

Cruciale rol voor registers voor dure geneesmiddelen

Het afgelopen jaar heeft het Zorginstituut met partijen in het veld gewerkt aan manieren om te komen tot eenduidige registers voor dure geneesmiddelen. Deze registers moeten duidelijk maken of geneesmiddelen in de praktijk waarmaken wat ze beloven en hoe ze optimaal ingezet kunnen worden. Onlangs zijn vier casestudies gestart om te toetsen hoe dat gaat in de praktijk.

Tekst Jos Leijen

Lonneke Timmers is secretaris van de Wetenschappelijke Adviesraad van het Zorginstituut. Zij is nauw betrokken bij het traject Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen. “Op het moment dat een geneesmiddel geregistreerd wordt, zijn er nog veel vragen”, vertelt zij. “Zeker nu steeds vaker geneesmiddelen voor kleine patiëntengroepen versneld onder voorwaarden op de markt worden gebracht. Het is belangrijk om te leren van de resultaten in de praktijk.”

Registers zijn een hulpmiddel om te beoordelen welke effecten geneesmiddelen in de praktijk hebben. De registers kunnen antwoord geven op vragen zoals:

- Hoe goed doet een geneesmiddel het in de praktijk?
- Bij welke patiënten zijn de resultaten goed, bij welke minder?
- Wat zijn de beste momenten om te starten en te stoppen met een therapie?
- Wat is een doelmatige behandelstrategie?

Registraties moeten relevante informatie bieden aan verschillende belanghebbenden. Een register geeft behandelaren inzichten om de behandeling te optimaliseren. Ook geeft het zicht op praktijkvariatie. Voor behandelaren en patiënt kan het helpen om samen te beslissen over de te volgen therapie. Daarnaast helpen de gegevens om gepast

gebruik te bevorderen en daarmee de kosten te beheersen.

Het Zorginstituut voert op verzoek van het ministerie van VWS de regie om te komen tot eenduidige registratie. “Er zijn al allerlei registers”, zegt Timmers. “Maar het is een versnipperd landschap, opgezet met diverse doelen en ze leveren niet altijd de informatie op die we nodig hebben.” In samenspraak met betrokken partijen werkt het Zorginstituut daarom sinds oktober 2019 aan een werkwijze voor registers. Wat moet erin komen? Hoe verzamelen we de informatie? Welke eisen stelt dat aan ICT? Hoe borgen we de privacy van patiënten? En wie betaalt het? Dit jaar zijn vier casestudies gestart om in de praktijk te toetsen wat werkt en wat niet.

