



Zorginstituut Nederland

Inventarisatie van aandoeningsspecifieke patiëntenregistraties voor de monitoring van dure, medisch-specialistische geneesmiddelen

Datum 16 december 2021
Status Definitief

Colofon

Volgnummer	2021034856
Projectnaam	Regie op Registers Dure Geneesmiddelen (RORDGM)
Projectleider	Hans Paalvast
Contact	rordgm@zinl.nl

Auteur(s)	Wim Goettsch, Mariëlle Hagen, Lonneke Timmers
Afdeling	Zorg

Inhoud

Samenvatting 4

1	Inleiding 7
1.1	Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen 7
1.2	Doel van de inventarisatie 7
1.3	Opzet onderzoek en algemene resultaten 7
1.4	Opbouw enquête 10
2	Inhoud 11
2.1	Registereigenschappen 11
2.1.1	Doel van register 11
2.1.2	Startjaar eerste inclusie patiënt 12
2.1.3	Huidig aantal geïncludeerde patiënten 13
2.1.4	Dekkingsgraad 14
2.1.5	Gemiddelde follow-up patiënten en loss to follow-up 14
2.1.6	Internationale samenwerking 15
2.2	Welke gegevens 16
2.2.1	Aantal items en verzameling gegevens over zorggebruik en medicatiegebruik 16
2.2.2	Verstrekking spiegelinformatie 18
3	Data/ICT 19
3.1	Registratie en aanlevering 19
3.2	Bewerking 20
3.3	Vastlegging 21
3.4	Toegang en gebruik 22
4	Governance en financiering 24
4.1	Financiering 24
4.1.1	Financiering per financier 24
4.1.2	Financiering door farmaceutische bedrijven 24
4.1.3	Procentuele verdeling kosten IT, personeel en overig 25
4.2	Governance 26
4.2.1	Governance structuur 26
5	Bevindingen en kanttekeningen 27
5.1	Belangrijkste bevindingen 27
5.2	Kanttekeningen 28
6	Aandachtspunten voor het vervolg 29
Bijlage 1 Definities 31	
Bijlage 2 Bronnen bureau onderzoek 33	
Bijlage 3 Nederlandse registraties met dure geneesmiddelen 34	

Samenvatting

Het project Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen¹ (ROR DGM), uitgevoerd door Zorginstituut Nederland, heeft een inventarisatie gemaakt van de aandoeningsspecifieke patiëntenregistraties met informatie over (dure) geneesmiddelen in de medisch-specialistische zorg. Het doel van deze inventarisatie is om inzicht te krijgen in de organisatie en inrichting van deze registers en suggesties te krijgen over welke zaken van belang zijn om op te pakken in het kader van het project.

Beschrijvende analyse

Middels deskresearch (bronnenonderzoek en uitvraag) heeft het Zorginstituut Nederlandse registraties met geneesmiddelen geïnventariseerd. Voor deze rapportage heeft het Zorginstituut 58 registraties benaderd die informatie verzamelen over dure, medisch-specialistische, geneesmiddelen. Daarvan hebben dertig registraties een vragenlijst ingevuld. Gezien de beperkte informatie over de representativiteit van deze vragenlijsten, zijn wij terughoudend geweest om kwantitatieve analyses uit te voeren en hebben ons beperkt tot een meer beschrijvende analyse.

Bevindingen registratielandschap

Om de kwaliteit van zorg te monitoren zijn veel partijen actief bezig met het verzamelen van praktijkdata in deze registraties. De registraties worden onder andere gebruikt om de effecten van dure, medisch-specialistische geneesmiddelen te evalueren. De registraties betreffen verschillende medische specialismen waarbij interne geneeskunde, hematologie, oncologie, reumatologie en neurologie het meest voorkomen. Het doel van de registraties verschilt, maar in de meeste gevallen is het doel kwaliteit van zorg en onderzoek. De grootte van de registraties varieert tussen de 250 en meer dan 10.000 patiënten. In de helft van de registraties worden dure weesgeneesmiddelen gemonitord. Zoals verwacht zijn dit registers met kleinere patiëntenaantallen. Internationale samenwerking vindt vooral plaats bij de registraties voor weesziekten.

De meeste registraties verzamelen per patiënt meer dan vijftig specifieke items. De verzameling van sommige typen gegevens, zoals zorggebruik en kwaliteits-indicatoren, is echter beperkt. Wel geeft een meerderheid van de registratiehouders aan dat gegevens over kwaliteit van leven en andere *patient reported outcomes* (PROs) worden verzameld, maar het is onduidelijk hoe consistent en structureel dit wordt gedaan. De dataverzameling zelf wordt vaak handmatig gedaan en slechts enkele registratiehouders geven aan gebruik te maken van Zorg Informatie Bouwstenen (ZIB) of standaardcoderingsstelsels zoals SNOMED, LOINC en ICD10.

De organisatie van de registraties varieert. Een aantal registraties heeft een dubbele bestuurslaag (algemeen en dagelijks bestuur), maar de meerderheid heeft slechts één bestuurslaag. De meeste registraties hebben wel een wetenschappelijke adviesraad om aanvragen voor data ten behoeve van wetenschappelijk onderzoek te beoordelen. Hoewel we slechts beperkte informatie hebben ontvangen over de financiering van deze registraties, laten onze gegevens zien dat financiering door farmaceutische bedrijven een belangrijke rol speelt.

¹ Zorginstituut Nederland. *Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen*.
<https://www.zorginstituutnederland.nl/werkagenda/regie-op-registers-voor-dure-geneesmiddelen>

Conclusie

Onze inventarisatie laat een aantal belangrijke variaties zien in type, doel, organisatie en financiering van registraties met dure geneesmiddelen. Hoewel deze uitkomsten over het algemeen niet verrassend zijn, biedt dit overzicht aanknopingspunten voor ons project ROR DGM. Het project ROR DGM streeft ernaar om in de komende jaren samen met deze registraties, en in afstemming met andere aanpalende projecten zoals kwaliteitsregistraties, tot meer afstemming en standaardisatie te komen, zodat de gegevens structureel, sneller en met een betere kwaliteit beschikbaar komen voor verschillende doelen, waaronder gepast gebruik en pakketbeheer van geneesmiddelen. Over drie tot vijf jaar zou een vergelijkbare inventarisatie opnieuw moeten worden gedaan om te onderzoeken in hoeverre het registratielandschap inmiddels is veranderd.

1 Inleiding

In het kader van het project Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen (ROR DGM) heeft het Zorginstituut het huidige landschap in beeld gebracht van registraties binnen indicatiegebieden waar dure geneesmiddelen worden toegepast.

