

# Met Zorg Kiezen

Op naar betere beslissingen  
in de gezondheidszorg

**Prof.dr. Esther W. de Bekker-Grob**

# Met Zorg Kiezen

Op naar betere beslissingen  
in de gezondheidszorg

Oratie in verkorte vorm uitgesproken door

**Prof.dr. Esther W. de Bekker-Grob**

bij de aanvaarding van het ambt van hoogleraar op het gebied  
van Gezondheidseconomie & Gezondheidspreferenties  
aan de Erasmus School of Health Policy & Management (ESHPM)  
van de Faculteit der Geneeskunde en Gezondheidswetenschappen,  
Erasmus Universiteit Rotterdam op vrijdag 11 maart 2022.

## Colofon

### Met Zorg Kiezen

Op naar betere beslissingen  
in de gezondheidszorg

© 2022, Prof.dr. E.W. de Bekker-Grob

### Oplage

300

### Uitgever

Marketing & Communicatie ESHPM

### Vormgeving

PanArt communicatie en mediadesign

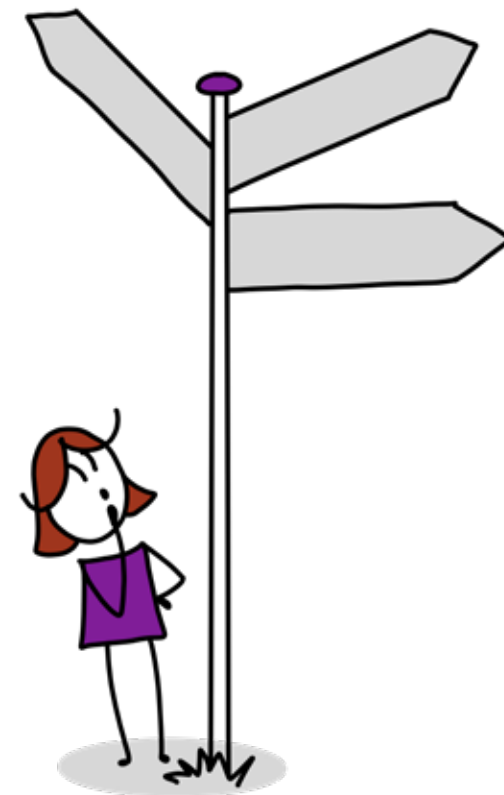
### Druk

De Bink

Rotterdam, januari 2022

[www.eur.nl/eshpm](http://www.eur.nl/eshpm)

# Met Zorg Kiezen



# Inhoudsopgave

1. Keuzes maken.....	9
2. Keuzegedrag voorspellen in de gezondheidszorg .....	13
3. Voorkeuren verkennen en meten in de gezondheidszorg .....	23
4. Economische evaluatie in de gezondheidszorg: de beoordeling van baten.....	27
5. Ontwikkeling van een 'Health Technology Assessment' raamwerk waarin alle baten meegenomen worden voor het toewijzen van schaarse middelen in de gezondheidszorg.....	31
6. Onderzoeksagenda: Met Zorg Kiezen; op naar betere beslissingen in de gezondheidszorg .....	33
7. Tot slot .....	35
8. Dankwoord.....	36
Referenties.....	38

# Met Zorg Kiezen

Op naar betere beslissingen  
in de gezondheidszorg

**Mevrouw de Rector Magnificus, leden van het College van Bestuur, hooggeleerde collegae en andere collegae van de universitaire gemeenschap, vrienden, familie en overige toehoorders,**

## 1. Keuzes maken<sup>1</sup>

Het leven is een reeks aan keuzes maken. Dat ik hier vandaag voor u sta, komt mede door allerlei keuzes die ik eerder in mijn leven heb gemaakt. Een van die eerste keuzes begon al op de basisschool. Als klein roodharig meisje met twee staartjes besloot ik op 5-jarige leeftijd vastberaden om chirurg te willen worden. Ik had het geluk dat ik makkelijk kon leren en daarnaast door de turnsport een sterke discipline en doorzettingsvermogen had meegekregen. Ik doorliep mijn basis- en middelbare school dan ook zonder enige hobbels of problemen.

Helaas realiseerde ik mij dat ik niet geheel zelf kon kiezen of ik chirurg zou worden, ondanks een gymnasiumdiploma op zak. In het jaar 1997 ging namelijk iedereen in Nederland het centrale lotingssysteem in als je geneeskunde wilde studeren, ongeacht wat je gemiddelde eindcijfer was. Hoe zeker mijn keuze al die jaren was geweest om geneeskunde te gaan studeren, zo onzeker was de uitkomst van die loting. Tot mijn frustratie werd ik uitgeloot.

---

<sup>1</sup> Ik ben professor Bas Donkers, professor Werner Brouwer en professor Carin Uyl-de Groot zeer erkentelijk voor hun commentaar op eerdere versies van deze oratie.

Aangezien je maar met één lotingstudie tegelijk mee mocht doen, vielen ook meteen mijn tweede, derde, en vierde studiekeuzen af. De keuzevrijheid voor een vervangende studie, die ik leuk vond, werd ineens behoorlijk ingeperkt.

Beïnvloed door mijn omgeving besloot ik een paramedische HBO-opleiding te volgen. Na het HBO versneld te hebben afgerond, koos ik ervoor om naar Zwitserland te gaan. Ik besloot om daar in Interlaken te gaan wonen en in het ziekenhuis te Bern te gaan werken als radiotherapeutisch laborant. Mijn droomberoep van chirurg zijn had ik dan niet waar kunnen maken, maar het alternatief om in Zwitserland te wonen en vele uren hardlopend en op de ski's door te brengen in de bergen, maakten veel goed.

Op de Zwitserse werkvloer was ik echter minder content. Als echte denker en met in de tussentijd een Zwitsers managementdiploma op zak, zag ik mooie mogelijkheden om bepaalde medische behandelingen aldaar te optimaliseren. Mogelijkheden die zowel de patiënt als de efficiëntie van het zorgsysteem ten goede zouden kunnen komen. Mijn enthousiaste gedachten werden echter meteen van tafel geveegd onder het mom van "Wij werken hier al 30 jaar zo, waarom zouden wij dat moeten veranderen?". Na drie jaar besloot ik geheel zeker van mijn keuze om een ontslagbrief in te dienen en vervolgens – zij het hier met enige aarzeling – dan toch echt mijn Zwitserse bankrekening op te zeggen. Ik koos ervoor om mijn opgebouwde Zwitserse pensioen uit te laten betalen en daarmee Gezondheidswetenschappen aan de Universiteit van Maastricht te gaan studeren. Niet veel later begon ik als wetenschappelijk onderzoeker bij het Erasmus MC. Dit was het begin van mijn academische carrière.

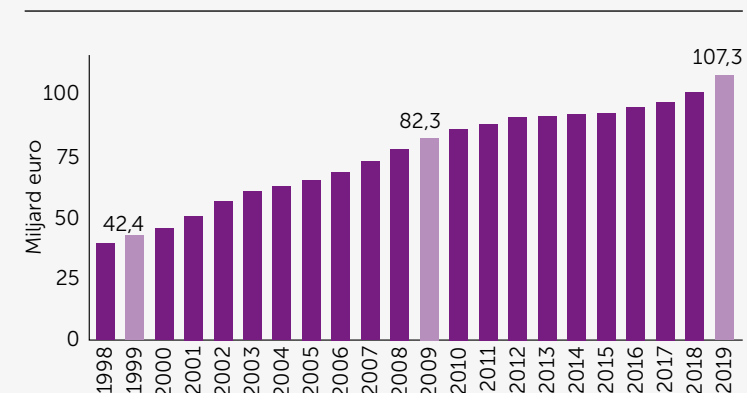
Hoewel deze introductie slechts enkele keuzes in mijn leven toonde, hoop ik met deze introductie niet alleen wat inzicht in de start van mijn academische carrière te hebben gegeven, maar ook dat er allerlei verschillende type keuzes zijn. Bijvoorbeeld: makkelijke keuzes; moeilijke keuzes; vrije keuzes; beperkte keuzes; keuzes die beïnvloed zijn door anderen; en keuzes die niet beïnvloed zijn door anderen. Feit is dat u en ik dagelijks heel veel keuzes maken. Bijvoorbeeld hoe laat er vandaag uit bed werd gestapt. Of en hoe lang er vanochtend gedoucht werd. En welke kleding er vandaag aangetrokken werd. Hoewel ik over dat laatste betwijfel of ik hier vandaag echt een keuze in had.

Ook binnen de gezondheidszorg kunnen wij als individu, waarbij u en ik dan veelal patiënt genoemd worden, de nodige keuzes maken. Denk bijvoorbeeld aan de keuze om wel of geen vaccinatie te nemen tegen Covid-19. Of om voor Ziekenhuis A of Ziekenhuis B te kiezen. Of om wel of geen borstreconstructie te ondergaan na een borstamputatie. Keuzes in de gezondheidszorg kunnen echter ongekend ingrijpen in het leven en welzijn van individuen.<sup>1</sup> Keuzes die soms zelfs het verschil kunnen uitmaken tussen leven en dood.<sup>1</sup>

Toch is de vrijheid in het maken van keuzes in de gezondheidszorg niet oneindig. Door stijgende uitgaven, een vergrijzende bevolking en hoge prijzen van nieuwe medische behandelopties staat de gezondheidszorg namelijk al jaren onder zware druk.<sup>2-4</sup> Waren de zorguitgaven in Nederland in het jaar 1999 ongeveer 42 miljard euro (Figuur 1). In 2009 was dit zo'n 82 miljard euro en in 2019 zo'n 107 miljard euro.<sup>5</sup> En dit waren de zorguitgaven nog voordat wij in Nederland te maken hadden met een Covid-pandemie. Vanuit een maatschappelijk perspectief, moeten er door beleidsmakers op macroniveau keuzes gemaakt worden om de uitgaven in de gezondheidszorg te kunnen beteugelen. Deze keuzes hebben direct dan wel indirect invloed op de keuzevrijheid op microniveau voor een patiënt. Gezien de grote belangen die voor de patiënt en de maatschappij op het spel staan, zowel in termen van uitgaven als in baten, wil ik vanuit mijn leerstoel Gezondheidseconomie & Gezondheidspreferenties uitkomst bieden om slimme keuzes hierin te maken.

Vanmiddag, wil ik u graag meenemen op mijn puzzeltocht om betere beslissingen in de gezondheidszorg te bewerkstelligen. Hierbij wil ik u niet alleen overtuigen van het belang van mijn leerstoel, maar ook laten zien voor welke interessante uitdagingen wetenschappers binnen mijn vakgebied staan. Om tot betere beslissingen in de gezondheidszorg voor de patiënt en de maatschappij te komen, zijn er mijns inziens betere ex-ante (oftewel van-tevoren) evaluaties van gezondheidsbeleid nodig. Ex-ante evaluatie van gezondheidsbeleid heeft twee belangrijke voordelen ten opzichte van ex-post (oftewel achteraf) evaluatie: (i) het kan de potentiële impact van een reeks beleidsmaatregelen voorspellen; en (ii) het kan ineffectieve programma's identificeren voordat ze worden uitgerold.<sup>6</sup>

Figuur 1 Zorguitgaven in Nederland [bron: CBS StatLine<sup>5</sup>]



Maar om betere ex-ante evaluaties en daarmee de puzzel voor het verkrijgen van betere beslissingen in de gezondheidszorg compleet te maken, ontbreken er naar mijn mening nu nog tenminste vier cruciale puzzelstukken:

1. Dat keuzegedrag in de gezondheidszorg correct voorspeld kan worden. Als beleidsmakers namelijk het keuzegedrag van patiënten vooraf zouden weten of correct zouden kunnen voorspellen, dan zouden hiermee slechte beleidsbeslissingen, gissen-en-missen implementaties en vraag-en-aanbod disbalans in de zorg voorkomen kunnen worden.
2. Dat preferenties van patiënten valide en betrouwbaar gemeten kunnen worden om de zorg op de behoeften van de patiënt af te kunnen stemmen. Dit zal therapieontrouw en verspilling in de zorg voorkomen.
3. Dat alle baten en niet alleen gezondheidsbaten van een gezondheidsinterventie gemeten worden. Dit zal suboptimale of zelfs slechte beslissingen in de zorg voorkomen.
4. Dat er een eerlijke en transparante vergelijking tussen alle kosten en alle baten van gezondheidsinterventies mogelijk is. Dit om een oneerlijke verdeling van schaarse middelen tussen de verschillende zorgdomeinen (preventie, genezing en zorg) te voorkomen.

