

institute of
Health Policy
& Management

Keuzen in de zorg: waarheid en waarden

Choices in Health Care: truth and values

Prof.dr. Bert Boer

Keuzen in de zorg: waarheid en waarden

Choices in Health Care: truth and values

Prof.dr. Bert Boer

Rede

In verkorte vorm uitgesproken ter gelegenheid van het aanvaarden van het ambt van bijzonder hoogleraar vanwege Zorginstituut Nederland met als leeropdracht Beleid en Onderzoek voor Beheer van het Basispakket Zorg aan het instituut Beleid & Management Gezondheidszorg van de Erasmus University Rotterdam op 14 november 2014.

Inaugural Lecture

Presented in abbreviated form on the occasion of accepting the post of Endowed Professor on behalf of the National Health Care Institute with special remit in Policy and Research of Health Care Coverage at the Institute of Health Policy and Management (iBMG) of Erasmus University Rotterdam on 14 November 2014.

Colofon/Colophon

Keuzen in de zorg: waarheid en waarden/

Choices in Health Care: truth and values

Prof.dr. Bert Boer, 14 november 2014

978-94-90420-55-0

Oplage/Circulation

750

Uitgever/Publisher

Marketing & Communicatie iBMG

Vormgeving/Design

PanArt creatie en communicatie

Druk/Print

Van Deventer

Foto achterkant omslag/Photo back cover

Thomas Fasting Fotografie

Ik dank Roland Bal, Werner Brouwer, Tom van der Grinten en Paul Robben voor hun waardevolle adviezen bij de voorbereiding van deze oratie.

Keuzen in de zorg: waarheid en waarden

**Mijnheer de Rector Magnificus,
Mijnheer de Decaan,
Leden van de Raad van Bestuur van Zorginstituut Nederland,
Collega's van iBMG en van Zorginstituut Nederland,
Gewaardeerde toehoorders,**

Keuzen in de zorg

Er zijn weinig onderwerpen die zoveel beroering en tegenstellingen veroorzaken in het publieke debat als keuzen in de zorg. Of het nu gaat om dure behandelingen in de oncologie, of over de vergoeding van kraamzorg of van middelen voor het stoppen-met-roken, of over de ziekte van Pompe – als de zorg ter discussie wordt gesteld lopen de gemoederen hoog op. Bezorgdheid of de behandeling wel beschikbaar blijft, discussies over hoe ver de verplichte solidariteit moet gaan, afwegingen van hoge kosten bij geringe of onzekere effecten van zorg, hoe we bij die keuzen rekening houden met voorkeuren van patiënten, of we te midden van alle technologie de mens nog wel zien in de patiënt en in de zorgverlener – het raakt iedereen. Tegelijk is het voor de meeste mensen ingewikkeld en ondoorzichtig hoe we in Nederland beslissingen nemen over de zorg. De verdeling van bevoegdheden tussen artsen, patiënten, ziekenhuizen, verzekeraars en overheid is complex en de beslis-criteria staat ter discussie. Er wordt bovendien bij het complexe vraagstuk van keuzen in de zorg voortdurend nieuw inzicht ingebracht uit de wetenschap: uit de geneeskunde, zorgwetenschappen, gezondheidsrecht, gezondheidseconomie, sociologie, bestuurskunde en ethiek.

Waarheid en waarden

Bij keuzen in de zorg treffen we een complex samenspel aan van waarheid en waarden. De feitelijke waarheid over de kenmerken van ziekten; over de verdeling over de populatie van kansen op een bepaalde ziekte; over wat een geneesmiddel of een test wel en niet kan en hoe dat varieert met kenmerken van patiënten; over de prijs van een geneesmiddel; over hoe je het best onderzoek doet en richtlijnen maakt; over hoe het zorgstelsel in elkaar zit en hoe daarin door de overheid de grenzen zijn vastgelegd; over de kosten van de zorg; over hoe men in het buitenland die keuzen maakt. Allemaal waarheid, feitelijke kennis, verkrijgbaar door middel van feitenonderzoek.

Maar er zijn tegelijk waarderingsvragen aan de orde. Wat telt er bij het nemen van beslissingen? Hoe belangrijk vinden we een bepaald effect van zorg en wegen patiënten en artsen dat op dezelfde manier? Hoe kijken we tegen kansen aan, vooral wanneer behandelingen ernstige bijwerkingen hebben? Hoeveel hebben we over voor de marginale meerwaarde van een behandeling, of het voorkomen van riskante bijwerkingen of voor subjectieve verbetering? De antwoorden zullen verschillen al naar gelang een patiënt, een dokter of een premiebetalende burger aan het woord is. Ook de burger hoort in dit rijtje, want: waar mogen we burgers op aanspreken die maandelijks hun verplichte premie voor de basisverzekering opbrengen, en waarop mogen de burgers de overheid aanspreken als het gaat om de besteding van de premiemiddelen? Wat kan voor eigen rekening komen? Wat mag je verwachten van de manier waarop beslissingen vallen in de spreekkamer en welke eisen moeten we stellen aan keuzen van beroepsgroepen, van verzekeraars, van de overheid? Hoe gaan we om met de zakelijke belangen van zorginstellingen en van verzekeraars? En hoe met die van fabrikanten, die hoopgevende technologie ontwikkelen maar ook willen vermarkten?

Dat zijn waarderende vragen. Het is evident dat bij alle keuzen in de zorg waarheid en waarden aan de orde zijn.

Een voorbeeld om mee te beginnen

Laat mij u eerst een klassiek voorbeeld geven. Het gaat over een oud geneesmiddel dat al jaren in gebruik was maar dat plotseling ter discussie kwam te staan: Mebeverine, bekend onder de merknaam Duspatal[®]. Een vertrouwd middel in handen van vooral huisartsen, bij de behandeling van een onschuldige maar frequente klacht, namelijk spasmen van de dikke darm. Op een gegeven moment bleek uit onderzoek dat het middel niet effectief is. Op advies van de Ziekenfondsraad besloot de minister daarom dat middel niet meer te vergoeden vanuit het ziekenfonds¹. Een storm van protest was het gevolg; dat protest leidde tot een juridisch gevecht. Het eind van het verhaal was dat de minister haar besluit moest terugdraaien. De argumenten die in de uitspraak de doorslag gaven hadden te maken met het ervaren nut in de praktijk: een handig middel voor de huisarts en een flink placebo-effect bij patiënten. Die voordelen zouden verdwijnen indien het middel niet meer vergoed zou worden. Mebeverine bleef in het pakket.

Er vallen een paar zaken op in dit verhaal.

1. Het betrof niet eens een ernstige kwaal, en ook geen zeldzame ziekte; de ziekte kon het argument dus niet zijn.
2. Het betrof niet eens een duur middel; de lasten zouden eventueel, voor wie het middel toch wilde gebruiken, best voor eigen rekening kunnen komen.
3. Zelfs het schijnbaar onbetwiste criterium van de effectiviteit was niet toereikend en moest het afleggen tegen massieve maatschappelijke druk, uitgeoefend via de rechter.
4. Deze "pakketkwestie" speelde in het midden van de jaren negentig. De minister in kwestie was Els Borst, een van de grote voorvechters van Evidence Based Medicine. Toen kenden we deze kwesties kennelijk al en toen was het klaarblijkelijk ook al geen recht-toe-recht-aan besluit.

Op zoek naar de oorzaken

Het vruchteloze advies over Mebeverine werd gevolgd door andere evaluaties van geneesmiddelen. Eind jaren negentig liep erbij de Ziekenfondsraad een onderzoeksprogramma "BOG": Beleids Onderzoek Geneesmiddelen. De opbrengst van dat programma in termen van evidence bleek weinig of geen effecten op geneesmiddelenbeleid van overheid of beroepsgroepen te hebben. Wat was hiervan te leren? Het fiasco van effectiviteitsonderzoek met een toch evidente uitkomst was voor de Ziekenfondsraad aanleiding voor een evaluatie. Wat zouden we van deze casus kunnen leren voor de inrichting van een dergelijk onderzoeksprogramma? Hier werd dus de rol van onderzoek onderzocht.

De evaluatie werd toevertrouwd aan Professor John Grin van de Universiteit van Amsterdam; de uitvoering van dit onderzoek was in handen van Margriet Moret-Hartman, die in 2008 bij hem en bij Professor Gertjan van der Wilt promoveerde op de uitkomsten². Eén van haar artikelen ging over de Mebeverine-casus. Een citaat uit haar proefschrift:

"Possibly, problem definitions underlying HTA do not concur sufficiently with the problem definitions held by policy makers or clinicians

The funding and usage problems.... were ill-structured. Actors disagreed on the information needed and the norms at stake. As a result, the problem definition shifted, and the resulting problem definitions failed to correspond with the problems perceived by the target populations. ...

To ensure that future studies on healthcare problems are useful, it is imperative that policy makers take the problem definitions of potential users into account".

Hier hebt u de kwestie van waarheid en waarden in een notendop.

Opbouw van dit college

Ik zal in dit college verkennen hoe we een vruchtbaar samenspel van waarheid en waarden kunnen vinden en hoe wetenschappelijk onderzoek daaraan kan bijdragen. Ik doe dat in de vorm van een drieluik, bestaande uit:

- I De ontwikkeling van het pakketbeheer;
- II De werking van het pakketbeheer: ontwikkelingen en uitdagingen;
- III De implicaties van die uitdagingen en ontwikkelingen voor de inrichting van het pakketbeheer en voor de onderzoeksagenda van deze leerstoel.

Over keuzen in de zorg is er een overvloedige hoeveelheid aan gedocumenteerde en ongedocumenteerde kennis voorhanden. Ik zal uit die beide putten.

Nog twee begripsverhelderingen vooraf.

In de eerste plaats: als het gaat om keuzen in de zorg dan heeft dat betrekking op alle actors: keuzen van patiënten en behandelaars in de individuele zorgrelatie, keuzen van instellingen, verzekeraars en wetenschappelijke verenigingen en keuzen van de overheid in het basispakket en in de toelating, planning en financiering van de zorg. Dit college gaat over pakketbeheer als specifieke vorm van keuzen in de zorg, maar het zal duidelijk worden dat we het beheer van het basispakket niet los kunnen zien van al die andere keuzen.

In de tweede plaats: als het woord "onderzoek" valt dan kan het grofweg over twee soorten onderzoek gaan³:

- Onderzoek van zorgvoorzieningen ter onderbouwing van beslissingen, vaak aangeduid als Health Technology Assessment, zoals de effectevaluatie van een nieuw geneesmiddel. Dat is een voorbeeld van onderzoek voor beleid: research for policy.
- Onderzoek van die beslissingen zelf; hoe kiezen we, hoe steekt het beleid inhoudelijk en procedureel in elkaar. Daaronder valt ook de vraag hoe HTA daarin een rol speelt. Bij deze vorm van onderzoek is het beleid – inclusief beleidsvoorbereidend onderzoek – object van onderzoek; dus: onderzoek van beleid: research of policy.

I De ontwikkeling van het pakketbeheer

Ik bespreek nu eerst de ontwikkeling van pakketbeheer, als specifieke vorm van keuzen in de zorg. Ik plaats daarbij de ontwikkeling van pakketbeheer in Nederland in een internationale context.

Een internationale beweging

Het is pas de laatste 30 jaar dat in de westerse wereld expliciet de vraag wordt gesteld of wij een bepaalde zorgvorm al dan niet zullen introduceren in het basispakket van de zorgverzekering. In een aantal landen kwam in de jaren 80 van de vorige eeuw een beweging op gang waarin een kritische beoordeling van nieuwe zorgtechnologieën werd voorgesteld, als alternatief voor de min of meer automatische instroom ervan^a. De introductie van dure industrieel ontwikkelde technologie (geneesmiddelen en steeds vaker ook devices) was een belangrijke prikkel voor die kritische beoordeling. Maar ook niet-(primair) industriële procedures, zoals chirurgische behandelingen, kwamen frequent aan de orde. Harttransplantaties, levertransplantaties en longtransplantaties behoorden in Nederland tot de eerste onderwerpen op de agenda, naast een doorbraak in de voortplantingsgeneeskunde als IVF.

Al vanaf het eerste begin ging de behoefte aan expliciete keuzen gepaard aan de ontwikkeling van toegepast evaluatieonderzoek ten behoeve van die keuzen: Medical Technology Assessment (MTA), later geëvolueerd tot Health Technology Assessment (HTA)^b. In alle gangbare definities van MTA en HTA gaat het om beoordeling van een technologie op effecten en implicaties voor de zorg, gericht op het onderbouwen van een concreet besluit.

Technology Assessment (TA) is ontstaan in de Verenigde Staten gedurende de 70er jaren, niet in de eerste plaats in de gezondheidszorg maar daarbuiten; TA was bedoeld om beslissingen van de overheid over nieuwe technologie te onderbouwen. Het Amerikaanse congres riep een Office voor TA in het leven: het OTA bestond van 1972 tot 1995. Ongeveer gelijktijdig met het verdwijnen van OTA verscheen TA op het Europese toneel. De systematische Assessment van zorgtechnologie is vooral door David Banta⁴ in Europa verspreid.

In veel westerse landen verschenen in de jaren negentig MTA-centra, soms als afzonderlijke instituties, soms gelieerd aan de academia, soms gelieerd aan overheidsorganisaties. Al snel ontstonden er bovendien internationale verbanden waarin

a De toelating van geneesmiddelen tot de markt dateert van twee decennia eerder; deze formele toelating heeft de vorm van een handelsvergunning op basis van aangetoonde veiligheid en werkzaamheid.

b Afhankelijk van het tijdvak waarover ik spreek gebruik ik de term MTA dan wel HTA.

wetenschappelijke kennis op het gebied van MTA werd uitgewisseld, maar ook verbindingen tot stand kwamen tussen wetenschap, beleid en industrie, zoals in het HTAi Policy Forum.

Er zijn goede redenen om de ontwikkeling van pakketbeheer – in al zijn varianten – te zien als een beweging waartoe het internationale MTA-veld krachtig heeft gestimuleerd. Er kwam al snel een sterk appel vanuit de MTA-wereld in de richting van beleidsmakers in de zorg om expliciete, onderbouwde keuzen te maken en die te baseren op MTA. Het – recentere – Europese netwerk EUnetHTA, begonnen als een initiatief van een aantal actieve Europese agencies, heeft sinds enkele jaren politieke en financiële erkenning van de EU. Een van de ambities van het netwerk is, naast het hoofddoel van internationale coördinatie en joint Assessments, om HTA in alle lidstaten van de EU tot wasdom te brengen.

Binnen het internationale MTA domein ontstonden belangrijke inhoudelijke verschillen tussen landen en tussen systemen binnen landen; vooral het economisch aspect verdeelt nu nog steeds het speelveld. In Nederland, Zweden en het Verenigd Koninkrijk kreeg MTA aanvankelijk een sterk gezondheidseconomisch accent. In de VS heeft MTA vanouds meer de betekenis gehad van gebundeld effectiviteitsonderzoek, op basis van meta-analyses en literatuurreviews. De Bondsrepubliek staat ambivalent tegenover economische keuzecriteria. In Nederland ontstonden er naast de economische vorm van HTA andere, meer interactieve vormen van HTA.

Internationale vergelijkingen

De wereldwijde HTA- netwerken als HTAi en EUnetHTA bieden een bruikbaar platform voor internationale vergelijkingen van methoden en systemen voor keuzen in de zorg. Daarnaast zijn de OESO en de European Health Observatory van de WHO actief in het vergelijken van nationale systemen en hun uitkomsten, onder andere op het gebied van HTA en de inrichting van keuzevraagstukken in de zorg.

Uit die overzichten blijkt dat veel landen inmiddels een eigen systematiek van keuzen hebben ingericht. Sommige landen zijn daarin ver op anderen vooruit. De nieuwe EU lidstaten in Oost Europa hadden aanvankelijk een forse achterstand in het systematisch beoordelen en beslissen ten aanzien van zorgtechnologie, maar mede dankzij de samenwerking binnen de Europese netwerken komen ook daar in hoog tempo beoordelings- en keuzesystemen tot stand. Op het gebied van inhoudelijke doelstellingen en de urgentie ervan is er een grote overeenstemming tussen landen. Over de criteria is die overeenstemming er ook, met zoals gezegd als belangrijke uitzondering het kosteneffectiviteitscriterium: dat wordt niet in alle landen onderschreven.

De grootste verschillen bestaan in de manier waarop de HTA inbreng is geborgd in procedures en instituties. Een recent overzicht van Garrido et al, verschenen als rapport van de European Health Observatory⁵, laat zien dat de structurele connectie tussen HTA en beleidsbeslissingen lang niet overal vanzelfsprekend is. Eerder wees Rutten daarop.⁶

De verschillen tussen landen betreffen deels het zorgstelsel maar ook de manier waarop HTA is georganiseerd en de mate waarin institutionele verbanden bestaan tussen zorgbeleid en HTA. Elk land heeft zijn eigen inrichting van keuzen in de zorg en wil die keuzen ook zelf maken, ook in een tijdperk van intensieve internationale uitwisseling. Dat bleek duidelijk bij de komst van het Europese EUnetHTA: Toen was het van groot belang een scherp onderscheid te maken tussen onderzoek en beleid; het streven naar coördinatie van en samenwerking in HTA is breed onderschreven; het nemen van (pakket-) besluiten is en blijft aan de lidstaten. Te midden van alle

samenwerkingsambities in HTA blijft voor de pakketbeslissingen het subsidiariteitsbeginsel gelden. Daarmee is de verwachting gerechtvaardigd dat samenwerking op de inhoud snel zal toenemen, maar in de erop volgende keuzen niet.

NICE

Een belangrijke mijlpaal in de ontwikkeling van op HTA gebaseerde keuzen is de oprichting van NICE in het Verenigd Koninkrijk in 1999: the National Institute for Clinical Excellence. NICE kreeg een tweevoudige taak^c: het bieden van guidance aan de Britse zorgregio's voor de keuze voor de inkoop van zorginterventies; en het produceren van klinische richtlijnen. NICE is in korte tijd een gezaghebbend instituut geworden⁷ en de interessante vraag is waarom NICE in korte tijd zo'n internationaal toonbeeld kon worden. Daarvoor zijn een aantal factoren aan te wijzen. In de eerste plaats de gedegen wetenschappelijke werkwijze. NICE heeft vanaf het begin zijn werk verbonden met onderzoek en heeft daartoe structurele relaties gelegd met een aantal academische instituties in het Verenigd Koninkrijk. In de tweede plaats heeft NICE niet alleen de inhoud maar ook allerlei elementen van zijn methodiek en in zijn procesgang gedetailleerd uitgewerkt en actief bekend gemaakt. Als voorbeeld: het burgerpanel van NICE is als organisatievorm voor de betrokkenheid van patiënten uitgebreid gerapporteerd, geëvalueerd, gekritiseerd en ten voorbeeld gesteld. Een derde belangrijke factor is de website. Vanaf het begin heeft NICE ingezien dat gemakkelijk vindbare en overzichtelijke informatie cruciaal is: over de agenda's, werkwijzen en procedures, criteria en het debat erover, wetenschappelijke onderbouwing, methodiekontwikkeling, stand van zaken van dossiers, tussenproducten, commentaren van voor- en tegenstanders, eindproducten, resultaten ervan en evaluaties. Voor leken, beleidsmakers en onderzoekers is de website van NICE een bruikbare vindplaats. Er is daarnaast veel energie gestoken in wetenschappelijke publicaties en allerlei verbindingen met de academia. Het is onmiskenbaar dat de grote aandacht voor formele en informele publiciteit aan de reputatie van NICE heeft bijgedragen. Als vierde factor benoem ik het feit dat NICE ook transparant is over onopgeloste vraagstukken en koerswijzigingen. Er is vanuit de internationale HTA-wereld ook wel kritiek op NICE geweest vanwege het feit dat NICE zich in zijn beginjaren juist in die netwerken nogal terughoudend opstelde.

Hoe het ook zij, NICE heeft gezorgd voor een schat aan ervaring in alle aspecten van keuzen in de zorg en die ervaring ruim gedeeld. Lang niet alles daarvan is toepasbaar voor andere landen en systemen vanwege verschillen in context, maar het is terecht dat NICE als benchmark wordt gezien.

Nederland: "Grenzen aan het pakket" en de Commissie Dunning

Nederland maakte deel uit van de voorhoede van de internationale MTA-beweging en nam vanaf het begin actief deel in de internationale netwerken. Bij de introductie van keuzen in de zorg in Nederland namen de Gezondheidsraad en de Ziekenfondsraad het initiatief. Bij de Ziekenfondsraad ontwikkelde Siem van der Kooij, de toenmalige medisch secretaris, veel van de latere systematiek. Hij bouwde voort op het werk dat begin jaren 80 door de Ziekenfondsraad was begonnen in de vorm van de adviezen over de "Grenzen van het Verstrekkingenpakket". Het tweede advies (1986) in die reeks legde het verband met het voor beslissingen noodzakelijke onderzoek: MTA⁸.

c ...later herhaaldelijk aangevuld met nieuwe taken, zoals de toevoeging van de Public Health als domein; daarmee wijzigde ook de officiële naam, maar de afkorting "NICE" bleef bestaan.

