



Zorginstituut Nederland

## Consultatie visie Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen (ROR DGM)

Datum 08-03-2023  
Status Definitief

## Inhoudsopgave

Inleiding	4
1 Samenvatting consultatie	5
2 Vervolgfase ROR DGM	11

### **Bijlage 1: Overzicht reacties veldpartijen consultatie ROR DGM**

### **Bijlage 2: Consultatiedocument ROR DGM juli 2022**

## Inleiding

Het programma Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen (ROR DGM) heeft in de zomer van 2022 zijn visie op het zorginformatielandschap voor dure geneesmiddelen geconsulteerd bij relevante koepelpartijen. Naar aanleiding hiervan vatten we in dit document de aangescherpte visie samen.

### **Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen**

Er worden steeds meer innovatieve, dure geneesmiddelen toegelaten tot de markt. Vaak gebeurt dat met beperkte klinisch-relevante informatie over de daadwerkelijke (kosten)effectiviteit en veiligheid van deze geneesmiddelen. Het programma ROR DGM van het Zorginstituut richt zich op een informatielandschap waarin praktijkeffecten van dure geneesmiddelen te volgen zijn voor alle partijen met een gerechtvaardigde informatiebehoefte. Het Zorginstituut voert het programma uit in opdracht van het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS).

### **Consultatietraject**

In juni 2022 is de visie van ROR DGM op het zorginformatielandschap voor dure geneesmiddelen getoetst bij relevante koepelpartijen. Na een schriftelijke consultatie zijn in de daaropvolgende maanden verdiepende gesprekken gevoerd met de partijen. In deze gesprekken zijn het begrippenkader en eventuele zorgen en bezwaren besproken. Alle opmerkingen en adviezen zijn meegenomen in de aanscherping van onze visie over het zorginformatielandschap voor dure geneesmiddelen. We hebben de overtuiging dat de visie nu recht doet aan gedeelde inzichten en het gedeelde gevoel van urgentie.

Dit document bevat een aangepaste samenvatting met de definitieve visie en het oorspronkelijke consultatiedocument met de reacties en vragen van partijen en onze beantwoording. Met deze publicatie sluiten wij het consultatietraject af.

### **Vervolg programma**

Het programma ROR DGM heeft de casestudiefase op 31 december 2022 afgesloten. Het einddocument van die fase wordt in maart 2023 gepubliceerd en op de website van het Zorginstituut geplaatst. Het programma wordt vervolgd in de overbruggingsfase, waarin we zullen inzetten op aansluiting bij de governance van de Kwaliteitsregistraties. Daarnaast zal het harmonisatieproject over darmkanker worden vervolgd en zullen de registraties – behorend bij de casestudies van ROR DGM – waar mogelijk worden ondersteund richting een eindsituatie die past in de visie van ROR DGM.

# 1 Samenvatting consultatie

## **Maatschappelijke opgave**

De beschikbaarheid van goede informatie over het gebruik van zorg – en specifiek van geneesmiddelen – is een belangrijk thema. Het eenduidig registreren en kunnen uitwisselen van zorgdata is een grote uitdaging. Er is een enorme potentieel aan vragen en verbeterdoelen die – nu en in de toekomst – met gezondheidsdata te beantwoorden zijn. Maar daarvoor hebben we een goed functionerend zorginformatielandschap nodig, waarin de juiste data voor gelegitimeerde doelstellingen beschikbaar zijn.

Om de maatschappelijke doelen voor passende zorg te kunnen halen, is de beschikbaarheid van goede, betrouwbare en volledige zorgdata en de daaruit voortvloeiende informatie een cruciale factor. De data uit de zorgpraktijk (*real world data*, RWD) zijn essentieel om de patiënt beter te kunnen informeren en samen te kunnen beslissen. De data zijn ook onmisbaar voor het bewaken en verbeteren van de kwaliteit van zorg, het uitvoeren van pakketbeheer, voor wetenschappelijk onderzoek en voor beleidstaken. Diverse goede voorbeelden zijn al in praktijk gebracht, de noodzaak en potentie die voor ons liggen zijn nog veel groter.

## **Visie van ROR DGM**

ROR DGM heeft op basis van de consultatieronde, gesprekken met stakeholders en ervaringen met casestudies een visie geformuleerd voor het inrichten en gebruik van het zorginformatielandschap met het oog op gebruik van data over dure geneesmiddelen.

De visie bevat de volgende punten:

### **1. Informatie over dure geneesmiddelen is onderdeel van de behandelinformatie**

In de visie van ROR DGM is de inzet van (dure) geneesmiddelen onderdeel van het zorgtraject van de patiënt, net als de diagnose, een operatie of een andere behandeling. Informatie over geneesmiddelen moet dus niet in separate geneesmiddelregisters worden verzameld, maar een integraal onderdeel zijn van een gegevensset per aandoening. Naast informatie over het geneesmiddel en gebruik ervan worden ook andere gegevens verzameld. Namelijk over de behandeling van de patiënt, de PROMs, de klinische uitkomsten, de bijwerkingen en andere informatie, bijvoorbeeld over moleculaire diagnostiek. De gegevens worden bij voorkeur in het primaire zorgproces vastgelegd, bijvoorbeeld in het elektronisch patiëntendossier (EPD), zodat in het zorgproces geen aanvullende administratie nodig is. Dit betekent dat data die in het primaire proces worden vastgelegd ook bruikbaar moeten zijn voor secundair gebruik.

### **2. Informatie over dure geneesmiddelen is voor meerdere stakeholders belangrijk**

Informatie over dure geneesmiddelen is belangrijk voor meerdere stakeholders en dient verschillende doelen. ROR DGM onderscheidt hierbij patiënten, zorgverleners, onderzoekers, zorgverzekeraars, overheid en farmaceutische bedrijven als de voornaamste stakeholders. Al deze stakeholders hebben een legitiem belang bij goede en volledige informatie over dure geneesmiddelen.

Betere besluitvorming voor de individuele patiënt in de spreekkamer, nu en voor de toekomst, kan alleen plaatsvinden als deze zorgdata beschikbaar zijn.

Tegelijkertijd zijn deze gegevens essentieel voor het evalueren van de kwaliteit van zorg, alsmede voor het innoveren van zorg door middel van wetenschappelijk onderzoek met als uiteindelijk doel het verbeteren en realiseren van de best mogelijke, toegankelijke en betaalbare zorg.

De informatiebehoefte per stakeholder en de wettelijke grondslag moeten afhankelijk van de vraag expliciet worden gemaakt. Voor geneesmiddelen zien wij twee bijzondere gebruikers, namelijk de industrie (de farmaceutische bedrijven) en het Zorginstituut (als pakketbeheerder). Aan beide stakeholders heeft ROR DGM gevraagd een position paper te schrijven over het gebruik van RWD. Hiermee wil ROR DGM meer duidelijkheid geven over welke gegevens stakeholders vragen en hoe die data kunnen worden ingezet. Daarnaast heeft ROR DGM de taak om de belangen van alle stakeholders in het oog te houden, maar in het bijzonder ook de informatie die nodig is voor pakketbeheer en gepast gebruik.

### **3. Gezamenlijk toewerken naar eenduidige landelijke governance**

Na publicatie van het consultatiedocument is het beeld ontstaan dat ROR DGM een eigen landelijke governancestructuur wilde opzetten. Dat is een misverstand en dit hebben wij in alle gesprekken met koepels en partijen kunnen verhelderen.

ROR DGM streeft naar aansluiting op de governance Kwaliteitsregistraties om daarmee de toegankelijkheid en beschikbaarheid van goede zorginformatie over dure geneesmiddelen voor alle stakeholders mogelijk te maken. Vanuit ROR DGM is het evident dat de huidige opzet van de governance Kwaliteitsregistraties een goede basis is, maar dat deze in de huidige vorm nog te beperkt is om aan alle doelstellingen van ROR DGM te voldoen.

De afgelopen jaren heeft ROR DGM met casestudies en gesprekken met partijen belangrijke informatie opgehaald en kennis opgedaan. Het is belangrijk dat we deze opgedane kennis en ervaring gebruiken voor de aansluiting bij de governance van Kwaliteitsregistraties. We vragen dan ook aandacht voor de specifieke zaken die nodig zijn voor de registratie van dure geneesmiddelen. Daarom wil ROR DGM de aansluiting graag samen met partijen verkennen. Dit betekent dat we in deze fase dus rekening moeten houden met de bevindingen, visie en doelstellingen van ROR DGM en de Kwaliteitsregistraties.

#### **3.1 Aandoeningsgericht werken**

Voor de inhoud en besturing van registers is het belangrijk om te werken vanuit een aandoening of ziekte domein. Op aandoeningsniveau is namelijk de expertise aanwezig om aandoeningsspecifieke vraagstukken en informatie te doorgronden.

Conform het advies van de commissie Keuzenkamp stelt ook ROR DGM dat dataverzamelingen een aandoeningsgerichte opzet moeten krijgen, met bijbehorende besturing. Hierbij is een prominente en leidende rol weggelegd voor de betreffende wetenschappelijke vereniging, in nauwe samenwerking met de specifieke patiëntvertegenwoordiging. Zij nemen samen het voortouw om de aandoeningsspecifieke gegevensset samen te stellen en te optimaliseren, beheren en onderhouden. Daarbij houden zij rekening met de minimale informatie die nodig is voor de gelegitimeerde informatiebehoefte van alle stakeholders. Als partijen de gegevensset met elkaar afstemmen, verwachten wij ook een tegendruk op het ongebreideld laten groeien van die set. Zo wordt deze niet onnodig groot en blijft de administratielast van zorgprofessionals

beperkt tot gegevens die echt essentieel zijn.

Tijdens de consultatierondes is ook gesproken over de beperkingen van een aandoeningsgerichte opzet. Patiënten hebben soms meerdere aandoeningen en in dat geval veelal zijn meerdere zorgverleners bij de patiënt betrokken. In de toekomst moet het dan ook mogelijk worden om patiënten longitudinaal en over verschillende zorgverleners of zorginstellingen te volgen. Consensus over de benodigde gegevens per aandoening is een voorwaarde daarvoor.

### 3.2 Informatieloket

ROR DGM pleit voor een (digitaal) 'informatieloket' per aandoening of ziektedomein. Dit informatieloket is onderdeel van de governancestructuur en faciliteert de toegang tot de data, bewaakt de kwaliteit van de data en helpt om die op de juiste wijze te analyseren, interpreteren en gebruiken. Door dit te organiseren per aandoening of domein van aandoeningen kan de expertise die nodig is voor ziektespecifieke vragen worden gegarandeerd. Ook de governancestructuur is ingericht met partijen die de specifieke informatiebehoeften binnen die aandoening kennen.

## 4. Zorg voor gezamenlijke afstemming op de inhoud

Het is van belang dat er overeenstemming is over de minimale gegevensset die voldoet aan de informatiebehoefte van alle stakeholders. Ook moet duidelijk zijn door wie en voor welke doelen deze gegevens worden gebruikt. Inhoudelijk bestaat de gegevensset minimaal uit de volgende elementen: basisgegevens van patiënt, aandoening, geneesmiddel, diagnostiek en uitkomsten.

### 4.1 Generieke gegevensset

Een goed functionerende aandoeningsregistratie bevat betrouwbare gegevens over de behandeling van de patiënt, inclusief gegevens over het gebruik van dure geneesmiddelen, het eventueel niet behandelen en de gezondheidseffecten daarvan. In het programma ROR DGM is een generieke gegevensset opgesteld die inzichtelijk maakt welk soort gegevens nodig zijn voor het monitoren van het verloop van een ziekte in de dagelijkse praktijk en van het gebruik van dure geneesmiddelen voor die ziekte. Per aandoening kan deze gegevensset met aandoenings specifieke kenmerken worden aangevuld.

Geneesmiddelen en bijbehorende diagnostiek zijn onderdeel van de behandeling in het zorgpad van een patiënt en hebben een relatie met verschillende categorieën van uitkomsten. In een gegevensset onderscheiden we de volgende elementen:

- relevante patiëntkenmerken;
- ziektekenmerken, inclusief diagnostische en prognostische kenmerken;
- interventies en behandelingen, inclusief dosering, toedieningsroute en locatie van toediening (thuis of in zorginstelling);
- uitkomstmaten:
  - klinische uitkomsten;
  - patiëntgerapporteerde uitkomsten (PROMs);
  - kwaliteit-van-leven-meting (EQ-5D) voor berekenen van kosteneffectiviteit;
  - bijwerkingen, met name nieuwe bijwerkingen, ernstige bijwerkingen en bijwerkingen waarvoor aanpassing van het beleid nodig is;
  - zorgconsumptie, zoals het aantal ligdagen, poliklinische consulten of bezoeken aan de spoedeisende hulp (SEH);
  - procesuitkomsten.

Het gaat nadrukkelijk om zorggegevens van alle medisch-specialistische zorg en op termijn ook om de gegevens uit persoonlijke gezondheidsomgevingen (PGO's), de eerste lijn of andere zorginstellingen. Deze gegevens zijn al deels opgenomen in de Basisgegevensset Zorg.

#### 4.2 Aandoeningsspecifieke gegevensset

Naast de items in de generieke gegevensset zijn ook ziektespecifieke gegevens essentieel, zoals de ziektespecifieke klinische uitkomsten. Zo is bij darmkanker progressievrije overleving een belangrijke uitkomstmaat en is bij hemofilie het aantal bloedingen per jaar relevant. Samen met de Expertisegroep heeft het programma ROR DGM de D4-procedure ontwikkeld om de definitieve gegevensset per aandoening vast te stellen. Het is een vereiste dat alle stakeholders bij deze procedure betrokken zijn. De D4-procedure biedt registers een handreiking voor het bepalen van een aandoeningsspecifieke gegevensset. Vooral nog is de D4-procedure bedoeld voor nationale registers.

Daarnaast kunnen op basis van het geneesmiddel of de specifieke onderzoeksvraag, eventueel tijdelijk, aanvullende data worden verzameld.

#### 4.3 Aandacht voor datakwaliteit

De kwaliteit van de data is van groot belang bij de uitwisseling en het hergebruik van gegevens. Om die reden hebben wij de REQueST Tool gebruikt om de kwaliteit van de data in de casestudies te evalueren.

De REQueST Tool, of voluit *The Registry Evaluation and Quality Standards Tool*, is ontwikkeld door EUnetHTA. Dit is een Europees netwerk van HTA-organisaties, waarvan Zorginstituut Nederland deel uitmaakt. De tool is getest in de HTA-omgeving en vele internationale stakeholders, waaronder EMA, hebben er in de openbare consultatie commentaar op gegeven. De tool kan worden ingezet om de kwaliteit van registraties te toetsen. Het doel van de tool is tweeledig:

1. het ondersteunt consistente evaluatie van de toepasbaarheid en betrouwbaarheid van registraties voor HTA-organisaties;
2. het biedt houders van patiëntenregistraties inzicht op welke punten zij de kwaliteit van hun registraties verder kunnen ontwikkelen en verbeteren.

De REQueST Tool is getest in de casestudies. De registratiehouders gaven aan dat de tool en een evaluatie hiervan met een HTA-organisatie, duidelijk maken op welke punten zij de kwaliteit en transparantie van hun registratie nog verder kunnen verbeteren. Dit laat zien dat de REQueST Tool waardevol kan zijn om de kwaliteitsstatus van registraties in beeld te brengen. Hiermee kunnen HTA-organisaties afwegen of data verzameld door registraties geschikt zijn voor pakketbeheer en passende zorg. Ook krijgen registratiehouders inzicht in welke items nog ontwikkeling nodig hebben. Om de bruikbaarheid van REQueST verder te ontwikkelen, zal deze ook internationaal worden getest.

### 5. Neem centrale regie op het onderdeel data/IT

ROR DGM stelt dat het zorgproces voor de patiënt het uitgangspunt moet zijn voor registratie van zorgdata. Gestructureerd vastleggen van gegevens, met een uitgebalanceerd gebruik van vaste en vrije tekstvelden, geeft winst voor de kwaliteit van de data en vermindert de registratielast voor zorgverleners. De EPD's moeten hierin ondersteunend en faciliterend zijn. Als data op basis van standaarden en volgens de FAIR-dataprincipes worden vastgelegd, zijn ze beter geschikt voor meervoudig gebruik. Zorginformatiebouwstenen of andere standaarden geven uniformering van betekenis aan data.

Omdat zorgdata meestal niet in één zorginformatiesysteem worden verzameld, is het nodig om gegevens uit verschillende bronnen op patiëntniveau met elkaar te kunnen koppelen. Om die koppeling te bewerkstelligen, is een koppelsleutel (*ïdentifier*) nodig, bijvoorbeeld het burgerservicenummer (BSN). Ook is een grondslag nodig om het betreffende gegeven te mogen verwerken. Het koppelen van informatiebronnen is een voorwaarde om te kunnen monitoren in het huidige informatielandschap. In het primaire zorgproces mag het BSN worden verwerkt, maar dat geldt bijvoorbeeld niet voor registers. Dit belemmert momenteel dus de opbouw van diverse registers en het verkrijgen van gekoppelde data die nodig zijn voor het beantwoorden van één van de gelegitimeerde vragen over dure geneesmiddelen.

Er is een breed gedeelde behoefte dat VWS de centrale regie neemt op de infrastructuurlagen van het zorginformatielandschap. Daarbij moeten concrete keuzes worden gemaakt over:

- het verplicht en gestandaardiseerd vastleggen van gegevens in alle lagen van het primaire zorgproces;
- de eenheid van taal en betekenis die nodig is om de data meervoudig te kunnen gebruiken;
- het wettelijk gebruik van het BSN of een andere identifier;
- het interoperabel maken van databronnen;
- het inzichtelijk maken van deze data.

Centrale regie op de gestandaardiseerde inrichting van EPD's in ziekenhuizen (en bij andere zorgaanbieders) is hierbij van fundamenteel belang.

## 6. Weesgeneesmiddelen vereisen internationale aanpak

In het consultatiedocument hebben wij bijzondere aandacht gevraagd voor de aanpak van registers van zeldzame aandoeningen en ultraweesgeneesmiddelen. De aanpak daarvoor verschilt met die voor reguliere geneesmiddelen:

- het aantal patiënten is geringer;
- het aantal behandelende ziekenhuizen is beperkter (vaak één of enkele academische ziekenhuizen);
- het aantal behandelingen of geneesmiddelen is in het algemeen kleiner;
- de budgetten voor onderzoek zijn in het algemeen kleiner;
- het is lastiger om de privacy van de patiënten te waarborgen.

Op het gebied van (ultra)weesgeneesmiddelen is vaak sprake van Europese samenwerking, met Europese referentienetwerken (ERN's) en de bijbehorende expertisecentra. Vanuit deze ERN's kunnen registers voor zeldzame ziekten worden georganiseerd.

Binnen ROR DGM is ervaring opgedaan met de registratie voor het ziektebeeld metachromatische leukodystrofie (MLD). Dit register (MLDi) onderzoekt de uitwisselbaarheid van de data (conform de FAIR-principes) met gebruik van methodische standaarden voor ontologie en data-uitwisseling.

ROR DGM heeft de volgende leerervaringen voor zeldzame ziekten opgedaan:

- Internationale dataverzameling is vaak noodzakelijk om voldoende data te verkrijgen.
- Stel de gegevensset vast in een internationale samenwerking. Streef voor registers naar gebruik van een eenduidige methodiek voor ontologie en standaarden.
- Maatwerk is nodig, omdat registers voor weesziekten niet kunnen voldoen aan de criteria voor Kwaliteitsregistraties.



- De registers hebben – net als alle registraties – structurele, publieke financiering nodig. De internationale context maakt dit extra ingewikkeld.
- Onderzoek naar aansluiting op Europese initiatieven: ERN's, Darwin en H2O.

## 2 Vervolgfase ROR DGM

Het programma wordt vervolgd in een overbruggingsfase, waarin we verder inzetten op aansluiting bij de governance van de Kwaliteitsregistraties. Daarnaast zal het harmonisatieproject voor darmkanker worden vervolgd en zullen de registers – behorend bij de casestudies van ROR DGM – waar mogelijk door ons ondersteund worden richting een eindsituatie die past in de visie van ROR DGM.

### **Oproep van Expertisegroep om samenhang en centrale regie**

Op 27 december 2021 is namens de Expertisegroep van ROR DGM een appel aan het ministerie van VWS gestuurd. Hierin is een belangrijk signaal afgegeven over de noodzaak van centrale regie op bestaande programma's in het zorginformatielandschap om de huidige fragmentatie op te heffen. Volgens de leden van de Expertisegroep moet het zorginformatielandschap nu en in de toekomst worden gezien als basisbehoefte voor goede en passende zorg en moet er als zodanig in worden geïnvesteerd.

Om optimale en uniforme registratie, beheer en uitwisseling van zorgdata te realiseren, pleit de Expertisegroep voor een zorgbrede, landelijke aanpak met de volgende essentiële onderdelen: een centrale coördinatie en aansturing van alle belanghebbende partijen (koepels en ervaringsdeskundigen uit het veld), waarin overkoepelend de juridische, technische en inhoudelijke kaders en basisinfrastructuur voor meervoudig gebruik van zorgdata worden geregeld. Dit sluit volledig aan bij de visie van ROR DGM en bij het sentiment onder partijen.

### **Formuleren van stip op de horizon**

In de gesprekken met partijen hebben wij gemerkt dat er grote behoefte is aan een eenduidig toekomstbeeld over de inrichting en toepassing van het zorginformatielandschap. Een stip op de horizon die richting geeft aan de vervolgstappen. Partijen hebben ook behoefte aan regie op de activiteiten en doelstellingen van alle verschillende programma's, projecten en initiatieven, zodat deze meer in samenhang worden uitgevoerd, zowel op korte als op lange termijn.

Het publieke belang van goede en beschikbare zorgdata moet centraal staan en het toekomstige zorginformatielandschap moet ook een essentiële, publieke datavoorziening worden. Tijdens de gespreksrondes is begonnen met het schetsen van het 'ideale einddoel'. In de ideale situatie – die wij omschrijven als de *Dutch Health Data Space* (DHDS) – is de benodigde informatie vanuit de primaire zorgsystemen toegankelijk voor stakeholders met een legitiem recht en kan met deze informatie de patiënt van vandaag en morgen worden bediend.

### **Samenhang van projecten op het gebied van zorgdata**

In het consultatiedocument heeft ROR DGM al diverse programma's aangemerkt waarmee raakvlakken zijn, waaronder Kwaliteitsregistraties, Uitkomstgerichte Zorg (UZ), Health-RI, Wegiz, Zorgevaluatie en Gepast Gebruik (ZE&GG) en H2O. Hoewel alle programma's verschillende vragen moeten beantwoorden, lopen zij tegen vrijwel dezelfde barrières aan bij het uitwisselen en gebruik van gezondheidsdata.

Voor wat betreft opzet en doelstellingen kijken de verschillende programma's van

elkaar af, waardoor de individuele programma's slechts een gedeelte van het totale zorginformatielandschap afdekken. Daarnaast is er soms overlap tussen verschillende opdrachten, gegeven door verschillende opdrachtgevers. Het standpunt van ROR DGM is dat we de ideale eindsituatie alleen kunnen behalen door te handelen vanuit samenhang en regie. Het doel moet zijn om alle lopende trajecten op hetzelfde spoor te krijgen op weg naar de ideale eindsituatie. Alleen op die manier is uniformiteit op het gebied van inhoudelijke, technische, bestuurlijke en juridische kaders van het zorgdatalandschap bereikbaar. Dat vraagt echter wel om een nationale visie en regie op alle lagen van het interoperabiliteitsmodel.

### **Harmonisatieproject CRC**

Recentelijk zijn ROR DGM en het programma Uitkomstgerichte Zorg (UZ) het 'Harmonisatieproject CRC' gestart. In dit project wordt ervaring opgedaan om verschillende programma's en projecten op het gebied van colorectaal carcinoom (CRC) te harmoniseren. Het initiatief voor dit project is genomen om parallelle en dubbele activiteiten op CRC te voorkomen. Samen streven we naar afstemming op het gebied van een landelijke dataset voor CRC. Deze set moet minimaal invulling geven aan de doelstellingen van de programma's UZ, werkgroep Darmkanker en ROR DGM casestudie darmkanker. Onderdeel van het harmonisatieproject is een advies over de inrichting van de aandoeningsgovernance in samenhang met de governance Kwaliteitsregistraties, en een advies over de technische implementatie.

Het Harmonisatieproject CRC kan als voorbeeld dienen om de samenhang tussen programma's en projecten te verbeteren. Daarnaast positioneert het partijen om verantwoordelijkheid te nemen en de beweging naar het toekomstig zorginformatielandschap in te zetten.

### **Begeleidingsactiviteiten registers en casestudies**

Voor de overbruggingsfase heeft ROR DGM de intentie om het programma aan te sluiten bij de governance van Kwaliteitsregistraties, met behoud van de doelstellingen zoals door ROR DGM gedefinieerd en specifieke voorwaarden voor dure geneesmiddelen. Daarnaast zal ROR DGM de casestudies (en de bijbehorende registers) verder gaan ondersteunen in hun ontwikkeling.

Sinds het begin van het programma ROR DGM zijn belangrijke inzichten verworven en stappen gezet in het registerlandschap. De casestudies hebben diverse knelpunten en aandachtspunten aan het licht gebracht waar aan we de komende periode verder werken. ROR DGM gebruikt hierbij een *Maturity Model* voor registers, met daarin voor verschillende elementen (categorieën) een uitwerking van de kenmerken per niveau. Dit Maturity Model zou in potentie kunnen dienen als route en stappenplan naar het gewenste zorginformatielandschap. Verdere uitwerking en afstemming met casestudiepartijen en stakeholders is nodig om de waarde en potentie in de praktijk te kunnen toetsen.

# Bijlage 1: Overzicht reacties partijen

## Commentaar veldpartijen op consultatiedocument ROR DGM *Reacties Zorginstituut Nederland*

IGC/DGC	<p>Reactie IGC/DGC</p> <p>Ondanks dat wij niet betrokken zijn bij de casestudiefase, vinden wij het toch essentieel te reageren vanwege onze opdracht, het mandaat dat het veld ons daarvoor heeft gegeven, en de mogelijke samenhang ervan met uw werk. Allereerst steunen wij uw visie op een landelijke governance op het vastleggen en (her)gebruiken van data. Ook zien wij de voordelen van aansluiting van registraties voor dure geneesmiddelen bij huidige (landelijke) kwaliteitsregistraties. Desalniettemin steunen we uw plan om een nieuwe landelijke governancestructuur te ontwikkelen via ROR niet, omdat zo'n governancestructuur al in ontwikkeling is.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR DGM is zich ervan bewust dat de IGC/DGC reeds een governance-structuur aan het ontwikkelen is. Het is geenszins onze intentie om naast elkaar te werken en een separate governance op te zetten. De visie van ROR DGM is juist om aan te sluiten bij de governance van de Kwaliteitsregistraties. Wij gaan dan ook graag met u in gesprek over de gezamenlijke aanpak.</p>
	<p>Reactie IGC/DGC</p> <p>In opdracht van de HLA-partijen en in voorbereiding op de wijziging van de WKKGZ, richten wij – de IGC en DGC – een efficiënt werkende landelijke governance in voor kwaliteitsregistraties. Wij pleiten er nadrukkelijk voor om met de registraties voor dure geneesmiddelen bij deze governancestructuur aan te sluiten (in navolging van de kamerbrief 'Regie op Registers' van 17 december 2021).</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Zie bovenstaande reactie</p>
	<p>Reactie IGC/DGC</p> <p>Deze aansluiting is niet alleen een logisch gevolg van de door u gezochte harmonisatie tussen informatie over het gebruik van geneesmiddelen en kwaliteitsregistraties, het zorgt ook voor eenduidige afspraken over het verzamelen en verwerken van zorgdata. Het biedt ons de kans om initiatieven bij elkaar te brengen en ideeën te stroomlijnen, en helpt verdere versnippering van het veld te voorkomen. Wij verzoeken u daarom deze 'match' niet af te wachten (zie actiepoint 8.1), maar actief op te zoeken en te creëren. Wij als IGC en DGC staan open voor een gesprek.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR DGM is blij met deze handreiking en gaat graag het gesprek aan voor samenwerking. Wij zien het als een kans, nu de criteria van ICG en DCG steeds helderder worden, om op korte termijn concrete stappen te zetten voor samenwerking.</p>
HollandBio	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Een kritische kanttekening is ons inziens wel op zijn plaats bij de aanleiding van het project ROR DGM zoals beschreven in het consultatiedocument. Het is niet juist om te stellen dat op moment van markttoelating veiligheid en effectiviteit nog niet voldoende zijn aangetoond. Mocht dit het geval zijn, dan krijgt de vergunningshouder geen toestemming het geneesmiddel op de markt te brengen. Wel kan het zo zijn dat op moment van markttoelating nog niet is vastgesteld of een behandeling beter is dan wat op dat moment de gouden standaard is. Registratie kijkt naar "is niet slechter dan", en HTA kijkt naar "is beter dan".</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p>

	<p>Dank voor deze reactie. De tekst in het consultatiedocument leest bij nader inzien anders dan wij hebben bedoeld. Wij zijn het met u eens; bij markttoelating door de EMA wordt de balans effectiviteit-veiligheid beoordeeld en bij positieve beoordeling is deze inderdaad voldoende aangetoond. De waarde van het middel, de plek t.o.v. de dan gebruikelijke behandeling is nog niet bekend, dat beoordelen we in onze HTA-beoordeling. Daar kijken we overigens niet alleen naar 'beter dan'.</p>
	<p>Reactie HollandBio  Maar moet de (meer-)waarde van een nieuwe behandeling altijd vóór toegang worden vastgesteld, of kan dat ook een continu proces zijn? Wij zien dat de route van lab naar praktijk steeds lastiger wordt.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i>  Dit project richt zich met name op de mogelijkheid om praktijkdata van geneesmiddelen te verkrijgen die bruikbaar zijn voor onder andere pakketbeheer en gepast gebruik. Over de invloed die dat heeft op de toelating van geneesmiddelen verwijzen wij graag naar (de website van) het Zorginstituut. In nabije toekomst worden nieuwe documenten over dit onderwerp vanuit het Zorginstituut gepubliceerd, o.a. met update van "Stand wetenschap en praktijk" en "Pakketbeheer in de praktijk".</p>
	<p>Reactie HollandBio  HollandBIO ziet graag een duurzame realisatie van de visie en de plannen zoals geschetst in het consultatiedocument. Maar een actieplan is nog niet hetzelfde als een implementatieplan. Hoe gaan jullie van plannen naar uitvoer?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i>  Wij zijn in afstemming VWS welke plannen we gaan uitvoeren in de overbruggingsfase. Hierin heeft het samengaan met de governance Kwaliteitsregistraties de hoogste prioriteit. In deze nieuwe fase zullen de casestudies richting geven welk traject toekomstige aandoeningsregisters moeten doorlopen; Het recent gestarte Harmonisatieproject gaat hierbij naar verwachting ook wat meer concreetheid opleveren. Wij verwachten t.z.t. een soort blauwdruk maken hoe dit in de toekomst met andere aandoeningsregisters kan. Dit zal input geven aan het implementatieplan.</p>
	<p>Reactie HollandBio  Het is essentieel om de industrie niet enkel te betrekken in de hoog-over landelijke governance of de Tijdelijke Commissie Regie op Registers, maar juist ook om haar mee te laten denken rond de dataverzameling bij specifieke aandoeningen. Dus: waar en hoe kunnen fabrikanten zich straks melden met verzoeken om specifieke data aan te vragen dan wel om die te gaan verzamelen?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i>  In de visie van ROR DGM kunnen fabrikanten met een legitieme informatiebehoefte zich melden bij een (digitaal) dataloket (of informatieloket). Dit loket zal vervolgens de legitimiteit van de vraag beoordelen en welke data nodig is om deze specifieke vraag te kunnen beantwoorden. Voor deze beoordeling is een governance en grondslag nodig.</p>
	<p>Reactie HollandBIO  Pagina 7: "De grondslagen hiervoor worden door elke stakeholder aangegeven." Is het door of voor? En wie bepaalt welke stakeholder welke grondslag heeft? Wie beoordeelt of informatiebehoefte legitiem is? En in hoeverre wordt dit straks geregeld door/binnen de EHDS en/of via Health-RI.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i>  Iedere persoon of organisatie kan een vraag neerleggen bij het 'dataloket'. Het 'dataloket' bepaalt vervolgens of de data-vrager een legitiem belang/recht heeft op deze data/informatie. De basis hiervoor is een wettelijke grondslag; die moet wellicht nog verduidelijkt of gecreëerd worden. ROR</p>

