wel.”

Casus 4:

- “Moet je kinderen die door deze aandoening worden getroffen dit wel aandoen; het is maar voor zo’n korte tijd die ze nog extra te leven hebben.”
- “Ik vraag me sterk af of je dit moet willen, zowel voor de ouders als voor het kind. Het gaat om een hele zware behandeling en het is maar voor korte tijd levensverlengend.”
- “De geringe verbetering in de kwaliteit van leven wil ik mee laten wegen.”

Casus 5:

- “Ik vraag me sterk af of je een dergelijke behandeling wel zou moeten willen.”
- “Het is heel erg duur, dus deze valt voor mij af.”

Opmerking: twee deelnemers twijfelden tussen casus 4 en 5.

Uitgesproken argumenten mbt vraag 2

Casus 1:

- “De aandoening treft vooral jongvolwassenen, die nog een heel leven voor zich hebben.”
- “Het gaat om een heel beperkte ingreep.”
- “Het geneesmiddel verbetert de kwaliteit van leven: het biedt mensen de kans op een eigen leven, en op volwaardige deelname aan de maatschappij. Mensen kunnen gewoon werken.”
- “Dat het om jongvolwassenen gaat is voor mij belangrijk: met behandeling zijn deze mensen in staat om voor kinderen te zorgen, en ook voor ouderen.”
- “Voor mij is die betere kwaliteit van leven een belangrijke factor: mensen die deze behandeling krijgen hebben geen bloedtransfusies meer nodig.”
- “Het treft je, je kunt zelf niks doen aan het ontstaan van deze aandoening. Deze mensen hebben hier geen schuld aan.”
- “Ik twijfel tussen deze casus en Casus 5: om pragmatische reden kies ik hier toch voor de behandelingskansen van een groter aantal mensen, in dit geval jongvolwassenen, in plaats van de behandeling van twee kinderen.”

Casus 2:

- "Hier gaat het om het grootste aantal patiënten per jaar, namelijk 13 duizend. Dat is een enorm groot aantal en voor hen is het nodig om goede zorg te verlenen."
- "Ik heb in mijn eigen familie- en kennissenkring twee mensen die aan longkanker zijn overleden, terwijl ze nooit hadden gerookt. Ik vind het jammer dat de aandoening vaak één-op-één wordt toegeschreven aan roken, terwijl dat niet altijd de verklarende factor is."
- "Ofschoon het geneesmiddel niet genezend is, biedt het duidelijk meer verbetering van de kwaliteit van het resterende leven; mensen voelen zich fitter; bij een chemokuur is dit heel wat anders."

Casus 3:

- "Obesitas is een groot probleem, en wordt nog een veel groter probleem in de toekomst. Behoud van kwaliteit van leven in de toekomst, daar moeten we aan werken."
- Als de ouders obesitas hebben dan wordt dat vaak weer aan de kinderen doorgegeven; obesitas gaat door, van generatie op generatie."
- "Relatief zijn de kosten per patiënt heel redelijk, alleen gaat het om een grote groep mensen dus daardoor is het totaalbedrag wel groot."
- "Je kan wel leefstijl proberen te veranderen, maar dat gaat gewoon niet werken."

Anderzijds:

- "Inzet van dit geneesmiddel vermindert wel andere vormen van zorg, ..."
- "... en daarmee leidt het uiteindelijk misschien wel tot een kostenbesparing."

Casus 4:

- "Het betreft een eerste behandeling voor deze aandoening."
- "Er kunnen meer patiënten mee worden geholpen dan in casus 5."
- "Het middel biedt betere overlevingskansen."
- "Het treft niet zozeer kinderen ..."

- "Het bezorgt de kinderen die het treft een betere toekomst, als de aandoening tenminste snel gediagnosticeerd en behandeld wordt."

Casus 5:

- "Het gaat om kinderen: die moeten we iets bieden".
- "Het gaat om slechts twee nieuwe gevallen per jaar: daardoor zijn de jaarlijkse totale kosten beperkt".
- "Deze patiëntjes zijn nog veel zieker dan die in Casus 4."
- "Kinderen moet je sowieso helpen omdat ze nog maar aan het begin van hun leven staan."
- "Bij deze casus hebben de kinderen een betere kwaliteit van leven – bijvoorbeeld geen beademing nodig – en een langere levensverwachting dan in casus 4."
- "Deze optie is het goedkoopst (minst duur) en levert het meeste op."