Het "derde grenzenadvies" (1991) maakte duidelijk dat uitkomsten van beoordelingen zozeer verschillen per indicatie, dat het lastig is om beslissingen te nemen voor een zorginnovatie als zodanig en dat verfijning naar indicatiegebied vaak geboden is⁹. Het befaamde advies van de Commissie Dunning uit 1990¹⁰ voegde belangrijke elementen aan die "grenzenadviezen" toe. Het presenteerde de beoordeling van zorgvormen als een getrappt beslissysteem: de trechter van Dunning. Hoewel het meer om een serie "zeven" dan om een trechter gaat is de trechter van Dunning in de navolgende jaren een geveugeld begrip geworden. De "zeven" zijn in feite de beslisriteria. Deels zijn die zeven inhoudelijk van aard (effectiviteit en doelmatigheid), deels slaan ze op het zorgprobleem in kwestie (noodzakelijkheid) en voor een deel hebben ze betrekking op de vraag naar de afgrenzing tussen collectieve verzekering en eigen verantwoordelijkheid ("voor eigen rekening en verantwoording"). De commissie Dunning operationaliseerde de criteria en maakte daarbij specifieke keuzen: de commissie kwam bijvoorbeeld met specifieke voorstellen over wat onder noodzakelijke zorg moest worden verstaan. Bovendien nam de commissie het doelmatigheids criterium als "zeef" op; dat betekent dat de commissie vond dat (alleen al) op grond van ondoelmatigheid een bepaalde zorgvorm zou kunnen sneuvelen. Opvallend is verder dat in het rapport Dunning uitgebreid aandacht is voor gepaste zorg: doelmatigheid in het zorg stelsel wordt niet alleen bereikt via de afgrenzing van het pakket maar vooral in de uitvoering van de zorg.

De ontwikkeling van MTA in Nederland

Rond 1990 vonden in Nederland de evaluatie van effectiviteit en kosteneffectiviteit van een aantal baanbrekende interventies plaats: harttransplantaties, levertransplantaties en IVF; ook de specificaties van de borstkankerscreening werden gebaseerd op kosteneffectiviteitsanalyses. Een opvallende bevinding van die vroege voorbeelden van het MTA onderzoek was dat ze niet leidden tot een ja/nee beslissing, maar tot een "ja onder voorwaarden": de specificatie van indicatiegebieden voor de betreffende behandeling, of een beperking tot bepaalde centra, of tot een bepaald aantal ingrepen, of combinaties daarvan.

Ontwikkelingsgeneeskunde

Siem van der Kooij nam, samen met Frans Rutten en anderen, het initiatief tot een MTA programma dat de grondstof zou leveren voor reeksen van beleidsbeslissingen rond innovaties: het programma ontwikkelingsgeneeskunde. In dit programma werden innovaties in de zorg (en later ook bestaande zorgvormen) systematisch aan effectiviteitsonderzoek en kosteneffectiviteitsonderzoek onderworpen. In het kamerstuk (1990) waarin staatssecretaris Simons het programma ontwikkelingsgeneeskunde lanceerde maakte hij melding van effectiviteitsonderzoek en gezondheidseconomisch onderzoek. Het resultaat van ontwikkelingsgeneeskundige studies zou zijn: "a) het al dan niet opnemen in het verzekeringspakket; b) de uitzuivering van de indicatie; c) het verwijderen uit het verzekeringspakket; d) het treffen van maatregelen tot een efficiënter gebruik van methoden en technieken; e) een planningsbesluit (bij voorbeeld art. 18 WZV); f) een besluit tot een gewenste financieringsvorm; g) een combinatie van genoemde besluiten."¹¹ Opvallend is dat in deze opzet de behoefte aan MTA voortkomt uit de noodzaak om zorgvormen te reguleren, en niet ten behoeve van slechts het pakketbeheer. Anders gezegd: het ging er niet om pakketbeheer te voeren, maar om verstandig om te gaan met zorginnovaties. De vormen van beleid (pakketbeslissingen,

financieringswijze, planning, bevordering van gepaste zorg) zouden per geval bepaald worden op geleide van de uitkomsten van het onderzoek.

Het programma ontwikkelingsgeneeskunde heeft in een kleine tien jaar ongeveer 100 innovaties beoordeeld. Daarvan leverde ongeveer een derde een "negatieve" uitkomst op, waaruit bleek dat het programma werkte als een "douanier" op de grens van de zorg. Het programma is geëvalueerd als een voorbeeld van aansluiting van onderzoek op beleid^{12,13}. Er zijn nogal wat voorbeelden van evaluaties topklinische zorg die niet alleen leidden tot pakketbeperkingen (meestal waren dat geen totale uitsluitingen maar indicatiebeperkingen) maar parallel daaraan tot planningsbesluiten; dat was geheel in lijn met de opzet. Voorbeelden daarvan zijn de transplantaties en hemato-oncologische behandelingen¹⁴.

Eind jaren negentig werd besloten dat het programma voortgezet zou worden in de vorm van het programma doelmatigheidsonderzoek van ZonMw. Daarmee werd de band met onderzoek versterkt en de band met beleid verzwakt. In de eerste jaren van het programma stonden vooral vragen vanuit de kliniek centraal. De laatste jaren legt het programma doelmatigheidsonderzoek weer meer nadruk op prioritering van onderwerpen voor doelmatigheidsonderzoek vanuit beleidsmatige vragen.

Het jaar 2000: "10 jaar pakketdiscussie"

Ongeveer in dezelfde tijd dat NICE ontstond verschenen in Nederland twee opvallende rapporten over keuzen in de zorg. In 2001 kwam het College voor zorgverzekeringen (CVZ), de opvolger van de Ziekenfondsraad, met het rapport "Het basispakket, inhoud en grenzen", op basis van een evaluatie van "10 jaar pakketdiscussie". De conclusie van het CVZ was dat het verwijderen van zorgvormen uit het pakket tot dan toe een hachelijke zaak was gebleken. Voorgenomen besluiten haalden vaak de eindstreep niet. Het CVZ pleitte voor een vorm van pakketbeheer die meer gebaseerd zou zijn op "fine-tuning" per indicatiegebied en herhaalde daarmee de bevindingen van het derde "grenzenadvies" uit 1991. Het was een van de aanleidingen voor een doelmatigheidsprogramma dat gericht was op keuzen in de zorgpraktijk: gepast gebruik. Dezelfde kwestie stelden overigens van der Grinten en Kasdorp aan de orde¹⁵. De Gezondheidsraad publiceerde rond deze tijd "Contouren van het basispakket"¹⁶ (2003) waarin de raad diep inging op de maatschappelijke basis voor een verplicht basispakket; de raad pleitte voor een nationaal gedefinieerd pakket en een nationaal beoordelingskader; het advies was om vooral ook naar de ervaring van NICE te kijken.

De Zorgverzekeringswet: een waterscheiding tussen publieke en private verantwoordelijkheid

Met de komst van de Zorgverzekeringswet (ZVW) in 2006 veranderden er twee dingen. In de eerste plaats werd het beheer van het pakket in de wet geborgd en de uitvoering ervan neergelegd bij het College voor zorgverzekeringen. Het pakketbeheer werd daarmee geïnstitutionaliseerd. In de tweede plaats kwam er een einde aan de formele bemoeienis van de overheid met doelmatige uitvoering van de zorg. De overheid zou zich alleen bezig houden met de vraag welke zorg verzekerd zou moeten worden. De doelmatigheid van keuzen op meso- en microniveau werd toevertrouwd aan de partijen in de zorg, die daartoe in de ZVW een grote bewegingsvrijheid kregen. Dat betekende dat de instrumenten voor doelmatige zorg van de overheid (in de vorm van pakketbeheer) en van partijen in de zorg (in de vorm

van kwaliteitsprogramma's) uit elkaar kwamen te liggen vanwege de beoogde strikte scheiding van publieke en private verantwoordelijkheden. In de afgelopen paar jaar is dat verband via arrangementen tussen pakketbeheer en doelmatigheidsbeleid van de beroepsgroepen enigermate hersteld, waarover later meer. Van belang is te constateren dat een noodzakelijke samenhang in beleid door deze strikte scheiding werd bemoedlijkt. Het verband tussen pakketbeheer en gepast gebruik, dat de laatste jaren weer wordt opgezocht, is dus niet nieuw.

Wat juist niet veranderde met de komst van de zorgverzekeringswet was de systematiek van de aanspraken zelf. Dat klopt in juridische zin niet helemaal, want bepalingen over de manier waarop de zorg geleverd wordt kwamen in de Zorgverzekeringswet niet meer voor; dat was in de Ziekenfondswet wel het geval. Maar voor de structuur van de aanspraken en het type toetsingscriteria veranderde er niet veel. Dat was een bewuste keuze: de Zorgverzekeringswet zou er politiek nooit doorkomen, zo was de taxatie, indien de grondslag voor de aanspraken ter discussie zou komen. Zo bleef een aantal kenmerken van de Ziekenfondswet in de gemoderniseerde verzekeringswetgeving bestaan. Daarmee zouden, zoals later zal blijken, een aantal noodzakelijke instrumenten ontbreken.

Intussen werd het pakketbeheer geprofessionaliseerd in criteria en procedures, die voortdurend werden verbeterd, verfijnd en waar geleerd werd van ervaringen en van wetenschappelijk onderzoek. De vier nu geldende pakketprincipes werden geformuleerd op basis van de trechter van Dunning: noodzakelijkheid, effectiviteit, kosteneffectiviteit en uitvoerbaarheid.

De belangrijkste afwijking van de vier pakketprincipes ten opzichte van de trechter van Dunning was dat er geen volgtijdelijkheid in zit; de uitkomsten op de vier principes worden onderling afgewogen^d. Het onderzoek ter optimalisering van de beoordelingsmethodiek kreeg zijn beslag in vier zogenoemde academia projecten, waarin iBMG en het CVZ gezamenlijk operationalisaties ontwikkelden voor de vier pakketprincipes. De evaluatie van zorgtechnologie kreeg steeds meer body, gebruikmakend van de input van Dutch Cochrane Centre en andere reviewers en via deelname aan internationale activiteiten op het gebied van HTA. Behalve adviezen over opname in of verwijdering uit het pakket ontstond er een vorm van pakketbeheer die uitsluitend uitspraken deed over de effectiviteit van nieuwe en bestaande zorgvormen. Van dat type uitspraken worden jaarlijks enkele tientallen uitgebracht. De achtergrond van die beperkte beoordelingen ligt in de status van deze uitspraken: deze "duidingen", zoals ze genoemd worden, adviseren niet tot verandering van de aanspraken maar expliciteren de bestaande aanspraken. Dat gebeurt door bepaalde zorgvormen die ter discussie komen te staan te beoordelen op hun effectiviteit^e, het enige van de vier criteria dat wettelijk is vastgelegd.

Als het gaat om de vormgeving van het pakketbeheer in Nederland is er nog één belangrijk fenomeen te bespreken en dat is: "Appraisal". In zijn advies uit 2006 pleitte de Raad voor Volksgezondheid en Zorg voor pakketbeheer in twee fasen: een eerste

d Dat geldt niet voor het criterium "effectiviteit": bij een negatieve uitkomst daarop werkt dat als "knock-out"-criterium.

e De wettelijke formulering van dat criterium is "stand van wetenschap en praktijk"; op basis van de inhoudelijke bedoeling van de wetgever met dit criterium is dit geoperationaliseerd als bewezen effectiviteit.

fase van technische Assessment waarbij ziektelast, effectiviteit en kosteneffectiviteit worden vastgesteld. Dat leidt tot een principebesluit. In de tweede fase wordt dat principebesluit getoetst, de zg. Appraisal; daarin vindt een maatschappelijke beoordeling plaats.

De Tweede Kamer besloot in 2007, om redenen die samenhangen met de gewijzigde bestuursstructuur van het CVZ, een "zware" commissie bij het CVZ in te stellen met de functie van Appraisal: de Advies Commissie Pakket, ACP. Daarmee was Appraisal, volgend op de technische Assessment, geconstitueerd en onderscheiden van de technische beoordeling. Appraisal werd in Nederland een openbaar proces, waarin de uitkomsten van beoordeling op de vier pakketprincipes zouden worden geconfronteerd met maatschappelijke opvattingen en waarden.

Conclusie

Over de ontwikkeling van pakketbeheer als vorm van keuzen in de zorg vat ik de belangrijkste observaties samen.

1. Pakketbeheer is geëvolueerd vanuit de behoefte om expliciete keuzen te maken over innovaties. Het ging erom beleid annex onderzoek te ontwikkelen waardoor men verstandig met doorbraken in medische technologie zou kunnen omgaan. Onderzoek, meer in het bijzonder de MTA beweging, is in veel landen vanaf het begin niet alleen de inhoudelijke voedingsbron maar ook een krachtige motor geweest voor expliciete keuzen in de zorg. In Nederland was het programma Ontwikkelingsgeneeskunde, als onderzoeksprogramma, tien jaar lang de "embodiment" voor het pakketbeheer in ontwikkeling. ontwikkelingsgeneeskunde als vorm van toegepast onderzoek sloot bovendien nauw aan bij de ontwikkeling van Evidence Based Medicine in de medische professie.
2. De uitkomst van MTA projecten leidde tot beslissingen in het publieke en in het private domein, vaak in samenhang. Maatregelen van de overheid gericht op een geleide introductie van nieuwe zorgvormen betroffen de aanspraken, de financiering en de planning en gingen gepaard met het kwaliteitsbeleid van de beroepsgroep. Zo ging pakketbeheer hand in hand met bevordering van gepaste zorg.
3. De uitkomsten van studies kwamen in een aantal gevallen neer op de beslissing om die technologie als zodanig af te wijzen, maar vaak bleek dat een verfijning naar indicatiegebieden geboden was: een "ja mits" besluit. Die noodzaak tot genuanceerde uitspraken was bij de eerste MTA projecten al zichtbaar en in 2001 de belangrijkste conclusie van "10 jaar pakketdiscussie". Deze fine-tuning, zoals dat in het rapport van 2001 werd genoemd, vergt een synergie tussen keuzen die de overheid maakt en keuzen op meso- en microniveau: gepast gebruik van zorg. Hierin ligt de inhoudelijke noodzaak besloten van de verbanden tussen overheid en professie, zowel in beleid als in onderzoek. Het is markant dat het rapport Dunning, dat toch als ankerpunt van het pakketbeheer geldt, het verband al legde tussen pakketbeheer en gepast gebruik van zorg in de praktijk.

f Het ontstaan van het hemato-oncologische netwerk HOVON is daarvan een voorbeeld.

Met de komst van de ZVW is de samenhang van beleidsinstrumenten van de overheid met het bevorderen van gepaste zorg tijdelijk verdwenen; de verantwoordelijkheden van overheid en partijen werden strikt gescheiden en daarmee verdween ook een natuurlijke aanleiding voor interactie tussen overheid en professie. Eerder was met het opheffen van het programma ontwikkelingsgeneeskunde de structurele connectie van HTA met beleidsinstrumenten teloor gegaan.

4. Bij de ontwikkeling van pakketbeheer heeft de nadruk aanvankelijk sterk gelegen op de inhoudelijke keuzecriteria. De commissie Dunning stelde aan de politiek een specifieke interpretatie voor van wat noodzakelijk te verzekeren zorg is; ook het doelmatigheidscriterium werd geponeerd. De trechter van Dunning is gebaseerd op een rationeel beleidsmodel waarin de criteria als het ware de vragen stellen aan de technologie, welke vragen via MTA beantwoord worden; daarna volgt een besluit. De gezondheidseconomische richting van MTA sloot hier op aan en gaf hier voeding aan.

Het proces van beoordelen en beslissen, waaronder het belang van interactie en maatschappelijke afweging, is veel later dan de inhoudelijke criteria aan de orde gesteld; internationaal is vooral NICE dat hierin voorbeeldig werk heeft gedaan. De bezinning op de vormgeving van pakketbeheer leidde in Nederland tot institutionalisering van Appraisal in de vorm van de ACP.

5. Het ontworpen stelsel rond het pakket beantwoordt in hoge mate aan het model dat in de oorspronkelijke MTA literatuur werd gepropageerd, dat gebaseerd is op een tijdsvolgorde waarin agendasetting, HTA, besluitvorming en implementatie in een lineair tijdsverband staan en tot eenduidige en eenmalige top-down- besluiten leiden. Daarbij heeft vanouds de "evidence base" voorop gestaan en is relatief laat het belang van waarderingsvraagstukken vanuit het perspectief van betrokken partijen aan de orde gekomen en geïnstitutionaliseerd, als een soort "add-on" op het keuzeprocess.

Het is goed om die lineaire, rationele opzet van het keuzeprocess in het achterhoofd te houden bij de nu volgende verkenning van de werking ervan.

II De werking van pakketbeheer: ontwikkelingen en uitdagingen

Hoe werkt dit systeem nu in de praktijk? Welke ervaringen zijn er in Nederland opgedaan en zijn dat ook de ervaringen elders? In dit middendeel van het drieluik bespreek ik praktijkervaringen in het pakketbeheer.

We zullen zien dat Nederland niet het enige land is waarin het stelsel van beoordelen en kiezen voor grote uitdagingen geplaatst wordt. Het prototype van deze keuzen is dat zich een keuzeprobleem aandient in de vorm van een zorginnovatie. De keuze vergt beslisriteria; de criteria stellen vragen waarop onderzoek geacht wordt tijdige en relevante antwoorden te geven; die antwoorden gelden meestal niet de hele patiëntenpopulatie maar hebben betrekking op delen daarvan: indicatiegebieden. Ik bespreek daarom achtereenvolgens deze vier aspecten:

1. innovaties en het belangenspel dat daarbij aan de orde is;
2. keuzecriteria;
3. beschikbaarheid van relevante onderzoeksresultaten;
4. het belang van indicatiegebieden.

1. Innovaties: belangen, beoordeling, beleid

Zodra nieuwe, dure technologie aan de horizon verschijnt is er sprake van een groot aantal uiteenlopende belangen en gezichtspunten. Dat leidt tot discussies. In Nederland liggen de voorbeelden van het debat over innovaties voor het oprapen: protonenbestraling, Da Vinci robotchirurgie, dure geneesmiddelen bij weesziekten en in de oncologie, implanteerbare devices in de cardiologie.

Bij al die voorbeelden zien we een botsing van belangen van partijen, tussen partijen en overheid en zelfs tussen verschillende belangen van de overheid zelf.

Rond innovaties hebben alle actors hun eigen perspectief. De patiënt wil snel kunnen profiteren van nieuwe behandel mogelijkheden. Artsen willen daarover snel beschikken ter wille van betere behandelresultaten voor hun patiënten; zij ontlene bovendien professioneel prestige en soms extra inkomsten aan innovaties. Ziekenhuizen willen hun technisch arsenaal verbreden (meestal selectief, omdat zij ook kosten en baten afwegen) en hebben ook een imago belang bij geavanceerde technologie. De producent heeft een markt belang en ziet graag return-on-investment. Verzekeraars hebben

enerzijds het belang van kostenbeheersing en anderzijds vinden zij het wanneer hun imago in het geding komt lastig om grensverleggende en veelbelovende behandelingen te weigeren. De overheid heeft meerdere belangen: de veiligheid van innovaties moet zijn gewaarborgd; tegelijk stelt zij eisen aan de doelmatigheid en aan kostenbeheersing. Anderzijds is ook de overheid gebaat bij een toegang tot kansrijke zorg, en bij een gezond industrieel investeringsklimaat en stimulans van de kenniseconomie. In alle verbanden, zowel in het HTA veld als in EU verband als in discussies in Nederland over toelating, vergoeding en planning van nieuwe technologie, zien we argumentaties vanuit die verschillende perspectieven.

Op internationaal niveau is het al genoemde HTAi Policy Forum een voorbeeld van internationale fora waar die botsing wordt besproken en waar vertegenwoordigers van de industrie, beoordelaars, betalers, artsen en patiënten discussiëren over de manier waarop de waarde van innovaties moet worden gedefinieerd en wat daarvan de consequenties zijn voor de beoordelingsprocessen. Opvallend is dat daar vooral de inhoudelijke beoordelingscriteria en –methoden worden uitgewisseld, naast de formele routes van reguleren en beslissen. Pas de laatste tijd staat vaker op de agenda hoe we de processen inrichten, hoe we de perspectieven van partijen betrekken bij oordeelsvorming en besluiten; hoe we omgaan met het ontbreken van relevante onderzoeksresultaten.

In EU verband vormt de confrontatie van belangen van fabrikanten, overheden, zorgverleners en financiers voor de EU de achtergrond voor de Joint Action on HTA¹⁷, die de basis is voor de derde tranche van EUnetHTA. In EUnetHTA blijkt vaak dat verschillende landen en systemen met overeenkomstige vragen worstelen, over dezelfde innovaties.

Hoe allerlei belangen en overwegingen de keuzen rond innovaties beïnvloeden is fraai beschreven in een rapport van Payam Abrishami, door het CVZ uitgebracht in 2011¹⁸. De beschreven casus is de "Da Vinci" robotchirurgie, die zich in Nederland snel verspreidt terwijl de meerwaarde ten opzichte van conventionele chirurgie niet is aangetoond. Abrishami beschrijft op grond van observaties bij alle betrokken partijen wat voor argumenten en belangen een rol speelden bij de verspreiding van de Da Vinci robot in de zorg.