1.1 Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen

Er komen steeds meer innovatieve, dure geneesmiddelen op de markt. Vaak met onzekerheden over het precieze effect voor patiënten in de praktijk. Om de effecten van geneesmiddelen te evalueren, zijn veel partijen actief bezig met het verzamelen van praktijkdata in registraties. In de vele verschillende registers komen een aantal knelpunten naar voren. Voor sommige aandoeningen bestaan geen registraties, voor andere aandoeningen zijn er juist meerdere registraties die elkaar overlappen. De kwaliteit is wisselend. Om de informatie uit registers bruikbaar te maken voor alle partijen, is een structurele aanpak nodig. Daarom is het Zorginstituut in opdracht van de minister voor Medische Zorg in 2019 gestart met het programma ROR DGM. Doel is om te komen tot een informatielandschap waarin informatie over dure geneesmiddelen is geborgd in de primaire zorgsystemen of in aandoeningsspecifieke registraties. Het gaat onder meer over welke gegevens moeten worden verzameld en op welke manier. Met een georganiseerd informatielandschap hebben we de mogelijkheid om te leren over de werking van dure geneesmiddelen in de praktijk.

1.2 Doel van de inventarisatie

De inventarisatie is bedoeld om een beter inzicht te krijgen in het huidige registerlandschap:

- hoeveel en welke soort registers zijn er op dit moment
- hoe zijn de registers georganiseerd en ingericht op de onderwerpen die wij binnen het project onderscheiden (Governance & Financiering, Inhoud en Data/IT)
- welke aandachtspunten zijn er voor het project ROR DGM

Over 3 tot 5 jaar zou opnieuw een vergelijkbare inventarisatie moeten worden gedaan om te onderzoeken in hoeverre het landschap is veranderd, al dan niet ten gevolge van het project ROR DGM.

1.3 Opzet onderzoek en algemene resultaten

Eerst hebben we een brede inventarisatie gedaan van mogelijk relevante registraties op basis van bureau onderzoek en vervolgens hebben we een enquête gestuurd aan de nationale registers waarvan de veronderstelling was dat zij het gebruik van dure geneesmiddelen registreren.

Het bureau onderzoek leverde 114 registraties op. Dit betrof Nederlandse patiëntenregistraties en registratiestudies en Transnationale patiëntenregistraties en registratiestudies met een Nederlandse tak. In het geval dat er voor een specifieke aandoening meerdere typen registraties werden gevonden is de Nederlandse patiëntenregistratie benaderd. De inventarisatie van registraties en registratiestudies is gebaseerd op diverse bronnen (zie bijlage 2) en is afgestemd met en aangevuld door leden van de expertisegroep van het project ROR DGM.

Op basis van de uitgebreide inventarisatie is aan 58 van de 114 geïnventariseerde registraties een enquête gestuurd. Om diverse redenen is geen enquête gestuurd aan andere registraties in de brede inventarisatie:

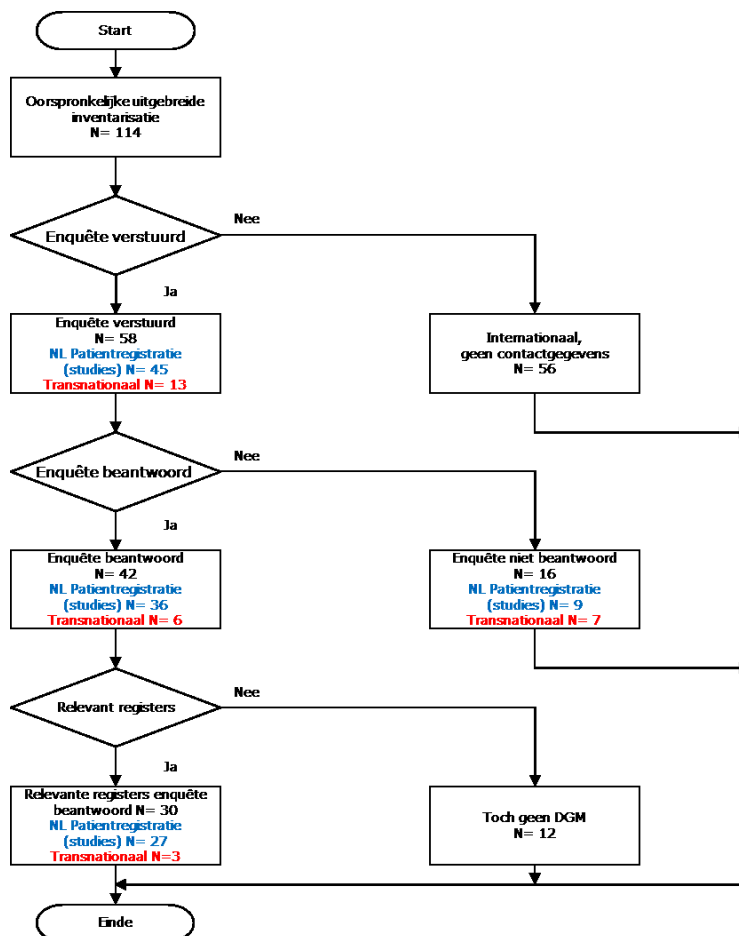
- Er zijn geen enquêtes gestuurd aan de internationale registraties als er al één was gestuurd aan de Nederlandse registratie voor de betreffende aandoening. Deze reden komt het meeste voor en betreft een groot aantal registraties.
- Bij nader onderzoek bevatte de registratie toch geen dure geneesmiddelen (DGM).
- Bij nader onderzoek bleek de registratie (veelal registratiestudie) te zijn gestopt of onvindbaar.
- Op het moment van verzending van de enquête beschikten wij niet over contactgegevens, met name van een aantal nieuwe registraties.

Uiteindelijk zijn 30 van de 58 benaderde registraties meegenomen in het onderzoek (51%). Sommige registraties bleken toch geen dure geneesmiddelen (DGM) te registreren. Van sommige registraties hebben we geen reactie ontvangen.

De resultaten van de enquête zijn weergegeven in de volgende tabel en een flowchart.

Resultaten enquête	Verstuurde enquêtes	Ingevuld en DGM	Wel reactie, geen DGM	Niet ingevuld
Nationale registraties	45	27	9	9
Transnationale registraties	13	3	3	7
Totaal aantal	58	30	12	16

Tabel 1 Resultaten enquête



Figuur 1 Flowchart enquête resultaten

Op basis van de uitgebreide inventarisatie en de resultaten uit de enquête hebben we een beeld gekregen van het huidige registerlandschap. Dit geeft een zo goed mogelijke indicatie van de omvang en het soort registraties maar pretendeert niet volledig te zijn. Op dit moment komen wij uit op een aantal van 50 nationale registraties binnen indicatiegebieden waar dure geneesmiddelen worden toegepast.

