



NVTAG

Nederlandse Vereniging voor Technology Assessment in de Gezondheidszorg

Jaargang 21
November 2016

Inhoudsopgave

Van de bestuursafel	1
Jong-NVTAG Budget Impact analysis	3
KWF bijeenkomst	3
HTA in Nederland: EUnetHTA	3
Rapport economische evaluaties Jeugdzorgsector	4
Samenvattingen Proefschriften	
H. Blommestein; The added value of real-world evidence	5
R. Drost; Intersectoral costs and benefits of health interventions	7
T. Kanters; HTA of orphan drugs: the example of Pompe disease	9

Van de bestuursafel

Van de bestuursafel, NVTAG nieuws november 2106

Hello, goodbye! We hebben afscheid genomen, helaas. Afscheid van de zomer, van het aangename weer, lange avonden en heerlijk buiten vertoeven. Ik weet niet hoe het met u zit maar ik ben een zomermens. Ik maak één uitzondering en dat is de skivakantie. Alleen dan hou ik van kou en sneeuw, maar terug in Nederland moet het droog, warm en zonnig zijn. Helaas hebben we ook recent afscheid genomen van 2 bestuursleden van de NVTAG.

Allereerst van onze voorzitter Carin Uyl. Eind september dit jaar hebben we met het bestuur officieel afscheid van haar genomen, en heb ik met veel plezier de voorzittershamer - letterlijk - overgenomen. De afgelopen vijf jaar heeft Carin zich enthousiast ingezet voor een aantal vernieuwingen binnen de NVTAG. Om er een paar te noemen: onder haar voorzitterschap heeft een ledenraadpleging plaatsgevonden en heeft de NVTAG naar aanleiding daarvan een nieuwe koers ingezet. Om de leden beter te betrekken zijn een aantal werkgroepen gevormd die zich op ad hoc basis zullen inzetten op een aantal thema's, zoals o.a. onderzoek, onderwijs, actualiteiten, PR en communicatie en patiëntparticipatie. Daarnaast is Jong-NVTAG opgericht; deze dochter van onze vereniging richt zich op de jonge garde binnen de NVTAG, en heeft al een aantal interessante netwerkbijeenkomsten en symposia georganiseerd. Tenslotte kon een actualisatie van de NVTAG website niet achterblijven.

Ook heeft Michel van Agthoven na een periode van 5 jaar afscheid genomen van het NVTAG bestuur. Met zijn farma- en commerciële achtergrond wist hij het vuurtje binnen het bestuur flink op te stoken en is hij een belangrijke aanjager geweest bij het actualiseren van de missie, doelstellingen en activiteiten voor de NVTAG. Carin en Michel, bedankt!



Ondanks een aantal vernieuwingen in het bestuur wordt niet alles een daverend succes. Hoewel het zomersymposium vorig jaar veel belangstelling had, ontvingen we afgelopen zomer te weinig abstracts, en hebben we het abstractsymposium dat gepland was op 15 september jl. moeten cancellen. Dit betekende tevens dat de uitreiking van de MTA-prijs 2015 ook werd uitgesteld. De 3 genomineerde auteurs, Tim Benning, Hedwig Blommestein en Jorien Veldwijk moeten dus nog even geduld hebben.

Maar we zitten niet stil. Morgen (17 november) zal een Workshop budget impact analyse in Maastricht plaatsvinden, die in een vruchtbare samenwerking

tussen het Maastrichtse ISPOR student chapter en Jong-NVTAG tot stand is gekomen. Er is veel belangstelling voor deze workshop; het maximum aantal van 40 deelnemers is inmiddels bereikt.

Begin 2017 maken we een mooie start met een symposium over HPV screening en vaccinatie, waarbij we naast kosteneffectiviteit ook een aantal maatschappelijk-ethische kwesties met u willen bediscussiëren, waaronder de rol van de ouders en het vaccineren van jongens. We hopen dit middag-symposium met een abstract sessie in de ochtend te combineren, en uiteraard met de uitreiking van de MTA-prijs 2015. Verder zijn er concrete plannen om in het eerste kwartaal van 2017 samen met de VGE een symposium rondom het thema Value Based Health Care te organiseren. Voor ieder wat wils dus, en wij zullen u zo snel mogelijk de data per email doorsturen!!