De Zorgverzekeringswet biedt onvoldoende houvast

Te midden van dat debat, of liever: als onderdeel daarvan, vindt de beoordeling ten behoeve van de pakkettoelating plaats. De recente Nederlandse ervaringen met toelatingen tot het pakket maken duidelijk dat een vergoedingsbeslissing van innovaties niet in splendid isolation genomen kan worden, dan wel weinig effect sorteert⁹, en wel om een aantal redenen.

g De Da Vinci robot is verzekerde zorg, omdat die effectief is: dat is het (nu enige) geldende wettelijke criterium. Dat er geen meerwaarde ten opzichte van de conventionele behandeling is aangetoond, hetgeen bij een hogere prijs leidt tot een ondoelmatige innovatie, mag wel waar zijn maar vindt geen wettelijke basis voor een uitsluiting uit het pakket. Dat, samen met de situatie waarin er al een flink aantal Da Vinci robots in gebruik zijn op het moment van beslissen, impliceert dat een pakketadvies ter uitsluiting weinig of geen praktisch effect zou sorteren. Daarbij komt nog dat het gebruik van een dergelijke innovatie, mits niet al te duur voor de uitvoerder, "onzichtbaar" gefinancierd kan worden in de huidige DBC-systematiek.

- Het ontbreekt aan wettelijke borging van de voor de beoordeling noodzakelijke criteria. Dat geldt niet alleen voor het criterium kosteneffectiviteit, maar zelfs voor de vraag of een innovatie meerwaarde heeft boven bestaande zorg. Als een interventie effectief is, is hij naar de huidige wet geïmpliceerd in het pakket, ook al heeft hij geen meerwaarde boven de bestaande zorg en ook al is hij bij gelijke waarde duurder. De Da Vinci robot is daarvan een voorbeeld.
- Als er wel een meerwaarde is aangetoond geldt die vaak voor bepaalde patiëntencategorieën. Dan is de beperking tot toepassing bij die patiënten alleen mogelijk in de zorgpraktijk, omdat de Zorgverzekeringswet geen verfijningen kent naar indicaties.
- De beoordeling van de innovatie loopt in veel gevallen achter bij de verspreiding in de markt.

Op al deze drie fenomenen ga ik onderstaand dieper in. De onvolkomenheid in de wet is er deels de reden van dat er naar andere oplossingen wordt gezocht. Er ontstaan daardoor^h de laatste jaren publiek-private arrangementen rond nieuwe technologie, bijvoorbeeld tussen Zorginstituutⁱ en beroepsgroepen^j, of tussen ministerie, Zorginstituut en industrie^k, of tussen ziekenhuizen, specialisten en onderzoekers^l; al die arrangementen zijn gericht op een vorm van gezamenlijke regulering van de introductie van innovaties; in een aantal van deze gevallen gaat het overigens ook om bestaande zorg. Daarin worden afspraken gemaakt tussen overheid, artsen, patiënten en verzekeraars over een geleide introductie en evaluatie van nieuwe technologie. De totstandkoming van die arrangementen vindt plaats in de vorm van een intensieve verkenning van perspectieven en doelstellingen van alle betrokken partijen.

2. Keuzecriteria

Criteria zijn het hart van de beoordeling en de beslissing; het draagvlak voor beslissingen hangt samen met de mate waarin de criteria matchen met de perspectieven van partijen in de zorg. In de criteria definiëren we wat we bij keuzen belangrijk vinden en het hoeft dan ook niet te verrassen dat daar vooral het debat over gaat bij keuzen in de zorg. Ik beperk mij in deze bespreking tot de criteria kosteneffectiviteit en effectiviteit.

Kosteneffectiviteit

Van de criteria springt discussie over het criterium kosteneffectiviteit het meest in het oog en die bespreek ik daarom eerst. De plaats van dat criterium loopt in de westerse wereld sterk uiteen. Zelfs in de landen waar kosteneffectiviteit als beslis criterium een vaste plaats heeft en is ingebed in een zorgvuldig keuzeprocess, zoals in het Verenigd

h De ontoereikendheid van de ZVW is niet de enige reden voor de genoemde arrangementen; ik zal in het vervolg laten zien dat die arrangementen om meer redenen onmisbaar zijn.

i De opvolger van het CVZ

j Projecten met de NVOG (Nederlandse Vereniging voor Obstetrie en Gynaecologie) rond IVF, met de NVCC (Nederlandse Vereniging voor Cardiologie) o.a. rond implanteerbare defibrillatoren.

k Bijvoorbeeld prijsarrangementen, pay-for-performance arrangementen, voorwaardelijke toelating.

l Het SEENEZ (Stimuleren Effectieve zorg, Elimineren Niet Effectieve Zorg) programma.

Koninkrijk, vinden we hoog oplopende debatten tot en met beschuldigingen richting NICE in de tabloids. We zien ook dat NICE zelf de discussie voert over de toepassing en hoogte van de grenswaarden voor de kosteneffectiviteit van oncologische zorg. Werner Brouwer is in zijn oratie uitgebreid ingegaan op het belang van de gezondheidseconomie bij pakketbeslissingen, waarbij hij de relatie legde tussen de techniek van economische analyse enerzijds en de daarmee verbonden maatschappelijke waarden anderzijds¹⁹.

In Nederland passen we het criterium kosteneffectiviteit toe maar is het zelden beslissend in pakketadviezen. In de zomer van 2012 ontbrandde het debat over het criterium plotseling in alle hevigheid rond twee CVZ-Assessments over dure geneesmiddelen bij orphan diseases: het duidelijkste bewijs dat de beslisriteria de plek zijn waar waarheid en waarden samenkomen. Gegevens over effecten en over kosten per Qaly landen in een arena van breed uiteen waaierende perspectieven. De discussie ging over de legitimiteit van het economisch argument. Het hele spectrum van standpunten kwam aan de orde, van grove afwijzing van kosteneffectiviteit als criterium tot bedachtzame bijval; meestal komt het tweede standpunt wat later dan de eerste en via een ander soort media. Na een windstille periode van een kleine twee jaar zien we pleidooien van het KWF en van de oncologen in de richting van de overheid om een grens te formuleren voor de kosteneffectiviteit. Daarachter schuilen zorgen van instellingen en van professionals: de zorg van ziekenhuizen over een steeds groter deel van hun kosten dat gemoeid is met exorbitant dure geneesmiddelen, en de zorg van artsen die zich verzetten tegen de neiging om de verantwoordelijkheid voor kostenbewaking geheel naar de spreekkamer te verplaatsen. Martin Buijsen stelde onlangs in een krantenartikel deze verplaatsing aan de orde als onzichtbare rantsoenering²⁰. Het is opvallend dat het debat over de geldigheid van kosteneffectiviteit als keuzecriterium nu vanuit het zorgaanbod nieuw leven wordt ingeblazen. Daarbij wordt er een dringend appel gedaan op regering en parlement om kaders te stellen, waarop schoorvoetende reacties vanuit de politiek volgen.

Effectiviteit

Het andere inhoudelijke criterium dat ik zal bespreken is effectiviteit. Dat lijkt in vergelijking met kosteneffectiviteit een no-brainer, want niet effectief betekent niet vergoed; dat zal iedereen steunen. Toen het Zorginstituut in augustus jl. een ontwerpadvies over de verslavingszorg naar buiten bracht kreeg het bijval van Trouw voor het aan de orde stellen van niet effectieve behandelingen. Maar zo eenvoudig is het in werkelijkheid niet. Soms is het niet effectief zijn niet voldoende voor een pakketuitsluiting; ik wijs op het voorbeeld waarmee ik dit college begon. De vraag hoe wij effectiviteit definiëren is ingewikkelder dan op het eerste gezicht lijkt, en dat geldt voor de vraag vooral wie de effectiviteit definieert en hoe het antwoord op die vraag de keuze bepaalt.

In feite bepalen we bij de vraag naar de effectiviteit de waarde van een behandeling. En over waarden van behandeling gesproken: als er één begrip is dat de laatste jaren opgeld doet dan is het value^{21,22}. De naam van Michael Porter is onlosmakelijk aan dit begrip verbonden. Ook het HTAi Policy Forum boog zich herhaaldelijk over de vraag welke waarden tellen²³. Een van de voordelen van het begrip value is dat het niet alleen naar klinische parameters kijkt maar bijvoorbeeld ook naar de waarde van een

behandeling in termen van kwaliteit van leven, gezien door de ogen van de patiënt zelf. Value wordt daarmee een begrip dat met verschillende karakteristieken kan worden "geladen", al naar gelang het gezichtspunt.

Welk effect doet ertoe en voor wie?

Maar wie bepaalt welke uitkomsten er toe doen? In de geneesmiddelenbeoordeling in Nederland worden tot voor kort dossiers ingediend door fabrikanten met kant en klare effectiviteitsstudies; de routinematige beoordeling van die dossiers bestaat uit de beoordeling van de kwaliteit van het bewijsmateriaal; het door onderzoekers en/of de fabrikant gekozen eindpunt werd lange tijd for granted genomen. De discussie over de relevantie van de gepresenteerde uitkomsten kwam op gang via de vraag of zg. intermediaire eindpunten aanvaardbaar zijn voor de beoordelaar. Bij de pakketbeoordelingen gaat het om definitieve eindpunten, dat in afwijking van de intermediaire eindpunten die voldoende zijn voor de markttoelating. Bij de beoordeling van oncolytica ontstonden discussies tussen indiener en beoordelaar over de vraag of ziektevrrije overleving of progressievrrije overleving het te verkiezen eindpunt zou zijn of nog iets anders. Uiteraard zullen bij voorkeur resultaten worden gepresenteerd op soorten eindpunten waar het resultaat het grootst is.

Als we praten over relevante eindpunten dan hebben we het over welke behandel-doelen belangrijk zijn. Iain Chalmers heeft laten zien dat er onverwachte verschillen zijn tussen effecten die artsen belangrijk vinden en de voorkeuren van patiënten²⁴. In Nederland heeft Cees Smit zich met dit thema uitvoerig bezig gehouden²⁵. We leren de laatste tijd over shared decision making en over patiëntenpreferenties en hoe die in te brengen²⁶. Met andere woorden: we moeten expliciet de vraag stellen welke eindpunten relevant zijn en voor wie.

Een langzamerhand klassiek voorbeeld van verschil in waardering is de case van de Cochleaire Implantaten²⁷. Een vernuftige uitvinding waardoor aangeboren doofheid voor een belangrijk deel kan worden gecompenseerd, bleek technisch zeer succesvol maar werd door een deel van de doelgroep van doven afgewezen²⁸. Sindsdien is er een debat gaande in te HTA-wereld over wat de beste manier is om HTA te doen, ik wees daar al op.

Niet alleen artsen en patiënten hebben hun eigen perspectief op wat relevant is, onderzoekers hebben ook een eigen gezichtspunt dat niet automatisch hetzelfde is. Onderzoekers zullen liefst eindpunten kiezen die goed meetbaar zijn en/of waar klinische resultaten het meest zullen contrasteren tussen interventiegroep en referentiegroep. Fabrikanten zullen vanuit hun perspectief bepaalde eindpunten presenteren. En last but not least: als we over keuzen in de verzekerde zorg praten dan is de vraag welke eindpunten gelden voor de premiebetaler: voor welke effecten kun je de premiebetaler aanspreken? In de discussie over de vergoeding van geneesmiddelen voor de ziekte van Pompe ging het onder andere ook over de vraag hoe relevant het is om 28 meter verder te kunnen lopen²⁹. Let wel: in dit deel van het debat over kosteneffectiviteit ging het niet over kosten op zichzelf, maar over de relevantie van een bepaald effect en om daarvoor de premiebetaler aan te spreken.

De keuze voor het soort effect valt nu pas achteraf

Het debat over de relevantie van bepaalde uitkomsten wordt nu gevoerd als al het onderzoek lang en breed is uitgevoerd en gereviewed en in Assessmentrapporten wordt vastgelegd en vervolgens is voorgelegd voor een maatschappelijk oordeel. Daarmee staat de volgorde zoals we die nu kennen en die overigens door de RVZ in 2006 ook is voorgesteld en die past in een lineair, rationeel beleidsmodel, ter discussie. Bij uitzondering wordt de volgorde omgekeerd, bijvoorbeeld toen het CVZ zou moeten oordelen over de voor de verzekering relevante effectmaten van klinische behandeling van ernstig obese kinderen.

De definitie van eindpunten is niet waarde vrij en vereist een afstemming vanuit de diverse perspectieven, waarbij het perspectief van de premiebetaler naast die van patiënten, onderzoekers, behandelaars en fabrikanten komt te staan. Die confrontatie is een vorm van maatschappelijke oordeelsvorming die idealiter voorafgaat aan het Assessment. Dat heeft grote consequenties voor de procesgang in pakketbeheer.

3. De beschikbaarheid van relevante onderzoeksresultaten

De beslis criteria, inclusief de manier waarop die zijn geoperationaliseerd (bijvoorbeeld welke effecten ertoe doen) vergen onderzoeksgegevens om daarmee keuzen te kunnen onderbouwen. Het is langzamerhand meer regel dan uitzondering dat op het moment van beslissen die gegevens vaker niet dan wel beschikbaar zijn of dat beschikbare gegevens niet relevant worden geacht. Dit probleem zal groter worden op het moment dat we de relevante effecten eerst nog expliciet benoemen.

Verschillende time-frames

De achterliggende oorzaak hiervan is dat de evaluatie van innovaties en besluiten daarop gebaseerd geen gelijke tred houdt met de ontwikkeling en diffusie ervan. Dit doet zich vooral voor bij industriële producten die op de markt gebracht worden op een moment dat nog niet vaststaat wat de precieze meerwaarde van deze innovatie is ten opzichte van al beschikbare zorg en ook nog niet vast staat bij wie die meerwaarde zich zal manifesteren en bij wie niet (m.a.w. de klinische plaatsbepaling). Bovendien is vaak vooraf niet duidelijk welke meerwaarde relevant is, aan welke voorwaarden moet worden voldaan om de technologie in kwestie effectief toe te passen, welke kosten er in de praktijk mee gemoeid zijn, etc. Anderzijds is er al snel de behoefte om beslissingen te nemen: bij patiëntenverenigingen, professionals, ziekenhuizen, de verzekeraars, overheid; vanuit per actor verschillende behoeften. Het gaat om de plaatsbepaling in het klinisch handelen, de organisatorische randvoorwaarden en consequenties, de kosten, de manier van financieren, al dan niet opneming in het basispakket. Er moeten keuzen worden gemaakt op het moment dat er nog veel onbekend is. Een complicatie daarbij is dat de verschillende partijen verschillende eisen stellen en verwachtingen hebben, en dus de eindpunten verschillend definiëren.

Voorlopige besluiten gepaard aan onderzoek

De oplossing die hiervoor in zwang is geraakt is een voorlopige toelating tot afdoende onderzoeksgegevens bekend zijn (Coverage with Evidence Development, CED). Enige vorm van CED is in een groot aantal landen ingevoerd, waaronder in het Verenigd Koninkrijk ("only in research") en in Nederland ("voorwaardelijke toelating" tot het pakket). Daarmee ontstond een alternatief voor de eenmalige definitieve beslissing.

Er is sinds 2006 veel gepubliceerd over allerlei alternatieven voor de eenmalige en dichotome ja/nee pakketbeslissing. Een goed overzicht van alle varianten, inclusief een voorstel voor een taxonomie is te vinden in Walker ea.³⁰ De varianten verschillen op doelen, voorwaarden, reikwijdte etc.

In Nederland worden tot nu toe drie varianten onderscheiden:

1. voorwaardelijke toelating van technologie waarvan de effectiviteit onvoldoende vaststaat;
2. "pay for performance"-arrangementen: daarbij staat de effectiviteit voor een deel van de patiëntenpopulatie vast, maar we weten niet voor welke patiënten wel en voor welke niet; dan wordt er een financiële afspraak gemaakt met de producent over terugbetaling bij die individuele gevallen waar sprake is van ineffectiviteit;
3. prijs- of volumeafspraken tussen overheid en fabrikant; bij deze variant moet de inhoudelijke "performance" al vaststaan.

Vaak wordt het woord "arrangement" gebruikt als verzamelterm voor deze drie varianten. Het woord "arrangementen" geeft de werkelijkheid goed aan, want dit type oplossingen voor beoordelings- en keuzeproblemen vergt in het algemeen meer partijen dan alleen de applicant en de beoordelaar. Bij de vaststelling van doelen, de keuze voor het soort arrangement, de uitwerking van noodzakelijke voorwaarden en de uitvoering zijn meer partijen betrokken, bijvoorbeeld ziekenhuizen, behandelaars, onderzoekers, patiënten, verzekeraars. Daardoor komen bij het ontwerp en de uitvoering van deze arrangementen als vanzelf al de verschillende perspectieven van partijen op tafel; de discussies spitsen zich toe op doelen, onderzoeksvragen, -methoden, uitvoeringsvarianten, kosten, interim-rapportages en follow-up van uitkomsten in besluiten van de overheid en van partijen. Wat dat laatste punt betreft: de uitkomst van een arrangement behoeft lang niet altijd een expliciete wijziging van het pakket te zijn; de plaatsbepaling van een nieuwe zorgvorm kan ook goed neergelegd worden in behandelrichtlijnen en zo onderdeel worden van de kwaliteitsstandaard.

Evaluaties van voorlopige besluiten

Het is op dit moment te vroeg om de Nederlandse ervaringen met de nieuwe arrangementen te evalueren. Maar er zijn inmiddels internationaal al veel evaluaties gepubliceerd, waaruit zowel de meerwaarde van deze arrangementen blijkt, maar waaruit ook scepsis blijkt³¹. Die scepsis betreft bijvoorbeeld de angst om bepaalde technologieën als ze eenmaal voor onderzoek zijn geïntroduceerd niet meer te kunnen uitsluiten van vergoeding. Andere zorgen betreffen de vraag of in een interim-periode van onderzoek de voor alle beslissers relevante informatie boven tafel komt; de producenten zijn bezorgd dat een voorwaardelijke toelating, die immers gezien wordt als een kansrijke oplossing in die gevallen waarbij er anders een nee zou volgen, de procedures rond onderzoek en toelating verder compliceert.

Waar in deze arrangementen de bedoeling is om "evidence" te genereren voor keuzen is een intensieve betrokkenheid van een groot aantal partijen nodig. Zij brengen vanuit hun eigen perspectief hun oordeel in over doelen, voorwaarden, uitvoering en follow-up van een arrangement; daarmee is deze betrekkelijk nieuwe vorm van keuzen maken in de zorg bij uitstek een interactief proces waarbij de perspectieven van allerlei actors in de zorg samenkomen en moeten worden geïntegreerd tot een gemeenschappelijke aanpak.

4. Het belang van indicatiegebieden

Al vroeg in de ontwikkeling met pakketbeheer als vorm van kiezen in de zorg werd duidelijk dat het onderwerp van keuze niet een interventie op zichzelf is, maar de interventie in samenhang met het indicatiegebied^m. In het voorgaande zijn daarvan al de voorbeelden genoemd van de harttransplantaties en levertransplantaties, die niet in totaliteit in of buiten het pakket werden geplaatst, maar voorzien van indicatiebeperkingen. De achtergrond daarvan is niet alleen dat de effectiviteit – uiteraard – afhangt van het toepassingsgebied maar daarmee ook de kosteneffectiviteit. Ik noem daarom het voorbeeld van de longtransplantaties. Toen uit een ontwikkelingsgeneeskunde-project duidelijk werd dat de kosten per gewonnen Qaly bij longtransplantaties meer dan 100.000 guldenⁿ bedroegen werd door de minister niet het besluit genomen om longtransplantaties buiten het pakket te laten, maar werd een vervolgstudie gevraagd om het indicatiegebied te specificeren: longtransplantaties zouden bij een beperkte categorie patiënten toegepast moeten blijven worden.

Als we kijken naar de formulering van conclusies van Assessments – bijvoorbeeld in de EUnetHTA database, waarin meer dan duizend rapporten vindbaar zijn – dan zullen we vrijwel altijd uitspraken aantreffen over de waarde bij bepaalde condities of wel patiëntencategorieën.

De praktische implicatie hiervan voor beslissingen voor de vergoeding (meer precies: voor uitspraken over de effectiviteit en dus over de kosteneffectiviteit) is dat die uitspraken gespecificeerd moeten worden. Dergelijke specificaties zijn lastig te formaliseren in termen van wettelijke aanspraken^o. Dat zou een fijnbesnaarde regeling opleveren die door de dynamiek in de kennis over de toepassing van interventies steeds zou moeten worden gewijzigd en dat is uiteraard zowel voor de wetgeving als in de praktijk onuitvoerbaar. De Nederlandse wetgever heeft dit probleem juridisch opgelost door in het algemeen te bepalen dat er alleen recht op de zorg is indien de verzekerde “redelijkerwijs op die zorg aangewezen is”. Daarmee is de afgrenzing van de aanspraak in de praktijk neergelegd en niet meer in expliciete wettelijke regels. De praktijk zou per interventie steeds de indicatiegebieden moeten vaststellen – of andersom: per specifieke ziekteconditie de meest aanbevolen handelwijze moeten formuleren. We spreken dan nog steeds over keuzen in de zorg, maar niet meer via pakketbeheer in wettelijke zin maar in de vorm van kwaliteitsrichtlijnen. Uiteraard is dit niet een typisch Nederlands probleem. Bovendien: ook deze vorm van keuzen in de zorg vindt plaats in een arena van standpunten, belangen en perspectieven. Dat blijkt in de grote aantallen publicaties over “off-label-use” van geneesmiddelen, waar niet het geneesmiddel zelf maar de indicatie centraal staat; het blijkt uit de inspanningen die er wereldwijd worden geleverd om de methodiek van richtlijnen te optimaliseren.