Ik nodig u vanmiddag dan ook van harte uit om plaats te nemen op mijn bagagedrager, waarbij ik ieder van deze vier puzzelstukken één voor één voor het voetlicht zal brengen. Te beginnen bij keuzegedrag voorspellen in de gezondheidszorg.

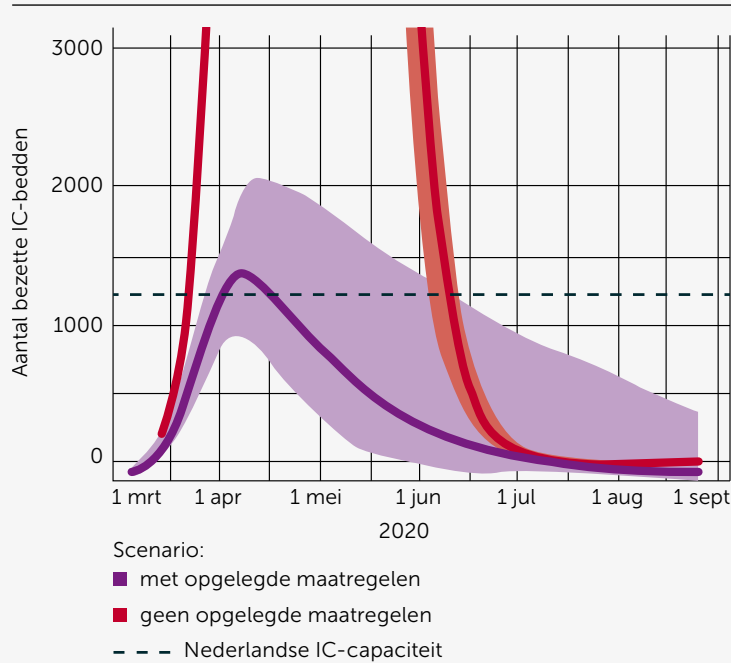
## 2. Keuzegedrag voorspellen in de gezondheidszorg

Aangezien het in deze tijd natuurlijk onmogelijk is om het niet over Covid-19 (SARS-CoV-2) te hebben, zal ik dit onderwerp dan ook inluiden met illustraties vanuit een Covid-19 invalshoek. Een kleine twee jaar geleden toen Covid-19 ons land bereikte, liepen de corona-besmettingen in rap tempo op en daarmee ook de bezetting van ziekenhuisbedden in Nederland. Herinnert u zich nog de grafiek van het RIVM waarin het aantal benodigde IC-bedden via predictiemodellen voorspeld werd (Figuur 2)? De stippellijn geeft aan hoeveel IC-bedden wij in Nederland normaliter beschikbaar hebben. De rode lijn geeft aan hoeveel IC-bedden er nodig waren als de Nederlandse bevolking geen maatregelen opgelegd zou krijgen. De paarse lijn geeft aan hoeveel IC-bedden er nodig zijn als de Nederlandse bevolking wel de nodige maatregelen opgelegd zou krijgen.

Net zoals bij het voorspellen van het weer, was er ook bij het voorspellen van het aantal IC-bedden de nodige onzekerheid aanwezig; zie hiervoor het lichtpaarse gebied om de paarse lijn. Deze onzekerheidsmarge was behoorlijk groot te noemen. Namelijk in de coronapieak van april 2020 zouden we ofwel 1.100 IC-bedden nodig hebben, maar dit zouden zomaar ook eens het dubbele aantal IC-bedden kunnen zijn (Figuur 2). De reden voor deze grote onzekerheidsmarge was vrijwel geheel toe te schrijven aan het menselijk gedrag. Of beter gezegd: men wist toen niet precies welke keuze de Nederlandse bevolking zou maken als het gaat om het wel of niet opvolgen van de maatregelen.

Ook wist men niet in datzelfde jaar hoeveel Nederlanders een grieprik zouden willen hebben. Men dacht dat de vraag naar een grieprik zomaar eens ten tijde van Covid-19 hoger zou kunnen zijn dan de voorgaande jaren zonder Covid-19. Dus werden er dat jaar een half miljoen extra grieprikken ingekocht. Tevens werd er enigszins op de gok een bepaalde hoeveelheid coronatesten ingekocht. Door de beperkte informatie waarover beleidsmakers destijds konden beschikken, kwamen de beleidsmakers nogal eens voor verrassingen te staan. Bijvoorbeeld dat veel mensen in Nederland zich lieten testen op Covid-19, terwijl ze helemaal geen Covid-19 gerelateerde klachten hadden. Hierdoor dreigde er een nijpend tekort aan testcapaciteit in de herfst van 2020.

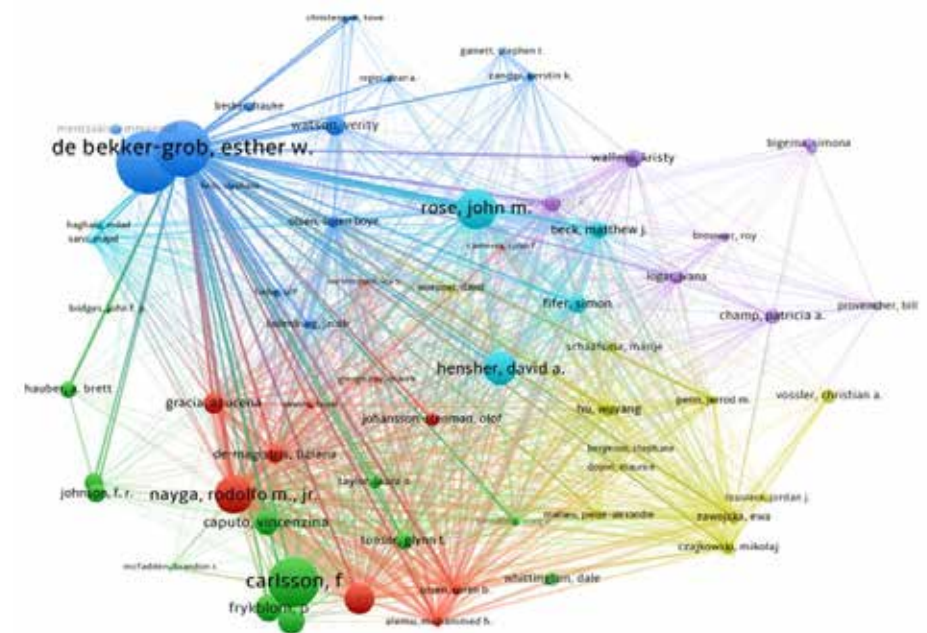
**Figuur 2** Keuzegedrag allesbepalend voor benodigde IC-capaciteit [bron: nos.nl; 23-03-2020]<sup>7</sup>



Het onderliggende probleem van bovenstaande voorbeelden is dat het keuzegedrag van patiënten of burgers veelal onbekend is voordat er een bepaald beleid wordt doorgevoerd. Als beleidsmakers namelijk het keuzegedrag van patiënten vooraf zouden weten of correct zouden kunnen voorspellen, dan zouden hiermee slechte beleidsbeslissingen, gissen-en-missen implementaties en vraag-en-aanbod disbalans in de zorg voorkomen kunnen worden. Maar is keuzegedrag in de gezondheidszorg wel voorspelbaar?

Om keuzegedrag van patiënten en burgers te voorspellen lijkt het meten van keuze-intenties en hiermee keuze-modellering een goed startpunt te zijn.<sup>8,9</sup> Keuze-modellering is een wetenschappelijke methodologie om te onderzoeken hoe keuzes worden gemaakt en is daarmee cruciaal om accurate inzichten te kunnen bieden.<sup>10</sup> Keuze-modellering is gangbaar in marketing, transport en milieueconomie, waar het onder andere wordt gebruikt voor de ontwikkeling van vervoersbeleid, stadsplanningssystemen, prijsbepaling van producten, en besluitvorming over middelenbeheer.<sup>11,12</sup> Al vroeg in mijn wetenschappelijke carrière raakte

**Figuur 3** Gemiddelde publicatie-impact per auteur als het gaat om het voorspellen van keuzegedrag in de gezondheidszorg, transport, marketing en/of milieueconomie [afgeleid van Haghani et al.<sup>14</sup>]



ik gefascineerd door de mogelijkheden van keuzemodellering in de gezondheidszorg via Discrete Keuze Experimenten. Dit blijkt niet alleen uit mijn proefschrift<sup>13</sup> dat geheel in het teken stond van deze methode, maar ook uit de zichtbaarheid en impact van mijn werk op dit gebied (Figuur 3).

Tot enige tijd geleden ontbrak het aan een wetenschappelijke benadering om keuzegedrag van patiënten en burgers te analyseren en te voorspellen. Terwijl inzicht in keuzegedrag van patiënten juist zo noodzakelijk is om tot optimale klinische en beleidsbeslissingen in de zorg te komen. Het Discrete Keuze Experiment leek deze mogelijkheid wel te bieden. Het Discrete Keuze Experiment is een vragenlijstmethodiek die keuzegedrag van patiënten eenvoudig en efficiënt lijkt te kunnen voorspellen.<sup>8,9</sup> Het Discrete Keuze Experiment, afkomstig uit de mathematische psychologie,<sup>15</sup> bevat een aantal slim gekozen virtuele keuzes.



**Figuur 4** Een voorbeeld van een discrete keuze taak op het gebied van bracebehandeling bij scoliose

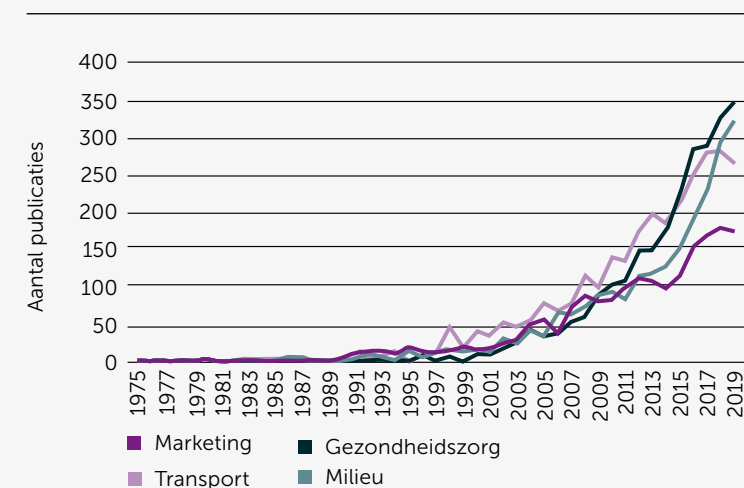


Figuur 4 laat u een voorbeeld zien van zo'n keuze. In dit voorbeeld - op het gebied van scoliose<sup>11</sup> - wordt de patiënt gevraagd een keuze te maken tussen twee brace-behandelingen. Door patiënten meerdere van dit soort virtuele keuzes voor te leggen, kan er uiteindelijk werkelijk keuzegedrag uit afgeleid worden.

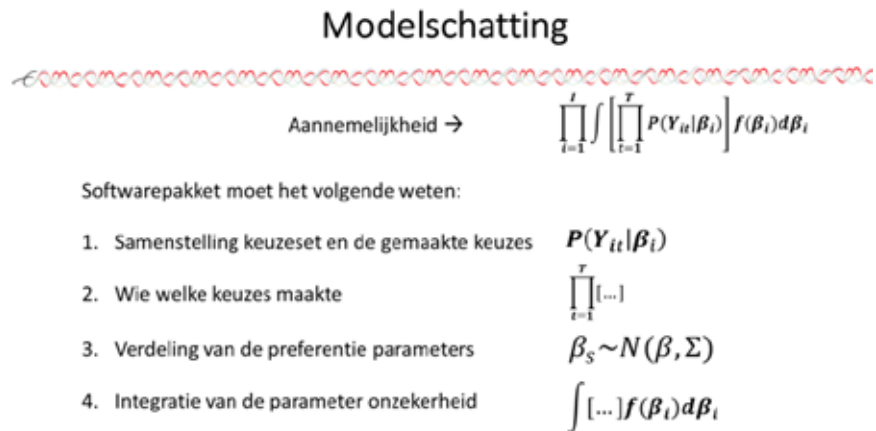
<sup>11</sup> Scoliose is een zijwaartse verdraaiing en verkromming van de wervelkolom. Een bracebehandeling (oftewel het dragen van een kunststof korset) heeft als doel om de bocht in de rug niet verder te laten toenemen tijdens de groei en om uiteindelijk een operatie aan de wervelkolom te voorkomen.