	DGM ziet daarbij de industrie ook als een belanghebbende partij.
	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 8: "ROR DGM stelt voor om de governance te laten bestaan uit wetenschappelijke verenigingen, patiëntenorganisaties, zorgverzekeraars en, optioneel, de overheid." Waarom hebben zorgverzekeraars/ZIN wel een rol in governance? Zijn zij niet ook afnemer van data uit de aandoeningsregisters? Hoe voorkom je belangenverstremming? Of waarom heeft de industrie geen rol in de governance? In iets algemenere zin: wat wordt een ieders rol in de governance van aandoeningsregistraties? En in hoeverre hoe hangen de landelijke governance en governance op aandoeningsregistratieniveau samen?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Zie antwoorden hierboven. Een aantal van uw vragen kunnen we momenteel niet beantwoorden maar moet in overleg met stakeholders en projecten gezamenlijk ontwikkeld worden.</p>
	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 8: "In de verdere ontwikkeling van het EPD moet de focus dan ook liggen op het eenmalig gestandaardiseerd vastleggen van gegevens voor meervoudig gebruik." Er zijn toch heel veel soorten EPD's? Bedoelen jullie hier dan dat elke zorginstelling gegevens op een gestandaardiseerde manier dient vast te leggen?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Wij spreken in ons consultatiedocument van het alle EPD's. Het vastleggen van gegevens zou vanuit onze visie moeten conform Registratie aan de Bron. Dit houdt in standaardisatie via ZIB's en daarna, wellicht via een verplichting vanuit VWS, de actie om de ZIBs in te bouwen in alle EPD's.</p>
	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 9: "De (ultra)weesgeneesmiddelen worden gezien als specifieke categorie geneesmiddelen, waarvoor een andere benadering nodig is. Vanwege de kleine patiënten aantallen is het wenselijk registers in internationaal verband op te zetten." Eens dat registratie van weesgeneesmiddelen in internationaal verband beschouwd moet worden, maar zou dat niet het streven moeten zijn voor alle aandoeningsregistraties?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR DGM is hiermee eens. De stip op de horizon voor alle registers is de aansluiting op de EHDS en andere internationale initiatieven.</p>
	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 9: "ROR DGM is betrokken bij de internationale ontwikkelingen zoals Darwin en de European Health Data Space." Hoe ziet RORDG haar rol in Darwin en EHDS?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Op dit moment is dat nog niet concreet. Wij verwachten middels de verdere ontwikkelingen met case studie 3 MLD meer duidelijkheid te krijgen over de mogelijkheden op aan te sluiten bij de Europese initiatieven zoals Darwin en EHDS.</p>
	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 9: Aanbeveling tot harmonisering onderschrijven we volledig. Hoe zorgt RORDGM ervoor dat ze alle initiatieven in beeld hebben en dat er geen dubbel werk wordt gedaan?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Het Harmonisatieproject CRC is juist opgestart om parallellen en dubbele activiteiten te voorkomen. Dit doen we door met de belangrijkste kernpartijen samen te werken en het doel is om een gezamenlijke dataset op te leveren opgeleverd waarmee de vragen van alle stakeholders beantwoord kunnen worden.</p>

	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 10: "Dit document benoemt de concrete acties die nodig zijn voor het verbeteren van de inhoud en organisatie van het zorginformatielandschap." Worden er ook tijdslijnen gekoppeld aan de concrete acties?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Wij kunnen helaas geen hele concrete tijdslijnen geven. Dit is afhankelijk hoe snel de ontwikkelen gaan wat betreft de aansluiting met Kwaliteitsregistraties.</p>
	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 14: " De opdracht van ROR DGM om regie te nemen op het informatielandschap rondom dure geneesmiddelen kan alleen worden uitgevoerd in samenhang en samenwerking met de aanpalende projecten, betrokken stakeholders en VWS. We zien ook een rol weggelegd voor Health-RI middels het obstakel verwijder traject." Ziet Health-RI dat ook zo en hoe werken Health-RI en ROR DGM samen?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>In het harmonisatieproject rondom darmkanker (oorspronkelijk casestudie 1) werken wij al goed samen met Health-RI. In Casestudie 3 van ROR DGM, MLDi, is Health-RI ook betrokken bij het conceptueel modelleren. Daarna is er een vanuit ROR DGM een actieve deelname in de ronde tafelsessies Health-RI.</p>
	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 16: "Snellere beschikbaarheid van dure geneesmiddelen voor patiënten, doordat de post-marketing surveillance sneller en efficiënter kan worden opgezet." Wat gaat de impact zijn op de toegankelijkheid van geneesmiddelen wanneer het lastig is om een aandoeningsregistratie op te zetten? En wanneer is het een eis en wanneer nice to have?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>De voorwaarde dat het gebruik van geneesmiddelen in de praktijk goed gevolgd moet worden, met de toepassing van gepast gebruik, is in veel gevallen een eis van het Zorginstituut voor de toelating van dure geneesmiddelen tot het verzekerde pakket. De beschikbaarheid van goede aandoeningsregisters gaat ons inziens helpen bij het gepast gebruik, samen beslissen, zorgevaluatie en de juiste inzet van middelen. Kortom, bij Passende Zorg.</p>
	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 17: "Er moet een meer gezamenlijke, landelijke governance komen op het vastleggen en het (her)gebruik van zorgdata. Daarin moeten alle stakeholders vertegenwoordigd zijn." Dit is dus niet de governance op aandoeningsniveau?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>In principe is de landelijke governance geregeld vanuit de Kwaliteitsregistraties. Echter, deze Kwaliteitsregistraties zijn momenteel nog beperkt in haar doelstellingen. De door ons aanbevolen aandoeningssturing (governance) is op een onderliggend niveau; hierin zijn met name de specifieke wetenschappelijke verenigingen en de specifieke patiënten verenigingen betrokken.</p>
	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 17: "Er moet duurzame financiering komen voor aandoeningsregistraties. Voordat een structurele oplossing is gevonden, is tijdelijke financiering vereist." Hoe gaat dit verder invulling krijgen – zowel op korte als op lange termijn? Welke rol ziet het programma voor financiering vanuit het bedrijfsleven?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p>

	<p>De visie van ROR DGM is dat het zorgdata landschap gefinancierd wordt uit publieke middelen. Het streven naar aansluiting bij Kwaliteitsregistraties biedt de mogelijkheid tot structurele financiering.</p> <p>Bij incidentele vragen voor commercieel belang, zou een aanvullende financiële bijdrage gevraagd kunnen worden.</p>
	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 17: "Alle stakeholders kunnen bruikbare data en analyses aanvragen bij het dataloket, op basis van hun wettelijke grondslag en bijbehorende legitieme informatiebehoefte." Wie beoordeelt of informatiebehoefte legitiem is?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>De grondslagen moeten nog nader worden uitgewerkt, in samenhang met andere projecten. Duidelijk is wel dat niet iedere stakeholder dezelfde rechten of plichten heeft.</p>
	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 17: "De regie hiervoor ligt bij VWS, maar vanuit de programma's kan ook samenhang georganiseerd worden." Hoe gaat VWS regierol pakken?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Deze vraag is uiteraard voor VWS zelf. Vanuit ROR DGM is er in ieder geval een goed overleg met verschillende delen van VWS.</p>
	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 17: "aanvullende wetgeving helpen te voorzien in de informatiebehoefte van de stakeholders". In hoeverre wordt dit geregeld door EHDS?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Dit wordt vooralsnog niet geregeld vanuit EHDS.</p>
	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 17: "Een bredere doelomschrijving, zodat in de behoeften van alle stakeholders wordt voorzien." In hoeverre moet hier al onderscheid gemaakt worden tussen primair en secundair gebruik van zorgdata?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Wanneer het primaire en het secundaire gebruik van zorgdata samen worden genomen, wordt er gesproken over meervoudig datagebruik. De techniek hierachter verandert niet, maar wel de governance en wettelijke ruimte voor het gebruik. Om alle stakeholders te bedienen is die brede scope en data verzameling nodig, anders kan meervoudig gebruik niet.</p>
	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 18: "Binnen een aandoeningsregistratie moet een (virtueel) dataloket worden opgezet." Is dit wat ze bij de EHDS een Health Data Access body noemen? En in hoeverre is het wenselijk om dit per aandoeningsregistratie te regelen en niet juist meer via een centraal data loket?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>De door ons momenteel besproken oplossing lijkt inderdaad veel op de Health Data Access Body.</p> <p>Wij verwachten dat met de potentiële aansluiting op governance Kwaliteitsregistraties eenduidigheid zal worden geboden. Hoewel nog onduidelijk is hoe de IGC/DGC invulling zullen geven aan aandoeningsregisters. Er zal een SSC worden opgericht en mogelijk heeft die een functie zoals ROR DGM die voor ogen heeft voor dataloket/informatieloket.</p>



	<p>Reactie HollandBio</p> <p>Pagina 20: "Mocht aansluiting bij dit project niet mogelijk zijn, dan is een alternatieve financieringsoplossing nodig." Wat zijn de risico's voor uitvoeren van het actieplan wanneer er geen structurele financiering mogelijk is?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Aansluiting bij Kwaliteitsregistraties voor structurele financiering is alleen voor kwaliteitsregisters. Alle andere registers/dataverzameling zijn afhankelijk van financieringsstromen. Het streven van ROR DGM is om door aansluiting bij de governance Kwaliteitsregistratie, een bredere scope te krijgen en dat aandoeningsregisters, structurele financiering kunnen krijgen.</p>
<b>VIG</b>	<p>Reactie VIG</p> <p>In het algemeen constateren wij dat het document een goede opzet heeft en ook volledig is. Het sluit goed aan bij de oproep die vanuit de expert groep van ROR DGM.</p> <p>De VIG kan zich geheel vinden in de geformuleerde visie. Het streven naar een Nationale Data-Infrastructuur is volledig in lijn met de visie die wij vanuit de VIG hebben uitgesproken in onze Whitepaper. Deze infrastructuur moet dan wel nadrukkelijk dusdanig ingericht zijn, dat deze zowel kwaliteits-, passende zorg- als ook onderzoeksvragen kan meten en (helpen) beantwoorden.</p> <p>De VIG voelt daarbij de specifieke behoefte om aan de hand van de uitvraagopties van de Nationale Data-Infrastructuur in ieder geval de mogelijkheid te krijgen om data die nodig zijn voor de beoordeling van de waarde van geneesmiddelen in de dagelijkse praktijk op te vragen. Deze behoefte vraagt om specifieke afspraken over:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- De waarde die moet worden aangetoond om bijvoorbeeld patiënttoegang/vergoeding vanuit het basispakket te realiseren;</li> <li>- De data die daarvoor beschikbaar moeten zijn/geregistreerd moeten worden (minimale of optimale dataset);</li> <li>- Hoe de data geanalyseerd moeten worden en welke beslissingen</li> </ul>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Dit zijn begrijpelijke vragen waar met name het Zorginstituut vanuit pakketbeheer antwoord aan kan geven. Vooralsnog kunnen wij het volgende stellen:</p> <p>Deze beoordeling kan na een vooraf bepaalde periode na toelating/vergoeding gedaan worden, waarna passende en vooraf afgesproken vervolgstappen geïnitieerd kunnen worden. Om dergelijke beoordelingen mogelijk te maken, dienen de volgende (typen) data ten minste te worden verzameld:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- Welke typen patiënten krijgen het geneesmiddel (fenotypen/genotypen)?</li> <li>- Welke behandelingen zijn gegeven (zoals voorafgaande behandelingen, totale dosis nieuw geneesmiddel met doseringsschema, reden van aanpassingen/stoppen)?</li> <li>- Wat heeft de nieuwe behandeling opgeleverd voor patiënt/zorg/maatschappij? De mogelijke resultaten op deze diverse partijen, vragen nadrukkelijk om een bredere uitkomstenset dan alleen biomedische gegevens (dus ook QoL, PROMs en PREMs).</li> </ul> <p>Dit kan nader uitgewerkt worden.</p>
	<p>Reactie VIG</p> <p>Aanvullend hierop vragen wij ons af wie en op basis van welke criteria bepaalt welke (andere) stakeholder een legitieme informatiebehoefte heeft en toegang krijgt tot de verzamelde informatie. Kunt u ons hier wellicht meer duidelijkheid over verschaffen?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Dit betreft wetgeving en governance afspraken. Deze afspraken moeten in de governance nog nader worden uitgewerkt.</p> <p>Wij denken dat een document waarin de pharma uitlegt welke gegevens wenselijk zijn voor hen, en op basis van welke grondslag deze gegeven kunnen worden, voor alle partijen meer duidelijkheid</p>

	schept.
	<p>Reactie VIG</p> <p>De VIG beschouwt de vraag hoe we er met elkaar voor kunnen zorgen dat dit project wel meer tractie krijgt en echt gaat leiden tot resultaten als essentieel. In dit kader maken we ons zorgen over de snelheid van het project indien er, hoe noodzakelijk en begrijpelijk ook, aansluiting wordt gezocht bij de kwaliteitsregistraties. Om de snelheid van het project te waarborgen, doen we hierbij de nadrukkelijke oproep aan VWS/ZIN om duidelijk de regie te (blijven) voeren.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR onderschrijft deze zorgen. Echter aansluiting bij governance Kwaliteitsregistraties (KR) is een essentiële stap om te komen tot één zorgdata infrastructuur. Een KR biedt de mogelijkheid tot structurele financiering en heeft reeds een bestaande governance structuur. Vanuit het perspectief van geneesmiddelen zijn echter meer stakeholders gedefinieerd en meer doelstellingen dan in de huidige governance KR wordt voorzien.</p>
	<p>Reactie VIG</p> <p>De VIG mist in het huidige document nog een visie op (de rol van) andere registers, zoals bijvoorbeeld voor goedkopere geneesmiddelen en meer algemene ziektebeeld overstijgende registraties (STIZON/Pharmo, Vektis, Logex, IKNL etc.). In het kader van de 'voorbeeld governance' in figuur 4 (pagina 19), stelt de VIG voor deze visie toe te voegen aan het document. Kunnen we bijvoorbeeld synergiën tussen ziektebeelden verkrijgen en welke gevolgen heeft dit voor de governance van een aandoeningenregister?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR sluit geen partijen uit en maakt geen selecties. Voor toepassing van data en informatievoorziening kunnen genoemde partijen wellicht belangrijke rol hebben. Wij zien ook de potentie van de synergiën tussen ziektebeelden. Dus ook in selecties en onderzoek over aandoeningen heen.</p>
	<p>Reactie VIG</p> <p>Daarnaast vindt de VIG het waardevol om in de toekomst aansluiting te vinden bij systemen buiten de medisch specialistische zorg, zeker als de grenzen tussen de zorgdomeinen steeds meer gaan vervagen en zorg ook in toenemende mate naar de thuissetting wordt verplaatst. Het zou daarom volgens de VIG verstandig zijn om in het vervolgtraject een inventarisatie op te nemen van mogelijk toekomstige koppelingen (met de eerste lijn en mogelijk zelfs gemeentelijke registraties), zodat hier alvast rekening mee gehouden kan worden en er op dit gebied geen kansen onbenut blijven.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR werkt met opdracht over DGM en daarmee (in)direct over MSZ. KR gaat specifiek over MSZ. Maar in nabije toekomst zijn koppelingen met de eerstelijns zorg zeker wenselijk. Verdere koppeling met bronnen buiten het zorgdomein is echter aan de politiek. Het hoofddoel van ROR DGM is het werken aan een zorgdata landschap.</p>
	<p>Reactie VIG</p> <p>Bij het opbouwen van een register voor zeer kleine groepen patiënten (bijvoorbeeld ultra-weesgeneesmiddelen) moet er volgens de VIG veel meer gestuurd worden op een internationale samenwerking, middels een aanpak van <i>federated learning</i>.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Ja, in case studie 3 MLD wordt hier extra aandacht aan besteed. Verder willen wij aanhaken bij Europese initiatieven zoals Darwin en EHDS.</p>
	<p>Reactie VIG</p> <p>De VIG is van mening dat ZIN en wetenschappelijke verenigingen voor de beoordeling van stand</p>

	<p>wetenschap en praktijk en voor hun plaatsbepaling van behandelingen in de richtlijn meer gebruik moeten maken van real world data (RWD). Bij veel nieuwe geneesmiddelen zoals gen- en celtherapieën geldt dat de mate van effectiviteit moeilijk te beoordelen valt. De intensieve en/of toxische voorafgaande behandelingen kunnen een negatieve invloed hebben op de uitkomsten van de daaropvolgende behandelingen. De vergoedingsbeoordeling zal in dergelijke gevallen lastig zijn. In plaats van een langdurige periode voor beoordelingen zou gebruik gemaakt moeten worden van snelle voorwaardelijke toelating, waarbij de definitieve pakketbeoordeling later gebeurt op basis van RWD.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i>  Het programma ROR DGM heeft ZIN als stakeholder gevraagd naar positioning paper over het gebruik van RWD voor toepassing bij pakketbeheer. Dit is nog in ontwikkeling, maar heeft hoge prioriteit. Ook ZIN (h)erkent de meerwaarde en toepassingsmogelijkheden van RWD.</p>
	<p>Reactie VIG  Een registratie via het (O)DAP-protocol of andere dure registers/studies met handmatige data-verzameling is naar ons oordeel onwenselijk en zou sowieso aangepast moeten worden. In de huidige context is het te weinig win-win-win. Dergelijke registers zouden daarom in dit centrale systeem moeten vallen en op die manier ook niet alleen gebaseerd moeten zijn op private financiering, zoals nu het geval.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i>  ROR DGM is het hier mee eens. De techniek en andere belemmeringen helpen daarbij echter nog niet.</p>
	<p>Reactie VIG  Daarnaast pleit de VIG voor dataverzameling aan de bron, in plaats van het huidige systeem van (erg kostbare) dataverzameling middels het dubbel invoeren van data in de Clinical Research Forms (Observationele studie).</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i>  ROR DGM is het hier mee eens. Hiervoor is het o.a. nodig dat data volgens de FAIR principes worden verwerkt.</p>
	<p>Reactie VIG  Wat de VIG daarnaast opvalt, is dat meer dan voorheen wordt uitgegaan van standaardisatie middels OMOP CDM (maar daarnaast bijvoorbeeld ook de meer bekende SNOMED CT en ZIB's) en het zoeken naar een koppelsleutel (BSN wordt hier genoemd, maar de wettelijke grondslag ontbreekt nog). Is het streven dit te gaan regelen, of wordt er gekeken naar een andere (omslachtigere) weg om data te kunnen koppelen?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i>  Visie van ROR DGM is om aan te sluiten bij reeds bestaande initiatieven en keuze te maken voor techniek die aansluit bij internationale ontwikkelingen. Binnen Nederland zijn de ZIB's een geaccepteerde toepassing/techniek door programma Registratie aan de Bron. Hiermee is data FAIR en is aansluiting middels OMOP CDM mogelijk met Europese initiatieven.</p>
	<p>Reactie VIG  Ook kwam hier de vraag voor een opt-out regeling in plaats van de huidige opt-in regeling ter sprake. Een vraagstuk dat zeker relevant lijkt, gezien de zeer hoge bereidwilligheid (85 tot 95%) van patiënten om toestemming te geven voor het gebruik van hun data voor verder onderzoek ter verbetering van de zorg.</p>

	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Dit is een meer politieke keuze en dit onderwerp is een van de aandachtspunten van Health-RI in het obstakel verwijdertraject.</p>
	<p>Reactie VIG</p> <p>Hoe wordt uiteindelijk bepaald wie een vraag bij het dataloket mag neerleggen? Oftewel: wie is de belanghebbende bij een uitvraag voor datagebruik en wie bepaalt welke data wel/niet mag worden vrijgegeven? De VIG beschouwt de geneesmiddelensector als duidelijke belanghebbende. Deelt het Zorginstituut dit standpunt?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Iedere persoon of organisatie kan een vraag neerleggen bij het 'dataloket'. Het 'dataloket' bepaalt vervolgens of de data-vrager een legitiem belang/recht heeft op deze data/informatie. De basis hiervoor is een wettelijke grondslag; die moet wellicht nog gecreëerd worden. <u>ROR DGM</u> ziet daarbij de geneesmiddelensector ook als een belanghebbende partij.</p>
	<p>Reactie VIG</p> <p>Daarnaast vraagt de VIG hoe de onafhankelijkheid hier geborgd wordt? Welke uitvragen zou de geneesmiddelensector kunnen doen en wie beoordeelt die?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Dit wordt bepaald a.d.h.v. grondslagen en hoe dit in governance is geregeld.</p>
	<p>Reactie VIG</p> <p>In 3.1 staat: "Voor elke aandoeningsregistratie komt er een (virtueel) dataloket, waarin de gegevensset, gegevensverzameling en uitvraag worden georganiseerd, op basis van hun wettelijke grondslag en bijbehorende legitieme informatiebehoefte.". Maar wie is de eigenaar van deze data? En wie bepaalt wat een ieder mag en kan inzien? De VIG is benieuwd naar hoe dit loket eruit komt te zien en wat een wettelijke/legitieme informatiebehoefte precies betreft? De VIG vraagt zich ook af of de stakeholders die genoemd worden ook allemaal dezelfde rechten (lees ook: toegang tot de data) en plichten (lees ook: kosten) hebben met betrekking tot opvragen van data?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Dit moet nog nader worden uitgewerkt, in samenhang met andere projecten. Duidelijk is wel dat niet iedere stakeholder dezelfde rechten of plichten heeft.</p>
	<p>Reactie VIG</p> <p>Daarnaast lijkt het oprichten van een dataloket per indicatie op het eerste gezicht het meest voor de hand liggend, aangezien kennis van de inhoud bij de uitvraag erg belangrijk is en de aanwezigheid van deze specifieke expertise op die manier geborgd wordt. Echter, het brengt het gevaar met zich mee dat ieder loket zijn eigen regels en toegang gaat regelen. Daarom acht de VIG het van essentieel belang dat eenduidigheid gewaarborgd wordt, middels regels en procedures. Idealiter behoort ook een beroepsmogelijkheid tot deze regelgeving.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR DGM is het hiermee eens. Wij verwachten dat met de potentiële aansluiting op governance KR eenduidigheid zal worden geboden. Hoewel nog onduidelijk is hoe de IGC/DGC invulling zullen geven aan aandoeningsregisters. Er zal een SSC worden opgericht en mogelijk heeft die een functie zoals ROR DGM die voor ogen heeft voor dataloket/informatieloket. Een governance op aandoeningsniveau is in de optiek van ROR DGM nodig om per aandoening specifieke vragen te kunnen beantwoorden.</p>
	<p>Reactie VIG</p> <p>De aanbevolen governance bestaat in het voorstel uit wetenschappelijke verenigingen, patiëntenverenigingen, zorgverzekeraars en optioneel de overheid. Is de governance hiermee</p>

	<p>voldoende geborgd? Deze partijen zijn immers niet “aanspreekbaar”. De governance bij meerdere partijen neerleggen is wellicht vragen om compromissen. Zou juist hier niet regie en verantwoordelijkheid door ZIN moeten worden genomen? En waarom worden, met name bij registraties bij indicaties rondom dure geneesmiddelen, dan wel de verzekeraars en bijvoorbeeld niet de fabrikanten/koepelorganisatie en de ziekenhuizen betrokken. Hoe kijkt ZIN aan tegen de rol van eenieder?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i> ROR DGM positioneert de arts samen met patiënt in the lead wat betreft governance op aandoeningsniveau. Op landelijk niveau wordt aansluiting gevonden bij governance KR waarin nu de HLA-partijen vertegenwoordigd zijn.</p>
	<p>Reactie VIG De VIG hecht er aan te benadrukken dat gestreefd moet worden om de administratieve last zo laag mogelijk te houden en dat het bouwen van (handmatig) gevulde registers (naast bestaande databases) niet het doel mag zijn. Volgens de VIG zou zwaarder mogen worden ingezet op de vaste gegevenssets (zoals multiple myeloom casuïstiek) die in de dagelijkse praktijk gebruikt dienen te worden voor de gekozen aandoeningen. Dat kost iets meer tijd, maar voorkomt dubbel werk (en is netto dus efficiënter).</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i> Volledig in lijn met visie van ROR DGM (zie eerdere opmerkingen).</p>
	<p>Reactie VIG Het uitgangspunt ‘Data als Nutsvoorziening’ spreekt de VIG zeer aan en staat zoals aangegeven ook in onze eerder genoemde whitepaper. Daarnaast benadrukt de VIG graag dat niet alleen de publieke doelen belangrijk zijn, maar juist ook de private doelen: goede data zijn namelijk belangrijk in de context van Nederland als onderzoeksland.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i> ROR DGM streeft naar een gegevensset die voorziet in de legitieme informatie behoefte voor alle stakeholders. Wij spreken van meervoudig gebruik van zorgdata; uiteraard is onderscheid te maken tussen primair en secundair data gebruik. Echter wordt grotendeels gebruik gemaakt van dezelfde data-elementen.</p>
	<p>Reactie VIG De VIG pleit voor een verplichtstelling van een uitnodiging van ALLE stakeholders bij alle indicatiegerichte dataverzamelingen (registraties) waarbij een duur geneesmiddel is betrokken. Door alle stakeholders bij de start van iedere volgende indicatiegerichte dataverzameling te betrekken, kan (indien relevant) ook de geneesmiddelensector haar inzichten leveren, wat de impact van het gebruik van data voor verder onderzoek ter verbetering van de zorg alleen maar kan versterken.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i> Bij inrichten van het zorgdata landschap – aansluiting op governance KR en uitgroeien tot de Dutch Health Data Space (DHDS) – zal in de governance de betrokkenheid van alle stakeholders worden georganiseerd. Direct of indirect.</p>
	<p>Reactie VIG De VIG pleit ervoor om een plan met duidelijke afspraken, rollen en verantwoordelijkheden op te stellen en dit periodiek te evalueren. Hierbij kan gedacht worden aan de reeds opgezette case studies (waarbij de geneesmiddelensector nog niet (overal) is aangesloten), alsook bij het bepalen van nieuwe indicatiegerichte dataverzamelingen (registraties) waar innovatieve geneesmiddelen een belangrijke rol (kunnen gaan) spelen.</p>

	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Wij erkennen de gevraagde urgentie en concreetheid op dit dossier. Er zijn vele projecten en initiatieven (nationaal en internationaal) bezig met een deel van de puzzel. Het is tijd om de puzzelstukken op de juiste plek te leggen en een geheel te vormen.</p>
<b>ZN</b>	<p>Reactie ZN</p> <p>Wij steunen het algemene doel van RoR-DGM, namelijk om te komen tot een informatielandschap waarin informatie over (dure) geneesmiddelen is vastgelegd in de primaire zorgsystemen of in aandoenings-specifieke registraties en dat deze informatie toegankelijk dient te zijn voor alle stakeholders met gelegitimeerde vragen.</p> <p>Ondanks de steun voor de doelstelling kunnen we op basis van de huidige teksten nog geen toezeggingen doen voor onze steun aan de visie en het actieplan. ZN zou graag een nadere uitwerking zien op de verschillende punten:</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Programma ROR DGM dankt ZN voor haar steun voor de doelstellingen van ROR DGM. Wij begrijpen de vraag naar verdere uitwerking.</p> <p>In de toelichtende gesprekken zijn deze besproken en hebben wij gezien dat deze gesprekken een aantal misverstanden heeft kunnen ophelderen. De ondersteuning van ZN om, middels verdiepende sessies de visie gezamenlijk verder uit te werken zien wij als zeer constructief.</p> <p>In onze beantwoording van deze reacties en vragen zullen een aantal punten nader worden toegelicht.</p>
	<p>Reactie ZN</p> <p>1. De visie en samenhang met andere landelijke initiatieven, met daarin meer aandacht voor:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- Het perspectief op de toekomst</li> <li>- Een concrete stip op de horizon (inclusief het benoemen van doelen en resultaten)</li> <li>- Het expliciteren van overeenstemmend gedachtegoed en samenwerking met lopende landelijke initiatieven als startpunt voor de uitwerking van jullie visie.</li> </ul>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR DGM begrijpt deze vraag. Binnen het programma ROR DGM is ook behoefte aan een routekaart met de stip op de horizon en waarin concrete stappen beschreven staan om daar te komen. Zowel voor de korte en (middel)lange termijn. Deze routekaart moet in optiek van ROR DGM in gezamenlijkheid van de verschillende projecten en initiatieven die zich bezighouden met het zorginformatie landschap worden opgesteld. ROR DGM is bereid hiervoor de eerste aanzet te geven en vervolgens met betrokken partijen uit te breiden en verbeteren.</p> <p>Het programma ROR DGM is binnen het Harmonisatieproject CRC op de inhoud de samenhang en verschillen tussen de verschillende initiatieven aan het verkennen, zoals Kwaliteitsregistraties, Health-RI en uitkomstgerichte zorg. We werken daarbij samen met alle relevante (koepel)organisaties.</p>
	<p>Reactie ZN</p> <p>2. De voorgenomen governancestructuur en de financiële uitwerking, met daarin meer aandacht voor:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- Hoe en onder welke voorwaarden en per wanneer vindt aansluiting bij de Keuzenkamp governancestructuur plaats?</li> <li>- Hoe verhoudt de rol van het Programma RoR-DGM, het Zorginstituut, de voorgestelde nog te vormen organisatie en het dataloket zich tot de Keuzenkamp governancestructuur en de werking van bestaande kwaliteitsregistraties?</li> <li>- Wat is er nodig op het gebied van data en IT-infrastructuur voor aandoeningsregistraties inclusief dure geneesmiddelen en van welke partij of initiatief wordt wat gevraagd?</li> </ul>