Opm: twijfel bij twee deelnemers tussen casus 4 en 5: kosten zijn verschillend, ook het aantal patiënten is verschillend.

Bijlage G Resultaten Oefening 4 – Aanbevelingen van deelnemers

In deze oefening hebben deelnemers in vier groepen een reeks aanbevelingen gedaan aan de overheid, fabrikanten, medeburgers en behandelend artsen. Deze rapportage is een inventarisatie van deze aanbevelingen op basis van de *flipovers* en de mondelingen terugkoppeling van het groeps-werk in de plenaire sessie. De hoofdtekst van het eindrapport bevat een selectie van deze aanbevelingen en deze zijn aangegeven met een stip (•) als opsommingstekens. De overige aanbevelingen zien hier weergegeven met een pijl (>) als opsommingstekens.

Overheid

- **Plaats burgers centraal.** Zet bij keuzes in de gezondheidszorg het belang van burgers en de maatschappij als geheel altijd voorop. Hierbij gaat het om het garanderen van de betaalbaarheid van zorg en tegelijkertijd de toegankelijkheid van zorg voor iedereen.
- **Beperk de macht van fabrikanten.** Voer strengere regels in om prijsopdrijving tegen te gaan. Verplicht fabrikanten ertoe om duidelijk te maken wat de productiecosten en hun winsten zijn, en stel eerlijke winstmarges in.
- **Versterk communicatie.** Geef burgers duidelijke informatie over de kosten van dure medicijnen. Leg ook beter uit hoe ZIN werkt en dat het ministerie van VWS met fabrikanten onderhandelt over de prijzen van sommige geneesmiddelen, zodat er meer begrip ontstaat in de maatschappij.
- **Organiseer periodieke burgerraadpleging.** Voer gesprekken met burgers over thema's zoals hoge prijzen of beleidskeuzes rond specifieke medicijnen. Dit helpt te toetsen of besluiten aansluiten bij maatschappelijke voorkeuren.
- **Stimuleer preventieprogramma's.** Zet meer in op preventieve zorg om ziektes te voorkomen om zo hoge zorgkosten op lange termijn te verlagen.
- > **Moedig onderzoek naar goedkopere geneesmiddelen aan.** Investeer in onderzoek dat betaald wordt door de overheid. Dit kan helpen om de kosten van geneesmiddelen te verlagen, zodat het zorgbudget minder belast worden.
- > **Werk samen met Europese landen voor duidelijker beleid en lagere prijzen van geneesmiddelen.** Werk nauwer samen met Europese landen en organisaties om het beleid duidelijker en beter afgestemd te maken. Door gezamenlijk geneesmiddelen in te kopen, kunnen we een sterkere onderhandelingspositie creëren en de prijzen verlagen.
- > **Geef de ACP zelfstandig beslissingsrecht.** Overweeg om de ACP de mogelijkheid te geven om zelf beslissingen te nemen, zonder tussenkomst van de minister. Dit maakt de beslissingen minder gevoelig voor politieke druk en zorgt voor meer objectiviteit en vastheid.
- > **Beoordeel geneesmiddelen regelmatig opnieuw.** Laat ZIN niet alleen beoordelen welke geneesmiddelen worden vergoed, maar ook hoe deze in de praktijk werken. Beoordeel geneesmiddelen opnieuw als blijkt dat er twijfels zijn of als de uitkomsten van behandeling afwijken van de verwachtingen.
- > **Verzamel informatie over langetermijneffecten en veiligheid.** Onderzoek hoe veilig en effectief geneesmiddelen zijn op de lange termijn. Dit helpt om een beter beeld te krijgen van de werking van geneesmiddelen en mogelijke bijwerkingen.