Het Discrete Keuze Experiment heeft een stevige theoretische fundering en bevat zelfs een Nobelprijs winnend achterliggend econometrisch model.<sup>16</sup> Het is dan ook niet verwonderlijk dat keuze-modellering steeds vaker toegepast wordt in de gezondheidszorg (Figuur 5).

**Figuur 5** Het jaarlijkse aantal gepubliceerde keuze-modelleringsstudies [bron: Haghani et al.<sup>14</sup>]



**Figuur 6** Analyse van Discrete Keuze Experiment data (een economisch perspectief)



Mijn collega professor Bas Donkers (hoogleraar Marketing Research en econometrist) liet mij al vroeg in mijn academische carrière aan de hand van een dia zien (Figuur 6) - dat keuzemodellering via Discrete Keuze Experimenten slechts een aantal elementen bevat, waarbij hij de volgende bemoedigende woorden uitsprak: "moeilijker dan dit wordt het niet".

Via een persoonlijke beurs van de Nederlandse Organisatie voor Wetenschappelijk Onderzoek (VENI-project nummer 451-15-039) onderzocht ik of keuzegedrag van patiënten daadwerkelijk voorspelbaar is op zowel geaggregeerd als op individueel niveau in verschillende medische velden. Mijn eerste doel was vaststellen hoe goed dat wat patiënten zeggen te kiezen in een Discrete Keuze Experiment overeenkwam met wat patiënten uiteindelijk in de praktijk daadwerkelijk kozen. Mijn tweede doel was vaststellen waarom dit eventueel afweek. Hierbij onderzocht ik twee sporen. Het eerste spoor was: "Wat is de invloed van de onderzoeker op het voorspellen van keuzegedrag van patiënten?" Hij of zij ontwerpt immers het Discrete Keuze Experiment en doet de modellering. De econometrie ofwel de wiskundige modellen stonden hier centraal. En het tweede spoor was: "Welke rol heeft patiënt afhankelijk beslisgedrag en omgevingsfactoren op het voorspellen van keuzegedrag van patiënten?" Het gedragsonderzoek stond hier centraal. Ik maakte gebruik van literatuuronderzoek, focus-groepen met patiënten, interviews met artsen, vragenlijsten die een Discrete Keuze Experiment bevatten, veldgegevens en diepte-interviews.

Ik voegde de inzichten vanuit verschillende disciplines (medische wetenschappen, econometrie, en gedragseconomie) samen, waarbij ik hulp kreeg van internationaal toonaangevende professoren uit die disciplines.

De resultaten toonden aan dat keuzemodellering via Discrete Keuze Experimenten inderdaad correct kon voorspellen wat de patiënt zegt te willen kiezen, maar niet noodzakelijkerwijs ook wat de patiënt daadwerkelijk ging doen. Dit laatste is echter cruciaal om tot optimale klinische en beleidsbeslissingen te kunnen komen.<sup>8,9</sup> Hoewel mijn aanpak resulteerde in betere voorspellingen van keuzegedrag dan anderen tot nu toe in de gezondheidszorg hadden bereikt<sup>17-23</sup> (bijvoorbeeld ongeveer 91% van de keuzes werd correct voorspeld op individueel niveau op het gebied van het wel of niet kiezen voor griepvaccinatie<sup>8,9</sup>), bracht diepgaand onderzoek van patiënten die een discrepantie vertoonden tussen keuze-intenties en keuzegedrag een belangrijke bevinding aan het licht. Dat wil zeggen, 37% en 84% van de respondenten die iets anders deden dan dat ze zeiden dat ze zouden doen, gaven aan dat hun keuzegedrag voor griepvaccinatie werd beïnvloed door respectievelijk familie/vrienden en de huisarts. In het geval van behandelkeuzes voor prostaatcancer gaven de resultaten aan dat de invloeden van andere mensen (partner, familie, arts) zelfs een nog veel grotere rol speelden. Dit leek ervoor te zorgen dat mijn huidige aanpak tekortschoot om keuzegedrag in de gezondheidszorg accuraat te kunnen voorspellen daar waar invloeden van anderen een rol speelden. Samen met professor Joffre Swait ontdekte ik een grote tekortkoming in de theorie en methodologie van keuze-modellering in de gezondheidszorg (en daarbuiten) die het accuraat voorspellen van keuzegedrag in de gezondheidszorg belemmerde. Namelijk: huidige modellen analyseren keuzes alsof zij geheel onafhankelijk zijn van invloeden van anderen. Echter de meeste keuzes in de gezondheidszorg worden niet gemaakt in een sociaal vacuüm!

Professor Bas Donkers had gelijk dat keuzemodellering via Discrete Keuze Experimenten niet moeilijker zou worden zolang je er maar vanuit het domein economie naar kijkt. Namelijk economen gaan er in hun analyses per definitie van uit dat iemand altijd het alternatief kiest dat leidt tot de meeste genoegdoening. Dus dat u vandaag gekozen heeft om naar de Erasmus Universiteit te komen, in deze Aula te gaan zitten en naar deze rede te luisteren, mag ik vanuit het perspectief van de econoom concluderen dat dit voor u de allerbeste keuze was. Namelijk dat de keuze dat u hier vanmiddag zit blijkbaar voor u de allerbeste is van de besteding van uw tijd op deze vrijdagmiddag.

Maar zoals Nobelprijswinnaar Daniel Kahneman<sup>24</sup> al vanuit het domein psychologie aangaf: "je hebt mensen en je hebt economen".<sup>25</sup> Gaat de neo-klassieke economische theorie ervan uit dat mensen rationeel handelen, de onderzoeken van Kahneman laten nogal eens het tegendeel zien.<sup>25</sup> Daarom veronderstel ik dat

door het menselijker maken van de sterk gedreven economische modellen – oftewel de sociologie, psychologie en gedragseconomie erbij te betrekken – wij daarmee dichter aansluiten bij de werkelijke beslissing van een patiënt of burger en daarmee de weg vrij maken om keuzegedrag in de gezondheidszorg correct te kunnen voorspellen. En als wij dat hebben, dan hebben wij een zeer belangrijke stap gezet om slechte beleidsbeslissingen, gissen-en-missen implementaties en vraag-en-aanbod disbalans in de zorg te voorkomen; en daarmee verspilling in de gezondheidszorg tegen gaan.

Om keuzes accuraat te kunnen voorspellen in de gezondheidszorg is het mijns inziens dan ook noodzakelijk dat keuzemodellen gevoelig gemaakt worden voor sociale invloeden. Figuur 7 laat dit aan de hand van een illustratie zien.

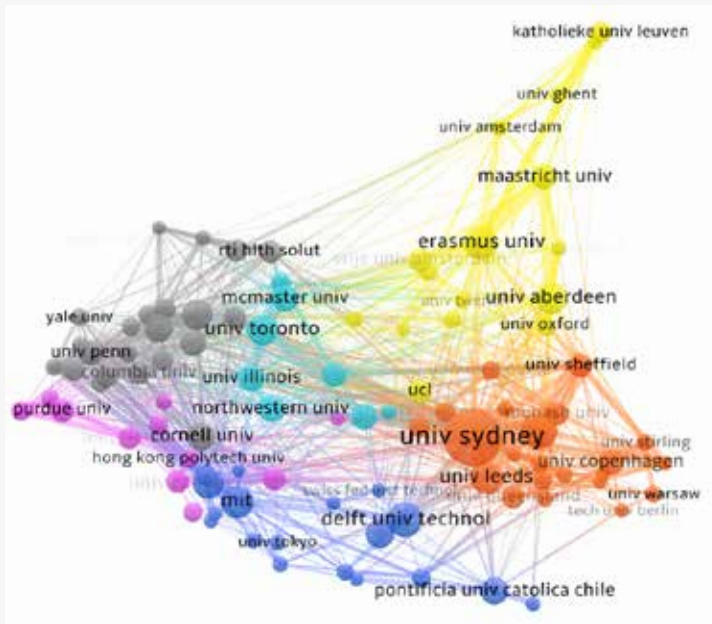
**Figuur 7** Accurate voorspelling van keuzegedrag in de gezondheidszorg. Het rode poppetje kan elke beslisser in de gezondheidszorg zijn (bijvoorbeeld de patiënt, de arts, de beleidsmaker).



Een individu kan tussen een pil of een injectie kiezen (Figuur 7.1). Huidige modellen analyseren deze keuze alsof de individu zijn keuzes afweegt zonder beïnvloed te worden door anderen (Figuur 7.2). Oftewel alsof het individu zich in een sociaal vacuüm bevindt en daarin geheel zelf zijn keuze maakt zonder enige invloed van anderen. Zoals eerder al genoemd is, worden de meeste (afwegingen van) keuzes in de gezondheidszorg niet in een sociaal vacuüm gemaakt (Figuur 7.3). Deze illustratie laat zien dat het individu mede door invloeden van anderen uiteindelijk voor een injectie zal kiezen (Figuur 7.4). In deze illustratie zou er met de huidige beschikbare modellen fout voorspeld worden dat het individu een pil zal gaan kiezen (Figuur 7.2) en niet de daadwerkelijk gekozen injectie (Figuur 7.4). Een keuzemodel moet dus gevoelig gemaakt worden voor sociale invloeden (Figuur 7.3) om werkelijk keuzegedrag in de gezondheidszorg correct te kunnen voorspellen (Figuur 7.4).

Dankzij een nieuwe persoonlijke beurs, die ik vrij recentelijk kreeg van de Nederlandse Organisatie voor Wetenschappelijk Onderzoek (VIDI-project nummer 09150171910002), kunnen de eerste stappen gezet worden om keuzetheorie en methodiek te ontwikkelen die rekening houden met de sociale context. In dit uitdagende en innovatieve onderzoek, zal ik, samen met mijn Erasmus Universiteitscollega's Artur Grygierczyk, Joffre Swait, Bas Donkers, Jorien Veldwijk en Werner Brouwer, de inzichten van drie Nobelprijswinnaars (McFadden, 2000;<sup>16</sup> Kahneman, 2002;<sup>24</sup> en Thaler, 2017;<sup>26</sup>) samenbrengen en daarnaast het sociale vacuüm opentrekken. In elke fase van het project zullen inzichten vanuit de gedragseconomische, economische en medische wetenschappen met elkaar gekoppeld worden en zal er intensief samengewerkt gaan worden met internationaal toonaangevende instituten: (i) University of Sydney (o.a. professor Michiel Bliemer) en Duke University (o.a. professor Reed Johnson) in verband met hun toonaangevende expertise op het gebied van keuzemodellering. Zoals Figuur 8 laat zien is mijn geplande bezoek aan de Universiteit van Sydney later dit jaar dan ook een bewuste inhoudelijke keuze; (ii) Bristol University (o.a. professor Joanne Coast) en Australian National University (o.a. professor Emily Lancsar) in verband met hun specifieke gezondheidseconomische expertise; (iii) Erasmus MC (o.a. professor Patrick Bindels en professor Monique Roobol) in verband met de noodzakelijke klinische expertise; en (iv) het Zorginstituut Nederland (professor Diana Delnoij) om een kloof tussen theorie en praktijk te voorkomen.

**Figuur 8** Samenwerkingsnetwerk tussen instituten op het gebied van keuze-modellering [bron: Haghani et al.<sup>14</sup>]



Hoewel het uiteindelijk correct kunnen voorspellen van keuzes bij zal moeten dragen aan betere beslissingen in de gezondheidszorg voor zowel patiënt als maatschappij, zijn wij er dan nog niet. En dit brengt mij bij mijn tweede puzzelstuk dat ik vanmiddag voor het voetlicht wil brengen: voorkeuren verkennen en meten in de gezondheidszorg.