Voor het pakketbeheer is de implicatie hiervan dat indien de overheid niet een interventie totaal kan in- of excluderen van het pakket, er in de praktijk indicatiebeperking

m In rapporten van het Zorginstituut is daarom vaak sprake van een “indicatie-interventie-combinatie”

n Dit voorbeeld speelt in het midden van de jaren 90

o De uitzondering die de regel bevestigt is de zg. “bijlage 2” in het Geneesmiddelen Vergoedingen Systeem; in die bijlage kunnen bijzondere voorwaarden voor de aanspraak worden opgenomen, die meestal neerkomen op de beperking tot een aantal specifieke indicatiegebieden.

moet plaatsvinden: gepast gebruik van zorg. Het is evident dat gepast gebruik van zorg niet in de eerste plaats dient tot handhaving van aanspraken, maar dat de belangrijkste redenen daarvoor zijn om kwaliteit (waaronder doelmatigheid) van zorg te optimaliseren. En daarmee zijn we bij de connectie van overheidsbeleid met het kwaliteitsbeleid van professionals. Keuzen in de zorg blijken maar zelden op één niveau te worden gemaakt. Er is in veel gevallen een samenspel van actors nodig en zullen dus de perspectieven van die actors, hun waarden en belangen, onderdeel worden van het proces en dat is precies wat we in Nederland en daarbuiten momenteel zien.

Conclusie

Ik heb vier kwesties beschreven bij keuzen in de zorg. Twee van die kwesties betreffen het kiezen zelf, namelijk de keuzecriteria en de beschikbaarheid van onderzoeksgegevens. Twee andere vraagstukken betreffen zorgtechnologie: het ingewikkelde belangenspel rond innovaties en de cruciale vraag naar de indicatiegebieden. Ik heb laten zien dat bij alle vier interactie tussen alle betrokken partijen – inclusief de overheid – onmisbaar is. Bij alle vier spelen feitelijke gegevens een rol maar vooral ook het perspectief van partijen waarin die gegevens worden geplaatst. De werking van het pakketbeheer en de uitdagingen die het ontmoet tonen aan dat het rationele beleidsmodel, bestaande uit eenmalige, dichotome beslissingen op basis van onderzoeksgegevens, niet langer voldoet. Er moeten manieren worden ontwikkeld, geprobeerd en geëvalueerd, om verbindingen te maken tussen beleid en onderzoek, tussen perspectieven en waarden van partijen, tussen waarheden en waarderingsvraagstukken. Voordat ik naar het derde hoofdstuk ga sta ik bij die laatste nog stil.

Scharnier: waarheid en waarden bij keuzen in de zorg

Wat zeggen al deze bevindingen ons nu over het maken van keuzen en de rol van waarheid en waarden daarin; anders gezegd: wat is de relatie tussen evidence en de inbreng van partijen die hun eigen perspectief, belang en kennis inbrengen? Dat is niet een theoretische vraag, maar een actuele uitdaging voor wie naar eer en geweten keuzen willen maken; een uitdaging die als we spreken ter discussie staat op de etages in Diemen-Zuid en ook tussen de etages op Woudestein. Ik wil daar, als scharnier tussen het tweede en derde paneel van mijn drieluik, enkele opmerkingen over maken.

Of Mebeverine wel of niet werkt bij een spastisch colon hangt af van de definitie van "werken". Het werkt niet maar helpt wel, zei iemand. Ervan uitgaande dat het middel niet meer doet dan placebo is het volgens de gangbare definities niet effectief. Vast staat echter dat het een placebo-effect heeft. Als het betreffende onderzoek deugde dan gaan we ervan uit dat dat ook zo is; net zoals de effectiviteit van penicilline bij bepaalde bacteriële vast staat. Het placebo-effect van Mebeverine is een feit. Dat feit kreeg in het geding een doorslaggevende relevantie. Door die afweging worden feiten niet ineens anders, maar ze worden er wel anders door belicht en de betekenis ervan kan variëren.

1. Verschillende actors kunnen verschillend belang en implicaties hechten aan bevindingen van onderzoek. Al die betekenissen en implicaties zijn relevant om te kennen, voor wie beslissingen neemt waardoor anderen worden geraakt. Het is voor beleidsmakers zinvol en aan te raden om het perspectief van belanghebbende partijen vanaf het eerste begin te betrekken bij een beoordeling. Dat levert essentiële gezichtspunten op, zoals: het belang van de kwestie zelf (met mogelijke implicaties voor de beleidsagenda), de inkleuring van het probleem (met mogelijke implicaties voor de probleemdefinitie), nieuwe feiten of kritiek op onderliggend onderzoek (met mogelijke implicaties voor het onderzoek), ideeën over oorzaken, verbanden en gevolgen (met mogelijke implicaties voor de analyse), de betekenis van voorzieningen voor mensen (met mogelijke implicaties voor afwegingen), de kans dat bepaalde besluiten worden opgevolgd (met mogelijke implicaties voor het besluit en de implementatie ervan), of mogelijke specifieke blokkades (met mogelijke implicaties voor zg. flankerend beleid). Dit is geen uitputtende opsomming, maar dient ter ondersteuning van het feit dat we verder moeten zien te komen dan het mechanistisch onderscheid tussen Assessment en Appraisal en op de volgorde die daarin is aangebracht en als aanmoediging om andere perspectieven in de besluitvorming te betrekken.
2. Er is veel belangstelling, onderzoek en kennis over deze problematiek: in de wetenschapsfilosofie, in de sociologie, in de bestuurskunde en in de politicologie. Er is het afgelopen decennium veel geschreven over de beperkte toepasbaarheid van de klassieke, lineaire HTA benadering en het belang van argumentatieve analyse van het perspectief van belanghebbenden; ik verwijs naar een belangwekkende bijdrage van Roland Bal³², en opnieuw naar het proefschrift van Margriet Moret-Hartman, en naar van Egmond et al³³ die over de institutionele aspecten van dit proces schreven. Er zijn veel voorbeelden in andere beleidsterreinen zoals het milieubeheer (Grin³⁴). Het lineaire, rationele beleidsmodel gaat ons bij moeilijke keuzen in de zorg niet verder helpen. Mijn leeropdracht zal de inbreng van de

genoemde kennisvelden hard nodig hebben bij het ophelderen van de vraag hoe wij het proces van maken van keuzen in de zorg verder kunnen optimaliseren. Het zal er daarbij in concreto neerkomen op een revisie van de verhouding tussen Assessment en Appraisal, alsook methoden van appraisal. We zullen het begrip Appraisal moeten "afpellen" tot op de feitelijke onderliggende bedoelingen en zien welke inhoudelijke, procedurele en institutionele condities voor dat doel te formuleren zijn, om die condities vervolgens te betrekken op de staande beleidspraktijk. Daartoe zullen we actuele ervaringen en kennis over het pakketbeheer moeten verbinden aan de genoemde kennisvelden.

3. Wat ik hier beschrijf is een leergang, waarmee ik wil zeggen dat er in voortdurende wisselwerking tussen de beleidspraktijk en de academie ervaringen en kennis moeten worden gedeeld. We zullen in de praktijk van het beleid vormen van interactieve beleidsvorming moeten verkennen. Er moet kunnen worden geëxperimenteerd. Aangezien het inherent aan deze rol van de overheid is om verstreckende beslissingen te nemen, zijn voor de route naar die beslissingen de spelregels van groot belang; ik citeer Daniels:

"Key elements of fair process will involve transparency about the grounds for decisions; appeals to rationales that all can accept as relevant to meeting health needs fairly; and procedures for revising decisions in light of challenges to them. Together these elements assure "accountability for reasonableness"³⁵.

Zolang wij in onderzoek en in beleid de regels van Daniels toepassen dragen we bij aan kwaliteit van besluitvorming. Die kwaliteit van besluiten is gebaat bij leggen van verbindingen; als contrast met het verkokeren van verantwoordelijkheden en van gezichtspunten of, erger, vooroordeel. In het voorgaande heb ik bij een verscheidenheid aan onderwerpen over verbinding gesproken; ik heb het dan niet over compromissen, maar over een open oog voor, erkenning en verkenning van andere gezichtspunten. Ik noemde het verbinden van wat we nu Assessment en Appraisal noemen; het verbinden van instrumenten van zorgbeleid van de overheid; en het verbinden daarvan met het beleid van de medische professie; het verbinden van beleid en onderzoek en zorg, het betrekken van het perspectief van de patiënt bij besluiten in de spreekkamer. Al die verbindingen maken de kwaliteit van beslissingen beter.

III Implicaties voor beleid en voor onderzoek: naar een hogere kwaliteit van besluitvorming

Wat zijn nu de implicaties van het voorgaande voor de manier waarop wij in Nederland keuzen in de zorg maken en voor het onderzoek daarvoor?

We weten op grond van onderzoek en op grond van internationale en eigen ervaringen een aantal dingen en die kunnen we vertalen in de manier waarop we keuzen in de zorg maken, zowel over hoe we het wettelijke raamwerk voor die keuzen beter zouden kunnen inrichten als over de kwaliteit van het maken van die keuzen zelf. We weten ook nog veel niet – vooral over hoe we in keuzen in de zorg gebruik maken van interactieve onderzoeksmethoden en beoordelingsprocessen, de organisatie en inhoudelijke structurering van de betrokkenheid van partijen, de maatschappelijke afwegingen en de institutionele borging daarvan. Dat alles levert een brede onderzoeksagenda op.

Ik noem drie soorten implicaties van wat we tot nu toe aan ontwikkelingen en uitdagingen in het pakketbeheer zien. Ik ga eerst in op een aantal persoonlijke observaties wat betreft problemen in de kwaliteit van de besluitvorming: besluiten in de Tweede Kamer, in de Vergaderkamer van de ACP, de Perskamer van de media, en de Spreekkamer van de dokter. Vervolgens ga ik in op de implicaties voor het wettelijk raamwerk voor pakketbeheer. Ten slotte benoem ik de implicaties voor onderzoek.

1. Observaties over de kwaliteit van besluitvorming

- **De “Tweede Kamer”**

Het debat over de kosteneffectiviteit in de zorg wordt nog niet goed gevoerd en niet goed gevoed. Het is complex en het is gevoelig. Maar dat debat is niet alleen onontkoombaar, het is onethisch om het er niet over te hebben. De relatie van opbrengsten en kosten, doelmatigheid dus, is niet een tegenhanger van kwaliteit maar een aspect ervan³⁶. Ondoelmatigheid gaat ten koste van optimale uitkomsten. Door hier besmuikt over te doen, doen we patiënten tekort, vooral die patiënten die niet op het NOS-journaal komen en waarbij met minder publicitair geweld op de zorg wordt bezuinigd.

Daarbij komt het ontbreken van politieke “backing” voor de beslisriteria.

Uiteindelijk is het aan de democratisch gekozen overheid om beslissingen te nemen over de optimale verdeling van schaarse goederen en diensten. Het is begrijpelijk dat politici daarin aarzelend zijn en we moeten daar niet te gemakkelijk

over spreken, maar het niet stellen van kaders is niet te rechtvaardigen. De overheid heeft niet alleen een procedurele taak om alle belangen van mensen en partijen te inventariseren en te optimaliseren, maar heeft een daarvan te onderscheiden publiek belang; dat belang impliceert de verantwoordelijkheid om desnoods pijnlijke besluiten te nemen.

Er is ook een internationaal aspect. Het ontbreken van internationale samenwerking in het stellen van grenzen speelt het prijsbeleid van de industrie in de kaart. Zolang er geen eenduidig en internationaal afgestemde kaders zijn voor de grenzen aan de kosten voor een Qaly kunnen fabrikanten in elk individueel land in hun prijsstelling de grenzen opzoeken van de acceptatie door publiek en politiek. De rechtvaardiging van hoge prijzen door hoge kosten van innovaties is niet altijd geloofwaardig gegeven het feit dat de ontwikkelkosten van geneesmiddelen van vergelijkbare omvang zijn als de kosten van marketing en de opbrengsten van aandeelhouders³⁷.

- **De “Perskamer”**

De rol van de klassieke media bemoeilijkt evenwichtige afweging. In mijn onderzoeksagenda zal die rol aan de orde komen bij onderzoek over beslisriteria. Door een samenspel van pers, politiek en publiek ontstaat in veel gevallen een vertekend, of versimpeld, of eenzijdig beeld van de problematiek. Ik signaleer dat deze drie belangen elkaar versterken: het marktbelang van de pers, waarbij het belang van de scoop soms ten koste gaat van fact-checking, het type belangstelling van grote delen van het kijkerspubliek, en het belang van politici bij een goede pers. Dit samenspel van drie partijen verhindert een evenwichtig en goed onderbouwd publiek debat over keuzen in de zorg. Een dergelijk debat vereist een ander soort fora en wat mij betreft ook een andere roloppvatting van sommige media dan de dagelijkse oppervlakkige publiciteit.

- **De vergaderkamer van de ACP**

De kwaliteit van besluitvorming bij Appraisal, zoals die plaatsvindt in de ACP verdient een steviger onderbouwing. Daarbij gaat het om eisen die te stellen zijn aan de structuur en het proces van de manier waarop het perspectief van partijen aan de orde komt en van de openbare afwegingen van alle argumenten en inbreng. Inhoudelijk gaat het om de ontwikkeling en toepassing van een expliciet afwegingskader, waarin utilitaire en egalitaire afwegingen expliciet aan de orde komen.

- **De spreekkamer van de dokter**

De kwaliteit van besluitvorming in de spreekkamer is van alle beslissingen het belangrijkste en bovendien van de grootste invloed op de effectiviteit en op de kosten van de zorg. Dit punt is, in het bijzonder bij behandelkeuzen in de oncologie, aan de orde gesteld door Annemone Bögels³⁸. Er wordt bij die keuze veel geveerd van de behandelend arts, de oncologie verpleegkundige en andere begeleiders. Maar kwaliteit van de besluitvorming is niet alleen bij ernstige ziekte aan de orde. Bij alle behandelkeuzen komt het aan op meer dan alleen de medisch technische criteria. Goede kwaliteit van besluiten impliceert ruimte voor gesprek, met aandacht voor de menselijke maat, voor menselijke problemen, verwachtingen en angsten. Kwaliteit is geen techniek maar een commitment aan mensen; ik postuleer dat met mensgerichte zorg ook de doelmatigheid gediend is.

Een bijzonder onderwerp daarbij is de verwachting van veel mensen wat betreft de maakbaarheid van het leven en de vermijdbaarheid van de dood: een delicaat thema dat ik niet omdat het delicaat is ongenoemd wil laten. Ik ben hier in het goede gezelschap van Job Kievit³⁹ en Margriet van der Kooi-Dijkstra⁴⁰, die resp. als oncologisch chirurg en ziekenhuispastor weten waarover zij het hebben; zij signaleren hoe wij mensen tekort doen met deze mythe. In een editorial in BMJ van 25 december 2011, met als subtitel: "Embracing the inevitable would reduce both unnecessary suffering and costs", zegt Richard Smith: "... Perhaps those who pay for medicine and regulate it need to act. Ironically, it may be the financial rather than the social and cultural cost of death that will encourage change..."⁴¹.

Al deze factoren zijn van invloed op de manier waarop we spreken, of de reden dat we niet spreken, over keuzen in de zorg, over de gewenste effecten van de zorg, de kosten van de zorg en de kosteneffectiviteit ervan. Kwaliteit van besluitvorming, ofwel Good Decision Practice, vergt een open oog en respect voor mensen waarin waarheden en waarden worden gedeeld.

2. Het wettelijk kader voor pakketbeheer

De kwaliteit van besluitvorming kan substantieel beter als daarvoor de wettelijke kaders opnieuw worden geformuleerd. Belangrijk daarbij is dat we ook met de ontwikkeling van het pakketbeheer zelf niet omgaan als een lineair en uitsluitend rationeel proces. Wat we leren over het maken van keuzen in de zorg, namelijk dat dat een interactief en iteratief proces is, dat gaat ook op voor de inrichting en uitvoering van pakketbeheer. Dat betekent dat onderzoek over het pakketbeheer en de uitvoering ervan wel te onderscheiden zijn maar niet te scheiden. Bij de inrichting van pakketbeheer zullen we voortdurend moeten evalueren: voor, tijdens en na. De eis die we aan de zorg stellen, namelijk die van continue evaluatie van technologie en van het eigen handelen, moeten we opleggen aan de inrichting en uitvoering van de keuzeprocessen zoals het pakketbeheer. Andersom is het onderzoek ten behoeve van pakketbeheer niet denkbaar zonder dat in voortdurende connectie met de "beleidspraktijk" te doen. Geen scheiding dus tussen onderzoek van het pakketbeheer en het pakketbeheer zelf, wel onderscheid.

Er zijn voor de wettelijke inrichting van het pakketbeheer uit het voorgaande een aantal consequenties te trekken voor de manier waarop we omgaan met innovaties, met criteria, met evaluatieonderzoek en met indicaties. Daarvan zijn de belangrijkste de volgende.

1. We zullen in de aansprakenregeling een expliciet beleidsinstrumentarium moeten ontwikkelen voor de toelating van innovaties in de zorg. Innovaties die daarvoor in aanmerking komen (zoals dure geneesmiddelen, technologieën in de cardiologie en in de beeldvormende diagnostiek) zouden begeleid en op beperkte schaal moeten worden geïntroduceerd, waarbij in samenspraak tussen overheid en partijen in de zorg de evaluatie, planning, verzekering, financiering, informatie, gepaste toepassing en kwaliteitsbewaking tot stand komen. Het onderscheid dat we nu kennen tussen een gesloten systeem voor extramurale geneesmiddelen en

een open systeem voor de rest van de zorg is volstrekt achterhaald. De huidige regelingen zouden plaats moeten maken voor een open aansprakensysteem, dat zo nodig selectief voor bepaalde innovaties te sluiten is. Die selectieve sluiting maakt het mogelijk om voor bepaalde technologieën die risico's meebrengen voor de toegankelijkheid of de beheersing van de kosten maatwerkoplossingen te realiseren. Daarmee wordt het ook mogelijk om al lang ingeburgerde zorg die al in het pakket zit in een dergelijke proeftuin onder te brengen. De bestaande regelingen voor voorwaardelijke toelating zijn voor dit doel absoluut ontoereikend, omdat ze enerzijds nog steeds een vrijwel onbeperkte aanspraak mogelijk maken en de voorwaarden voor doorgaande evaluatie en regulering daarin niet geborgd zijn. De inrichting hiervan zal per geval maatwerk zijn en in interactie met alle betrokken partijen vorm moeten krijgen.

2. Op het punt van criteria is het noodzakelijk dat regering en parlement de kwestie van keuzecriteria voor de zorg, en dan in het bijzonder de kosteneffectiviteit, op de maatschappelijke en politieke agenda plaatsen, daar een bepaalde tijd voor uittrekt en na ommekomst daarvan een wettelijke borging geeft aan de criteria.
3. We zullen beter moeten borgen dat er tijdig relevante onderzoeksgegevens beschikbaar zijn. Daarvoor is een wettelijk ankerpunt nodig: een betere manier om zeker te stellen dat het relevante onderzoek plaatsvindt. Tegelijkertijd moeten problemen rond registratie en beschikbaarstelling van informatie door overheidsregulering worden verholpen. Informatie ten behoeve van kwaliteitsbewaking en zorgonderzoek moet niet steeds per geval worden georganiseerd. De informatievoorziening voor kwaliteitsbewaking en evaluatie moet integraal onderdeel uitmaken van de zorgprestatie en daarin integraal gefinancierd worden. Met andere woorden: indien we aan de professionele zorgverlening de eis stellen van continue evaluatie van de technologie en van de eigen kwaliteit, dan dienen we die ook als onlosmakelijk onderdeel van de zorg te verzekeren en te financieren. Zorg waarover geen informatie beschikbaar is voldoet dan niet aan de te vergoeden prestatie. Daarmee zouden we een belangrijk vacuüm dichtten tussen beleid, zorg en onderzoek.
4. De bestaande wettelijke aansprakensystematiek is geheel geënt op interventies en nauwelijks of niet op ziekten en indicaties en biedt daardoor geen aanknopingspunten voor afstemming met kwaliteitsstandaarden. Het is nu vrijwel onmogelijk om indicatiegebieden te specificeren; daaraan zal selectief behoefte bestaan bij nieuwe en soms ook bij ingeburgerde zorg. Indicatiegebieden moeten op een minder vrijblijvende manier kunnen worden geborgd. De systematiek van de aanspraken moet een kapstok bevatten om daar bij uitzondering specifieke indicatiebepalingen aan op te hangen en systematisch de relatie te leggen met gepast gebruik in de praktijk.