Fabrikanten

- **Behoud de focus op het algemeen menselijk belang.** Zet bij alle bedrijfsactiviteiten de gezondheid en het welzijn van mensen centraal, en laat je minder drijven door winstbejag.
- **Garandeer maatschappelijk verantwoorde bedrijfsvoering.** Wees transparant over de prijsopbouw van geneesmiddelen, stel redelijke winstmarges vast om buitensporige prijzen te voorkomen en de zorg betaalbaar te houden. Herinvesteer minimaal 50% van de winst in onderzoek en ontwikkeling.
- **Aandeelhouders moeten hun maatschappelijke verantwoordelijkheid nemen.** Aandeelhouders en investeerders zouden meer aandacht moeten besteden aan de maatschappelijke gevolgen van winstbejag in de farmaceutische industrie in plaats van uitsluitend te streven naar winstmaximalisatie. Ze zouden hun invloed moeten inzetten om fabrikanten te stimuleren tot een maatschappelijk verantwoorde bedrijfsvoering.
- > **Werk samen voor betere behandelingen.** Stimuleer samenwerking tussen farmaceutische bedrijven om sneller tot nieuwe behandelingen te komen, waarbij gebruik wordt gemaakt van gedeelde kennis en middelen.

- > **Produceer in lagelonenlanden, met inachtneming van kwaliteitsbewaking.** Overweeg productie van geneesmiddelen in lagelonenlanden om productiekosten te beperken, maar zorg voor strikte kwaliteitscontrole om veiligheid en effectiviteit te waarborgen.
- > **Onderzoek lange termijneffecten en kostenreductie bij doorontwikkeling.** Voer langlopend onderzoek uit naar de effectiviteit en veiligheid van geneesmiddelen op de lange termijn en garandeer prijsverlaging zodra een geneesmiddel is doorontwikkeld.
- > **Investeer in onderzoek naar de eventuele bijwerkingen van geneesmiddelen.** Implementeer systematische evaluaties om bijwerkingen van geneesmiddelen goed te monitoren en te controleren op betrouwbaarheid, waarbij openheid naar de samenleving vooropstaat.

Medeburgers

- Wees je bewust van de gevolgen als wij als maatschappij geen 'nee' durven te zeggen. Realiseer je dat het maken van keuzes in de zorg soms betekent dat dure behandelingen ten koste gaan van andere vormen van zorg die mogelijk waardevoller zijn. Het zorgbudget is niet oneindig, en zorg moet voor de maatschappij als geheel betaalbaar blijven.
- **Oordeel niet te snel, en informeer jezelf over besluitvorming in de zorg.** Lees je in over hoe beslissingen worden genomen over de vergoeding van dure geneesmiddelen. Het is complex en niet alle keuzes pakken voor alle partijen altijd goed uit. De overheid werkt er hard aan om voor iedereen goede zorg mogelijk te maken.
- **Erken dat de zorg in Nederland van hoge kwaliteit is:** Wees je bewust van de goede kwaliteit van zorg in Nederland, maar ook dat er grenzen zijn aan wat we kunnen uitgeven aan zorgkosten. Het helpt om reële verwachtingen te hebben over wat de zorg ons kan bieden.
- > **Beperk onnodig zorggebruik.** Gebruik de zorg bewust en raadpleeg een arts alleen als het echt nodig is. Dit kan helpen om de druk op het zorgsysteem te verminderen en de kosten voor iedereen beheersbaar te houden.
- > **Leef gezond en probeer ziekte zoveel mogelijk te voorkomen.** Zorg voor een gezonde levensstijl, niet

alleen ter preventie van ziekte en ongemak maar ook om de zorgkosten te beperken.

- > **Overweeg andere behandelingen.** Sta open voor verschillende behandelingsopties en bespreek deze met zorgverleners. Dit kan helpen om de best passende zorg te vinden die vaak ook nog kostenefficiënt is.
- > **Meld ongewenste bijwerkingen van geneesmiddelen.** Meld eventuele bijwerkingen van geneesmiddelen bij je arts of via erkende rapportagesystemen, zodat je bijdraagt aan optimale zorg en veiligheid voor iedereen.

Behandelend artsen

- **Leg bij behandeling de focus op behoud van de kwaliteit van leven.** Ga met ernstig zieke patiënten in gesprek over hun persoonlijke welzijn en kwaliteit van leven. Overweeg om behandelingen die weinig tot geen verbetering in de kwaliteit van leven bieden te vermijden, en om tijdig palliatieve zorg als alternatief aan te bieden.