	<p>- Welk onderscheid maakt u in rollen, taken en verantwoordelijkheid van (welke) (bestaande) partijen ten behoeve van het iteratief vaststellen van de benodigde gegevensset, het ontsluiten en verwerken van data ten behoeve de verschillende gebruikersgroepen en andere relevante stakeholders met hun bestaande rollen (bijvoorbeeld Programma Uitkomstgerichte Zorg)?</p> <p>- Welke aanpassingen in wet- en regelgeving zijn noodzakelijk en daarmee randvoorwaardelijk voor het slagen van uw ambities?</p> <p>- Wat is de financiële impact en wat is de beoogde financieringsstructuur en welke uitgangspunten en aannames liggen hieraan ten grondslag?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR DGM erkent dat na publicatie van het consultatiedocument een beeld is ontstaan dat ROR DGM geen aansluiting bij de governance van Kwaliteitsregistraties zou beogen. Dat is een misverstand en dit hebben wij in de navolgende gesprekken kunnen verhelderen. ROR DGM streeft naar aansluiting op de governance Kwaliteitsregistraties om daarmee de toegankelijkheid en beschikbaarheid van goede zorginformatie over (dure) geneesmiddelen voor alle stakeholders mogelijk te maken.</p> <p>Wij signaleren echter wel dat in de huidige opzet de governance Kwaliteitsregistraties nog te beperkt is om aan al de doelstellingen van ROR DGM te voldoen. Voor ROR DGM is het volstrekt helder dat de Kwaliteitsregistraties een goede basis vormt van waaruit een doorontwikkeling kan plaatsvinden. Het programma steunt het voornemen om de aansluiting verder te verkennen en in gezamenlijkheid voor te bereiden, waarbij VWS GMT het voortouw neemt.</p> <p>De visie van ROR DGM is dat voor het monitoren en evalueren van dure geneesmiddelen in de dagelijkse praktijk niet alleen de gegevens nodig zijn van de patiënten die het (dure) geneesmiddel krijgen, maar ook van de patiënten die een andere of geen behandeling hebben ondergaan. Van belang is om de informatie van alle patiënten met een bepaalde aandoening vast te leggen, zodat de werking, bijwerking en doelmatigheid van behandelingen en verschillende geneesmiddelen met elkaar vergeleken kunnen worden. Om dit te realiseren zijn aandoeningsregisters noodzakelijk. ROR DGM erkent dat patiënten, zorgverleners, onderzoekers, overheid en farmaceutische industrie als stakeholders allemaal een legitiem belang hebben bij een goede en volledige van informatie van (dure) geneesmiddelen.</p> <p>Binnen een aandoeningsregister wordt door de stakeholders gezamenlijk een aandoeningsspecifieke gegevensset bepaald. Deze minimale gegevensset moet voorzien in de gelegitimeerde informatiebehoefte van alle stakeholders. Doordat de gegevensset met elkaar is afgestemd, wordt deze niet onnodig groot en de administratielast voor de zorgprofessional beperkt.</p> <p>Vanuit de visie van ROR DGM is in aanvulling op de landelijke governance Kwaliteitsregistraties ook een governance op aandoenings-niveau gewenst. De afstemming, besturing en organisatie rondom aandoeningsregisters moet daarin worden belegd. Taken die binnen deze governance spelen zijn bijvoorbeeld het beheer van de gegevensset of vraagstukken rondom privacy. ROR DGM positioneert de wetenschappelijke vereniging samen met patiëntenvertegenwoordiging in the lead wat betreft governance op aandoeningsniveau. Op landelijk niveau wordt aansluiting gevonden bij governance KR waarin nu de HLA-partijen vertegenwoordigd zijn.</p> <p>Bovenstaande is ook besproken in de toelichtende gesprekken. Hierop is besloten om samen met ZN dit nog verder uit te werken.</p>
	<p>Reactie ZN</p> <p>Wij zijn van mening dat de grondslagen, op basis waarvan stakeholders recht hebben op zorgdata, primair door de wet worden bepaald. Uit deze grondslagen vloeien doelen en verantwoordelijkheden voort voor iedere stakeholder. Een plan van aanpak om van aanpassing van wetgeving tot een uiteindelijke uitwerking in de dagelijkse praktijk te komen ontbreekt in het rapport. Hierdoor is het voor ons niet helder wie en in welke samenhang, wat moet doen om de ambitie waar te maken en per wanneer.</p>

	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR DGM deelt de mening van ZN op dit punt. Organisaties kunnen een informatie-vraag neerleggen bij het 'dataloket'. Het 'dataloket' bepaalt vervolgens of de data-vrager een legitiem belang/recht heeft op deze data/informatie. De basis hiervoor is een wettelijke grondslag; die moet wellicht nog gecreëerd of verder verduidelijkt worden.</p> <p>Deze grondslagen en de afspraken moeten in de governance nog nader worden uitgewerkt.</p>
	<p>Reactie ZN</p> <p>De governance-structuren die u voor RoR-DGM beoogt zijn ons niet duidelijk. Zo is het in onze ogen onvoldoende beschreven wat er wordt bedoeld met aandoenings-governance. Het is voor ons daarom nu onduidelijk hoe deze voorgestelde governance overeenkomt met de landelijk overeengekomen governance voor kwaliteitsregistraties, en als deze afwijkt, waarom dat zo is en waartoe deze afwijking leidt.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Naast aansluiting op de governance Kwaliteitsregistraties, is vanuit de visie van ROR DGM in aanvulling op de landelijke governance Kwaliteitsregistraties ook een governance op aandoenings-niveau gewenst. De afstemming, besturing en organisatie rondom een aandoeningsregister moet daarin worden belegd. Taken die binnen deze governance spelen zijn bijvoorbeeld het beheer van de gegevensset of vraagstukken rondom eigenaarschap en privacy. ROR DGM positioneert de wetenschappelijke vereniging samen met patiënten vertegenwoordiging in the lead wat betreft governance op aandoeningsniveau. Op landelijk niveau wordt aansluiting gevonden bij governance KR waarin nu de HLA-partijen vertegenwoordigd zijn.</p>
	<p>Reactie ZN</p> <p>In het consultatiedocument beschrijft u welke rol het programma RoR-DGM voor zichzelf ziet vanaf 2023. Op dit moment ligt de rol die u beschrijft formeel bij Governance kwaliteitsregistraties en op andere vlakken bij het Programma Uitkomstgerichte Zorg. Wij vernemen graag of de nieuwe te vormen organisatie deze taken overneemt van die gremia en of deze nieuwe organisatie permanent wordt aangesteld? Hoe verhoudt dit zich tot het vallen van RoR-DGM onder landelijke governance en tot de rol waarin RoR-DGM zichzelf ziet als regisseur om te komen tot aandoeningsregisters (en een organisatie daartoe wil oprichten).</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Het vervolg van programma ROR DGM vanaf 2023 en de concrete doelen zullen in overleg met VWS nader worden bepaald. Wij zien het regelen van de aansluiting bij Kwaliteitsregistraties maar zien ook een rol voor ons weggelegd om bestaande casestudies en andere registers te begeleiden naar een meer ideale situatie ("van A naar B").</p>
	<p>Reactie ZN</p> <p>U geeft aan dat bij het vaststellen van een gegevensset alle stakeholders moeten worden betrokken. Wij zijn het hiermee eens. In de uitwerking over hoe een gegevensset vast te stellen, lezen wij niet terug hoe RoR-DGM de aansluiting bij bestaande registraties, die dit al hebben georganiseerd met hun stakeholders, denkt te realiseren. Wij zien graag terug wat daarvoor aanvullend nodig is vanuit het gezichtspunt dure geneesmiddelen.</p> <p>Het beheer van de dataset, waaronder aanpassingen en/of het toevoegen van nieuwe brondata vallen, moet worden afgestemd met verschillende ICT en EPD partijen. Wij zien graag een voorstel voor een proces van onderhoud en beheer van de dataset en de rol van RoR-DGM en/of nieuwe organisatievormen ten opzichte van onder andere dataverwerkers en gebruikers.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Onze observatie is dat niet altijd alle stakeholders betrokken zijn bij het vaststellen van de datasets van registers, of dat dit niet altijd even goed geregeld is.</p> <p>Binnen het Harmonisatieproject CRC wordt door ROR DGM ervaring opgedaan om een landelijke gegevensset CRC samen te stellen voor alle stakeholders. Hierbij worden de stakeholders Pharma</p>



	<p>en Zorginstituut vertegenwoordigd vanuit programma ROR DGM. De gegevensset moet uiteindelijk tenminste antwoord geven op de vragen van programma's Uitkomstgerichte Zorg en ROR DGM.</p> <p>Naast de vaststelling, zien wij ook het onderhouden en ontwikkelen van de datasets als een belangrijke taak. Onze voorkeur heeft dat dit binnen de Kwaliteitsregistraties formeel geregeld wordt.</p>
	<p>Reactie ZN</p> <p>U stelt dat zorgdata, en daarmee ook registraties, als 'nutsvoorziening' moeten worden beschouwd en dat deze met publieke middelen moeten worden gefinancierd. Wij zien graag welke financieringsmodellen u heeft onderzocht, welke rol u hierin voor RoR-DGM ziet weggelegd en tot welke conclusies u bent gekomen. Wij ontvangen tevens graag uw visie op het meenemen van commerciële partijen in de verkenning van financieringsoplossingen, aangezien er meerdere commerciële partijen zijn die van toegevoegde waarde kunnen zijn in het aanbieden van (deel)oplossingen.</p> <p>In de financiële uitwerking ontbreekt ook samenhang met het Integraal Zorgakkoord (IZA) en de financiële investeringen voor digitalisering en gegevensuitwisseling.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Financiering van registers zou vanuit publieke middelen moeten gebeuren. ROR DGM erkent dat de onderbouwing van de financieringsvraag over data als 'nutsvoorziening' onvoldoende in het consultatiedocument naar voren komt maar stelt dat dit ook alleen in overleg met stakeholders en andere programma's, o.a. Kwaliteitsregistraties, kan worden ingericht.</p>
	<p>Reactie ZN</p> <p>In het kader van financiering vinden we uw visie op ICT-infrastructuren die farmaceuten hebben opgezet en gefinancierd belangrijk. In eerdere afstemmingen was dat een belangrijk issue voor de overgang naar een landelijke oplossing. Kunt u aangeven welke uitgangspunten er gelden voor de financieringsmodellen van de toekomst?</p> <p>We menen in het consultatiedocument concepten, ideeën en oplossingen te herkennen afkomstig of onder uitvoering of ontwikkeling van andere, lopende (landelijke) initiatieven. Wij zien deze inspiratiebronnen graag geëxpliciteerd terug in het document.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Zoals in voorgaand antwoord gesteld: Financiering van registers zou vanuit publieke middelen moeten gebeuren. ROR DGM erkent dat de onderbouwing van de financieringsvraag over data als 'nutsvoorziening' onvoldoende in het consultatiedocument naar voren komt maar stelt dat dit ook alleen in overleg met stakeholders en andere programma's, o.a. Kwaliteitsregistraties, kan worden ingericht.</p> <p>Onze visie is gebaseerd op een aantal bedrijfskundige principes maar komt zeker ook in andere programma's naar voren komen. Zo is een deel van de visie al herkenbaar in de oorspronkelijke opzet van "Registratie aan de bron".</p>
	<p>Reactie ZN</p> <p>Het ontbreekt op dit moment aan een plan van aanpak om van aanpassing van wetgeving tot een uiteindelijke uitwerking in de dagelijkse praktijk te komen. Onderdeel van dit plan zou op het gebied van digitale gegevensuitwisseling het borgen van transparantie voor patiënten en verzekeraars door wettelijke borging van secundair hergebruik van data en opt-out i.p.v. opt-in moeten zijn.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Dit onderwerp is een van de aandachtspunten van Health-RI in het obstakel verwijdertraject. In het kader van de samenhang van projecten heeft ROR DGM besloten om voor dit onderwerp naar dit project te verwijzen.</p>

	<p>Reactie ZN</p> <p>In het consultatiedocument lezen wij nergens terug hoe het IT-landschap voor de beschreven nutsvoorziening er uit moet komen te zien om het door u beschreven doel te bereiken vanuit het domein dure geneesmiddelen. Kunt u aangeven hoe data uit de EPD's moet worden verzameld, geaggregeerd en moet worden ontsloten via het dataloket aan (gelegitimeerde) gebruikers? Bovendien zien wij graag gespecificeerd waarin de rol van het dataloket afwijkt van de rol van de governance van de kwaliteitsregistraties.</p> <p>Het is ons onduidelijk wie de eigenaar is van de data binnen de nutsvoorziening, of er data gekocht kan worden, en zo ja, door wie. Een ander onderwerp wat we graag terug zien is hoe er omgegaan wordt met concurrentie tussen de verschillende stakeholders, waaronder dataverwerkers.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR DGM beperkt zich in het consultatiedocument tot de Informatielaag van het interoperabiliteitsmodel van Nictiz. De visie van ROR DGM is om aan te sluiten bij reeds bestaande initiatieven en keuze te maken voor techniek die aansluit bij internationale ontwikkelingen.</p> <p>ROR DGM ondersteunt dat data voor meervoudig gebruik zoveel als mogelijk wordt vastgelegd in het primaire proces. ROR DGM ondersteunt dat data wordt vastgelegd in ZIBs, welke binnen geaccepteerde toepassing/techniek is voor programma's als verduurzaming informatie (SKMS), Registratie aan de Bron etc.</p> <p>Ook vanuit ROR DGM wordt het belang onderkent dat data FAIR moet zijn en middels OMOP CDM aan moet kunnen sluiten op Europese initiatieven.</p>
	<p>Reactie ZN</p> <p>Wij concluderen dat in de case studies het gezamenlijk vaststellen van een gegevensset nog niet is geregeld. In eerdere overleggen, waaronder op 4 juli 2022, hebben wij onze verbazing geuit over het niet betrekken de DICA darmkankerregistratie. We zien graag een toelichting op hoe dit in de toekomst wel geborgd is.</p> <p>Daarnaast is het ons onduidelijk hoe de casestudies bijdragen aan het overall-concept en doelen van RoR-DGM die u in dit rapport schetst.</p> <p>Wij zien derhalve de mogelijkheid van het toepassen van de PDCA cyclus en stellen het op prijs dat er een evaluatie plaatsvindt op basis van de huidige case studies, waarbij aandacht wordt besteed aan welke doelstellingen er zijn behaald, welke niet, en welke bijsturingmogelijkheden moeten worden toegepast.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>De casestudies hebben een belangrijke rol in de totstandkoming van de visie van ROR DGM. Ze leveren informatie over de technische, bestuurlijke en juridische aspecten rondom dataverzamelingen en de gewenste governance en financiering. Ze leggen knelpunten bloot en schetsen de randvoorwaarden waaraan een aandoeningsregister of casestudie moet voldoen om te passen in het toekomstig informatielandschap.</p> <p>Conform planning zullen de casestudies tussen december 2022 en april 2023 met een eindrapportage en conclusie komen.</p> <p>De casestudie PLCRC had oorspronkelijk een beperktere toepassing voor ogen. Vanuit het recent gestarte Harmonisatietraject Darmkanker wordt de DICA darmkanker nu zeker intensief betrokken.</p>
	<p>Reactie ZN</p> <p>Internationale samenwerking is een middel om het doel van beschikbaarheid en bruikbaarheid van goede data te bereiken. We begrijpen dat internationale samenwerking bij weesindicaties urgenter is, omdat de hoeveelheid data hier beperkter is.</p> <p>Wij pleiten echter voor een breder plan voor internationale samenwerking, waarbij er nadrukkelijk afspraken worden gemaakt over wat er internationaal vast wordt gelegd en wat nationaal.</p>

	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR DGM is het hiermee eens. In case studie 3, MLD, wordt hier extra aandacht aan besteed. Verder willen wij aanhaken bij Europese initiatieven zoals Darwin en EHDS.</p>
	<p>Reactie ZN</p> <p>Er worden veel afkortingen gebruikt. Wij stellen een lijst met definities op prijs, aangezien RoR-DGM een multidisciplinair thema betreft.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Wij zullen een lijst van afkortingen toevoegen.</p>
<b>NVZ</b>	<p>Reactie NVZ</p> <p>Het consultatiedocument beschrijft dat ROR DGM informatie over geneesmiddelen wil borgen in aandoeningsgerichte registraties en dat de zorgdata toegankelijk moeten zijn voor al het secundair gebruik en alle stakeholders (zorgdata als nutsvoorziening). Om dit te verwezenlijken wil ROR DGM per aandoeningsspecifieke registratie een dataloket en een governancestructuur uitwerken.</p> <p>We willen u de volgende punten meegeven:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Sluit aan bij de afspraken van IGC en DGC van het traject Keuzenkamp.</li> </ol> <p>Hoewel we de visie op een gezamenlijke, landelijke governance op het vastleggen en (her)gebruiken van data steunen, is het onverstandig om hiervoor een nieuwe governancestructuur via ROR DGM op te zetten. Zo'n governancestructuur is breder dan enkel (dure) geneesmiddelenregistraties - het betreft het hele registratielandschap - en krijgt al vorm via IGC en DGC.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Na publicatie van het consultatiedocument is een beeld ontstaan dat ROR DGM geen aansluiting bij de governance van Kwaliteitsregistraties beoogd. Dat is een misverstand en dit hebben wij in het gesprek van 29 september 2022 kunnen verhelderen.</p> <p>ROR DGM streeft naar aansluiting op de governance Kwaliteitsregistraties om daarmee de toegankelijkheid en beschikbaarheid van goede zorginformatie over (dure) geneesmiddelen voor alle stakeholders mogelijk te maken.</p> <p>De door de NVZ tijdens het toelichtende gesprek aangeboden "helpende hand", om actief te zoeken naar de wijze waarop aansluiting kan plaatsvinden, willen wij uiteraard graag aanvaarden.</p>
	<p>Reactie NVZ</p> <p>Ten aanzien van visiepunten 2 en 3 (registratie en governance op aandoeningsniveau): Het aansluiten van informatie over het gebruik van geneesmiddelen bij huidige kwaliteitsregistraties (harmonisatie) is wenselijk. Wanneer dit wordt gerealiseerd zijn acties 8.1 tot en met 8.3 (acties op het gebied van governance &amp; finance, inhoud en data/IT) grotendeels niet nodig.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>In de huidige opzet is de governance Kwaliteitsregistraties nog te beperkt is om aan al de doelstellingen van ROR DGM te voldoen. Voor ROR DGM is het evident dat de Kwaliteitsregistraties een goede basis vormt van waaruit een doorontwikkeling kan plaatsvinden.</p> <p>Wij hebben vastgesteld dat voor het monitoren en evalueren van dure geneesmiddelen in de dagelijkse praktijk niet alleen de gegevens nodig zijn van de patiënten die het (dure) geneesmiddel krijgen, maar ook van de patiënten die een andere of geen behandeling hebben ondergaan. Van belang is om de informatie van alle patiënten met een bepaalde aandoening vast te leggen, zodat de werking, bijwerking en doelmatigheid van behandelingen en verschillende geneesmiddelen met elkaar vergeleken kunnen worden. Om dit te realiseren zijn aandoeningsregisters noodzakelijk.</p> <p>Binnen een aandoeningsregister wordt door de verschillende stakeholders een aandoeningsspecifieke gegevensset bepaald. Deze minimale gegevensset moet voorzien in de gelegitimeerde informatiebehoefte van alle stakeholders. Doordat de gegevensset met elkaar is afgestemd, wordt deze niet onnodig groot en de administratielast van de zorgprofessional beperkt.</p>

	<p>Vanuit de visie van ROR DGM is in aanvulling op de landelijke governance Kwaliteitsregistraties ook een bepaalde sturing (“governance”) op aandoenings-niveau gewenst. De afstemming, besturing en organisatie rondom aandoeningsregisters moet daarin worden belegd. Taken die binnen deze governance spelen zijn bijvoorbeeld het beheer van de gegevensset of specifieke vraagstukken rondom eigenaarschap van data en privacy.</p>
	<p>Reactie NVZ</p> <p>Ten aanzien van acties bij 8.1: Er moet niet gewacht worden op de match met governance van kwaliteitsregistraties, maar ROR DGM zou die match actief kunnen opzoeken en creëren. De teksten in het huidige document geven daar geen blijk van.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Wij erkennen de gevraagde urgentie en concreetheid op dit dossier. De door de NVZ tijdens het toelichtende gesprek aangeboden “helpende hand”, om actief te zoeken naar de wijze waarop aansluiting kan plaatsvinden, willen wij uiteraard graag aanvaarden.</p>
	<p>Reactie NVZ</p> <p>Ten aanzien van acties bij 8.2: We raden u aan om aan te sluiten bij de governance-eisen die de IGC stelt. Deze zijn aandoeningsgericht, waarbij betrokkenheid van beroepsgroepen en patiëntenvertegenwoordigers bij het opzetten van registraties nodig is. Hier zouden stakeholders van de registraties voor dure geneesmiddelen aansluiting bij kunnen zoeken, zodat zij de informatie die uit de kwaliteitsregistraties komt, ook kunnen gebruiken.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR DGM is het eens met dit advies en streeft naar aansluiting op de governance Kwaliteitsregistraties om daarmee de toegankelijkheid en beschikbaarheid van goede zorginformatie over (dure) geneesmiddelen voor alle stakeholders mogelijk te maken.</p>
	<p>Reactie NVZ</p> <p>Ten aanzien van acties bij 8.3: Verschillende initiatieven zijn bezig met het ontwikkelen van afspraken over dataprocessen en infrastructuur. Voor de kwaliteitsregistraties is de DGC hiervoor verantwoordelijk. Onderdeel van deze afspraken over de datagovernance is de operationalisering en implementatie van spelregels over het uitvragen en hergebruiken van data die in de zorgpraktijk worden verzameld, onder meer om doublures in alle fasen van het dataverwerkingsproces te voorkomen. Aansluiting bij de afspraken die de DGC opstelt is dus niet alleen kostenefficiënt, maar ook wenselijk.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR DGM is het hiermee eens en zoekt graag de aansluiting met de DGC om gezamenlijke afspraken te ontwikkelen over dataprocessen en infrastructuur.</p>
	<p>Reactie NVZ</p> <p><b>2.</b> Ontwikkel geen dataloket per registratie. Dit vergroot versnippering en daarmee administratieve lasten.</p> <p>Het plan voorziet niet in een oplossing voor de vergroting van implementatiecapaciteit bij ziekenhuizen. Het plan grijpt daarmee in op een probleem waar al een oplossing voor is (namelijk de IGC en DGC), maar niet op de belangrijkste uitdaging: eenduidige bron- en geneesmiddelenregistratie in het EPD.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Vanuit de visie van ROR DGM kan met een dataloket (of anders geformuleerd: informatieloket) per aandoening de specifieke expertise die nodig is voor het ziekte specifieke vragen worden geborgd. Wij ons echter bewust dat we waakzaam moeten zijn voor oplopende administratieve/personele lasten.</p> <p>Wij verwachten dat met de potentiële aansluiting op governance Kwaliteitsregistraties</p>

	eenduidigheid zal worden geboden. Hoewel nog onduidelijk is hoe de IGC/DGC invulling zullen geven aan aandoeningsregisters. Er zal een SSC worden opgericht en mogelijk heeft die een functie zoals ROR DGM die voor ogen heeft voor dataloket/informatieloket.
	<p>Reactie NVZ</p> <p><b>3.</b> Zet beschikbare gelden doelmatiger in.</p> <p>De gelden die zorginstellingen en zorgverzekeraars momenteel besteden aan commerciële marktpartijen (for-profit partijen) voor dataverzamelingen en monitoringsoverzichten kunnen efficiënter en doelgerichter ingezet worden. Dat geldt ook voor de gelden die geneesmiddelenleveranciers inzetten bij geneesmiddelenregistraties. Efficiënte en effectieve inzet van middelen kan bijvoorbeeld worden bereikt door een gezamenlijk initiatief vanuit de medisch-specialistische zorg onder regie van VWS, die de non-profit organisaties zoals Dutch Hospital Data (DHD) een grotere ondersteunende rol laten spelen bij dataontvangst, dataverwerking en datadoorlevering.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR DGM is het hier mee eens. Als zorgdata als nutsvoorziening wordt gezien, dan kan na inregelen van alle randvoorwaarden, de zorgdata 'stromen' en zullen minder arbeid en financiën nodig zijn voor dataontvangst, dataverwerking en doorlevering.</p>
<b>NIV</b>	<p>Reactie NIV</p> <p>Het is de NIV niet duidelijk welke definitie ZIN hanteert voor dure geneesmiddelen. Daarbij is het voor de NIV niet duidelijk of het gaat om geneesmiddelen die nieuw op de markt komen, of ook die reeds worden gebruikt.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>In de definitie van de NZA is een geneesmiddel 'duur' als de jaarlijkse kosten per patiënt hoger zijn dan € 1000,-. In de uitvoeringstoets van het programma ROR DGM heeft de minister echter het verzoek ingediend om prioriteit te geven aan registers die gerelateerd zijn aan aandoeningen waarbij nieuwe en/of dure geneesmiddelen die op de markt zijn of komen, die vragen om inzicht in effecten en het gebruik in de dagelijkse praktijk:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Geneesmiddelen die in de 'sluis' zijn geplaatst</li> <li>• Geneesmiddelen die in een financieel arrangement zijn opgenomen</li> <li>• Weesgeneesmiddelen, met een weesgeneesmiddelarrangement</li> <li>• Geneesmiddelen uit de risicogerichte beoordeling door het Zorginstituut</li> </ul>
	<p>Reactie NIV</p> <p>De afbakening van de geneesmiddelen en op welke manier de patiënten hierbij worden geïncorporeerd in een registratie zijn zeer van belang voor een goede uitwerking: worden alle patiënten die een bepaalde aandoening hebben geïncorporeerd in een registratie, ook wanneer het geneesmiddel maar relatief weinig in deze populatie wordt gebruikt?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Aandoeningsregisters zoals ROR DGM deze voren ogen heeft omvat idealiter alle patiënten binnen een aandoening. In de ideale situatie wordt de informatie in het primaire proces vastgelegd zodat geen aanvullende administratie in het zorgproces nodig is.</p> <p>ROR DGM stelt dat voor het monitoren en evalueren van dure geneesmiddelen in de dagelijkse praktijk niet alleen de gegevens nodig zijn van de patiënten die het (dure) geneesmiddel krijgen, maar ook van de patiënten die een andere of geen behandeling hebben ondergaan. Van belang is om de informatie van alle patiënten met een bepaalde aandoening vast te leggen, zodat de werking, bijwerking en doelmatigheid van behandelingen en verschillende geneesmiddelen met elkaar vergeleken kunnen worden.</p>
	<p>Reactie NIV</p> <p>De populatie van patiënten waar het consultatiedocument op van toepassing is, is potentieel zeer</p>

	<p>omvangrijk. Voor een groot deel van deze populatie is reeds een kwaliteitsregistratie (/aandoeningsregistratie) ingericht.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i>  Wij denken dat deze kwaliteitsregistraties dus een heel nuttig middel zijn, en wij willen daar graag bij aansluiten. Wij zien geen voordeel in het oprichten van separate geneesmiddelregistraties.</p>
	<p>Reactie NIV  In het document wordt geen aandacht geschonken aan de kennis, tijd en middelen die nodig zijn om allerlei nieuwe aandoeningsregistraties op te zetten.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i>  Wij beseffen dat afstemming van de verschillende vragen, behoeften, mogelijkheden op aandoeningsniveau veel werk is. In het harmonisatieproject zijn we juist met deze afstemming bezig.</p> <p>In onze overtuiging kan alleen in samenhang meer efficiëntie worden bereikt. De prioritering zal daarbij ook vanuit de wetenschappelijke verenigingen worden gedaan. Wij zien daarbij dat een versterking van de huidige registers meer prioriteit zal moeten krijgen dan het oprichten van nieuwe.</p>
	<p>Reactie NIV  In het document wordt gesuggereerd dat ZIN ook de effecten wil gaan registreren van de patiënten die niet behandeld worden, als vergelijking met de patiënten die wel behandeling ontvangen. Dit is begrijpelijk, en misschien ook wenselijk, maar impliceert de inrichting van grote, complexe, aandoeningsregistraties.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i>  Deze vraag wekt de indruk dat met 'aandoeningsregistraties' één fysieke database met alle gegevens wordt bedoeld. Dat is niet hoe ROR DGM naar het toekomstige zorgdata landschap kijkt. In de visie van ROR DGM wordt binnen een aandoeningsregister gewerkt met een aandoeningsspecifieke gegevensset. De data blijft aan de bron en wordt beschikbaar gesteld bij een data-uitvraag. In hoofdstuk 4 van het consultatiedocument staat beschreven uit welke elementen deze gegevensset is opgebouwd.</p> <p>ROR DGM hanteert hierbij de principes uit het programma "Registratie aan de bron" en sluit aan bij de (inter)nationale ontwikkelingen op ICT (zoals ZIB's, FAIR principes, OMOP CDM etc).</p>
	<p>Reactie NIV  Een ander voor de NIV belangrijk aandachtspunt, dat voortkomt uit het consultatiedocument, is de inrichting van de governance op de registers. De NIV hecht er veel waarde aan dat ook bij de inrichting van Dure Geneesmiddelen Registers aansluiting wordt gezocht bij de governance die wordt vormgegeven binnen het dossier Kwaliteitsregistraties.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i>  Na publicatie van het consultatiedocument is een beeld ontstaan dat ROR DGM geen aansluiting bij de governance van Kwaliteitsregistraties beoogd. Dat is een misverstand en dit hebben wij het gesprek met o.a. de FMS kunnen verhelderen.</p> <p>ROR DGM streeft naar aansluiting op de governance Kwaliteitsregistraties om daarmee de toegankelijkheid en beschikbaarheid van goede zorginformatie over (dure) geneesmiddelen voor alle stakeholders mogelijk te maken. Vanuit ROR DGM is het evident dat de huidige opzet van Kwaliteitsregistraties een goede basis is en ook dat de opzet nog te beperkt is om aan al de doelstellingen van ROR DGM te voldoen.</p>
	<p>Reactie NIV  De NIV erkent zonder meer het belang van betrokkenheid van alle relevante stakeholders hierbij, maar wil wel een kanttekening plaatsen bij het gezamenlijk vaststellen van een dataset. Gezien de</p>

