

Aanleiding

In 2006 zijn tijdens vergaderingen van de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen een aantal onderwerpen aan bod geweest die aanleiding zijn geweest voor het organiseren van een besloten debat (een zogenaemde Orphan topic) over zorgverzekeringen. Deze onderwerpen zijn:

- Diagnose Behandeling Combinaties (DBC's) en zeldzame ziekten, naar aanleiding van Orphan Topic
- Verevening van zeldzame ziekten; naar aanleiding van motie over verevening van zeldzame ziekte (15 december 2004) en vervolgens deelname van twee stuurgroepleden aan de VWS werkgroep over verevening van zeldzame ziekten.
- Betaalbaarheid/vergoeding van weesgeneesmiddelen; naar aanleiding van komst van nieuwe zorgverzekering en de beleidsregel weesgeneesmiddelen.
- Expertisecentra in Europa; naar aanleiding van rapport van de Werkgroep Reference Centres van Rare Disease Taskforce over kennisuitwisseling tussen expertcentra in Europa.

Een belangrijke vraag voor het debat was:

"Wat is verzekerde zorg, wat is de rol van zorgverzekeraars (en andere partijen) om 'te zorgen' voor mensen met zeldzame ziekten?" En kunnen DBC's en Verevening van zeldzame ziekten hierbij van betekenis zijn?

Er waren twee sprekers, voor de 'aftrap' van de discussie. Hieronder volgt een beknopte samenvatting van de presentaties en de discussie op hoofdlijnen.

Eerste spreker: de heer dr. B.P. Geerdes (Zorgverzekeraars Nederland)

De heer Geerdes legt uit dat zorgverzekeraars – sinds het nieuwe stelsel- (concurrerende) bedrijven zijn die waar mogelijk (extra) kosten willen beperken. Aan de andere kant stellen zij ook hun klanten (de verzekerde patiënt) centraal. En zullen daarom inspanningen leveren om kwalitatief goede en adequate zorg en behandeling voor hun verzekerden te organiseren.

Wanneer wordt gekeken naar de gemiddelde uitgaven in de curatieve sector, dan komen zeldzame ziekten niet direct bovendrijven. De meest kostbare ziekten voor verzekeraars zijn veel voorkomende aandoeningen zoals diabetes en depressie. De grootste kostenposten betreffen ziekenhuiszorg en farmaceutische zorg. Uiteraard zijn sommige patiënten met een zeldzame ziekte 'extreem' duur. Maar voor weesgeneesmiddelen met een handelsvergunning (zo'n 30 geneesmiddelen) levert de bekostiging tot op heden relatief weinig problemen op. Een weesgeneesmiddel komt in de meeste gevallen in het Geneesmiddelen Vergoedingssysteem (GVS) (extramuraal) of de beleidsregel dure en/of weesgeneesmiddelen (intramuraal) terecht. Helaas is voor de meeste zeldzame ziekten nog geen specifiek weesgeneesmiddel ontwikkeld, maar uiteraard worden deze mensen wel (vaak off-label) behandeld. Geerdes ziet wel mogelijkheden voor de hoge kostenverevening, die mogelijk is indien de extramurale kosten hoger zijn dan 12.500 euro. Dan kan 90% van de kosten worden verevend.

Belangrijk voor het leveren van goede zorg aan mensen met zeldzame ziekten zijn richtlijnen waarmee doelmatigheid en kwaliteit van zorg nagestreefd kan worden.

Ter illustratie hiervan dient het voorbeeld van het opstellen van de prestatie-indicatoren voor de DBC Cystic Fibrose¹ (CF). Bij het inkopen van deze DBC zijn kwaliteitscriteria geformuleerd waaraan een CF behandelcentrum moet voldoen. Patiëntenorganisatie en beroepsgroepen zijn bij het opstellen van deze

¹ CF is een zeldzame aandoening die ook wel bekend is als taaislijmziekte. Het is een ernstige aangeboren aandoening die (vooralsnog) niet te genezen is. De gemiddelde levensverwachting is momenteel ongeveer 40 jaar. In Nederland lijden zo'n 1300 mensen aan deze ziekte.

prestatie-indicatoren betrokken geweest. Van groot belang is dat bleek dat de levensverwachting na behandeling in een CF- centrum met 10 jaar toeneemt. Hiermee wordt een effect aangetoond van het centraliseren van expertise en werken volgens richtlijnen.

Knelpunt voor veel verzekeraars is dat door de keuzevrijheid van behandelaar, patiënten niet altijd in een van de door hen aangewezen (gecontracteerde) centra terechtkomen. En verzekeraars weinig tot geen instrumenten hebben om behandelaars en patiënt aan te sturen.