Groeten van uw nieuwe voorzitter,

Carmen Dirksen

Jong-NVTAG - Budget Impact Analysis

Budget Impact Analysis – Why the hassle?

De laatste tijd zijn er veel ontwikkelingen rondom de budget impact analyse (BIA). Vragen die spelen zijn onder andere hoe je een goede BIA uitvoert en hoe je met de resultaten van een BIA besluitvorming kan beïnvloeden. Samen met het ISPOR student chapter Maastricht, organiseren we met de jong-NVTAG daarom op donderdag 17 november een cursus over de BIA, waarbij onder andere bovenstaande vragen aan bod zullen komen. Joost Enzing (Zorginstituut Nederland) en Mark Nuijten (A2M consultancy) zullen de cursus leiden en de achtergronden en mogelijkheden van de BIA met ons bespreken. Het belooft een interessante en leerzame bijeenkomst te worden, wat ook blijkt uit de inschrijvingen: de cursus zit inmiddels vol. We kijken uit naar de cursusdag!

KWF bijeenkomst

Het KWF heeft het afgelopen jaar een oproep geplaatst voor ideeën voor de toegankelijkheid en betaalbaarheid van oncologische geneesmiddelen. In reactie hierop heeft Carin Uyl de Groot namens de NVTAG een presentatie gehouden over het belang van HTA bij het beleid voor rondom nieuwe oncolytica, HTA bij de oncologische zorg en HTA bij zorg in het algemeen. Meer informatie hierover is te vinden in de bijlage.

HTA in Nederland

European network for Health Technology (EUnetHTA) – Wim Goettsch

71 partners from 44 countries are building a sustainable network of HTA assessments in Europe. In 2020 this network of joint assessments needs to be self-sufficient and durable. The network works together to help developing reliable, timely, transparent and transferable information to contribute to HTAs in European countries. We have divided the different targets within work packages, like joint assessment, evidence, evaluation, quality, implementation, dissemination. Implementation by the different countries is key the next four years.

EUnetHTA supports collaboration between European HTA organisations that brings added value at the European, national and regional level through

- facilitating efficient use of resources available for HTA
- creating a sustainable system of HTA knowledge sharing
- promoting good practice in HTA methods and processes.

Rapport economische evaluaties Jeugdzorgsector

Brede consultatie t.b.v. standaardisatie van economische evaluaties in de jeugdsector

Er is steeds meer interesse in de maatschappelijke impact van psychosociale interventies in de jeugdsector, zowel met betrekking tot kosten en kwaliteit van leven als resultaten van onderzoek. Een van de gevolgen van deze aandacht is de focus op economische evaluaties in de jeugdsector. Echter, de aanpak, methodieken en instrumenten die gebruikt worden voor economische evaluaties zijn ontwikkeld voor somatische zorg en grotendeels gericht op een volwassen doelgroep, waardoor het lastig is economische evaluaties in de jeugdsector uit te voeren.

Doel

In opdracht van en met financiering van het ZonMw-programma Effectief werken in de Jeugdsector hebben Carmen Dirksen (Maastricht UMC+) en Silvia Evers (Universiteit Maastricht) een brede consultatie uitgevoerd. Doel van de consultatie was om consensus te bereiken over de stappen die genomen moeten worden om tot een standaardisatie van economisch evaluatieonderzoek te komen binnen de jeugdsector. Uitkomsten van de consultatie zijn beschreven in dit rapport.

Standaardisatie

Het rapport geeft ZonMw handvatten om gezamenlijk met de 6 consortia uit het programma effectief werken in de jeugdsector uit te werken welke concrete stappen er nodig zijn om tot de standaardisatie van economisch evaluatieonderzoek te komen binnen de jeugdsector.



Dirksen C., Evers S. "Broad consultation as part of the standardization of economic evaluation research in the youth sector" Report, 2016 (ISBN 978-94-6228-772-3).