	<p>complexiteit en de potentiële impact van het registreren en vastleggen van patiëntendata is het van groot belang vooral die data te verzamelen waarvan verwacht mag worden dat die relevante informatie zal opleveren. Als beroepsvereniging denken wij dat de medisch specialist het best in staat om deze afweging te maken. Naar onze mening is het dan ook de wetenschappelijke vereniging die leidend dient te zijn bij de (uiteindelijke) vaststelling van een dataset.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i> Dit standpunt van de NIV sluit volledig aan bij de visie van ROR DGM: wij zien een prominente en leidende rol voor de wetenschappelijke vereniging weggelegd voor het samenstellen en onderhouden van de aandoeningsspecifieke gegevensset.</p> <p>In de visie van ROR DGM is binnen een aandoeningsregister door de verschillende stakeholders een gezamenlijke aandoeningsspecifieke gegevensset bepaald. Deze minimale gegevensset moet voorzien in de gelegitimeerde informatiebehoefte van de stakeholders. Doordat de gegevensset met elkaar is afgestemd, wordt deze niet onnodig groot en de administratielast van de zorgprofessional beperkt.</p>
	<p>Reactie NIV Ten aanzien van de beschikbaarheid van data (visiepunt 1 en 2) vindt de NIV het nog onduidelijk welke data voor welke partij beschikbaar wordt gesteld. Met name de inzichtelijkheid van data voor zorgverzekeraars, overheid en farmaceutische bedrijven dienen wat de NIV betreft pas te volgen als eerst helderheid is over het doel ervan. Daarnaast is de NIV benieuwd naar de wettelijke grondslag die deze partijen hebben om over deze data te beschikken.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i> Wij onderkennen de gevoeligheden die er zijn rondom het delen van data. Deze discussie zal per aandoening en per kwaliteitsregistratie ongetwijfeld verder uitgewerkt moeten worden.</p> <p>Om deze discussie enigszins te kunnen faciliteren heeft het programma ROR DGM de Pharma (via de VIG) en het Zorg Instituut, als stakeholders die een unieke rol hebben bij geneesmiddelen, gevraagd naar hun positioning paper over het gebruik van RWD. Dit is nog in ontwikkeling.</p>
	<p>Reactie NIV Ook is nog onvoldoende duidelijk wie voor het verzamelen en analyseren van data verantwoordelijk is: analyseert en beschikt elke stakeholder over alle beschikbare data, of wordt dit centraal georganiseerd?</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i> Dit wordt bepaald a.d.h.v. grondslagen en hoe dit in governance is geregeld. De procedure die wij voor ogen zien is de volgende: iedere persoon of organisatie kan een vraag neerleggen bij het 'dataloket'. Het 'dataloket' bepaalt vervolgens of de data-vrager een legitiem belang/recht heeft op deze data/informatie. De basis hiervoor is een wettelijke grondslag; die moet wellicht nog gecreëerd worden. ROR DGM ziet daarbij de geneesmiddelensector ook als een belanghebbende partij.</p>
	<p>Reactie NIV De NIV pleit echter ervoor om de focus altijd te leggen op het verbeteren van de kwaliteit van zorg.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i> Wij onderschrijven het belang van het verbeteren van de kwaliteit van de zorg, voor de huidige patiënt en voor de toekomstige patiënten. Wij zien daarbij wel de noodzaak om de rechten voor secundair datagebruik, voor de verschillende stakeholders, goed met elkaar uit te werken. Binnen de aandoeningsspecifieke gegevensset zijn uitkomstmaten ten behoeve van leren en verbeteren geborgd.</p>
FMS	Reactie FMS

	<p>In het consultatiedocument is aangegeven dat middels ROR DGM informatie over geneesmiddelen geborgd wordt in aandoeningsgerichte registraties en dat de zorgdata voor alle stakeholders en doelen toegankelijk worden gemaakt (nutsvoorziening). Er wordt een voorstel gedaan om de komende maanden de governance structuur hiervoor verder uit te werken. Dit verbaast ons ten eerste, aangezien dit voorstel veel verder voert dan een advies over enkel (dure) geneesmiddelregistraties of geneesmiddelonderzoek. Dit advies behelst immers het gehele registratielandschap. Bovendien lopen er reeds veel landelijke initiatieven, projecten en programma's op dit onderwerp waarbinnen deze activiteiten reeds worden opgepakt. Denk bijvoorbeeld aan de processen rondom de Inhouds- en Datagovernance commissies conform het advies van Keuzenkamp waar de Federatie en wetenschappelijke verenigingen een grote bijdrage aan leveren. Hier wordt door de verschillende partijen reeds veel tijd ingestoken waar in het document volledig aan voorbij wordt gegaan.</p> <p>Gezien het bovenstaande kunnen wij het consultatiedocument, de voorgestelde visie en het voorgestelde actieplan daarom niet steunen. Wel zijn er een aantal aandachtspunten die wij u willen meegeven.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>De visie van ROR DGM is dat voor het monitoren en evalueren van dure geneesmiddelen in de dagelijkse praktijk niet alleen de gegevens nodig zijn van de patiënten die het (dure) geneesmiddel krijgen, maar ook van de patiënten die een andere of geen behandeling hebben ondergaan. Van belang is om de informatie van alle patiënten met een bepaalde aandoening vast te leggen, zodat de werking, bijwerking en doelmatigheid van behandelingen en verschillende geneesmiddelen met elkaar vergeleken kunnen worden. Om dit te realiseren zijn aandoeningsregisters noodzakelijk.</p> <p>ROR DGM erkent dat patiënten, zorgverleners, onderzoekers, overheid en farmaceutische industrie als stakeholders allemaal een legitiem belang hebben bij goede en volledige informatie van (dure) geneesmiddelen.</p>
	<p>Reactie FMS</p> <p>Ten aanzien van de inhoud (visiepunt 4 in samenvatting): in het consultatiedocument staat dat de inhoud centraal staat en reeds een generieke gegevensset is opgezet voor al het geneesmiddelonderzoek. Bovendien wordt gesteld dat binnen een aandoeningsregistratie een gezamenlijke gegevensset kan worden vastgesteld die voorziet in de informatiebehoefte van alle stakeholders. Wij vinden het belangrijk om te benadrukken dat de wetenschappelijke verenigingen samen met patiënten verantwoordelijk moeten zijn voor het samenstellen van de gegevensset. Dit o.a. omdat hier de kennis en (jarenlange) ervaring ligt en hiermee onnodige registratielast wordt voorkomen.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>ROR DGM is het hier mee eens. Dit standpunt sluit volledig aan bij de visie van ROR DGM: wij zien een prominente en leidende rol weggelegd voor de wetenschappelijke vereniging en de patiënten vertegenwoordiging.</p>
	<p>Reactie FMS</p> <p>Ten aanzien van het onderwerp governance (visiepunt 2 en 3 in samenvatting): in het consultatiedocument wordt het belang van aandoeningsregistraties onderstreept. Dit belang onderschrijven wij. Dure geneesmiddelen maken (vaak) onderdeel uit van registraties (of moeten daarin de toekomst onderdeel van uit gaan maken) die worden beoordeeld door de inhouds- en datagovernancecommissie. Ook wat betreft de governance dient daarom aangesloten te worden bij de criteria omtrent governance van kwaliteitsregistraties die zijn/worden opgesteld door de inhouds- en datagovernancecommissies.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Na publicatie van het consultatiedocument is een beeld ontstaan dat ROR DGM geen aansluiting bij de governance van Kwaliteitsregistraties beoogd. Dat is een misverstand en dit hebben wij in het gesprek met de FMS kunnen verhelderen.</p>



	<p>ROR DGM streeft naar aansluiting op de governance Kwaliteitsregistraties om daarmee de toegankelijkheid en beschikbaarheid van goede zorginformatie over (dure) geneesmiddelen voor alle stakeholders mogelijk te maken. Vanuit ROR DGM is het evident dat de huidige opzet van Kwaliteitsregistraties een goede basis is, maar ook dat de opzet nog te beperkt is om aan al de doelstellingen van ROR DGM te voldoen.</p>
	<p>Reactie FMS  Ten aanzien van het doel (visiepunt 1 en 5 in samenvatting): in het consultatiedocument staat dat niet het opzetten van registers het doel is, maar de beschikbaarheid en bruikbaarheid van goede data voor alle stakeholders. Wij vinden het zorgelijk dat hiermee niet het zorgproces maar de informatiebehoefte centraal staat. Wij delen daarnaast niet de mening dat door alle stakeholders te betrekken de gegevensset niet onnodig groot wordt en maken ons daardoor zorgen over een toename van de administratieve lasten.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i>  De opzet van registers is geen doel op zich. Soms kan in de informatiebehoefte worden voorzien zonder separaat register. ROR DGM stelt het zorgproces uitdrukkelijk wel centraal. Wij zien het zorgpad dat de patiënt doorloopt als leidend en het ‘EPD’ moet daarbij faciliterend zijn om de elementaire zorgdata te kunnen vastleggen.</p> <p>Om binnen een aandoeningsregister vast te kunnen stellen welke gegevens vastgelegd en gemonitord dienen te worden, is het in de visie van ROR DGM gewenst om dit door de verschillende stakeholders in gezamenlijkheid te bepalen. Deze gegevensset moet voorzien in de gelegitimeerde informatiebehoefte van de stakeholders. Wij verwachten dat als partijen de gegevensset met elkaar afstemmen er ook een tegendruk is op het ongebreideld laten groeien van de gegevensset. Hierdoor wordt deze niet onnodig groot en blijft de administratielast van de zorgprofessional beperkt tot die informatie die echt essentieel is</p>
	<p>Reactie FMS  Ten aanzien van de beschikbaarheid van data (visiepunt 1 en 2 in samenvatting): in het consultatiedocument staat dat alle stakeholders recht hebben op zorgdata die in hun legitieme informatiebehoefte voorziet en stelt voor dat iedere aandoeningsregistratie een eigen (virtueel)dataloket krijgt waarin de gegevensset, -verzameling en uitvraag worden georganiseerd. Er wordt gesteld dat zorgdata als een nutsvoorziening moet worden beschouwd. Dit roept veel vragen bij ons op. Wat zijn bijvoorbeeld de taken en verantwoordelijkheden van een dergelijk loket en hoe is de governance ingericht? Hoe verhoudt dit loket zich tot de bestaande organisatie rond kwaliteitsregistraties (registratieorganisatie en verwerkers). Bovendien kan zorgdata bedrijfsgevoelige en persoonsgebonden informatie bevatten, hetgeen niet overeen komt met een nutsvoorziening. Met het voorstel van een nutsvoorziening wordt de complexiteit van registraties en het bijbehorende landschap onderschat. Een dergelijke nutsvoorziening is wat ons betreft daardoor onwenselijk.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i>  Vanuit de visie van ROR DGM is in aanvulling op de landelijke governance Kwaliteitsregistraties ook een bepaalde besturing (“governance”) op aandoenings-niveau gewenst. Taken die daarbinnen spelen zijn bijvoorbeeld de vastlegging van de specifieke gegevensset voor de aandoening, het beheer van de gegevensset of specifieke vraagstukken rondom eigenaarschap van data, datakoppeling en privacy. ROR DGM positioneert de wetenschappelijke vereniging samen met patiënten vertegenwoordiging in the lead wat betreft governance op aandoeningsniveau. Op landelijk niveau wordt aansluiting gevonden bij governance KR waarin nu de HLA-partijen vertegenwoordigd zijn.</p> <p>Voor het ‘dataloket’ (wellicht is informatieloket een betere naam) heeft ROR DGM het volgende voor ogen: Iedere persoon of organisatie kan een vraag neerleggen bij het ‘dataloket’. Het ‘dataloket’ bepaalt vervolgens of de data-vrager een legitiem belang/recht heeft op deze data/informatie en hoe deze vraag het best beantwoord kan worden (toepassing van koppelingen, gateways etc). De basis hiervoor is een wettelijke grondslag; die moet wellicht nog verduidelijkt of gecreëerd worden.</p>

	<p>ROR DGM ziet daarbij de geneesmiddelensector ook als een belanghebbende partij.</p> <p>Wij onderkennen de gevoeligheden die er zijn rondom het delen van data. Deze discussie zal per aandoening en per kwaliteitsregistratie ongetwijfeld verder uitgewerkt moeten worden. Om deze discussie enigszins te kunnen faciliteren, heeft het programma ROR DGM de Pharma (via de VIG) en het Zorg Instituut, als stakeholders die een unieke rol hebben bij geneesmiddelen, gevraagd naar hun positioning paper over het gebruik van RWD. Dit is nog in ontwikkeling.</p> <p>Als zorgdata als nutsvoorziening wordt gezien, dan kan na inregelen van alle randvoorwaarden, de zorgdata 'stromen' en zullen minder arbeid en financiën nodig zijn voor dataontvangst, dataverwerking en doorlevering.</p>
	<p>Reactie FMS</p> <p>Daarnaast zijn er onderwerpen die in het consultatiedocument niet geadresseerd worden, zoals: 1) wat is het primaire doel van registreren van informatie over dure geneesmiddelen en 2) wat wordt verstaan onder dure geneesmiddelen, etc.</p>
	<p><i>Toelichting ROR DGM</i></p> <p>Wij kunnen ons voorstellen dat u nog diverse vragen hebt naar aanleiding van het consultatiedocument of het zorgdata landschap in bredere zin. In het gesprek met de FMS van 4 oktober 2022 is reeds gesproken over het organiseren van een bijeenkomst of webinar waarin verschillende partijen die betrokken zijn bij de inrichting van het toekomstig zorginformatie landschap met leden van de FMS in gesprek gaan.</p> <p>Een reactie op de twee vragen:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. De aanleiding voor het programma ROR DGM is de ontwikkeling waarbij steeds meer innovatieve, dure geneesmiddelen vervoegd worden toegelaten tot de markt. Er is op dat moment vaak nog beperkte klinisch relevante informatie over de daadwerkelijke (kosten)effectiviteit en veiligheid van deze geneesmiddelen buiten de onderzoeks-setting. De combinatie van onzekerheid over de precieze effecten voor de patiënt in de praktijk en de hoge kosten van deze middelen, onderstreept het belang van het gestructureerd registreren en goed monitoren van het gebruik van dure geneesmiddelen. Naast deze aanleiding is onderkend dat het belang van (dure) geneesmiddelen voor meer partijen en meer doelstellingen relevant is.</li> <li>2. In de definitie van de NZA is een geneesmiddel 'duur' als de jaarlijkse kosten per patiënt hoger zijn dan € 1000,-. In de uitvoeringstoets van het programma ROR DGM heeft de minister echter het verzoek ingediend om prioriteit te geven aan registers die gerelateerd zijn aan aandoeningen waarbij nieuwe en/of dure geneesmiddelen die op de markt zijn of komen, die vragen om inzicht in effecten en het gebruik in de dagelijkse praktijk: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Geneesmiddelen die in de 'sluis' zijn geplaatst</li> <li>• Geneesmiddelen die in een financieel arrangement zijn opgenomen</li> <li>• Weesgeneesmiddelen, met een weesgeneesmiddelarrangement</li> <li>• Geneesmiddelen uit de risicogerichte beoordeling door het Zorginstituut</li> </ul> </li> </ol>



Zorginstituut Nederland

## Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen (ROR DGM)

Visie en aanpak voor informatie over het gebruik van (dure)  
geneesmiddelen

Datum      12 Juli 2022  
Status     Consultatie



## Colofon

Publicatienummer	
Uitgave	Extra exemplaren kunt u downloaden vanaf <a href="http://www.zorginstituutnederland.nl">www.zorginstituutnederland.nl</a>
Projectnaam	Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen (ROR DGM)
Projectnummer	
Versienummer	
Projectleider	Ir. J.H. Paalvast
Volgnummer	2022023239
Opdracht	Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen
Opdrachtgever	Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport
Opdrachtnemer	Zorginstituut Nederland
Locatie	Diemen
Contactpersoon	Mw. K. Cikot
Auteur(s)	Drs. K. Kooistra
Afdeling	Raad van Bestuur
Team	Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen

## Inhoud

### **Colofon—3**

### **Samenvatting—7**

### **Inleiding—7**

<b>1</b>	<b>Kenmerken van de huidige situatie—13</b>
<b>2</b>	<b>Het belang van informatie over het gebruik van (dure) geneesmiddelen—15</b>
2.1	Visie programma ROR DGM—15
2.2	De beoogde effecten—15
2.3	De betrokken stakeholders—15
2.4	De noodzaak van monitoring—16
<b>3</b>	<b>Governance en financiering—17</b>
3.1	Visie van het programma ROR DGM—17
3.2	De gezamenlijke landelijke governance—17
3.3	Het belang van aandoeningsregistraties—18
3.4	Het dataloket—18
3.5	De governance van aandoeningsregistraties—19
3.6	De (tijdelijke) financiering—19
3.7	Harmonisering—20
<b>4</b>	<b>Inhoud—22</b>
4.1	Visie van het programma ROR DGM—22
4.2	Generieke gegevensset—22
4.3	Aandoeningsspecifieke gegevensset, geneesmiddelen—23
4.4	Aandoeningsspecifieke gegevensset, brede benadering—23
<b>5</b>	<b>Data en IT—25</b>
5.1	Visie van het programma ROR DGM—25
5.2	Het zorgproces is het uitgangspunt—25
5.3	Koppelen van zorgdata—25
5.4	Beperking tot informatie-laag—26
5.5	Conceptueel modelleren—28
<b>6</b>	<b>Internationale aanpak voor ultraweeszakten en –ultra-weesgeneesmiddelen—29</b>
6.1	Visie van het programma ROR DGM—29
6.2	Wat is het uitgangspunt?—29
6.3	In hoeverre is de aanpak voor (ultra)weesgeneesmiddelen anders?—30
6.4	Aansluiting bij al bestaande internationale of Europese initiatieven—30
6.5	Voorstel voor een aanpak—31
6.5.1	Uitwerken van de casestudie metachromatic leukodystrofie (MLD)—31
6.5.2	Bijdragen aan het algemeen raamwerk voor internationale patiëntenregistraties voor ultraweeszakten en de bijbehorende behandelingen.—31
<b>7</b>	<b>De casestudies—32</b>
7.1	Over de casestudies—32
7.2	Verbreiding—33

**8 Actieplan—34**

- 8.1 Acties op het gebied van governance en finance—34
- 8.2 Acties op het gebied van inhoud—34
- 8.3 Acties op het gebied van data/IT—34
- 8.4 Actie op het gebied van internationale aanpak—35
- 8.5 Acties op het gebied van de casestudies—35
- 8.6 Overige acties—35

**9 Vervolg—36**

**Bijlage 1: Doelstelling en resultaten casestudie 1 – PLCRC—37**

**Bijlage 2: Doelstelling en resultaten casestudie 2 – HemoNED—41**

**Bijlage 3: Doelstelling en resultaten casestudie 3 – MLDi—44**

**Bijlage 4: Doelstelling en resultaten casestudie 4 – MM—48**

**Bijlage 5: Overzicht van de dataverzamelingen—53**

**Bijlage 6: Gebruik van data voor de ontwikkeling van klinische richtlijnen, *decision tools*, samen beslissen en pakketbeheer—55**

**Bijlage 7: Overzicht van internationale initiatieven—57**

**Bijlage 8: Conceptueel modelleren—59**





## Samenvatting

Zorginstituut Nederland is op verzoek van het Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS) in april 2019 gestart met het project Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen (ROR DGM). Dit programma streeft naar "eenduidige ziekte-specifieke registraties waarin dure geneesmiddeleninformatie is geborgd". Het programma is opgezet door VWS en wordt uitgevoerd door het Zorginstituut. Hierbij is het Zorginstituut is een belanghebbende partij, vanwege haar pakketbeheertaak, maar de scope van het programma betreft alle stakeholders en hun perspectieven.

Aanleiding voor het programma ROR DGM is de ontwikkeling waarbij steeds meer innovatieve, dure geneesmiddelen worden toegelaten tot de markt. Er is op dat moment vaak nog beperkte klinisch relevante informatie over de daadwerkelijke (kosten)effectiviteit en veiligheid van deze geneesmiddelen. De combinatie van onzekerheden over het precieze effect voor patiënten in de praktijk en de hoge kosten van deze middelen, onderstreept het belang van het gestructureerd registreren en goed monitoren van het gebruik van dure geneesmiddelen.

Binnen het programma ROR DGM zijn vier casestudies geselecteerd waarmee leerervaring uit de praktijk zijn opgedaan en die een bijdrage hebben geleverd aan onze visie en aanpak.

### Visie

De analyse van ROR DGM heeft geleid tot de volgende visie:

1. De informatie over het gebruik van dure geneesmiddelen moet beschikbaar zijn voor meerdere stakeholders, die op basis van hun gelegitimeerde grondslagen toegang kunnen krijgen tot deze informatie.

Goede en volledige zorgdata zijn relevant voor alle stakeholders. ROR DGM onderscheidt hierin de patiënten, de zorgverleners, de onderzoekers, overheid, zorgverzekeraars én de farmaceutische industrie als stakeholders. Met data uit de dagelijkse praktijk, ook wel Real World Data (RWD) genoemd, kan de inzet van diagnostiek, behandelingen en geneesmiddelen vergeleken en geëvalueerd worden. Dit is nodig voor het verbeteren van de effectiviteit, doelmatigheid, kwaliteit van zorg, pakketbeheer, het doen van wetenschappelijk onderzoek, samen beslissen en de post-marketing surveillance. Om de privacy van de patiënt te waarborgen hebben de stakeholders enkel recht op zorgdata die in hun legitieme informatiebehoefte voorziet. De grondslagen hiervoor worden door elke stakeholder aangegeven.

2. De informatie over het gebruik van dure geneesmiddelen moet bij voorkeur onderdeel uitmaken van een aandoeningsregistratie.

ROR DGM stelt een aandoenings-specifieke wijze van registreren voor, waarin het gebruik van geneesmiddelen onderdeel is. Op deze manier kunnen alle relevante gegevens van alle patiënten met een bepaalde aandoening vastgelegd worden. Deze aandoeningsregistraties moeten een landelijke dekking hebben.

Iedere aandoeningsregistratie krijgt een eigen (virtueel) dataloket, waarin de gegevensset, gegevensverzameling en uitvraag worden georganiseerd.

3. Een governance op aandoeningsniveau is nodig om in de informatiebehoefte van alle stakeholders te voorzien en is aanvullend op de landelijke governance.

In het eerder uitgebrachte rapport "Governance en Financiering" heeft ROR DGM geadviseerd om de governance van geneesmiddelenregistraties zoveel mogelijk af te stemmen op de governance van kwaliteitsregistraties.

Vanuit ROR DGM onderstrepen wij het belang van aandoeningsregistraties en daarmee het inrichten van een goede governance op aandoeningsniveau. Deze moet aansluiten bij de landelijke governance. De aandoenings-governance kan de ontwikkeling van de aandoeningsregistratie en de ontsluiting van informatie ondersteunen. ROR DGM stelt voor om de governance te laten bestaan uit wetenschappelijke verenigingen, patiëntenorganisaties, zorgverzekeraars en, optioneel, de overheid.

ROR DGM heeft geadviseerd om aandoeningsregistraties vanuit publieke middelen te financieren. Voor de huidige casestudies wordt gekeken in hoeverre aanvullende financiering gewenst en mogelijk is.

4. Binnen de aandoeningsregistratie wordt een gezamenlijke gegevensset vastgesteld die voorziet in de informatiebehoefte van alle stakeholders.

Vanuit ROR DGM zetten wij de inhoud centraal. Om de inhoud te bepalen is een generieke gegevensset opgesteld die inzichtelijk maakt welke (soort) gegevens nodig zijn. Per aandoening kan deze gegevensset worden aangevuld met specifieke kenmerken tot een aandoenings-specifieke gegevensset. Daarnaast kan op basis van het geneesmiddel of de onderzoeksvraag, eventueel tijdelijk, additionele data verzameld worden. De in ROR DGM ontwikkelde D4-procedure is een handreiking voor nationale registers om te komen tot een aandoenings-specifieke gegevensset die verrijkt kan worden met gegevens uit andere projecten.

Bij de vaststelling van de gegevensset worden alle stakeholders betrokken, waardoor alle relevante gegevens worden benoemd. Tevens zorgt die betrokkenheid en evenwicht ervoor dat de gegevensset niet onnodig groot wordt.

5. De gegevensset moet gestructureerd en gestandaardiseerd (bijvoorbeeld via ZIB's) in het primaire zorgproces worden vastgelegd.

Niet het opzetten van registers is het doel, maar de beschikbaarheid en bruikbaarheid van goede data. Het merendeel van de gewenste gegevens wordt al vastgelegd in het primaire zorgsystemen, zoals het Elektronisch Patiëntdossier (EPD), PROMs applicaties en specifieke registers. Een knelpunt voor goede systematische registratie van klinische uitkomsten ligt onder andere in het ontbreken van gestructureerde informatieelden in het EPD. Hierdoor moeten gegevens vaak handmatig bewerkt worden om ze toegankelijk en bruikbaar te maken voor analyse. In de verdere ontwikkeling van het EPD moet de focus dan ook liggen op het eenmalig gestandaardiseerd vastleggen van gegevens voor meervoudig gebruik. De informatie in het zorgproces moet zoveel mogelijk worden vastgelegd (geregistreerd) op basis van standaarden, zoals Zorginformatiebouwstenen (ZIB's).

De knelpunten die vanuit ROR DGM worden herkend, zoals het koppelen via BSN en

compliance van EPD's, worden geadresseerd vanuit het Informatieberaad en het obstakel-verwijdertraject van Health-RI.

6. De registratie van (ultra)weesgeneesmiddelen moet in internationaal verband worden beschouwd.

De (ultra)weesgeneesmiddelen worden gezien als specifieke categorie geneesmiddelen, waarvoor een andere benadering nodig is. Vanwege de kleine patiënten aantallen is het wenselijk registers in internationaal verband op te zetten. ROR DGM is betrokken bij de internationale ontwikkelingen zoals Darwin en de European Health Data Space.

### **Actieplan**

Vanuit de visie op het informatielandschap heeft ROR DGM een plan van aanpak ontwikkeld om de regierol daadkrachtig in te vullen. Hierin worden de bestaande casestudies verder begeleid naar een gewenste eindsituatie, met passende governance, inhoud, data en bijbehorende financiering. Naast de bestaande casestudies, zullen ook nieuwe onderwerpen worden geselecteerd. De selectiecriteria hiervoor zijn in ontwikkeling.

Het programma ROR DGM ziet vanaf 2023 een nieuwe rol voor zichzelf in een nog te vormen organisatie die bestaande en nieuwe registers begeleidt naar de gewenste eindsituatie: aandoeningsregisters met waarborging van de perspectieven en belangen van alle stakeholders. Door zorgdata als 'nutsvoorziening' te beschouwen, wordt het maatschappelijk belang van deze informatie beter belicht.

Op dit moment zijn verschillende organisaties betrokken bij vraagstukken over het verbeteren van het informatielandschap in de zorg. Het oplossen van deze vraagstukken gebeurt veelal zonder duidelijke landelijke regie. De projecten en programma's zijn opgestart met verschillende doelstellingen en hebben verschillende stakeholders en aansturing vanuit verschillende ministeries. Vanuit ROR DGM adviseren wij om aan te sturen op harmonisatie van deze projecten en programma's. Een eerste stap richting de ideale situatie op het informatielandschap wordt gezet met het harmonisatieproject rondom darmkanker in samenwerking met programma Uitkomstgerichte Zorg en Health-RI.

In de komende periode zal ROR DGM zich actief inzetten om samen met stakeholders en andere projecten te werken naar de ideale eindsituatie waarin informatie over (dure) geneesmiddelen in de aandoeningsregistraties geborgd wordt.

## Inleiding

Zorginstituut Nederland is op verzoek van het Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS) in april 2019 gestart met het project Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen (ROR DGM). Dit project streeft naar "eenduidige ziekte-specifieke registraties waarin dure geneesmiddeleninformatie is geborgd". Het programma is opgezet door VWS en wordt uitgevoerd door het Zorginstituut. Het Zorginstituut is een belanghebbende partij, vanwege haar pakketbeheertaak, maar de scope van het programma betreft alle stakeholders en hun perspectieven.

Aanleiding voor het project ROR DGM is de ontwikkeling waarbij steeds meer innovatieve, dure geneesmiddelen worden toegelaten tot de markt. Er is op dat moment vaak nog beperkte klinisch relevante informatie over de daadwerkelijke (kosten)effectiviteit en veiligheid van deze geneesmiddelen. De combinatie van onzekerheden over het precieze effect voor patiënten in de praktijk en de hoge kosten van deze middelen onderstreept het belang van het monitoren van deze dure geneesmiddelen in de dagelijkse praktijk.

### **Over het programma ROR DGM**

Er is behoefte aan een duidelijke visie en daadkracht op het gebied van registratie van het gebruik van (dure) geneesmiddelen. Voor meerdere doeleinden (zie hoofdstuk 2) is er een noodzaak om (dure) geneesmiddelen te monitoren in de dagelijkse praktijk. Uit overleggen met stakeholders (zie hoofdstuk 3) en vanuit de casestudies blijkt dat het belang hiervan breed gedeeld wordt.

De huidige aanpak van gegevensverzameling voor geneesmiddelen is echter niet goed gestructureerd en beperkt toegankelijk. Het programma ROR DGM moet een gestructureerde aanpak geven om te komen tot een informatielandschap waar alle partijen met een gerechtvaardigde behoefte informatie over dure geneesmiddelen kunnen ophalen.

Het programma beperkt zich vooralsnog tot de medisch-specialistische zorg, met een focus op de intramurale geneesmiddelen. Daarbij is de verwachting dat gemaakte afspraken en gekozen oplossingen ook toepasbaar zijn op andere zorgdomeinen.

Meer informatie over het programma is te vinden op de pagina [Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen \(ROR DGM\) op de website van Zorginstituut Nederland](#).

### **Over dit consultatiedocument**

Dit document beschrijft de huidige stand van zaken en het belang van goede informatievoorziening van het gebruik van (dure) geneesmiddelen. Het document geeft de ontwikkelde visie op besturing (governance en financiering), op inhoud en op het gebied van data/IT. Daarnaast beschrijft het de vier casestudies die gedurende twee jaar (2021-2022) worden gevolgd en begeleid en die belangrijke input hebben gegeven voor de hier beschreven visie.

Dit document benoemt de concrete acties die nodig zijn voor het verbeteren van de inhoud en organisatie van het zorginformatielandschap. En wel op zo'n manier dat het gebruik van (dure) geneesmiddelen in de dagelijkse praktijk de gewenste nuttige informatie oplevert. Het Programma ROR DGM neemt daarbij het voortouw in de harmonisatie van diverse relevante programma's.

### **De consultatievragen**

De consultatie is bedoeld om input te vragen van alle betrokken stakeholders bij de casestudiefase van het programma. Wij vernemen graag uw mening: zijn wij op de goede weg zijn of is bijsturing nodig.