Tweede spreker: Mevr. dr. P. Evers (VSOP² en lid van het comité weesgeneesmiddelen, COMP)

Evers die deel heeft genomen aan de VWS werkgroep over de verevening van zeldzame ziekten, legt uit dat risico verevening een compensatie is voor de gemaakte kosten bij dure patiënten.

Ex-post is achteraf compenseren, ook wel hoge kostenverevening, die ook door Geerdes werd genoemd.

Voor de vooraf vastgestelde verevening (ex-ante) is getracht dit verder te ontwikkelen voor zeldzame ziekten. Van veel voorkomende ziekten zoals diabetes is een vereveningsbedrag vastgesteld. Dit gebeurt aan de hand van gegevens over ziektelast gebaseerd op het zorggebruik in het afgelopen jaar. Daarbij kijkt men naar de ziekenhuisontslagdiagnose/ICD code (de zogenaamde DKG systematiek) en naar het extramuraal geneesmiddelengebruik (FKG systematiek). Echter voor weinig zeldzame aandoeningen bestaat een ICD-classificatie of een DBC code. Dat bemoeilijkt opname in de DKG-systematiek.

Bovendien is er in veel gevallen nauwelijks sprake van zeer specifiek geneesmiddelengebruik voor de zeldzame aandoening en wordt de gehanteerde drempel van 10 miljoen euro meerkosten niet gehaald.

Dit bemoeilijkt opname in de FKG-systematiek.

Conclusie: De gebruikte methodiek van verevening is niet geschikt voor zeldzame aandoeningen.

Zeldzame aandoeningen zijn op individuele basis soms duur maar niet als totaal. Positieve uitkomst van de activiteiten van de werkgroep is dat de vereveningssystematiek voor meer voorkomende chronische aandoeningen zou kunnen worden aangepast om beter te kunnen definiëren wat de kosten zijn.

Mogelijkheden kunnen zijn om (in aanvulling op DKG en FKG) te kijken naar specialistische hulp, diëten, paramedische hulp en hulpmiddelen. Nader onderzoek naar de uitvoering hiervan is wenselijk.

Naast verevening kan het opstellen van kwaliteitseisen door patiëntenorganisaties en beroepsgroepen en onderhandelen daarover met verzekeraars een middel zijn om de kwaliteit van zorg te verbeteren. Goede afspraken over zorg kunnen besparingen opleveren: minder duplicaties, beter op elkaar afgestemd en een later ziektebeloop kan gunstig beïnvloed worden.

DISCUSSIE

In de discussie kwamen met name drie vragen aan bod:

1. Is het wenselijk dat de zorgverzekeraar een actievere rol krijgt ten aanzien van richtlijnenontwikkeling en verbeteren van kwaliteit van zorg? Met name voor expertisecentra voor zeldzame ziekten?
2. Wat kan worden geleerd van de eerste ervaringen met DBC's en welke rol kunnen DBC's (als instrument) in de toekomst voor zeldzame ziekten betekenen?
3. Wat kan worden geleerd van het onderzoek naar de verevening van zeldzame ziekten en wat betekent dat voor de toekomst?

1) Rol zorgverzekeraar

In het algemeen geven zorgverzekeraars aan inhoudelijk weinig kennis te hebben van de grote diversiteit van zeldzame ziekten. Er is dus zeker wel sprake van een kennisachterstand. Verzekeraars zullen daarom aandringen op het vastleggen van een behandelprotocol.

Duidelijk geworden is dat de baten voor veel zorgverzekeraars (zoals kwaliteit van zorg definiëren en richtlijnontwikkeling) ook ten gunste kunnen werken van patiënten. Dus dat 'de zorgverzekeraars' in het geval van CF in staat zijn geweest om adequate zorg in te kopen en te stimuleren dat volgens richtlijnen wordt gewerkt. Dit levert voor CF patiënten behandeld in een dergelijk centrum 10 jaar levenswinst op. Dit is een indrukwekkend voorbeeld.

² De VSOP (Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties) is een samenwerkingsverband van 57 ouder- en patiëntenorganisaties betrokken bij erfelijkheidsvraagstukken

Toch komen niet alle patiënten in een dergelijk centrum terecht. Patiëntenverenigingen en behandelaars hebben keuzevrijheid van behandelaar hoog in het vaandel staan. Er zijn soms ook praktische bezwaren vanuit de patiënt (bijvoorbeeld reizen) om af te zien van de behandeling in een expertisecentrum. De informatievoorziening richting de patiënt zou hier nog wel kunnen worden verbeterd. Vraag is wel of verzekeraars de aangewezen partij zijn om patiënten te informeren over het beste behandelcentrum.