### 3. Voorkeuren verkennen en meten in de gezondheidszorg

Een patiënt kan dan wel kiezen voor medicijn A, maar dit betekent niet dat de patiënt ook therapietrouw dit medicijn blijft gebruiken. Hetzelfde geldt voor een burger die kan kiezen om veelvuldig zijn handen te wassen ten tijde van een pandemie, maar dit betekent niet dat de burger dit ook blijft volhouden. En hoewel 'actief-waakzaam-wachten' een (kosten-)effectieve interventie kan zijn voor bijvoorbeeld patiënten met non-invasieve prostaatkanker, is het van groot belang dat patiënten zich dan wel aan de voorgeschreven controles houden; wat nu veelal niet het geval is.<sup>27</sup> Net als bij alle andere medische of leefstijlinterventies, is het gebruik van (klinische) middelen alleen nuttig als patiënten en burgers zich committeren aan hun interventie. Of zoals de voormalig Inspecteur van de Geneeskundige Dienst van de Verenigde Staten C. Everett Koop destijds zei: "Drugs don't work in patients who don't take them".<sup>28</sup>

Preventieve zorg, screeningsprogramma's, vaccinaties en behandelingen kunnen zeer kosteneffectief zijn als ze gebruikt worden zoals klinische richtlijnen voorschrijven.<sup>29</sup> Veel gezondheidsinterventies worden echter door veel minder patiënten en veelal minder frequent gebruikt dan klinische richtlijnen aanbevelen.<sup>30</sup> Wanneer gezondheidsinterventies niet overeenkomen met de behoeften van de patiënt of burger kan dit schaarse middelen in de gezondheidszorg verspillen.<sup>30</sup> Om de acceptatie, therapietrouw en efficiëntie te verbeteren, moet er bij interventies rekening gehouden worden met de voorkeuren van de beoogde doelgroepen.<sup>30</sup> Daarnaast zijn er nog andere belangrijke argumenten om rekening te houden met patiënt-voorkeuren bij het toewijzen van schaarse middelen: (i) het wordt als ethisch beschouwd om naar de patiënt te luisteren,<sup>31,32</sup> (ii) het zal de tevredenheid van de patiënt vergroten<sup>31,33</sup> en (iii) de besluitvorming in de gezondheidszorg zal beter geïnformeerd en transparanter zijn door het opnemen van patiënt-relevante waardeoordelen.<sup>31-35</sup>

Dit heeft ertoe geleid dat er steeds meer interesse en noodzaak is om rekening te houden met de voorkeuren van de patiënt bij klinische en beleidsbeslissingen, maar ook met de afwegingen die zij maken tussen de baten en lasten van gezondheidsinterventies. Medische interventies en programma's zijn ontwikkeld voor patiënten en er is een groeiende consensus dat patiënten betrokken moeten worden bij cruciale beslissingspunten bij de ontwikkeling hiervan.<sup>36</sup> Het gevolg is dat de stem van de patiënt niet alleen steeds belangrijker geworden is voor degenen die nieuwe

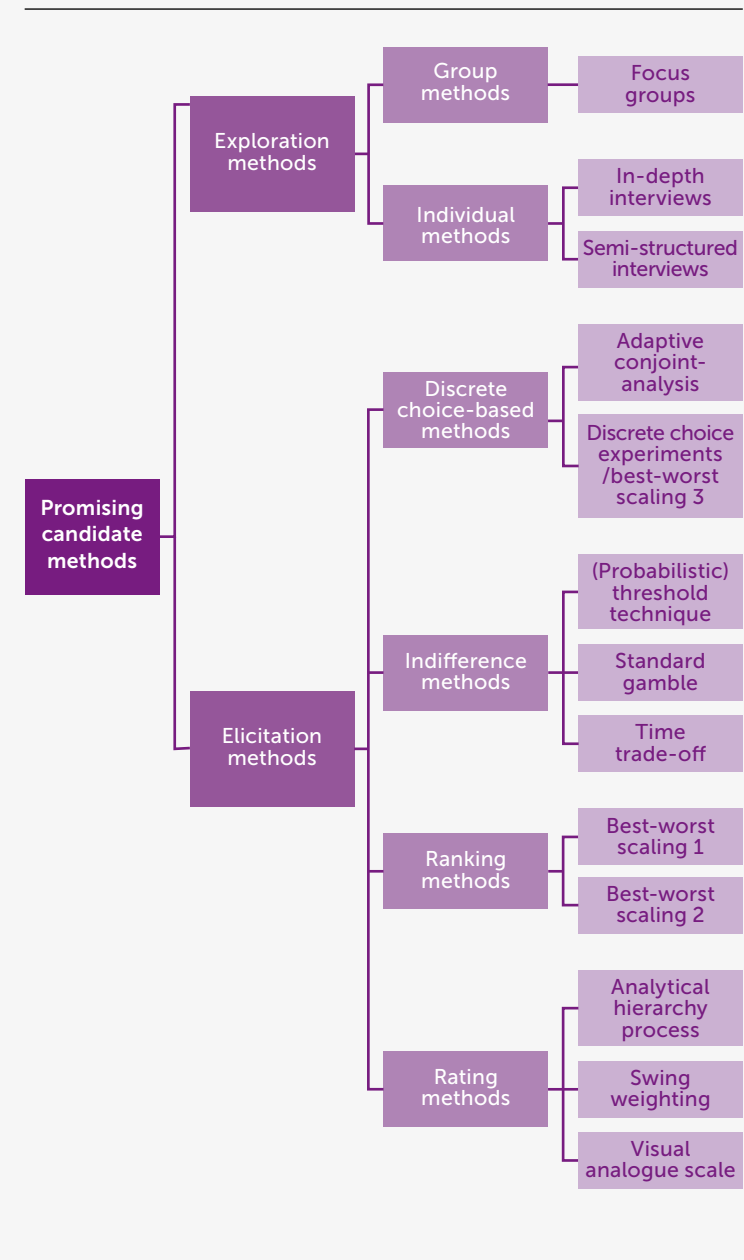
behandelingen en zorgprogramma's ontwikkelen, maar ook voor de autoriteiten die beoordelen, reguleren en beslissen welke behandelingen effectief, veilig, goed te verdragen en kosteneffectief zijn.<sup>37,38</sup>

Onderzoek doen naar de voorkeuren van patiënten is een snelgroeiend terrein. Zeker nu de paternalistische benadering in de gezondheidszorg afneemt, terwijl de patiënt steeds meer in staat gesteld wordt zelf te beslissen en te handelen. Dit is ook te zien aan het aantal recente onderzoeks- en samenwerkingsinitiatieven waarin gestreefd wordt om richtlijnen te ontwikkelen als het gaat om het gebruik van patiëntpreferenties bij het ontwikkelen en goedkeuren van medische producten. Informatie over patiëntpreferenties zou namelijk onder andere gebruikt kunnen worden voor het ontwerpen van een medisch product, voor de selectie van eindpunten voor klinische trials, voor de goedkeuring van regelgevende instanties, bij 'health technology assessment' (HTA) en bij voorschrijfbeslissingen.<sup>39</sup> Luisteren naar patiëntpreferenties geeft inzicht in therapietrouw en maakt daarmee beter inzichtelijk hoe effectief een therapie in de praktijk daadwerkelijk gaat zijn.

Om voorkeuren van patiënten betrouwbaar en valide te kunnen verkennen en te meten is gedegen preferentieonderzoek nodig. Een recent verschenen compendium laat zien dat er maar liefst 33 verschillende methoden beschikbaar zijn om preferenties te verkennen en te meten in de gezondheidszorg,<sup>40,41</sup> waarvan recent 13 methoden als veelbelovend zijn beoordeeld (zie Figuur 9).<sup>40</sup> Elke methode heeft zijn voor- en nadelen. Het hangt onder andere van de vraagstelling van het onderzoek af hoe geschikt een bepaalde methode is.

Dit roept de vraag op: 'Wanneer moet welke methode gebruikt worden om patiëntvoorkeuren te verkennen of te meten?' Tot voor kort was het onduidelijk hoe op een wetenschappelijk wijze voorkeursmetingen opgenomen konden worden bij de ontwikkeling van een medische behandeling of in de besluitvormingsprocessen en vergoedingen daarvan.<sup>36</sup> De afgelopen jaren ben ik en mijn onderzoeksgroep betrokken geweest bij het ontwikkelen van twee verschillende raamwerken. Ten eerste het raamwerk welke door de 'International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research' (ISPOR) taskforce opgesteld is. Dit raamwerk heeft als hoofddoel om onderzoekers te begeleiden bij het uitvoeren van patiëntvoorkeursonderzoeken die geschikt zijn voor besluitvormers.<sup>42</sup> Dit raamwerk biedt een leidraad voor goede onderzoekspraktijken die (i) breed toepasbaar is op verschillende soorten methoden voor het meten van patiëntvoorkeuren; (ii) relevant is voor een breed scala aan vragen; en (iii) een breed kader bevat om ervoor te zorgen dat methoden die worden gebruikt om een beslissing te ondersteunen voldoen aan de verwachtingen en behoeften van de besluitvormers. Ten tweede het raamwerk welke door het 'Innovative Medicines Initiative' (IMI) PREFER consortium<sup>43</sup> opgesteld is en een drievoudig doel nastreeft: (i) een onderzoeksteam informeren over de belangrijkste overwegingen bij het ontwerpen van een preferentieonderzoek,

**Figuur 9** Veelbelovende methoden om patiëntvoorkeuren te verkennen en te meten [bron: Whichello et al.<sup>40</sup>]



het uitvoeren ervan en het toepassen van de resultaten; (ii) beleidsmakers begeleiden bij het beoordelen en gebruiken van resultaten van preferentieonderzoeken om besluitvorming te informeren; en (iii) het ondersteunen van de discussie tussen de industrie, regelgevers, HTA-instanties en betalers over preferentieonderzoeken die bedoeld zijn om de besluitvorming over medische producten te informeren.<sup>43</sup> Dit IMI PREFER raamwerk voor patiëntvoorkeursoronderzoeken heeft als doel discussies tussen de industrie, regelgevers en HTA-instanties en betalers makkelijker te maken over waarom, wanneer en hoe onderzoeken naar patiëntvoorkeuren uitgevoerd moeten worden. Tevens heeft het IMI PREFER raamwerk als doel om duidelijkheid te geven hoe de resultaten van patiëntvoorkeursoronderzoeken kunnen worden beoordeeld en hoe de resultaten kunnen worden gebruikt om besluitvorming te informeren.

Ondanks dat er nu raamwerken zijn hoe patiëntvoorkeuren verkend en gemeten kunnen worden en er een groeiende kennis en ervaring op dit gebied is<sup>37,44-49</sup> wat op zijn beurt een groeiende interesse heeft gewekt in hoe het beste patiëntvoorkeursstudies uit te voeren,<sup>39,50-54</sup> blijven er urgente en relevante methodologische vragen onbeantwoord.<sup>55,56</sup> Vragen zoals welk niveau van validiteit, representativiteit en robuustheid is nodig? Hoe zullen deze benaderingen van patiëntvoorkeuren voldoen aan de behoeften van de verschillende belanghebbenden, met name regelgevende, HTA- en vergoedingsinstanties, en bijdragen aan hun bestaande besluitvormingsprocessen? Hoe overdraagbaar zijn gegevens van patiëntvoorkeuren van land tot land?

Gezien het feit dat financiering verkrijgen voor methodologisch onderzoek veelal uitdagender is dan voor toegepast onderzoek, moet er naar mijn mening actief naar mogelijkheden gezocht worden om steeds één of meerdere relevante methodologische onderzoeksvragen aan toegepast preferentieonderzoek te koppelen. Zo worden niet alleen onderzoeksgelden efficiënt benut, maar zullen de uiteindelijk betrouwbare en valide gegenereerde resultaten van toegepast preferentieonderzoek bijdragen aan betere klinische ('shared-decision-making') en beleidsbeslissingen in de gezondheidszorg. En hoewel excellent patiëntpreferentie-onderzoek bij zal moeten dragen aan betere beslissingen in de gezondheidszorg voor zowel patiënt als maatschappij, zijn wij er dan nog steeds niet. En dit brengt mij bij mijn derde puzzelstuk dat ik vanmiddag voor het voetlicht wil brengen: de economische evaluatie in de gezondheidszorg en dan met name de beoordeling van baten.