Het programma heeft een aantal specifieke vragen aan u over de consultatie:

1. Kunt u zich vinden in de geformuleerde visie over het gebruik van informatie van (dure) geneesmiddelen?
2. Bent u het eens met de aanpak en vervolgacties?
3. Heeft u suggesties en aanvullingen?
4. Hoe denkt u dat u of uw organisatie kan bijdragen in het traject naar het gewenste zorgdata-landschap?

De feedback op de consultatie zullen wij bespreken met VWS (de opdrachtgever) én met de stakeholders. De gesprekken over de consultatie worden gepland voor september en oktober 2022. Op basis van de gesprekken en feedback zal een definitieve visie, met bijbehorende aanpak, worden gepubliceerd.



## 1 Kenmerken van de huidige situatie

In het programma ROR DGM is een aantal belangrijke observaties gedaan van de huidige situatie ten aanzien van registers. Hierbij is o.a. gebruik gemaakt van de inventarisatie van patiëntenregistraties, zoals beschreven in het rapport [‘Inventarisatie patiëntenregistraties voor de monitoring van dure, medisch-specialistische geneesmiddelen’](#). Onderstaand een aantal kenmerken van de huidige situatie, zoals door vanuit het programma waargenomen.

1. Zorgdata bevatten een schat aan informatie uit de dagelijkse praktijk. Dit potentieel wordt momenteel echter onvoldoende benut. Het is niet goed mogelijk om zorgdata te gebruiken voor het bewaken en verbeteren van zorgkwaliteit of de doelmatigheid. Of voor wetenschappelijk onderzoek, pakketbeheer, zorginkoop of post-marketing surveillance. Ook is het vaak niet mogelijk om de patiënt adequaat van goede informatie te voorzien, bijvoorbeeld over de te verwachten uitkomsten en bijwerkingen.
2. Registraties worden vanuit de huidige logica vaak met een specifiek doel en een beperkte scope opgestart. Voorbeelden hiervan zijn de verplichte *post-marketing surveillance* en de onderzoeken naar gepast gebruik van geneesmiddelen na markttoelating. Met deze logica zijn diverse registers (samengestelde bronnen) ontstaan die gebruikmaken van dezelfde primaire bronnen maar die afzonderlijk van elkaar zijn georganiseerd. Dit gefragmenteerd zorginformatielandschap bemoeilijkt de bruikbaarheid en toegankelijkheid van informatie in registraties.
3. Er is geen centrale coördinatie en het ontbreekt aan duidelijke overzichten van registers. De registers zijn enerzijds registraties met een specifieke invalshoek voor een ziektebeeld (zoals kwaliteitsregistraties, patiëntenregistraties over dure geneesmiddelen) of anderzijds verzamelingen met gegevens over de ziekenhuiszorg van alle ziekenhuizen (zoals LBZ, DIS of declaratiegegevens).
4. De informatie-vragende partijen zijn zorgverleners, ziekenhuizen, patiënten, patiëntenverenigingen, zorgverzekeraars, onderzoekers, (farmaceutische) bedrijven en de overheid. En bij overheid kan dan gedacht worden aan het Zorginstituut, LAREB, het Centraal Bureau voor de Statistiek (CBS), de Nederlandse Zorgautoriteit (NZa), de Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd (IGJ) en VWS. Registers worden vaak door de vragende partijen opgezet of geschikt gemaakt. De verzamelde data zijn hierdoor erg selectief en beperkt. Stopt de informatievraag, bijvoorbeeld door beantwoording van de onderzoeksvraag of door het aflopen van de financiering, dan eindigt daarmee ook de dataverzameling in het register.
5. Een deel van de benodigde gegevens over de patiënt en de uitkomsten van het zorgtraject, oftewel de gezondheidsdata, wordt vastgelegd in het Elektronisch Patiënten Dossier (EPD) van ziekenhuizen en andere zorgorganisaties. Het EPD is daarmee de primaire maar niet de enige bron van informatie. De vastlegging van gegevens is echter veelal niet gestandaardiseerd en eenduidig wat meervoudig gebruik en een lerend zorgsysteem bemoeilijkt. Ook het werken met vrije tekstvelden zorgt er voor dat bepaalde data niet makkelijk te verwerken is. Voor geneesmiddelen komt daar nog bij dat de benodigde informatie veelal in verschillende systemen wordt vastgelegd.

6. Zowel de primaire als de samengestelde gegevensverzamelingen zijn beperkt toegankelijk en bruikbaar. De kwaliteit van de registratie in de primaire en samengestelde bronnen is wisselend. Daarnaast zijn gegevens uit verschillende bronnen moeilijk aan elkaar te koppelen door gebrek aan interoperabiliteit, privacy-technische bezwaren en commerciële belangen. Het niet kunnen volgen van patiënten over (samenwerkende) zorginstellingen heen leidt tot onnodig kwaliteitsverlies en kosten.
7. In de huidige situatie is het samenstellen en bijhouden van registers zeer arbeidsintensief. Data uit het EPD moeten vaak handmatig worden bewerkt om ze toegankelijk te maken en beschikbaar te stellen voor analyses over meerdere ziekenhuizen. Dat komt doordat informatie soms in vrije tekstvelden wordt opgeslagen, als gevolg van het ontbreken van gestructureerde velden. Doordat alle registers afzonderlijk van elkaar georganiseerd zijn, wordt data op meerdere plekken verzameld. Hierdoor ontstaat veel overlap in data.
8. In registraties mogen (bijzondere) persoonsgegevens zoals het BSN niet worden verwerkt. Het niet kunnen gebruiken van een unieke identifier als BSN bemoeilijkt het koppelen van diverse registraties en daarmee het monitoren van de kwaliteit van de zorg en het gebruik van dure geneesmiddelen.
9. Het ontbreekt aan oplossingen voor een duurzame, onafhankelijke financiering van registraties en gegevensontsluiting in het informatielandschap.
10. Alle partijen proberen vanuit hun eigen informatiebehoefte afspraken te maken met een of meer samengestelde of primaire bronnen. In de praktijk is dit niet eenvoudig, vanwege een scala aan organisatorische, inhoudelijke, juridische, administratieve en technische knelpunten.
11. Veel belangrijke initiatieven, projecten, wetgevingstrajecten en partijen zijn bezig met vraagstukken over het verbeteren van het informatielandschap. Dat doen ze vanuit verschillende invalshoeken en met verschillende opdrachten. Zij richten zich ieder op een ander deel van het landschap, om te komen tot optimale, uniforme registratie, beheer en uitwisseling van zorgdata. Ook is men binnen de afbakening van de projecten bezig met het opstellen van inhoudelijke, technische en juridische kaders en het vormgeven van een governance.
12. De opdracht van ROR DGM om regie te nemen op het informatielandschap rondom dure geneesmiddelen kan alleen worden uitgevoerd in samenhang en samenwerking met de aanpalende projecten, betrokken stakeholders en VWS. We zien ook een rol weggelegd voor Health-RI middels het obstakel verwijder traject.



## 2 Het belang van informatie over het gebruik van (dure) geneesmiddelen

### 2.1 Visie programma ROR DGM

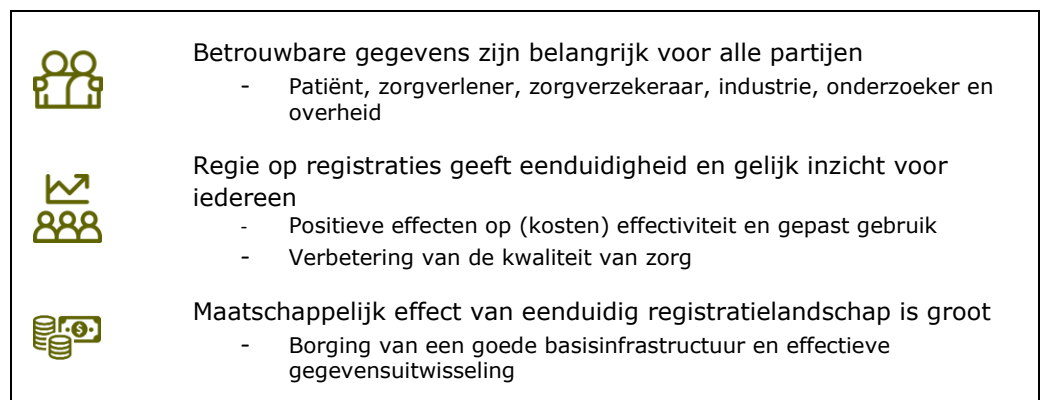
De visie van het programma ROR DGM op het belang van informatie over het gebruik van dure geneesmiddelen is als volgt:

- Om de zorg goed en toegankelijk te houden voor iedereen in Nederland, met passende zorg, is het noodzakelijk de inzet van dure geneesmiddelen te kunnen monitoren in de dagelijkse praktijk.
- Wij erkennen dat patiënten, zorgverleners, zorgverzekeraars, onderzoekers, overheid en farmaceutische industrie allemaal belang hebben bij een goed informatielandschap voor het monitoren van dure geneesmiddelen.
- Om de administratielast van de registrerende zorgverleners te beperken, moeten de stakeholders hun informatiebehoefte afstemmen en eenduidig formuleren.

### 2.2 De beoogde effecten

Er is een noodzaak om (dure) geneesmiddelen te monitoren in de dagelijkse praktijk. We streven daar de volgende effecten mee na.

Figuur 1 | Het belang van zorgdata in registraties



### 2.3 De betrokken stakeholders

Het programma ROR DGM onderscheidt de volgende belanghebbenden, ofwel stakeholders:

- Patiënten, inclusief patiëntenverenigingen
- Zorgverleners, inclusief ziekenhuizen en beroepsorganisaties
- Zorgverzekeraars
- Overheid (Zorginstituut, VWS, IGJ, NZa)
- Onderzoekers
- (Farmaceutische) industrie

Figuur 2 | Verschillende perspectieven van de stakeholders



## 2.4

### De noodzaak van monitoring

Bruikbare informatie over het gebruik van dure geneesmiddelen in de praktijk, maar ook van diagnostiek en andere behandelingen, is voor al deze stakeholders van belang. Zij hebben verschillende doelen en soms overlappende perspectieven. Bijvoorbeeld:

- Het krijgen van informatie over het klinische effect en de bijwerkingen, van diagnostiek en behandeling. Dit helpt bij de plaatsbepaling van dure geneesmiddelen in het behandelarsenaal, het bepalen van de optimale patiëntenpopulatie en uiteindelijk bij de richtlijnontwikkeling.
- Het leveren van keuze-informatie, voor het "samen beslissen". Bij voorkeur wordt hierbij informatie gegeven over "patiënten zoals ik".
- Het bieden van transparantie over de kwaliteit van de geleverde zorg. Spiegelinformatie kan bijvoorbeeld bijdragen bij het verbeteren van de kwaliteit, met gerichte en doeltreffende inzet van diagnoses, behandelingen en geneesmiddelen.
- Het beoordelen van de kosteneffectiviteit. Gebruik van zorgdata kan doelmatige inzet van dure geneesmiddelen ondersteunen.
- Het verkrijgen van stuurinformatie, voor bijvoorbeeld het optimaliseren van bedrijfsprocessen in het ziekenhuis.
- Het ondersteunen van de zorginkoop.
- Het uitvoeren van wetenschappelijk onderzoek. Informatie uit de dagelijkse praktijk kan gebruikt worden bij geneesmiddelonderzoek, kwaliteit van zorg onderzoek en health technology assessment.
- Snellere beschikbaarheid van dure geneesmiddelen voor patiënten, doordat de *post-marketing surveillance* sneller en efficiënter kan worden opgezet.

## 3 Governance en financiering

### 3.1 Visie van het programma ROR DGM

De visie van het programma ROR DGM op governance en financiering is als volgt:

- Er moet een meer gezamenlijke, landelijke governance komen op het vastleggen en het (her)gebruik van zorgdata. Daarin moeten alle stakeholders vertegenwoordigd zijn.
- Om de effecten van geneesmiddelen te kunnen beoordelen, moet informatie over diagnostiek, behandeling en inzet van geneesmiddelen worden bijgehouden in aandoeningsregistraties. Daarin moeten ook patiënten zijn opgenomen met andere behandelingen of zonder behandeling. Nieuwe geneesmiddelenregistraties moeten niet meer worden opgericht en bestaande geneesmiddelenregistraties moeten overgaan in aandoeningsregistraties.
- Voor elke aandoeningsregistratie komt er een (virtueel) dataloket, waarin de gegevensset, gegevensverzameling en uitvraag worden georganiseerd.
- Er moet duurzame financiering komen voor aandoeningsregistraties. Voordat een structurele oplossing is gevonden, is tijdelijke financiering vereist.
- Alle stakeholders kunnen bruikbare data en analyses aanvragen bij het dataloket, op basis van hun wettelijke grondslag en bijbehorende legitieme informatiebehoefte.
- Harmonisering is nodig voor UZ, ROR DGM en Health-RI die (deels) overeenkomstige uitgangspunten, doelstellingen en aanpak hebben voor de informatiebehoefte in de MSZ. De regie hiervoor ligt bij VWS, maar vanuit de programma's kan ook samenhang georganiseerd worden.
- Mogelijk kan aanvullende wetgeving helpen te voorzien in de informatiebehoefte van de stakeholders. De privacy van de burger in de aandoeningsregistraties moet beschermd zijn.

### 3.2 De gezamenlijke landelijke governance

In het [Advies 'Governance & Financiering van project Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen'](#), dat eerder in het kader van dit project is uitgebracht aan VWS, onderstrepen we de noodzaak van een gezamenlijke, landelijke governance en financiering voor registraties. In dat advies bevelen we aan om geen separate governance en financiering voor geneesmiddelen te ontwikkelen, maar om aansluiting te zoeken bij de governance van kwaliteitsregistraties in de medisch-specialistische zorg. Dit advies is overgenomen in de brief van de staatssecretaris van VWS aan de Tweede Kamer van 17 december 2021 over de ['Stand van zaken Regie op registers dure geneesmiddelen'](#).

ROR DGM ziet enkele noodzakelijke aanvullingen van de scope van het wetsvoorstel 'kwaliteitsregistraties medisch-specialistische zorg':

- Een bredere doelomschrijving, zodat in de behoeften van alle stakeholders wordt voorzien. De data kunnen dan niet alleen worden gebruikt voor het verbeteren van de kwaliteit van zorg (meten, verbeteren en samen beslissen), maar bijvoorbeeld ook voor onderzoek, pakketbeheer, zorginkoop en monitoring voor medicijnveiligheid.

- Uitbreiding van de wettelijke grondslag voor het verwerken van (bijzondere) persoonsgegevens en de verplichte aanlevering, zodat deze grondslag niet uitsluitend geldt voor landelijke kwaliteitsregistraties.
- De mogelijkheid om data te koppelen, met bijvoorbeeld het BSN als koppelsleutel.
- Toevoeging van de specifieke gegevens voor de monitoring van geneesmiddelen.

### 3.3 Het belang van aandoeningsregistraties

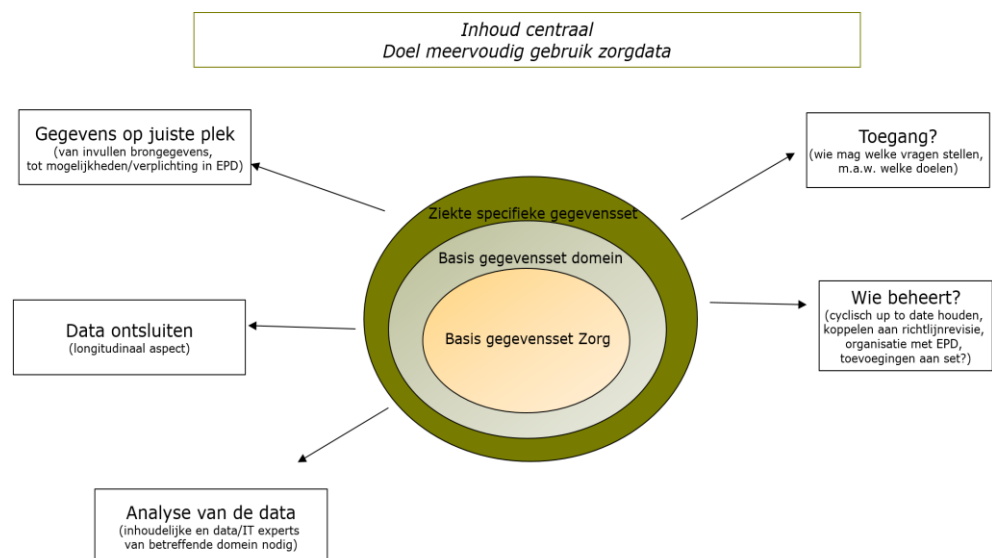
Het is van belang om de informatie van alle patiënten met een bepaalde aandoening vast te leggen. Zo kunnen de uitkomsten van diagnostiek, behandelingen en geneesmiddelen met elkaar vergeleken worden. Het is daarom wenselijk om registraties aandoenings-specifiek op te zetten. In die registraties moet de informatie over het gebruik van dure geneesmiddelen zijn opgenomen. Waar mogelijk moet worden afgezien van separate geneesmiddelregistraties die alleen gegevens verzamelen van patiënten die het geneesmiddel krijgen.

De aandoeningsregistraties moeten een landelijke dekking hebben. Ze moeten waar mogelijk ook aansluiten op relevante internationale initiatieven. Door alle stakeholders te betrekken, leggen we alle relevante gegevens en uitkomsten vast en waarborgen we dat de gegevenssets niet onnodig groot worden. Het is aan de beroepsgroep om het domein van de aandoeningsregistratie te bepalen. Vanuit ROR DGM zou bijvoorbeeld een longkanker registratie de voorkeur hebben boven een breder longziekte registratie.

### 3.4 Het dataloket

Binnen een aandoeningsregistratie moet een (virtueel) dataloket worden opgezet. In dit dataloket worden de gegevensset, de gegevensverzameling, koppeling van bronnen en de informatie-uitvraag van de verschillende partijen georganiseerd. Met aandoenings-specifieke registers wordt de expertise in het veld optimaal benut. Het dataloket faciliteert toegang, bewaakt de kwaliteit van data en helpt bij het juist analyseren, interpreteren en gebruiken van de data. Tevens zal het dataloket een belangrijke rol spelen bij het borgen van privacy.

Figuur 3 | Aandoeningsregistraties



3.5

**De governance van aandoeningsregistraties**

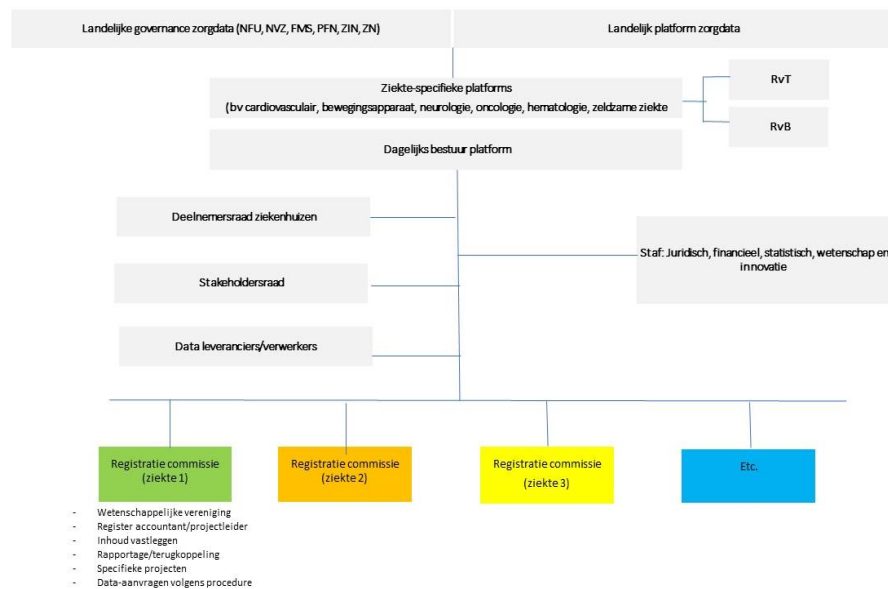
Het advies van ROR DGM is om per aandoening een aandoeningsregistratie met bijbehorende governance in te richten, als aanvulling op de landelijke governance. De landelijke governance geeft de kaders en op aandoeningsniveau is de inrichting per aandoening met bijbehorende specifieke registers, stakeholders en vraagstukken. We bevelen aan om de governance te laten bestaan uit wetenschappelijke verenigingen, patiëntenverenigingen, zorgverzekeraars en, optioneel, de overheid – in de vorm van het Zorginstituut, vanwege haar taak als pakketbeheerder. ROR DGM gaat in de komende maanden de governance verder uitwerken.

Deze benadering waarborgt dat de specifieke wetenschappelijke verenigingen, patiëntenverenigingen en zorgverzekeraars binnen de aandoening in één keer afspraken kunnen maken over de invulling van de informatiebehoefte van de stakeholders. Dit gebeurt in overleg met de bestaande registers.

ROR DGM adviseert dat de wetenschappelijke vereniging van het betreffende aandoeningsgebied, vanuit haar inhoudelijke expertise, een leidende rol krijgt bij het maken van de afspraken.

Als stip op de horizon zien we mogelijkheden om alle zorgdata te koppelen, zodat het ook mogelijk is een patiënt te volgen die meerdere aandoeningen heeft.

Figuur 4 | Voorbeeld van governance van een aandoeningsregister



3.6

**De (tijdelijke) financiering**

Structurele financiering om aandoeningsregistraties op te zetten en onderhouden is nodig voor een duurzaam registratielandschap. In juni 2021 bracht ROR DGM het [advies 'Governance & Financiering van project Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen'](#) uit aan het ministerie van VWS. Daarin werd de publieke verantwoordelijkheid genoemd voor de continuïteit en financiering van registraties.

Conform dit advies is VWS, met ondersteuning van het programma, bezig met het

vaststellen van de criteria en het beschikbare bedrag voor tijdelijke ondersteuning. Het bedrag is beperkt en niet dekkend voor de (tijdelijke) financiering van het volledige gewenste registerlandschap voor dure geneesmiddelen. VWS onderzoekt op welke wijze een structurele financiering kan worden aangeboden, in samenhang met de huidige financieringsoplossing voor het project 'Governance van Kwaliteitsregistraties'. Mocht aansluiting bij dit project niet mogelijk zijn, dan is een alternatieve financieringsoplossing nodig.

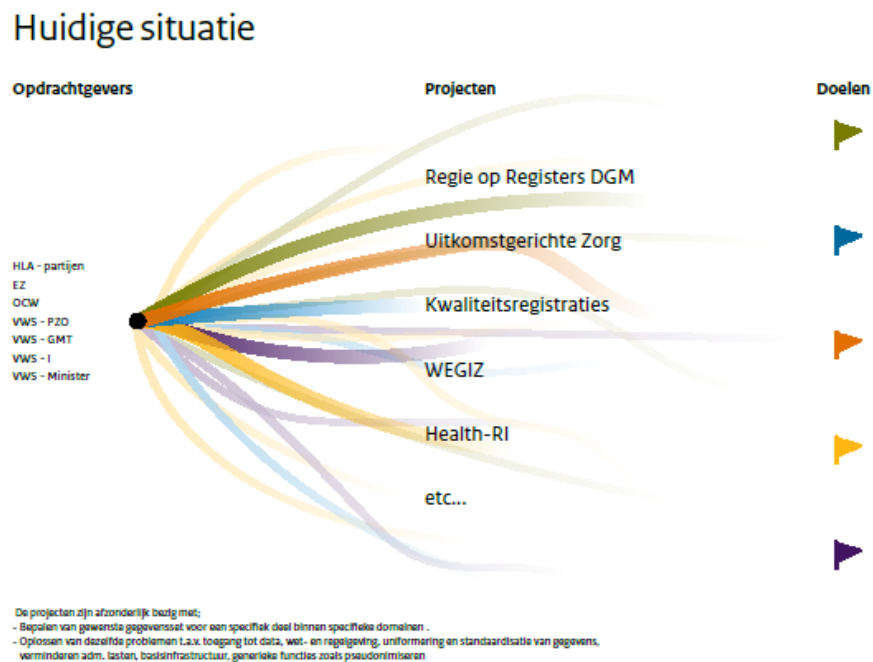
### 3.7

#### Harmonisering

Op dit moment zijn verschillende organisaties betrokken bij vraagstukken over het verbeteren van het informatielandschap in de zorg. Het oplossen van deze vraagstukken gebeurt zonder duidelijke landelijke regie. ROR DGM ziet op dit moment de meeste raakvlakken met de programma's Kwaliteitsregistraties, Uitkomstgerichte Zorg, Health-RI, de wet Elektronische Gegevensuitwisseling in de Zorg (Wegiz) en *Health Outcomes Observatory* (H2O).

Deze projecten en programma's zijn opgestart met verschillende doelstellingen en hebben verschillende stakeholders en aansturing vanuit verschillende directies van VWS, het ministerie van Economische Zaken (EZ) of het ministerie van Onderwijs, Cultuur en Wetenschap (OCW). De projecten en programma's gaan allemaal over een gedeelte van het landschap dat nodig is om te komen om tot uniforme registratie, beheer en uitwisseling van zorgdata. Ook is men binnen de afbakening van de projecten afzonderlijk bezig met het opstellen van inhoudelijke, technische en juridische kaders en met het vormgeven van een governance.

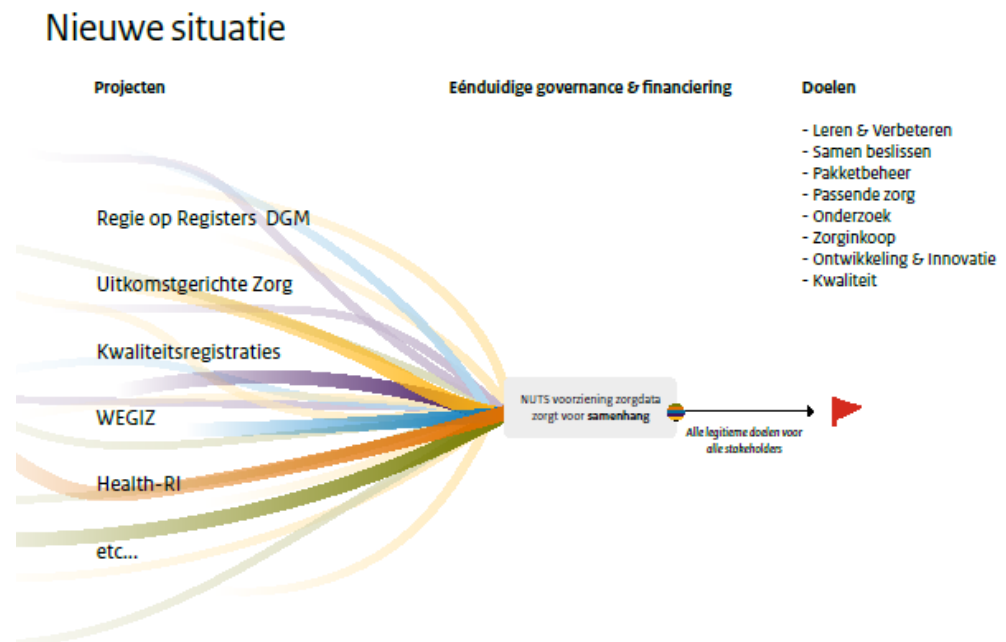
Figuur 5 | Huidige situatieschets projecten



Wij adviseren om te sturen op de samenhang van deze projecten en programma's. Idealiter wordt uiteindelijk binnen de verschillende aandoeeningen een aandoeeningsspecifiek register ingericht, de 'Nutsvoorziening zorgdata'. Bij dat register kunnen één of meerdere bestaande registers aangesloten zijn. Daarmee kunnen alle doelstellingen van de stakeholders worden gerealiseerd.

In de governance op aandoeningsniveau kunnen specifieke afspraken en autorisatieprocedures worden vastgelegd die zorgen voor de toegang tot de data voor gelegitimeerde afnemers. Daarnaast kan het dataloket verantwoordelijk zijn voor het beheer, onderhoud en de doorontwikkeling van de gegevensset. Dit wordt ook genoemd in het [appel voor centrale regie op het zorginformatielandschap](#), dat is opgesteld door de expertisegroep van ROR DGM. Een zorg-brede, landelijke coördinatie en aanpak die is gebaseerd op de overeengekomen data, geeft de mogelijkheid tot duurzame gegevensuitwisseling, waarvan informatie rondom het gebruik van geneesmiddelen één van de elementen is.

Figuur 6 | Situatieschets gewenste samenhang projecten



## 4 Inhoud

### 4.1 **Visie van het programma ROR DGM**

De visie van ROR DGM op de inhoud van de registraties is als volgt:

- De beschikbaarheid en bruikbaarheid van relevante en kwalitatief goede data om de zorg te verbeteren is het doel, niet het opzetten van registers.
- Per aandoening komt een generieke gegevensset die aangevuld moet worden met aandoeningsspecifieke items. Daarnaast kan op basis van het geneesmiddel of de onderzoeksvraag, eventueel tijdelijk, additionele data verzameld worden.
- De D4-procedure die door ROR DGM wordt ontwikkeld, is een handreiking voor nationale registraties en gaat over het bepalen van een aandoeningsspecifieke gegevensset.
- Bij veranderingen in de informatiebehoefte van de stakeholders kan de gegevensset worden geactualiseerd.

### 4.2 **Generieke gegevensset**

Binnen een goed functionerende aandoeningsregistratie worden betrouwbare gegevens verzameld over de behandeling van de patiënt, inclusief gegevens over het gebruik van dure geneesmiddelen en de gezondheidseffecten daarvan. In het programma ROR DGM is een generieke gegevensset opgesteld die inzichtelijk maakt welke (soort) gegevens nodig zijn voor het monitoren van het verloop van een ziekte in de dagelijkse praktijk, en van het gebruik van dure geneesmiddelen voor die ziekte. Per aandoening kan deze gegevensset met aandoeningsspecifieke kenmerken worden aangevuld tot een aandoeningsspecifieke gegevensset.

Geneesmiddelen en bijbehorende diagnostiek zijn onderdeel van de behandeling binnen een zorgpad van de patiënt en hebben een relatie met verschillende categorieën van uitkomsten. In een gegevensset onderscheiden we de volgende elementen:

- De relevante patiëntkenmerken.
- Ziektekenmerken, inclusief diagnostische en prognostische kenmerken.
- De interventies en behandelingen, inclusief dosering, toedieningsroute en locatie van toediening (thuis of in zorginstelling).
- Uitkomstmaten:
  - o klinische uitkomsten;
  - o patiënt gerapporteerde uitkomsten (PROMs), inclusief EQ-5D voor kosteneffectiviteitsberekeningen;
  - o bijwerkingen, met name nieuwe bijwerkingen, ernstige bijwerkingen en bijwerkingen waarvoor aanpassing van het beleid nodig is;
  - o zorgconsumptie, zoals het aantal ligdagen, poliklinische consulten of SEH-bezoeken;
  - o procesuitkomsten.

