

Werken met onzekerheid

De rol van patiënt en zorgverlener in
nieuwe datapraktijken voor verzekerde zorg

dr. Rik Wehrens
dr. Bert de Graaff

Colofon

Werken met onzekerheid

De rol van patiënt en zorgverlener in nieuwe datapraktijken voor verzekerde zorg
Wehrens, R. & de Graaff, B. (2023)

Uitgever

Marketing & Communicatie ESHPM

Vormgeving

PanArt.nl

Druk

De Bondt grafimedia

Werken met onzekerheid

De rol van patiënt en zorgverlener in nieuwe
datapraktijken voor verzekerde zorg

dr. Rik Wehrens
dr. Bert de Graaff

Inhoudsopgave

1	Uitgangspunten van beleid	7
1.1	Cyclisch pakketbeheer als rationele strategie	8
1.2	Cyclisch pakketbeheer als manier van zorgdragen	9
1.3	Cyclisch pakketbeheer als institutioneel werk	10
1.4	Cyclisch pakketbeheer als mythe	11
1.5	Afsluitend	12
2	Case studies	13
2.1	Spanning 1: Protocolleren en improviseren	14
2.1.1	Paramedische covidherstelzorg: juridische improvisatie en legitimeringswerk	14
2.1.2	Eculizumab voor aHUS: improvisatiewerk en protocollering gaan hand in hand	18
2.2	Spanning 2: Professionals in de lead vs. grip houden op het veld	20
2.2.1	Paramedische covidherstelzorg: professionele belangenstrijd leidt tot risico's en gemiste kansen	20
2.2.2	Eculizumab voor aHUS: Professionals in de lead vergt veel onzichtbaar werk	22
2.3	Spanning 3: De patiënt als bron van data vs. de patiënt als legitieme stakeholder	25
2.3.1	Paramedische covidherstelzorg: regeling voor patiënten maar niet met patiënten	26
2.3.2	Eculizumab voor aHUS: expert patiënten als legitieme stakeholder	28
3	Conclusies en aanbevelingen	31
3.1	ZIN kan samen met andere stakeholders het narratief rond cyclisch pakketbeheer aanscherpen	31
3.2	ZIN kan de diversiteit in bronnen van legitimiteit meer omarmen	32
3.3	ZIN kan meer proactieve rol aannemen in de interacties met veldpartijen en het ministerie betreffende pakketbeheer	32
	Literatuur / References	34
	Reactie van Zorginstituut Nederland	36

Introductie

Het beheren van het pakket van verzekerde zorg is een belangrijke taak van Zorginstituut Nederland (ZIN). Deze taak is nooit klaar; de voortdurende ontwikkeling van geneesmiddelen en behandelingen, en de context van een multi-stakeholder en internationaal beleidsdomein, vragen om voortdurende aandacht van ZIN. Tegelijk is pakketbeheer niet de verantwoordelijkheid van ZIN alleen – veel van de in het basispakket vergoede zorg stroomt relatief ongehinderd het pakket binnen. Van ZIN wordt wel verwacht dat zij adviezen geeft richting het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS) over al dan niet te vergoeden geneesmiddelen en behandelingen. Deze adviezen, gebaseerd op vaak uitgebreide analyses van de huidige 'stand van wetenschap en praktijk' en zeer gevoelig voor media-aandacht, zijn in toenemende mate aan onzekerheden onderhevig. Zo is lang niet altijd zicht op de (kosten)effectiviteit van nieuwe middelen en behandelingen, onder meer omdat deze steeds vaker 'personalized' zijn. Dit geldt voor, maar ook na toelating tot het basispakket. Bovendien is voor veel behandelingen, met name op het terrein van nieuwe gentherapie, veel onduidelijk over langetermijneffecten. Ook groeien de discussies over de legitimiteit van verschillende soorten bewijs om tot deze adviezen te komen (Mills & Kanavos, 2022). De 'randomized-controlled-trial' (RCT) is niet altijd houdbaar als 'gouden standaard', onder andere omdat er voor gepersonaliseerde geneesmiddelen relatief kleine patiëntpopulaties beschikbaar zijn, maar alternatieven zoals 'real-world-data' zijn nog geen vanzelfsprekende oplossingen (Makady et al., 2017). Dergelijke alternatieven brengen nieuwe problemen met zich mee, bijvoorbeeld met betrekking tot datakwaliteit en onzekerheden rondom de context waarin deze data verzameld zijn (Kleinhou-Vliek et al., 2020). Desondanks wordt van ZIN verwacht dat zij ondanks deze onzekerheden een advies geeft over de opname in het verzekerde basispakket.

In dit onderzoek, uitgevoerd in opdracht van ZIN en in het kader van de Academische Werkplaats Verzekerde Zorg, exploreren wij hoe ZIN werkt aan deze onzekerheden. Hierbij hebben we met name oog voor de rol van patiënten en zorgverleners in 'cyclisch pakketbeheer', dat wil zeggen – de gedachte dat een pakketadvies niet een eenmalig besluit 'aan de voorkant' is, maar dat er op periodieke wijze ook teruggekeken kan worden op de gemaakte adviezen, om beter in kaart te kunnen brengen in hoeverre een geneesmiddel of behandeling ook in de praktijk voldoende (kosten)effectief blijkt. Een vorm van dergelijk cyclisch pakketbeheer is het voorwaardelijk toelaten van een medicijn tot het basispakket, omdat dit expliciet veronderstelt dat het advies om het geneesmiddel te vergoeden op een later moment aan verandering onderhevig kan zijn, mochten nieuwe inzichten daar aanleiding toe geven (Niezen et al., 2007). Door middel van twee case-studies (paramedische covidherstelzorg en Eculizumab bij aHUS) beschouwen we twee concrete praktijken van dergelijk cyclisch pakketbeheer.

De vraag die in dit onderzoek centraal staat is:

Hoe kan ZIN nader invulling geven aan de voorwaarden voor dataverzameling door burgers en zorgverleners in het kader van cyclisch pakketbeheer?

Hierbij staan de volgende deelvragen centraal:

- 1) Wat zijn voor ZIN de achterliggende uitgangspunten van cyclisch pakketbeheer; welke functie wordt cyclisch pakketbeheer toebedeeld met betrekking tot het omgaan met onzekere kosten en effecten van behandelingen/interventies en hoe wordt de rol van patiënten en zorgverleners in het aanleveren en verzamelen van data voorgesteld?*
- 2) Hoe pakt de rol van patiënten en zorgverleners met betrekking tot het aanleveren en verzamelen van data ten behoeve van cyclisch pakketbeheer in de praktijk uit?*

3) Onder welke voorwaarden ervaren patiënten en zorgverleners het stellen van eisen met betrekking tot vergoeding, zoals dataverzameling, als legitiem – en hoe kan deze legitimiteit door ZIN vergroot worden?

In het eerste deel van het project reconstrueren we de uitgangspunten achter 'cyclisch pakketbeheer', en richten we ons zo op de eerste deelvraag. Op basis van documentanalyse van beleids- en strategiedocumenten, adviesstukken, presentaties en openbare webpagina's en door middel van gerichte interviews met ZIN medewerkers, beleidsmakers en andere relevante actoren (n=12) worden de uitgangspunten achter cyclisch pakketbeheer in kaart gebracht. Nadere duiding hiervan helpt om de waarde en de werking van het programma inzichtelijk te maken. In het tweede deel van het rapport richten we ons, door middel van interviews en document-analyse, op de twee hierboven genoemde casestudies, die we analyseren aan de hand van een aantal belangrijke spanningen. In het derde en laatste deel van het rapport formuleren we adviezen voor ZIN. Deze adviezen zijn, samen met enkele voorlopige bevindingen, in een dialoogbijeenkomst met relevante stakeholders besproken en aangescherpt. Ze vormen het sluitstuk van dit rapport.

1 Uitgangspunten van beleid

Het gedachtegoed achter een cyclische aanpak van pakketbeheer kent een lange geschiedenis (Stolk & Poley, 2005; Niezen et al., 2007). Als onderdeel van toekomstbestendig pakketbeheer wordt het door onze deelnemers en in de stukken op verschillende manieren gedefinieerd en ingevuld. Tegelijk is dit brede gedachtegoed (nog) niet bij ZIN duurzaam ingevoerd, onder meer – zo lijkt het – omdat een cyclische aanpak fundamentele vragen stelt bij de meer definitieve oordeelsvorming die traditioneel bij pakketbeheer past. Zo staan strikte criteria voor pakketbeheer in contrast met de meer cyclische aard van de ontwikkeling van professionele richtlijnen (de Bont et al., 2007). Beslissingen worden zelden tot nooit teruggedraaid en ZIN heeft vooral procedures opgezet om aan de voorkant uitspraken te doen. Cyclisch pakketbeheer kan daarom maar met moeite als bestaand beleid begrepen worden; de concrete voorbeelden ervan, zoals een volwaardige herbeoordeling van een eerder toegelaten medicijn, zijn schaars. Cyclisch pakketbeheer lijkt zo vooral een wens, een hoop, een richting waarheen het beleid en de praktijk van ZIN zich naar toe kunnen bewegen. Het is deze richting die we in het eerste deel van ons project hebben willen duiden.

De belangrijkste motivatie van de wens tot cyclisch pakketbeheer lijkt te liggen in het vergroten van de grip van de overheid op de instroom van nieuwe geneesmiddelen, behandelwijzen en innovaties in het pakket van verzekerde zorg. Deze instroom is in zeer grote mate ongecontroleerd en de controle die er is loopt tegen grenzen en onzekerheden aan – zoals onzekerheden over de effectiviteit van steeds duurder wordende geneesmiddelen, behandelingen en technologieën, onzekerheden door gebrekkige informatie over geneesmiddelen en behandeling als ze eenmaal tot pakket zijn toegelaten, onzekerheden over de legitimiteit en waarde van bewijs vergaard via zowel RCT's als real world data (RWD), en onzekerheden over positie en rol van ZIN zelf (Zorginstituut Nederland, 2019; van de Sande, et al., 2021). Deze grenzen en onzekerheden zijn in zichzelf niet nieuw, maar worden wel als een toenemend probleem gezien in kader van de houdbaarheid van het zorgstelsel in Nederland (WRR, 2021). Dit argument wordt ook gekoppeld aan vraagstukken rondom solidariteit en verdringing:

"[de toegenomen urgentie] heeft natuurlijk vooral te maken met het geld, dat er steeds toch wel bezorgdheid is over bedragen die naar de zorg gaan. En dat er toch ook wel signalen zijn dat er bijvoorbeeld geneesmiddelen komen die de hemel beloven en dat eigenlijk toch niet waarmaken. [...] Plus dat je natuurlijk ook te maken hebt met steeds vroegere registratie met minder data, als het gaat om geneesmiddelen, maar ook [vanuit de hoek van] niet-geneesmiddelen [is de push] om iets te gaan gebruiken gewoon steeds groter. En hoe vroeger je het gaat gebruiken, hoe minder je er van af weet. Dus op een gegeven moment dan moet je kiezen: of ik doe niets en ik wacht tot er genoeg data is en tot die tijd kunnen we [het middel niet vergoeden]. Dat accepteert niemand, dus dan moet je zeggen: oké, dan ga ik heel vroeg iets zeggen, met heel veel onzekerheid [...]. Door die onzekerheid en die steeds vroegere [registratie] [...] krijg je gewoon enorm veel druk op die voorkant van een besluit wat je bijna niet kan nemen vanwege gebrek aan data. Dus dat maakt wel dat je gaat denken: oké, ik moet het [aan de voorkant] toelaten, maar dat je dat niet wilt als [het] een eenmalig besluit is waar je niet meer op terug kan komen.

Medewerker Zorginstituut (16-12-2021c)

De groeiende onzekerheden zitten zo niet alleen in de ervaren grenzen van het stelsel qua houdbaarheid, maar ook in kennis en bewijsvoering bij innovatieve middelen en behandelingen. Dit leidt ertoe dat ZIN zoekt naar manieren om van beoordelingen geen momentopname meer te maken, en – mede gesteund door het recente coalitieakkoord – naar concrete manieren om het gesprek te openen over de grote instroom via het open systeem. Dit heeft echter vergaande implicaties voor de positie en invulling van het werk van ZIN.

Om ons zicht op deze brede beleidsrichting verder aan te scherpen, bespreken we hieronder vier beelden van cyclisch pakketbeheer. Deze beelden zijn geabstraheerd op basis van gesprekken met betrokkenen en analyse van strategische en beleidsdocumenten. In ieder beeld zien we aannames over welke actoren en instrumenten een rol (zouden moeten) spelen, andere en deels contrasterende ideeën/idealen over wat goede zorg en een goed systeem van verzekerde zorg inhoudt, met ietwat andere opvattingen over de implicaties voor ZIN en relaties met andere stakeholders (professionals, beleid, etc.). Door verschillende beelden - die vaak impliciet blijven in discussies binnen ZIN rondom cyclisch pakketbeheer - naast elkaar te zetten, willen we meer inzicht krijgen in welke aspecten benadrukt of onderbelicht zijn. Samen genomen geven deze vier beelden zo beter begrip van zowel de volharding rondom cyclisch pakketbeheer en de moeilijkheden om deze ideeën praktisch te vertalen.