Aantal relevante nationale registraties met DGM 50

- enquête ingevuld: 30
- enquête niet ingevuld: 13 *)
- geen enquête toegestuurd: 7

*) Bij nadere beschouwing zijn 3 van de 16 transnationale registers, die niet gereageerd hebben, niet opgenomen in de lijst.

In bijlage 3 is een overzicht van deze 50 registraties opgenomen.

Hierna zijn twee overzichten opgenomen van het aantal registraties in het Nederlands registerlandschap en van het aantal registraties dat de enquête heeft ingevuld met daarbij een aantal kenmerken van de registraties. Deze kenmerken zijn niet gevraagd in de enquête en zijn gebaseerd op beschikbare informatie binnen het Zorginstituut. Voor de definities zie bijlage 1.

De kenmerken zijn het aantal registraties:

- met weesgeneesmiddel(en);

- met geneesmiddel(en) in de horizonscan;
- met geneesmiddel(en) in de pakketsluis of kandidaten voor de pakketsluis;
- per specialisme.

Registraties met dure geneesmiddelen	Totaal aantal	Weesgeneesmiddel	Horizon-scan	Pakket-sluis
Enquête ingevuld	30	15	16	8
Enquête niet ingevuld	13	2	4	4
Geen enquête toegestuurd	7	2	1	2
Totaal aantal	50	19	21	14

Tabel 2 Aantal registraties met dure geneesmiddelen

Registraties met dure geneesmiddelen per specialisme	Enquête ingevuld	Ingevuld en weesgeneesmiddel	Niet ingevuld/toegestuurd
Hematologie	2	2	4
Interne geneeskunde	8	8	1
Neurologie	4	3	1
Oncologie	6	0	11 *)
Reumatologie	5	0	2
Overige specialismen	5	2	1
Totaal aantal	30	15	20

Tabel 3 Aantal registraties met dure geneesmiddelen per specialisme

*) Van vijf registraties beschikten wij bij het verzenden van de enquête niet over contactgegevens

1.4 Opbouw enquête

In de enquête waren 55 vragen opgenomen, onderverdeeld naar:

- 8 algemene vragen over naam, functie, internetadres registratie, etc. en het doel van de registratie;
- 17 vragen over de onderwerpen governance en financiering;
- 19 vragen over het onderwerp inhoud; registre eigenschappen en welke gegevens geregistreerd worden;
- 6 data/ICT vragen, over hoe de gegevens worden geregistreerd, aangeleverd, bewerkt en vastgelegd;
- 5 vragen over toegang tot de gegevens voor derden.

In de volgende hoofdstukken geven wij per onderwerp een weergave van de resultaten op basis van de ingevulde enquêtes. Omdat de respons verschillend is per onderwerp en per vraag, geven wij de respons aan bij de diverse resultaten. Daarbij moet worden opgemerkt dat van 6 van de 30 registraties 2 gecombineerde enquêtes zijn ontvangen, namelijk twee maal 3 registraties in 1 enquête. In de weergave van de respons tellen deze registraties mee als 1 registratie en niet als 3. De algemene vragen zijn niet opgenomen in de resultaten met uitzondering van de vraag over het doel van de registraties. Daarnaast was er aan het einde van iedere sectie van vragen de mogelijkheid om een toelichting op de vragen in de betreffende sectie te geven. Ook deze toelichtingen zijn niet opgenomen in de resultaten.

Na deze hoofdstukken zijn de belangrijkste bevindingen, enkele kanttekeningen en aandachtspunten voor het vervolg beschreven.

2 Inhoud

In dit hoofdstuk zijn de resultaten op basis van de ingevulde enquêtes gegeven, over de registereigenschappen en welke gegevens geregistreerd worden.

2.1 **Registereigenschappen**

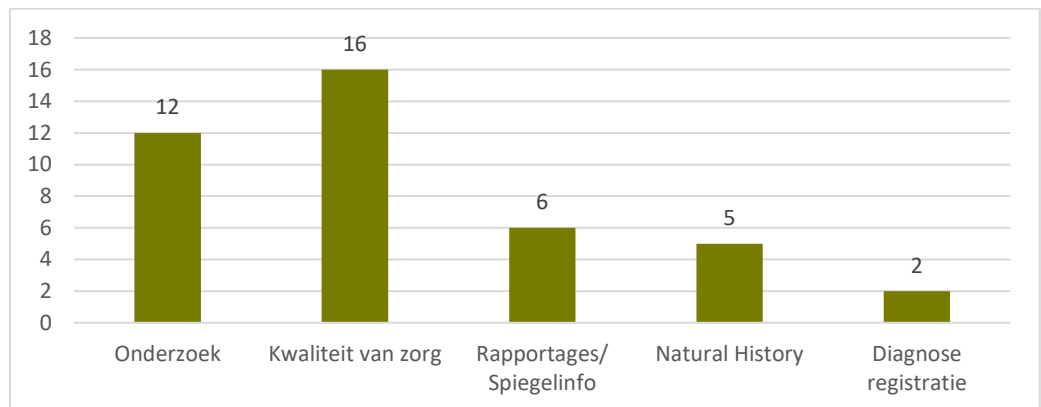
De patiëntenregistraties, waarvan gegevens in dit onderzoek zijn verzameld, zijn heel divers in hun opzet. Hoewel allen op een of andere manier het gebruik van dure medisch-specialistische geneesmiddelen (kunnen) monitoren, zijn een aantal van deze registraties initieel met een ander doel opgezet. Het primaire doel van het register bepaalt in hoge mate de eigenschappen van het register. Zo zijn een aantal registraties voortgekomen uit de wens van de behandelaren om beter inzicht te krijgen in het voorkomen van een bepaalde (zeldzame) aandoening waarbij de aandacht ligt op het verzamelen van informatie over de patiënten karakteristieken en de bijbehorende symptomen. De opzet en eigenschappen van deze registraties kunnen aanzienlijk verschillen van registraties die gestart zijn naar aanleiding van de NZa Beleidsregel Dure Geneesmiddelen (2006-2012). Als onderdeel van deze Beleidsregel was voorwaardelijke vergoeding van specifieke dure medisch-specialistische geneesmiddelen gekoppeld aan uitkomstenonderzoek waarbij werd gevraagd om het gebruik van deze geneesmiddelen in de praktijk te volgen. De resultaten van dit uitkomstenonderzoek waren vervolgens de basis om tot een herbeoordeling van de effectiviteit en kosteneffectiviteit van deze geneesmiddelen te komen. Om die reden zijn/waren deze registraties veel meer gefocust op het (tijdelijk) verzamelen van informatie over het gebruik van specifieke geneesmiddelen en de effecten op de behandelde patiënten.