Het gaat nadrukkelijk om zorggegevens van alle medisch specialistische zorg en op termijn ook om de gegevens uit persoonlijke gezondheidsomgevingen (PGO's), de eerste lijn of andere zorginstellingen. Deze gegevens zijn al deels opgenomen in de [Basisgegevensset Zorg](#).



Figuur 7 | Schematische weergave gegevensset per aandoening



4.3

#### **Aandoeningsspecifieke gegevensset, geneesmiddelen**

Samen met de expertisegroep heeft het programma ROR DGM een procedure (D-4) ontwikkeld om de definitieve gegevensset per aandoening vast te stellen. Het is een vereiste dat alle stakeholders bij deze procedure betrokken zijn. Naast de generieke gegevensset moet vaak een aantal items ziektespecifiek ingevuld worden, zoals de ziektespecifieke klinische uitkomsten. Zo is bij darmkanker progressievrije overleving een belangrijke uitkomstmaat, en bij hemofilie is het aantal bloedingen per jaar relevant. De D4-procedure biedt registers een handreiking voor het bepalen van een aandoeningsspecifieke gegevensset. Vooral nog is de D4-procedure bedoeld voor nationale registers.

4.4

#### **Aandoeningsspecifieke gegevensset, brede benadering**

De generieke gegevensset van ROR DGM overlapt grotendeels met aanpalende projecten als Uitkomstgerichte zorg (UZ) en Moleculaire Diagnostiek (MD). Met een gemeenschappelijke aanpak kan de noodzakelijke overeenstemming bereikt worden over de benodigde gegevens voor alle stakeholders die betrokken zijn bij een aandoening. Het voordeel van een gemeenschappelijke aanpak is dat de stakeholders samen één gegevensset bepalen, in plaats van voor elk project afzonderlijk. Daarnaast wordt de administratielast van zorgverleners beperkt als de informatiebehoefte van stakeholders goed afgestemd en eenduidig wordt geformuleerd.

Vanuit de verzamelde data worden nieuwe inzichten verkregen. En op basis van deze nieuwe inzichten kan herziening van de gegevensset plaatsvinden. Op deze manier wordt een 'lerend systeem' ontwikkeld, dat onderdeel is van het (virtuele) dataloket. Actualisatie van de gegevensset op het gebied van dure geneesmiddelen zal nodig zijn omdat hier nog veel onzekerheden zijn over de informatiebehoefte.

Ook op het gebied van Moleculaire Diagnostiek bij oncologische geneesmiddelen in relatie tot de inzet van dure geneesmiddelen zijn veel ontwikkelingen. Daarom is het van belang om bij het inrichten van het informatielandschap voor het monitoren van dure (oncologische) geneesmiddelen ook de MD een plek te geven. De uiteindelijke set bevat dus alle relevante gegevens voor de doelen van al deze projecten en alle bijbehorende stakeholders.

## 5 Data en IT

### 5.1 Visie van het programma ROR DGM

De visie van ROR DGM op de Data/IT is als volgt:

- Zorgdata wordt zoveel mogelijk gestructureerd en gestandaardiseerd in het zorgproces vastgelegd.
- Om alle relevante informatie in een register op te nemen is het noodzakelijk dat zorgdata van individuele patiënten over meerdere zorgaanbieders en verschillende zorginformatiesystemen kunnen worden gekoppeld. Hiervoor is een vaste "identificer", zoals Burger Service Nummer, een voorwaarde.
- Het programma ROR DGM beperkt zich tot de beleid, zorgproces en informatie-laag van het interoperabiliteitsmodel van Nictiz (figuur 9). In dit model zijn VWS, het Informatieberaad en Health-RI verantwoordelijk voor de FAIR afspraken, applicatie- en infrastructuur-lagen. Hierbij hoort de standaardisatie en de ZIB-compliance, die nodig is voor uitwisseling en meervoudig gebruik.
- In de vertaalslag tussen informatie en applicatie/infrastructuur kan Conceptueel Modelleren mogelijk een bijdragen leveren.

### 5.2 Het zorgproces is het uitgangspunt

Het programma ROR DGM stelt dat voor het verzamelen van zorgdata het zorgproces rondom de patiënt als uitgangspunt moet dienen. Om de (kosten-) effectiviteit van geneesmiddelen te kunnen monitoren zijn gegevens over diagnostiek, kwaliteit van leven, zorgconsumptie en uitkomsten nodig. Deze gegevens worden gedeeltelijk al vastgelegd in een elektronisch patiëntdossier (EPD), dat verbonden is aan het primaire zorgproces in de Medisch Specialistische Zorg. Gestructureerde vastlegging van gegevens, met een uitgebalanceerd gebruik van vaste of vrije tekstvelden, geeft hierbij winst in de kwaliteit van de data en reduceert de registratielast voor zorgverleners.

Belangrijk is hierbij een balans te vinden tussen het verplicht stellen van velden en de administratieve lasten. Het moet voor zorgverleners duidelijk zijn waarom bepaalde velden verplicht zijn, zodat een mismatch tussen wat een zorgverlener nodig vindt en wat administratief nodig is, wordt voorkomen.

In de verdere ontwikkeling van het EPD moet de focus dan ook liggen op het eenmalig gestandaardiseerd vastleggen van deze gegevens en het toegankelijk maken van de gegevens voor meervoudig gebruik. De informatie in het zorgproces moet zoveel mogelijk op basis van de gegevenselementen van de ZIB's of andere standaarden worden vastgelegd (geregistreerd) om de uniformering van betekenis te borgen. De medewerking van de IT-leveranciers, eventueel middels wetgeving, is hierbij noodzakelijk.

### 5.3 Koppelen van zorgdata

Zorgdata wordt veelal niet in één zorginformatiesysteem verzameld. Rondom een patiënt zijn meerdere zorgverleners betrokken, die vaak met verschillende zorginformatiesystemen werken. Voor de juistheid en volledigheid van informatie moet het mogelijk worden om de patiënt over een langere tijdsperiode en verschillende zorgverleners / zorginstellingen heen te kunnen volgen. Cruciaal is dat consensus wordt bereikt over de gegevens die gebruikt worden voor een

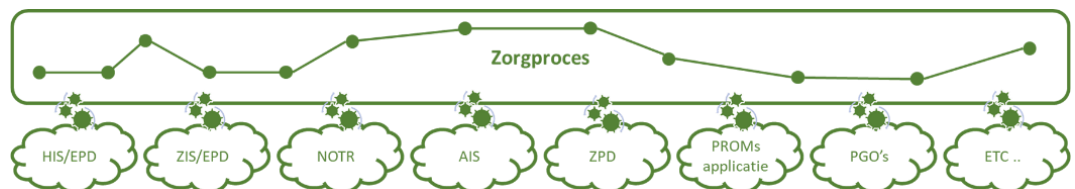
aandoeningsregistratie en wat de samenhang is. Het conceptueel modelleren zou hiervoor ingezet kunnen worden en wordt verderop beschreven. Hiermee kan data met eenduidige betekenis beschikbaar worden gemaakt voor meervoudig gebruik. De manier waarop de gegevens vastgelegd worden is niet belangrijk, zolang maar wordt geborgd dat de gegevens met dezelfde strekking gestructureerd worden vastgelegd.

Programma ROR DGM streeft daarbij dit vorm te geven voor aandoeningsregistraties. Vanuit deze aandoeningsregistratie is alle benodigde data toegankelijk van zowel de patiënt, ziekte, diagnose en behandelingengegevens als uitkomsten. Een dataloket binnen de aandoeningsregistratie organiseert de "koppeling" met de verschillende bronnen van zorginformatie en faciliteert de gegevens-uitvraag van de stakeholders. Hierdoor zijn vergelijkende analyses mogelijk tussen behandelingen, maar ook met "niet behandelen".

De benodigde gegevensset binnen een aandoening bestaan uit verschillende elementen die op verschillende plaatsen worden vastgelegd. Zonder volledig te zijn, kunnen de volgende type zorginformatiesystemen worden genoemd:

- Elektronisch patiënt dossiers (EPD's)
- Elektronisch client dossiers (ECD's)
- Persoonlijke gezondheids omgeving (PGO's)
- Ziekenhuis informatiesysteem (ZIS)
- Apotheek informatiesysteem (AIS)
- Nederlandse Orgaan Transplantatie Registratie (NOTR)
- PROMs informatie systemen
- DIS, Vektis Zorgprestaties en Declaraties (ZPD)
- Huisartsen informatiesystemen

Figuur 8 | Diverse zorginformatiesystemen



Voor het samenbrengen van alle relevante informatie van een patiënt, is het nodig om gegevens uit de verschillende samengestelde bronnen (registers en landelijke dataverzamelingen) aan elkaar te koppelen op patiëntniveau. Om koppeling te bewerkstelligen is een koppelsleutel ("identificer") nodig, zoals het Burger Service Nummer.

Het kunnen koppelen van informatiebronnen is een voorwaarde om te kunnen monitoren in het huidige informatielandschap. In het primaire zorgproces mag het BSN echter worden verwerkt, maar dat geldt niet voor registers en ook niet voor het meervoudig gebruik van data voor doeleinden als beleid, onderzoek of innovatie. Informatie is daardoor niet of moeizaam te koppelen.

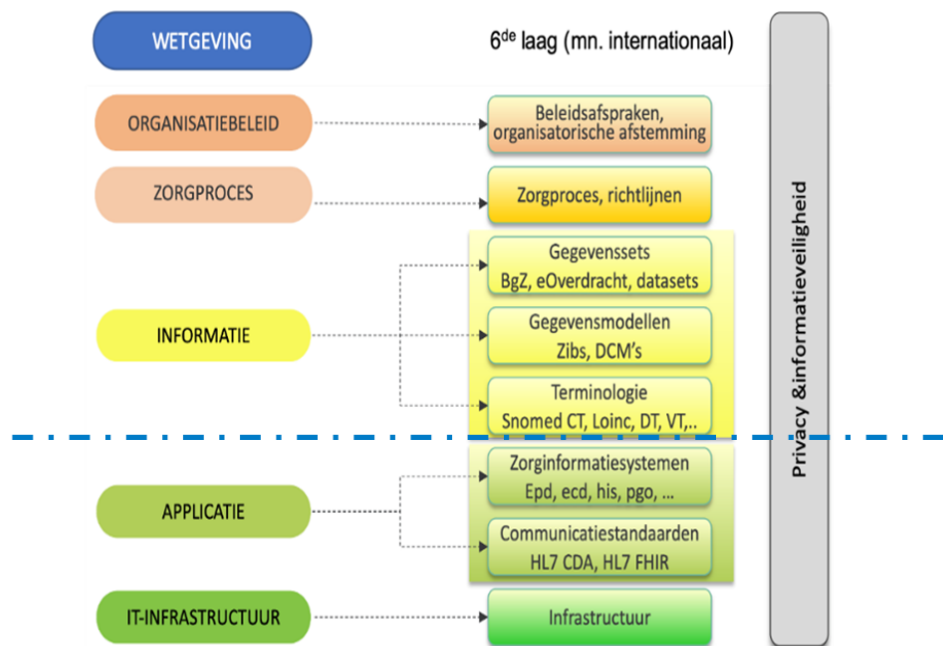
#### 5.4

#### **Beperking tot informatie-laag**

Het programma ROR DGM richt zich op de bovenste drie lagen van het interoperabiliteitsmodel. Op de applicatie en infrastructuur laag zijn namelijk al vele initiatieven, als dan niet onder regie van VWS, om aan standaardisatie te werken.

- Op deze bovenste drie lagen wordt uitgegaan van de FAIR-data principes voor:
- Vindbaarheid van informatie op basis van een eenduidige informatiebehoefte
  - Toegankelijkheid op basis van een legitieme informatie behoefte
  - Interoperabiliteit op basis van een gedeeld begrip van de data context
  - Hergebruik op basis van een gedeelde betekenis van de data

Figuur 9 | Interoperabiliteitsmodel van Nictiz



Er zijn afspraken nodig over h oe de informatie ontsloten kan worden voor meervoudig gebruik. Het gaat dan om een invulling van de FAIR-data principes op de applicatie en infrastructuur laag. Het is aan VWS om centrale regie op het zorginformatielandschap te nemen over de diverse programma's heen voor wat betreft interoperabiliteit voor de gegevensuitwisseling, visie op meervoudig gebruik van data en opheffen van obstakels zoals de wettelijke grondslag voor de vaste "identificer". Dit moet zo nodig via wetgeving worden afgedwongen.

Hieronder valt ook het werken met ZIB's en andere standaarden, en de bijbehorende "ZIB-compliance", om te zorgen dat informatie uit deze ZIB's in de verschillende zorgsystemen ook echt te vinden en te gebruiken is.

Dit kan niet ingeregeld worden vanuit een losstaand project, zoals ROR DGM, maar moet geregeld worden vanuit VWS (breder dan alleen de I-directie) en/of het Informatieberaad Zorg. Dit valt daarmee buiten de scope van het ROR DGM programma.

5.5

**Conceptueel modelleren**

ROR DGM ziet mogelijkheden voor de inzet van “conceptueel modelleren” als methodiek om de gegevensset voor een aandoeningsregistratie uit te drukken als een kennismodel. Met deze methodiek maak je de concepten inzichtelijk die nodig zijn om de samenhang en betekenis van de gegevensset te visualiseren. De data o.a. opgebouwd uit ZIB’s kan je vervolgens afbeelden op het kennismodel. Van daaruit kan de vertaling gemaakt worden naar de data ZIB’s of andere standaarden zoals het OMOP CDM (*Observational Medical Outcomes Partnership Common Data Model*).

Conceptueel modelleren helpt om de stap te zetten van eenheid van taal (hoe noem je iets) naar eenheid van begrip (wat bedoel je dan) en de daaraan gerelateerde gegevens. Hiermee is het mogelijk om een gedeeld referentiekader te krijgen over de betekenis van de data die beschikbaar moet komen voor de analyses van de verschillende stakeholders. De koppeling van data vindt plaats op basis van betekenis van de data, en niet op basis van de structuur. Dit biedt het inzicht om ook andere gegevens en/of databronnen te ontsluiten die niet gestructureerd zijn op basis van de ZIB’s, zoals PROMS of klinische relevante data waar nog geen ZIB voor beschikbaar is.

Met conceptueel modelleren is ervaring opgedaan in KIK-V project, voor de “verantwoordingsinformatie” in de verpleeghuiszorg. Voor meer informatie over conceptueel modelleren wordt verwezen naar bijlage 8.

## 6 Internationale aanpak voor ultraweeszakten en –ultra-weesgeneesmiddelen

### 6.1 **Visie van het programma ROR DGM**

De visie van het programma ROR DGM op de internationale aanpak voor de registratie van ultraweeszakten en ultra-weesgeneesmiddelen is:

- De registratie van weesgeneesmiddelen, zeker die worden gebruikt voor zeer kleine patiëntaantallen, moeten in internationaal verband worden beschouwd. Dit is conform de dagelijkse praktijk.
- Bij een internationale aanpak hoort eveneens een internationaal governance- en financieringsmodel.

### 6.2 **Wat is het uitgangspunt?**

Bij (zeer) zeldzame ziektes waarvoor geneesmiddelen beschikbaar zijn of komen, is het monitoren van behandelingen in de dagelijkse praktijk van groot belang. Zo is er veel onduidelijkheid over de effectiviteit en kosteneffectiviteit van deze geneesmiddelen na markttoelating. Daarbij gaat het om behandelingen die per individuele patiënt meerdere miljoenen euro's kunnen kosten. Daarom worden fabrikanten vaak verplicht om registers aan te leggen van deze behandelingen, in het kader van marktautorisatie (nationaal of via de EMA) én als onderdeel van vergoedingsovereenkomsten. Door de zeldzaamheid van deze ziektes is registratie in internationaal verband essentieel.

De Europese Unie (EU) spreekt van een zeldzame aandoening als de aandoening niet vaker voorkomt dan bij 5 op de 10.000 inwoners van de EU. Daarbij wordt soms onderscheid gemaakt voor ultraweeszakten: aandoeningen die bij minder dan 1 op de 50.000 inwoners voorkomen (Verenigd Koninkrijk). In Nederland betekent dit dat zo'n ultraweeszakten maar bij maximaal 340 personen voorkomt.

Mede op basis van deze criteria kan de EMA het label weesgeneesmiddel afgeven:

- Als het geneesmiddel bestemd is voor behandeling, preventie of diagnose van een ziekte die levensbedreigend of chronisch invaliderend is.
- Als de aandoening niet vaker voorkomt dan bij 5 op de 10.000 inwoners van de EU of als het onwaarschijnlijk is dat het in de handel brengen van een geneesmiddel voldoende opbrengt om de investering te rechtvaardigen.
- Als er geen behandeling beschikbaar is of als het nieuwe middel significante voordelen heeft ten opzichte van de al beschikbare behandeling.

Ten slotte wordt in de Nederlandse praktijk vaak onderscheid gemaakt tussen oncologische en niet-oncologische weesgeneesmiddelen. Dat onderscheid is ook voor de inrichting van registers relevant, omdat het gebruik van oncologische weesgeneesmiddelen meestal onderdeel uitmaakt van een breder oncologisch behandelingschema, waarbij deze weesgeneesmiddelen in specifieke kleinere subgroepen worden ingezet. Een aparte inrichting van registers van deze subbehandelingen is dus minder relevant.

Samengevat ligt de focus van de internationale aanpak voor registers op behandeling met niet-oncologische weesgeneesmiddelen. Daarbij ligt de hoogste prioriteit bij behandeling van de zogenaamde ultraweeszakten.

## 6.3

**In hoeverre is de aanpak voor (ultra)weesgeneesmiddelen anders?**

In tegenstelling tot de aanpak van de dataverzameling zoals beschreven in eerdere hoofdstukken, zijn er redenen om voor de internationale registers een andere aanpak te kiezen. Die redenen zijn:

- Het gaat om gegevens van patiënten die hoogstwaarschijnlijk nationaal in één of twee expertisecentra worden behandeld. Een landelijke aanpak lijkt voor hen niet voldoende.
- De dataverzameling voor deze patiënten is vaak zeer specifiek. Gegevens worden verzameld die niet tot de standaardverzameling behoren.
- Gezien de kleine patiëntaantallen is het alleen met een internationale registratie mogelijk voldoende informatie te verzamelen voor het beantwoorden van vragen over gepast gebruik en effectiviteit van deze geneesmiddelen.

Om deze redenen is ook de mogelijkheid van het koppelen van data aan lokale of nationale centrale databronnen minder relevant. De registratie zal dus meer als *standalone* registratie worden ingericht en opgezet. Het koppelen van databestanden is minder noodzakelijk, omdat het bij enkele tot maximaal tientallen patiënten minder moeite kost handmatig informatie in te vullen. Ook hier is het belangrijk dat alle belanghebbenden betrokken worden bij het bepalen van de inhoud en opzet van de registraties. Het uiteindelijke streven is om voor de Nederlandse bijdrage aan dergelijke internationale registraties zoveel mogelijk gebruik te maken van standaarddata. In het geval van een internationaal register betreft dat dus betrokkenen uit meerdere landen. Daarbij is coördinatie binnen één soort platform of loket wel relevant, maar zal het ingewikkeld zijn om onafhankelijke financiering te krijgen.

## 6.4

**Aansluiting bij al bestaande internationale of Europese initiatieven**

Het uitgangspunt van het opzetten van internationale registraties is om zoveel mogelijk aan te sluiten bij of gebruik te maken van bestaande initiatieven. Hoewel er geen omvattend Europees initiatief is om internationale patiëntenregistraties structureel in te richten en te ondersteunen, is er op dit moment wel een overdaad aan internationale projecten en initiatieven die kunnen bijdragen aan het opzetten van deze registraties. Dit is een internationaal landschap dat continu verandert. Daarom is structurele monitoring van het landschap essentieel. In dit hoofdstuk van het consultatiedocument refereren we alleen aan de huidige, meest relevante initiatieven, met specifieke aandacht voor het opzetten van internationale registraties van ultraweessiekten en de bijbehorende dure ultraweesgeneesmiddelen.

In bijlage 7 geven we een overzicht van enkele relevante internationale initiatieven voor registraties. Het is van belang om overzichten van relevante internationale activiteiten continu up-to-date te houden. Het zou daarom een onderdeel van ROR DGM moeten zijn om dergelijke overzichten op structurele basis te vernieuwen. Dit kan eventueel ook onderdeel worden van de *International Strategic Agenda* (ISA) van het Zorginstituut.



## 6.5 **Voorstel voor een aanpak**

Gezien de complexiteit die komt kijken bij het opzetten van internationale patiëntenregistraties, stellen we een getrapte aanpak voor. Deze aanpak bestaat uit twee elementen:

### 6.5.1 *Uitwerken van de casestudie metachromatic leukodystrofie (MLD)*

Casestudie 3 van programma ROR DGM gaat over metachromatic leukodystrofie (MLD) en de bijbehorende gentherapie Libmeldy. We stellen voor deze casestudy verder te ontwikkelen als een *standalone* internationale patiëntenregistratie. Daarbij zullen de inhoud, data/IT en governance centraal staan. Ook wordt bekeken hoe een internationale aanpak voor deze specifieke elementen kan worden vormgegeven. Zo heeft er voor de MLD-registratie al een internationale consensusprocedure plaatsgevonden, waarin is vastgesteld welke gegevens moeten worden verzameld. Ook zijn er discussies over hoe de dataverzameling vorm kan krijgen en of de bestaande data over *General Data Protection Regulation*-wetgeving (GDPR-wetgeving) internationaal kunnen worden verzameld. Daarbij wordt onder meer samen met Health-RI gekeken hoe de dataverzameling vorm kan krijgen. Ook wordt onderzocht of DARWIN-EU hieraan kan bijdragen. Ten slotte wordt binnen deze casestudie een voorstel gedaan voor een publiek governancemodel, waarin ook een model voor structurele financiering wordt opgenomen. Mogelijk kan samenwerking worden gezocht met de Europese referentienetwerken (ERN's) en European Joint Programme on Rare Diseases (EJP RD). Eind 2022 moet er een eerste opzet zijn voor de internationale patiëntenregistratie. Deze opzet moet als voorbeeld kunnen worden gebruikt voor toekomstige internationale patiëntenregistraties van ultraweeszakten en de bijbehorende ultraweesgeneesmiddelen.

### 6.5.2 *Bijdragen aan het algemeen raamwerk voor internationale patiëntenregistraties voor ultraweeszakten en de bijbehorende behandelingen.*

Het programma ROR DGM moet bijdragen aan de ontwikkeling van een structureel model voor het opzetten en continueren van internationale patiëntenregistraties. ROR DGM is één van de vele projecten die bezig zijn met deze problematiek. Toch kan ROR DGM substantieel bijdragen aan de overkoepelende discussie, ook door de actieve betrokkenheid van de stakeholders in de casestudies en van de expertisegroep. Dat is mede mogelijk door de betrokkenheid van de projectleden, maar ook door de deelnemers van de casestudies en door de deelname van de expertisegroep aan verschillende relevante internationale activiteiten. ROR DGM zal op basis van de input van deze betrokkenen en activiteiten jaarlijks een stand van zaken publiceren. Daarin zullen we benoemen welke aandachtspunten er zijn in de komende jaren.

## 7 De casestudies

Het programma ROR DGM is gestart met vier casestudies, met een looptijd van twee jaar. Het overkoepelende doel van de casestudies is het ontwikkelen van een protocol om registraties geschikt te maken voor het monitoren van de (kosten)effectiviteit van dure geneesmiddelen.

De casestudies leveren informatie over de technische, bestuurlijke en juridische aspecten rondom dataverzameling en de gewenste governance en financiering. Ze leggen knelpunten bloot en schetsen de randvoorwaarden waaraan een aandoeningsregistratie of casestudie moet voldoen om te passen in het toekomstig informatielandschap.

### 7.1 **Over de casestudies**

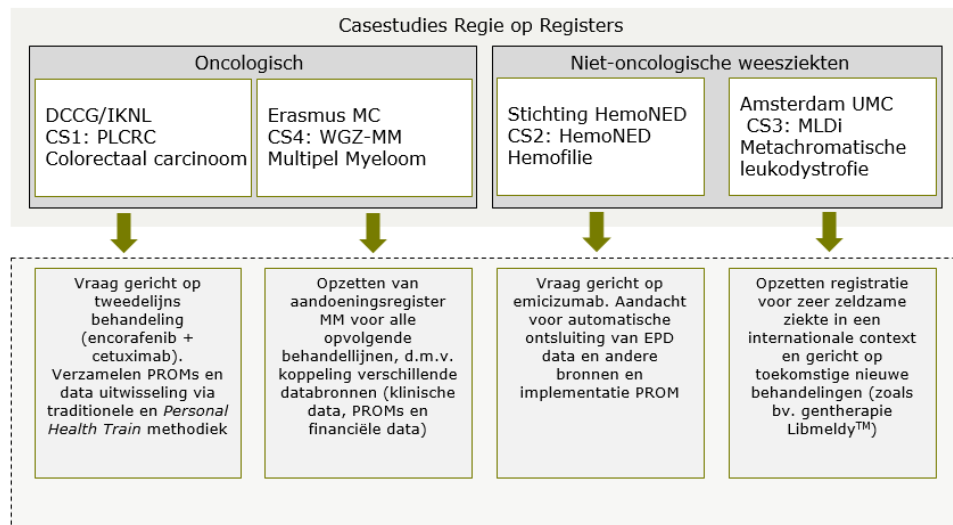
De casestudies zijn geselecteerd op basis van vooraf gedefinieerde selectiecriteria. Eén van de belangrijke selectiecriteria was dat er een aandoenings- of ziektespecifiek register moest zijn. Daarbij moest er voor de aandoening minstens één duur geneesmiddel in het basispakket zijn opgenomen in het jaar voorafgaand aan of in het jaar van de start van de casestudie. In de casestudies moest eerst een onderzoeksvraag worden geformuleerd, met focus op het dure geneesmiddel dat voor de aandoening beschikbaar was of op korte termijn verwacht werd.

Aanvankelijk waren de onderzoeksvragen van de casestudies zo opgesteld dat het antwoord gebruikt zou kunnen worden voor (her-)beoordelingen van de dure geneesmiddelen. Echter in de tijd tussen de procedure en de selectie van de casestudies en het daadwerkelijk starten van de casestudies waren sommige middelen al beoordeeld. Andere middelen bleken minder grote budgetimpact te hebben dan verwacht en werden daarom niet in de sluis geplaatst. Daarom gaan niet alle casestudies over een actuele vraag vanuit pakketbeheer.

De casestudies hebben belangrijke input geleverd voor de visie en aanbevelingen in dit rapport. In bijlage 1 tot en met 4 staan de templates voor de casestudies. Daarin zijn onder meer de context, de herijkte doelstellingen en de (voorlopige) resultaten weergegeven.

Iedere casestudie heeft zijn eigen specifieke context en onderzoeksvragen. Er zijn twee oncologische casestudies: Colorectaal Carcinoom (darmkanker) en Multipel Myeloom (beenmergkanker). De andere twee casestudies bevatten niet-oncologische aandoeningen; Hemofilie en Metachromatische Leukodystrofie (MLD).

Figuur 10 | Doelstellingen casestudies ROR DGM



## 7.2

### Verbreiding

Naast de vier bestaande casestudies kan het programma ROR DGM ook betrokken worden bij andere registers of nieuw op te zetten registraties voor de monitoring van geneesmiddelen. Dit zien wij als een verbreding van het project.

De Horizonscan of de praktijk signaleren dat er een nieuw duur geneesmiddel of een geneesmiddel voor geavanceerde therapie (*Advanced Therapy Medicinal Product*; ATMP) op de markt komt voor een aandoening, of voor een indicatiegebied binnen een aandoening. Het kan gaan om een geneesmiddel waar nog geen registratie voor is, of waar al meerdere registraties voor zijn.

Het programma ROR DGM kan een actieve rol spelen om de bestaande registers of nieuwe registraties te begeleiden naar een situatie die past binnen de visie zoals in dit document neergelegd. Dit kan bijvoorbeeld door in gesprek te gaan met de stakeholders. Eventueel kan een tijdelijke financiering vanuit ROR DGM worden gefaciliteerd.

Er zijn een aantal criteria en randvoorwaarden voor de verbreding:

- draagvlak voor registratie bij veldpartijen, zoals wetenschappelijke verenigingen, patiëntverenigingen, zorgverzekeraars en overheid;
- duidelijkheid over de (tijdelijke) governance;
- duidelijkheid over de gewenste inhoud;
- de selectiecriteria zoals beschreven in het ROR DGM-rapport "Prioritering van ziekte-specifieke patiëntenregistraties (D1 & D6)"

## 8 Actieplan

Het programma ROR DGM stelt verschillende acties voor om stapsgewijs te komen tot het gewenste zorgdata-landschap. Een aantal acties kan binnen het programma ROR DGM worden uitgevoerd. Andere acties kunnen alleen worden uitgevoerd in samenwerking met of onder verantwoordelijkheid van stakeholders, aanpalende projecten of de verschillende directies van VWS of andere ministeries.

Het programma neemt het voortouw bij het harmoniseren van de diverse programma's en projecten die betrekking hebben op het informatielandschap van een aandoening.

### 8.1 Acties op het gebied van governance en finance

1. Vormgeven van de (tijdelijke) governance en financiering, in afwachting van de match met de Governance van Kwaliteitsregistraties (met VWS).
2. Uitwerken van de juridische grondslagen voor het aanleveren van gegevens door en met de verschillende stakeholders.
3. We stimuleren de ontwikkeling van losstaande geneesmiddelregisters naar aandoeningsregistraties, met daarbij horende aandoeningsgovernance.
4. Inventariseren en sturen op de samenhang van de verschillende programma's en de bijbehorende wetgeving (met VWS).
5. Vervolg op het 'appèl tot samenhang' van de expertisegroep ROR DGM (vanuit VWS).
6. Opstellen van een plan voor de inrichting van de aandoeningsregistraties.
7. Uitwerken van rol, doel en inrichting van het dataloket.
8. Bepalen van de criteria voor tijdelijke financiering.
9. Uitvoeren van de tijdelijke financiering voor gekwalificeerde casestudies en registraties.

### 8.2 Acties op het gebied van inhoud

1. Verder toetsen en uitwerken van de generieke gegevensset.
2. Duidelijkheid van alle stakeholders over de gewenste gegevens, bijvoorbeeld: wat is nodig voor zorginkoop, of voor pakketbeheer?
3. Aanpassen en verder testen van de procedure D4: het gezamenlijk bepalen van de gegevensset.
4. Doorontwikkeling van de formats en stappenplannen voor toekomstige aandoeningsregisters (nationaal en internationaal).
5. Vaststellen van de criteria voor toelating van nieuwe aandoeningswerkgroepen.
6. Vaststellen de randvoorwaarden voor ondersteuning van nieuwe aandoeningswerkgroepen binnen het huidige programma ROR DGM.