Ondanks dat uiteraard ook patiëntenorganisaties voor zeldzame ziekten onderschrijven dat concentratie van behandeling leidt tot kwaliteitsverbetering, komen deze patiënten -volgens de verzekeraars- niet altijd in de juiste expertise centra terecht. Het *sturen* (door de verzekeraar) van behandelaars, maar met name ook van patiënten naar de goede plek levert in de groep deelnemers veel discussie op. Verzekeraars zouden in sommige gevallen, zoals het voorbeeld van CF best meer willen sturen maar hebben daar geen mogelijkheden toe. Zo kunnen ze bijvoorbeeld de betaling van de zorg niet weigeren als mensen in plaats van in gecontracteerd centrum A, in centrum B terechtkomen. Ook vanuit de voorschrijvers wordt de sturende rol van verzekeraars niet altijd positief beoordeeld. Een aantal deelnemers bevestigt dat dit ook een van de knelpunten is bij het opstellen van DBC's. Consensus bereiken kan heel moeizaam zijn, laat staan bij zeldzame ziekten waarover vaak nog meer discussie is over de juiste behandeling.

Gekeken kan worden naar andere ervaringen met expertisecentra voor andere zeldzame ziekten, zoals de ziekte van Gaucher. Hier zijn goede ervaringen opgedaan om de dagelijkse behandeling dicht bij de patiënt te laten (in het regionale ziekenhuis en de huisarts) en de periodieke controle in het expertcentrum. Ook is het mogelijk om de expertise te laten reizen in plaats van de patiënt. Deelnemers van de OT spreken uit dat het noodzakelijk is dat zorgverzekeraars bij het opstellen van kwaliteitscriteria behandelaars, wetenschappelijke verenigingen en patiëntengroepen betrekken. Daarbij dienen de wetenschappelijke verenigingen (en specialisten voor de specifieke aandoening) aan het roer te staan bij richtlijnen opstelling (inhoudelijk).

2) DBC

Een DBC kan het zorgpad in kaart brengen en daarmee helpen om behandeling van zeldzame aandoeningen inzichtelijk te maken. Verzekeraars kunnen wellicht zorggegevens uit hun computer halen. Op deze wijze zou (anoniem) voor bepaalde groepen zeldzame aandoeningen voorwerk kunnen worden gedaan voor het vaststellen van behandelrichtlijnen. Gegevens zouden kunnen worden verzameld over geneesmiddelen gebruik en bij welke specialisten is men geweest. Daarbij moet wel worden opgemerkt dat de landelijke medische registratie voor het berekenen van verevening van zeldzame ziekten ongeschikt is gebleken. Wat ook lastig blijft is om bewezen behandelrichtlijnen op te stellen. Over veel zeldzame ziekten zijn geen publicaties verschenen of zijn de patiënten niet in de tijd gevolgd om natuurlijk beloop en ervaringen met behandelingen vast te leggen. De betrokkenheid van meerdere (groepen) specialisten kan het vaststellen van uniforme behandelcriteria bemoeilijken.

3) Verevening

Verzekeraars zouden moeten worden geprikkeld om de zorg voor mensen met zeldzame ziekten te organiseren.

Uiteraard geldt voor veel zeldzame ziekten (met name stofwisselingsziekten) dat hoe eerder de diagnose is gesteld en behandeling kan worden ingezet hoe minder schade optreedt en hoge kosten achteraf moeten worden gemaakt. Een van de achterliggende redenen voor verevening van zeldzame aandoeningen is om risicoselectie tegen te gaan. Een van de geponeerde stellingen tijdens het debat is: 'hoe meer de patiëntenzorg is te sturen, hoe minder risicoselectie'

Bij geregistreerde weesgeneesmiddelen is de vergoeding over algemeen goed geregeld (GVS, beleidsregels) Maar bij off label use is dat anders. Sommige deelnemers opperen dat dergelijke geneesmiddelen kunnen worden verstrekt in het kader van wetenschappelijk onderzoek, daarmee komen de kosten ten laste van de academische component van het Universitair Medisch Centrum. Bovendien kan op deze wijze (bij geneesmiddelenonderzoek) informatie worden verzameld en dit kan helpen om richtlijnen op te stellen. Volgens verzekeraars rekenen ziekenhuis er te vaak op dat een

verzekeraar wel betaalt. Voor vergoeding van off-label use door de verzekeraar kunnen richtlijnen (en met name publicaties) helpen. Daarom is er een pleidooi dat behandelaars ervaringen met geneesmiddelen voor zeldzame ziekten (off label use) goed vastleggen.