Ook de dekkinggraad van de registratie in Nederland en de follow-up van patiënten in de registratie zijn gerelateerd aan het (primaire) doel van de registratie. Voor sommige (hele) zeldzame aandoeningen is het belangrijk dat patiënten bij 1 of 2 expertisecentra behandeld worden. Zo kan ervaring worden opgebouwd bij deze kleine patiëntengroep, die vaak ook nog heel heterogeen is, en kunnen de gegevens van deze patiënten centraal verzameld worden. In dat geval is het eenvoudiger om gegevens van alle patiënten te verzamelen dan wanneer het om patiënten gaat met (minder zeldzame) aandoeningen die bij de meeste ziekenhuizen terecht kunnen. Echter voor deze laatste patiëntengroep is het ook minder noodzakelijk om alle patiënten in een registratie te includeren omdat er op basis van een goede steekproef al inzicht kan worden gekregen hoe patiënten bijv. reageren op een bepaalde nieuwe behandeling.

In deze paragraaf willen wij meer inzicht geven in de registereigenschappen van de registraties waarvan wij informatie hebben ontvangen.

2.1.1 *Doel van register*

Een belangrijke eerste vraag is het doel van de registratie. 26 registraties beantwoorden deze open vraag met meerdere keuzes en een meerderheid (n=16) geeft aan dat een belangrijk doel kwaliteit van zorg is. Ook een grote groep van registraties wordt gebruikt voor onderzoek (n=12). Andere doelen die worden benoemd zijn rapportages/spiegelinformatie (n=6), natural history (n=5) en registratie diagnose (n=2) (Figuur 2 Doel van register (n=26)).



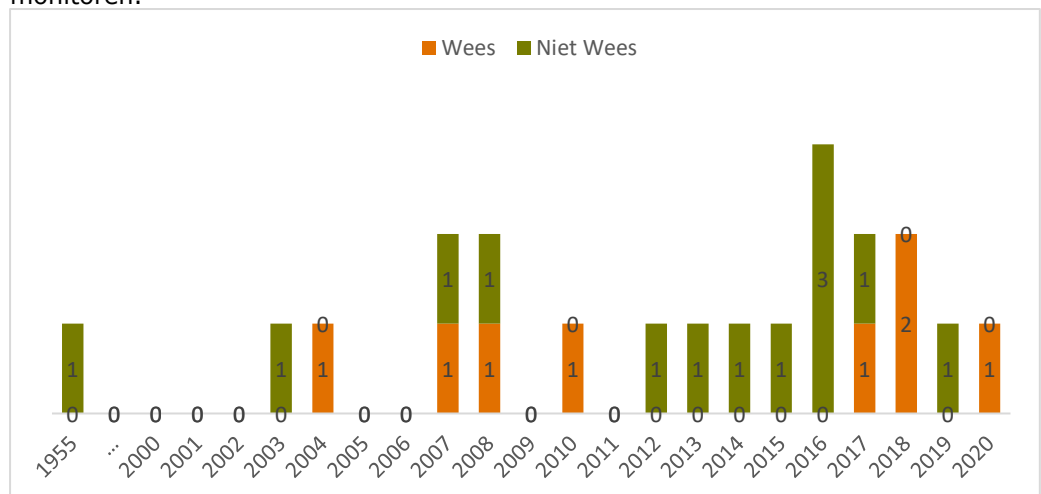
Figuur 2 Doel van register (n=26)

Opvallend is dat 8 van de 12 registraties, die onderzoek als meest belangrijk doel opgeven, NIET aangeven dat kwaliteit van zorg ook een doel is. Tenslotte zijn er een aantal registraties voor (zeer) zeldzame ziektes die als een belangrijk doel hebben het volgen van natural history (natuurlijk beloop van de ziekte) van de patiënten. Voor een aantal zeldzame ziekten zijn in de afgelopen jaren nieuwe behandelingen beschikbaar gekomen of komen deze binnenkort beschikbaar. Dan bieden de verzamelde gegevens over het natuurlijk beloop van deze onbehandelde patiënten de mogelijkheid om het effect van een nieuwe behandeling bij een patiënt te meten maar ook om onbehandelde en behandelde patiënten in de praktijk te vergelijken.

2.1.2

Startjaar eerste inclusie patiënt

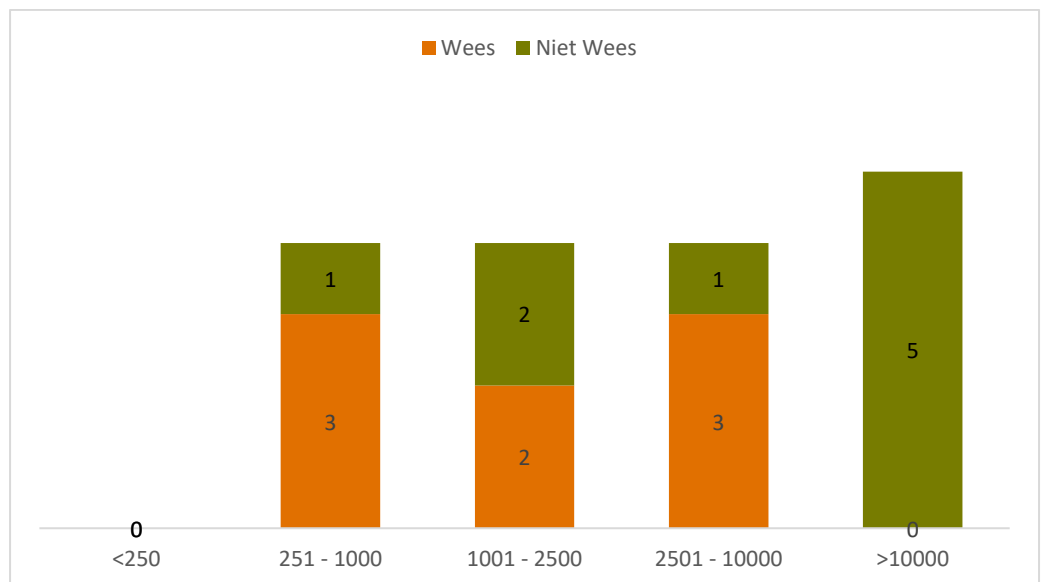
21 registraties hebben deze open tekst vraag ingevuld. De meeste registraties zijn vanaf 2010 gestart (n=14), de andere 7 registraties zijn al voor 2010 gestart. Op basis van deze gegevens lijkt de gemiddelde levensduur van een registratie rond de 10 jaar te liggen (Figuur 3). Een aantal registraties zijn gestart rond de invoering van de NZa Beleidsregel Dure Geneesmiddelen (2006-2012), maar ook na de afschaffing van de Beleidsregel zijn er verschillende nieuwe patiëntenregistraties gestart. Van sommige nieuwe registraties is bekend dat ze gestart zijn op basis van ad hoc overeenkomsten tussen VWS, het Zorginstituut, fabrikanten, behandelaren, zorgverzekeraars en patiënten om het gebruik van nieuwe dure geneesmiddelen te monitoren.