Bijlage H Overwegingen in de enquête en resultaten

Categorie	Item	Overweging	Korte omschrijving
Aandoening	1	Als een geneesmiddel wordt ingezet bij patiënten met een ernstige aandoening, dan ben ik ...	Ernstige aandoening
Aandoening	2	Als er andere behandelingen beschikbaar zijn voor dezelfde patiëntengroep, dan ben ik ...	Alternatief beschikbaar
Aandoening	3	Als een geneesmiddel wordt ingezet ter behandeling van een zeldzame aandoening (klein aantal patiënten), dan ben ik ...	Zeldzame aandoening
Aandoening	4	Als een geneesmiddel wordt ingezet ter behandeling van een vaak voorkomende aandoening (groot aantal patiënten), dan ben ik ...	Vaak voorkomende aandoening
Aandoening	5	Als een geneesmiddel wordt ingezet bij een aandoening die vooral kinderen treft, dan ben ik ...	Aandoening bij kinderen
Aandoening	6	Als een geneesmiddel wordt ingezet bij een aandoening die vooral ouderen treft, dan ben ik ...	Aandoening bij ouderen
Aandoening	7	Als ongezond gedrag (leefstijl) mogelijk van invloed is geweest op het ontstaan van een bepaalde aandoening, dan ben ik ...	Leefstijlgerelateerd
Aandoening	8	Als een aandoening je simpelweg overkomt, zonder dat er sprake lijkt van enige invloed van leefstijl, dan ben ik....	Aandoening overkomt je
Behandeling	9	Als behandeling van een bepaalde aandoening een gunstige invloed heeft op de kwaliteit van leven van de patiënt, dan ben ik ...	Kwaliteit van leven
Behandeling	10	Als behandeling het geld waard is in vergelijking met de kosten en effecten van andere behandelopties (=kosteneffectiviteit), dan ben ik ...	Kosten versus baten
Behandeling	11	Als behandeling van een bepaalde aandoening ervoor zorgt dat de patiënt weer mee kan doen in de samenleving, bijvoorbeeld via werk of sociale activiteiten, dan ben ik ...	Maatschappelijke participatie
Behandeling	12	Als behandeling voorkomt dat een patiënt overlijdt, dan ben ik ...	Levensreddend
Behandeling	13	Als behandeling van een bepaalde aandoening helpt in het voorkómen van andere aandoeningen, dan ben ik ...	Preventie
Behandeling	14	Als behandeling van een bepaalde aandoening leidt tot een langere levensduur, dan ben ik ...	Lengte van levenswinst
Behandeling	15	Als behandeling met een bepaald geneesmiddel de aandoening helemaal kan genezen, dan ben ik ...	Volledige genezing
Behandeling	16	Als het gaat om een éénmalige of kortdurende behandeling van een bepaalde aandoening, dan ben ik ...	Korte behandeling
Behandeling	17	Als het gaat om een langdurige of zelfs levenslange behandeling van een bepaalde aandoening, dan ben ik ...	Langdurige behandeling
Behandeling	18	Als een medische oplossing wenselijk is voor een bepaalde aandoening, dan ben ik ...	Medische oplossing wenselijk
Behandeling	19	Als een bepaald geneesmiddel ook bij andere aandoeningen kan worden ingezet, en er daarmee meer patiënten geholpen kunnen worden, dan ben ik ...	Inzetbaar bij andere ziektes
Behandeling	20	Als er onzekerheid is over de effectiviteit van behandeling met een bepaald geneesmiddel (op korte termijn en/of op lange termijn), dan ben ik ...	Onzekerheid effectiviteit
Behandeling	21	Als er onzekerheid is over de veiligheid van de behandeling met een bepaald geneesmiddel op lange termijn, dan ben ik ...	Onzekerheid veiligheid
Prijstelling	22	Als het gaat om een geheel nieuw geneesmiddel (en dus niet of om een bestaand middel waarvoor slechts kleine aanpassingen zijn gemaakt), dan ben ik ...	Nieuw geneesmiddel
Prijstelling	23	Als het gaat om een bestaand geneesmiddel waarvoor kleine aanpassingen zijn gemaakt (en dus niet om een geheel nieuw geneesmiddel), dan ben ik ...	Kleine aanpassing medicijn
Prijstelling	24	Als het transparant is hoe de prijs van een bepaald geneesmiddel is opgebouwd, dan ben ik ...	Transparantie prijs