## 4. Economische evaluatie in de gezondheidszorg: de beoordeling van baten

Gezondheidseconomie is een deelgebied van de economische wetenschap waarin onderzoek wordt gedaan naar doelmatigheid en de toewijzing van gezondheidszorgmiddelen. De belangrijkste taken binnen elke economische evaluatie in de gezondheidszorg is het identificeren, meten, waarderen en vergelijken van de kosten en baten van gezondheidsinterventies die worden overwogen. In een economische evaluatie wordt uiteindelijk de vraag beantwoord of de baten van een medische interventie opwegen tegen de kosten ervan in vergelijking met een relevant alternatief.<sup>57</sup> Het meten en beoordelen van de baten is echter een van de grootste uitdagingen voor economen.

Niet alle patiënten hebben dezelfde mentale of fysieke gezondheid. Kunnen we de gezondheid van de ene patiënt wel vergelijken met de gezondheid van een andere patiënt? En vergelijkbaar, kunnen we de baten van de ene medische interventie wel vergelijken met de baten van een andere medische interventie?

Als we de baten van verschillende interventies in een economische evaluatie willen vergelijken, is het cruciaal dat deze baten worden uitgedrukt in een identieke effectmaat. Met andere woorden, we hebben één effectmaat nodig om de baten te bepalen. Maar hoe kun je een interventie die de levensverwachting verbetert vergelijken met een interventie die de kwaliteit van leven verbetert, of met een interventie die beide verbetert?

In de gezondheidszorg wordt de QALY veelvuldig gebruikt als effectmaat in economische evaluaties.<sup>58,59</sup> QALY staat voor 'Quality Adjusted Life Year' en geeft de gezondheidsbaten van een gezondheidsinterventie weer. Een QALY is een levensjaar dat gecorrigeerd wordt met een factor voor kwaliteit van leven. Een QALY houdt dus rekening met: zowel het aantal levensjaren als de kwaliteit van leven. Hierdoor combineert een QALY de levensduur en de gezondheidsgerelateerde kwaliteit van leven in één enkele effectmaat. De kwaliteit van leven wordt uitgedrukt met een waarde van 'één' voor perfecte gezondheid en een waarde van 'nul' voor een zeer slechte gezondheidstoestand of dood. Ter illustratie: stel er zijn twee verschillende behandelingen voor een bepaalde patiëntengroep met ziekte X. Namelijk medicatie A en medicatie B. Dankzij medicatie A zal elke patiënt gemiddeld nog 10 jaar lang



leven met een levenskwaliteit van 0,5 (oftewel  $10 \times 0,5 = 5$  QALYs). Door medicatie B zal elke patiënt gemiddeld nog 8 jaar leven met een levenskwaliteit van 0,8 (oftewel  $8 \times 0,8 = 6,4$  QALYs). Aannemende dat de kosten van beide behandelingen gedurende het leven van de patiënt gelijk zijn, zal de patiënt meer baat hebben van medicatie B dan van medicatie A in termen van kwaliteit gewonnen levensjaren (6,4 QALYs versus 5 QALYs). In dit voorbeeld wordt behandeling met medicatie B dan ook als kosten-effectief alternatief bestempeld ten opzichte van behandeling met medicatie A.

Hoewel de QALY grote voordelen biedt om gezondheidsbaten van de ene medische interventie te kunnen vergelijken met een andere medische interventie, schiet deze effectmaat tekort. Namelijk de QALY bevat alleen de gezondheidsbaten van een medische interventie. Uiteraard is het gebruik van de QALY als enige uitkomstmaat adequaat wanneer de interventie uitsluitend gericht is op gezondheidsverbetering, zoals bij veel curatieve interventies of preventieve interventies. Echter niet alle verbeteringen in de gezondheidszorg (preventie, genezing en zorg) richten zich uitsluitend op gezondheidsverbetering. Denk bijvoorbeeld aan de interventies in de zorgsector. De zorgsector wordt - in tegenstelling tot de genezingssector - gekenmerkt door een breed pallet aan hulpmiddelen en diensten voor patiënten die gebruik maken van langdurige zorg.<sup>57</sup> Deze specifieke voorzieningen dragen bij aan het welzijn van patiënten door effect te hebben op het functioneren op uiteenlopende domeinen van kwaliteit van leven. Denk hierbij aan onafhankelijkheid, gevoel van veiligheid en sociale relaties. En ondanks een interventie op gezondheidsverbetering gefocust is, is gezondheid veelal niet de enige relevante baten voor de patiënt. Zo heb ik in eerder onderzoek, samen met diverse collega's, al aangetoond dat patiënten bereid waren een deel van hun overlevingskansen op te geven of een minder effectieve behandeling te ondergaan als ze bijvoorbeeld behandeld zouden worden in het ziekenhuis van hun voorkeur, of minder intensieve diagnostiek hoefden te ondergaan, of minder prikken hoefden te krijgen.<sup>60-65</sup>

In economische termen is dus niet alleen gezondheid een element in de baten-functie, ook andere elementen leveren baten op. De term baten moet in brede zin worden begrepen als een alomvattende maat voor de waarde van producten, objecten en zelfs processen.<sup>66</sup> Om een goede en eerlijke vergelijking tussen de kosten en baten van verschillende interventies binnen maar ook tussen zorgsectoren (preventie, genezing, zorg) te kunnen maken, moeten alle relevante baten meegenomen worden in een economische evaluatie. Het selectief weglaten van relevante baten anders dan gezondheidsbaten leidt ertoe dat er mogelijk verkeerde besluiten worden genomen vanuit een maatschappelijk perspectief en dat een medische interventie ten onrechte als kosten(in)effectief wordt bestempeld.<sup>57</sup>

In de afgelopen jaren is de interesse in de effectmaat om baten van gezondheids-interventies vast te stellen dan ook verschoven van de QALY (alleen gezondheidsbaten) naar het meten en waarderen van volledige baten van interventies en de waarde die deze baten krijgen in verschillende contexten. Deze verschuiving heeft geleid tot de verkenning van een meer geschikte en bredere uitkomstmaat in termen van algehele kwaliteit van leven (oftewel welzijn of WALY ('well-being adjusted life year')). Een dergelijke uitkomstmaat zou de evaluatie van een bredere reikwijdte van interventies in de gezondheidssector mogelijk maken, mogelijk beter aansluiten bij de maatschappelijke voorkeuren voor de verdeling van gezondheid en gezondheidszorg, en zo de economische evaluaties in de gezondheidszorg verbeteren en de HTA-besluitvorming optimaliseren. De verkenning van een dergelijke bredere uitkomstmaat staat echter nog in de kinderschoenen.

Vijf jaar geleden werd het Erasmus Initiative 'Smarter Choices for Better Health' gelanceerd.<sup>67</sup> De Erasmus Universiteit Rotterdam wil met dit initiatief bijdragen aan een betere gezondheid wereldwijd door slimmere keuzes te stimuleren.<sup>67</sup> Aangezien gezondheid en zorg complexe thema's zijn, investeert het Erasmus Initiative 'Smarter Choices for Better Health' in interdisciplinair langdurig onderzoek. In dit initiatief wordt expertise van verschillende onderzoeksgroepen samengebracht. Samen met mijn collega's Werner Brouwer, Job van Exel, Daphne Voormolen en Judith Bom konden wij dankzij dit initiatief een belangrijke eerste stap maken in de ontwikkeling van een op welzijn gebaseerde effectmaat. Middels een theoretisch raamwerk en door kwalitatief en kwantitatief onderzoek ontwikkelden wij het Welzijn Instrument 10-domeinen; kortweg de WiX genoemd. De WiX is een instrument dat door middel van 10 domeinen het welzijn van een individu kan meten. Dit instrument bevat naast twee gezondheidsdomeinen (mentale gezondheid en lichamelijke gezondheid), acht domeinen die verder kijken dan gezondheid alleen: relaties, leefomgeving, veiligheid, financiële situatie, ontspanning en vrije tijd, activiteiten, onafhankelijkheid en eigenwaarde. Met dit instrument alleen zijn wij er echter nog niet. Vragen die nog openstaan zijn bijvoorbeeld: Wat is de validiteit, haalbaarheid, betrouwbaarheid en sensitiviteit van dit instrument? Wat zijn de gewichten voor de verschillende welzijn-toestanden voor Nederland en andere landen?

De komende jaren werk ik met mijn collega's binnen het Erasmus Initiative 'Smarter Choices for Better Health' actief samen om meerdere van bovenstaande vragen te beantwoorden. Hier zal ik met verschillende onderzoekers binnen ESHPM en de Erasmus School of Economics (afdeling Toegepaste Economie) nauw samenwerken om verschillende paden te bewandelen om de WiX zodanig verder te ontwikkelen zodat deze breed gedragen wordt onder academici, HTA-instellingen en beleidsmakers. Voor een 'proof-of-principle' zal vervolgens actief de samenwerking met onderzoekers van het Erasmus MC opgezocht worden om de WiX mee te laten lopen bij verschillende klinische studies.

De ambitie is om economische evaluaties in de gezondheidszorg te verbeteren door naar een bredere uitkomstmaat dan de huidige QALY te gaan, wat direct zal bijdragen aan het hoofddoel van het Erasmus Initiative en mijn leeropdracht om slimmere keuzes te maken in de gezondheidszorg.

Nu heeft u vanmiddag al het nodige gehoord over keuzes voorspellen, over voorkeuren verkennen en meten, en over economische evaluatie in de gezondheidszorg. Aangezien ik geen enkel wetenschappelijk onderzoek kon vinden dat aantoonde of individuen spijt hebben van hun keuze om een oratie bij te wonen – ik vond trouwens wel wetenschappelijk onderzoek dat aantoonde dat mannen over het algemeen meer spijt hebben van gemaakte keuzes op carrièregebied dan vrouwen; terwijl vrouwen juist meer spijt ervaren op het gebied van liefde en relaties – ga ik er gemakshalve vanuit dat u nog steeds blij bent met uw keuze om hier vanmiddag in deze Aula te zitten. Ik neem u dan ook graag vol enthousiasme mee naar het vierde en tevens laatste puzzelstuk dat niet alleen de vorige drie puzzelstukken met elkaar verbindt, maar ook noodzakelijk is om de puzzeltocht naar betere beslissingen in de gezondheidszorg te kunnen voltooien. Het vierde puzzelstuk dat ik vanmiddag voor het voetlicht wil brengen is: de ontwikkeling van een ‘Health Technology Assessment’ raamwerk waarin alle baten meegenomen worden voor het toewijzen van schaarse middelen in de gezondheidszorg.

## 5. Ontwikkeling van een ‘Health Technology Assessment’ raamwerk waarin alle baten meegenomen worden voor het toewijzen van schaarse middelen in de gezondheidszorg

U bent tijdens deze rede al vaker het woord ‘*Health Technology Assessment*’ oftewel afgekort HTA tegengekomen. Maar wat is HTA nu eigenlijk? HTA is een multidisciplinaire vorm van beleidsanalyse. Hierbij worden methoden gebruikt om de waarde van een medische technologie te bepalen (bijvoorbeeld sociale, ethische, medische en economische implicaties).<sup>68</sup> Medische technologie is een containerbegrip en HTA kan op alles wat met gezondheidszorg te maken heeft toegepast worden (bijvoorbeeld preventie, diagnostiek, geneesmiddelen, medische apparatuur, behandelmethoden, en organisatorische interventies).<sup>69</sup> Het doel van HTA is om de besluitvorming te informeren. Als een patiënt in Nederland zorg krijgt, dan is het niet alleen van belang dat deze zorg veilig en effectief is, maar ook voldoet aan de behoeften van de patiënt en doelmatig (‘waar voor het geld’) is.<sup>69</sup> Zo wordt een rechtvaardig, efficiënt en kwalitatief hoogstaand gezondheidssysteem bevorderd.