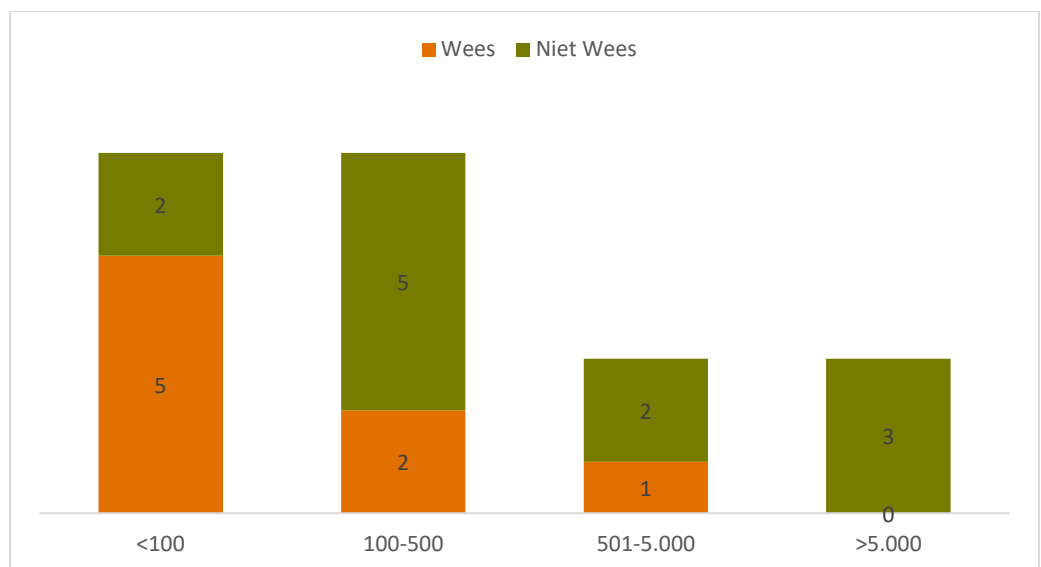
Figuur 3 Startjaar eerste inclusie patiënt (n=21)

2.1.3 Huidig aantal geïncludeerde patiënten

21 registraties hebben deze vraag beantwoord en bij de verdere analyse van deze vraag is de Nederlandse Kanker Registratie (aantal geïncludeerde patiënten geschat op 3 miljoen) geëxcludeerd. Voor de 20 overige registraties varieert het aantal huidige inclusies van 250 patiënten tot meer dan 10.000 patiënten (Figuur 4). Als we het gerapporteerde huidige aantal geïncludeerde patiënten delen door het aantal jaren dat patiënten zijn geïncludeerd (bepaald vanaf het gerapporteerde startjaar eerste inclusie), dan zien we dat het berekende gemiddelde aantal inclusies per jaar bij de weesziekten veel lager ligt dan bij de niet-weesziekten. Tenslotte dient te worden opgemerkt dat dit gerapporteerde inclusies zijn, het is mogelijk dat er sprake is van overschatting.



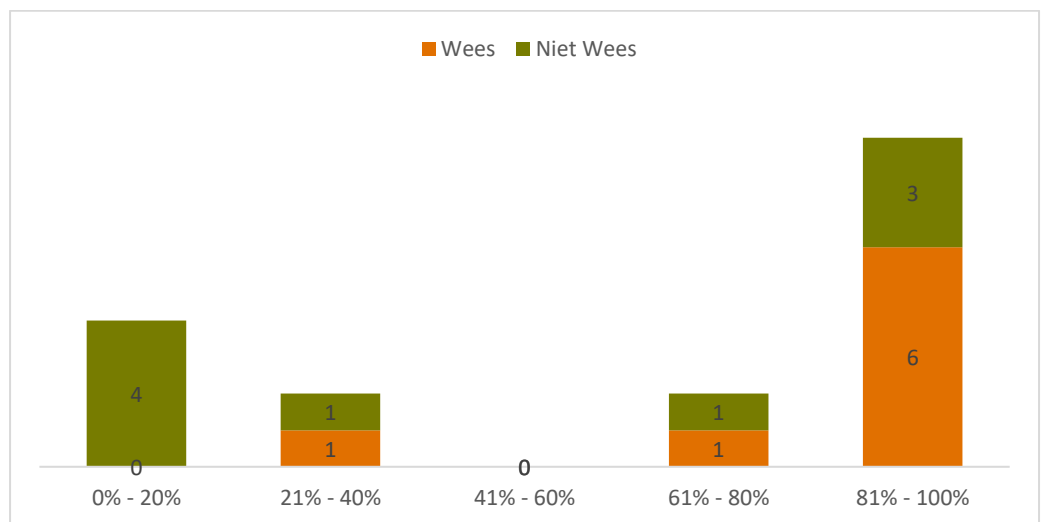
Figuur 4 Gerapporteerde huidige aantal geïncludeerde patiënten (n=17)



Figuur 5 Berekende gemiddelde aantal geïncludeerde patiënten per jaar (n=20)

2.1.4 Dekkingsgraad

Door 17 van de deelnemende registraties is de dekkingsgraad gerapporteerd (in procenten: totaal aantal patiënten in de registratie / aantal patiënten in Nederland). De dekkingsgraad van deze registraties is 64%. 9 registraties geven aan dat hun dekkingsgraad meer dan 80% is (Figuur 6). De hoogste nationale dekkingsgraad is gerapporteerd door de registraties van weesziekten, wat op zich logisch is omdat deze registraties veelal plaatsvinden in een of twee expertisecentra die door alle patiënten worden bezocht. Daarbij dient opnieuw te worden opgemerkt dat er mogelijk een overschatting kan plaatsvinden.