### 8.3 Acties op het gebied van data/IT

1. Uitwerken van de kennismodel op basis van de gegevensset door conceptueel te modelleren:
  - Matchen met de zorginformatiebouwstenen (ZIB's);
  - Matchen met *Observational Medical Outcomes Partnership* (OMOP).
  - Incl. opname resultaten UZ in het conceptuele model
  - Bevindingen t.o.v. gaten in de standaardisering met een voorstel voor vervolgacties
2. Inhoudelijk toetsen met expertgroep ROR DGM, Nictiz (incl. lijn 4 UZ) en Health-RI
3. Actieve afstemming met I-directie en Health-RI voor:
  - basisinfrastructuur van de primaire zorgsystemen;
  - Gestructureerde registratie in primaire zorgsystemen zoals ZIB-compliance in EPD en PGO;

- Interoperabiliteit;
  - Meervoudig gebruik
  - Wettelijke grondslagen waaronder gebruik van een koppelsleutel (zoals BSN).
4. Bestuurlijk toetsen en doorontwikkelen van de aanpak van Data/IT met alle partijen die betrokken zijn bij ROR DGM.
  5. Uitwerken van de informatievragen voor een nader te bepalen casestudie en de informatievragen vastleggen in een uitwisselprofiel. En evalueren van de methode / handreiking / aanpak en integreren in de D4 aanpak
  6. Toetsen in de praktijk, met een ziekenhuis dat ver is met gestructureerde vastlegging.

8.4 **Actie op het gebied van internationale aanpak**

1. Wordt nog nader gespecificeerd.

8.5 **Acties op het gebied van de casestudies**

1. Verder uitwerken van de casestudies (zie hoofdstuk 8: De casestudies).
2. Presenteren en publiceren van de resultaten.
3. Verbreding van het programma ROR DGM met andere registraties.
4. Actieve rol bij het ontwikkelen van eventuele nieuwe registraties.

8.6 **Overige acties**

1. Uitwerken van de inventarisatie van alle registraties.
2. Uitwerken van het overzicht van aanpalende projecten.
3. Uitwerken van een communicatieplan.
4. Harmonisatie project darmkanker

## 9 Vervolg

Na de casestudiefase start de implementatiefase, ook wel de productiefase genoemd. Dit is de fase waarin Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen overgaat van een programma naar een organisatievorm. De aandacht voor de informatievoorziening over geneesmiddelengebruik blijft namelijk belangrijk.

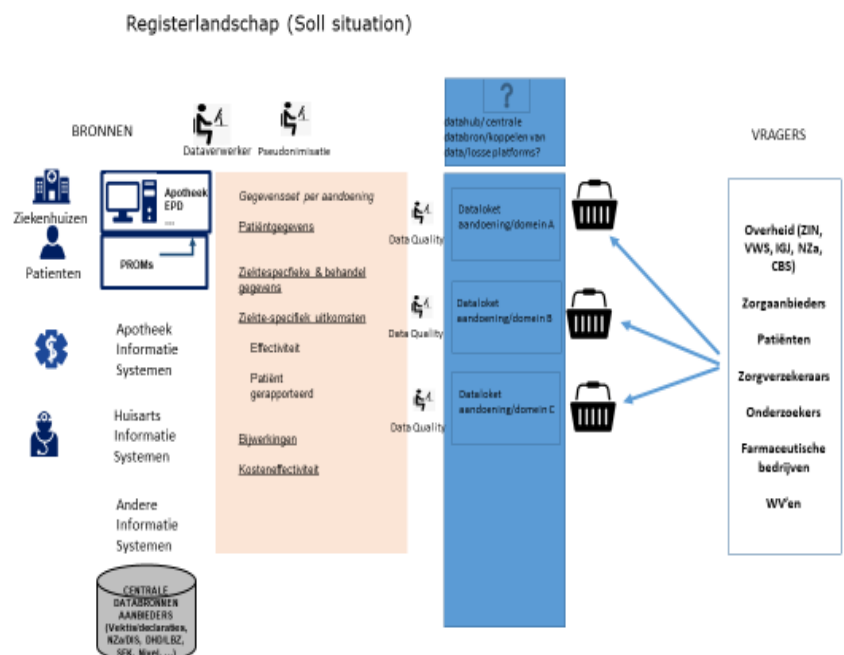
De vorm van de organisatie wordt in de komende periode nader bepaald en is afhankelijk van de gesprekken met stakeholders en VWS en van het verloop van de aanpalende programma's en projecten. De input uit deze consultatie zal uiteraard ook worden meegenomen.

Als data als een nutsvoorziening worden beschouwd en als een organisatie wordt opgericht voor de governance, dan kan het aspect van (dure) geneesmiddelen daar uiteraard ook in worden opgenomen.

Als het programma ROR DGM overgaat naar de organisatievorm, dan zullen de belangrijkste taken zijn:

- Begeleiding van registers naar de gewenste eindsituatie: aandoeningsregistraties, met zoveel mogelijk registratie vanuit de bron.
- Waarborgen van de perspectieven en belangen van alle stakeholders.
- Onderstrepen van het belang van informatie over (dure) geneesmiddelen.
- Inrichten van het dataloket.
- Financiering.
- Bewaken van de samenhang tussen de verschillende domeinen.
- Harmoniseren van de registraties en implementatie van standaarden.
- Regelen van *gateways*, koppelingen, contracten in de dataketen, het *Findable, Accessible, Interoperable, Reusable* (FAIR) maken van data, toepassen van nieuwe technologieën voor data-uitwisseling.

Figuur 11 | Voorbeeld van data als nutsvoorziening



## Bijlage 1: Doelstelling en resultaten casestudie 1 – PLCRC

Casestudie	1. PLCRC Prospectief Landelijke CRC Cohort
Werkplan	Kenmerk 2021003664
Datum rapportage	Juli 2022
Looptijd casestudie	Januari 2021- december 2022
Bijdrage ROR DGM	€100.000
Opdrachtnemer	Dutch Colorectal Cancer Group (DCCG)
Betrokkenen	Prof. Dr. M. Koopman, Internist oncoloog UMCU, secretaris DCCG Dr. G.R. Vink, programma manager PLCRC, UMC Utrecht/IKNL (projectleider) Drs. H.J. van Doorne-Nagtegaal, adviseur IKNL Drs. P. Lubbers, klinisch informaticus, IKNL Dr. G. Geleijnse, Data Science Team Lead and Innovation Program Manager, IKNL
Gerelateerde projecten	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Uitkomstgerichte Zorg (UZ)</li> <li>- Kwaliteitsregistraties</li> <li>- Health RI</li> <li>- Oncode Pact</li> </ul>
Context	Het Prospectief Landelijk ColoRectaal Carcinoom cohort (PLCRC) van de Dutch Colorectal Cancer Group (DCCG) is een prospectief cohort waarin patiënten informed consent geven voor het gebruik van hun klinische gegevens, patiënt gerapporteerde uitkomsten, bloed- en weefsel en voor toekomstige benadering voor deelname aan studies. Er wordt samengewerkt met vele organisaties, waaronder IKNL en Profiel. PLCRC biedt een infrastructuur voor wetenschappelijk onderzoek.
Oorspronkelijke opdracht (werkplan)	<p>In samenspraak met de DCCG en IKNL is een werkplan opgesteld waarin de volgende doelstellingen zijn vastgesteld:</p> <p><b>Algemeen:</b> een protocol ontwikkelen om registraties geschikt te maken voor het monitoren van (kosten-) effectiviteit van (dure) geneesmiddelen ten behoeve van (cyclisch) pakketbeheer en gepast gebruik. Waarbij zowel focus ligt op het ontwikkelen van een generiek toepasbaar protocol als op het toepassen en het specificeren protocol op PLCRC.</p> <p><b>Governance:</b> Inzicht krijgen in governance- en financieringsstructuur van PLCRC en inzicht krijgen in de</p>

	<p>wisselwerking tussen de governance-en financieringsstructuur van PLCRC en de te ontwikkelen landelijke governance- en financieringsstructuur. Hierbij zal in het bijzonder aandacht zijn voor de data-uitwisseling tussen PLCRC en het Zorginstituut. Hieruit moeten afspraken en een model voor de governance en financiering die registraties volgen.</p> <p><b>Inhoud:</b> Protocol voor het komen tot een generieke gegevensset voor (cyclisch) pakketbeheer en gepast gebruik testen en optimaliseren. Dit protocol toepassen bij het vaststellen van een specifieke gedragen gegevensset voor de beantwoording van de onderzoeksvraag van de casestudie</p> <p><b><u>Onderzoeksvraag (PICO)</u></b></p> <p>P: patiënten van <math>\geq 18</math> jaar met een gemetastaseerd BRAF-V600E-gemuteerd colorectaal carcinoom met BRAF-V600E mutatie die progressie hebben vertoond na 1 of 2 lijnen palliatieve systeemtherapie en met informed consent voor data verzameling in PLCRC-cohort.</p> <p>I: encorafenib + cetuximab</p> <p>C: standaard 2<sup>e</sup> of 3<sup>e</sup> lijns systemische therapie</p> <p>O:</p> <p>Effectiviteit:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Overall survival (OS)</li> <li>• Progression-free survival (PFS) en/of time to treatment failure (TTF)</li> </ul> <p>Kwaliteit van leven:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Generic health-related quality of life (HRQoL)</li> <li>• Disease-specific HRQoL (using EORTC-QLQ-CR29)</li> </ul> <p>Toxiciteit</p> <p>Kosteneffectiviteit</p> <p><b>Data/IT:</b> Opstellen en implementeren van afsprakenstelsel over informatiestandaarden en uitgangspunten IT- systemen en het vastleggen van het proces om hiertoe te komen ter bevordering van hergebruik bij nadere registraties</p>
--	---



<p>Leerervaringen</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- De kwaliteit en volledigheid van data is van groot belang</li> <li>- Bijwerkingen zijn niet of niet goed geregistreerd</li> <li>- Zorgconsumptiegegevens zijn moeilijk te koppelen met registergegevens</li> <li>- Real time signalering is nodig om bijvoorbeeld juiste patiënten op juiste moment QoL vragenlijsten te sturen</li> </ul>
<p>Herijkt doel (op basis van de leerervaringen van deze en andere casestudies zijn de doelen bijgesteld)</p>	<p>Tijdens de uitvoering van de casestudie is duidelijk geworden dat de middelen uit de onderzoeksvraag niet in de sluis komen. Hierdoor zal er (naar alle waarschijnlijkheid) geen herbeoordeling door het Zorginstituut plaatsvinden voor de middelen die aanleiding waren voor deze casestudie. Gedurende de projectperiode is de interesse voor de rol van de moleculaire diagnostiek toegenomen. Het Zorginstituut heeft een regierol op dit dossier.</p> <p>Er zijn nieuwe doelstellingen:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- Samenwerking tussen UZ, ROR DGM en Health-RI om te komen tot harmonisatie van projecten en doelstellingen <ul style="list-style-type: none"> <li>o Vaststellen en implementatie van een gegevensset voor CRC die bruikbaar is voor de verschillende doelstellingen (georganiseerd vanuit verschillende projecten);</li> </ul> </li> <li>- Een governance waarin het gebruik van de data voor CRC voor de diverse doelstellingen geregeld is</li> </ul>
<p>Bereikte Resultaten</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- De opdracht is gegeven tot harmonisatie met een aantal aanpalende projecten om 'noodzaak tot samenhang' goed vorm te geven</li> <li>- Vaststelling gegevensset voor genoemde PICO op basis van D4 procedure</li> <li>- Het informed consent van de patiënten voor deelname aan het register is aangepast, zodat ook het gebruik van data voor beleidsdoeleinden expliciet wordt genoemd.</li> <li>- De frequentie van de vragenlijsten ij de patiënten in de gemetastaseerde setting is aangepast</li> </ul>
<p>Nog te bereiken resultaten</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Uitvoeren van Harmonisatieproject, waarin duidelijkheid gekregen moet worden over de gewenste samenwerking tussen de registers, de gewenste governance, de mogelijkheden tot financiering, de inhoud, en de data-infrastructuur, de data-uitwisseling en de gebruikte standaarden</li> <li>- Verbeteren van de registratie van bijwerkingen</li> <li>- Doorontwikkelen <i>Template studieopzet</i> om de onderzoeksvraag met RWD te standaardiseren en transparant te maken</li> <li>- Doorontwikkeling van de D4 procedure</li> </ul>

	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Koppelmogelijkheid LBZ-data aan de PLCRC data om zo de zorgconsumptie gegevens te kunnen aanvullen</li> <li>- Uitwerken van conceptueel modelleren gegevensset</li> <li>- Duidelijkheid verkrijgen over mogelijkheden tot duurzame financiering</li> </ul>
Acties en aanbevelingen	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Bespreken van mogelijkheden van duurzame financiering met VWS en andere stakeholders</li> </ul>
Vervolg na de casestudiefase	<p>PLCRC biedt een infrastructuur voor wetenschappelijk onderzoek. Huidige studies lopen door en nieuwe studies zijn in opstart. Afhankelijk van de harmonisatie en uitwisselingsmogelijkheden krijgt het register, de governance, inhoud en data/IT mogelijk een andere invulling.</p>

## Bijlage 2: Doelstelling en resultaten casestudie 2 – HemoNED

Casestudie	2. HemoNED
Werkplan	Kenmerk 2021007639
Datum rapportage	Juli 2022
Looptijd casestudie	Feb 2021- dec 2022
Bijdrage RoR	€100.000
Opdrachtnemer	Stichting HemoNED
Betrokkenen	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Dr. S.C. Gouw, bestuurslid en projectleider HemoNED</li> <li>- Dr. F.J.M van der Meer, bestuurslid HemoNED (jan 2021- maart 2022) vervangen door Prof. dr. K. Meijer, bestuurslid HemoNED</li> <li>- Prof. dr. K .Meijer, bestuurslid HemoNED</li> <li>- Dr. M.H.E. Driessens, bestuurslid Stichting HemoNED, patiëntvertegenwoordiger;</li> <li>- Dr. G. Goedhart, projectcoördinator Stichting HemoNED;</li> <li>- Dr. E.M. Taal, datamanager Stichting HemoNED.</li> <li>-</li> </ul>
Gerelateerde projecten	<ul style="list-style-type: none"> <li>- SKMS- traject (verduurzaming Kwaliteitsregistraties)</li> <li>- Kwaliteitsregistraties</li> <li>- WFH GTR (Gene Therapy Registry) m.b.t. gentherapie data verzameling</li> <li>- Symphony consortium</li> <li>- Doelmatigheidsstudie</li> </ul>
Context	<p>HemoNED is het Nederlands Hemofilie Register van mensen met hemofilie en aanverwante aandoeningen in Nederland. Het belangrijkste doel van het Register is het verbeteren van de kwaliteit van zorg voor deze groep mensen door gegevens over hun ziekte, behandeling en behandeluitkomsten doorlopend te registreren, samen te voegen en te vergelijken. Patiënten met een thuisbehandeling registreren hun medicatie en bloedingen in een digitaal logboek, dat direct digitaal toegankelijk is voor zowel patiënt als behandelaar</p>
Oorspronkelijke opdracht (werkplan)	<p>In samenspraak met de casestudie is een werkplan opgesteld waarin de volgende doelstellingen zijn vastgesteld:</p> <p><b>Algemeen:</b> Een protocol ontwikkelen om registraties geschikt te maken voor het monitoren van (kosten)effectiviteit van dure geneesmiddelen ten behoeve van (cyclisch) pakketbeheer en gepast gebruik. Hierbij ligt er zowel focus op het ontwikkelen van een generiek toepasbaar protocol als op het toepassen van het protocol op HemoNED.</p>

	<p><b>Inhoud:</b> De procedure gegevensset (D4) zal worden gebruikt om tot een specifieke gegevensset voor hemofilie te komen die voor pakketbeheer kan worden gebruikt. Deze gegevensset zal ook de basis zijn voor de beantwoording van de onderzoeksvraag van de casestudie. De onderzoeksvraag in deze casestudie richt zich op patiënten met hemofilie A, die behandeld worden met het medicijn emicizumab.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- Wat is effectiviteit en kosteneffectiviteit van emicizumab?</li> <li>- Wat is de gegevensset die nodig is voor het beantwoorden van bovenstaande vraag?</li> </ul> <p><b>Data/IT:</b> Afspraken maken over en implementeren van informatiestandaarden en uitgangspunten ICT systemen, zowel generiek als toegepast op HemoNED. Daarnaast de koppeling realiseren van bronnen (EPD's/apotheekssystemen/PROMs) met het HemoNED register en het register inrichten voor het verwerken van deze data.</p> <p><b>Governance/financiering:</b> Een landelijk model ontwikkelen voor de governance en financiering van registraties dure geneesmiddelen. De focus van de casestudie ligt op het vergelijken van de governance- en financieringsstructuur van HemoNED met de te ontwikkelen landelijke governance- en financieringsstructuur. In het bijzonder is er aandacht voor de governance rondom de data uitwisseling tussen HemoNED en het Zorginstituut en internationale data uitwisseling. Daarnaast zal onderzocht worden wat het effect is voor HemoNED van de implementatie van de landelijke governance- en financieringsstructuur van ROR DGM en kwaliteitsregistraties.</p>
<p>Leerervaringen</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Bijwerkingen niet gestandaardiseerd in het EPD. Bijwerkingen worden wel periodiek besproken binnen HemoNED</li> <li>- Zorgconsumptie gegevens niet in register</li> <li>- Implementatie PROMs moeilijk, vele initiatieven, verschillende perspectieven.</li> <li>- Inzicht in werk om data bruikbaar te maken voor analyse (toewerken naar uitlevermoment, welke verbeteracties t.a.v. volledigheid en kwaliteit zijn nodig</li> <li>- Implementatie EPD koppelingen moeilijk door gebrek aan personeel/urgentie etc bij elke individuele ICT-afdeling</li> <li>- Aandachtspunt: kwaliteit van de data vanuit de VastePrik app</li> <li>- Aandachtspunt; hoe verankeren van de app in de praktijk</li> <li>- Inzicht in data/IT actiepunten die niet op lokaal niveau geregeld kunnen worden</li> <li>- Vanuit ZIN wens EQ-5D voor pakketbeheer. Voor HemoNED</li> </ul>

	werkt EQ-5D niet in de praktijk
Herijkt doel (op basis van de leerervaringen van deze en andere casestudies zijn de doelen bijgesteld)	<ul style="list-style-type: none"> <li>- SKMS traject om gegevensset in primaire zorgproces te laten landen</li> <li>- Standaardisatie door het gebruik van ZIB's</li> </ul>
Bereikte resultaten	<ul style="list-style-type: none"> <li>- <u>D4-procedure</u> naast Gegevensset van HemoNED gelegd en getoetst samen met belanghebbenden, gegevensset vastgesteld in breed gremium</li> <li>- SKMS traject geeft data/IT handvatten</li> <li>- Inzicht in betrouwbaarheid van klinische uitkomstenmaten door patiënt zelf gerapporteerd via vaste PrikApp</li> <li>- Inzicht in SKMS traject van gegevensset</li> <li>- Inzicht in tijdigheid van aanpassen gegevensset met oog op nieuwe gentherapie (in internationaal verband)</li> <li>- Inzicht in organisatie/governance HemoNED</li> <li>- Inzicht in de data</li> </ul>
Nog te bereiken resultaten	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Uitwerken scenario DHD (LBZ-data) voor koppeling (afhankelijk van uitkomsten koppeling in casestudie 1)</li> <li>- Implementatieplan van PROMs binnen hemofilie behandeling</li> <li>- Eindrapportage cf. werkplan inclusief analyse RWD voor onderzoeksvraag</li> <li>- SKMS traject om gegevensset van register in primaire zorgproces te laten landen</li> <li>- Realiseren van EPD koppeling</li> </ul>
Acties en aanbevelingen	Vervolg na casestudiefase uitwerken
Vervolg na de casestudiefase	Nader uit te werken

### Bijlage 3: Doelstelling en resultaten casestudie 3 – MLDi

Casestudie	3. MLD initiative (MLDi)
Werkplan	Kenmerk 2021021209
Datum rapportage	Juli 2022
Looptijd casestudie	Januari 2021- december 2022
Bijdrage ROR DGM	€100.000
Opdrachtnemer	AmsterdamUMC
Betrokkenen	Dr. Nicole I. Wolf, associate professor ( projectleider) Prof dr. Carla E.M. Hollak (projectleider) Drs. D. Schoenmakers (onderzoeker) Drs. S. van den Berg (coördinator Medicijn voor de Maatschappij) Drs. S. Beerepoot (onderzoeker)
Gerelateerde projecten	- HealthRI - Medicijn voor de Maatschappij - Iden project / Darwin
Context	Het MLD initiative (MLDi) richt zich op een zeer zeldzame ziekte: metachromatische leukodystrofie (MLD). Dit is een erfelijke stofwisselingsziekte die het zenuwstelsel aantast. De gegevens over deze ziekte worden vastgelegd door het MLD initiative (MLDi), onderdeel van Medicijn voor de Maatschappij. Dit initiatief is verbonden aan het Amsterdam UMC, het expertisecentrum voor MLD in Nederland. Omdat MLD een zeer zeldzame aandoening is, is internationale samenwerking een belangrijk element in de casestudie.
Oorspronkelijke opdracht (werkplan)	In samenspraak met de casestudie is een werkplan opgesteld waarin de volgende doelstellingen zijn vastgesteld:  <b>Algemeen:</b> Een protocol ontwikkelen om zeldzame ziekteregistraties geschikt te maken voor het monitoren van (kosten-)effectiviteit van dure geneesmiddelen tenminste ten behoeve van (cyclisch) pakketbeheer en gepast gebruik. Dit protocol wordt onder andere opgesteld met behulp van opgedane praktijkervaring binnen het MLDi, zoals in de context van het beoordelingstraject van de nieuwe gentherapie voor MLD en de samenwerking met de internationale expertisecentra. Ervaringen met de praktische toepassing worden zowel gebruikt voor het ontwikkelen van een generiek toepasbaar protocol als

	<p>voor het toepassen van het protocol op MLDi.</p> <p><b>Inhoud:</b> De ‘procedure gegevensset (D4)’ gebruiken en testen door de - in een internationale consensusprocedure - vastgestelde gegevensset voor MLDi te vergelijken met D4 en te toetsen op toepasbaarheid voor (cyclisch) pakketbeheer en gepast gebruik. De gegevensset zal de basis zijn voor het beantwoorden van de onderzoeksvraag van de casestudie, waarbij de huidige pakketvragen uit het beoordelingstraject van Libmeldy een belangrijk uitgangspunt zijn voor het opstellen van deze onderzoeksvraag.</p> <p><b>Data/IT:</b> Afspraken maken over en implementeren van (internationale) informatiestandaarden en uitgangspunten ICT systemen, zowel generiek als toegepast op MLDi. Daarnaast het vastleggen van het proces om hiertoe te komen ter bevordering van het hergebruik bij andere registraties.</p> <p><b>Governance en financiering:</b> Randvoorwaarden ontwikkelen voor de governance en financiering van registraties met dure geneesmiddelen. In het bijzonder is er aandacht voor de governance rondom de data-uitwisseling tussen MLDi en het Zorginstituut en internationale data-uitwisseling. Daarnaast zal onderzocht worden wat het effect is voor MLDi van de implementatie van de landelijke governance- en financieringsstructuur van ROR DGM en kwaliteitsregistraties.</p>
<p>Leerervaringen</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Registratie aan de bron en geautomatiseerde datastromen lijken in het huidige internationale informatielandschap onhaalbaar of slechts zeer beperkt mogelijk.</li> <li>- Het vormen van een contract (joint data registry agreement) met alle centra vormt een juridisch obstakel. In dit contract wordt data-uitwisseling en ‘joint controllership’ geregeld.</li> </ul>
<p>Herijkt doel (op basis van de leerervaringen van deze en andere casestudies zijn de doelen bijgesteld)</p>	<p>Register laten landen in governance voor internationale aanpak registers met een duurzame en structurele financiering.</p>

<p>Bereikte resultaten</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Verkenning internationale aspecten en initiatieven bij ultra-weesgeneesmiddelen. Het MLDi zal de ervaringen publiceren. Hierdoor hebben we een best practice / leidraad.</li> <li>- Onderzoeksvraag is vastgesteld, deel van die onderzoeksvraag relevant voor huidig beoordelingstraject gentherapie (binnen ZIN in Beneluxa verband, deze data is door de fabrikant toegevoegd aan dossier)</li> <li>- Gegevensset vastgesteld via internationale consensus procedure (publicatie)</li> <li>- We hebben in de CS kunnen zien hoe een academisch geleid internationaal register kan worden opgezet voor een zeer zeldzame ziekte.</li> </ul>
<p>Nog te bereiken resultaten</p>	<p>Voor de zeldzame ziekte, waarin we te maken kunnen hebben met ultra-weesgeneesmiddelen is er een internationale aanpak nodig voor het faciliteren van informatie rondom het monitoren van dure geneesmiddelen. Ook hier zal de samenhang binnen de verschillende lopende initiatieven, zoals Darwin / European data space, GetREAL, EUnetHTA, HTx en H2O gezocht worden</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- Eindrapportage cf. werkplan inclusief verdere uitwerking onderzoeksvraag</li> <li>- Opleveren framework voor internationale zeldzame ziekteregisters met een focus op zeldzame neurologische aandoeningen</li> <li>- Gebruik van RWD in een lopend beoordelingstraject en rollen/verantwoordelijkheden van alle partijen daarin. Inclusief het bij elkaar brengen van de dataverzameling vanuit fabrikant (trialdata en post-marketing evaluatie als verplichting van EMA) bij het platform MLDi</li> <li>- Mogelijke samenwerking met Health-RI of Darwin (voorkeur) in voorzien datahub (DHD/NHR?) voor MLDi om ook dataverzameling fabrikant hierin te laten aansluiten</li> <li>- Duurzame (publieke) financiering voor dit internationale zeldzame ziekte register</li> <li>- Inzicht krijgen in de mogelijkheden voor het gebruik van een register voor Pay-for-Performance, ook met ervaring uit andere landen.</li> <li>- Assisteren bij technische koppeling MLDi register en LongTERM register; Alignment met Orchard: de data van de lange termijn follow up studie voor de gentherapie (LongTERM) worden verzameld in een apart register van Orchard. De data uit dit register moeten bij MLDi, als centrale datahub, worden ondergebracht. Net als</li> </ul>



	<p>toekomstige trialdata en andere postmarketing studie data voor andere therapieën voor MLD. Inhoudelijk hebben we het MLDi register en LongTERM register zo veel mogelijk op één lijn gebracht. De technische koppeling moet nog gemaakt worden</p>
Acties en aanbevelingen	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Uitwerken van duurzame financiering voor internationale zeldzame ziekte registers</li> <li>- Uitwerken vanuit ZIN wat er nodig is om RWD te gebruiken in pakketbeoordeling</li> </ul>
Vervolg na de casestudiefase	<p>- Toepassing van het register bij geneesmiddelontwikkeling, HTA, cyclisch pakketbeheer en post-marketing evaluatie zal verder worden ontwikkeld. De EMA-kwalificatieprocedure, waarvoor reeds de eerste stappen zijn gezet, zal de toepasbaarheid voor regulatoire doeleinden verder vergroten. Met de komst van meer nieuwe therapieën, in het bijzonder voor enzymvervangings therapie (gevorderd stadium van klinisch onderzoek) en genterapie in laat-juvenile patiënten, zullen we onze manier van samenwerken met zowel regulators, HTA autoriteiten (Beneluxa, ZIN) en de industrie een vervolg geven. De mogelijkheden voor nieuwe vergoedingsmethoden, zoals pay-for-performance, zal verder worden uitgewerkt. De internationale dataverzameling zal worden uitgebreid met als doel maximale dekking in EU, hier ook gebruikmakende van de Europese referentienetwerken (ERN-RND, MetabERN). Diverse onderzoeken op basis van het register zullen worden uitgevoerd om ziektebegrip, uitkomstmaten en predictie van ziektebeloop te verbeteren, cruciaal voor therapie-evaluatie en bijvoorbeeld implementatie van hieprikscreening, zoals al in verscheidende internationale pilots onderzocht wordt. Er zal gewerkt worden aan implementatie van het framework voor registers voor zeldzame neurologische aandoeningen.</p>

## Bijlage 4: Doelstelling en resultaten casestudie 4 – MM

Casestudie	4. Multipel Myeloom
Werkplan	Kenmerk 2021035871
Datum rapportage	Juli 2022
Looptijd casestudie	Januari 2021- december 2022
Bijdrage ROR DGM	€ 100.000
Opdrachtnemer	ErasmusMC
Betrokkenen	<ul style="list-style-type: none"> <li>- P. (Pieter) Sonneveld (voorzitter registratie)</li> <li>- J. (Jan) Hazelzet (medevoorzitter registratie)</li> <li>- L. (Lidwine) Tick (NVvH en pilot WGZ-MM)</li> <li>- H (Hans) Scheurer (Myleloma patients Europe)</li> <li>- S. (Simone) Oerlemans (IKNL)</li> <li>- G.J (Gert-Jan) van Boven (DHD)</li> <li>- C. (Christine) Bennink (ErasmusMC) projectcoördinator</li> <li>-</li> </ul>
Gerelateerde projecten	<ul style="list-style-type: none"> <li>- <b>Pilot project Waardegedreven Zorg Multipel Myeloom (ErasmusMC):</b> van start gegaan en geïnitieerd vanuit het ErasmusMC, in samenspraak met de werkgroep MM van de Stichting Hemato-Oncologie voor volwassenen (HOVON) en de Nederlandse Vereniging voor Hematologie (NVvH)</li> <li>- <b>Werkgroep Multipel Myeloom (ZIN);</b> opstellen kaders en methoden van het indicatiebreed beoordelen bij Multipel Myeloom)</li> <li>- <b>H20 (Health Outcomes Observatory)</b></li> </ul>
Context	<p>Multipel Myeloom (ook wel bekend als de Ziekte van Kahler) is een kwaadaardige beenmergziekte. Hiervoor zijn in de afgelopen jaren veel nieuwe behandelcombinaties op de markt gekomen. Om de uitkomsten - inclusief kwaliteit van leven - van deze verschillende behandelingen te meten, zet het ErasmusMC een aandoeningsregister op. Dit doen zij in samenwerking met een aantal pilot-ziekenhuizen en het Zorginstituut. Het meten en delen van klinische en patiënt gerapporteerde uitkomsten gebeurt in het pilotproject Waardegedreven zorg Multipel Myeloom in 5 Nederlandse ziekenhuizen. Deze pilot is in 2018-2019 van start gegaan en geïnitieerd vanuit het ErasmusMC, in samenspraak met de werkgroep Multipel Myeloom van de stichting Hemato-Oncologie voor Volwassen Nederland (HOVON) en later ook met de Nederlandse Vereniging voor Hematologie (NVvH).</p>