Categorie	Item	Overweging	Korte omschrijving
Prijsstelling	25	Als een fabrikant de winst op een bepaald geneesmiddel gebruikt om het product verder te ontwikkelen, dan ben ik ...	Gebruik winst voor doorontwikkeling
Prijsstelling	26	Als de prijs van een bepaald geneesmiddel een flink stuk hoger is dan de prijs die wordt gehanteerd in het buitenland, dan ben ik ...	Prijs hoger dan in buitenland
Prijsstelling	27	Als er onderhandeld is over vergoeding van een bepaald geneesmiddel, op voorwaarde dat het middel werkt, dan ben ik ...	Prijsafspraken naar effectiviteit
Prijsstelling	28	Als een fabrikant een eerlijke winst maakt op een bepaald geneesmiddel, dan ben ik ...	Eerlijke winst
Impact op maatschappij en zorg	29	Als gebruik van het een bepaald geneesmiddel leidt tot nog weer andere zorgkosten, dan ben ik ..	Extra zorgkosten elders
Impact op maatschappij en zorg	30	Als gebruik van een bepaald geneesmiddel leidt tot besparingen op andere vormen van zorg, dan ben ik ...	Kostenbesparing in zorg
Impact op maatschappij en zorg	31	Als de hoogte van de totale uitgaven aan een bepaald geneesmiddel ertoe zou kunnen leiden dat er minder geld beschikbaar is voor andere zorg, dan ben ik ...	Minder geld voor zorg
Impact op maatschappij en zorg	32	Als iedereen die een bepaald geneesmiddel nodig heeft het middel ook echt kan krijgen, dan ben ik ...	Toegang voor iedereen
Impact op maatschappij en zorg	33	Als er een goede balans is tussen wat er wordt uitgegeven aan behandeling met een bepaald geneesmiddel en het voorkomen van de aandoening, dan ben ik ...	Balans preventie en zorg
Impact op maatschappij en zorg	34	Als gebruik van een bepaald geneesmiddel geld bespaart buiten de zorg (bijvoorbeeld lagere ziekte-uitkeringen, minder arbeidsongeschiktheid), dan ben ik ...	Kostenbesparing buiten zorg
Impact op maatschappij en zorg	35	Als de jaarlijkse uitgaven aan vergoeding van een bepaald geneesmiddel een grote hap nemen uit het totale zorgbudget (=hoge budget impact), dan ben ik ...	Hoge zorguitgaven