Deze vier aanbevelingen vereisen een volledig herschrijven van de wettelijke aansprakensystematiek. De voorgestelde aanpassingen zijn in de Nederlandse situatie niet allemaal nieuw maar hebben tot nu toe tot ad hoc regelingen geleid of zijn in het geheel niet geborgd. Gezien de samenhang van de aanbevelingen zijn marginale aanpassingen van of aanvullende regels bij de huidige aansprakenregelingen absoluut ontoereikend. Het is onvermijdelijk dat we de wettelijke kaders voor keuzen in de

zorg from scratch opnieuw opschrijven en op weg daar naartoe een expliciet debat daarover voeren met alle betrokken partijen.

3. Onderzoek

Tot slot kom ik bij de implicaties voor onderzoek die uit het voorgaande voortvloeien en daarmee geef ik in grote trekken de onderzoeksagenda van mijn leerstoel aan. In het voorgaande heb ik aangegeven dat op grond van de ervaringen rond de inhoud en het proces van beoordelen het traditionele beleidsmodel niet langer voldoet. Het hoofdthema voor mijn onderzoeksagenda is dan ook "naar een hogere kwaliteit van keuzen in de zorg." Dit levert drie deelthema's op: 1) criteria voor keuzen in het pakket, 2) omgaan met innovaties en 3) nieuwe vormen van beleid.

1. Binnen het thema criteria zullen vooral noodzakelijk te verzekeren zorg, effectiviteit en kosteneffectiviteit aan de orde komen. Daarbij zullen we bij alle criteria kijken naar drie aspecten: wat is het maatschappelijk draagvlak voor het criterium, hoe is het geoperationaliseerd en hoe wordt het toegepast; we zullen bij de vragen naar draagvlak ook kijken naar de rol van de media. We zullen ook kijken naar de relatie tussen die drie aspecten: is de operationalisatie zodanig dat de maatschappelijke vragen achter het criterium ook geadresseerd worden? En: wordt die operationalisatie in de beoordelingspraktijk ook gevolgd? Wat zijn de consequenties voor de bevindingen voor de inrichting en uitvoering van HTA? We zullen bovendien de Nederlandse ervaringen in de internationale context plaatsen. Binnen dit thema is een promotieplaats bestemd door het Zorginstituut.
2. Het thema "innovaties" zal aan de hand van praktijkvoorbeelden in Nederland en daarbuiten inventariseren hoe in het complexe samenspel van overheid en actors in de zorg de waarde van innovaties wordt bepaald en hoe die waarde wordt vertaald in beleidskeuzen van de overheid en van actors in de zorg. Daarin wordt bijvoorbeeld de confrontatie opgezocht van de klassieke HTA benadering met interactieve vormen van onderzoek en beleid; dat zal gebeuren aan de hand van concrete casuïstiek. Er loopt sinds ruim een jaar een promotieonderzoek van Payam Abrishami op dit onderwerp met co-supervisie van Professor Klasien Horstman van de Maastrichtse Universiteit. Ook zullen we binnen dit thema de mogelijkheden van synergie onderzoeken tussen keuzen van de overheid in het pakket en die van beroepsgroepen in kwaliteitsstandaarden.
3. Het thema "nieuwe vormen van beleid" zal studie maken van nieuwe manieren van interactief beleidsontwerp, in een samenspel van overheden met actors in de zorg. Recent is een promotietraject gestart rond New Modes of Governance van de EU ten aanzien van het HTA beleid van de EU; Magali Boers voert dit onderzoek uit. In dit project zullen we samenwerken met Professor Robert Harmsen van de Universiteit van Luxemburg. Een interessant aspect van dat onderzoek is dat daarbij HTA zelf onderwerp van (internationaal) beleid is. Binnen dit thema zullen we ook het onderwerp "scoping" oppakken: scoping is tot nu toe een verzamelbegrip van activiteiten rond de start van een keuzeprobleem in de zorg, waarbij de probleemstelling wordt verfijnd. De vraag is hoe we dat proces organiseren met optimale betrokkenheid van belanghebbende partijen in de zorg.

Voor dit onderwerp zullen we de samenwerking aangaan met Professor Gertjan van der Wilt van het Radboud UMC.

Daarnaast zal binnen dit thema de vraag aan de orde komen naar de procedurele en institutionele vormgeving van Appraisal; daarbij gaat het om de relatie met Assessment, afwegingskaders en –processen, methoden als Multi Criteria Decision Analysis en de relaties tussen Assessment, Appraisal, advies, besluit en praktijk. Voor dit omvangrijke onderwerp zal de samenwerking met de bestuurskunde onmisbaar zijn.

Voor de inrichting van deze onderzoeksthema's zijn niet alleen de genoemde verbanden met andere academische instituten van belang, maar ook een gestructureerde relatie met de praktijk van beoordelen en adviseren door het Zorginstituut. Wij zullen een gestructureerd samenwerkingsverband opzetten in de vorm van een Academische Werkplaats Pakketbeheer bij het Zorginstituut. Daarnaast zullen wij via detacheringen, stages, onderwijsactiviteiten, participatie van beleidsmedewerkers in onderzoek en onderzoekers in beleid de verbinding tussen onderzoek en beleid faciliteren. Daar zullen niet alleen Zorginstituut en iBMG profijt van hebben; het zorgbeleid en het zorgonderzoek worden daar naar mijn stellige overtuiging beter van en die uitwisseling biedt bovendien uitdagende ontwikkelingskansen aan mensen in Diemen en in Woudestein.

**Mijnheer de rector Magnificus,
Mijnheer de Decaan,
Leden van de Raad van bestuur van Zorginstituut Nederland,**

Hiermee aanvaard ik het ambt van bijzonder hoogleraar met de daarbij behorende leeropdracht. Ik dank het College van bestuur van de Erasmus Universiteit Rotterdam en het bestuur van Zorginstituut Nederland voor het in mij gestelde vertrouwen en zal mij inzetten om dat vertrouwen niet te beschamen.

Ik ben veel dank verschuldigd aan hen die hebben bijgedragen aan deze leerstoel en ik dank hen die mij een warm welkom bezorgden bij iBMG. Ik noem met name Tom van der Grinten, Arnold Moerkamp, Marian Grobbink, Jan van den Bosch, Marco van Dijen, Leida Schoutsen, Tineke Sier, Werner Brouwer, Roland Bal, Paul Robben, Kor Grit, Antoinette de Bont, Anne Jonker, Laurens van der Molen. Ik dank hen die mij het leven gaven: mijn ouders – niet meer bij ons. Ik dank mijn Maker.

Ik dank mijn kinderen: Maarten, Mirjam, Mardi en Lianne, voor hun inspirerende en vaak ludieke support.

Mijn dank en bewondering en liefde voor mijn maatje-voor-het-leven is onuitsprekelijk. Marianne, ik hou van je.

Ik heb gezegd.

Referenties

1. Tweede Kamer der Staten Generaal. 1995. Kostenbeheersing in de Zorgsector; Brief van de minister Tweede Kamer; vergaderjaar 1995-96; 24124. Den Haag: Tweede Kamer de Staten Generaal.
2. Moret-Hartman, M. 2008. Problem structuring in health technology assessment: an argumentative approach to increase its usefulness. Nijmegen: Academisch Proefschrift.
3. Grinten, T.E.D. van der. 2006. Zorgen om beleid; over blijvende afhankelijkheid en veranderende bestuurlijke verhoudingen in de gezondheidszorg. Afscheidscollege. Rotterdam, Erasmus Universiteit Rotterdam...
4. Banta, D. 2003. The development of health technology assessment. *Health Policy*, 3(2): 121–132.
5. Garrido, V.M., Kristensen, F.B., Nielsen, C.P., Busse, R. 2008. Health technology assessment and health policy-making in Europe – Current status, challenges and potential. *Observatory Studies Series, No.14*; on behalf of the European Observatory of health systems and policies. Copenhagen: WHO.
6. Rutten, F. 2004. Health Technology Assessment and policy from the economic perspective. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 20: 67-70
7. Rawlins, M.D., Culyer, A.J. 2004. National Institute for Clinical Excellence and its value judgments. *BMJ*. 004;329 (7459):224–227.
8. Ziekenfondsraad.1986. Grenzen aan de groei van het verstrekkingspakket. Advies nr. 319. Amstelveen: Ziekenfondsraad. .
9. Ziekenfondsraad. 1991. Derde advies inzake grenzen aan de groei van het verstrekkingspakket. Advies nr 515. Amstelveen: Ziekenfondsraad.
10. Commissie Keuzen in de zorg. 1991. Kiezen en delen. Rijswijk: Ministerie van WVC.
11. Tweede Kamer der Staten generaal. 1990.Vaststelling van de begroting van de uitgaven en de ontvangsten van hoofdstuk XVI (Ministerie van Welzijn, Volksgezondheid en Cultuur) voor het jaar 1991. 21800. Den Haag: Tweede Kamer de Staten Generaal.
12. Boer, A. 1999. Assessment and regulation of health care technology. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 15: 638-648.
13. Boer, A. 2002. Onderzoek op maat. Een verkenning van factoren voor het gebruik van Technology Assessment. Rotterdam: Academisch Proefschrift.
14. Rossum, W. van. 1999. Decision-making and medical technology assessment: Three Dutch cases. *Knowledge and Policy*, 4 (1/2):107-124.
15. Grinten, T.E.D. van der, Kasdorp, J.P. 1999. Choices in Dutch health care: mixing strategies and responsibilities. *Health Policy*, 50: 105-122

16. Gezondheidsraad. 2003. Contouren van het basispakket. Den Haag: Gezondheidsraad
17. Vollaard, H., Bovenkamp, H.M., Vrangbaek, K. 2013. The emerging EU quality of care policy: From sharing information to enforcement. *Health Policy*,111(3): 226–33.
18. Abrishami, P. 2011. Da Vinci Surgery: Is It a No-brainer? Robot-assisted Prostate Surgery in the Mirror of Social Health Insurance. Diemen: College voor zorgverzekeringen.
19. Brouwer, W. 2009. De basis van het pakket. Urgente uitdagingen voor de opzet en inzet van economische evaluaties in de zorg. Inaugurele rede. Rotterdam: Erasmus Universiteit Rotterdam.
20. Buijsen, M. 2014. Ben ik soms te duur? *Trouw*, 14 sep 2014.
21. Porter, M.E., Olmsted Teisberg, E. 2006. *Redefining Health Care: Creating Value-Based Competition on Results*. Harvard Business Press Books.
22. Porter, M.E. 2010. What Is Value in Health Care? *Ph.D. N Engl J Med*, 363:2477-2481.
23. HTAi Policy Forum. 2013. HTA and Value: Assessing value, making value-based decisions, and sustaining innovation. Background Paper for Barcelona meeting.
24. Oliver, S., Gray, J. A. 2006. *Bibliography of research reports about patients', clinicians' and researchers' priorities for new research*. London: James Lind Alliance.
25. Smit, C. 2012. *Een nieuwe horizon. De toekomst van de patiëntenbeweging in Nederland*. Kirjaboek.
26. Dirksen, C.D., Utens, C.M.A., Joore, M.A., van Barneveld, T.A., Boer, A., Dreesens, D.H.H., van Laarhoven, H., Smit, C., Stiggelbout, A.M., van der Weijden, T. 2013. Integrating evidence on patient preferences in healthcare policy decisions: Protocol of the Patient-VIP Study. *Implementation Science*, 8:64.
27. Reuzel, R.B.P., Van der Wilt, G.J., Ten Have, H.A.M.J., De Vries Robbé, P.F. 2001. Interactive Technology Assessment and Wide Reflective Equilibrium. *J Med Philos*, 26 (3): 245-261.
28. Blume, S. 2000. Land of Hope and Glory: Exploring Cochlear Implantation in the Netherlands; *Science. Technology and Human Values*; 25 (2): 139-166.
29. Kouwenberg, H., Bijl, J. 2012. Hoeveel mag 28 meter lopen van een Pompe-patient kosten? *De Volkskrant*; aug 2012.
30. Walker, S., Sculpher, M., Claxton, K., Palmer, S. 2012. Coverage with evidence development, only in research, risk sharing, or patient access scheme? A framework for coverage decisions. *Value in Health*,15 (3): 570-579.
31. Turner, J.A., Hollingworth, W., Comstock, B., Deyo, R.A. 2010. Experiences Conducting a Coverage With Evidence Development Study of a Therapeutic Device. *MedCare* 48 (6):129-136.

32. Bal, R. 2006. Van beleid naar richtlijnen en weer terug. Over het belang van 'vage figuren'. In: Orchestratie van gezondheidszorgbeleid. Besturen met rationaliteit en redelijkheid; ed: Helderman JK, Meurs P, Putters K.. 81-93 Assen: Van Gorcum
33. Egmond, S. van, Bekker, M., Bal, R., van der Grinten, T.E.D. 2011. Connecting evidence and policy: bringing researchers and policy makers together for effective evidence-based health policy in the Netherlands: a case study. *Evidence&Policy*, 7 (1): 25-39.
34. Grin, J. 2008. The multi-level perspective and design of system innovations. In: vdBergh J, Bruinsma FR. *Managing the transition to renewable energy. Theory and practice from local, regional and macro perspectives*. Cheltenham: Edward Elgar.
35. Daniels, N. 2000. Accountability for reasonableness: Establishing a fair process for priority setting is easier than agreeing on principles. *BMJ*; 321.7272 (2000): 1300.
36. Institute of Medicine. 2001. *Crossing the Quality Chasm: A New Health System for the 21st Century*. Washington: IOM.
37. SEO. 2014. *De farmaceutische industrie in het maatschappelijk debat*. Amsterdam: SEO.
38. Bögels, A. 2012. In: *Levensverlengende zorg..... tegen elke prijs? Een debat over verantwoorde keuzen en solidariteit in de zorg*. Diemen: College voor zorgverzekeringen.
39. Kievit, J. 2012. Niet behandelen is soms beter. *Medisch Contact*, 09: 522-24.
40. Kooi-Dijkstra, M. van der. 2013. Wie stelt de grote vragen nog? *Trouw*, 1 juni 2013.
41. Enkin, M., Jadad, A.R., Smith, R. 2011. Death can be our friend; Embracing the inevitable would reduce both unnecessary suffering and costs *BMJ*,343: d8008 (ed).

I am very grateful to Roland Bal, Werner Brouwer, Tom van der Grinten en Paul Robben for their excellent advice in the preparation of this lecture

Choices in Health Care: truth and values

**Esteemed Rector Magnificus,
Esteemed Dean,
Members of the Board of Directors of the National Health
Care Institute,
Colleagues of the Institute of Health Policy & Management
and the National Health Care Institute,
Highly esteemed audience,**

Choices in health care

There are few topics that arouse so much agitation and controversy in the public debate as choices in health care. Whether it's expensive treatments in oncology, or the reimbursement of maternity care, smoking cessation therapies or Pompe disease – when the discussion turns to health care, the temperature rises. The concerns affect everyone – whether the treatment will still be available, discussions about the limits of compulsory solidarity, weighing high costs against limited or uncertain effects of care, how to incorporate the patient's preferences in the decisions, whether we still see the patient and the caregiver as human beings in the midst of all this technology. At the same time, the way we make health care decisions in the Netherlands is a complicated and obscure matter for most people. The distribution of tasks between doctors, patients, hospitals, health insurers and the government is complex, and the decisive criteria are always under discussion. In addition, science is constantly providing new insights into the complex issue of choices in health care: from medicine, health care sciences, public health law, public health economy, sociology, governance and ethics.

Truth and values

The matter of choices in health care involves a complex interaction of truth and values. The actual truth about the features of diseases; the distribution of risk over the population of a particular disease; what a drug or a test can and cannot do and how that varies according to patient characteristics; the price of a drug; how best to conduct research and prepare guidelines; the composition of the health care system and what limits to it are set by the government; the cost of care; how these choices are made in other countries. All of them truth, factual knowledge, obtainable by research.

But at the same time, there are value issues. What counts in decision-making? How important is a particular effect of care to us, and do patients and doctors weigh those aspects in the same way? How do we value our chances, especially when treatments have serious adverse effects? How much do we appreciate the marginal added value of a treatment, or the prevention of a risky adverse effect or subjective improvement? The answers vary depending on who is doing the replying – a patient, a doctor or a premium-paying citizen. Citizens belong to this list because they are also involved: what appeals can we make to citizens who pay their mandatory premium for the basic health care insurance every month, and what demands can those citizens make of the government regarding how the money is to be spent? What about co-payments? What can you expect from the way decisions are taken in the consultation room, and which criteria can we impose on the choices made by professional groups, health insurers, the government? How do we cope with the business interests of health care institutions and health insurers? And what about those of the manufacturers, which develop hopeful technology but also want to market it? These are value issues. It is evident that both truth and values are involved in all choices in health care.

A preliminary example

Let me start with a classic example. It concerns an old drug that had been used for years but that suddenly became a topic of discussion: Mebeverine, known under the brand name Duspatal®. It is a reliable product primarily prescribed by GPs for the treatment of a harmless but common complaint, namely irritable bowel syndrome. At some point, research showed that the product was ineffective. Following the recommendation of the Health Insurance Funds Council, the minister therefore decided not to reimburse that product from the health insurance funds any more¹. A storm of protest ensued, and led to a legal fight. Ultimately, the minister had to reverse her decision, and Mebeverine continued to be reimbursed. The decisive arguments in the ruling involved the benefit experienced in practice: a handy product for the GP and a strong placebo effect for patients. If the product were not to be reimbursed any longer, the benefits would disappear.

This story is striking for a number of reasons.

1. It does not concern a serious disease, nor a rare one; the severity of the disease could not be the argument therefore.
2. It does not concern an expensive product; the patients could most likely pay for it out of their own pockets, if they wanted to continue to use the product.
3. Even the apparently indisputable criterion of effectiveness was not sufficient and had to give way in the face of massive social pressure, exerted through the judge.
4. This “reimbursement issue” took place in the mid-1990s. The minister in question was Els Borst, one of the great advocates of evidence-based medicine. We were evidently familiar with those issues back then, and clearly there was no black&white choice even then.

Searching for the causes

The unsuccessful recommendation about Mebeverine was followed by more evaluations of drugs. At the end of the 1990s, the Health Insurance Funds Council conducted a research programme called “ Policy evaluation of pharmaceuticals”. The outcome of that programme in terms of evidence had little or no effect on the

pharmaceutical policy of the government or professionals. What could we learn from this? The fiasco of effectiveness studies with an evident outcome stimulated the Health Insurance Funds Council to conduct an evaluation. What could we learn from this case that could be applied to setting up such a research programme? Thus, the role of research was being investigated.

The evaluation was entrusted to Professor John Grin of the University of Amsterdam; the study was conducted by Margriet Moret-Hartman, who wrote a doctoral thesis on the results in 2008 under his supervision and that of Prof. Gertjan van der Wilt². One of her articles concerned the Mebeverine case. A quotation from her thesis: "Possibly, problem definitions underlying HTA do not concur sufficiently with the problem definitions held by policy makers or clinicians The funding and usage problems.... were ill-structured. Actors disagreed on the information needed and the norms at stake. As a result, the problem definition shifted, and the resulting problem definitions failed to correspond with the problems perceived by the target populations. ... To ensure that future studies on health care problems are useful, it is imperative that policy makers take the problem definitions of potential users into account". This neatly sums up the issue of truth and values.

Outline of this lecture

In this lecture I shall explore how we can find a fruitful interplay of truth and values in making choices in health care and how scientific research can contribute to this.

I shall structure it in three parts:

- I. The development of health insurance package management;
- II. The practice of health insurance package management: developments and challenges;
- III. The implications of those challenges and developments for the design of health insurance package management and for the research agenda of this chair.

There is an abundance of documented and undocumented knowledge about the choices in health care, and I shall draw on both.

Let me first clarify two definitions.

First: when referring to choices in health care, all actors are involved: the choices of patients and practitioners in the individual care relationship; the choices of institutions, health insurers and scientific associations; and the choices of the government regarding the basic health insurance package and the approval, planning and financing of care. This lecture concerns health insurance package management as a specific form of choices in health care, but it will become clear that we cannot extract the management of the basic health insurance package from all the other choices.

Second: the term "research" roughly covers two types of research³:

- Research of technologies to support decisions concerning those technologies, often called Health Technology Assessment, like the evaluation of the effect of a new drug. That is an example of research for policy.
- Research into the decisions themselves; how do we choose, what does the policy consist of, and what is the procedure. This includes examining HTA's role in this process. With this form of research, the policy – including the research to prepare the policy – is the object of the research: research of policy.

I The development of health insurance package management

I shall first discuss the development of health insurance package management as a specific form of choices in health care, putting its development in the Netherlands in an international context.

An international trend

It is only in the last 30 years that the Western world has explicitly thought about whether a particular form of health care should be introduced in the standard package of health care insurance or not. A trend developed in several countries in the 1980s that favoured a critical evaluation of new health care technologies as an alternative to their more or less automatic acceptance^a. The introduction of expensive, industrially developed technology (drugs and increasingly often devices, too) was an important stimulus for this critical evaluation. But non- industrial procedures, like surgical treatments, were also frequently included. Heart, liver and lung transplants were among the first topics on the agenda in the Netherlands, along with breakthroughs in reproductive medicine like IVF.