Tabel 1: Beelden van cyclisch pakketbeheer

Beeld van cyclisch pakketbeheer	Rationele strategie	Zorgdragen	Institutioneel werk	Mythe
Kijk op zorgsysteem	Lerend systeem	Houdbaar systeem	Controleerbaar systeem	Tegenstrijdig systeem
Goede zorg	Kennis, open, iteratief	Duurzaam, toekomstgericht, solidair	Kosteneffectief, meetbaar	Kloof tussen ideaal en werkelijkheid
Omgang met onzekerheid	RWD, doordacht beleid, belang van methodiek	Maatschappelijke agendering, breder pakketbeheer	Van eenmalige beslissing naar tussentijds bijsturen, RCT/EBM > RWD als methode	Terugdraaien van vergoedingen moeilijk, vinden van accurate data lastig
Rol ZIN in systeem	Evolutie naar boswachter	Procesarchitect	Kleine revolutie van poortwachterrol	Zoekend
Benadering andere actoren (door ZIN)	Dialogo vs. stok	Deliberatief	Informereren, regie voeren	Verhalen, dromen

1.1 Cyclisch pakketbeheer als rationele strategie

In dit eerste beeld vinden we cyclisch pakketbeheer vooral terug als een rationele strategie binnen het bredere systeem van zorg. Vanuit dit perspectief is cyclisch pakketbeheer een logische, weldoordachte en wenselijke ontwikkeling en rationele evolutie. Binnen dit beeld wordt die gewenste richting veelal geconceptualiseerd en verantwoord aan de hand van een metafoer, waarin de bestaande rol van ZIN wordt voorgesteld als een 'poortwachter' (die aan de voorkant controleert welke geneesmiddelen en behandelingen toegelaten zouden moeten worden en dus onderdeel van het verzekerde pakket zouden moeten worden). Deze rol zou volgens dit beeld moeten veranderen naar die van een 'boswachter' die niet alleen aan de voorkant controleert:

“Het [cyclisch pakketbeheer] is meer een manier om ons, ja, wat meer bewust te maken van onze positie. Want de klassieke manier is [...] eigenlijk een soort van poortwachtersfunctie. Je bepaalt alleen maar of iets het dierenpark in mag of niet. Maar wat er daarna gebeurt in dat park, daar hou je je niet zo mee bezig. Terwijl we onszelf nu toch wel wat meer zien als de boswachters die daar ook eens af en toe doorheen lopen. En kijken of het ecosysteem een beetje in evenwicht is en of de kleine diertjes niet teveel lijden onder de grote. Dat is de gedachte. En daar hoort ook nog de koppeling bij die we wat nadrukkelijker maken tussen de taken die we hebben op het gebied van pakketbeheer en de taken op het gebied van kwaliteit. Omdat we ook steeds meer voorwaarden willen stellen aan pakkettoelating. Dat je dus niet zegt: dit zit er in. Of niet. [...] Maar dat je eerst iets anders hebt geprobeerd en voor mensen met die en die indicatie. En alleen nog maar als ook nog bijvoorbeeld uit een registratie blijkt dat het bij die mensen inderdaad werkt.”

Medewerker Zorginstituut, 28-09-2021

De metafoor ‘van poortwachter naar boswachter’ laat een ideaalbeeld zien van hoe pakketbeslissingen in de toekomst gedaan zouden moeten worden; ZIN als een boswachter in een lerend systeem, waarbij de twee traditioneel als gescheiden gepresenteerde taken – pakketbeheer en kwaliteit – meer zouden moeten samengaan (Mulder et al., 2021, p. 18). De nadruk ligt hier op het kunnen herbeoordelen van toegelaten geneesmiddelen, bijvoorbeeld door het gebruik van RWD. Dit argument wordt gekoppeld aan nieuwe technologische ontwikkelingen en toegenomen onzekerheden. Vanuit dit beeld ligt er dus een duidelijke analyse van nieuwe ontwikkelingen ten grondslag, waar vervolgens doordacht beleid (cyclisch pakketbeheer) op wordt gemaakt. Door middel van gerichte projecten kan ZIN dan steeds een stapje verder komen in de ontwikkeling van dit beleid. Met andere woorden: cyclisch pakketbeheer wordt in dit beeld meer als een logische evolutie dan als een revolutie in de werkwijze van ZIN gezien. Er is wel aandacht voor de relatie tussen “de dialoog en de stok” als het gaat om hoe ZIN zich zou moeten verhouden tot veld. Enerzijds erkennen medewerkers de noodzaak om in gesprek te gaan met stakeholders – behandelaren, fabrikanten, patiënten – om op die manier ook meer draagvlak te krijgen voor genomen beslissingen. Anderzijds waken ZIN medewerkers voor “naïviteit” door ook te benoemen dat de belangen bij verschillende stakeholders groot zijn en er dus mogelijkheden moeten zijn om dwingender te kunnen optreden (om niet louter van intenties afhankelijk te zijn). Een onderbelicht aspect in dit beeld van cyclisch pakketbeheer is de kloof tussen ideaal en praktijk. Daarnaast zien we relatief weinig aandacht voor de problemen rondom RWD, zoals de variatie in definiëren van RWD zelf (Makady et al., 2017).

1.2 Cyclisch pakketbeheer als manier van zorgdragen

In het tweede beeld dat we onderscheiden, wordt cyclisch pakketbeheer vooral gezien als een noodzakelijke ontwikkeling in het zorgsysteem om deze ook in de toekomst toegankelijk en duurzaam beschikbaar te houden. Er is hier een bredere maatschappelijke rol van ZIN te ontwaren die erop is gericht om ook burgers te willen betrekken en een meer publieke rol op te pakken. Een belangrijk onderdeel hiervan is maatschappelijke agendering van bijvoorbeeld kwesties van kosteneffectiviteit en betaalbaarheid van het zorgstelsel. Cyclisch pakketbeheer wordt hier primair een vorm van zorgdragen voor het systeem door ZIN:

“Het idee is dat je mensen probeert te overtuigen dat gewoon niet altijd zeker is of de zorg die ze moeten krijgen helemaal werkt. En dat ze worden gestimuleerd dat er meer informatie komt of het werkt en hoe het werkt en bij wie. Door informatie aan te leveren zodat we kunnen zorgen dat het zorgpremiegeld goed besteed wordt. Dus dat is een beetje het idee erachter. Je wil gewoon zorgen dat mensen zorg krijgen die echt wat doet. [...] Dus dat is een beetje het spanningsveld altijd: mensen willen alles vergoed hebben, maar ze willen zo min mogelijk geld betalen en dat snap ik ook goed. [...] En dat is soms lastig om uit te leggen”

Medewerker Zorginstituut, 16-11-2021

De nadruk in dit beeld ligt op de toekomstige houdbaarheid van het zorgsysteem en de rol van ZIN hierin. Gekoppeld hieraan zien we een sterk pleidooi voor meer maatschappelijke agendering en de ambitie van ZIN om ook het debat hierover meer te voeren. Het recente WRR-rapport, waarin de onder druk staande houdbaarheid van het zorgstelsel uitgebreid werd geanalyseerd, wordt door verschillende medewerkers als een “enorme steun in de rug” ervaren (WRR, 2021). Vanuit dit beeld is ook een breder ervaren gevoel van onvrede over de rol van VWS en politici, te verklaren. Deze actoren denken volgens sommige ZIN medewerkers vooral vanuit casuïstiek en lijken deze bredere discussie over de houdbaarheid van het stelsel niet echt te durven voeren. Vanuit ZIN is het beeld dat de organisatie hier middels gedegen procedures een weloverwogen afweging in maakt, waarin belangen van patiënten en premiebetalers goed worden meegenomen. Er is frustratie over het desondanks “meegezogen” worden in de politieke dynamiek en de ‘zwarte piet’ die ZIN vanuit het publiek krijgt toebedeeld. Binnen dit beeld van cyclisch pakketbeheer wordt er ook een actievere rol verwacht van burgers en patiënten in termen van het delen data voor onderzoek. Vanuit de nadruk op een stelsel waarvan de grenzen van houdbaarheid in zicht lijken, wordt er nadruk gelegd op solidariteit en de plichten van burgers, patiënten en behandelaren. Daarnaast zien we een deliberatief ideaal: de veronderstelling is dat het gedeelde belang van alle actoren duidelijker wordt als er maar meer inzicht komt in de problematiek. Dan zouden partijen ook hun verantwoordelijkheid kunnen nemen, is de gedachte.

1.3 Cyclisch pakketbeheer als institutioneel werk

In het derde beeld wordt cyclisch pakketbeheer vooral bezien in termen van institutioneel werk; er is geen grote evolutie nodig maar eerder een kleinere revolutie binnen de bestaande kaders. Cyclisch pakketbeheer kan helpen om meer grip te krijgen op het veld en is in die zin vooral een soort controlemiddel:

“Wij doen heel veel aan de voorkant, maar eigenlijk als iets in het pakket zit, kun je allerlei aanwijzingen geven over gepaste inzet, maar heb je geen instrumenten om dat ook af te dwingen. Dus dan ben je overgeleverd aan of partijen dat ook gaan doen. Als ze dat niet doen, dan kun je zeggen “wat vervelend dat je het niet doet”, maar er is nergens een stok om mee te slaan.”

Medewerker Zorginstituut, 16-12-2021c

Binnen dit beeld wordt de nadruk gelegd op het gebrek aan controle over de samenstelling van het pakket: ZIN heeft in de praktijk maar over een heel klein deel iets te zeggen. Behandelingen worden steeds duurder en de effecten ervan steeds moeilijker om vast te stellen. Bovendien blijkt dat de effectiviteit van nieuwe geneesmiddelen in de praktijk vaak lager ligt dan in de voorafgaande studies, of dat een behandeling of

middel heel anders wordt ingezet dan gedacht. Binnen dit beeld van cyclisch pakketbeheer zien we dan ook pleidooien om de taken van ZIN te verruimen van een eenmalige beslissing aan de voorkant naar een systeem waarin er ook meer ruimte is voor tussentijdse bijsturing. Die verruiming zou ook voor andere aspecten wenselijk zijn, bijvoorbeeld als het gaat over meer regie nemen bij de ontwikkeling van registers. Vanuit de primaire focus op het krijgen van meer grip en controle zien we ook suggesties om bijvoorbeeld meer controle te krijgen over de open instroom van nieuwe (intramurale) geneesmiddelen en andere ontwikkelingen, zoals de kwaliteit van de langdurige zorg. Tegelijkertijd vergt dit het herdenken van eigen taken – binnen de bestaande kaders. Dit houdt alsnog een forse verruiming van takenpakket in, wat betekent dat op andere plekken andere keuzes gemaakt zouden moeten worden. Zo pleiten sommigen voor een meer systeemgerichte benadering in plaats van de nadruk op individuele beoordelingen of voor verdere samenwerking met internationale HTA-organisaties (zoals dat ook op het terrein van de horizonscan van de grond komt). Verder zien we binnen dit beeld dat de nadruk ligt op methodologische criteria, bijvoorbeeld over hoe RWD op een goede manier ontsloten en gebruikt kan worden.

1.4 Cyclisch pakketbeheer als mythe

In het laatste beeld dat wij ontwaren, wordt cyclisch pakketbeheer vooral vanuit een meer kritische blik bekeken. Zo vergelijken sommigen het expliciet met een luchtkasteel of een toverwoord:

“Het Zorginstituut heeft het voornemen om met cyclisch pakketbeheer te kunnen bijsturen in het pakket. En de gedachte is dan: wij kunnen beter pakketbeheer doen door na een beoordeling terug te kijken op het gebruik van een geneesmiddel. Daarbij is het nog niet helder of en hoe frequent het Zorginstituut wil gaan herbeoordelen. En de indruk die het woord cyclisch pakketbeheer geeft, is dat je gaat herbeoordelen. En cyclisch wil zeggen dat als er een geneesmiddel wordt toegelaten, dat je dat geneesmiddel blijft volgen en dat je mogelijk gaat herbeoordelen in latere periodes. Maar ook dat je dat op regelmatige basis kan gaan doen. Tot op heden is het niet in praktijk gebracht. Dus het is gewoon een hocus pocus woord.”

Medewerker Zorginstituut, 16-12-2021a

Deelnemers die hier naar verwijzen bespreken de problemen en inconsistenties van cyclisch pakketbeheer en zijn kritisch op de term. Ze duiden ook op een gebrek aan het doordenken van de implicaties van cyclisch pakketbeheer. De nadruk ligt hier op de kloof tussen ideaal en werkelijkheid. Het argument is dat ZIN al 15 jaar aan cyclisch pakketbeheer wil gaan doen, maar zich onvoldoende realiseert wat dit betekent en welke consequenties het heeft. Niet alleen in termen van het terugkomen op beslissingen, maar ook in termen van hoe je tot accurate data komt om zulke beslissingen te rechtvaardigen. Vanuit dit beeld blijft cyclisch pakketbeheer dan ook vooral een mythe: een verhaal waar weliswaar veel over wordt gesproken, maar dat niet goed van de grond komt in de praktijk. Vanuit dit beeld wordt ook gewezen op de onvoorspelbaarheid en oncontroleerbaarheid van politieke discussies en maatschappelijke sentimenten, waardoor het heel moeilijk is om het terugdraaien van vergoedingen te kunnen verantwoorden. Cyclisch pakketbeheer wordt daarom gezien als een holle frase – een mooie term waar echter (nog) weinig achter schuilgaat.

1.5 Afsluitend

De analyse van de uitgangspunten van het beleid rond cyclisch pakketbeheer zijn, zo stellen wij, te vatten in deze vier beelden, die logischerwijs sterk met elkaar samenhangen. Cyclisch pakketbeheer wordt, tegelijkertijd, door onze deelnemers neergezet als rationele strategie (een logische evolutie in het werk van ZIN), als vorm van zorgdragen door ZIN in een bredere maatschappelijke rol, als vorm van institutioneel werk binnen bestaande kaders (en zo een kleinere revolutie in dit werk) en als mythe die juist afleidt van de kern van de kern van de zaak en die de normatieve en politieke complexiteiten onvoldoende erkent. Cyclisch pakketbeheer is zo niet één duidelijk narratief of eenvoudige beleidsrichting, maar omvat een meervoud aan wensen en gedachten over zorg, goed pakketbeheer en hoe ZIN daaraan zou moeten bijdragen. Zo is het eerder een beleidsrichting dan een ingesleten praktijk. Om deze richting en de consequenties daarvan verder te onderzoeken bespreken we in deel 2 van dit rapport een tweetal cases waar, met meer en minder succes, praktijken van cyclisch pakketbeheer zijn te ontwaren. We richten ons in de bespreking van deze cases met name op de rol van patiënten en zorgverleners.