Eind conclusies

- De belangrijkste reden om tot een onderzoek naar problemen in de voorziening van weesgeneesmiddelen te komen, was de zorg over mogelijke risicoselectie door verzekeraars op patiënten met een weesziekte. Positief is dat risicoselectie op dit moment geen issue blijkt te zijn. In januari 2006 is er helemaal niet geselecteerd, dus ook niet op (dure) zeldzame aandoeningen. Uiteraard moet dit wel gemonitord blijven (bijvoorbeeld via het NPCF meldpunt).
- DBC's voor zeldzame ziekten lijken niet realistisch. De DBC methodiek kan wel worden gebruikt voor het in kaart brengen van het behandeltraject.
- Verevening van zeldzame ziekten is, gezien het ontbreken van risicoselectie en de spreiding, niet noodzakelijk. De huidige vereveningsmethodiek lijkt bovendien ongeschikt voor zeldzame ziekten. De groepen zijn te klein en totale meerkosten te gering.
- Vroegtijdige diagnostiek van zeldzame ziekten zou kunnen worden verbeterd. Hoe eerder de diagnose is gesteld hoe sneller een behandeling zou kunnen starten. Late diagnostiek kan leiden tot meer gezondheidsschade, meer zorgconsumptie en hogere kosten.
- Er zijn voor zeldzame ziekten mogelijkheden om de kwaliteit van zorg te verbeteren en richtlijnen te ontwikkelen. Dit is een samenspel van wetenschappelijke verenigingen (behandelaars), patiënten en zorgverzekeraars. Uit de ervaringen met CF-centra blijkt dat grote winst kan worden geboekt door het centraliseren van de kennis over de ziekte en de behandeling. Met name van zeldzame ziekten. Concentratie van behandelingen in gespecialiseerde centra kan op dit moment uitsluitend op basis van vrijwilligheid van behandelaars (opgeven van behandelmogelijkheden buiten de centra) en bereidwilligheid van patiënten (opgeven van vrijheid van keuze van behandelaar).
- Sommige weesgeneesmiddelen blijven extreem duur, dit bevordert de beeldvorming niet.
- Bekostiging van niet geregistreerde geneesmiddelen voor indicaties met een voorkomen van meer dan 1: 150.000 of geregistreerde geneesmiddelen met beperkte vergoedingsindicaties (bijlage 2) maar niet geregistreerd voor de zeldzame indicatie, kunnen in de praktijk nog een probleem voor de behandeling van mensen met zeldzame aandoeningen vormen. Een suggestie is dat bekostiging kan worden gerealiseerd uit de academische component in het kader van (geneesmiddelenonderzoek). Zorgverzekeraars mogen deze kosten niet ten laste van de basisverzekering laten komen en kunnen dit uitsluitend uit "eigen vermogen" bekostigen. In het laatste geval dient wel zoveel mogelijk bewijslast te worden aangedragen. Het is daarom noodzakelijk dat de behandelaar zoveel mogelijk ervaringen met de behandeling van mensen met zeldzame ziekten vastlegt.
- Richtlijnen, protocollen en expertcentra zijn de toekomst voor de zorg (en behandeling voor zeldzame ziekten)
- Zorgverzekeraars kunnen een rol spelen in het contracteren van zorg

~~

Dit verslag is ontleend aan het debat over zorgverzekeringen en zeldzame ziekten 19/12/2006, te Den Haag.

Voorzitter

Dhr. R. Hendriks (voormalig Zorg en Zekerheid/AIM/ Stuurgroep Weesgeneesmiddelen).

Deelnemers

Dhr. J. van Dam (Menzis Zorg en Inkomen), mevr. P. Evers (VSOP & COMP), dhr. B. Geerdes (Zorgverzekeraars Nederland), mevr. E. Hackenitz (ZonMw/ E-rare), dhr. H. Hurts (ministerie VWS/GMT), mevr. J. Huizer (secretaris Stuurgroep Weesgeneesmiddelen), dhr. R. Jaspers (DBC onderhoud), mevr. N. Kien (St. Eerlijke Geneesmiddelenvoorziening & Biofarmind), dhr. B. Leufkens (Universiteit Utrecht Pharmacologie/voorzitter Stuurgroep Weesgeneesmiddelen), mevr. I. Lindhout (DBC onderhoud), dhr. H. Seeverens, (ministerie VWS/GMT), dhr. R. De Vruh (Orphan Product Developer/STIGON Weesgeneesmiddelen), mevr. S van Weely (Secretaris Stuurgroep Weesgeneesmiddelen), dhr. A. van der Zeijden (IAPO/Stuurgroep Weesgeneesmiddelen)