From the very start, the need for explicit choices was associated with the development of applied evaluation research to support the choices: Medical Technology Assessment (MTA), which later evolved into Health Technology Assessment (HTA)^b. In all standard definitions of MTA and HTA, they concern the evaluation of a technology on the basis of effects and implications for health care, aimed at supporting a concrete decision.

Technology Assessment (TA) was developed in the USA in the 1970s to support the government's decisions on new technology, initially ones outside the health care sector. The American Congress established an Office for TA: the OTA existed from 1972 to 1995. When OTA disappeared from the scene, TA appeared on the European level. The systematic assessment of health care technology has been primarily spread throughout Europe by David Banta⁴.

MTA centres sprung up in many Western countries in the 1990s, sometimes as independent institutions, sometimes linked to academia, sometimes tied to

a The marketing authorisation of drugs dates back two decades earlier; this formal authorisation has the form of a commercial licence based on demonstrated safety and efficacy.

b Depending on the period I am referring to, I use either the term MTA or HTA.

government organisations. International links were quickly established through which scientific knowledge in the field of MTA was exchanged, and links were also created between science, policy and manufacturers, like the HTAi Policy Forum.

There are good reasons to consider the development of health insurance package management – in all its variations – as a trend strongly stimulated by the international MTA field. The MTA world soon issued a strong “moral” appeal to policy makers in health care to make explicit, well-founded choices based on MTA. The more recent European network, EUnetHTA, started as an initiative of several active European agencies and has achieved political and financial recognition from the EU in the past few years. While its main aim is international coordination and joint assessments, one of the other ambitions of the network is to promote the development of HTA in all member states of the EU.

Within the international MTA domain, important differences in content arose between countries and within countries; the economic aspect in particular still divides the playing field. In the Netherlands, Sweden and the UK, MTA initially received a strong health economics emphasis. In the USA, MTA traditionally consisted of secondary effectivity research based on meta-analyses and literature reviews. Germany continues to be ambivalent about economic choice criteria. In the Netherlands, alongside the economic form of HTA, other more interactive forms of HTA emerged.

International comparisons

Global HTA networks like HTAi and EUnetHTA offer a useful platform for international comparisons of methods and systems for choices in health care. In addition, the OESO and the European Health Observatory of the World Health Organization (WHO) have been actively comparing national systems and their outcomes, such as in the field of HTA and the design of choice issues in health care.

The overviews revealed that many countries have now established their own system of choices. Some countries have gone further than others. The new EU member states in Eastern Europe initially had a substantial backlog in the systematic evaluation of health care technology and associated decision-making, but partly thanks to collaboration within the European networks, their evaluation and choice systems are developing rapidly. Countries largely agree about the content of the objectives and their urgency. There is also agreement about the criteria, with the significant exception of the cost effectiveness criterion: that is not accepted by all countries. The biggest differences concern the manner of ensuring the HTA input in procedures and institutes. A recent overview by Garrido et al, published as a report of the European Health Observatory⁵, shows that the structural connection between HTA and policy decisions is definitely not commonplace everywhere. Frans Rutten also made this clear⁶.

The differences are founded partly on differences in the health care systems and partly on the way in which HTA is organised and the extent to which institutional links exist between health care policy and HTA. Each country has its own arrangement of choices in health care and wants to make those choices itself, even in an age of intensive international exchange. The advent of the European EUnetHTA made this apparent. It became important to distinguish clearly between research and policy: the striving for coordination and collaboration in HTA is broadly endorsed, but the member states remain responsible for taking decisions (including on packages). Even given the ambitions to collaborate in HTA, the subsidiarity principle still applies

to decisions regarding packages. This justifies the expectation that collaboration on content – but not on decisions – will increase rapidly.

NICE

An important milestone in the development of choices based on HTA was the establishment of the National Institute for Clinical Excellence, commonly known as NICE, in the UK in 1999. NICE was given two tasks^c: offering guidance to the British health care regions in deciding on which health care interventions to purchase; and producing clinical guidelines. NICE has swiftly gained international authority,⁷ raising the interesting question of how NICE could become such an international paragon so quickly. Several factors have been shown to be influential, such as a sound scientific method. From the beginning, NICE has linked its work to research and established structural relations with several academic institutions in the UK. Second, NICE has elaborated the content and all elements of its methodology and procedures in detail and actively published them. For example: the Citizens Council of NICE as a means to involve patients directly has been extensively reported on, evaluated, criticised and held up as a model. The third important factor is its website. From the start, NICE realised that easily searchable and clearly arranged information is crucial: about its agendas, methods and procedures, criteria and the ensuing debate, scientific support, method development, state of affairs of dossiers, intermediate products, commentaries from proponents and opponents, end products, results and evaluations. For lay people, policymakers and researchers, the NICE website is a useful source of information. In addition, a great deal of effort has been put into scientific publications and all kinds of links with academia. The amount of attention paid to formal and informal publicity undeniably contributed to the reputation of NICE. The fourth factor I perceive is the fact that NICE is transparent about unsolved issues and changes in course.

There has been some criticism of NICE from the international HTA world because NICE initially adopted a rather aloof stance in these networks.

Whatever the case may have been, NICE has produced a wealth of experience in all aspects of choices in health care and shared this experience widely. Much of it is not applicable to other countries and systems because of differences in context, but it is correct to consider NICE a benchmark.

The Netherlands: "Limits to the package" and the Dunning Commission

The Netherlands was part of the vanguard of the international MTA movement and participated actively from the start in the international networks. The National Health Council and the National Health Insurance Funds Council took the initiative to introduce choices in health care in the Netherlands. At the National Health Insurance Funds Council, Siem van der Kooij, the medical secretary at the time, developed much of the later system. He built on the efforts launched in the early 1980s by the National Health Insurance Funds Council in the form of recommendations about the "Limits of the Benefit Package". The second advisory report in the series (1986) clarified the link to the research required for decision-making: MTA⁸. The "third advice on limits" (1991) clarified that outcomes of evaluations differ so much from indication

c ...a raft of new tasks was added subsequently, such as the addition of public health as domain; the official name changed to match, but the abbreviation "NICE" remained.

to indication that it is difficult to take general decisions for a health care innovation and that refinement according to the indication is often required⁹.

The well-known advisory report issued by the Dunning Commission in 1990¹⁰ added important aspects to the "advice reports on limits". It presented the evaluation of forms of health care as a stepped decision system, and is known as the funnel of Dunning. Although it resembles a series of "sieves" rather than a funnel, the funnel of Dunning became a popular term in subsequent years. The "sieves" are the decisive criteria. Some of them concern the substance (effectiveness and efficiency), some refer to the health care problem in question (necessity), and some explore the issue of the boundary between collective insurance and personal responsibility ("for own account and responsibility"). The Dunning commission operationalised the criteria and made specific choices to do so: for example, it presented specific proposals about what was meant by "necessity" of health care provisions. In addition, the commission included the efficiency criterion as a "sieve"; in other words, the commission felt that a particular form of health care could be dropped on the sole grounds of inefficiency. Another striking aspect of the Dunning report is the amount of attention paid to appropriate health care: efficiency in the health care system is achieved not just by limiting the package but in base line practice as well.

The development of MTA in the Netherlands

Around 1990 the effectiveness and cost effectiveness of several pioneering interventions were evaluated in the Netherlands, encompassing heart transplants, liver transplants and IVF; the specifications of breast cancer screening were also based on cost effectiveness analyses. A striking finding of the early examples of MTA research was that they did not lead to a yes/no decision, but to a "conditional yes": the specification of a range of indications for that treatment, or a restriction to certain centres, or to a certain number of interventions, or to combinations of the above.

Investigative medicine

Siem van der Kooij took the initiative, together with Frans Rutten and others, to create a comprehensive MTA programme that would provide the material for a series of policy decisions regarding innovations: the Investigative Medicine Programme. In this programme, innovations in health care (and later existing forms of health care as well) were systematically subjected to effectiveness and cost effectiveness research. In the parliamentary paper (1990) in which state secretary Simons launched the Investigative Medicine Programme, he reported on effectiveness research and health economics research. The result of development medicine studies would be: a) inclusion in or exclusion from the insurance package; b) clarification of the indication; c) removal from the insurance package; d) taking measures to ensure a more efficient use of methods and techniques; e) a planning decision (for example, art. 18 Hospital Facilities Act, WZV); f) a decision for a preferred form of financing; g) a combination of specified decisions.¹¹ A striking aspect of this design is that the requirement for MTA derives from the necessity to regulate forms of health care, rather than just from health insurance package management. In other words, the point was not to support health insurance package management but to deal sensibly with health care innovations. The forms of policy (package decisions, methods of financing, planning, promoting appropriate health care) would be determined on a case-by-case basis according to the outcomes of research.

The Investigative Medicine Programme has evaluated about 100 innovations in a decade. Roughly one-third led to a “negative” outcome, which suggested that the programme was acting as a “customs officer” at the border of health care. The programme was evaluated as a model of linking research to policy^{12,13}. There are quite a few examples of evaluations of top clinical health care that led not only to package restrictions (usually not total exclusion but restrictions on the range of indications) but also to parallel planning decisions, which was entirely in line with its objective. Typical examples include transplants and haemato-oncological treatments¹⁴.

At the end of the 1990s, it was decided to continue the programme in a different format, the Efficiency Research Programme of ZonMw. This move strengthened the link with research and weakened the link with policy. In the first few years of the programme, clinical issues took centre stage. More recently, the Efficiency Research Programme has put more emphasis on prioritising policy-oriented issues for efficiency research.

The year 2000: “10-year package discussion”

At about the same time that NICE was established, two remarkable reports were published in the Netherlands on choices in health care. In 2001 the Health Care Insurance Board (CVZ), the successor of the National Health Insurance Funds Council, issued the report, “The standard package, contents and limits”, based on an evaluation of the “10-year package discussion”. The CVZ’s conclusion was that the removal of forms of health care from the package appeared to be a precarious undertaking. Proposed decisions were often not implemented. The CVZ argued for a form of health insurance package management that would be based more on “fine-tuning” for each indication, thus repeating the findings of the third advice report on limits from 1991. It was one of the stimuli for an efficiency programme targetting choices in the practice of health care: appropriate use.

The same phenomenon was addressed in an article by Van der Grinten and Kasdorp on the occasion of ‘ten years after Dunning’¹⁵.

The National Health Council published “Contours of the standard package”¹⁶ at the same time (2003), in which it explored in depth the social basis for a mandatory standard package. The Council argued in favour of a nationally defined package and a national evaluation framework; it recommended especially looking at the experience gained by NICE.

The Health Care Insurance Act: a watershed between public and private responsibility

With the implementation of the Health Care Insurance Act (ZVW) in 2006, two aspects changed. First, the management of the package was safeguarded by law and its implementation assigned to the Health Care Insurance Board. Health insurance package management was thus institutionalised in a certain sense. Second, the formal involvement of the government in the effective implementation of health care came to an end. The government would concern itself solely with the question of what type of health care should be insured. The efficiency of choices on the meso- and micro-level was entrusted to the parties involved in health care, which were granted extensive freedom to act in the ZVW. This meant that the government’s instruments for effective health care (in the form of health insurance package management) and those of parties involved in health care (in the form of Quality Assurance programmes)

were divided by the proposed strict separation of public and private responsibilities. In the past few years, that link through arrangements between health insurance package management and the efficiency policy of professional groups has been partially restored. I shall return to this issue later. It is important to ascertain that an essential continuity in policy was hindered by this. The link between health insurance package management and appropriate use is thus not new at all, but has an historical precedence.

One component that did not change with the implementation of the Health Care Insurance Act was the system of agreements. This is not entirely correct in a legal sense, because stipulations about the manner in which health care is delivered did not appear in the Health Care Insurance Act, but did in the former Sickness Funds Act. The structure of the agreements and the type of evaluation criteria did not change much, though. That was a conscious choice: it was thought the Health Care Insurance Act would never be passed by the politicians if the contents of the covered package were to come up for discussion. Thus, several features of the Sickness Funds Act exist in the amended insurance legislation. Consequently, some necessary ingredients for health insurance package management would appear to be missing.

In the meantime, the criteria and procedures of health insurance package management were professionalised, and constantly improved and refined by learning from experience and from academic research. The four package principles that are currently valid were formulated on the basis of the funnel of Dunning: necessity, effectiveness, cost effectiveness and feasibility.

The four package principles deviate most strikingly from the funnel van Dunning in the lack of sequentiality; the outcomes of the four principles were weighted separately^d. Research to optimise the evaluation method was put into effect in the so-called academic projects, in which iBMG and the CVZ jointly developed operationalisations for the four package principles. The evaluation of health care technology became increasingly concrete, making use of the input from the Dutch Cochrane Centre and other reviewers and through participation in international activities in the field of HTA. As well as recommendations of what to include in or remove from the package, a form of health insurance package management developed that exclusively judged the effectiveness of new and existing forms of health care. Several dozen of these exclusive judgements are issued annually. The background of the limited evaluation lies in the status of these judgements: these "interpretations", as they are called, do not recommend changing laws but aim to make the existing regulations more explicit by evaluating particular forms of health care for their effectiveness^e, the only one of the four criteria with a legal basis.

Regarding the design of health insurance package management in the Netherlands, one important phenomenon remains to be considered: "Appraisal". In its advisory report of 2006, the Council for Public Health and Care argued in favour of separating health insurance package management into two phases: an initial phase of technical Assessment that ascertains the burden of disease, effectiveness and cost

d That is not true for the "effectiveness" criterion: a negative outcome based on it works like a "knock-out" criterion.

e The legal formulation of that criterion is "state of science and practice"; on the basis of the legislator's intention with the content of this criterion, this is operationalised as proven effectiveness.

effectiveness. This would lead to a decision in principle. In the subsequent phase, that decision in principle is tested, the so-called Appraisal; this involves a social evaluation. The House of Representatives decided in 2007, for reasons associated with the revised governance structure of the CVZ, to establish a "heavyweight" commission at the CVZ tasked with Appraisal: the Advisory Commission Package or ACP. This meant that Appraisal was constituted and distinguished from the technical Assessment it followed. Appraisal became a public process in the Netherlands, in which the outcomes of the evaluation of the four package principles are ideally deliberated upon, in the perspective of social views and values.

Conclusion

Let me summarise several observations on the development of health insurance package management as a form of choices in health care.

1. Health insurance package management evolved from the need to make explicit choices about innovations. It concerned developing a policy about research that enables the sensible use of breakthroughs in medical technology. Research, especially the MTA movement, has been not only the source of content but also a powerful catalyst for explicit choices in health care in many countries right from the start. In the Netherlands the Investigative Medicine Programme, a research programme, was the "embodiment" of health insurance package management and took 10 years to develop. Investigative medicine as a form of applied research closely followed the development of Evidence-Based Medicine in the medical profession.
2. The outcomes of the MTA projects led to decision-making in the public and private domains, which were often linked. Government measures aimed at the gradual introduction of new forms of health care covered the claims, the financing and the planning and were associated with the quality policy of the professional group^f. For example, health insurance package management went hand in hand with the promotion of appropriate care.
3. The outcomes of these studies resulted in several instances in the decision to reject the technology, but often it appeared that a refinement of the range of indications was required: a "yes if" decision. The necessity for nuanced pronouncements was already evident with the first MTA projects and was confirmed by the conclusion of "10 years of health insurance package management" in 2001. This fine-tuning, as it is called in the 2001 report, demands synergy between the choices the government makes and the choices at the meso- and micro-level: appropriate use of care. This reflects the intrinsic necessity of the links between government and profession, in both policy and research. It is striking that the Dunning report, which generally is seen as a reference point of health insurance package management, described the link between health insurance package management and the appropriate use of care in practice. With the introduction of the ZVW, the connection between the government's policy instruments and the promotion of appropriate health care temporarily

^f One example is the establishment of the haemato-oncological network HOVON.

disappeared; the responsibilities of the government and the parties were strictly separated, and thus a natural incentive for interaction between the government and the profession also disappeared. Previously, with the cancellation of the Investigative Medicine Programme, the structural connection of HTA with policy instruments was lost.

4. In the development of health insurance package management, the emphasis initially lay strongly on the context of the choice criteria. The Dunning commission advised politicians on a specific interpretation of what had to be insured in terms of health care; the efficiency criterion was also posited. The funnel of Dunning is based on a rational policy model in which the criteria actually question the technology; questions to be answered by MTA that lead to a decision. The health economic direction of MTA matched this well and stimulated it. The process of evaluation and decision-making, including the importance of interaction and social considerations, was examined much later than the content of the criteria; internationally, it is primarily NICE that carried out exemplary work. In the Netherlands, the consideration of the design of health insurance package management led to the institutionalisation of Appraisal in the form of the ACP.
5. The system designed around the package reflects to a great extent the model propagated in the original MTA literature, which was based on a time sequence in which agenda-setting, HTA, decision-making and implementation are sequential and lead to unambiguous and unique top-down decisions. The traditional "evidence base" has always taken priority; the importance of valuation issues from the perspective of the concerned parties was examined and institutionalised relatively late, like an "add-on" to the choice process. It is good to keep this linear, rational design of the choice process in mind as we continue to explore its practice.

II The practice of health insurance package management: developments and challenges

How does this system work in practice? What experience has been gained in the Netherlands and is it the same as experiences obtained elsewhere? In this middle section, I discuss practical experiences in health insurance package management.

We shall see that the Netherlands is not the only country in which the system of evaluating and choosing encounters major challenges. The prototype of these choices is the presentation of a problem in the form of health care innovation. The choice demands decision criteria; the criteria ask questions which research is expected to answer promptly and specifically; the answers usually do not apply to the entire patient population but only to a specific segment: ranges of indications.

I shall therefore discuss the following four aspects:

1. innovations and the interaction of associated interests;
2. decision criteria;
3. availability of relevant research results;
4. importance of ranges of indications.

1. Innovations: interests, evaluation, policy

As soon as new, expensive technology appears on the horizon, a large number of wide-ranging interests and viewpoints becomes involved. That in turn leads to debate. In the Netherlands there are countless examples of the debate on innovations: proton radiation, Da Vinci robot surgery, expensive drugs for rare "orphan" diseases and cancer, implantable devices in cardiology.

In all these examples, a few matters are evident. We see a clash of interests of parties and even between different interests of the government. We also note that it never boils down to a yes/no decision; the important point is dealing sensibly with technology. We find that diffusion of technology precedes thorough evaluation.

Every actor has his or her own perspective on innovations. The patient wants to benefit quickly from new treatment options. Doctors want quick access to them to improve the treatment results for their patients; they also derive professional prestige and sometimes extra income from innovations. Hospitals want to expand their technical arsenal (usually selectively, because they also weigh up costs and benefits) and can spruce up their image with advanced technology. The manufacturer has a marketing interest and would like a return-on-investment. Insurers have an interest in cost control on the one hand, while on the other they find it difficult to refuse groundbreaking and promising treatments when their image is under fire. The government has multiple interests: the safety of innovations must be guaranteed; at the same time it sets requirements for efficiency and cost control. However, the government benefits from access to promising health care and a healthy industrial investment climate and stimulation of the knowledge economy. In all contexts, in both the HTA field and the EU, and in discussions in the Netherlands about authorisation, reimbursement and planning of new technology, we see arguments from the different perspectives.

On the international level, the previously mentioned HTAi Policy Forum is an example of international forums where the conflicts are dissected and representatives of the industry, assessors, paying parties, doctors and patients discuss how to define the value of innovations and the consequences for the evaluation process. It is striking that primarily the intrinsic evaluation criteria and methods are exchanged, along with the formal routes of regulation and decision-making. Only more recently have the agendas included how we design the processes, how we incorporate the perspectives of concerned parties in the evaluations and decisions, how we deal with the lack of relevant research results.

In the EU context, the confrontation of the interests of manufacturers, governments, health care providers and financiers of the EU forms the background for the Joint Action on HTA¹⁷, which is the basis for the third expansion of EUnetHTA. In EUnetHTA it seems that different countries and systems often wrestle with equivalent issues about the same innovations.

How the various interests and considerations influence the choices regarding innovations is beautifully described in a report by Payam Abrishami, published by the CVZ in 2011¹⁸. The exemplary case is that of “Da Vinci” robot surgery, which is being rolled out rapidly in the Netherlands although its superiority over conventional surgery has not been demonstrated. Abrishami outlines which arguments and interests played a role in rolling out the Da Vinci robot in health care on the basis of observations from all parties concerned.

The Health Care Insurance Act does not provide a sufficient basis

In the middle of the debate, or rather as part of it, the evaluation of package authorisation is taking place. The recent Dutch experiences with package authorisations make it clear that a reimbursement decision on innovations cannot be taken in splendid isolation, because it produces little effect like that^g, or for several other reasons.

- The lack of a legal surety of the criteria required for the evaluation. This applies not only to the cost effectiveness criterion, but even to the question of whether an innovation is superior to existing technology. If an intervention is effective, the current law implicitly includes it in the package, even if it is not superior to the existing technology and is more expensive for an equivalent value. The Da Vinci robot is an example of this.
- If superiority has been demonstrated, it usually applies only to certain patient categories. Then restriction of the application to these patients is only possible in practice, because the Health Care Insurance Act does not include refinement for indications.
- The evaluation of the innovation lags behind the distribution in the market in many cases.