2 Case studies

Na de analyse van beleidsuitgangspunten achter cyclisch pakketbeheer hebben we in overleg met ZIN twee case studies geselecteerd waarin de vergoeding van de behandeling wordt verbonden aan de voorwaarde dat patiënten en zorgverleners data verzamelen of delen ten behoeve van de vaststelling van effectiviteit of doelmatigheid. Beide case studies kunnen dus gezien worden als voorbeelden van (aanzetten tot) cyclisch pakketbeheer. De eerste casus is *paramedische covidherstelzorg*. De vergoeding van deze paramedische herstelzorg was onderdeel van de regeling voorwaardelijke toelating (VT-regeling). Deze wettelijke regeling is vastgelegd in artikel 2.2 van de Regeling zorgverzekering en betreft situaties waarin de minister van VWS kan besluiten om zorg tijdelijk toe te laten tot het basispakket met als voorwaarde dat er wetenschappelijk onderzoek naar de effectiviteit van die zorg gedaan wordt. In dit geval bood het patiënten de mogelijkheid om deze zorg vergoed te krijgen terwijl ook de effectiviteit wordt onderzocht (Zorginstituut, n.d., a). De tweede casus is *eculizumab voor patiënten met atypische HUS* (aHUS). De vergoeding van eculizumab voor deze patiëntengroep is op meerdere momenten onder voorwaarden vergoed en valt inmiddels onder de regeling 'weesgeneesmiddelenarrangement'.

Een weesgeneesmiddelenarrangement is een set afspraken met de beroepsgroep die de zorg voor een bepaalde aandoening levert, waarin een indicatiecommissie wordt ingesteld, start- en stopcriteria worden bepaald en doorontwikkeld, dataverzameling wordt gedaan door aan te sluiten bij registers en evaluatie en monitoring plaatsvindt (Zorginstituut, n.d., b). De case studies zijn geselecteerd op hun diversiteit. Juist door twee verschillende voorbeelden van cyclisch pakketbeheer te onderzoeken, is het mogelijk om in kaart te brengen hoe ideeën rondom cyclisch pakketbeheer in de praktijk kunnen uitpakken en welke lessen ZIN daaruit kan trekken met betrekking tot het omgaan met onzekerheden (en met name de rol van patiënten en zorgverleners in het aanleveren van data). Hoewel de case studies qua focus en context zeer verschillend zijn, zijn er ook relevante overeenkomsten te destilleren. Zo spelen in beide case studies belangrijke vragen rondom onzekerheid (dient de behandeling of geneesmiddel wel of niet opgenomen te worden in het pakket verzekerde zorg - en zo ja: onder welke voorwaarden?) en legitimiteit (van aangeleverde 'evidence', maar ook maatschappelijk draagvlak van de specifieke regelingen).

Per case studie hebben we een documentanalyse uitgevoerd in combinatie met semi-gestructureerde diepte-interviews (n=28) met patiënten, zorgverleners, beleidsmakers, onderzoekers, ZIN-medewerkers, verzekeraars en vertegenwoordigers van patiëntenfederaties. De documentanalyse bestond met name uit publiek beschikbare documentatie vanuit ZIN, zoals ACP-adviezen, persberichten, adviezen aan de minister, presentaties en overige online informatie. We hebben beide case studies in samenhang geanalyseerd door middel van thematische analyse (Mortelmans, 2013). De analyse van ons materiaal geeft aanleiding om hier drie spanningen te beschrijven die uit de twee cases naar voren komen met betrekking tot de eerder genoemde onzekerheden in het tot een (heroverweging van) een advies te komen over het (voorwaardelijk) vergoeden van de COVID-herstelzorg en eculizumab voor aHUS. De analyse is tijdens een reflectiebijeenkomst met medewerkers van ZIN en andere stakeholders voorgelegd als member check en op basis van die bijeenkomst verder verfijnd.

De drie spanningen betreffen, in volgorde, een over het werk dat gaat in het maken van beleid; de tweede over de relatie tussen professionals en het Zorginstituut en de laatste over de positie van patiënten. In de hieronder volgende uitwerking beschrijven we steeds eerst hoe deze spanning uitwerkt in beide case studies en extraheren we daarna enkele algemenere lessen op basis van deze vergelijking. In de discussie eindigen we met het bespreken van de belangrijkste implicaties voor de rol en werkwijze van ZIN.

2.1 Spanning 1: Protocolleren en improviseren

De eerste spanning – rondom het maken van beleid – is die tussen het vasthouden aan protocollen en procedures enerzijds en de diverse vormen van improvisatie die vaak nodig blijken om regelingen in de praktijk uitvoerbaar te maken en te houden. Deze vormen van improvisatie kunnen betrekking hebben op de behandeling en de prijsstelling van geneesmiddelen (in het geval van eculizumab), maar ook op bijvoorbeeld het zoeken naar een juridische grondslag, het ontwikkelen van ethische argumentatie en maatschappelijke legitimering (in het geval van paramedische covidherstelzorg).

In beide casestudies wordt enerzijds het belang van procedures zichtbaar. Een duidelijk besluitvormingsproces schept helderheid voor alle partijen, zorgt voor een afgebakend proces en geeft houvast in de verantwoording van uiteindelijke vergoedingsbeslissingen. Tegelijkertijd wordt vaak erkend dat te veel nadruk op procedures leidt tot processen die langzaam en stroperig verlopen en tot ‘verstikking’ van de besluitvorming kunnen leiden. Vanuit ZIN ontstaat daarom steeds meer behoefte om sneller te kunnen anticiperen en ingrijpen. Die behoefte werd vooral zichtbaar in de casus covidherstelzorg, waar meerdere respondenten met trots terugblikten op de snelheid waarmee de regeling voor een grote groep burgers beschikbaar kwam.

Anderzijds kwam in beide case studies het belang van improvisatie naar voren. Naast de op het eerste oog strikte procedures blijkt er in de praktijk vaak speelruimte te zijn om – binnen de grenzen van de regeling – te zoeken naar manieren om maatwerk te leveren, verschillende argumenten af te wegen en mee te denken met de doelen en belangen van verschillende actoren (zoals patiënten en behandelaren). Tegelijkertijd brengt te veel improvisatie risico's met zich mee: het kan leiden tot het minder goed meenemen van ethische en morele afwegingen in de besluitvorming en kan een perceptie van ‘rommeligheid’ geven.

2.1.1 Paramedische covidherstelzorg: juridische improvisatie en legitimeringswerk

Hoe zien we deze spanning tussen protocolleren en improviseren terug in de casus paramedische covidherstelzorg? Hier zien we dat de crisissfeer waarin de regeling tot stand is gekomen, in combinatie met het breed ervaren gevoel van urgentie, ertoe heeft geleid dat vooral in het beginstadium geïmproviseerd moest worden. Dit bleek vooral uit de zoektocht een wettelijke grondslag voor de regeling. Volgens verschillende actoren was de VT-regeling (voorwaardelijke toelating), waarbij de vergoeding vanuit het basispakket werd gekoppeld aan onderzoek naar de effectiviteit van de behandeling, de enige optie om deze herstelzorg snel beschikbaar te krijgen voor een grote groep mensen:

“Eigenlijk was de enige optie om heel snel deze zorg beschikbaar te krijgen dus om vanuit de Zvw [zorgverzekeringswet] te zoeken naar manieren om de vergoeding voor deze zorg mogelijk te maken. Daar hoort de voorwaarde bij dat het tegelijkertijd onderzocht moest worden op effectiviteit, maar die voorwaarde juichten wij juist toe want dat wilden wij ook.”

Medewerker Zorginstituut, 28-04-2022a

Die snelheid kwam echter wel met een keerzijde. Zo komt vanuit de Algemene verordening gegevensbescherming (AVG) de vraag op over de juridische grondslag van de verwerking van persoonsgegevens voor onderzoeksdoeleinden. Gedurende de uitvoering van de regeling bleek dat de wettelijke grondslag van de regeling onduidelijk was. Die wettelijke grondslag bleek namelijk niet goed geregeld te zijn in de Zorgverzekeringswet:

"Dan ga je je afvragen: wat is de grondslag [voor het meedoen aan onderzoek binnen de voorwaardelijke toelatingsregeling]? [...] De grondslag is toestemming, maar kan dat wel? Vervolgens ga je daar dan dieper over nadenken: hoe zit dat überhaupt ethisch met het geven van toestemming voor onderzoek, als je zonder het geven van toestemming die zorg niet kan krijgen? [...] Er moet een wettelijke grondslag zijn, dan wel toestemming. Als de wettelijke grondslag er niet is, dan kun je kijken: kan het met toestemming? Ja, dat kan, maar dan moet die toestemming vrijelijk gegeven worden. En dat is een probleem, als je de zorg niet krijgt als je geen toestemming geeft. En dat speelt denk ik in alle voorwaardelijke toelatingsen, niet alleen bij deze natuurlijk."

Juridisch medewerker Zorginstituut, 03-05-2022b

Deze discussies over de wettelijke grondslag van de herstellzorgregeling leidde tot een zoektocht naar discretionaire ruimte binnen de bestaande juridische kaders.

Dit juridische improvisatiewerk leidde echter ook tot ethische vragen, met name vanuit de Commissie Mensgebonden Onderzoek van het Radboudumc. De commissie uitte kritiek op de koppeling van de vergoeding aan de voorwaarde dat patiënten deelnemen aan het onderzoek vanuit de gedachte dat toestemming daarbij nooit volledig vrij verleend kan worden. Daarnaast had de commissie ook problemen met de impliciete 'voor wat hoort wat'-redenering achter de regeling – de gedachte dat het niet teveel gevraagd is om in ruil voor het snel beschikbaar maken van de herstellzorg deel te nemen aan het onderzoek:

"Kijk, de behandeling op zich, de urgentie voor de behandeling, de medische noodzaak daarvoor, [...] daar is nooit enige vorm van discussie over geweest. [...] Maar er zaten wel een aantal belangrijke barrières in het voorstel. [...] Dan gaat de onderzoeker naar de patiënt of naar de [paramedische professional] en die zegt van: "ik heb hier een behandeling voor je en ik vind echt dat die nodig is, maar die zit nog niet in het pakket, dus we moeten samen een deal sluiten. Je mag meedoen, je krijgt je behandeling, maar dan moet je wel die data aan ons geven." Dat is een [grote] barrière. Dat kan niet. Medisch-ethisch gezien kan dat niet."

Medewerker ethische commissie, 12-05-2022a

Hier zien we dat de snelheid waarmee de regeling tot stand kwam ertoe heeft geleid dat de juridische kaders niet vanaf het begin duidelijk waren. Er bleek improvisatiewerk noodzakelijk om deze snel ingevoerde regeling te kaderen binnen bestaande regelgeving. Daarmee ontstond ook ethisch debat, niet alleen over de invulling van de wettelijke grondslag van de regeling, maar ook over de ethische wenselijkheid van de onderliggende redenering.

In deze casus zien we ook vragen rondom de legitimiteit van de regeling ontstaan. Die legitimiteitskwestie hangt voor een groot deel samen met de eisen die gesteld worden aan de vergoeding (het aanleveren van data door deel te nemen aan het onderzoek). We zien in deze casus dat ZIN op verschillende manieren heeft gewerkt aan het vergroten van deze legitimiteit. We bespreken drie aspecten van dit legitimeringswerk.

Ten eerste heeft ZIN veel aandacht besteed aan het uitleggen van de regeling. Door middel van uitgebreide Q&A-documenten, waarop antwoorden zijn geformuleerd op de meest voorkomende vragen van behandelaren, patiënten en andere partijen, probeerde ZIN de meeste bezwaren te voorkomen of in de kiem te smoren. Er leefde bij medewerkers van ZIN de perceptie dat dit een regeling kon zijn die publicitaire risico's met zich zou meebrengen, niet alleen vanwege signalen over de ervaren onduidelijkheden bij paramedische beroepsgroepen, maar ook gezien de grote zichtbaarheid van de regeling (die betrekking heeft op een grote groep mensen van wie de klachten in toenemende mate aandacht kregen in de landelijke media):

"We hadden hier flink mee uitpakkt, omdat wij één van de weinige partijen waren die alle informatie hadden. We vonden het belangrijk mensen goed te informeren. We hebben bijvoorbeeld een informatiefolder laten maken die [...] zorgverleners aan patiënten konden geven. En we hebben zelf de Q&A geschreven. Dat document bevat inmiddels bijna 40 vragen en antwoorden, Het begon misschien met een stuk of 10 à 15 vragen. We zijn lang en intensief met de informatievoorziening bezig geweest, ook omdat de regeling nog een paar keer is veranderd."

Communicatie medewerkers Zorginstituut, 12-05-2022b

De nadruk in de communicatie lag op het goed uitleggen van de inhoud en noodzaak van de regeling, alsmede ook op zorgvuldigheid. We zien daarbij een hoge mate van sensitiviteit ten opzichte van publieke beeldvorming naar aanleiding van bijvoorbeeld Kamervragen of aandacht vanuit de media (zo maakte het kritische consumentenprogramma Radar een item over de regeling).

Het tweede aspect van legitimeringswerk heeft betrekking op het sluiten van compromissen. Dat zien we bijvoorbeeld terug in de manier waarop uiteindelijk wordt gekozen voor het 'opknippen' van het voorgestelde onderzoek in een retrospectief deel en een prospectief deel om tegemoet te komen aan de juridische en ethische bezwaren van de CMO en andere actoren. Het retrospectieve deel omvat het 'ophalen' van relevante data uit het zorgdossier van patiënten, waarbij behandelaren enkele aanvullende gegevens aanleveren. Deze data werd geanonimiseerd, waardoor de randvoorwaarde van 'toestemming' niet meer nodig was. Het prospectieve deel bestaat uit het invullen van enkele vragenlijsten via een app, website, of op papier. Voor dit prospectieve deel bleef toestemming als grondslag van toepassing. Patiënten konden weigeren om deel te nemen aan dit deel van het onderzoek en toch gebruik maken van de regeling:

"Omdat het [analyseren van gegevens] anoniem gaat, verwerken [de onderzoekers] dus ook geen persoonsgegevens, dus het probleem is van tafel. Er zijn twee onderzoeken: het retrospectieve deel en het prospectieve deel. Het [retrospectieve] onderzoek waarin gegevens van iedereen gedeeld worden en het tweede deel met die vragenlijsten. En voor die vragenlijsten moet je wel echt toestemming geven, daar moet je ook echt actief aan meedoen, dan worden persoonsgegevens verwerkt. Als je daar geen toestemming voor geeft, dan krijg je de zorg toch wel."