De verschuiving van ‘alleen gezondheidsbaten’ naar ‘alle baten’ en daarnaast de groeiende interesse en noodzaak om met de voorkeuren en keuzes van patiënten rekening te houden bij klinische en beleidsbeslissingen, vraagt om een herziening van het huidige HTA-raamwerk; oftewel om de ontwikkeling van een HTA-raamwerk waarin alle baten meegenomen worden. Samenwerking met verschillende belanghebbenden is hierbij nodig om echt nuttig te zijn voor de samenleving, omdat zelfs ‘good practice’ zich niet zelf implementeert. Hieronder vallen degenen die HTA-onderzoek opzetten en uitvoeren en degenen die beleidsbeslissingen nemen in de gezondheidszorg. Voorbeelden van recente initiatieven waar verschillende belanghebbenden op dit terrein met elkaar samenwerken en waar ik nauw bij betrokken ben zijn: (i) de herziening van de ISPOR Task Force ‘Consolidated Health



Economic Evaluation Reporting Standards (CHEERS);<sup>70</sup> een belangrijke richtlijn voor economische evaluaties binnen de gezondheidseconomie waar in de herziening nu ook rekening gehouden wordt met niet-gezondheidsuitkomsten en (ii) het IMI PREFER project waar met 31 partners (acht academische instituten, vier patiëntorganisaties, een HTA-instantie, twee kleine en middelgrote ondernemingen en 16 farmaceutische bedrijven) onderzocht wordt hoe patiëntvoorkeuren waardevolle informatie kunnen opleveren ter ondersteuning van de besluitvorming voor beleidsmakers en HTA-instanties.<sup>43</sup>

Zoals bij elke verandering zal de ontwikkeling en acceptatie van een HTA-raamwerk waarin alle baten meegenomen worden niet zonder hobbels en uitdagingen zijn. Echter als iets moeilijk is, betekent dit niet dat we dit niet moeten proberen. Een HTA-raamwerk waarin alle baten meegenomen worden is namelijk noodzakelijk om uiteindelijk tot eerlijke en transparantere beslissingen in de gezondheidszorg (preventie, genezing en zorg) te kunnen komen voor zowel patiënt als maatschappij.

Vanuit mijn leerstoel 'Gezondheidseconomie & Gezondheidspreferenties' binnen de sectie HTA wil ik met mijn onderzoeksgroep de komende jaren de ontwikkeling van een HTA-raamwerk waarin alle baten meegenomen worden actief voeden. Mijn promovendi Samare Huls en Chiara Whichello hebben onlangs een overzicht gemaakt welke uitdagingen er liggen om patiëntvoorkeuren in een HTA-raamwerk te kunnen integreren. Dit overzicht geeft weer dat om patiëntvoorkeuren op een systematische en wetenschappelijk valide wijze in een HTA-raamwerk op te nemen, er eerst 37 onderzoeksvragen getackeld moeten worden.<sup>56</sup> Via het Erasmus Initiative 'Smarter Choices for Better Health 2.0'<sup>67</sup>, waarbij ik opnieuw nauw betrokken ben, zal een aantal van bovenstaande vragen actief opgepakt worden. Er is hiervoor zelfs een geheel aparte thema-lijn getiteld: 'het landschap instellen voor een HTA-raamwerk waarin alle baten meegenomen worden: baten meten die verder gaan dan de QALY, patiëntvoorkeuren en verdelingsoverwegingen integreren, en beleidsgerelateerde randvoorwaarden stellen'.

## 6. Onderzoeksagenda: Met Zorg Kiezen; op naar betere beslissingen in de gezondheidszorg

Aan de hand van vier puzzelstukken heb ik u vanmiddag een inzicht gegeven van mijn puzzeltocht om betere beslissingen in de gezondheidszorg te bewerkstelligen. Daarnaast heb ik met u een reis gemaakt door mijn vakgebieden Gezondheidseconomie en Gezondheidspreferenties, waarbij ook een aantal uitdagingen helder geworden is waar wetenschappers binnen deze vakgebieden voor staan. Het is tijd voor een onderzoeksagenda. Een onderzoeksagenda die noodzakelijk is om betere ex-ante (van tevoren) evaluaties van gezondheidsbeleid mogelijk te maken en daarmee betere beslissingen in de gezondheidszorg te verkrijgen. Hierbij staan de volgende samenhangende speerpunten centraal:

### 6.1 Keuzegedrag in de gezondheidszorg correct voorspellen

- Hoe moet de huidige keuzetheorie verder ontwikkeld worden om sociaal onderling afhankelijke besluitvorming mee te kunnen nemen?
- Hoe moeten keuze-intenties gemeten en gemodelleerd worden om keuzegedrag in de gezondheidszorg accuraat te voorspellen?
- Wanneer en in hoeverre is keuzegedrag in de zorg voorspelbaar op geaggregeerd en individueel niveau indien er rekening wordt gehouden met sociale invloeden?
- In hoeverre zijn discrete keuze experimenten (DCEs) en morele keuzemodellen nuttig bij het toewijzen van schaarse gezondheidsbronnen op een transparante en op een waarde gedreven manier wanneer morele dilemma's een rol spelen (denk bijvoorbeeld aan wie moet er wel een IC-bed krijgen tijdens een pandemie ten tijde van schaarste en wie niet?)

### 6.2 Voorkeuren verkennen en meten in de gezondheidszorg

- Welke preferentie-methode moet wanneer gebruikt worden?
- Hoe verschillen de resultaten tussen eenvoudigere/goedkopere preferentiemethoden versus meer complexe/duurdere preferentiemethoden?
- Hoe generaliseerbaar zijn voorkeuren van een specifieke populatie met een ziekte naar verschillende populaties met die of aanverwante ziekten?
- Wat is de impact van verschillende onderzoeksopzetten op de validiteit (intern en extern), betrouwbaarheid en uitvoerbaarheid van verschillende preferentiemethodieken in de gezondheidszorg?

- Welk niveau van validiteit, representativiteit en robuustheid is nodig om preferentieresultaten te kunnen laten bijdragen aan besluitvormingsprocessen van regelgevende, HTA- en vergoedingsinstanties?
- In welke mate variëren voorkeuren met kenmerken van de patiënten?

### 6.3 Economische evaluatie in de gezondheidszorg: de beoordeling van baten

- Wat is de validiteit, haalbaarheid, betrouwbaarheid en sensitiviteit van het Welzijn instrument 10-items (WiX) voor de volwassen populatie in Nederland en andere landen?
- Wat zijn de gewichten voor de verschillende WiX welzijn-toestanden voor Nederland en andere landen?
- Verschilt een economische evaluatie gebaseerd op WALYs van een economische evaluatie gebaseerd op QALYs in termen van incrementele kosteneffectiviteit ratio's?
- In welke gezondheidssector (preventie, genezing of zorg) is het verschil tussen WALY en QALY het grootst?
- Hoe groot zijn de voor- en nadelen als WALY als vervanging optreedt voor de QALY als het gaat om HTA-beslissingen?

### 6.4 Ontwikkeling van een HTA-raamwerk waarin alle baten meegenomen worden voor het toewijzen van schaarse middelen in de gezondheidszorg.

- Welke kosten en baten zijn relevant en hoe moeten deze gemeten worden om eerlijke en transparante vergelijkingen tussen interventies van verschillende gezondheidssectoren (preventie, genezing en zorg) te maken?
- Waar ligt de afkapwaarde voor een incrementele kosteneffectiviteit ratio indien WALY als effectmaat gehanteerd wordt in een economische evaluatie? Oftewel wanneer mag een gezondheidsinterventie als kosteneffectief beschouwd worden als er gebruik gemaakt wordt van WALY?
- Hoe moeten niet-gezondheidsuitkomsten geïntegreerd worden in besluitvorming (dit vraagt om het ontwikkelen van een conceptueel raamwerk, zoals welke baten moeten toegevoegd worden aan de huidige beslissingen en welke baten niet om dubbeltelling van baten te voorkomen)?
- Moeten patiëntpreferenties eerder een prominente rol spelen binnen of naast economische evaluaties in een HTA-raamwerk en welke preferentie-methode geniet de voorkeur?
- Indien alle baten gemeten zijn, moeten beleidsbeslissingen in de gezondheidszorg alleen rekening houden met gemiddelde baten of ook met hun verdeling (bijvoorbeeld: Hebben grote baten die slechts voor enkelen gelden de voorkeur boven kleine baten voor velen? Heeft het toewijzen van middelen op jonge leeftijd de voorkeur boven het toewijzen van middelen op oudere leeftijd)?

## 7. Tot slot

Vandaag heb ik geprobeerd u enigszins wegwijs te maken in de vakgebieden Gezondheidseconomie & Gezondheidspreferenties. Ik heb met u stilgestaan bij de interessante uitdagingen waar de wetenschappers binnen deze vakgebieden voor staan. Het moge duidelijk zijn dat deze uitdagingen vragen om een multidisciplinaire aanpak op het grensvlak van economische, gedrags-, econometrische en medische wetenschappen. Ik prijs mij dan ook gelukkig met een leerstoel binnen ESHPM welke van nature al een multidisciplinaire setting heeft, prachtige kansen biedt om deze onderzoeksagenda vorm te geven, en bovenal zeer prettige en inspirerende collega's en werkomgeving heeft. De support alleen al van mijn beide collega-hoogleraren binnen de HTA-sectie, professor Carin Uyl-de Groot en professor Maureen Rutten-van Mólken, zijn hartverwarmend te noemen. Ook ben ik blij met een groot, sterk, multidisciplinair en internationaal netwerk dat ik door de jaren heen heb opgebouwd, maar juist ook met de geweldige contacten veel dichterbij huis, zoals met vele collega's binnen de HTA- en HE-sectie, het Erasmus Choice Modelling Centre, de Erasmus School of Economics, het Erasmus MC en de TU Delft. Daarnaast prijs ik mij gelukkig met de contacten met de farmaceutische industrie, het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA), Zorginstituut Nederland (ZiN), het RIVM en de zorgverzekeraars. Door deze contacten kan ik met mijn onderzoek ook een directe impact op de praktijk hebben. Samenwerking en kennisdeling met deze partijen zorgt er voor dat mijn onderzoek relevant is en blijft voor de praktijk.

Ik acht het een voorrecht dat ik dankzij de leerstoel Gezondheidseconomie & Gezondheidspreferenties mij verder mag bezighouden met deze relevante en boeiende materie. Ik verheug mij er dan ook op om binnen en buiten Nederland verdere onderzoeken en samenwerkingen aan te gaan om tot betere beslissingen in de gezondheidszorg te kunnen komen voor zowel patiënt als maatschappij. Ik hoop zo actief bij te kunnen dragen aan het bevorderen van slimme en efficiënte uitgaven in de gezondheidszorg.

Naast het delen van mijn kennis met de huidige mensen in het veld, wil ik ook een positieve bijdrage leveren aan het onderwijs. Uit het bovenstaande volgt namelijk direct een aantal implicaties voor het toekomstige onderwijs. We moeten studenten de nieuwe ontwikkelingen op het gebied van keuzemodellering, preferentiemethoden, welzijnsmeting en een breder HTA-raamwerk bijbrengen. Ik wil daar graag een actieve bijdrage aan leveren en ben blij met de ruimte die hiervoor geboden wordt in onze eigen bachelor, maar ook in onze master Health Economics, Policy & Law. Ik verheug mij er dan ook op om ook langs die weg een bijdrage te kunnen leveren aan de kennisontwikkeling op het gebied van Gezondheidseconomie en Gezondheidspreferenties. Onze studenten zijn immers de onderzoekers en beleidsmakers van de toekomst. Zij zijn het die de keuzes in toekomst zullen gaan maken!

## 8. Dankwoord

**Mevrouw de Rector Magnificus, beste toehoorders, graag wil ik afsluiten met een paar woorden van dank. Uiteraard wil ik allen bedanken die hebben bijgedragen aan mijn wetenschappelijke ontwikkeling tot nu toe. Gezien de tijd, kan ik slechts een enkeling hier specifiek noemen. Ja, ook hier moeten soms lastige keuzes gemaakt worden.**

Allereerst wil ik het College van Bestuur van de Erasmus Universiteit Rotterdam, de voormalig decaan van de Faculteit der Geneeskunde en Gezondheidswetenschappen, Hans van Leeuwen, alsmede de decaan ad interim van ESHPM, Werner Brouwer, bedanken voor het vestigen van deze leerstoel, en het in mij gestelde vertrouwen.