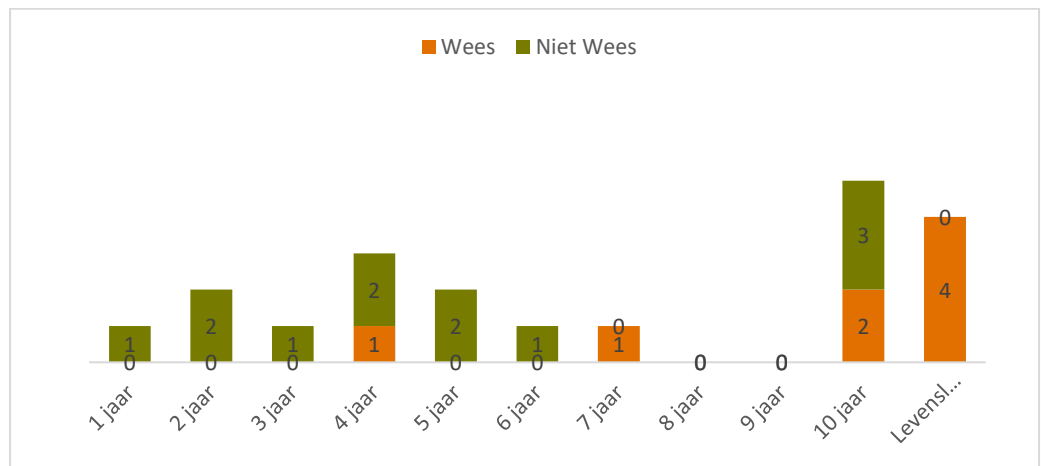


Figuur 6 Dekkingsgraad aantal patiënten (n=17)

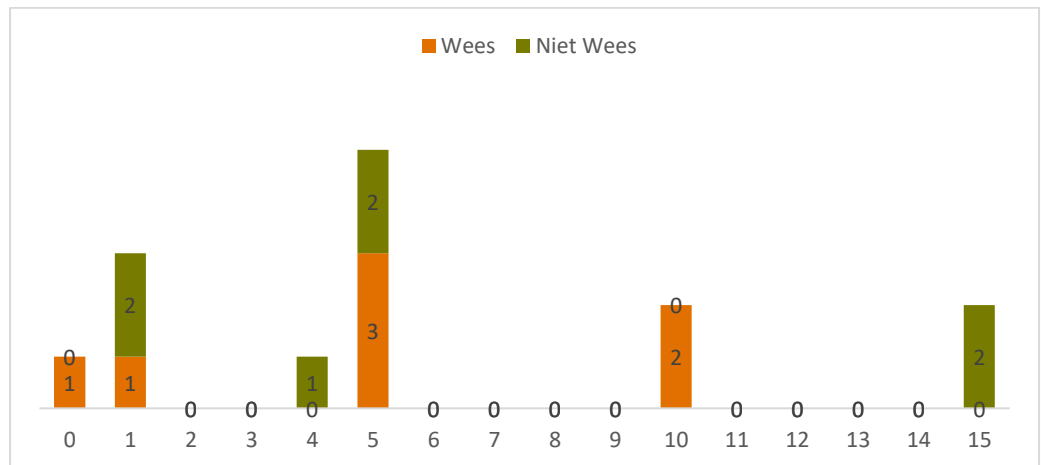
2.1.5 Gemiddelde follow-up patiënten en loss to follow-up

De deelnemende registraties rapporteerden aanzienlijke verschillen in de gemiddelde follow-up van de patiënten in de registraties (n=20). Voor iets minder dan de helft (n=9) was de gemiddelde follow-up minder dan 6 jaar, voor een aantal registraties (n=7) was dat 6-10 jaar terwijl 4 registraties als follow-up levenslang invulden (Figuur 7). Analyse van deze laatste 4 registraties laat zien dat het hier om registraties van weesziekten gaat waarbij patiënten vaak al heel jong geïnccludeerd worden en voor de rest van hun leven (tot overlijden) worden gevolgd. Dat betekent ook dat het moeilijk is om vast te stellen hoeveel jaar deze patiënten gemiddeld worden gevolgd.

Met betrekking tot de gerapporteerde schatting van het percentage loss to follow-up valt op dat slechts een beperkt aantal patiëntenregistraties (n=14) een schatting kunnen/willen doen. De geschatte percentages lijken aan de lage kant (Figuur 8 **Fout! Verwijzingsbron niet gevonden.**).



Figuur 7 Gemiddelde aantal jaren follow-up (n=20)

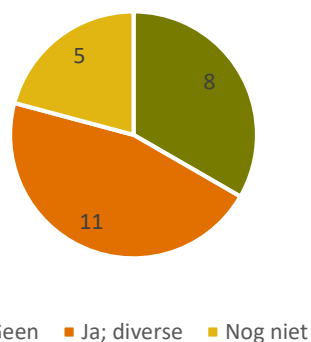


Figuur 8 Geschat percentage (0-15%) loss to follow-up (n=14)

2.1.6

Internationale samenwerking

11 van 24 registraties zijn betrokken bij internationale samenwerking (Figuur 9). Een aantal registraties (n=5) geven aan wel plannen te hebben maar dat deze nog niet zijn vormgegeven. Zoals verwacht zijn er een redelijk groot aantal registraties van weesziekten (n=6) die bij internationale samenwerking betrokken zijn. Dat lijkt, gezien het vaak beperkte aantal patiënten in Nederland, ook van belang om beter te kunnen onderzoeken hoe patiënten bijvoorbeeld op nieuwe behandelingen reageren.



Figuur 9 Aantal registraties met internationale samenwerking (n=24)

2.2 Welke gegevens

Om te bepalen in hoeverre de registers gegevens verzamelen, die ook zinvol zijn in het kader van het Regie op Registers project, hebben we meer specifiek uitgevraagd of de registers bepaalde typen van gegevens verzamelen. Daarbij gaat het om gegevens die van belang zijn om de effectiviteit en kosteneffectiviteit van geneesmiddelen in de praktijk te kunnen vaststellen.