Juridisch medewerker Zorginstituut, 03-05-2022b

Het verschil tussen de oorspronkelijke insteek van het onderzoek binnen de VT-regeling en de ethische bezwaren vanuit de CMO leidt dus tot een compromis waarin het onderzoek in twee losse onderdelen wordt verdeeld, waarbij voor beide onderdelen een andere juridische onderbouwing wordt gezocht (respectievelijk anonimiseren en toestemming). Hoewel de grootste bezwaren daarmee van tafel lijken, geven verschillende respondenten aan dat de aard van de VT-regeling op gespannen voet blijft staan met de AVG.

Het derde aspect van legitimeringswerk zien we terug in het streven naar maatwerk. Zo worden verschillende aspecten van de regeling als problematisch ervaren door beroepsgroepen en patiënten. Het betreft de lengte van de regeling (een eerste termijn van vier maanden na de acute fase) en de randvoorwaarde dat een eventuele verlenging van de regeling alleen kon worden toegestaan na een verwijzing van een medisch specialist:

“De regelgeving moest snel worden opgesteld, en dan krijg je nooit de mooiste teksten. Dus we zaten zelf ook met de vraag: hoe moeten we dit implementeren? Hoe kan je dit uitleggen? [...] We zaten bijvoorbeeld met de eis dat je moest worden doorverwezen. Je had een eerste termijn van 6 maanden waarin je recht had op herstellzorg, en voor de tweede termijn moest je doorverwezen worden door een medisch specialist. En dan krijg je allerlei vragen uit het veld: mag bijvoorbeeld een revalidatiearts verwijzen? En hoe zit dat met andere specialismen? Wij hadden verwacht dat iedereen door de longarts verwezen zou worden maar dat bleek dus al veel complexer dan we voorafgaand dachten. Dus later is dat bijgesteld en mocht ook de huisarts doorverwijzen in bepaalde gevallen.”

Juridisch medewerker Zorginstituut, 28-04-2022b

Deze criteria zijn aangepast op basis van de door behandelaren geuite bezwaren. Zo kwam de voorwaarde van een verwijzing door een medisch specialist te vervallen en mocht ook de huisarts doorverwijzen. Daarnaast ontstond vanuit VWS de wens om C-support, een stichting die patiënten met post-COVID ondersteunt, een bemiddelende rol te geven. Dit hield in dat deze stichting problemen rondom de uitvoering van de regeling signaleerde en kon meedenken met individuele gevallen die 'tussen wal en schip' dreigden te vallen:

“C-support verleent echt individuele hulp aan mensen. Als mensen langer dan 3 maanden na de acute infectie klachten hebben, dan kunnen ze daar terecht met hun persoonlijke vragen. En in de praktijk komt het erop neer dat ze ook heel vaak een soort bemiddelende of doorverwijzende rol hebben naar welke hulpverlener ze nu het beste terecht kunnen, want dat is nog een woud voor veel patiënten. En er is nog veel onduidelijkheid, ook bij zorgverleners zelf. Dus mensen worden vaak van het kastje naar de muur gestuurd en C-support kan hun dan echt helpen.”

Medewerkers patiëntenorganisatie, 30-05-2022a

In het kader van de regeling betekende dit dat C-support in individuele gevallen naar een oplossing zocht als een patiënt bijvoorbeeld te laat een diagnose of een doorverwijzing van een specialist of huisarts heeft gekregen om voor vergoeding middels de regeling in aanmerking te komen.

2.1.2 Eculizumab voor aHUS: improvisatiewerk en protocollering gaan hand in hand

In de casus eculizumab zien we eveneens het belang van zowel procedures als improvisatiewerk terug. Zo is met name het besluitvormingstraject rondom dure geneesmiddelen binnen ZIN volgens vaste procedures georganiseerd. Dat betekent dat de Wetenschappelijke Adviesraad (WAR) in eerste instantie een oordeel geeft over de 'stand van wetenschap en praktijk' en ook kijkt naar de kosteneffectiviteit, terwijl de Adviescommissie Pakket (ACP) vervolgens de adviezen toetst aan de hand van vier pakketcriteria (effectiviteit, kosteneffectiviteit, noodzakelijkheid en uitvoerbaarheid) en kijkt of de uitkomsten daarvan maatschappelijk wenselijk zijn. Deze procedures worden voor iedere indicatie van eculizumab doorlopen: zowel voor de aandoening paroxismale nachtelijke hemoglobinurie (PNH) als voor atypisch hemolytisch uremisch syndroom (aHUS).

In het geval van eculizumab ontstaat het improvisatiewerk niet aan het begin van het traject (zoals bij de herstelleregeling) en is het improvisatiewerk ook niet primair geworteld in juridische vragen. Het improvisatiewerk ontstaat hier door de gepercipieerde noodzaak vanuit de patiëntvereniging en vanuit het landelijke expertisecentrum binnen het Radboudumc om te anticiperen op een mogelijke negatieve herbeoordeling van het geneesmiddel vanwege de zeer ongunstige kosteneffectiviteit van het middel:

"Wij kregen te horen dat [het Zorginstituut] eculizumab ging beoordelen. Dat de firma de papieren ingediend had en dat ze die ingediend hadden voor levenslang [voorschrijven]. We hadden eigenlijk al gezien bij de bloedziekte PNH, [...] dat het Zorginstituut daar moeilijk over deed. Dus de patiëntenvereniging waar ik al jaren mee optrok, die werden een beetje onrustig daarvan, want die zeiden: als het Zorginstituut moeilijk doet voor die PNH-patiënten, die het levenslang nodig hebben vanwege de prijs, wat gaat er dan wel niet gebeuren voor onze indicatie? Gaat dat wel goed? [...] Dus wij voelden al aan met z'n allen, zowel de patiëntenvereniging als ook wij als specialisten geïnteresseerd in dit ziektebeeld: dit gaat wel eens verkeerd aflopen. En toen hebben wij proactief, zowel de patiëntenvereniging als ook wij experts, gezegd van: dit doen wij anders in Nederland. [...] Levenslang [voorschrijven] daar zijn wij het niet mee eens."

Medisch onderzoeker, 28-06-2022

Zowel de medisch specialisten als de patiëntvereniging bleek zich bewust van de reële kans dat het geneesmiddel niet meer vergoed zou kunnen worden. In anticipatie op een mogelijke negatieve herbeoordeling vanuit ZIN trokken behandelaren en patiënten samen op in de zoektocht naar een andere invulling, waarbij het geneesmiddel niet meer levenslang voorgeschreven zou hoeven te worden, maar in de meeste gevallen slechts enkele maanden (en bij een eventuele terugval opnieuw).

Improvisatiewerk is in deze casus ontstaan door risico's op een negatieve herbeoordeling, maar dit improvisatiewerk wordt ook nadrukkelijk gekoppeld aan wetenschappelijke en medisch inhoudelijke argumenten. Wetenschappelijke argumenten hadden betrekking op het ontbreken van overtuigend bewijs dat het middel levenslang voorgeschreven zou moeten worden en op de onzekerheden over mogelijke schade op lange termijn hiervan. Medisch inhoudelijke argumenten hebben betrekking op het graduele karakter van de aandoening (wat het mogelijk maakt om te experimenteren met het langzaam afbouwen van het geneesmiddel) en op de omkeerbaarheid van het ziekteproces (dat in eerder medisch onderzoek in principe is aangetoond).

Tegelijkertijd zien we dat het improvisatiewerk hand in hand gaat met protocollering. De zoektocht naar een andere behandeling met eculizumab wordt gekoppeld aan het opstellen van een landelijk protocol en afspraken over monitoring:

"We moeten met elkaar een landelijk protocol maken, dat we voor deze zeldzame ziekte afspreken dat we het op dezelfde manier gaan geven. En dat moeten we dan ook goed gaan monitoren. Want misschien is dat een beetje moralistisch, maar wij vonden wel dat we niet zomaar [...] kunnen zeggen: ach wat maakt het uit, we hebben een goed medicijn, het moet maar zoveel kosten. [...] Wij waren al bezig en we hadden het protocol al klaar en we hadden er al ervaring mee, dat je dit middel eigenlijk niet levenslang maar dat 3 maanden [...] voldoende moet zijn. En als dan het ziektebeeld onder controle is, kun je stoppen, of soms afbouwen. [...] En als je het weer terugkrijgt, dan kun je het meteen weer geven. Dat was ons protocol, dus [zowel] wij [als ook] de patiëntenvereniging heeft tegen het Zorginstituut gezegd: wij doen het in Nederland anders, [...] we hebben met elkaar een ander protocol gemaakt"

Medisch onderzoeker, 28-06-2022

Een onderdeel van dit landelijke protocol – naast het maken van afspraken met andere UMCs over voorschrijven en monitoring – is het opzetten van een landelijke werkgroep, waarin vanuit ieder UMC een medisch specialist deelneemt. Dit bracht verschillende voordelen met zich mee. Niet alleen zorgde het oprichten van de werkgroep voor draagvlak binnen de verschillende UMCs. Ook voor patiënten en specialisten had de werkgroep een belangrijk aanvullend voordeel: door peer review van mogelijke aHUS cases werd het makkelijker om tot een goede diagnose te komen (aangezien de aandoening bijzonder lastig te diagnosticeren is).

Het improvisatiewerk in de eculizumab casus bleek ook voor ZIN een interessante en nieuwe insteek. Het leverde namelijk niet alleen een nieuwe manier op om invloed uit te oefenen op de negatieve kosteneffectiviteit van het geneesmiddel, maar bleek ook een manier om kostenargumenten en kwaliteitsargumenten meer aan elkaar te koppelen:

"We bleven natuurlijk wel met een onzekerheid zitten: gaat dit ook echt de kosteneffectiviteit drastisch naar beneden brengen en klopt dit wel? [...] En ik herken ook dat wij vanuit het Zorginstituut heel erg hebben ingezet dat dit initiatief vanuit de beroepsgroep en de patiëntenvereniging ook navolging verdiende. Juist omdat het een knop is waar we nog niet eerder van hadden vernomen en het de moeite waard vonden om die te gaan proberen."

Oud-medewerker Zorginstituut, 25-07-2022

De vernieuwende aanpak werd dus herkend door ZIN. Bovendien verschaftte het draagvlak vanuit professionals en patiënten ZIN ook de mogelijkheid om zelf aan improvisatiewerk te doen door tegen de bezwaren van de fabrikant in te gaan en af te wijken van de Europese 'lijn' die door de EMA werd vastgesteld (waarbij van eventueel afbouwen van het geneesmiddel geen sprake is). Deze casus laat dus zien hoe improvisatiewerk (gekoppeld aan wetenschappelijke en medisch-inhoudelijke argumenten) en protocollering samen kan gaan en kan leiden tot toegenomen draagvlak onder zowel specialisten als patiënten.

2.2 Spanning 2: Professionals in de lead vs. grip houden op het veld

De tweede spanning heeft betrekking op de relatie tussen professionals en het Zorginstituut. Door de toenemende onzekerheden rondom (kosten)effectiviteit van nieuwe geneesmiddelen en behandelingen is er steeds meer behoefte aan *real-world evidence* om uitspraken te kunnen doen over effectiviteit in de praktijk. Het komen tot *real-world evidence* is afhankelijk van correcte *real-world-data* verzameling door professionals, die bijvoorbeeld in databases diagnoses, uitkomstmaten en neveneffecten dienen bij te houden. Dat vergt extra tijd, motivatie en mankracht die niet altijd beschikbaar is, zeker wanneer dit aanvullende werk niet gefinancierd is. Ook vergt het consensus en afstemming tussen verschillende professionele disciplines en tussen verschillende instellingen.

Eenzijds zien we vanuit ZIN de behoefte om professionals zoveel mogelijk te faciliteren en in de 'lead' te zetten, vanuit de gedachte dat hun professionele expertise richtinggevend is met betrekking tot het inschatten welke data voor welke doeleinden verzameld dient te worden en om registratiedruk zoveel mogelijk te beperken. Tegelijkertijd wordt het van belang geacht om ook 'grip' te houden op het veld, om te voorkomen dat data niet, slecht of onvolledig worden verzameld, waardoor uiteindelijk geen uitspraken gedaan kunnen worden over de effectiviteit van nieuwe behandelingen en geneesmiddelen in de praktijk.

Dit spanningsveld uitte zich in beide case studies op verschillende manieren. We beschrijven wederom eerst hoe deze spanning uitwerkt in beide case studies en extraheren daarna weer enkele algemenere lessen op basis van deze vergelijking.

2.2.1 Paramedische covidherstelzorg: professionele belangenstrijd leidt tot risico's en gemiste kansen

Hoe zien we deze spanning tussen faciliteren en controleren terug in de casus paramedische covidherstelzorg? Bij de uitvoering van deze regeling waren meerdere paramedische disciplines betrokken, zoals fysiotherapie, ergotherapie, oefentherapie, diëtetiek en logopedie. Naast de rol die in eerste instantie was voorzien voor medisch specialisten (de longarts, die de diagnose en doorverwijzing zou moeten regelen) en later ook voor huisartsen, lag de uitvoer van de herstelzorgregeling primair bij de fysiotherapie en ergotherapie. De nadruk van de regeling lag op het leveren van multidisciplinaire zorg: in het oorspronkelijke plan zou de behandeling dus in nauwe samenwerking tussen paramedische beroepsgroepen geleverd worden.