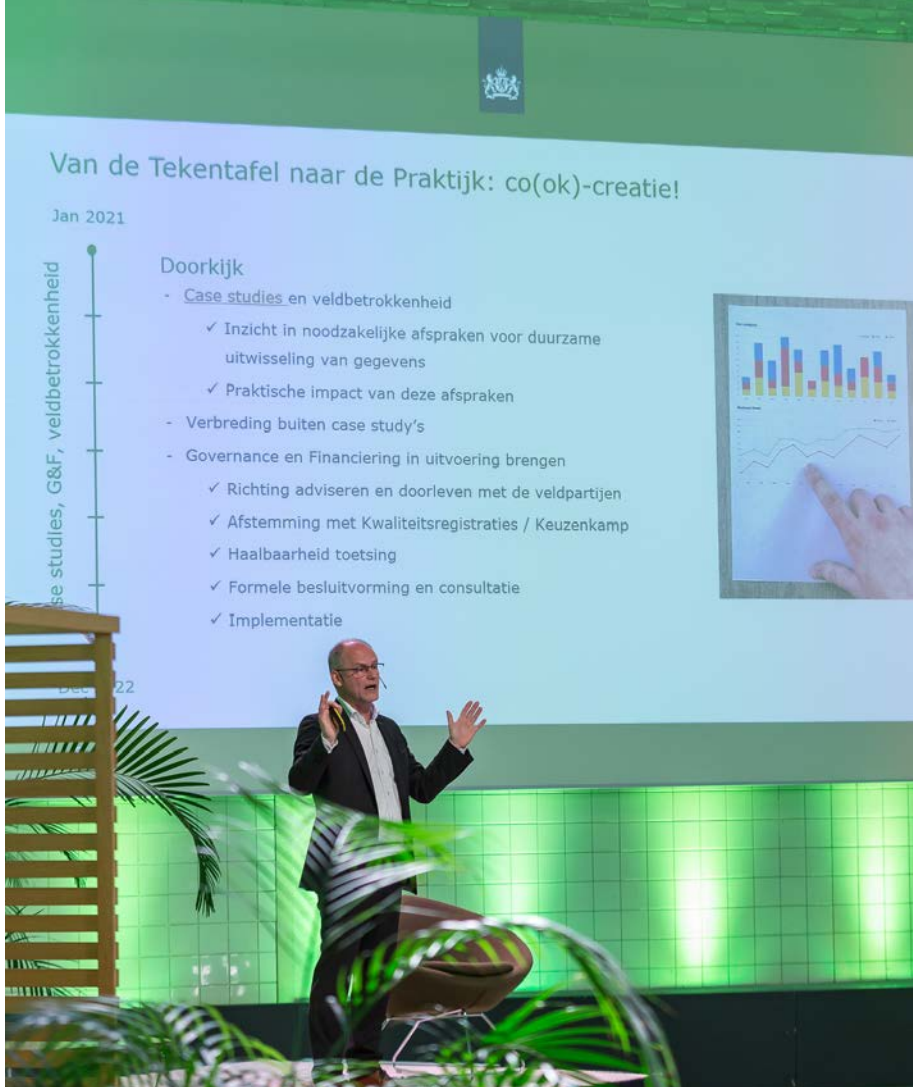
HemoNED – register voor hemofilie

HemoNED is een register dat de behandeling van de bloedstollingsstoornis hemofilie monitort. Het register is in 2017 opgezet door verenigingen van behandelaren, verpleegkundigen en patiënten. Het doel is de kwaliteit van de zorg verbeteren, bijvoorbeeld door bijwerkingen te registreren. Aan het register neemt 85 procent van de patiënten met de ernstige vorm van de ziekte deel en 70 procent van de patiënten met de milde vorm. Zij registreren met de app VastePrik het verloop van hun ziekte. Die informatie

wordt ook direct toegepast om hun eigen behandeling te verbeteren.

Deelname van HemoNED aan de casestudie dient verschillende doelen, vertelt Mariëtte Driessens, secretaris van Stichting HemoNED. Zij zit namens de Nederlandse Vereniging van Hemofilie Patiënten (NVHP) in het stichtingsbestuur. “We willen een professionaliseringslag maken. Onder meer door een koppeling te maken met de elektronische patiëntendossiers, zodat we completere gegevens hebben en de registratielast omlaag kan.” Ze wil ook door de patiënt ervaren uitkomsten van de behandeling opnemen in het register, de zogeheten *patient reported outcome measures* (PROMs). Hierbij gaat het onder meer om informatie over pijnklachten, deelname aan de samenleving en therapietrouw. “We sluiten aan bij internationale uitkomstsets. Een uitdaging is om deze gegevens te verzamelen zonder lange vragenlijsten, bijvoorbeeld door slimme software te gebruiken die onnodige vragen overslaat.”

Vanuit het Zorginstituut en het pakketbeheer is de registratie van het dure geneesmiddel emicizumab een aandachtspunt. Dit nieuwe geneesmiddel heeft enkele voordelen boven de huidige behandeling. Zo biedt het medicijn een stabielere bescherming en kan het onder de huid worden ingespoten in plaats van in de ader. Ook kan het al bij baby's worden toegepast. Maar het is mogelijk ook duurder in het gebruik dan de gangbare behandeling met stollingsfactor. “Ik hoop dat we over twee jaar, als de casestudie wordt afgerond, beter inzicht hebben in de behandeling en die behandeling beter kunnen toespitsen op individuele patiënten”, zegt Driessens. “Verder verwacht ik dat verschillende partijen die we nodig hebben voor de gegevens er dan goed bij betrokken zijn. En het zou mooi zijn



Op 19 maart 2021 organiseerde het Zorginstituut een landelijk online congres om met veldpartijen en andere belangstellenden de voortgang van het traject Regie op Registers te bespreken.

als we in de richting gaan van onafhankelijke financiering. Nu zijn we nog afhankelijk van de farmaceutische industrie.”