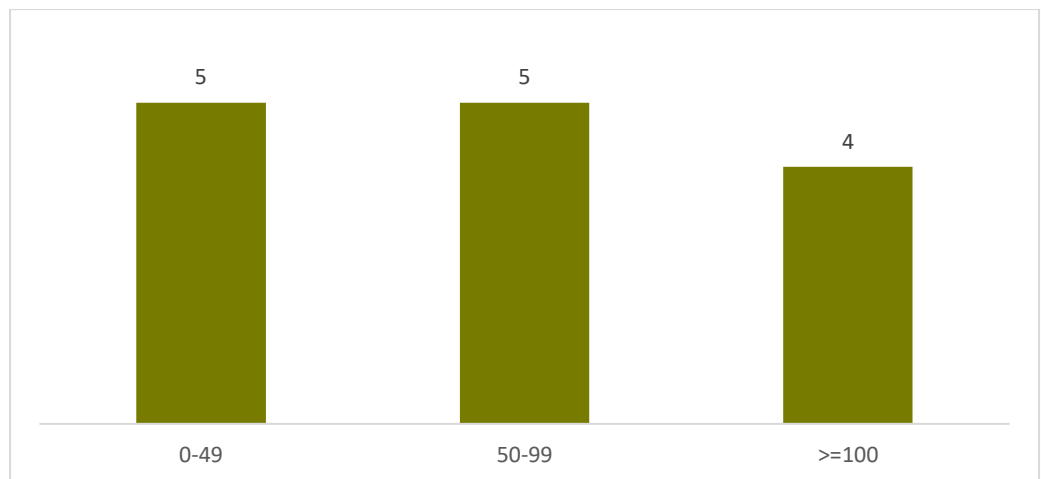
2.2.1

Aantal items en verzameling gegevens over zorggebruik en medicatiegebruik

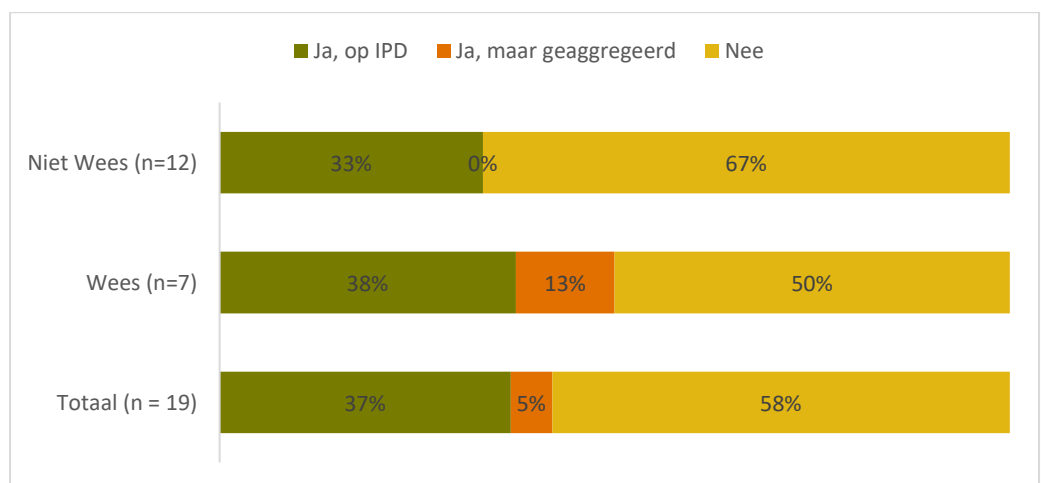
Van 14 registraties hebben we informatie ontvangen over hoeveel individuele items ze verzamelen. De meerderheid van de registraties verzamelt informatie over minder dan 100 items per patiënt (*Figuur 10*).

Registraties verzamelen in beperkte mate gegevens over zorggebruik: 5 van de 19 registraties geeft aan deze gegevens structureel te verzamelen. Het zou kunnen zijn dat registraties niet precies begrijpen wat met gegevens over zorggebruik wordt bedoeld en daarom deze vraag niet goed kunnen beantwoorden.

Op de vraag of gegevens over medicatiegebruik structureel zijn opgenomen in de registratie geven 22 van de 23 registraties aan dat dit het geval is.



Figuur 10 Aantal individuele items in de registratie (n=14)

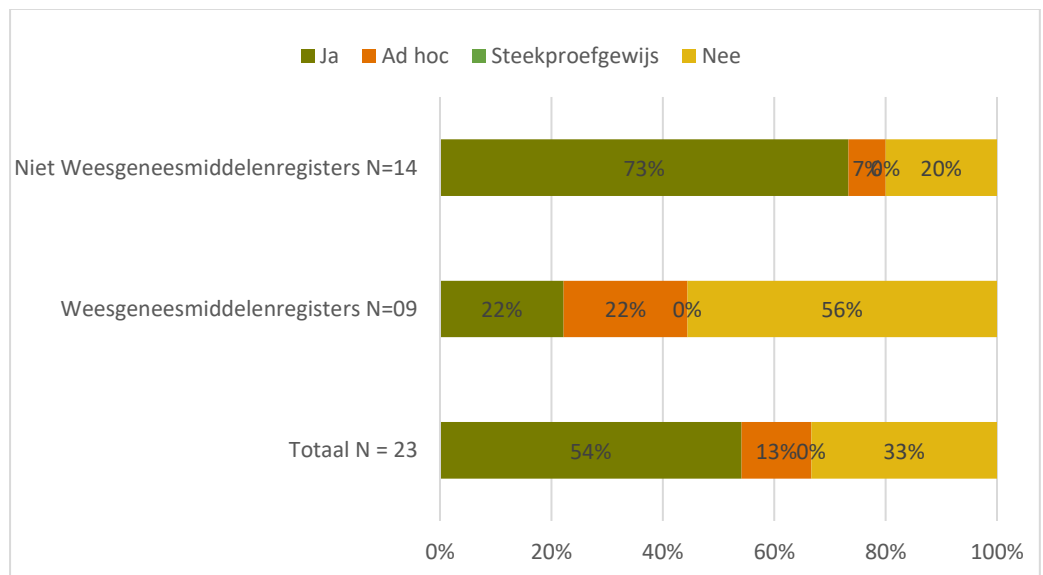


Figuur 11 Aantal registraties dat gegevens over zorggebruik verzamelt (n=19)

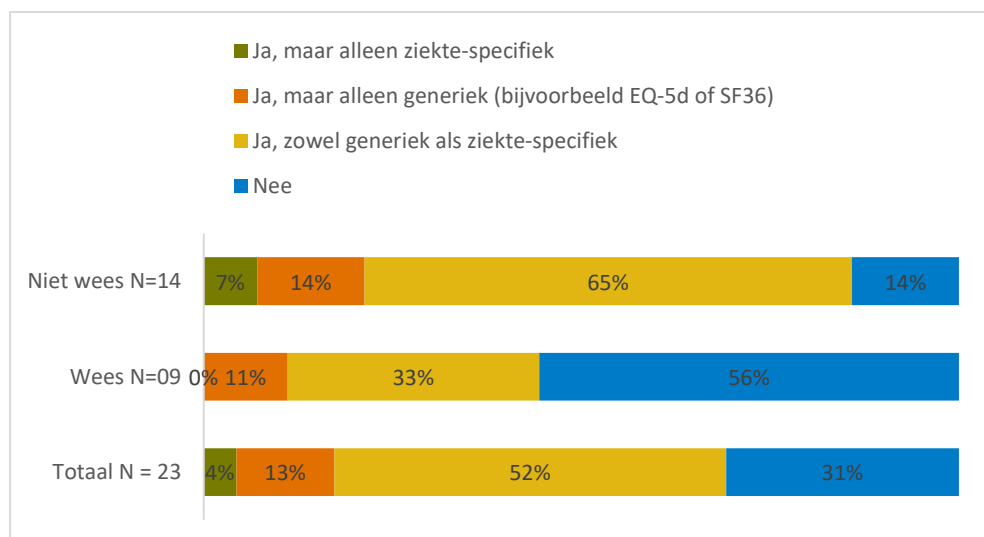
Verzameling PROMS/PREMS, gegevens kwaliteit van leven en kwaliteitsindicatoren
 Een meerderheid van de ondervraagde registraties (13 van de 23) meet Patient Reported Outcomes Measures (PROMS) en Patient Reported Experience Measures (PREMS) (Figuur 12 **Fout! Verwijzingsbron niet gevonden.**). 8 van de 23 registraties verzamelen deze uitkomsten niet. Geen van de registraties geeft aan deze uitkomsten steekproefsgewijs te meten.