In de uitvoering van de regeling blijkt er vanuit verschillende kanten kritiek te zijn op de mate waarin dergelijke multidisciplinaire zorg van de grond kwam. Met name de afstemming tussen de fysiotherapie en ergotherapie bleek in de praktijk moeizaam tot stand te komen. Vanuit het perspectief van ergotherapeuten ontstond kritiek op de in hun ogen scheve verdeling tussen het aantal vergoede behandelingen, dat voor fysiotherapie vele malen hoger ligt. Tegelijkertijd, zo betogen deze respondenten, komt daardoor juist de effectiviteit van de regeling in gevaar, omdat overbehandeling op de loer ligt:

"Veel mensen zijn veel te vroeg en te intensief begonnen met paramedische herstelzorg. [...] Als ik zie hoe veel mensen 50 behandelingen binnen drie maanden hebben afgerond, dan denk ik: hoe is het mogelijk?"

Interviewer: Ja, dat is een enorm aantal inderdaad. Dan ben je toch iedere week wel een aantal keren bezig met fysiotherapie.

“Ja, dat is fataal [...]. Ze konden bij wijze van spreken nog net de fysiotherapeut bereiken - zaten daar dan in de wachtkamer met het zweet nog op hun hoofd - en moesten dan bij de fysiotherapeut gaan lopen of fietsen.”

Medisch adviseur, 13-05-2022

Het grotendeels ontbreken van een multidisciplinaire aanpak in de praktijk – en het gebrek aan afstemming tussen fysiotherapie en ergotherapie – lijkt een bevestiging te zijn voor de ervaren noodzaak bij ZIN om grip te houden op het veld. Tegelijkertijd ontstaan de hierboven gesignaleerde problemen niet louter door professionele belangenstrijd: ze worden ook versterkt door kenmerken van de regeling, zoals de relatief korte looptijd:

“Maar [...] iedereen had een ander soort behandeling nodig en moest eerst maar eens tot rust komen voordat je ging opbouwen. Mensen vonden helemaal niet dat ze aan het herstellen waren, dus [kregen we vragen als]: waarom heet het een herstelleregeling? Ik ben niet hersteld.”

Medewerkers patiëntenorganisatie, 30-05-2022a

Zo botst het tempo van post-COVID waarbij tot rust komen en vervolgens zeer langzaam en stapsgewijs opbouwen van capaciteiten de belangrijkste therapeutische les lijkt - met het tempo van de regeling, die in eerste instantie uitging van een vastomlijnde en relatief korte tijdsduur.

Naast de looptijd speelde ook de betalingsstructuur een belangrijke rol in het onvoldoende van de grond komen van multidisciplinaire behandeltrajecten. Terwijl de regeling gericht is op multidisciplinair werken, blijkt de vergoeding alleen gericht op monodisciplinaire sessies:

“De regeling roept op tot multidisciplinair samenwerken. Alleen de regeling an sich heeft niets in zich om multidisciplinaire samenwerking ook te stimuleren. Het zijn alleen maar monodisciplinaire sessies op uren die gedeclareerd kunnen worden. Dus er zit niets van een multidisciplinair overleg of andere vormen waarin je tijd hebt om met elkaar af te stemmen. Dat zit helemaal niet in die regeling. Dus er wordt dan wel vanuit ZIN gezegd: wat erg dat er zo weinig wordt samengewerkt. [Maar] dat hebben [ze] ook niet ingekocht. [Ze] hebben monodisciplinaire zorg ingekocht.”

Medisch onderzoeker, 03-05-2022a

Door de snelheid waarmee de regeling van de grond is gekomen, bleek het in de praktijk niet haalbaar om ook een gezamenlijke declaratiemogelijkheid te creëren. Daarmee verdwijnt echter ook een belangrijke prikkel om multidisciplinaire zorg te leveren.

De ambivalente houding ten opzichte van de beroepsgroep (faciliteren versus controleren) hangt ook samen met de lage ervaren legitimiteit van de betrokken paramedische beroepsgroepen. De regeling werd gezien als een kans om deze beroepsgroepen te verwetenschappelijken door meer ‘evidence-based’ te gaan werken en de effectiviteit van behandelingen beter te volgen:

"Ik ben heel erg voor paramedische herstellzorg, echt, en ik zie parels. Maar het zwakste [punt] binnen de fysiotherapie is dossiervorming. Idealiter zou het moeten zijn dat de patiënt bij de paramedische herstellzorg is geweest, dat er een dossier komt: we hebben een jaar behandeld [...] en we hebben gezien dat de vier minuten wandeltest beter gaat, dat de kracht toenam, dat het psychische welzijn verbetert en de zorg is afgerond. Als de patiënt niet beter is na een jaar, dan moet de fysiotherapeut zich achter de oren krabben waarom het niet beter gaat. De professie van fysiotherapeuten staat in het medische spectrum een beetje laag aangeschreven, en ze doen toch goed werk. [...] En de pandemie was hun kans om te laten zien: wij doen ertoe."

Medisch adviseur, 13-05-2022

Ook vanuit ZIN zien we de roep naar meer bewijsvorming over effectiviteit ontstaan. Het uitzetten van onderzoek hangt samen met de redenering dat er in het kader van de covid herstellzorgregeling sprake is van *nieuwe* zorg, die dus nog niet afdoende bewezen is. Dit uitgangspunt werd echter door verschillende partijen bekritiseerd. Zo waren de behandelingen van bepaalde paramedische disciplines wel al onderdeel van verzekerde zorg, waardoor bij deze groepen verwarring ontstond en het motiveren van de beroepsgroep lastig bleek:

"Wat het ook wel lastig maakte: [de regeling ging] natuurlijk eigenlijk [...] om het voorwaardelijk toelaten tot de basisverzekering. Eigenlijk gold dat in dit geval alleen voor de fysiotherapie en oefentherapie. [Bepaalde behandelingen die worden geleverd door] de andere paramedische disciplines die betrokken zijn bij de herstellzorg - diëtetiek, logopedie en ergotherapie - zitten al in het basispakket. Zo geldt voor ergotherapeuten dat de reguliere aanspraak ergotherapie maximaal 1 x 10 uren ergotherapie per kalenderjaar is. De herstellzorgregeling maakt onder voorwaarden maximaal 2 x 10 uren ergotherapie mogelijk. Dus dat gaf ook best wel verwarring bij het starten van het onderzoek."

Medewerkers paramedische beroepsvereniging, 17-05-2022

Terwijl de legitimiteit van de regeling dus vanuit ZIN nauw samenhangt met de belofte van bewijs over effectiviteit door middel van het uitzetten van onderzoek, zorgt de perceptie dat bestaande zorg "in een onderzoeksjasje" wordt gegoten juist voor verwarring en weerstand bij bepaalde paramedische beroepsgroepen.

In relatie tot de spanning tussen faciliteren en controleren kunnen we uit deze casus de les trekken dat professionele samenwerking niet vanzelf tot stand komt. Enige vorm van controle is dus noodzakelijk om uitspraken te kunnen doen over effectiviteit. Tegelijkertijd zien we dat de randvoorwaarden van de regeling (de financiële prikkels voor monodisciplinair werken en de oorspronkelijk ingeschatte, relatief korte tijdsduur van de regeling) zodanig zijn ingestoken dat multidisciplinair werken niet gefaciliteerd wordt (en dus louter uit intrinsieke motivatie zou kunnen voortkomen).

2.2.2 Eculizumab voor aHUS: Professionals in de lead vergt veel onzichtbaar werk

In de casus eculizumab zien we dat het Zorginstituut meer ruimte geeft aan de beroepsgroep om onderzoek op te zetten naar kortere voorschrijving van eculizumab bij patiënten gediagnosticeerd met aHUS. Die nadruk op het faciliteren van de beroepsgroep hangt – zoals ook in de vorige sectie aangegeven

– samen met de onbetwistbare expertisestatus van de betrokken medici in combinatie met de ondersteuning vanuit de patiëntvereniging. Wat deze casus echter ook inzichtelijk maakt, is dat het in de lead zetten van de beroepsgroep zeker niet vanzelf gaat, maar vele vormen van onzichtbaar werk vergt. We onderscheiden drie vormen van onzichtbaar werk: naar andere professionals (met betrekking tot het controleren en valideren van data en met betrekking tot relatiemanagement), naar patiënten (overtuigingswerk en het creëren van draagvlak) en naar verzekeraars (lobbyen om subsidie te regelen).

Het onzichtbare werk naar andere professionals hangt in eerste instantie samen met het overtuigen van andere UMCs om mee te doen aan het voorgestelde protocol:

"[De onderzoeksleider] heeft natuurlijk ook veel tijd moet steken in het aanhaken van ieder UMC bij het landelijke netwerk. Het blijft voor een gemiddelde professional makkelijker om in de spreekkamer te zeggen: dit is het protocol, dit is de medicatie, we gaan aan de slag. Nu moeten we uitleggen waarom [we het protocol] niet [volgen] en dat er een studie is. Vervolgens moeten de professionals vanuit de andere centra contact zoeken met Nijmegen en dan kan het zijn dat er geen goedkeuring komt om op te starten. Dit moeten ze dan vervolgens weer terugkoppelen aan de patiënt. Dus het is voor de professional veel meer werk om verantwoord met medicatie om te gaan."

Programmamanager, Radboudumc, 23-09-2022

Ook in de uitvoering van het protocol blijkt het noodzakelijk om andere medisch professionals regelmatig te blijven overtuigen van het belang om deel te blijven nemen. Zo is het besluit om te stoppen met het voorschrijven van eculizumab na enkele maanden van behandeling in de praktijk soms moeilijk, omdat behandelaren erop moeten vertrouwen dat deze procedure veilig is. Artsen die minder bekend zijn met aHUS, zijn bijvoorbeeld in sommige gevallen geneigd om het middel toch te blijven voorschrijven.

Een ander belangrijk aspect van het onzichtbare werk richting andere professionals hangt samen met het controleren en valideren van data. De landelijke expertisegroep is afhankelijk van de aangeleverde data van de andere UMCs, maar de vraag is in hoeverre die data altijd up to date en correct is:

"Het lastigste is nu natuurlijk als je vanuit een [landelijk expertise]centrum gaat werken dat wij dus die data komen ophalen bij alle andere centra. We zijn afhankelijk van database managers die daar de data invoeren [...], waarbij het soms wel lastig is voor verpleegkundigen die bijvoorbeeld ook niet op dit onderwerp zitten om die data echt heel goed te vertalen naar wat wij precies willen in die database. Vooral omdat het zo'n moeilijk ziektebeeld is, is toch net wat meer achtergrondinformatie nodig. [...] Dus ik ga zelf naar die centra toe om al die data in te zien en dat heel goed te controleren. Maar goed we zijn dus nog afhankelijk van wat zij invoeren."

Medisch onderzoeker, 27-07-2022b

Dit voorbeeld maakt duidelijk hoezeer de landelijke expertisegroep die het onderzoek uitvoert afhankelijk is van de aangeleverde data – en de hoeveelheid extra werk die het kost om de kwaliteit van die data goed te monitoren. Een aanvullende complicerende factor heeft te maken met de vrijblijvendheid van start- en stopcriteria, die moeilijk afdwongen kunnen worden. Ondanks een advies vanuit de landelijke expertisegroep kan een individuele arts er dus voor kiezen om eculizumab te blijven voorschrijven.

Een tweede vorm van onzichtbaar werk richt zich op het 'overtuigingswerk' dat de landelijke expertisegroep moet verzetten richting patiënten. Het voorgestelde onderzoek vraagt immers om veel vertrouwen van patiënten. Aan hen wordt gevraagd om een levensreddende geneesmiddel af te bouwen op een manier die afwijkt van het voorschrift van de fabrikant en van internationaal vastgestelde richtlijnen:

"Dus daar zijn patiënten ook wel huiverig om. [...] En dan is het heel belangrijk dat je goed uitlegt hoe je dat monitort en dat je het [geneesmiddel] ook meteen weer terug kan krijgen. [...] En we hadden de patiëntenvereniging ook wel continu meegenomen in het hele proces, die hebben ook deel uitgemaakt van de onderzoeksgroep. [...] En wij hebben ook hun proberen zo goed mogelijk mee te nemen en te overtuigen van het belang."

Medisch onderzoeker, 28-06-2022

Het werk vanuit de landelijke expertisegroep gaat verder dan uitleg geven. Patiënten dienen zeer nauwlettend hun eigen signalen te monitoren, zodat de behandeling indien nodig binnen 48 uur opnieuw opgestart kan worden. Dat vergt ook beschikbaarheid van artsen, ook in hun 'eigen tijd' indien dat nodig zou blijken:

"Wat natuurlijk het gevaarlijkste is voor de patiënt, waar zij het meest bang voor zijn, is dat de ziekte terugkomt en de patiënt weer heel ziek wordt. Dus vanuit de arts is het heel belangrijk om die patiënt heel goed [advies te geven] en vooral goed te vertellen waar ze op moeten letten, zodat we er zo vroeg mogelijk bij zijn. Want we zien wel dat het stoppen met eculizumab kan en dat het veilig en kosteneffectief is. Maar we zien vooral dat het veilig is wanneer je het middel ook zo snel mogelijk weer kan herstarten als er wel een [nieuwe ervaring] van de ziekte is. Dus dat houdt in het liefst binnen 48 uur en in Nederland krijgen we dat voor elkaar, vooral omdat we een expertisecentrum hebben met artsen die ook in het weekend en in de avonduren beschikbaar zijn, dus dat ook wel vanuit hun eigen persoonlijke tijd doen. Dat maakt het hier mogelijk."

Medisch onderzoeker, 27-07-2022b

Dit soort 'onzichtbaar werk' hangt dus samen met het faciliteren van professionals. Dat dit werk in het geval van eculizumab succesvol is, valt niet los te zien met de legitimiteit van het expertisecentrum. De brede erkenning van de inhoudelijke expertise van deze groep stelt hen in staat om dit werk uit te voeren.