[link to report](#)

Samenvattingen Proefschriften

The added value of real-world evidence

Promovendus: Hedwig M. Blommestein
Promotoren: Prof. dr. Carin A. Uyl-de Groot
Prof. Dr. Peter C. Huijgens

Inleiding

Vanwege stijgende kosten moeten er keuzes gemaakt worden over het wel of niet vergoeden van een nieuwe behandeling. De belangen bij deze keuzes zijn echter groot en dienen zorgvuldig afgewogen te worden. Health technology assessment (HTA) kan de korte en lange termijn effecten van het vergoeden van een nieuwe technologie in kaart brengen door te kijken naar organisatorische, klinische, economische en patiënt gerelateerde aspecten.

Oorspronkelijk is HTA gebaseerd op gegevens van gerandomiseerde, gecontroleerde studies (RCTs). De generaliseerbaarheid van RCTs is echter beperkt en hierdoor is er een toenemende vraag naar gegevens uit de dagelijkse praktijk.

De waarde van deze gegevens, voor het nemen van vergoedingsbeslissingen, is echter nog niet onderzocht. In het proefschrift wordt de toegevoegde waarde van resultaten uit de dagelijkse praktijk geëvalueerd aan de hand van verschillende casussen van vormen van bloedkanker.

Organisatorische aspecten

Met behulp van gegevens uit de klinische praktijk was het mogelijk om gebruik en de toegankelijkheid van een duur geneesmiddel in kaart te brengen op nationaal en regionaal niveau. Uit verkoopcijfers bleek een lange aanpassingsperiode en het daadwerkelijke gebruik was lager dan verwacht. Daarnaast bleek het gebruik tussen regio's niet evenredig aan het aantal patiënten per regio.

Klinische aspecten

Er kon worden aangetoond dat geneesmiddelen niet alleen effectief waren in de gerandomiseerde setting maar ook bij patiënten in de klinische praktijk. Daarnaast was het mogelijk om behandelstrategieën te bestuderen met meerdere behandellijnen. Met behulp van een microsimulatiemodel kon een vergelijking gemaakt worden tussen behandelstrategieën in de dagelijkse praktijk en de optimale behandelstrategie. Deze vergelijking liet zien dat uitkomsten in de klinische praktijk verbeterd konden worden.

Economische aspecten

De daadwerkelijke kosten en kosten-effectiviteit van behandelingen en behandelstrategieën zijn berekend. Kostprijsberekeningen lieten zien dat de vergoedingstarieven onvoldoende waren om de daadwerkelijke kosten in de praktijk te dekken. De resultaten lieten ook zien dat voorzichtigheid geboden is met het samenvoegen van verschillende gegevensbronnen en het interpreteren en generaliseren van diverse kosten-effectiviteits ratio's.

Uitdagingen en aanbevelingen

In het proefschrift worden tevens de noodzakelijk stappen benoemd voor het uitvoeren van een goede economische evaluatie met klinische praktijkgegevens en het maken van

een microsimulatiemodel met meerdere behandellijnen. Afwezigheid van randomisatie, het ontbreken van gegevens en onvoldoende vergelijkbare patiënten worden als de belangrijkste methodologische uitdagingen geïdentificeerd. Multivariate regressiemodellen, propensity score matching en het combineren van meerdere databronnen zijn enkele methoden om de problemen aan te pakken die voortvloeien uit het niet randomiseren van behandelingen. De resultaten moeten echter wel anders worden beoordeeld dan de resultaten afkomstig uit gerandomiseerde studies.

Discussie

Met behulp van klinische praktijk gegevens is het mogelijk organisatorische, klinische en economische aspecten van HTA te evalueren en resultaten te krijgen die generaliseerbaar zijn. Het gebruik van deze gegevens brengt echter ook uitdagingen met zich mee. Voor het nemen van beslissingen over vergoedingen zijn zowel gegevens uit gerandomiseerde, gecontroleerde studies als gegevens uit de dagelijkse praktijk noodzakelijk. Tot nu toe is de invloed van resultaten uit de klinische praktijk beperkt. Het verbeteren van de toegankelijkheid en acceptatie van de resultaten is de belangrijkste uitdaging voor toekomstig onderzoek.