	<p>Er zijn vele initiatieven die zorgdata rondom het ziektebeeld Multipel Myeloom verzamelen en er zijn vele projecten die de zorgdata rondom Multipel Myeloom nodig hebben. Op dit moment is er echter geen landelijk dekkend aandoeningsregister waarin de noodzakelijke informatie rondom MM wordt verzameld. Het zijn namelijk op zichzelf staande losse initiatieven, die niet alle benodigde informatie verzamelen en nu niet interoperabel en koppelbaar zijn wat wel nodig is om tot de benodigde landelijke informatie te komen.</p> <p>De meerwaarde voor het Zorginstituut wordt gevonden in het ontwikkelen van het datamodel om naast kwaliteitsverbetering ook tot kosten effectiviteit analyse (van bestaande en nieuwe geneesmiddelen/ cyclisch pakketbeheer) te kunnen komen op basis van population-based data in het aandoeningsregister. Dit register kan bestaan uit data uit verschillende databronnen die door koppeling worden samengevoegd</p>
<p>Oorspronkelijke Opdracht (werkplan)</p>	<p>In samenspraak met de casestudie is een werkplan opgesteld waarin de volgende doelstellingen zijn vastgesteld:</p> <p><b>Algemeen:</b> het proces van opstarten van de aandoeningsregistratie MM volgens strategisch plan doorlopen, waarbij het belangrijk is dat deze registratie ten minste geschikt is voor het monitoren van (kosten-)effectiviteit van (dure) geneesmiddelen ten behoeve van (cyclisch) pakketbeheer en gepast gebruik</p> <p><b>Inhoud:</b> de procedure gegevensset (D4) gebruiken en testen om tot een specifieke gegevensset voor de aandoeningsregistratie Multipel Myeloom te komen die ten minste voor (cyclisch) pakketbeheer en gepast gebruik kan worden gebruikt</p> <p><b>Data/IT:</b> opstellen en implementeren van afsprakenstelsel t.b.v. de registratie MM over informatiestandaarden en uitgangspunten ICT-systemen en het vaststellen van het proces om hiertoe te komen ter bevordering van hergebruik bij andere registraties</p> <p><b>Governance en financiering:</b> Kader stellen voor governance- en financieringsstructuur van registratie MM en inzicht krijgen in de wisselwerking tussen deze kaders en de te ontwikkelen landelijke governance- en financieringsstructuur. Hierbij zal in het bijzonder aandacht zijn voor de data-uitwisseling tussen de registratie en het Zorginstituut. Hieruit moeten afspraken en een model voor de governance en financiering van registraties volgen.</p>

<p>Herijkt doel (op basis van de leerervaringen van deze en andere casestudies zijn de doelen bijgesteld)</p>	<p>Er ligt een opdracht voor een indicatiebrede beoordeling over de behandellijnen voor Multipel Myeleoom. Echter die methodiek is nog niet uitgewerkt en dus is er voor de casestudie geen onderzoeksvraag opgesteld.</p> <p>Het doel is te komen tot een aandoeningsregistratie rondom Hematologie, waar Multiple Myeloom onderdeel van is, met daarbij de juiste governance, inhoud en data-infrastructuur.</p> <p>Deze aandoeningsregistratie beoogt een hematologisch platform met een landelijk dekkende dataverzameling van o.a. Multipel Myeloom patiënten. Dit is ingericht is om de beschikbaarheid en toegankelijkheid van die dataverzameling te waarborgen op niveau van alle betrokken stakeholders (behandelaars, patiënt vertegenwoordiging, onderzoekers, overheid, verzekeraars, industrie) en de betrokken registers/aanpalende projecten/initiatieven</p>
<p>Leerervaringen</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Acteren in een complex veld met veldpartijen en commerciële partijen met verschillende belangen</li> <li>- Klinische data uit EPD worden via NKR gestandaardiseerd. De basis NKR bevat een groot deel maar niet alle variabelen van de uitkomstenset Multipel Myeloom. Deze aanvullende uitkomsten (denk aan behandel-effecten als neuropathie, infectie enz) zijn nu niet voor handen in de basis NKR. Bovendien registreert de basis NKR alleen het eerste jaar van het behandeltraject na diagnose. Hiermee zijn in principe behandellijnen die na 1 jaar worden ingezet niet opgenomen in de NKR. Dit maakt het duurzaam monitoren van het brede scala aan DGM behandelingen via de NKR onmogelijk.</li> <li>- Koppeling van klinische en PROMs data aan zorgconsumptiegegevens (LBZ-data) is technisch (met name AVG verschillen in pseudonimisatie), juridisch (rigide hantering AVG) en organisatorisch (eigenaarschap geaggregeerde data) ingewikkeld.</li> <li>- Onvoldoende incentives bij o.a EPD leveranciers om bronregistratie te optimaliseren</li> <li>- Proces van data ontsluiting van zowel klinische uitkomsten als van PROMS, mede door bovengenoemde obstakels tijdrovend en complex voor zowel de ziekenhuizen, IKNL en DHD.</li> <li>- Inefficiëntie en hoge kosten door bovenstaande, belemmeren uitrol naar andere ziekenhuizen.</li> <li>- Bovenstaande obstakels belemmeren gebruik data en vlotte substantiële inclusie RWD voor pakketbeheer</li> </ul>

Bereikte resultaten	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Inzicht waar vervolgstappen genomen moeten worden voor implementatie ROR DGM ('verbreding/vervolg casestudies')</li> <li>- Gegevensset opgeleverd (publicatie)</li> <li>- Uitkomstenset casestudie ziekenhuizen geïmplementeerd, data verzameling is van start</li> <li>- Overeenkomsten voor casestudie en pilot ziekenhuizen om koppeling van klinische uitkomsten, PROMs en zorgconsumptie uitkomsten (LBZ) mogelijk te maken en juridisch te borgen</li> <li>- 2 data-uitleveringen (ruim 200 pt geïnccludeerd) van de 5 pilot ziekenhuizen</li> </ul>
Nog te bereiken resultaten	<ul style="list-style-type: none"> <li>- De governance moet worden ingericht met Wetenschappelijke Vereniging, patiënten, verzekeraar.</li> <li>- Eindrapportage cf. werkplan inclusief proof of concept voor koppeling met LBZ-data (t.b.v. kostenanalyse) in voorbereiding</li> <li>- Evaluatie gebruik (generieke) PROMs binnen MM-behandeling</li> <li>- Opstart van aandoeningsregistratie Hematologie (hemato-oncologie en eventueel benigne hematologie) met landelijke dekking</li> </ul>
Acties en aanbevelingen	Tijdelijke financiering voor voortzetting concretiseren.
Vervolg na de casestudiefase	<p>In de overbrugging (2023-2024) worden de volgende acties uitgezet:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- Verder uitwerken van duurzaam aandoeningsgovernance met landelijke dekking</li> <li>- Maken van een generiek juridisch model voor alle ziekenhuizen voor uitlevering en koppeling van de 3 datastromen</li> <li>- Oplossen knelpunten uit huidige opzet van het register: <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ Standaardisatie van gegevensset aan de bron</li> <li>▪ Compliance invullen gegevensset aan de bron</li> <li>▪ Startpunt van inclusie in register is nieuwe diagnose MM en niet meer afname PROMs (hierdoor volledige dekking en snellere vulling van register).</li> <li>▪ Real-time dataverzameling, verbeteren en efficiënter maken van data-uitlevering</li> </ul> </li> </ul>

	<ul style="list-style-type: none"><li>▪ Focus op analyse en terugkoppeling van informatie aan stakeholders (inclusief optie tot terugkoppeling individuele data aan individuele patiënten, t.b.v. duurzame compliance)</li></ul> <p>Hiervoor is nodig:</p> <ol style="list-style-type: none"><li>1. Projectorganisatie voor het MM-register om de verzameling, koppeling en toegang tot de MM-data te kunnen regelen</li><li>2. Stuurgroep voortzetting. Eventueel (her-)inrichten met alle stakeholders</li><li>3. Reviseren inhoud met alle stakeholders (rekening houdend met (inter-)nationale initiatieven, zoals bijvoorbeeld generieke PROMs)</li><li>4. Werken met generieke contracten tussen ziekenhuizen en DHD</li><li>5. Aansluiten op de criteria die door de Inhouds-governance en Data-governance commissie in het kader van de landelijke governance op kwaliteitsregistraties nu ontwikkeld worden.</li></ol>
--	---

## Bijlage 5: Overzicht van de dataverzamelingen

In het huidige (versnipperde) informatielandschap ontbreekt het aan een goed overzicht van de verschillende bestaande dataverzamelingen en bronnen die potentieel gebruikt kunnen worden om het gebruik van geneesmiddelen te monitoren. Ook is niet bekend voor welke aandoeningen de registraties (veel) overlap hebben, of welke registraties gekenmerkt worden als (potentiële) kwaliteitsregistratie. Een overzicht van alle bestaande registraties is nodig voor coördinatie en sturing op het registerlandschap.

Op basis van een inventarisatie heeft ROR DGM in december 2021 een [rapport](#) gepubliceerd op het gebied van *dure geneesmiddelen* registers in Nederland. Dit was opgesteld vanuit de oorspronkelijke doelstelling van het project om te inventariseren welke registers op dat moment bekend waren en hoe de organisatie geregeld was.

Vanuit het programma wordt gewerkt aan een overzicht van alle bestaande dataverzamelingen, waaronder de registraties over het gebruik van geneesmiddelen. Gezien de samenhang met het project Kwaliteitsregistraties, zijn de beoogde kwaliteitsregistraties in dit overzicht meegenomen.

Zodra dit overzicht gereed is, zal dit op de webpagina van het programma gepubliceerd worden. Dit overzicht kan wellicht door meerdere partijen gebruikt worden, o.a. bij de horizonscan van dure geneesmiddelen. Deze horizonscan kan gebruikt worden om vroegtijdig ziekten en bijbehorende behandelingen te identificeren waarvoor we voorzien dat het belangrijk is om gegevens over het gebruik van de (nieuwe) geneesmiddelen in de praktijk te monitoren.





## Bijlage 6: Gebruik van data voor de ontwikkeling van klinische richtlijnen, *decision tools*, samen beslissen en pakketbeheer

De visie over het gebruik van observationele data (Real World Data, of RWD) voor pakketbeheer en passende zorg zal in de komende tijd verder worden uitgewerkt. Het uitgangspunt is dat deze data niet alleen door het Zorginstituut maar breder zullen worden ingezet om kwaliteit van zorg te verbeteren. Daarbij zullen wij in het kader van ons project ons primair inzetten op (dure) geneesmiddelen maar hopen dat dit op langere termijn ook breder wordt geïmplementeerd.

Vanuit pakketbeheer worden de volgende belangen gezien:

- Beschrijving maken over welke data inhoudelijk nodig zijn (in engere zin D4 aangepast op basis van casestudies en in bredere zin aansluitend op ook andere projecten zoals UZ (lerend van CS1/darmkanker)
- Het vaststellen van de [REQUEST-Tool](#) als de manier om de kwaliteit van registraties te waarborgen. Waar nodig passen we een REQUEST-Tool aan om specifieke vragen toe te voegen. Ook zullen we proberen om de REQUEST tool met internationale partners te valideren.
- Het definiëren van een formaat dat standaard en transparant is voor het opstellen van de onderzoeksvraag. Daarbij zullen we ook gebruik maken van bestaande internationale formaten in het bijzonder het [HARPER template](#) dat ontwikkeld is door de [ISPOR-ISPE taskforce](#).
- Het verder uitwerken van een kader voor analysemethoden voor de analyse van data uit registers ten behoeve van verschillende doelen (voortzetting op D3). Hierbij zullen we aansluiten bij andere interne ontwikkelingen met name ook rond observationele data in Toekomstbestendig Pakketbeheer (TBP). Hierbij zullen we ook gebruik maken van de studie die is uitgezet rond observationele data als onderdeel van de academische werkplaats (UU). We zullen ook extern met andere partijen gaan nadenken hoe het gebruik van RWD, bijv. als onderdeel van richtlijnen, *clinical decision support tools* en *shared decision making* vorm gaan krijgen.
- Bepalen wat in de komende jaren nodig is om het gebruik van RWD binnen het Zorginstituut, buiten het Zorginstituut en wereldwijd te faciliteren. Aansluiting met lopende en komende (internationale) inhoudelijke activiteiten zal duidelijk moeten worden uitgewerkt. Het Zorginstituut zal in projecten zoals H2020-HTx, GetReal en EUnetHTA21 een bijdrage leveren aan deze initiatieven.



## Bijlage 7: Overzicht van internationale initiatieven

Onderstaand een overzicht van de relevante internationale initiatieven, waar (dure) geneesmiddelen en/of RWD een rol speelt.

### [European Reference Networks for Rare Diseases \(ERN's\)](#)

ERN's zijn virtuele netwerken van zorgverleners uit heel Europa. Zij willen patiënten met complexe zeldzame ziekten en aandoeningen waarvoor zeer gespecialiseerde behandelingen en een bundeling van kennis en middelen nodig zijn kunnen bespreken in multidisciplinair overleg met experts uit de gehele EU. De procedure en criteria voor de oprichting van een ERN en de selectie van leden liggen vast in de EU-wetgeving voor grensoverschrijdende zorg. Het oprichten van patiëntenregistraties en vervolgens monitoren van behandelingen kan deel uitmaken van een ERN. Nederlandse expertisecentra zeldzame aandoeningen (zie beleidsvisie ECZA, VWS), met name in academische ziekenhuizen, maken deel uit van meerdere van deze 24 ERN's. Daarnaast is er het overkoepelende ERICA H2020 project voor alle ERN's. Dit project wordt geleid vanuit Nederland door Alberto Perreira (nu AmsterdamUMC).

### [European Joint Programme on Rare Diseases \(EJP RD\)](#)

Het doel van EJP RD is om tot een compleet en houdbaar ecosysteem te komen dat onderzoek, zorg en innovatie in zeldzame ziekten ondersteunt. Dit project brengt meer dan 130 instituten (inclusief 24 ERN's) bij elkaar en heeft een focus op het delen van onderzoeks- en klinische data. Daarnaast wil men komen tot een efficiënt model van financiering van onderzoek en implementatie van de resultaten. Uiteindelijk moet EJP RD leiden tot een zeldzame ziekten partnership (Joint Action EC en lidstaten) als deel van het Europese Horizon Europe Programma. Dit zal moeten starten in 2023.

### [European Health Data Space \(EHDS\)](#)

EHDS is een prioriteit van de Commissie voor de jaren 2019-2025 en heeft ook betrekking op de gezondheidssector. Een gemeenschappelijke Europese ruimte voor gezondheidsgegevens maakt gezondheidsgegevens (elektronische patiëntendossiers, genomica-gegevens, patiëntenbestanden enz.) makkelijker uitwisselbaar en toegankelijker, niet alleen ten behoeve van een betere gezondheidszorg (primaair gebruik), maar ook voor gezondheidsonderzoek en beleidsvorming (secundair gebruik). EHDS kan mogelijk in de toekomst ook bijdragen aan meer gemakkelijk uitwisselen van data in internationale patiëntenregistraties.

### [Data Analysis and Real World Interrogation Network \(DARWIN EU\)](#)

DARWIN EU, opgericht door EMA, is gefocust op het produceren van real-world evidence (RWE) in Europa over ziekten en de bijbehorende behandelingen (in het bijzonder geneesmiddelen). Hoewel het primaire doel van DARWIN EU is het ondersteunen van regulatoire besluitvorming rond geneesmiddelen is, is het ook een afgeleid doel om andere stakeholders, zoals payers en HTA te faciliteren met toegang tot RWE. Daarbij wil DARWIN EU aansluiten bij EHDS en gebruik maken van federatieve netwerken om data bij elkaar te brengen. EMA werkt met het ErasmusMC om het DARWIN EU Coordinating Center vorm te geven. Het Zorginstituut is lid van de EU Advisory Board van DARWIN EU.

### [IMI-Health Outcomes Observatory project \(H2O\)](#)

IMI-H2O brengt de publieke en private sector samen om in heel Europa een ongeëvenaard gestandaardiseerd gegevensbeheer en infrastructuursysteem tot stand te brengen. Hierbij willen ze de ervaringen en voorkeuren van patiënten te betrekken bij beslissingen die van invloed zijn op hun individuele gezondheidszorg en op die van de gehele patiënten gemeenschap. Het doel is dat de H2O-infrastructuur en instrumenten patiënten in staat brengt om hun resultaten op een gestandaardiseerde manier te meten terwijl ze volledige controle houden over hun gegevens.

#### [H2020-HTx Next Generation Health Technology Assessment](#)

Het doel van het HTx project is om de methode van beoordelen van zorg te moderniseren en meer aan te laten sluiten op gepersonaliseerde zorg. Tevens is een sterke focus op de implementatie van deze nieuwe methoden in de beleidspraktijk en daarom nemen ook HTA organisaties zoals het ZIN, NICE (Verenigd Koninkrijk) en TLV (Zweden) aan dit project deel. In dit project zijn 4 casestudies waaronder een casestudie die een weesziekte, myelodysplastisch syndroom (MDS) betreft. Relevant is ook de [PROM-toolbox](#) and [guide](#) die een overzicht geven van relevante PROMS. Deze is recent door HTx is gepubliceerd.

#### [GetReal Institute](#)

GetReal bouwt voort op het succes van twee IMI GetReal-projecten en brengt verschillende stakeholders bij elkaar om methoden, tools en best practices rond het gebruik van RWE verder te ontwikkelen. Zo wordt er op dit moment veel aandacht gestoken in de methoden om RWD te gebruiken om vergelijkingen te maken met resultaten uit *single-arm* klinische studies. Deze *single-arm* studies worden vaak uitgevoerd in kleine patiënten aantallen voor dezelfde weesgeneesmiddelen. Zorginstituut en CBG zijn lid van GetReal.

#### [European Network for Health Technology Assessment \(EUnetHTA\(21\)\)](#)

EUnetHTA(21) is het laatste gemeenschappelijke project van de Europese HTA organisaties voordat in 2025 als onderdeel van de EU HTA wetgeving getrapte gemeenschappelijk klinische beoordelingen in Europa zullen worden uitgevoerd. Al vanaf het begin zullen bijvoorbeeld ATMPs worden beoordeeld. Ook heeft EUnetHTA de REQUEST tool ontwikkeld om de kwaliteit van patiëntenregistraties te beoordelen.

#### [BeneluxA](#)

Dit samenwerkingsverband van België, Nederland, Luxemburg, Oostenrijk en Ierland doet steeds vaker gemeenschappelijke HTA-beoordelingen en prijsonderhandelingen. Heel vaak betrof het hier (ultra)weesgeneesmiddelen en steeds regelmatig zal hierbij ook gebruik worden gemaakt van data uit patiëntenregistraties.

#### [International Horizon Scanning Initiative \(IHSI\)](#)

IHSI is een initiatief van nationale overheden en publieke organisaties om vroegtijdig informatie te verzamelen over nieuwe geneesmiddelen. Deze informatie kan worden gebruikt om gemeenschappelijke beoordeling tijdig op te starten maar ook om prioriteiten voor dataverzameling in de klinische praktijk al te starten voordat de nieuwe geneesmiddelen beschikbaar komen. In het bijzonder kan dit voor nieuwe geneesmiddelen voor ultraweessiekten, die in kleine *single-arm* klinische studies worden onderzocht van groot belang zijn om zo informatie over onbehandelde patiënten verzamelen voordat dit geneesmiddel beschikbaar komt.

## Bijlage 8: Conceptueel modelleren

Deze bijlage licht het conceptueel modelleren toe, en geeft het verband met ZIB's en OMOP.

*Conceptueel modelleren: van kennismodel naar een mensleesbaar model.*

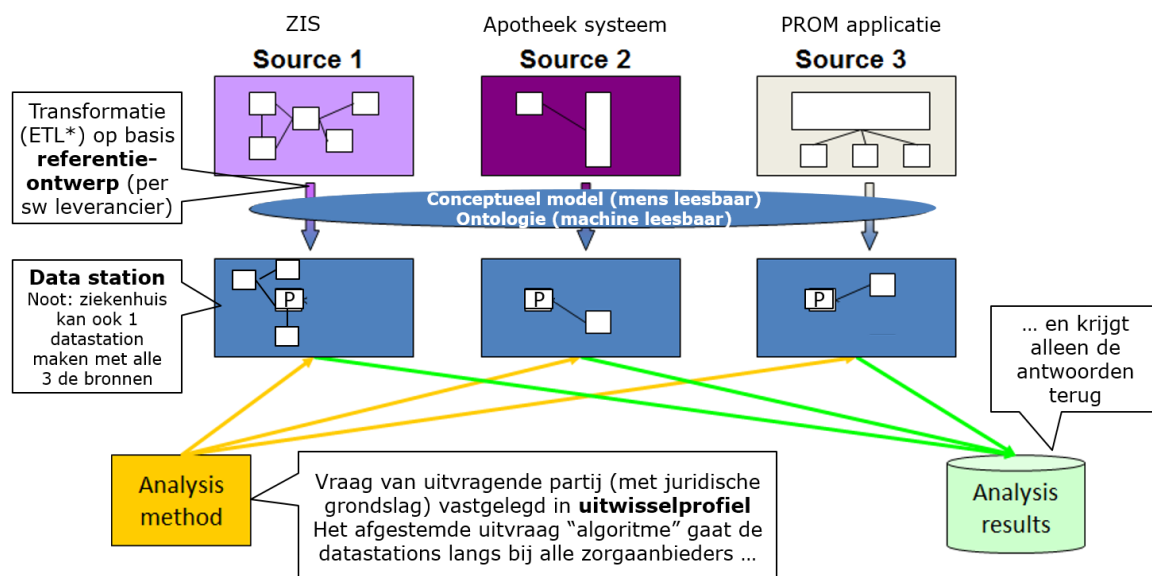
De methodiek van conceptueel modelleren helpt als eerste stap in het ontwikkelen van een kennismodel. Concepten zijn de "dingen" waarover je met elkaar praat en waarover je informatie wilt uitwisselen. In een conceptueel model worden deze concepten en hun onderlinge relaties inzichtelijk gemaakt op een mensleesbare manier. Het helpt je bij het voeren van het gesprek tussen de professionals en de informatieanalisten zodat duidelijk wordt: "waar hebben we het over", wat bedoelen we precies, wat is de betekenis van de dingen waarover we praten? Deze kennis wordt vastgelegd in het conceptueel model. Dit is ook nodig om te kunnen bepalen of concepten hergebruikt kunnen worden voor het beantwoorden van nieuwe vragen.

*Conceptueel modelleren zit op de informatie-laag van het interoperabiliteitsmodel*

Conceptueel modelleren (en ook semantisch modelleren t.b.v. machine leesbaarheid) zit op de informatie-laag (ook wel de semantische laag genoemd). Bij de applicatie-laag komen uitwisselformaten om de hoek kijken en daar gaat het modelleren niet over.

Het programma ROR DGM heeft een eerste conceptueel model voor een aandoeningsregistratie uitgewerkt om elementen uit de dataset in samenhang weer te geven. Zie hiervoor paragraaf 2.1 met de eerste versie van het uitgewerkte model en de toelichting daarop en paragraaf 2.2 voor een toelichting gegeven op de modelleermethodiek.

Kennismodellering (middels een conceptueel model en ontologieën) is een hulpmiddel om de brug te slaan tussen de data in de diverse zorginformatiesystemen met hun verschillende structuren en inrichtingen en de data met uniforme betekenis te kunnen vergelijken over de verschillende zorgaanbieders en patiënten heen. Dit is uitgewerkt in onderstaand figuur. Deze licht de verschillende onderdelen toe: conceptueel modelleren, ontologie, referentie-ontwerp, data station en uitwisselprofiel.



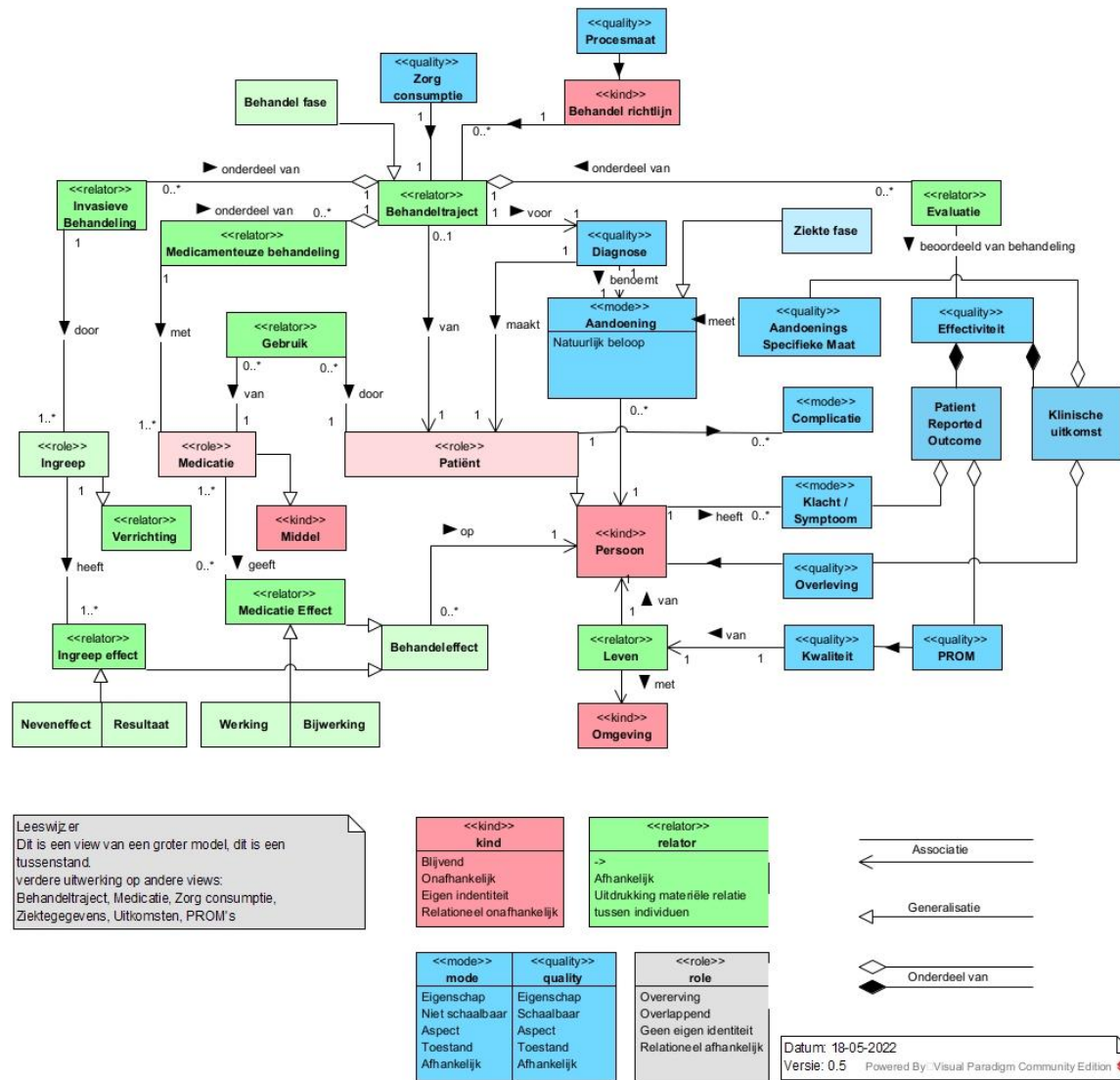
\* ETL = Extractie, transformatie en laden van data naar in dit geval een data station.

De volgende onderwerpen zijn onderdeel van een uitwisselprofiel:

- Doel van de uitvraag
- Wat gebeurt er met de gegevens
- Doel per analyse van de uitvraag
- Juridisch kader
- Organisatorisch: frequentie, publicatie, terugkoppeling, in- en exclusiviteitscriteria
- Semantisch: informatievragen en definities, in- en exclusiviteitscriteria, concepten en eigenschappen en berekeningen
- Technisch aspecten
- Privacy & informatiebeveiliging

Paragraaf 2.3 gaat in op de samenhang tussen het OMOP common data model, ZIB's en het conceptuele model.

### Conceptuele model aandoeningsregistratie



In het midden van het model staat de aandoening van de persoon. Als de diagnose is gesteld kan begonnen worden met het behandeltraject van de patiënt. Het behandeltraject bestaat in de regel uit een combinatie en opeenvolging van invasieve en medicamenteuze behandelingen. In het kader van deze behandelingen worden verschillende verrichtingen en middelen ingezet bij de patiënt. Deze inzet leidt tot verschillende positieve en negatieve behandel-effecten voor de persoon die doorwerken in zijn leven, klachten en aandoening. De patiënt kan te maken krijgen met complicaties, die kunnen zowel voortkomen uit het natuurlijk beloop van de ziekte als ook met de ingezette behandelingen in het traject. Een terugkomend onderdeel van het behandeltraject is de evaluatie van de effectiviteit van de tot nu toe ingezette behandeling. Dit gebeurt op basis van de verschillende klinische uitkomsten en patiënt gerapporteerde en verzamelde gegevens. Het behandeltraject als geheel kent een totale zorgconsumptie. Een behandeltraject wordt gebaseerd op een behandelrichtlijn, waarvan de kwaliteit kan worden gemeten met procesmaten.

**Toelichting keuze OntoUML voor conceptueel model**

Voor conceptuele modellen werken we met OntoUML, om de volgende redenen:

- Het is visueel en sluit aan op UML

- Het is onafhankelijk van de techniek
- Bevat een rijke taal om een aandachtsgebied te representeren, waardoor kennis expliciet, begrijpelijk, bruikbaar, adequaat uitgedrukt, analyseerbaar en valideerbaar is.
- Maakt onderscheid tussen verschillende typeringen van betekenis
- Reikt modelleringsrichtlijnen aan om formeel juiste ontologieën op te stellen.
- Onderkent dat zaken aan verandering onderhevig zijn

OntoUML vult gaten in ER, UML en OWL, deze:

- ...missen meer verfijnde constructies voor adequate beschrijving van een domein
- ...missen methodologische richtlijnen om ontologisch consistente modellen te maken
- ...worden beperkt vanwege beoogde technologische implementatie

Nictiz maakt al UML diagrammen, met OntoUML is hierin dus een extra stap te zetten. Op basis van het conceptuele model kan je dan zowel ZIB's gaan definiëren (kortere implementatietijd) als een ontologie gaan opstellen (semantisch modelleren) voor de machineleesbaarheid (de langere termijndoorontwikkeling). Een conceptueel kennismodel is daarmee goed in te zetten als uitgangspunt/referentie voor specificaties.

OntoUML biedt een hulpmiddel om samenhang inzichtelijk te maken en helpt om betere, consistente modellen te maken. OntoUML bestaat uit:

- Een set stereotypen
  - ofwel soorten "dingen" die je kan onderscheiden in je model; bijv. een "gebeurtenis" is een ander soort ding dan een "object"
  - Deze set komt voort uit de Universal Foundational Ontology (UFO)
- Een set regels over hoe je deze stereotypen kan combineren
  - Bijvoorbeeld: iets kan niet zowel een object als een gebeurtenis zijn