Het derde type onzichtbaar werk richt zich op het lobbyen en onderhandelen met verzekeraars. Ondanks de duidelijke belofte die de voorgestelde protocolwijziging met zich meebrengt (zowel besparing als kwaliteitswinst) blijkt het lastig om verzekeraars te overtuigen om het bijbehorende onderzoek te financieren. Dat lijkt vooral samen te hangen met oude structuren, waardoor weinig prikkels zijn om in innovatie te investeren:

"Dat [voorstel van de hoofdonderzoeker] vond ik mega stoer, want vaak is het best spannend om van het protocol af te wijken. Ze gaf dan ook terecht aan: we kunnen dat natuurlijk niet op onze blauwe ogen doen. We

moeten dit goed onderzoeken en de bloedwaarden goed monitoren. Vervolgens hebben we een business case opgesteld waaruit bleek dat er in 4 jaar tijd 50 miljoen bespaard kan worden en dat hiervoor een onderzoeksbudget van 4 miljoen nodig was. Ik ging naar ons overleg [met verzekeraars] toe en zei: ik heb echt een super interessant initiatief. Hier kunnen we echt impact mee maken. Vervolgens kreeg ik dus de reactie vanuit [de verzekeraar]: "ja, maar wacht even, als wij 4 miljoen gaan investeren, dan gaan we met z'n allen wel die 50 miljoen ophalen, maar mijn concurrentverzekeraars investeren niets en die hebben ook deze besparing, dus dat is voor ons een concurrentienadeel. [...] Nou, ik zal je eerlijk zeggen, ik was echt verbijsterd."

Programmamanager, Radboudumc, 23-09-2022

Dit voorbeeld geeft aan hoe lastig het is om innovaties die kunnen bijdragen aan beter pakketbeheer te financieren, zelfs wanneer de te verwachten voordelen niet alleen betrekking hebben op besparing en dus financiële houdbaarheid, maar deze ook kunnen bijdragen aan betere kwaliteit van zorg. Deze dynamiek wordt verder geproblematiseerd door het 'geinstitutionaliseerde wantrouwen' tussen professionals en verzekeraars (en tussen verzekeraars onderling, zoals we hierboven zagen):

"Wat heel hardnekkig is, [...] is toch die productie prikkel. [...] Een gemiddelde professional weet heel goed hoe het systeem werkt. Het wantrouwen is nog wel groot richting zorgverzekeraars, bij een deel van de professionals. Heel mooi om gezamenlijk een traject aan te gaan met financieel comfort, maar wat gebeurt er na afloop van het meerjarencontract? Men vreest dat zorgverzekeraars dan willen cashen en hoe zorgen we er dan voor dat dit op de juiste gronden gebeurt? Daarnaast is het zo dat [...] we als academisch ziekenhuis eigenlijk altijd met alle grote verzekeraars te maken hebben, omdat de regio zo groot is. Het is cruciaal dat we kunnen werken met gelijkgerichte contracten. Als dit niet lukt, zitten we in een spagaat en is het lastig om de juiste agenda te voeren."

Programmamanager, Radboud UMC, 23-09-2022

Dit citaat maakt duidelijk dat ziekenhuizen ook terughoudend kunnen zijn met innoveren als ze het vermoeden hebben dat dit op de langere termijn tot minder financiële middelen kan leiden.

Deze casus laat dus zien dat het faciliteren van professionals grote meerwaarde kan hebben, maar wel afhankelijk is van verschillende randvoorwaarden (zoals een breed erkende expertisestatus en ondersteuning door patiënten). Daarnaast maakt deze casus duidelijk dat het louter faciliteren van professionals niet voldoende is om cyclisch pakketbeheer in de praktijk te bewerkstelligen. Het ondersteunende en vaak onzichtbare werk dat nodig is, met name om goede data te verzamelen ten behoeve van het onderzoek, zou ook gefaciliteerd kunnen worden. Daarmee vergroot ZIN immers ook de mogelijkheden om op basis van duidelijk bewijs te kunnen bijsturen.

2.3 Spanning 3: De patiënt als bron van data vs. de patiënt als legitieme stakeholder

De derde spanning in de uitvoering van cyclisch pakketbeheer heeft betrekking op de positie van patiënten. Enerzijds wordt de rol van patiënten heel belangrijk gevonden. Er wordt bijvoorbeeld door middel van PROMs en PREMs gezocht naar uitkomstmaten die relevant zijn voor patiënten. Tijdens de vergaderingen van de ACP is er ruimte voor inspraak vanuit patiëntvertegenwoordigers. In iets bredere zin zien we bovendien dat ZIN actief op zoek is naar manieren om niet alleen patiënten, maar ook burgers in bredere zin te betrekken bij discussies over pakketbeheer, bijvoorbeeld door het uitzetten van onderzoek en het organiseren van discussiebijeenkomsten en organiseren van burgerfora (Bijlmakers et al., 2020). Deze laatste ontwikkeling sluit aan bij het impliciete beeld van cyclisch pakketbeheer als manier van zorgdragen.

Ondanks het belang dat dus wordt toegekend aan het patiëntperspectief, is er sprake van een spanningsveld met betrekking tot de rol en invloed die dit perspectief heeft (zie ook: Steffensen, Matzen & Wadmann, 2022). Vaak wordt de patiënt vooral als 'passieve' bron van data gezien, waarbij de nadruk ligt op het informeren en overtuigen van patiënten in plaats van het actief meedenken. Aan de andere kant zien we bijvoorbeeld in de eculizumab-casus dat de actieve rol van de patiëntvereniging zeer gewaardeerd werd door ZIN en ook als een voorbeeld wordt gepresenteerd. Deze spanning heeft dus vooral betrekking op de mate waarin ZIN bereid is om bij het actief betrekken van een stap verder te zetten dan het 'informeren' en 'overtuigen' van patiënten.

Dit spanningsveld komt vooral naar voren in het contrast tussen de rol van patiënten in beide case studies. We beschrijven daarom eerst hoe de rol van patiënten vorm krijgt in beide casestudies en extraheren daarna weer enkele algemenere lessen op basis van deze vergelijking.

2.3.1 Paramedische covidherstelzorg: regeling voor patiënten maar niet met patiënten

In de casus paramedische covidherstelzorg wordt de tijdelijke regeling onder andere gelegitimeerd door de breed ervaren noodzaak om zorg te kunnen vergoeden voor een groep patiënten met nieuwe, nog grotendeels onbegrepen problematiek. Het belang van het patiëntperspectief – en met name: de verwachte zorgbehoefte – is in die zin dus een van de redenen achter het snel opzetten van de herstelzorgregeling geweest:

“Ik had zelf in het begin van de pandemie, begin april, ook regulier overleg met mensen bij VWS. Al begin april kwam in dat overleg uiteraard Covid ter sprake. Daar zaten we middenin, dat was de tijd dat de opnames gigantisch toenamen en mensen langdurig op de IC terecht kwamen. En we hebben toen ook gezegd: ze gaan een keer naar huis toe, en wat dan? Want die mensen gaan nog heel lang zorg nodig hebben. Ze zijn al zo lang op de IC. We kennen al post-ic syndroom, er gaat een grote zorgbehoefte ontstaan, zijn we daarop voorbereid, zijn er tekorten in die aanspraken?”

Medewerker Zorginstituut, 28-04-2022a

Dit citaat laat zien dat het patiëntperspectief duidelijk zichtbaar is in de opstart van de regeling. Bij ZIN en VWS anticipeerde men op een grote groep 'nieuwe' patiënten waarvan nog veel onbekend was, maar waarbij de verwachting was dat zij aanvullende paramedische zorg nodig zouden hebben. De ervaren urgentie om iets te doen voor deze groep was groot.

Tegelijkertijd zien we dat – ondanks deze aandacht voor de zorgbehoeften bij deze groep – de patiënt zelf nauwelijks wordt gezien als legitieme stakeholder die ook zelf zou kunnen meedenken over de regeling. Zo zien we bijvoorbeeld in de eerder signaleerde knelpunten en onduidelijkheden rondom de uitvoering van de regeling (de mate waarin er wel of niet sprake zou zijn van 'nieuwe' zorg, de redenen waarom

bepaalde soorten paramedische zorg alleen nog via de regeling vergoed zouden kunnen worden en niet via reguliere vergoede zorg, de in eerste instantie voorgestelde verplichting om deel te nemen aan het bijbehorende onderzoek) dat er weinig tot geen ruimte is voor patiënten om actief mee te denken over de regeling. De insteek vanuit ZIN is vooral gericht op 'zenden': beter informeren en het proberen om patiënten (en professionals) te overtuigen van het belang van het onderzoek:

"We hadden niet verwacht dat mensen daar [met het verplicht deelnemen aan het onderzoek] zo veel moeite mee zouden hebben, eerlijk gezegd. Het ging immers om de verzameling van anonieme gegevens. Dat hebben we...ja, ik kan niet zeggen dat we dat hebben onderschat, maar er is best veel gedoe over geweest.. [...]"

Interviewer: En hoe hebben jullie geprobeerd om dat 'gedoe' om dat om te draaien of om daar beweging in te krijgen?

Wij hebben veel contact gehad met de onderzoekers om alles zo duidelijk mogelijk uit te kunnen leggen, in alle voorlichting die we deden. We wilden een paar vragen echt zo goed mogelijk beantwoorden, zoals: Waarom dit onderzoek? Wat houdt het in? Wat gebeurt er met uw gegevens?"

Communicatie Medewerkers Zorginstituut, 12-05-2022b

Dit citaat laat zien dat de nadruk in de communicatie vooral lag op het scheppen van duidelijkheid en het toelichten en uitleggen van de redenen en randvoorwaarden van de regeling. De aanname daarbij lijkt dat de legitimiteit van de regeling vanzelf zal toenemen als deze maar duidelijk genoeg wordt uitgelegd.

De nadruk op 'uitleggen' in plaats van 'meedenken' zien we ook terug in de signalen van patiënten rondom de behandeling, die niet altijd gehoord worden. Zo blijkt met name de nadruk op fysiotherapie voor patiënten te belastend:

"Als ik namens de patiënten mag praten, [...] zij hebben echt ervaren dat ze niet serieus genomen worden. En de voorwaarde dat ze moeten meedoen aan een wetenschappelijk onderzoek, daar kreeg ik ook nogal wat kritische geluiden over te horen. Maar dat had ook alles te maken met [het feit] dat er, zeker in het begin, vrij traditionele fysiotherapie behandelingen werden gegeven, [...] die later averechts bleken te werken voor deze groep mensen. Dus ik heb menig patiënt aan de lijn gehad, die dacht door de ingezette paramedische zorg achteruit te zijn gegaan in plaats van vooruit. [...] En dan was de boodschap ook nog dat ze verplicht waren om daaraan mee te doen om de fysiotherapie überhaupt vergoed te krijgen. "

Medewerkers patiëntenorganisatie, 30-05-2022a

We zien hier dat er weinig ruimte wordt ervaren om de regeling tussentijds bij te sturen naar aanleiding van ervaringen van patiënten. Ook op collectief niveau bleek de rol van patiënten beperkt. Zo is de rol van C-support in het adviseren over de uitvoering van het onderzoek uiteindelijk klein geweest:

"C-support heeft met name in de adviesgroep gezeten en vanuit die rol zijn ze wel heel prettig geweest dat zij ons op de hoogte hebben gebracht van dingen die speelden. Adviezen over hoe we dan toch nog beter bepaalde

dingen zouden kunnen uitvragen of resultaten zouden kunnen duiden. Maar zij hebben echt een hele andere rol gehad in dit project. Zij hebben gewoon meer afstand gehad. Een prettige partij dat die er was, maar voor ons geen directe partij."

Medisch onderzoeker, 03-05-2022a

Concluderend kunnen we stellen dat de belangen van patiënten aan de basis lagen van de snelle opstart van de regeling, maar dat er in de uitvoer vooral nadruk is komen te liggen op het vasthouden aan de ingeslagen weg, waarbij er weinig ruimte was voor patiënten om bij te sturen. Samengevat: het is een regeling voor patiënten maar niet zozeer met patiënten. Daarmee hangt samen dat deze patiëntgroep (nog) niet collectief is georganiseerd en er weinig erkenning is van de ervaringsdeskundigheid waarover deze groep kan beschikken.

2.3.2 Eculizumab voor aHUS: expert patiënten als legitieme stakeholder

In de casus eculizumab zien we een actievare en invloedrijkere rol van patiënten, die door ZIN als gaandeweg als legitieme stakeholder worden gezien. In vergelijking met de casus paramedische covidherstelzorg is er sprake van een veel kleinere en minder anonieme patiëntgroep gezien het zeer zeldzame karakter van de ziekte. Er is bovendien sprake van een langdurige relatie tussen enkele patiëntvertegenwoordigers en het expertisecentrum binnen het Radboud UMC, waardoor het makkelijker is om argumenten uit te wisselen. Enkele zeer actieve patiëntvertegenwoordigers hebben vanuit de opgerichte stichting aHUS een proactieve rol gehad in het uitoefenen van invloed en het meedenken met specialisten, bijvoorbeeld over het opstellen van een nieuw protocol om eculizumab voorwaardelijk vergoed te kunnen houden.