Uiteraard wil ik ook alle ESHPM-collega's van harte bedanken die de afgelopen zes jaar hebben bijgedragen aan de heel plezierige en inspirerende werkomgeving. ESHPM en daarbinnen de sectie Health Technology Assessment (HTA) vormen voor mij de ideale werkplek, waar gezelligheid en productiviteit hand in hand gaan. Ik hoop nog vele jaren met jullie te mogen samenwerken op zowel onderzoeks- als onderwijsgebied.

Uiteraard dank ik ook mijn collega's van het Erasmus MC, en in het bijzonder de afdeling Maatschappelijke Gezondheidszorg, waar ik ruim 14 jaar gewerkt heb en mijn eerste stappen op de wetenschappelijke ladder maakte. Ik bewaar uitstekende herinneringen aan mijn werkjaren aldaar, bovenal aan mijn leermeesters professor Ewout Steyerberg en professor Marie-Louise Essink-Bot. Marie-Louise overleed helaas veel te jong en wordt vandaag dan ook hier gemist. Desalniettemin spreek ik de volgende woorden tot jullie beiden uit: Ewout en Marie-Louise, bedankt voor alle kansen en vrijheden die jullie mij hebben geboden om mijzelf te ontplooien, die zonder twijfel de basis hebben gelegd om mijn wetenschappelijke vleugels uit te kunnen slaan.

Ook wil ik mijn internationale leermeesters heel hartelijk danken. Beste professoren Michiel Bliemer, John Rose, Mandy Ryan, Joffre Swait en Emily Lancsar, jullie boden mij niet alleen een inspirerende werkplek op jullie universiteiten, maar vormden bovenal een springplank om mij in de frontlinie van keuzemodellering te brengen. Dank voor jullie gastvrijheid, voor de zeer plezierige samenwerkingen en het delen van jullie kennis. Ik hoop nog vele jaren met jullie intensief te mogen samenwerken op onderzoeksgebied.

Hooggeleerde Uyl-de Groot en hooggeleerde Rutten-van Mólken, beste Carin en Maureen. In de hoedanigheid als leidinggevendenden hebben jullie van meet af aan alle support en vrijheid gegeven om mijn onderzoeksactiviteiten te focussen op de onderwerpen die ik het meest interessant, relevant en uitdagend vond. Dat ik hier vandaag sta is grotendeels ook aan jullie te danken. Hartelijk dank daarvoor.

Hooggeleerde Donkers, beste Bas, onze samenwerking startte zo'n 14 jaar geleden toen ik als promovenda jou benaderde om bij een van mijn preferentiestudies betrokken te zijn. De samenwerking smaakte, in ieder geval van mijn kant, direct naar meer. En meer is er gekomen! Niet alleen maakte jij mij wegwijs met de economische taal en zijn onze gezamenlijke papers al lang niet meer op een hand te tellen, maar bovenal leidde onze samenwerking tot het idee om het interfacultaire Erasmus Choice Modelling Centre op te zetten. Dit centrum is tot op de dag van vandaag nog steeds volop in groei en bloei. Jouw bijdrage aan mijn academische ontwikkeling kan niet overschat worden. Heel veel dank voor alles.

Wat is een academische carrière zonder onderzoeksgroep. Zeergeleerde Veldwijk, beste Jorien. Jouw loyaliteit, inzet en productiviteit is bewonderenswaardig. Wat ben ik blij dat jij mij destijds gevolgd bent naar de Erasmus Universiteit. Ik kijk vol enthousiasme uit naar de voortzetting van onze zeer prettige, en tot op heden uiterst vruchtbare samenwerking. In het bijzonder wil ik ook mijn promovendi die al klaar zijn – Moniek, Domino, Chiara, Sven en Vikas – en de promovendi die nu bezig zijn – Samare, Jannis, Nicholas, Artur en Olga – van harte bedanken. Met jullie samenwerken is een van de leukste aspecten van mijn werk.

Vanzelfsprekend kunnen mijn ouders in dit dankwoord niet ontbreken. Lieve mama, samen met papa – die we helaas bij deze bijzondere gebeurtenis moeten missen – hebben jullie altijd onvoorwaardelijk achter mijn keuzes gestaan, hoe verrassend deze keuzes soms ook voor jullie waren. Bedankt voor alles wat jullie hebben betekend en nog betekenen. Ik zal de steun, het vertrouwen en de support altijd blijven koesteren.

Tot slot, prijs ik mij zeer gelukkig met mijn thuisbasis. Lieve Lars, wij zijn al bijna 30 jaar samen; oftewel sinds de tijd dat jij nog beduidend langer was dan ik. De keuze om met jou mijn leven te delen, is een van mijn beste keuzes in mijn leven geweest. Bedankt voor jouw onvoorwaardelijke steun en voor het er altijd zijn. Chayenne, Kenai en Anouk, wat is het leven toch mooi met jullie om mij heen. Dank voor alle gezelligheid en warmte die jullie steeds weer in ons huis brengen. Ik hoop nog heel lang getuigen te mogen zijn van de keuzes die jullie nu en in de toekomst - al dan niet met zorg - zullen gaan maken!

Ik heb gezegd.

# Referenties

1. Brouwer, W. B. F. De basis van het pakket, oratie, Erasmus Universiteit Rotterdam. (2009).
2. Bloom, D. E. *et al.* Macroeconomic implications of population ageing and selected policy responses. *The Lancet* (2015) doi:10.1016/S0140-6736(14)61464-1.
3. OECD/EU. *Health at a Glance: Europe 2018: State of Health in the EU Cycle*, OECD Publishing, Paris. [https://doi.org/10.1787/health\\_glance\\_eur-2018-en](https://doi.org/10.1787/health_glance_eur-2018-en) (2018).
4. Watkins, J. B. Affordability of Health Care: A Global Crisis. *Value Heal.* (2018) doi:10.1016/j.jval.2018.01.001.
5. CBS StatLine. Zorguitgaven kerncijfers. <https://opendata.cbs.nl/#/CBS/nl/dataset/84047NED/table?ts=1642346603795>.
6. Todd & Wolpin. Ex Ante Evaluation of Social Programs. *Ann. Econ. Stat.* (2008) doi:10.2307/27917248.
7. NOS. Gedrag allesbepalend voor verloop epidemie, zeggen RIVM en IC-artsen. <https://nos.nl/artikel/2328342-gedrag-allesbepalend-voor-verloop-epidemie-zeggen-rivm-en-ic-artsen> (2020).
8. de Bekker-Grob, E. W., Donkers, B., Bliemer, M. C. J., Veldwijk, J. & Swait, J. D. Can healthcare choice be predicted using stated preference data? *Soc. Sci. Med.* (2020) doi:10.1016/j.socscimed.2019.112736.
9. de Bekker-Grob, E. W. *et al.* Are Healthcare Choices Predictable? The Impact of Discrete Choice Experiment Designs and Models. *Value Heal.* (2019) doi:10.1016/j.jval.2019.04.1924.
10. Terris-Prestholt, F., Quaife, M. & Vickerman, P. Parameterising User Uptake in Economic Evaluations: The role of discrete choice experiments. *Heal. Econ. (United Kingdom)* (2016) doi:10.1002/hec.3297.
11. Mahieu, P.-A. *et al.* Stated preferences: a unique database composed of 1657 recent published articles in journals related to agriculture, environment, or health. *Rev. Agric. Food Environ. Stud.* (2017) doi:10.1007/s41130-017-0053-6.
12. Bliemer, M. C. J. & Rose, J. M. Experimental design influences on stated choice outputs: An empirical study in air travel choice. *Transp. Res. Part A Policy Pract.* (2011) doi:10.1016/j.tra.2010.09.003.
13. de Bekker-Grob, E. W. Discrete Choice Experiments in Health Care: theory and applications. Erasmus University Rotterdam. Retrieved from <http://hdl.handle.net/1765/21908>. (2009).
14. Haghani, M., Bliemer, M. C. J. & Hensher, D. A. The landscape of econometric discrete choice modelling research. *J. Choice Model.* 40, (2021).
15. Luce, R. D. & Tukey, J. W. Simultaneous conjoint measurement: A new type of fundamental measurement. *J. Math. Psychol.* (1964) doi:10.1016/0022-2496(64)90015-X.

16. Daniel L. McFadden – Biographical. NobelPrize.org. Nobel Prize Outreach AB 2021. Mon. 19 Jul 2021. <<https://www.nobelprize.org/prizes/economic-sciences/2000/mcfadden/biographical/>>.
17. G Chua, C Bond, T Porteous, M Ryan. External validity of discrete choice experiment in pharmacy research: Empirical findings from a field experiment. *Int. J. Pharm. Pract.* (2016).
18. Salampessy, B. H. *et al.* The Predictive Value of Discrete Choice Experiments in Public Health: An Exploratory Application. *Patient* (2015) doi:10.1007/s40271-015-0115-2.
19. Ryan, M. & Watson, V. Comparing welfare estimates from payment card contingent valuation and discrete choice experiments. *Health Econ.* (2009) doi:10.1002/hec.1364.
20. Lambooi, M. S. *et al.* Consistency between stated and revealed preferences: A discrete choice experiment and a behavioural experiment on vaccination behaviour compared. *BMC Med. Res. Methodol.* (2015) doi:10.1186/s12874-015-0010-5.
21. Linley, W. G. & Hughes, D. A. Decision-makers' preferences for approving new medicines in wales: A discrete-choice experiment with assessment of external validity. *Pharmacoeconomics* (2013) doi:10.1007/s40273-013-0030-0.
22. Krucien, N., Gafni, A. & Pelletier-Fleury, N. Empirical testing of the external validity of a discrete choice experiment to determine preferred treatment option: The case of sleep apnea. *Heal. Econ. (United Kingdom)* (2015) doi:10.1002/hec.3076.
23. Mohammadi, T. *et al.* Testing the External Validity of a Discrete Choice Experiment Method: An Application to Latent Tuberculosis Infection Treatment. *Value Heal.* (2017) doi:10.1016/j.jval.2017.04.007.
24. Daniel Kahneman – Facts. NobelPrize.org. Nobel Prize Outreach AB 2021. Mon. 19 Jul 2021. <<https://www.nobelprize.org/prizes/economic-sciences/2002/kahneman/facts/>>.
25. Kahneman, D. Thinking fast, thinking slow. *Interpretation, Tavistock, London* (2011).
26. Richard H. Thaler – Facts. NobelPrize.org. Nobel Prize Outreach AB 2021. Tue. 20 Jul 2021. <<https://www.nobelprize.org/prizes/economic-sciences/2017/thaler/facts/>>.
27. Bokhorst, L. P. *et al.* Compliance rates with the Prostate Cancer Research International Active Surveillance (PRIAS) protocol and disease reclassification in noncompliers. *Eur. Urol.* (2015) doi:10.1016/j.eururo.2015.06.012.
28. C. Everett Koop, MD, US Surgeon General, 1985.
29. Tengs, T. O. *et al.* Five-Hundred Lif-Saving Interventions and Their Cost-Effectiveness. *Risk Anal.* (1995) doi:10.1111/j.1539-6924.1995.tb00330.x.
30. Ostermann, J., Brown, D. S., de Bekker-Grob, E. W., Mühlbacher, A. C. & Reed, S. D. Preferences for Health Interventions: Improving Uptake, Adherence, and Efficiency. *Patient* (2017) doi:10.1007/s40271-017-0251-y.