Below I shall consider these three phenomena in greater depth. The inadequacy of the law is partly responsible for the search for other solutions. This has led^h in recent years to public-private arrangements for new technology, for example between the National Health Care Instituteⁱ and professional groups^j, or between a ministry, the National Health Care Institute and the industry^k, or between hospitals, specialists and researchers^l. All these arrangements strive for a form of joint regulation of the introduction of innovations. Incidentally, existing technologies are involved in a number of these cases. These agreements about a guided introduction and evaluation of new technology are made between the government, doctors, patients and insurers. They are realised by means of an intensive exploration of the perspectives and objectives of all concerned parties.

g The Da Vinci robot falls under health care insurance because it is effective: that is the valid legal criterion (currently the only one). It has been shown not to be superior to conventional treatment, which makes it an inefficient innovation given its higher price. However, this does not form a legal basis for exclusion from the package. Given that a considerable number of Da Vinci robots are already in use when the decision must be taken, this implies that a recommendation to exclude it from the package will have little or no practical effect. In addition, the use of such an innovation, if not too expensive for the user, can be "invisibly" financed in the current DBC system.

h The inadequacy of the ZVW is not the only reason for the specified arrangements; I shall show later that the arrangements are indispensable for other reasons.

i The successor of the CVZ

j Projects with the Dutch Association of Obstetrics and Gynaecology concerning In Vitro Fertilisation, with the Dutch Association of Cardiology concerning implantable defibrillators.

k For example, price arrangements, pay-for-performance arrangements, conditional authorisation.

l The SEENEZ programme.

2. Decision criteria

Criteria form the core of the evaluation and decision-making processes; support for decisions depends on the extent to which the criteria match the perspectives of the parties in health care. In the criteria we define what counts when making choices, and it is not surprising that the debate about this primarily concerns choices in health care. I shall restrict myself in this discussion to the cost effectiveness and effectiveness criteria.

Cost effectiveness

Of all the criteria, the cost effectiveness criterion arouses the loudest discussion so I shall consider it first. The place of that criterion varies greatly in the Western world. Even in countries that have made cost effectiveness a set decisive criterion that is embedded in a careful choice process, as in the UK, we find fierce debates that can extend to accusations of NICE in the tabloids. We note also that NICE initiated the discussion about the application and value of the limits in oncology. Werner Brouwer pointed out in his inaugural lecture the importance of health economics in coverage decisions; he connected the techniques of health economics to societal values¹⁹.

In the Netherlands we apply the cost effectiveness criterion, but it is rarely the decisive factor in package recommendations. In the summer of 2012 a hefty debate suddenly ignited about the criterion applied in two CVZ assessments of expensive drugs for "orphan" diseases: decision criteria is the place where truth and values meet. Data about the cost per Qaly land in an arena of widely differing perspectives. The discussion concerned the legitimacy of the economic argument. The entire spectrum of standpoints was considered in turn, ranging from a blunt rejection of cost effectiveness as a criterion to thoughtful acclaim; usually the latter standpoint comes slightly after the former and via other types of media. After two years of calm, the KWF and oncologists are now arguing for the government to formulate a limit for cost effectiveness. This mirrors the concerns of institutions and professionals: hospitals are worried that an increasingly large proportion of their cost is taken up by exorbitantly expensive drugs, as are the doctors who are resisting the tendency to shift the entire responsibility for cost control to the consultation room of the doctor. Martin Buijsen brought up this invisible rationing recently in a newspaper article²⁰. It is striking that the debate about the validity of cost effectiveness as a decisive criterion is now being revived by the care services. It is an urgent appeal to the government and Parliament to set frameworks, with only hesitant responses so far.

Effectiveness

The other intrinsic criterion I shall examine is effectiveness. It would seem to be a no-brainer compared with cost effectiveness as everyone can agree that if a technology is not effective, it should not be reimbursed. When the National Health Care Institute issued a draft recommendation in August 2014 about the treatment of addictions, it was praised in the national newspaper *Trouw* for bringing up the issue of ineffective treatments. But reality is not that simple. Sometimes being ineffective is not enough to exclude it from the package; remember the example I started this lecture with. The question of how we define effectiveness is more complex than it seems at first glance, and that applies especially to the question of who defines the effectiveness and how the answer to that question affects the choice.

In fact, we determine the value of a treatment when examining its effectiveness. And speaking about the value of treatment: if there is one term that has caught on in the past few years, it is value^{21,22}. The name Michael Porter is inextricably bound up with that term; he argues in favour of expressing the value of health care in the outcome, the result, related to the cost. The international HTAi Policy Forum has repeatedly addressed the question of which values count²³. One of the benefits of the term value is that it covers more than clinical parameters and includes for example the value of a treatment in terms of quality of life, as seen through the eyes of the patient himself. Value thus becomes a term that can be "charged" with different characteristics, depending on your viewpoint.

Which effect matters, and for whom?

But who determines which outcomes matter? In pharmaceutical evaluation in the Netherlands, dossiers were until recently submitted by the manufacturers with prepared effectiveness studies; the routine evaluation of the dossiers consisted of the evaluation of the quality of the evidence; the endpoint chosen by the researchers and/or the manufacturer was taken for granted for a long time. The discussion about the relevance of the presented outcomes was initiated by the question of whether so-called intermediate endpoints are acceptable to the assessor. For the package evaluations, the emphasis lies on the definitive endpoints, which are sufficient for marketing authorisation, unlike the intermediate endpoints. In the evaluation of oncology, discussions arose between the applicant and the assessor about the preferred endpoint: disease-free survival or progression-free survival or something else. Naturally, preference is given to presenting results from endpoints with the largest result.

When talking about relevant endpoints, we are considering which treatment goals are important. Iain Chalmers showed that there are unexpected differences between effects that doctors consider important and the patients' preferences²⁴. In the Netherlands, Cees Smit has been heavily involved with this theme²⁵. We have been learning recently about shared decision-making and about patients' preferences and how to incorporate them²⁶. In other words: we must explicitly ask which endpoints are relevant and for whom.

An example of a difference in appreciation that has gained widespread attention is the case of cochlear implants²⁷. A clever invention that can compensate for congenital deafness to a great extent, it appeared to be technically very successful but was firmly rejected by part of the target group of deaf people²⁸. Since then, a debate has been ongoing in the HTA world about how best to conduct HTA; I referred to it earlier.

It's not just doctors and patients who have their own perspective about what is relevant. Researchers have their own point of view that is not automatically the same. Researchers prefer endpoints that are easy to measure and/or clinical results with the greatest contrast between the intervention group and the reference group. Manufacturers will propose certain endpoints from their perspective. And last but not least: regarding choices in insured health care, there is the question of which endpoints are valid for the person paying premiums: which effects appeal to the payer of premiums? In the discussion about the reimbursement of drugs for Pompe disease, the topics covered included the question of how relevant it is to be able to walk 28 meters further²⁹. NB: in this part of the debate on cost effectiveness, the emphasis

was not on the cost itself, but on the relevance of a particular effect and thus on having to appeal to the payer of premiums.

The choice of type of effect now happens afterwards

I observe that the debate about the relevance of particular outcomes often arises long after the research has been thoroughly conducted and reviewed and documented in assessment reports and then presented for social deliberation. This means that the sequence we are familiar with and that was proposed by the RVZ in 2006 and that fits in a linear, rational policy model is subject to discussion. In exceptional cases the order is reversed, for example when the CVZ has to evaluate the measures of effect relevant for insuring clinical treatment of severely obese children.

Defining endpoints cannot be done without considering values, and it requires a harmonisation of the various perspectives, including that of the payer of the premium along with those of the patients, researchers, practitioners and manufacturers.

This confrontation is a form of social judgement that should ideally precede the assessment. It has major consequences for the sequence of procedures in health insurance package management.

3. The availability of relevant research results

The decisive criteria, including the way in which they are operationalised (for example, which effects matter), require research results to support the choices. It is gradually becoming more the rule than the exception that when decisions need to be made, the relevant data are likely to be unavailable, or only irrelevant ones are available. This problem will grow bigger when we have to name the relevant effects explicitly first. The underlying cause of this is that the evaluation of innovations and the decisions based on it are failing to keep pace with their development and diffusion. This is especially evident with industrial products that are marketed before the precise added value of the innovation is evident compared to the already available health care and before we know who will benefit from the added value and who will not (i.e. the clinical condition). In addition, it is often not known in advance which added value is relevant, which conditions must be met to apply the technology in question effectively, what the cost will be in practice, etc. On the other hand, the need to take decisions is already there: expressed by patient associations, professionals, hospitals, insurers, the government, with different needs for each actor. This concerns the technology's position in clinical practice, the organisational conditions and consequences, cost, the manner of financing, inclusion in the standard package or not. Choices must be made when much is still unknown. An additional complication is that different parties set different requirements and expectations, and thus define different endpoints.

Preliminary decisions, with research

The fashionable solution is a preliminary coverage decision until sufficient research results become available (Coverage with Evidence Development, CED). Some form of CED has been introduced in a large number of countries, including the UK ("only in research") and the Netherlands ("conditional access" to the package). This created an alternative to the single definitive decision.

Since 2006 numerous publications have presented a range of alternatives for the

unique and dichotomous yes/no package decision. A good overview of all variations, including a proposal for a taxonomy, can be found in Walker et al.⁵⁰ The variations differ in aims, conditions, scope, etc.

In the Netherlands three variations are currently distinguished:

1. conditional reimbursement of technology whose effectiveness has not been adequately ascertained;
2. "pay for performance" arrangements: the effectiveness has been confirmed for a subgroup of the patient population, but we do not know beforehand which patients will benefit; then a financial agreement is made with the manufacturer about refunds in individual cases where a drug is shown to be ineffective;
3. price or volume agreements between the government and the manufacturer; in this variation the intrinsic "performance" is already known.

In the Netherlands "arrangement" is often used as a collective term for these three variations. The word "arrangement" reflects the reality well because this type of solution for evaluation and choice problems generally requires more parties than just the applicant and the assessor. Usually, several parties are involved in setting the goals, choosing the type of arrangement, elaborating the essential conditions and implementing it, for example hospitals, practitioners, researchers, patients, insurers. All these different perspectives are involved in the design and the implementation of these arrangements; the discussions focus on the goals, variations, research questions, methods, implementation types, cost, interim reports and follow-up of outcomes in the decisions of the government and the parties. Concerning the last point: the outcome of an arrangement does not always have to be an explicit reference to the package; the position of a new form of health care can also be documented in treatment guidelines, thus becoming part of the quality standard.

Evaluations of preliminary decisions

It is still too early to evaluate the Dutch experience with the new arrangements. But numerous international evaluations have already been published, which reveal the added value of these arrangements along with scepticism³¹. The scepticism reflects, for example, the fear of not being able to exclude certain technologies from reimbursement once they have been subjected to research. Other concerns include the question of whether the relevant information for decision-makers can be obtained in an interim period of research; the manufacturers are worried that a conditional authorisation, which can be considered a favourable solution for cases which would otherwise have been rejected, will further complicate procedures regarding research and authorisation.

When the intention in these arrangements is to generate "evidence" to support choices, an intensive commitment is required from a large number of parties. With their personal perspective, they bring their opinion about goals, conditions, implementation and follow-up of an arrangement; thus, this attractive new form of making choices in health care is an eminently interactive process bringing together the perspectives of a range of actors in health care for integration into a joint approach.

4. The importance of indications

Early in the development of health insurance package management as a form of choices in health care, it became clear that the subject of choice is not an intervention or technology, but an intervention associated with an indication^m. Examples mentioned above are heart transplants and liver transplants, which were not placed in their entirety in the package or even outside it, but given restrictions of indications. The background to this is that the effectiveness – obviously – depends on the area of application and on the cost effectiveness. Let me take the example of lung transplants. When a development medicine project clearly revealed that the cost per Qaly won with lung transplants exceeded 100,000 guilders,ⁿ the minister did not decide to exclude lung transplants from the package; instead, a follow-up study was requested to specify the range of indications: lung transplants must continue to be available for a restricted category of patients.

If we look at how the conclusions of assessments are formulated –for example in the EUnetHTA database, which contains over 1000 reports –we shall almost always encounter claims about its value for specific conditions or patient categories.

The practical implication of all this for decisions about reimbursement (more precisely: for statements about the effectiveness and thus about the cost effectiveness) is that these statements must be specified. Such specifications are difficult to formalise in terms of legal claims^o. That would lead to a finely tuned regulation that would have to be continuously adjusted due to the dynamics in the knowledge about the application of interventions, which is impractical both for legislation and in practice. The Dutch legislator solved this problem legally by determining in general that there is only a right to health care if the insured person has a “reasonable indication” for the intervention at stake. This puts the limitation of the claim firmly in everyday practice and no longer in explicit legal rules. Everyday practice has to define the range of indications individually for each intervention – or vice versa: must formulate the recommended treatment for each specific disease condition. We are still talking about choices in health care, but no longer via health insurance package management in a legal sense, rather in the form of quality guidelines.

This is not a typically Dutch problem. In addition, this form of choices in health care also takes place in an arena of standpoints, interests and perspectives. This is confirmed by the large number of publications on the “off-label use” of drugs, which focus on the indication rather than the drug; it is apparent from worldwide efforts to optimise the method of establishing guidelines.

For health insurance package management, the implication is that if the government cannot include or exclude the total intervention from the package, then restriction of the indication must be done in practice: appropriate use of care. It is evident that

m That is why reports of the National Health Care Institute refer to an “indication-intervention combination”

n This example occurred in the mid-1990s

o The exception that proves the rule is the so-called “appendix 2” in the Medicines Reimbursement System (GVS); special conditions for the claim can be documented in the appendix, which mostly lead to restrictions of the number of specific indications.

the appropriate use of care is not meant primarily to uphold claims; rather, the most important reason is to optimise the quality of care (including efficiency). This brings us to the correlation between government policy and the quality policy of professionals. Choices in health care rarely appear to be made on just one level. In many cases an interaction of actors is required, and thus the perspectives of those actors, their values and interests become part of the process, and that is precisely what we are seeing in the Netherlands and abroad.

Conclusion

I have described the four issues around choices in health care. Two of them concern the choice itself, namely the decisive criteria and the availability of research results. The other two issues concern the object of the decision, a health care technology: the complicated interaction of interests surrounding innovations and the crucial question of the range of indications. I have shown that interaction with all concerned parties, government included, is indispensable because of all four issues. Factual data play a role in all four, as do the perspectives of parties in which the data are placed. The practice of health insurance package management and the challenges encountered show that the rational policy model, consisting of single, dichotomous decisions based on research results, is no longer adequate. Ways to create links between policy and research, between the parties' perspectives and values, between truth and value issues must be developed, tested and evaluated. Before going on to the third and final part, I shall pause to consider this last aspect.

Bridge: truth and values for choices in health care

What do all these findings tell us about making choices and the role of truth and values in that process? In other words: what is the relationship between evidence and the parties' input of their own perspective, interests and knowledge? That is not a theoretical question, it is very much a challenge for those who wish to make choices conscientiously; a challenge that is being discussed as we speak in the workflows in Diemen-Zuid and Woudestein. I would like to make a few comments, which weave together the second and third parts of my lecture.

1. Whether or not Mebeverine works in treating irritable bowel syndrome depends on the definition of "work". It doesn't work but it does help, said one person. Having no more effect than a placebo is ineffective according to the standard definitions. But it definitely has a placebo effect. If the relevant research is valid, we can assume this is true, just like the effectiveness of penicillin against certain bacteria. The placebo effect of Mebeverine is a fact.
That being said, the truth is assigned a meaning from different perspectives; that always happens and in different ways. Different actors can attach varying interests and implications to research findings. My point is that it is relevant to know all perspectives and implications, to know who takes the decisions that affect other people. It is sensible and advisable that policy-makers include the perspectives of interested parties in an evaluation right from the start. This concerns essential points of view like the importance of the question itself (with possible implications for the policy agenda), the perception of the problem (with possible implications for the problem definition), new facts or criticism of the supportive research (with possible implications for the research), ideas about causes, links and consequences (with possible implications for the analysis), the importance of facilities for people (with possible implications for the considerations), the chance that certain decisions will be followed (with possible implications for the decision and its implementation), or potential specific blockades (with possible implications for the so-called flanking policy). This is not an exhaustive listing, it is meant to support the fact, that it is indispensable to go beyond the mechanistic distinction of Assessment and Appraisal and the sequence of it, and to encourage the respectful inclusion of other perspectives.
2. There is a great deal of interest, research and knowledge about this problem in the philosophy of science, in sociology, in governance studies and in politicology. In the past decade, much has been written about the limited applicability of the classic, linear HTA approach and the importance of argumentative analysis from the perspective of interested parties; I refer to an interesting contribution of Roland Bal³², and again to the thesis by Margriet Moret-Hartman, and to Egmond et al., who wrote about the institutional aspects of this process³³. There are many examples from other fields of policy like environmental protection (Grin³⁴). The linear, rational policy model cannot help us further with the difficult choices in health care. My remit will definitely require the input of the specified fields of knowledge to clarify how we can continue to optimise the process of making choices. In concrete terms, it will involve a revision of the relationship between Assessment and Appraisal, and of the methods of appraisal. We will have to "peel"

Appraisal down to its underlying meanings and see which intrinsic, procedural and institutional conditions can be formulated for that goal, and then to incorporate these conditions in the existing policy practice. To this end, we shall have to link recent experience and knowledge about health insurance package management to the specified knowledge fields.

3. I am describing a method here, and by this I want to stress that experiences and knowledge will have to be shared in the continuous exchange between policy practice and academia. We shall have to explore forms of interactive policy formation in the practice of policy. It must be possible to experiment and for things to fail. As taking consequential decisions is an inherent part of the government's role, the rules of the game on the way to the decisions are very important; I quote Daniels: "Key elements of fair process will involve transparency about the grounds for decisions; appeals to rationales that all can accept as relevant to meeting health needs fairly; and procedures for revising decisions in light of challenges to them. Together these elements assure "accountability for reasonableness"³⁵. As long as we apply Daniels' rules in research and in policy, we shall be improving the quality of decision-making.

The quality of decisions benefits from making connections, in contrast to the compartmentalisation of responsibilities and viewpoints or, even worse, bias. In the preceding parts, I have talked about connection in a variety of topics; I was not talking about compromise, but about being open to other viewpoints, recognising and exploring them. I mentioned the connection of what we now call Assessment and Appraisal; the connection between instruments of the government's health care policy, and their connection to the policy of the medical profession; the connection of policy and research and practice; involving the patient's perspective in decisions made in the consultation room. All of these connections improve the quality of decisions.

III Implications for policy and for research: towards improved decision-making

What are the implications of all this for the way in which we in the Netherlands make choices in health care and for the supportive research?

We know some things based on research and on international and personal experience, and we can translate them in the way we make choices, both in terms of how to design the legal framework for the choices better and the quality of the decision-making process itself.

There is also a lot that we don't know – especially how to use interactive research methods and evaluation processes in choices in health care, the organisation and intrinsic structure of the parties' involvement, the social considerations and the institutional safeguarding of this. The total represents a broad research agenda. I shall specify three types of implications of what we have seen so far in developments and challenges in health insurance package management. I shall focus first on several personal observations regarding problems with the quality of decision-making: decisions taken in the House of Representatives, in the Conference Room of the ACP, the Press Room of the media, and the Consultation Room of the doctor. Then I shall explore the implications for the legal framework for health insurance package management, and finally the implications for research.

1. Observations about the quality of decision-making

- **The “House of Representatives”**

The debate about the cost-effectiveness of health care is still not being conducted well nor properly supported. It is a complex and sensitive issue. But that debate is not only unavoidable, it is unethical to avoid it. The relationship of profits and cost, i.e. efficiency, does not oppose quality but rather is an aspect of it³⁶. Inefficiency detracts from optimal outcomes. By failing to act, we are failing patients, especially the patients who do not get on the news and whose health care is restricted without any media attention.

Added to this is the lack of political “backing” for the decisive criteria. Ultimately, it is up to the democratically elected government to take decisions about the optimal distribution of scarce goods and services. It is understandable that politicians are hesitant to do so, but we mustn't take this lightly because not setting boundaries cannot be justified. The government not only has a procedural task to

inventorise and optimise all the interests of people and parties, it has a public duty that is distinct from it; that duty implies the responsibility to take painful decisions if necessary.

There is also an international aspect. The lack of international cooperation in setting limits benefits the pricing policy of the industry. As long as there are no clear and internationally agreed frameworks to limit the cost for a Qaly, manufacturers are free to search for the limits of acceptance by the public and the political system for their price-setting in each individual country. The justification for the high prices due to the high cost of innovations is not always credible given the fact that the cost of developing medicinal products is comparable to the cost of marketing and the proceeds for shareholders³⁷.