De proactieve rol van de patiëntvertegenwoordigers is op verschillende momenten in het besluitvormingsproces terug te zien. Met name rondom het herbeoordelingsproces van eculizumab is deze groep actief geweest in samenspraak met medisch specialisten in het opstellen van een nieuw protocol waarbij het middel veel korter voorgeschreven zou kunnen worden. Daarbij werd niet alleen gehamerd op de meerwaarde van eculizumab vanuit het perspectief van de patiëntgroep, maar werd ook ingespeeld op argumenten van andere relevante partijen in het besluitvormingsproces:

"Ik had heel veel voorwerk gedaan, ik had alle documenten gelezen die bij het Zorginstituut lagen. Want ik heb geleerd dat de beste argumenten de argumenten van je tegenpartij zijn. [...] Dus dat hadden wij allemaal op een rijtje - dit is een proces van 1,5 jaar. We hebben het steeds gezien als een soort onderhandelingstraject en wat je in een onderhandelingstraject moet doen, is dat je rekening moet houden met [...] het welbegrepen eigenbelang van de andere partijen. Dus als ik daar ga zitten en ik zeg: "ik moet dat medicijn hebben. En die farmaceut, ja het is veel te duur, die moet dat maar voor niks doen." Dan begrijp ik niet zijn welbegrepen eigenbelang. Want die farmaceut heeft aandeelhouders en die moet winst maken. Dus ik wil niet met hem discussiëren over het feit dat hij winst moet maken, maar ik wil met hem discussiëren over het feit [...] hoeveel winst hij moet maken. En ook zijn prijsstelling. Aan de andere kant, verzekeraars hebben ook zo'n eigenbelang, artsen hebben zo'n belang, patiënten hebben zo'n belang. In de meeste situaties is het zo, als je vanuit die eigenbelangen tot iets van een gezamenlijk belang kunt komen, dan heb je wel een basis om verder te komen."

Patiëntvertegenwoordiger, 30-06-2022

Dit citaat laat verschillende aspecten zien rondom de rol van de patiëntvertegenwoordigers. Ook dit werk blijft vaak onzichtbaar. Ten eerste zien we dat het verwoorden van het patiëntperspectief veel voorwerk en inhoudelijke expertise vraagt (een traject van 1,5 jaar en het inlezen in de vele documenten over het besluitvormingsproces rondom eculizumab). Daarnaast maakt het voorbeeld ook duidelijk dat inspraak niet alleen gebaat is bij inhoudelijke expertise, maar ook andere vaardigheden vraagt, zoals onderhandelingsvaardigheden en politiek-bestuurlijke sensitiviteit ('weten hoe het spel wordt gespeeld', aldus een van de respondenten). Een treffend voorbeeld is het 'back-up' plan om landelijke media-aandacht te genereren bij een eventueel negatief besluit over de vergoeding van eculizumab:

"En het grappige is dat wij al in de voorbereiding [voor de inspraak tijdens de ACP vergadering] op een gegeven moment een keuze hebben gemaakt. Want [X], ik zei het al, die was lobbyist, die kende heel veel mensen. Wij hebben ook verschillende gesprekken in Den Haag gehad. Maar die had ook nog wel wat ingangen bij de omroep en dergelijke. Dus wij hadden al een soort [toezegging], wij konden al op allerlei plekken komen. Volgens mij konden we bij Humberto Tan komen, maar we hebben gezegd: nee, dat doen we pas al ze het afwijzen.

Een soort van back-up plan eigenlijk?

Ja, ja, want ik denk dat het te veel de toon zet en misschien ook wel negatief [uitpakt] als je dat van tevoren doet."

Patiëntvertegenwoordiger, 30-06-2022

Dit voorbeeld maakt de politiek-bestuurlijke sensitiviteit van de patiëntvertegenwoordigers inzichtelijk. Door te erkennen dat media-aandacht het besluitvormingsproces binnen ZIN (dat vanuit dit patiëntperspectief als een onderhandeling wordt gezien, zoals we hierboven zagen) kan frustreren, geeft deze patiëntvertegenwoordiger blijk van dergelijke sensitiviteit. Tegelijkertijd wordt de mogelijkheid om media-aandacht voor de patiëntgroep te genereren als 'noodscenario' achter de hand gehouden.

De hierboven genoemde voorbeelden maken al duidelijk dat de actieve rol van deze patiëntgroep samenhangt met verschillende vormen van expertise en vaardigheden. Dergelijke vaardigheden zijn echter niet vanzelfsprekend en hangen sterk af van toevalligheden, zoals welke patiënt geconfronteerd wordt met de aandoening:

"Je moet ook een beetje 'geluk' hebben met diegenen die toevallig jouw ziekte krijgen. Ja, ik bracht mijn managementervaring mee, [X] bracht haar ervaring als lobbyist mee, dat is toeval, maar in dit geval kwam dat wel goed uit. En wij troffen 2 artsen die heel ondernemend zijn, want vergis je niet: wij werden in het begin - samen met Y deed ik dat van de [overkoepelende patiëntvereniging] - op bijeenkomsten van de internationale AHUS-patiënten ook heel raar aangekeken, [...] dat wij het in ons hoofd haalden om na te denken over een andere behandelwijze dan die de farmaceut voorschreef. Want ja, we moesten toch als patiënt hartstikke blij zijn met dat medicijn. Maar ja, dat waren dan patiënten uit landen waar het gewoon vergoed werd."

Patiëntvertegenwoordiger, 30-06-2022

In het specifieke geval van deze case studie speelt mee dat de 'Nederlandse' aanpak afwijkt van de internationale standaard, waardoor er voor patiëntvertegenwoordigers nog een aanvullende taak ligt in het verantwoorden van deze afwijkende aanpak onder andere patiënten in binnen- en buitenland.

Een belangrijke consequentie van deze expertrol van patiënten en de ontstane coalitie met medische experts is dat er ook institutionele ruimte ontstaat voor ZIN om zich steviger te positioneren richting de fabrikant. Specifieker levert het alternatieve protocol dat vanuit de landelijke expertisegroep en patiëntvertegenwoordigers is opgesteld nieuwe 'knop' op voor ZIN om te kunnen sturen op kosteneffectiviteit:

We waren [in het besluitvormingsproces binnen ZIN] tot dan toe altijd de fabrikant gevolgd [met betrekking tot] het behandelingschema en de prijs. Nou ja, [aan] de prijs deden we dan wel wat, maar de inhoudelijke adviezen zijn natuurlijk ook getoetst op veiligheid. Om die naast je neer te leggen als behandelaar, vond ik van vrij veel lef getuigen. En ik dacht toen: hier hebben we ook op een andere manier de mogelijkheid om de kosteneffectiviteit te beïnvloeden. Niet alleen via de prijs, maar juist via de inhoudelijke behandeling. Dat vond ik interessant. Ik dacht: dat is het waard om te onderzoeken."

Oud-medewerker Zorginstituut, 25-07-2022

Het alternatieve protocol voor de behandeling van aHUS door middel van eculizumab werd dus gewaardeerd vanuit ZIN, niet alleen omdat het initiatief vanuit de beroepsgroep en de patiëntvereniging kwam, maar ook omdat dit protocol ZIN een nieuw instrument zou kunnen geven om meer te kunnen sturen op de kosten van dure geneesmiddelen. Het protocol maakte duidelijk dat kosten niet alleen in toom gehouden kunnen worden door VWS te adviseren over prijsonderhandelingen met de fabrikant, maar door ook aan de medisch-inhoudelijke kant aan te scherpen hoe lang patiënten behandeld worden en door zorgvuldiger te diagnosticeren. Tegelijkertijd blijkt de coalitie van landelijke experts en patiëntvertegenwoordigers robuust genoeg voor ZIN om kritische geluiden vanuit de fabrikant 'gefundeerd' naast zich neer te leggen.

Concluderend zien we dat patiëntvertegenwoordigers een belangrijke en proactieve rol hebben gehad in deze casus, die duidelijk verder gaat dan louter 'informereren'. Door een coalitie te vormen met medische experts en een nieuw protocol op te stellen bleken ze in staat om invloed uit te oefenen op het besluitvormingsproces en eculizumab voor aHUS onder voorwaarden van nader onderzoek vergoed te houden. In die zin is het project een mooi voorbeeld van de rol die patiënten kunnen spelen en de legitimiteit daarvan. Tegelijkertijd valt er een belangrijke kanttekening te plaatsen. Het goed kunnen invullen van deze rol vraagt namelijk veel tijdsinvestering, kennis en vaardigheden van patiënten. Dit zal voor lang niet iedere patiëntgroep haalbaar zijn. Het is dus belangrijk om na te denken hoe het patiëntperspectief ook versterkt kan worden in andere besluitvormingsprocessen rondom vergoeding.

3 Conclusies en aanbevelingen

In de voorgaande twee delen van dit rapport hebben we de nadruk gelegd op cyclisch pakketbeheer als bredere beleidsrichting (welke nog weinig in de praktijk tot uitdrukking is gekomen) en twee casestudies die als aanzetten tot cyclisch pakketbeheer in de praktijk gezien kunnen worden. Cyclisch pakketbeheer is daarbij niet één duidelijk narratief, maar omvat een veelvoud aan wensen en ideeën over hoe ZIN aan goede zorg en pakketbeheer bijdragen kan, of althans zou moeten, in de context van het erkennen van diverse vormen van onzekerheid (onder meer met betrekking tot data en tot de houdbaarheid van het zorgstelsel). De rol van data en legitimiteit van data-verzameling en de betrokkenheid van patiënten, cliënten en zorgverleners, en het bredere publiek daarbij hebben we in dit rapport nader beschouwd door ons op twee gevallen te richten waar (onderdelen van) cyclisch pakketbeheer wel tot de praktijk kwam. Dit betrof de dataverzameling en trajecten van voorwaardelijke vergoeding rond eculizumab voor aHUS en paramedische herstellzorg na COVID. Door deze twee gevallen heen bespreken we drie spanningen waarmee we reflecteren op het maken van beleid (protocolleren of improviseren), op de relatie tussen professionals en ZIN (professionals in de lead of grip houden) en over de positie van patiënten (als bron van data of als legitieme stakeholder).

Vanuit deze analyse formuleren we hieronder een drietal implicaties en aanbevelingen voor het werk van ZIN in deze context. We zijn ons ervan bewust dat deze aanbevelingen aansluiten bij aanbevelingen die ZIN al eerder van anderen te horen heeft gekregen (zie bijvoorbeeld Niezen et al. 2007, waar al gewezen wordt op het belang van transparantie, legitimiteit en de haalbaarheid van procedures rond voorwaardelijke toelating, en Mulder et al., 2021). We willen en kunnen hier geen uitspraken doen over de impact van deze eerdere aanbevelingen op het werk van ZIN, maar willen hier wel graag onderstrepen dat onze aanbevelingen hieronder hierdoor misschien juist nog meer urgent zijn. We bespreken hieronder de implicaties, en richten ons op ZIN – met de kanttekening dat ZIN zich als zelfstandig bestuursorgaan in een complex en bewegend speelveld bevindt en de koers veelal in interactie met andere actoren geduid moet worden. Voor een groot deel ziet ZIN zich met institutionele structuren en factoren geconfronteerd waar het slechts ten dele op eigen initiatief veel aan kan wijzigen – zij het dat ZIN in de zorg in Nederland natuurlijk wel een sleutelpositie inneemt. Ook dit werd ons duidelijk in de dialoogbijeenkomst die we georganiseerd hebben om deze implicaties te toetsen aan relevante actoren uit de praktijk.

3.1 ZIN kan samen met andere stakeholders het narratief rond cyclisch pakketbeheer aanscherpen

Uit onze analyse komt 'cyclisch pakketbeheer' nu als meervoudig en breed beleidsconcept naar voren, vergelijkbaar met het meer recente concept 'passende zorg'. Net als met dit laatste concept lijkt de concrete toepasbaarheid van cyclisch pakketbeheer op het moment klein. Het schort aan implementatie van cyclisch pakketbeheer, in de zin van een coherente en geijkte praktijk. Deelnemers aan ons onderzoek weten veelal slechts met moeite concrete voorbeelden van cyclisch pakketbeheer op te noemen. Tegelijkertijd zien ook ZIN medewerkers dat cyclisch pakketbeheer vaak gezien wordt als "oplossing voor alles" (deelnemer dialoogbijeenkomst). Het valt daarom aan te bevelen om het beleids-narratief rond cyclisch pakket verder te ontwikkelen, juist om de praktijk hiervan te helpen. Mogelijk is onze analyse van de bestaande verhaallijnen rond cyclisch pakketbeheer (als rationele strategie, als vorm van zorgdragen door ZIN; als vorm van institutioneel werk binnen bestaande kaders, en als mythe die juist afleidt van de kern van de kern van de zaak) hierin behulpzaam. Wat is 'cyclisch pakketbeheer' in de praktijk (of zou het moeten zijn), en wat is het ook niet? ZIN is goed gesitueerd om juist in de gezamenlijke concretisering van beleidsrichtingen als cyclisch pakketbeheer een leidende rol te nemen in de duiding daarvan. ZIN zou samen met (internationale) stakeholders cyclisch pakketbeheer verder kunnen expliciteren en zo ook

andere actoren mede-eigenaar te maken van deze richting in beleid. Ook dit laatste zal helpen om cyclisch pakketbeheer van een ambigu beleidsbegrip verder in de praktijk te brengen (vgl. ook Steinmann et al., 2020).

3.2 ZIN kan de diversiteit in bronnen van legitimiteit meer omarmen

In onze analyse komt naar voren dat er in kwesties van cyclisch pakketbeheer meerdere bronnen van legitimiteit te benaderen zijn die de adviezen van ZIN zouden kunnen ondersteunen. De juridische benadering van de 'stand van wetenschap en praktijk' wordt vaak ingevuld met een strikte benadering gericht op state-of-the-art wetenschappelijk onderzoek en de belofte van waarachtig en objectief te beoordelen 'evidence'. Steeds vaker is dergelijk bewijs, zeker in de zin als komende van een RCT, niet beschikbaar, terwijl innovatieve technologie en behandelingen wel om advies en regulering vragen, ook als dat bewijs er (nog) niet is. RWD lijkt hier een oplossing, maar ook hier dient beseft te worden dat die 'real world' per definitie een open en context-rijk systeem is. Als de gesloten-systeem en laboratorium-logica van een experimentele setting blijft domineren in duiden wat legitieme bronnen zijn op basis waarvan een besluit genomen wordt, zal ook deze 'real-world' data niet helpen.