Multipel myeloom

Het register voor de aandoening multipel myeloom is een nieuw op te zetten register. Hematoloog en hoogleraar Pieter Sonneveld is een van de initiatiefnemers. Multipel myeloom is een kwaadaardige vermenigvuldiging van plasmacellen in het beenmerg. Het veroorzaakt onder meer bloedarmoede, verlies van weerstand, aantasting van het skelet en een verslechterde nierfunctie. Jaarlijks krijgen elf- tot dertienhonderd mensen deze vorm van kanker.

De afgelopen jaren heeft de behandeling van multipel myeloom een flinke ontwikkeling doorgemaakt, vertelt Sonneveld. In tien jaar zijn er elf nieuwe geneesmiddelen op de markt gekomen. Meestal worden die in combinatie gebruikt. “Hierdoor zijn er veel verschillende behandelingschema’s en is het lastig om het overzicht te houden. Daarnaast zijn de medicijnen duur. Een register moet helpen om inzicht te krijgen.”

Twee derde van de patiënten met multipel myeloom is ouder dan 65. Vaak hebben zij

ook andere klachten. Bij trials die de werking van geneesmiddelen onderzoeken blijft deze groep buiten beeld. Ook daarom zijn registers belangrijk. “Ze laten zien wat er echt gebeurt bij patiënten, bij welke patiënten de medicijnen welk effect hebben.”

Een werkgroep van de stichting Hemato-Oncologie voor Volwassenen Nederland (HOVON) heeft al een studie opgezet naar door patiënten gerapporteerde uitkomsten (PROMs). Die informatie moet de komende twee jaar uitgroeien tot een volwaardig register inclusief klinische uitkomsten. Daarbij kan onder meer gebruikgemaakt worden van gegevens uit Dutch Hospital Data (DHD) en de databank van het Integraal Kankercentrum Nederland (IKNL). “Het register moet handvatten bieden voor cyclisch pakketbeheer”, zegt Sonneveld. “Wat leveren behandelingschema’s op voor de patiënt? Welke behandelingen komen erbij? Wat kan eraf? Er komen steeds nieuwe geneesmiddelen bij. Dat is prachtig, want het betekent langere overleving en meer deelname aan het sociale leven. Maar het brengt ook de noodzaak om elk jaar te evalueren. Daarbij heeft het register een cruciale rol.” ●

VIER CASESTUDIES

Casestudie 1 (oncologisch)

Coördinerend ziekenhuis: UMC Utrecht
 Register: PLCRC/DCCG
 Aandoening: Colorectaal carcinoom (dikke darmkanker)
 Insteek: Vraag gericht op tweede-lijnsbehandeling (encorafenib + cetuximab). Verzamelen PROMs en data-uitwisseling via traditionele en Personal Health Train-methodiek.

Casestudie 2 (niet-oncologisch)

Coördinerend ziekenhuis: LUMC
 Register: HemoNED
 Aandoening: Hemofilie
 Insteek: Aanvullende data-verzameling op emicizumab gericht op automatische ontsluiting van EPD-data en andere bronnen en implementatie PROM.

Casestudie 3 (niet-oncologisch)

Coördinerend ziekenhuis: Amsterdam UMC
 Register: MLDi
 Aandoening: Metachromatische leukodystrofie (MLD)
 Insteek: Opzetten registratie voor zeer zeldzame ziekte in een internationale context.

Casestudie 4 (oncologisch)

Coördinerend ziekenhuis: Erasmus MC
 Register: nieuw op te zetten
 Aandoening: Multipel myeloom (ziekte van Kahler)
 Insteek: Opzetten van aandoeningregister multipel myeloom met data voor alle opvolgende behandelingslijnen, onder meer door koppeling van verschillende databronnen.