Tabel H1. Overwegingen gepresenteerd in de enquête, met korte omschrijvingen

Item	Korte omschrijving	Oefening 1		Oefening 2	Oefening 3							
					Budgetimpact				Onzekerheid			
		Ge- mid- delde	SD	% in top 3	Ge- mid- delde	SD	Verskil met oefening 1	Cohen's d	Ge- mid- delde	SD	Verskil met oefening 1	Cohen's d
1	Ernstige aandoening	3,69	0,85	3%	3,59	0,89	-0,10	-0,12	3,36	0,99	-0,33	-0,36
2	Alternatief beschikbaar	2,72	0,98	2%	2,64	1,06	-0,08	-0,08	2,57	1,04	-0,15	-0,15
3	Zeldzame aandoening	3,34	0,97	3%	3,27	0,95	-0,07	-0,07	3,00	1,06	-0,34	-0,34
4	Vaak voorkomende aandoening	3,49	0,99	5%	3,33	1,02	-0,16	-0,16	3,14	1,01	-0,35	-0,35
5	Aandoening bij kinderen	3,82	0,92	10%	3,78	0,91	-0,04	-0,04	3,50	1,01	-0,32	-0,33
6	Aandoening bij ouderen	3,10	0,92	2%	2,98	0,92	-0,13	-0,14	2,89	0,97	-0,21	-0,22
7	Leefstijlgerelateerd	2,40	0,98	10%	2,38	0,99	-0,02	-0,02	2,30	1,03	-0,10	-0,10
8	Aandoening overkomt je	3,67	0,98	7%	3,49	0,98	-0,18	-0,18	3,38	1,01	-0,29	-0,29
9	Kwaliteit van leven	3,80	0,82	6%	3,65	0,87	-0,15	-0,17	3,54	0,94	-0,26	-0,30
10	Kosten versus baten	3,85	0,88	8%	3,74	0,88	-0,11	-0,12	3,45	0,98	-0,40	-0,43
11	Maatschappelijke participatie	3,87	0,83	7%	3,70	0,85	-0,16	-0,20	3,53	0,98	-0,34	-0,37
12	Levensreddend	3,77	0,94	9%	3,62	0,98	-0,16	-0,16	3,54	1,07	-0,23	-0,23
13	Preventie	3,77	0,83	3%	3,70	0,87	-0,07	-0,08	3,51	0,96	-0,26	-0,29
14	Lengte van levenswinst	3,68	0,88	4%	3,56	0,94	-0,12	-0,13	3,52	0,95	-0,16	-0,17
15	Volledige genezing	4,16	0,89	22%	4,08	0,93	-0,08	-0,09	3,88	1,02	-0,29	-0,30
16	Korte behandeling	3,60	0,93	3%	3,61	0,90	0,01	0,01	3,35	1,00	-0,25	-0,26
17	Langdurige behandeling	3,26	0,99	3%	3,08	1,02	-0,18	-0,18	2,94	1,10	-0,32	-0,31
18	Medische oplossing wenselijk	3,62	0,86	2%	3,51	0,92	-0,11	-0,13	3,37	0,94	-0,25	-0,28
19	Inzetbaar bij andere ziektes	3,83	0,88	8%	3,66	0,92	-0,16	-0,18	3,49	0,98	-0,33	-0,36
20	Onzekerheid effectiviteit	2,28	0,97	7%	2,23	1,03	-0,05	-0,05	2,25	1,08	-0,03	-0,03
21	Onzekerheid veiligheid	2,26	0,99	10%	2,23	1,07	-0,02	-0,02	2,18	1,06	-0,07	-0,07
22	Nieuw geneesmiddel	3,15	0,92	1%	3,05	0,95	-0,10	-0,11	2,87	1,02	-0,27	-0,28
23	Kleine aanpassing medicijn	2,80	1,02	4%	2,78	0,99	-0,02	-0,02	2,64	1,03	-0,16	-0,15
24	Transparantie prijs	3,56	0,93	3%	3,38	0,93	-0,19	-0,20	3,26	0,95	-0,30	-0,32
25	Gebruik winst voor doorontwikkeling	3,40	0,96	3%	3,37	0,92	-0,03	-0,03	3,26	1,00	-0,14	-0,14
26	Prijs hoger dan in buitenland	1,95	0,98	19%	2,02	0,99	0,07	0,07	1,96	1,04	0,01	0,01
27	Prijsafsprake naar effectiviteit	3,53	0,90	2%	3,36	0,94	-0,17	-0,19	3,28	1,02	-0,25	-0,26
28	Eerlijke winst	3,44	0,91	2%	3,31	0,95	-0,14	-0,15	3,09	0,99	-0,36	-0,38
29	Extra zorgkosten elders	2,31	0,88	6%	2,33	0,99	0,02	0,02	2,12	1,02	-0,18	-0,19
30	Kostenbesparing in zorg	3,63	1,01	5%	3,54	1,02	-0,09	-0,09	3,35	1,00	-0,27	-0,27
31	Minder geld voor zorg	2,48	0,92	3%	2,47	0,98	-0,01	-0,01	2,24	0,98	-0,24	-0,25
32	Toegang voor iedereen	3,70	0,87	4%	3,54	0,90	-0,15	-0,17	3,37	1,00	-0,33	-0,35
33	Balans preventie en zorg	3,67	0,85	3%	3,51	0,92	-0,16	-0,18	3,27	0,95	-0,40	-0,44
34	Kostenbesparing buiten zorg	3,65	0,92	6%	3,56	0,94	-0,08	-0,09	3,34	0,99	-0,30	-0,32
35	Hoge zorguitgaven	2,66	0,95	3%	2,55	0,93	-0,10	-0,11	2,35	1,02	-0,30	-0,31

Tabel H2. Resultaten van de enquête

Contact

Radboudumc
Geert Grooteplein Zuid 10
6525 GA Nijmegen
Telefoon algemeen (024) 361 11 11

www.radboudumc.nl/Burgerforum
www.maug.nl/maug/burgeronderzoek



Radboudumc