We zouden daarom willen adviseren dat ZIN een bredere opvatting van legitimiteit omarmt. Dit betekent een bredere opvatting van 'bewijs', maar vooral zou ZIN kunnen zoeken naar een manier om expliciet rekenschap geven aan meer 'getinkerde' vormen van goede zorg. Dat wil zeggen: zorg waarin in interactie tussen arts, patiënt en andere stakeholders duidelijk wordt wat het 'goede' is om te doen in een specifieke en concrete situatie. Wat het 'goede' om te doen is, staat niet bij voorbaat vast – samen dokteren naar het goede leven is een proces waarbij de bakens vaak verzet moeten worden (Mol et al., 2015). Belangrijk is dat dit meer ruimte geeft voor ZIN om ethische aspecten mee te nemen in de advies- en besluitvorming en zo dit ook te steunen op meer 'sociaal robuuste kennis' (Nowotny, 2003).

3.3 ZIN kan een meer proactieve rol aannemen in de interacties met veldpartijen en het ministerie betreffende pakketbeheer

Als 'proces-architect' wil ZIN vooral voorwaarden stellen voor goed verzekerde zorg en zo streven naar impact op de kwaliteit en kosteneffectiviteit van zorg zonder verantwoordelijkheden van het veld over te nemen. Dit is een precaire weg, omdat dit impliceert dat ZIN een neutrale en enigszins gedistantieerde rol kan aannemen in deze processen, en dat veldactoren die verantwoordelijkheid ook kunnen pakken. Beide aannames zijn, zo denken we, in de praktijk lastig waar te maken.

Ook ZIN, net als de andere actoren in het veld, ontsnapt niet aan normatieve complexiteit (Cribb et al., 2022; Wehrens et al., te verschijnen) en het innemen van standpunten. Impact maken is een actieve aangelegenheid, en het is dus zaak voor ZIN om expliciet te maken hoe ZIN dan deze impact actief vormgeeft. Los van het belang van het inzetten van de formele bevoegdheden die ZIN heeft om het veld zo nodig te sturen, is het mogelijk dat ZIN actoren in het veld ook helpt en ondersteunt om die eigen verantwoordelijkheid op te pakken. Concrete voorbeelden hierbij zijn het ondersteunen van data-verzameling door te streven naar lange-termijn financiering van bijvoorbeeld registries, in plaats van de meer gebruikelijke projectfinanciering. Het beter structureren van het data-landschap is van groot belang (Verheij, 2021), maar de 'data doen het niet' vanzelf (de Bont, 2018). Ook onderzoek en data-verzameling moet mee kunnen met de 'cyclus' en hiertoe financieel en praktisch ondersteund worden. Een ander voorbeeld zou zijn dat ZIN helpt het vele nu onzichtbare werk meer zichtbaar te maken, bijvoorbeeld door patiëntenorganisaties (nog) meer te faciliteren in het beleidsproces. Bijvoorbeeld door hen vroeg te betrekken bij nieuwe besluitvormingsprocessen, op het moment dat de probleemdefinitie nog geformuleerd worden moet (of vaker burgerfora inzet, zie ook: Bijlmakers et al. 2020). Of in de interactie met andere veldpartijen, zoals de dominante medische specialisten en expertisecentra. Een respondent

wijst ook op de mogelijkheid van een procesbegeleider. Deze voorbeelden wijzen in de richting van het creëren van concrete institutionele voorwaarden en oplossingen waarmee ZIN andere partijen helpt een bijdrage te leveren aan een meer cyclische benadering van pakketbeheer.

Een goede proces-architect hangt, op deze manier, niet alleen maar in het veilige midden uit maar neemt soms ook stelling, en zet een streep onder of door een proces heen. Een volgende aanbeveling zou zijn voor ZIN om deze houding wat meer als een reguliere mogelijkheid te beschouwen. Andere actoren faciliteren in het nemen van eigen verantwoordelijkheid betekent echter niet dat er geen grens aan die verantwoordelijkheid zit – een reden ook waarom ZIN in sommige gevallen doorzettingsmacht kent, maar ook in geval van de fabrikant van eculizumab die slechte stukken aanlevert. Er is dan enige lef nodig om de macht die ZIN heeft ook strategisch in te zetten. Dit kan ook relatief simpel, zoals in geval van eculizumab, waar het hielp om in een heel vroeg stadium partijen bij elkaar te brengen en de probleemdefinitie in dialoog, vroeg in een proces, op een inclusieve manier te kaderen. Het faciliteren van partijen en het geven van vertrouwen helpen, tegelijk, misschien ook om het (door ZIN zelf zo ervaren) angstbeeld van ZIN als de 'boeman' wat weg te nemen. Deze oproep om een meer proactieve en faciliterende rol moet natuurlijk wel beschouwd worden in de bredere institutionele context waarin ZIN zich begeeft. Mogelijk dient een dergelijke oproep tot daadkracht, zolang democratisch verankerd, ook de andere partijen met wie ZIN samenwerkt om een duurzaam pakket van goed verzekerde zorg te realiseren.

Literatuur

- Bijlmakers, L., Jansen, M., Boer, B., van Dijk, W., Groenewoud, S., Zwaap, J., ... & Baltussen, R. (2020). Increasing the legitimacy of tough choices in healthcare reimbursement: approach and results of a citizen forum in the Netherlands. *Value in Health*, 23(1), 32-38.
- De Bont, A. (2018). De data doen het niet. Oratie, dd., Erasmus Universiteit Rotterdam.
- De Bont, A., Zandwijken, G., Stolk, E., & Niessen, L. (2007). Prioritisation by physicians in the Netherlands—The growth hormone example in drug reimbursement decisions. *Health Policy*, 80(3), 369-377.
- Cribb, A., Entwistle, V., & Mitchell, P. (2022). Talking it better: conversations and normative complexity in healthcare improvement. *Medical humanities*, 48(1), 85-93.
- Kleinhout-Vliek, T., De Bont, A., Boysen, M., Perleth, M., Van Der Veen, R., Zwaap, J., & Boer, B. (2020). Around the tables—contextual factors in healthcare coverage decisions across Western Europe. *International journal of health policy and management*, 9(9), 390.
- Makady, A., de Boer, A., Hillege, H., Klungel, O., & Goettsch, W. (2017). What is real-world data? A review of definitions based on literature and stakeholder interviews. *Value in health*, 20(7), 858-865.
- Mills, M., & Kanavos, P. (2022). How do HTA agencies perceive conditional approval of medicines? Evidence from England, Scotland, France and Canada. *Health Policy*.
- Mol, A., Moser, I., & Pols, J. (Eds.). (2015). *Care in practice: On tinkering in clinics, homes and farms* (Vol. 8). transcript Verlag.
- Mortelmans, D. (2013). *Handboek kwalitatieve onderzoeksmethoden*. Leuven: Acco
- Mulder, J., in 't Veld, R., Uyterlinde, F., Kroos, M., & Beverdam, T. (2021). Evaluatie Zorginstituut Nederland. Eindrapport. <https://www.kwinkgroep.nl/2021/01/evaluatie-zorginstituut-nederland-openbaar/>
- Niezen, M., de Bont, A., Stolk, E., Eyck, A., Niessen, L., & Stoevelaar, H. (2007). Conditional reimbursement within the Dutch drug policy. *Health Policy*, 84(1), 39-50.
- Nowotny, H. (2003). Democratising expertise and socially robust knowledge. *Science and public policy*, 30(3), 151-156.
- van de Sande, J., de Graaff, B., Delnoij, D., & de Bont, A. (2022). Incorporating public values through multiple accountability: A case study on quality regulation of emergency care in the Netherlands by an independent regulatory agency. *Administration & Society*, 54(6), 1178-1206.
- Steinmann, G., Van De Bovenkamp, H., De Bont, A., & Delnoij, D. (2020). Redefining value: a discourse analysis on value-based health care. *BMC health services research*, 20(1), 1-13.
- Steffensen, M. B., Matzen, C. L., & Wadmann, S. (2022). Patient participation in priority setting: Co-existing participant roles. *Social Science & Medicine*, 294, 114713.
- Stolk, E. A., & Poley, M. J. (2005). Criteria for determining a basic health services package. *The European journal of health economics*, 6(1), 2-7.
- Verheij, R. (2021). Het data landschap als voedselbos voor een lerend zorgsysteem – Oratie, 17-9-2021, Tilburg University
- Wehrens, R., Oldenhof, L., Heerings, M., Petit-Steeghs, V., van Haperen, S., Bal, R. & Greenhalgh, T. (under review) Integrating system dynamics and action research - towards a consideration of normative complexity. *International Journal of Health Policy and Management*.

WRR 2021 Kiezen voor houdbare zorg – Mensen, middelen en maatschappelijk draagvlak, Den Haag:
WRR

Zorginstituut Nederland. 2019. Meerjaren onderzoeksprogramma Zorginstituut Nederland.

Zorginstituut Nederland. n.d.(a). Paramedische herstelzorg.

<https://www.zorginstituutnederland.nl/Verzekerde+zorg/paramedische-herstelzorg-na-covid-19#:~:text=Verwijzing%20voor%20paramedische%20herstelzorg&text=Voor%20paramedische%20herstelzorg%20geldt%20dat,behandelsessie%20binnen%201%20maand%20plaatsvinden>.

Zorginstituut Nederland. n.d. (b). Weesgeneesmiddelarrangementen.

<https://www.zorginstituutnederland.nl/over-ons/werkwijzen-en-procedures/adviseren-over-en-verduidelijken-van-het-basispakket-aan-zorg/beoordeling-van-geneesmiddelen/weesgeneesmiddelarrangementen>

> Retouradres Postbus 320, 1110 AH Diemen

Reactie van Zorginstituut Nederland

2023011288

Werken met onzekerheid: De rol van patiënt en zorgverlener in nieuwe datapraktijken voor verzekerde zorg

Het onderzoek 'Werken met onzekerheid: De rol van patiënt en zorgverlener in nieuwe datapraktijken voor verzekerde zorg' is met subsidie van Zorginstituut Nederland uitgevoerd binnen de Academische Werkplaats Verzekerde Zorg.

Binnen deze Academische Werkplaats vormt 'cyclisch pakketbeheer' een leidend thema. Die cyclische benadering is afgeleid van wat in de internationale literatuur bekend staat als 'life-cycle health technology assessment'. Hierbij volgt men de levenscyclus van met name geneesmiddelen, vanaf de ontwikkeling en markttoelating tot opname in het verzekerde pakket en klinisch gebruik. In essentie gaat het bij deze cyclische benadering om het besef dat pakketbeheer meer is dan een eenmalig advies over de vraag of een geneesmiddel of andere behandeling wel of niet tot het verzekerde pakket zou moeten worden toegelaten. Het gaat ook om de toepassing van die verzekerde zorg in de praktijk: dus om de vraag of de geleverde zorg voldoet aan de voorwaarden, om het maken van afspraken over die voorwaarden met partijen, om de vertaling van die afspraken naar het inkoopbeleid van zorgverzekeraars en om het volgen van de toepassing in de klinische praktijk aan de hand van zogeheten real world data.

Naarmate er bij het initiële pakketadvies meer onzekerheid is over de effectiviteit van een bepaalde behandeling, is het des te belangrijker om de toepassing ervan in de klinische praktijk te volgen. De data die in de praktijk worden verzameld kunnen meer licht werpen op de vraag bij welke patiënten de behandeling werkt en in welke volgorde, combinatie of dosering. Dergelijke aanvullende data dienen echter te worden verzameld in registraties van professionals en via vragenlijsten onder patiënten. Het in bijgaand rapport beschreven onderzoek richtte zich op wat er bij deze dataverzameling komt kijken en hoe de rol van patiënten en zorgverleners daarin uitpakt. Daarbij hebben de onderzoekers twee praktijkvoorbeelden onder de loep genomen: de voorwaardelijke vergoeding van eculizumab voor patiënten met aHUS en van paramedisch herstellzorg na COVID.

De onderzoekers constateren dat rond het concept cyclisch pakketbeheer verschillende beelden circuleren en zij bevelen aan om duidelijker te definiëren wat cyclisch pakketbeheer is en wat ook niet. We pakken dit op in de herziening van twee publicaties die onze werkwijze beschrijven, namelijk het rapport 'Pakketbeheer in de Praktijk' en het rapport waarin de toepassing van het begrip

Zorginstituut Nederland
Ontwikkeling, Wetenschap &
Internationale Zaken

Willem Dudokhof 1
1112 ZA Diemen
Postbus 320
1110 AH Diemen
www.zorginstituutnederland.nl
info@zinl.nl

T +31 (0)20 797 85 55

Contactpersoon
mw. prof. dr. D. Delnoij
T +31611786435

Onze referentie
2023011288

'Stand van wetenschap en praktijk' wordt beschreven. Beide publicaties zijn geactualiseerd en zullen binnenkort verschijnen. Ook wordt er in 2023 een wegwijzer uitgebracht voor de praktische uitvoering van cyclisch pakketbeheer, waaronder het gebruik van real world data bij beoordelingen en herbeoordelingen. Daarnaast adviseren de onderzoekers om patiëntenorganisaties in een vroeger stadium te betrekken bij het definiëren van beleidsproblemen en het formuleren van een passend antwoord daarop. Dit advies sluit aan bij de wens van het Zorginstituut om patiënt- en burgerperspectieven explicieter te onderzoeken als onderdeel van ons werk. Binnen de Academische Werkplaats Verzekerde Zorg verkennen wij graag verder op welke wijze we dit het beste vorm kunnen geven en wat daarin van toegevoegde waarde is.

Zorginstituut Nederland
Ontwikkeling, Wetenschap &
Internationale Zaken

Datum
14 maart 2023

Onze referentie
2023011288

Hoogachtend,



Dr. Sarah Kleijnen
Directeur
Directie Ontwikkeling, Wetenschap & Internationale Zaken

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

W www.eur.nl/eshpm