Datum promotie: 1 april 2016, Erasmus Universiteit Rotterdam

Intersectoral costs and benefits of health interventions: A change of perspective in economic evaluation

Promovendus: Ruben Drost
Promotoren: Prof. Silvia Evers en Prof. Dirk Ruwaard
Co-promotor: Dr. Aggie Paulus

Samenvatting

Voor economische evaluaties van gezondheidsinterventies die vanuit het maatschappelijk perspectief worden uitgevoerd is het van belang dat men niet alleen oog heeft voor het identificeren, meten en waarderen van kosten en baten binnen de gezondheidszorg, maar ook voor kosten en baten die in andere sectoren terecht komen. Vele interventies binnen de gezondheidszorg leiden tot deze kosten en baten in andere sectoren, ook wel 'intersectorale kosten en baten' (IKB'en) genoemd. Voor een optimale verdeling van schaarse goederen binnen de gezondheidszorg is inzicht in deze IKB'en van groot belang. Er is echter weinig bekend over deze IKB'en. De belangrijkste doelen van dit proefschrift waren daarom om 1) te onderzoeken hoe het maatschappelijk perspectief wordt geconceptualiseerd en geïnterpreteerd in economische evaluaties, alsmede te onderzoeken hoe IKB'en de resultaten van deze economische evaluaties bepalen, 2) methoden te ontwikkelen voor het identificeren, classificeren en waarderen van IKB'en en 3) deze methoden toe te passen binnen economische analyses van gezondheidsinterventies.

Resultaten laten zien dat er een grote verscheidenheid is in de manier waarop het maatschappelijk perspectief is geconceptualiseerd en geïnterpreteerd in economische evaluaties. Het gebruik van de term 'maatschappelijk perspectief' wordt vaak gehanteerd wanneer productiviteitskosten worden meegenomen in het onderzoek. Dit, terwijl andere IKB'en ook relevant kunnen zijn. Een analyse van trial-based evaluaties van interventies voor aandoeningen betreffende het bewegingsapparaat en psychische aandoeningen laat zien dat ook andere IKB'en van invloed zijn op de resultaten van economische evaluaties. Voor de identificatie en classificatie van IKB'en is een nieuw classificatieschema ontwikkeld. Het schema is gevalideerd op basis van semi-gestructureerde interviews met (inter)nationale experts in de brede aandachtsgebieden gezondheidsbevordering en ziektepreventie. Het bevat meer dan 70 IKB'en uit 52 studies, die zijn geclassificeerd in een van de vier volgende sectoren: "onderwijs", "arbeid en sociale zekerheid", "huishouden en vrije tijd" en "justitieel systeem". De belangrijkste conclusie is dat dit eerste sectorspecifieke classificatieschema compleet genoeg is om als checklist gebruikt te worden om na te gaan of alle relevante IKB'en van een interventie zijn onderzocht. Het schema is generiek genoeg voor internationaal gebruik. Vanwege de generieke aard van het schema zijn toepassingsmogelijkheden breder dan alleen voor het domein psychische gezondheid.

Voortbordurend op deze bevindingen presenteert dit proefschrift methoden voor het verkrijgen van kostprijzen voor de waardering van IKB'en. Op basis van bevindingen uit een literatuuronderzoek en expert interviews worden er een aantal generieke methoden gepresenteerd, te weten waardering op basis van opportuniteitskosten (methode A), reeds beschikbare kostprijzen (methode B), zelf berekende kostprijzen (methode C) of arbeidskosten per uur (methode D). Een toepassing in een haalbaarheidsonderzoek resulteerde in twee lijsten met kostprijzen voor IKB'en in de Nederlandse onderwijssector en justitiële sector. Eerste toepassingen van deze methoden laten zien dat IKB'en een stempel drukken op de uitkomsten van dergelijke evaluaties.

Het classificatieschema, de methoden en lijsten met kostprijzen, alsmede gedetailleerde beschrijvingen van de specifieke processen die zijn doorlopen om de kostprijzen te bemachtigen dan wel te berekenen, staan beschreven in een handleiding voor onderzoek naar IKB'en binnen Nederland. Deze bevat tevens een beschrijving van de implicaties voor onderzoekers en beleidsimplicaties.