- **The “Press Room”**

The role of the mainstream media makes a fair trade-off difficult. In my research agenda, that role will be considered in the research on decision criteria. The interaction of press, politics and the general public frequently produces a distorted, or simplified, or one-sided image of the problem. I have noticed a three mutually enforcing interests: the market importance of the press, where the importance of a scoop sometimes outweighs that of fact-checking, the preferences of a majority of the news-consuming public, and politicians which are sensitive to their image in the media. This interaction of three parties prevents a fair and reasoned public debate about choices in health care. Such a debate demands another kind of forum and in my opinion also another concept of the role of some media than the daily superficial publicity.

- **The Conference Room of the ACP**

The quality of decision-making in appraisal, like that taking place in the ACP, deserves stronger support. I am interested in the criteria to be set for the structure and the process of presenting the perspective of different parties and publically weighing all arguments and input; the content concerns the development and application of an explicit assessment framework, in which utilitarian and egalitarian considerations are addressed explicitly.

- **The Consultation Room of the doctor**

Decision-making in the Consultation Room is the most important of all decisions and has the greatest influence on the effectiveness and the cost of health care. This point is raised by Annemone Bögels, who focusses on the quality of individual treatment choices in oncology³⁸. These choices are extremely demanding for the treating doctor, oncology nurse and other caregivers. But the quality of decision-making is involved in all cases, not just ones associated with serious diseases. And all treatment choices are based on more than just the technical medical criteria. Good quality decision-making implies making room for discussion, paying attention to the human dimension, to human problems, expectations and fears. Quality is not technical, it is a commitment to people; I postulate that health care with priority for personal attention is also efficient. A special topic here is the expectation of many people concerning the “makability” of life and the avoidability of death: a delicate theme that I did not want to leave out because it is delicate. I am in the respectable company of Job Kievit³⁹ and Margriet van der Kooi-Dijkstra⁴⁰, an oncological surgeon and hospital chaplain,

respectively, who know what they are talking about; they are drawing attention to how people cheat themselves with this myth. In an editorial in the BMJ on 25 December 2011, subtitled: "Embracing the inevitable would reduce both unnecessary suffering and costs". Richard Smith says, "... Perhaps those who pay for medicine and regulate it need to act. Ironically, it may be the financial rather than the social and cultural cost of death that will encourage change..."⁴¹.

All these factors influence how we speak, or the reasons we avoid speaking, about choices in health care, about the desired effects of health care, its cost and its cost effectiveness. Good Decision Practice requires an open mind and respect for people, with a sharing of truth and values.

2. The legal framework for health insurance package management

The quality of decision-making could improve substantially if the legal frameworks were reformulated. It is important not to treat the development of health insurance package management as a linear and exclusively rational process either. What we learn about making choices in health care, namely that it is an interactive and iterative process, applies also to the design and implementation of health insurance package management. This means that research into health insurance package management and its implementation can be distinguished but should not be separated. When designing health insurance package management, we shall have to continually evaluate: before, during and after. The requirement we impose on health care itself, namely the continuous evaluation of technology and our own actions, must also be imposed on the design and implementation of the decision processes like health insurance package management. Vice versa, the research supporting health insurance package management cannot be conceived without a permanent link to "policy practice". No separation then between research into health insurance package management and the health insurance package management itself, but a distinction.

Several consequences can be drawn from the preceding paragraphs for the way we cope with innovations, criteria, evaluation research and indications in the legal designing of health insurance package management. The most important ones are given below.

1. In claims settlement, we shall have to develop an explicit policy instrument for the access of innovations to health care. Innovations falling into this category (like expensive drugs, technologies in cardiology and in imaging diagnostics) would be monitored and introduced on a small scale, with agreements being made between the government and parties in health care about the evaluation, planning, insurance, financing, information, appropriate application and quality assurance. The distinction that we now have between a closed system for extramural drugs and an open system for the rest of health care is outdated. The current regulations will have to make way for an open claims system, which can be closed to a selection of innovations. This selective closure enables the realisation of tailored solutions for particular technologies associated with risks concerning accessibility or cost management. This will also allow long established health care technologies within the package to be placed under experimental conditions. The existing rules

for conditional reimbursement are totally inadequate for this purpose, because they still allow practically unlimited claims and the conditions for continuous evaluation and regulation are not ensured. Its design will have to be individually arranged for each case in consultation with all involved parties.

2. Regarding criteria, it is essential that the government and Parliament put the issue of decisive criteria for choices in health care, and especially cost effectiveness, on the social and political agenda, allow a set time for this debate, and provide a legal basis for the criteria after the deadline expires.
3. We shall have to ensure better than we currently do that relevant research data are available on time. That requires a legal anchoring point: a better way to ensure that the relevant research is done; at the same time, problems with registering and making information available will have to be resolved through government regulation. Information for quality assurance and health care research must not continue to be organised case by case. Information provision for quality assurance and evaluation must form an integral part of the health care practice and be integrally financed by it. In other words, if we impose the requirement of continuous evaluation of the technology and its quality on the professional health care provision, then we need to insure and finance it also as an inseparable component of care. Health care of which no information is available does not meet the standard of a reimbursable outcome. This would close a major vacuum between policy, practice and research.
4. The existing legal claim system is completely grafted on interventions and barely or not at all on diseases and indications. It therefore does not offer reference points for aligning quality standards. It is now practically impossible to specify ranges of indications; there will be a selective need with new and occasionally also with established technologies. Ranges of indications will have to be safeguarded, if necessary, in a less informal manner. The claims system will have to incorporate a framework that can support conditions for specific indications in exceptional cases and systematically relate to appropriate use in practice.

These four recommendations require rewriting the legal claims systematics. The proposed adjustments are not new in the Dutch situation but have so far led to ad hoc regulations or are not safeguarded as a whole. Given the cohesion of the recommendations, marginal adjustments or supplementary rules to the current claims system are completely inadequate. We cannot avoid composing the legal frameworks for choices in health care from scratch and holding an explicit debate with all involved parties along the way.

3. Research

Finally, I turn to the implications for research derived from the above, and this allows me to present the general themes of the research agenda of my chair. I already stated that the traditional policy model is no longer sufficient based on the experiences with its content and the evaluation process. The main theme for my research agenda is "towards higher quality of choices in health care". This leads to three secondary

themes: 1) criteria for choices in the package, 2) dealing with innovations and 3) new forms of policy.

1. The criteria theme will primarily address the criteria necessary to insure, effectiveness and cost effectiveness. We shall examine three aspects of all criteria: what is the public support for the criterion, how is it operationalised, and how is it applied; we shall also look at the role of the media in issues of public support. We shall explore the relationship between these three aspects: what is the relation of public support and operationalisation, and are the operationalisations been followed in doing the assessments? What are the consequences of all these findings for performing HTA? We shall also place the Dutch experience in the international context. There is a doctoral position open on this theme supported by the National Health Care Institute.
2. The innovations theme will inventory how the value of innovations is determined in the complex interaction of government and actors in health care based on practical examples in the Netherlands and abroad and how this value is translated in policy choices of the government and of actors in health care. For example, the confrontation of the classic HTA approach with interactive forms of research and policy will be sought in concrete cases. Payam Abrishami has started his doctoral research on this topic since a year with co-supervision of Professor Klasien Horstman of the Maastricht University. Also in this theme we shall research the possibilities of synergy between the government's choices in the package and those of professional groups in quality standards.
3. The new forms of policy theme will study new ways of interactive policy design, in an collaboration of governments with actors in health care. Recently, doctoral research was started on the New Modes of Governance of the EU with regard to the HTA policy of the EU by Magali Boers. In that project we shall cooperate with Prof. Robert Harmen of the University of Luxembourg. One interesting aspect of that research is that HTA itself becomes a subject of (international) policy. In this theme, we shall also take up the topic of scoping: scoping is currently a collective term for activities around the start of a choice problem in health care, involving refinement of the issue. The question is how shall we organise that process to optimise the involvement of interested parties in health care. For this topic we shall be collaborating with Prof. Gertjan van der Wilt of the Radboud UMC. In addition, this theme will focus on the question of the procedural and institutional design of appraisal; the issues to be considered will include the relationship with assessment, assessment frameworks and processes, methods like Multi-Criteria Decision Analysis and the relationships between Assessment, Appraisal, advice, Decision and Practice. For such an extensive topic, collaboration with public administration research is essential.

The specified collaborations with other academic institutes are important for the design of these research themes, but so is a structured relationship with the practice of evaluating and advising of the National Health Care Institute. We shall establish a structured collaboration in the form of an Academic Workplace for health insurance package management at the National Health Care Institute. In addition, we shall

facilitate the link between research and policy through secondments, internships, teaching activities, participation of policy staff in research and researchers in policy. Not only the National Health Care Institute and iBMG will profit from this; I firmly believe it will improve the health care policy and health care research, and the exchange also offers challenging opportunities for development to people in "Diemen" and in "Woudestein".

**Esteemed Rector Magnificus,
Esteemed Dean,
Members of the Board of Directors of the National Health Care Institute,**

I hereby accept the position of professor of an endowed chair with the associated teaching and research mandate.

I thank the Board of Governors of Erasmus University Rotterdam and the board of the National Health Care Institute for their trust in me and I shall do my best to uphold that trust.

I'm very grateful to all colleagues from the National Health Care Institute and from iBMG who contributed to this chair, and I thank those who made me feel welcome in iBMG. Especially: Tom van der Grinten, Arnold Moerkamp, Marian Grobbink, Jan van den Bosch, Marco van Dijken, Leida Schoutsen, Tineke Sier, Werner Brouwer, Roland Bal, Paul Robben, Kor Grit, Antoinette de Bont, Anne Jonker, Laurens van der Molen. I thank those who granted me life: my parents – not in our midst anymore – ; I thank my Creator.

I thank my dear children, Maarten, Mirjam, Mardi, Lianne, for their strong and inspiring support and humor.

My gratitude, admiration and love for my dear wife is inexpressible. Marianne, I love you dearly.

I have stated.

References

1. Tweede Kamer der Staten Generaal. 1995. Kostenbeheersing in de Zorgsector; Brief van de minister Tweede Kamer; vergaderjaar 1995-96; 24124. Den Haag: Tweede Kamer de Staten Generaal.
2. Moret-Hartman, M. 2008. Problem structuring in health technology assessment: an argumentative approach to increase its usefulness. Nijmegen: Academisch Proefschrift.
3. Grinten, T.E.D. van der. 2006. Zorgen om beleid; over blijvende afhankelijkheid en veranderende bestuurlijke verhoudingen in de gezondheidszorg. Afscheidscollege. Rotterdam, Erasmus Universiteit Rotterdam...
4. Banta, D. 2003. The development of health technology assessment. *Health Policy*, 3(2): 121-132.
5. Garrido, V.M., Kristensen, F.B., Nielsen, C.P., Busse, R. 2008. Health technology assessment and health policy-making in Europe – Current status, challenges and potential. *Observatory Studies Series, No.14*; on behalf of the European Observatory of health systems and policies. Copenhagen: WHO.
6. Rutten, F. 2004. Health Technology Assessment and policy from the economic perspective. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 20: 67-70
7. Rawlins, M.D., Culyer, A.J. 2004. National Institute for Clinical Excellence and its value judgments. *BMJ*. 004;329 (7459):224-227.
8. Ziekenfondsraad.1986. Grenzen aan de groei van het verstrekkingenpakket. Advies nr. 319. Amstelveen: Ziekenfondsraad. .
9. Ziekenfondsraad. 1991. Derde advies inzake grenzen aan de groei van het verstrekkingenpakket. Advies nr 515. Amstelveen: Ziekenfondsraad.
10. Commissie Keuzen in de zorg. 1991. Kiezen en delen. Rijswijk: Ministerie van WVC.
11. Tweede Kamer der Staten generaal. 1990.Vaststelling van de begroting van de uitgaven en de ontvangsten van hoofdstuk XVI (Ministerie van Welzijn, Volksgezondheid en Cultuur) voor het jaar 1991. 21800. Den Haag: Tweede Kamer de Staten Generaal.
12. Boer. A. 1999. Assessment and regulation of health care technology. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 15: 638-648.
13. Boer, A. 2002. Onderzoek op maat. Een verkenning van factoren voor het gebruik van Technology Assessment. Rotterdam: Academisch Proefschrift.
14. Rossum, W. van. 1999. Decision-making and medical technology assessment: Three Dutch cases. *Knowledge and Policy*, 4 (1/2):107-124.
15. Grinten. T.E.D. van der, Kasdorp, J.P. 1999. Choices in Dutch health care: mixing strategies and responsibilities. *Health Policy*, 50: 105-122

16. Gezondheidsraad. 2003. Contouren van het basispakket. Den Haag: Gezondheidsraad
17. Vollaard, H., Bovenkamp, H.M., Vrangbaek, K. 2013. The emerging EU quality of care policy: From sharing information to enforcement. *Health Policy*,111(3): 226–33.
18. Abrishami, P. 2011. Da Vinci Surgery: Is It a No-brainer? Robot-assisted Prostate Surgery in the Mirror of Social Health Insurance. Diemen: College voor zorgverzekeringen.
19. Brouwer, W. 2009. De basis van het pakket. Urgente uitdagingen voor de opzet en inzet van economische evaluaties in de zorg. Inaugurele rede. Rotterdam: Erasmus Universiteit Rotterdam.
20. Buijsen, M. 2014. Ben ik soms te duur? Trouw, 14 sep 2014.
21. Porter, M.E., Olmsted Teisberg, E. 2006. *Redefining Health Care: Creating Value-Based Competition on Results*. Harvard Business Press Books.
22. Porter, M.E. 2010. What Is Value in Health Care? Ph.D. *N Engl J Med*, 363:2477-2481.
23. HTAi Policy Forum. 2013. HTA and Value: Assessing value, making value-based decisions, and sustaining innovation. Background Paper for Barcelona meeting.
24. Oliver, S., Gray, J. A. 2006. *Bibliography of research reports about patients', clinicians' and researchers' priorities for new research*. London: James Lind Alliance.
25. Smit, C. 2012. Een nieuwe horizon. De toekomst van de patiëntenbeweging in Nederland. Kirjaboek.
26. Dirksen, C.D., Utens, C.M.A., Joore, M.A., van Barneveld, T.A., Boer, A., Dreesens, D.H.H., van Laarhoven, H., Smit, C., Stiggelbout, A.M., van der Weijden, T. 2013. Integrating evidence on patient preferences in healthcare policy decisions: Protocol of the Patient-VIP Study. *Implementation Science*, 8:64.
27. Reuzel, R.B.P., Van der Wilt, G.J., Ten Have, H.A.M.J., De Vries Robbé, P.F. 2001. Interactive Technology Assessment and Wide Reflective Equilibrium. *J Med Philos*, 26 (3): 245-261.
28. Blume, S. 2000. Land of Hope and Glory: Exploring Cochlear Implantation in the Netherlands; *Science. Technology and Human Values*; 25 (2): 139-166.
29. Kouwenberg, H., Bijl, J. 2012. Hoeveel mag 28 meter lopen van een Pompe-patient kosten? *De Volkskrant*; aug 2012.
30. Walker, S., Sculpher, M., Claxton, K., Palmer, S. 2012. Coverage with evidence development, only in research, risk sharing, or patient access scheme? A framework for coverage decisions. *Value in Health*,15 (3): 570-579.
31. Turner, J.A., Hollingworth, W., Comstock, B., Deyo, R.A. 2010. Experiences Conducting a Coverage With Evidence Development Study of a Therapeutic Device. *MedCare* 48 (6):129-136.

32. Bal, R. 2006. Van beleid naar richtlijnen en weer terug. Over het belang van 'vage figuren'. In: Orchestratie van gezondheidszorgbeleid. Besturen met rationaliteit en redelijkheid; ed: Helderman JK, Meurs P, Putters K.. 81-93 Assen: Van Gorcum
33. Egmond, S. van, Bekker, M., Bal, R., van der Grinten, T.E.D. 2011. Connecting evidence and policy: bringing researchers and policy makers together for effective evidence-based health policy in the Netherlands: a case study. *Evidence&Policy*, 7 (1): 25-39.
34. Grin, J. 2008. The multi-level perspective and design of system innovations. In: vdBergh J, Bruinsma FR. *Managing the transition to renewable energy. Theory and practice from local, regional and macro perspectives*. Cheltenham: Edward Elgar.
35. Daniels, N. 2000. Accountability for reasonableness: Establishing a fair process for priority setting is easier than agreeing on principles. *BMJ*: 321.7272 (2000): 1300.
36. Institute of Medicine. 2001. *Crossing the Quality Chasm: A New Health System for the 21st Century*. Washington: IOM.
37. SEO. 2014. *De farmaceutische industrie in het maatschappelijk debat*. Amsterdam: SEO.
38. Bögels, A. 2012. In: *Levensverlengende zorg.... tegen elke prijs? Een debat over verantwoorde keuzen en solidariteit in de zorg*. Diemen: College voor zorgverzekeringen.
39. Kievit, J. 2012. Niet behandelen is soms beter. *Medisch Contact*, 09: 522-24.
40. Kooi-Dijkstra, M. van der. 2013. Wie stelt de grote vragen nog? *Trouw*, 1 juni 2013.
41. Enkin, M., Jadad, A.R., Smith, R. 2011. Death can be our friend; Embracing the inevitable would reduce both unnecessary suffering and costs *BMJ*,343: d8008 (ed).



Bert Boer is sinds 1 maart 2014 bijzonder hoogleraar 'Beleid en onderzoek voor het beheer van het basispakket zorg' bij het instituut Beleid & Management Gezondheidszorg (iBMG) van de Faculteit der Geneeskunde en Gezondheidswetenschappen van de Erasmus Universiteit Rotterdam. De leerstoel is ingesteld door Zorginstituut Nederland.

Bert Boer was appointed Endowed Professor with special remit in Policy and Research of Health Care Coverage at the Institute of Health Policy and Management (iBMG) of the Faculty of Medicine and Health Sciences of Erasmus University Rotterdam on 1 March 2014. The chair is endowed by the National Health Care Institute.

Er zijn weinig onderwerpen die zoveel beroering veroorzaken als beslissingen over het basispakket. Of het nu gaat om de vergoeding van dure geneesmiddelen tegen kanker, of van kraamzorg, of van middelen voor het stoppen-met-roken – als de zorg ter discussie komt lopen de gemoederen hoog op.

Hoe gaan we verstandig om met zorginnovaties? Hoe maken we de afweging tussen een snelle toegang tot nieuwe technologie en beheerste toepassing ervan? Wat zijn de criteria voor die keuzen, hoe en door wie worden die afwegingen gemaakt? Hoe zijn patiënten en artsen, verzekeraars en premiebetalende burgers daarin betrokken?

Sinds de jaren tachtig van de vorige eeuw is in steeds meer westerse landen Health Technology Assessment (HTA) tot ontwikkeling gekomen: evaluatie van zorgtechnologie ten behoeve van keuzen in de zorg. Maar de klassieke volgorde onderzoek – afweging – besluit blijkt steeds minder te voldoen. Relevante onderzoeksgegevens zijn niet altijd op tijd beschikbaar en als die er wel zijn blijkt de meerwaarde van een innovatie te variëren tussen groepen patiënten. Eenmalige, eenduidige ja-nee beslissingen blijken daardoor vrijwel nooit mogelijk.

De grootste uitdaging is dat de verschillende actors in de zorg elk vanuit hun eigen perspectief aankijken tegen de keuzecriteria en tegen onderzoeksresultaten. Wat betekent dit voor de manier waarop de overheid het basispakket vaststelt? Hoe betreft zij die verschillende gezichtspunten daarin en wat betekent dit voor de opzet en uitkomsten van HTA?

Deze oratie behandelt de ontwikkeling van en de uitdagingen voor het pakketbeheer in Nederland en daarbuiten. Daarbij komt het aan op de combinatie van interactief beleid en een onafhankelijk oordeel: waarheid en waarden bij keuzen in de zorg.

Few topics arouse so much controversy as decisions regarding the basic health insurance package. Whether it's reimbursing expensive cancer treatments or maternity care or smoking cessation therapies – when a discussion turns to health care, emotions run high.

What is the sensible way to cope with health care innovations? How should we weigh the rapid access to new technology against its controlled application? What are the criteria imposed on such choices, how should decisions be made and, more importantly, by whom? How should patients and doctors, insurers and people paying the premiums be involved?

Since the 1980s, more and more Western countries have been working on developing Health Technology Assessment (HTA) programmes: evaluation of health care technology on behalf of choices in health care. However, keeping to the classic sequence (research – evaluation – decision) seems less and less realistic. Relevant research data are not always available in time, and data that are available on the added value of an innovation vary between different groups of patients. The ideal, unambiguous yes-no decision is practically impossible to achieve.

The greatest challenge concerns all the different perspectives of the various actors in health care regarding choice criteria and research results. What does this mean for the way in which the government composes the basic health insurance package? How does it consider conflicting points of view, and how does this affect the design and outcomes of HTA?

This lecture considers the developments and challenges for health insurance package management in the Netherlands and other countries. The crux of the matter in this respect is the combination of interactive policy and independent judgment: both truth and values are involved in health care choices and decisions.

Erasmus University Rotterdam (EUR)
Institute of Health Policy & Management
Bayle (J) Building
Burgemeester Oudlaan 50
3062 PA Rotterdam, The Netherlands
T +31 10 408 8555
E info@bmg.eur.nl
W www.bmg.eur.nl

ISBN
978-94-90420-55-0