31. Dirksen, C. D. The use of research evidence on patient preferences in health care decision-making: Issues, controversies and moving forward. *Expert Review of Pharmacoeconomics and Outcomes Research* (2014) doi:10.1586/14737167.2014.948852.
32. Wale, J. et al. Why patients should be involved in health technology assessment. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* (2017) doi:10.1017/S0266462317000241.
33. Bridges, J. F. P. & Jones, C. Patient-based health technology assessment: A vision of the future. *Int. J. Technol. Assess. Health Care* (2007) doi:10.1017/S0266462307051549.
34. Hansen, H. P. & Lee, A. Patient aspects and involvement in HTA: An academic perspective. *Pharm. Policy Law* (2011) doi:10.3233/PPL-2011-0319.
35. O'Mahony, B., Kent, A. & Aymé, S. Pfizer-sponsored satellite symposium at the European Haemophilia Consortium (EHC) Congress: Changing the policy landscape: Haemophilia patient involvement in healthcare decision-making Pfizer-sponsored satellite symposium at the European Haemophilia Conso. *Eur. J. Haematol.* (2014) doi:10.1111/ejh.12316.
36. de Bekker-Grob, E. W. et al. Giving Patients' Preferences a Voice in Medical Treatment Life Cycle: The PREFER Public–Private Project. *Patient* (2017) doi:10.1007/s40271-017-0222-3.
37. Hoos, A. et al. Partnering With Patients in the Development and Lifecycle of Medicines: A Call for Action. *Ther. Innov. Regul. Sci.* (2015) doi:10.1177/2168479015580384.
38. Smith, M. Y. et al. Patient Engagement at a Tipping Point—The Need for Cultural Change Across Patient, Sponsor, and Regulator Stakeholders: Insights From the DIA Conference, "Patient Engagement in Benefit Risk Assessment Throughout the Life Cycle of Medical Products". *Ther. Innov. Regul. Sci.* (2016) doi:10.1177/2168479016662902.
39. Marsh, K. et al. Health Preference Research in Europe: A Review of Its Use in Marketing Authorization, Reimbursement, and Pricing Decisions—Report of the ISPOR Stated Preference Research Special Interest Group. *Value Heal.* (2020) doi:10.1016/j.jval.2019.11.009.
40. Whichello, C. et al. Appraising patient preference methods for decision-making in the medical product lifecycle: An empirical comparison. *BMC Med. Inform. Decis. Mak.* (2020) doi:10.1186/s12911-020-01142-w.
41. Soekhai, V. et al. Methods for exploring and eliciting patient preferences in the medical product lifecycle: a literature review. *Drug Discovery Today* (2019) doi:10.1016/j.drudis.2019.05.001.
42. Using patient preferences to inform decision-making. <https://www.ispor.org/member-groups/task-forces/measuring-patient-preferences-to-inform-decision-making-in-health> [retrieved 19 July 2021].
43. IMI PREFER. <https://www.imi-prefer.eu/about/> [retrieved 19 July 2021].
44. US FDA. *Patient-focused drug development: collecting comprehensive and representative input; guidance for industry, food and drug administration staff, and other stakeholders.* Silver Spring: Center for Drug Evaluation and Research, US FDA; 2020.
45. European Medicines Agency. *The patient's voice in the evaluation of medicines: how patients can contribute to assessment of benefit and risk.* EMA/607864/2013. Stakeholders and Communication Division, European Medicines Agency; 2013.
46. European Medicines Agency. *ICH reflection paper on proposed ICH guideline work to advance patient focused drug Development.* EMA/CHMP/ICH/415588/2020. Committee for Medicinal Products for Human Use, European Medicines Agency; 2020.
47. Anderson, M. & McCleary, K. K. On the path to a science of patient input. *Science Translational Medicine* (2016) doi:10.1126/scitranslmed.aaf6730.
48. Haerry, D. et al. EUPATI and patients in medicines research and development: Guidance for patient involvement in regulatory processes. *Front. Med.* (2018) doi:10.3389/fmed.2018.00230.
49. Mavris, M., Furia Helms, A. & Bere, N. Engaging patients in medicines regulation: a tale of two agencies. *Nature Reviews Drug Discovery* (2019) doi:10.1038/d41573-019-00164-y.
50. *Medical Device Innovation Consortium (MDIC). Patient centered benefit-risk project report: a framework for incorporating information on patient preferences regarding benefit and risk into regulatory assessments of new medical technology.* Medical Device In.
51. US FDA. *Patient Preference Information – Voluntary Submission, Review in Premarket Approval Applications, Humanitarian Device Exemption Applications, and De Novo Requests, and Inclusion in Decision Summaries and Device Labeling: Guidance for Industry, Foo.*
52. Ho, M. et al. A Framework for Incorporating Patient Preferences Regarding Benefits and Risks into Regulatory Assessment of Medical Technologies. *Value Heal.* (2016) doi:10.1016/j.jval.2016.02.019.
53. Postmus, D. et al. Individual Trade-Offs Between Possible Benefits and Risks of Cancer Treatments: Results from a Stated Preference Study with Patients with Multiple Myeloma. *Oncologist* (2018) doi:10.1634/theoncologist.2017-0257.
54. Reynolds, R. F. et al. The IMI PROTECT project: Purpose, organizational structure, and procedures. *Pharmacoepidemiol. Drug Saf.* (2016) doi:10.1002/pds.3933.
55. Smith, I. P. et al. Methodological Priorities for Patient Preferences Research: Stakeholder Input to the PREFER Public–Private Project. *Patient* (2021) doi:10.1007/s40271-021-00502-6.
56. Huls, S. P. I., Whichello, C. L., van Exel, J., Uyl-de Groot, C. A. & de Bekker-Grob, E. W. What Is Next for Patient Preferences in Health Technology Assessment? A Systematic Review of the Challenges. *Value in Health* (2019) doi:10.1016/j.jval.2019.04.1930.

57. Rutten-Van Mólken, M., Uyl-de Groot, C. A. & Rutten, F. Van kosten tot effecten; *Een handleiding voor economische evaluatiestudies in de gezondheidszorg*. (Elsevier Gezondheidszorg, 2010).
58. Whitehead, S. J. & Ali, S. Health outcomes in economic evaluation: The QALY and utilities. *British Medical Bulletin* (2010) doi:10.1093/bmb/ldq033.
59. Weinstein, M. C., Torrance, G. & Mcguire, A. QALYs: The Basics The Facts How Are QALYs Used? *Value Heal.* (2009).
60. de Bekker-Grob, E. W. *et al.* Labeled versus unlabeled discrete choice experiments in health economics: An application to colorectal cancer screening. *Value Heal.* (2010) doi:10.1111/j.1524-4733.2009.00670.x.
61. de Bekker-Grob, E. W., Niers, E. J., Van Lanschot, J. J. B., Steyerberg, E. W. & Wijnhoven, B. P. L. Patients' Preferences for Surgical Management of Esophageal Cancer: A Discrete Choice Experiment. *World J. Surg.* (2015) doi:10.1007/s00268-015-3148-8.
62. de Bekker-Grob, E. W. *et al.* Girls' preferences for HPV vaccination: A discrete choice experiment. *Vaccine* (2010) doi:10.1016/j.vaccine.2010.08.001.
63. de Bekker-Grob, E. W. *et al.* Men's preferences for prostate cancer screening: A discrete choice experiment. *Br. J. Cancer* (2013) doi:10.1038/bjc.2013.5.
64. Hofman, R. *et al.* Have preferences of girls changed almost 3 years after the much debated start of the HPV vaccination program in the Netherlands? A discrete choice experiment. *PLoS One* (2014) doi:10.1371/journal.pone.0104772.
65. de Bekker-Grob, E. W. *et al.* Patients' and urologists' preferences for prostate cancer treatment: A discrete choice experiment. *Br. J. Cancer* (2013) doi:10.1038/bjc.2013.370.
66. Brouwer, W. B. F., Culyer, A. J., van Exel, N. J. A. & Rutten, F. F. H. Welfarism vs. extra-welfarism. *J. Health Econ.* (2008) doi:10.1016/j.jhealeco.2007.07.003.
67. Erasmus Initiative - Smarter Choices for Better Health. [www.eur.nl/onderzoek/erasmus-initiatives/smarter-choices-better-health](http://www.eur.nl/onderzoek/erasmus-initiatives/smarter-choices-better-health).
68. HTAi. What is HTA? <https://htai.org/about-htai/> [retrieved 19 July 2021].
69. NVTAG. <https://www.nvtag.nl/wat-is-hta/> [retrieved from 19 July 2021].
70. CHEERS 2022. [https://www.ispor.org/member-groups/task-forces/consolidated-health-economic-evaluation-reporting-standards-\(cheers\)-2](https://www.ispor.org/member-groups/task-forces/consolidated-health-economic-evaluation-reporting-standards-(cheers)-2). [Retrieved from 19 July 2021].





Prof.dr. Esther de Bekker-Grob (1978) is hoogleraar Gezondheidseconomie & Gezondheidspreferenties bij Erasmus School of Health Policy & Management (ESHPM) van de Erasmus Universiteit Rotterdam. Zij is afgestudeerd in de gezondheidswetenschappen aan de Universiteit Maastricht in 2005. Vervolgens kwam zij in dienst van het Erasmus MC waarbij zij tot 2016 achtereenvolgens werkzaam was als promovendus, postdoc en universitair docent. In de tussentijd promoveerde zij in 2009 aan de Erasmus Universiteit Rotterdam op het proefschrift 'Discrete keuze experimenten in de gezondheidszorg: theorie en toepassingen'. Sinds 2016 werkt zij bij ESHPM, eerst als universitair hoofddocent en recent als hoogleraar met als voornaamste aandachtsgebieden gezondheidseconomie en gezondheidspreferenties. Daarnaast is zij directeur van het interfacultaire 'Erasmus Choice Modelling Centre' ([www.eur.nl/ecmc](http://www.eur.nl/ecmc)) en directeur bij de 'International Academy of Health Preference Research' ([www.iahpr.org](http://www.iahpr.org)). Tevens is zij een Veni- en Vidi-laureaat van de Nederlandse Organisatie voor Wetenschappelijk Onderzoek (NWO).

De gezondheidszorg staat onder zware druk als gevolg van stijgende uitgaven, een vergrijzende bevolking en hoge prijzen van nieuwe medische behandelopties. Er moeten dan ook moeilijke keuzes gemaakt worden in de gezondheidszorg. Gezien de grote belangen die voor de patiënt en de maatschappij op het spel staan, zowel in termen van uitgaven als in baten, moeten deze keuzes met zorg gemaakt worden. 'Met Zorg Kiezen' gaat, vanuit een brede waardering-invalshoek, in op het streven naar optimale beslissingen in de gezondheidszorg voor zowel patiënt als maatschappij. Er wordt duidelijk gemaakt dat ten minste een viertal theoretische en methodologische uitdagingen overwonnen moet worden om dit te kunnen bewerkstelligen. Ten eerste, keuzegedrag van patiënten voorspellen. Hiermee zouden suboptimale beleidsbeslissingen, gissen-en-missen implementaties en vraag-en-aanbod disbalansen voorkomen kunnen worden. Ten tweede, voorkeuren van patiënten valide en betrouwbaar meten. Hiermee zou de zorg beter op de behoeften van de patiënt afgestemd kunnen worden en daarmee therapieontrouw en verspilling in de gezondheidszorg voorkomen worden. Ten derde, alle baten van een gezondheidsinterventie meten. Hiermee zouden incomplete economische evaluaties in de zorg voorkomen kunnen worden. Ten vierde, het ontwikkelen van een 'Full Health Technology Assessment' raamwerk. Met dit raamwerk zou een eerlijke en transparante verdeling van schaarse middelen tussen de verschillende zorgdomeinen (preventie, genezing en zorg) mogelijk zijn. Dit raamwerk houdt namelijk rekening met alle kosten en alle baten van gezondheidsinterventies, waarin ook expliciet aandacht is voor patiëntvoorkeuren. Met het oplossen van dit viertal uitdagingen middels gedegen wetenschappelijk onderzoek wordt de weg vrijgemaakt om optimale beslissingen in de gezondheidszorg te bewerkstelligen voor zowel patiënt als maatschappij.

**Erasmus University Rotterdam**  
**Erasmus School of Health Policy & Management**

Bayle Building  
Burgemeester Oudlaan 50  
3062 PA Rotterdam, the Netherlands  
T +31 10 408 8555  
E [communicatie@eshpm.eur.nl](mailto:communicatie@eshpm.eur.nl)  
W [www.eur.nl/eshpm](http://www.eur.nl/eshpm)