Datum promotie: 20 oktober 2106, Universiteit Maastricht

[Link naar proefschrift](#)

HTA of orphan drugs: the example of Pompe disease

Promovendus: Tim Kanters
Promotoren: Prof. Dr. MPMH Rutten-van Mólken & Prof. Dr. AT van der Ploeg
Co-promotor: Dr. L Hakkaart-van Roijen

Achtergrond

In de laatste decennia is de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen gestimuleerd door regelgeving in verschillende landen. Echter, de doorgaans hoge prijzen van weesgeneesmiddelen stellen beleidsmakers voor moeilijke vergoedingsbeslissingen. De ziekte van Pompe is de weesziekte die centraal staat in dit proefschrift. De ziekte van Pompe is een progressieve spierziekte met een breed klinisch spectrum. Patiënten met de klassiek-infantiele vorm sterven zonder specifieke behandeling doorgaans binnen het eerste levensjaar. Patiënten met een mildere vorm van de ziekte ervaren progressieve spierzwakte en ademhalingsproblemen. In 2006 kwam enzymtherapie (ERT) beschikbaar voor deze ziekte. Het doel van dit proefschrift is inzicht te geven in de verschillende aspecten die vergoedingsbeslissingen voor weesgeneesmiddelen beïnvloeden, alsmede om HTA studies uit te voeren voor ERT in de ziekte van Pompe, en om bij te dragen aan het besluitvormingsproces inzake weesgeneesmiddelen.

Ziektelast vanuit verschillende perspectieven

In het eerste deel van het proefschrift wordt de ziektelast van de ziekte van Pompe vanuit verschillende perspectieven onderzocht, waaronder een financieel en economisch perspectief, het perspectief van de patiënt en het perspectief van de mantelzorger.

Kosteneffectiviteit van ERT in de ziekte van Pompe

In het tweede deel van het proefschrift worden twee kosteneffectiviteitsmodellen gepresenteerd. Voor volwassen Pompe patiënten worden twee scenario's gemodelleerd. In scenario 1 zijn geen winsten in overleving na de geobserveerde periode gemodelleerd. In scenario 2 worden overlevingswinsten wel geëxtrapoleerd. Voor beide scenario's werden substantiële winsten in overleving aangetoond. Incrementele kosten per QALY waren €3,2 miljoen (scenario 1) en €1,8 miljoen (scenario 2).

Het kosteneffectiviteitsmodel voor patiënten met klassiek-infantiele vorm van de ziekte van Pompe laat zien dat patiënten zonder ERT het eerste half jaar niet overleefden; met ERT behandeling was de gemodelleerde levensverwachting van patiënten bijna 14 jaar. De incrementele kosten waren €1,0 miljoen per QALY en €0,5 miljoen per gewonnen levensjaar.

Gebruik van HTA in beleid voor weesgeneesmiddelen

In het derde deel van het proefschrift is het gebruik van HTA in besluitvorming over weesgeneesmiddelen bestudeerd. Meer transparantie in de besluitvorming is nodig om te bepalen of internationale verschillen in vergoeding het resultaat zijn van verschillen in assessment of appraisal van bewijs, of beide.

Interviews en vergoedingsdossiers laten zien dat de huidige farmacoeconomische richtlijnen en de richtlijnen voor budgetimpact studies ook op weesgeneesmiddelen van toepassing werden geacht. In de maatschappelijke afweging van bewijs voor weesgeneesmiddelen werden additionele criteria gebruikt (beperkte budgetimpact, zeldzaamheid van de ziekte, lage leeftijd van de populatie, identificeerbaarheid van patiënten, en afwezigheid van alternatieve behandelingen) in aanvulling op de reguliere criteria.

Discussie

De discussie beschrijft verschillende perspectieven van patiënten, artsen, farmaceutische industrie, algemeen publiek, beleidsmakers en politici op het voorlopige advies uit 2012 van het Zorginstituut

om vergoeding van ERT in de ziekte van Pompe te stoppen. Het daaropvolgende debat leidde tot de beslissing om ERT wel te vergoeden (na een prijsonderhandeling over ERT). De discussie bespreekt verder verschillende aanpassingen in huidig beleid en regelgeving voor weesgeneesmiddelen met betrekking tot marktexclusiviteit, prijsstelling, prikkels om de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen te stimuleren en alternatieve verdienmodellen. Ten slotte worden methodologische uitdagingen voor HTA research in weesgeneesmiddelen besproken en suggesties gegeven voor toekomstig HTA onderzoek, zoals verder onderzoek naar MCDA en verdringingseffecten.

Datum promotie: 8 december 2016, Erasmus Universiteit Rotterdam