Een meerderheid van de registraties verzamelt ook gegevens over kwaliteit van leven, waarbij de meeste registraties zowel aandoening specifieke als generieke kwaliteit van leven gegevens verzamelen (figuur 13). 7 registraties meten kwaliteit van leven niet, deze registraties verzamelen ook geen PROMS en PREMS. Opvallend is dat met name de registraties voor weesziekten noch PROMS/PREMS noch gegevens over kwaliteit van leven verzamelen.

Tot slot geeft een minderheid (8/20) van de registraties aan dat zij kwaliteitsindicatoren registreren.



Figuur 12 Verzameling PROMS/PREMS (n=23)

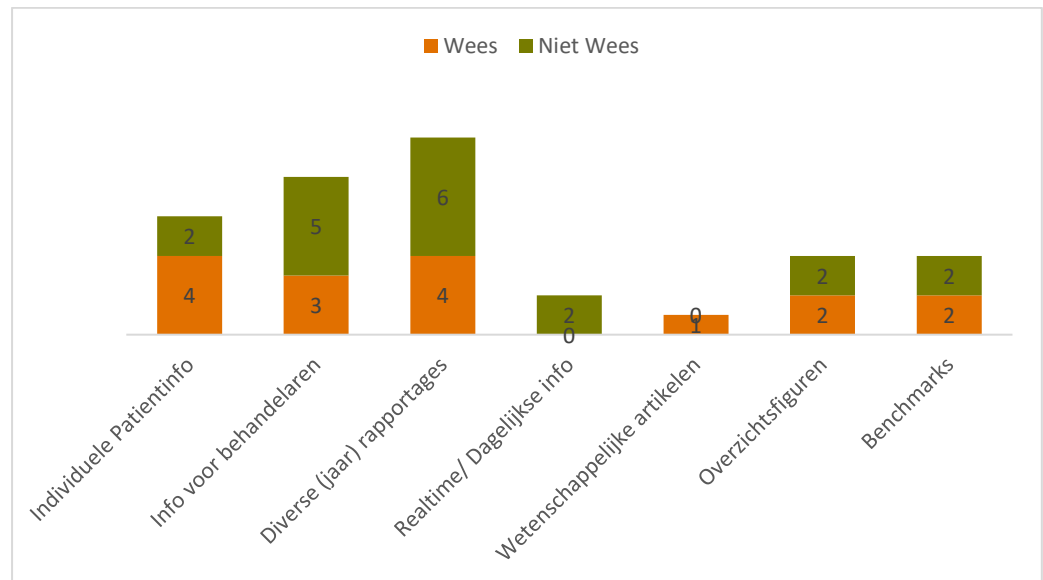


Figuur 13 Verzameling gegevens over kwaliteit van leven (n=23)

2.2.2

Verstrekking spiegelinformatie

De meeste registraties (17/21) geven aan dat ze spiegelinformatie verstrekken. Daarbij gaat het vooral om (jaar)rapportages en informatie voor de behandelaren. Daarnaast verstrekt een minderheid van de registraties ook informatie aan de individuele patiënt.



Figuur 14 Soort spiegelinformatie dat registraties verstrekken (n=17)

3 Data/ICT

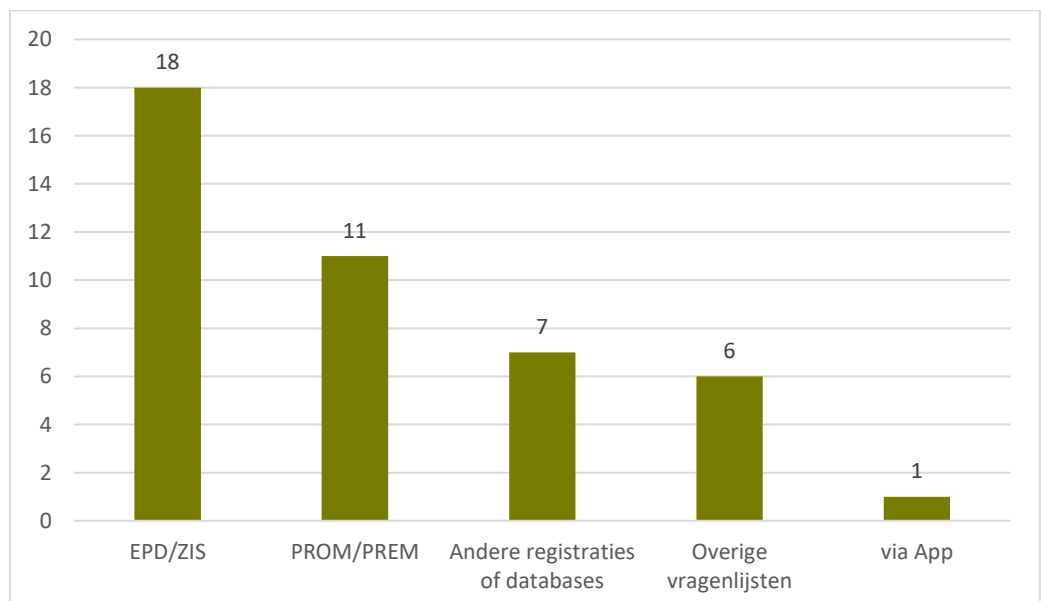
In dit hoofdstuk zijn de resultaten opgenomen van de vragen over het registreren, aanleveren, bewerken en vastleggen van de gegevens. Daarnaast komt het gebruik van de gegevens aan de orde en de toegang tot de gegevens in de registratie voor derden.

3.1 Registratie en aanlevering

De gegevens worden aangeleverd door de ziekenhuizen. De academische ziekenhuizen worden het meest genoemd als aanleverende organisaties. Dit heeft bij een aantal registraties ook te maken met het feit dat de betreffende zorg met name in de academische ziekenhuizen wordt geleverd.

De registratie van de data bij de ziekenhuizen kan op verschillende manieren plaatsvinden en in veel gevallen ook meerdere manieren naast elkaar. 23 registraties hebben deze vraag beantwoord en er waren verschillende antwoorden mogelijk. Bij 18 registraties vindt de registratie onder meer door zorgverleners plaats en bij 11 onder meer door patiënten of naasten. Bij 4 registraties gebeurt de invoer uitsluitend door zorgverleners. Andere manieren van registratie die voorkomen zijn automatische koppelingen vanuit de primaire bron (10 registraties) en invoer van data door datamanagers of onderzoekers (7 registraties).

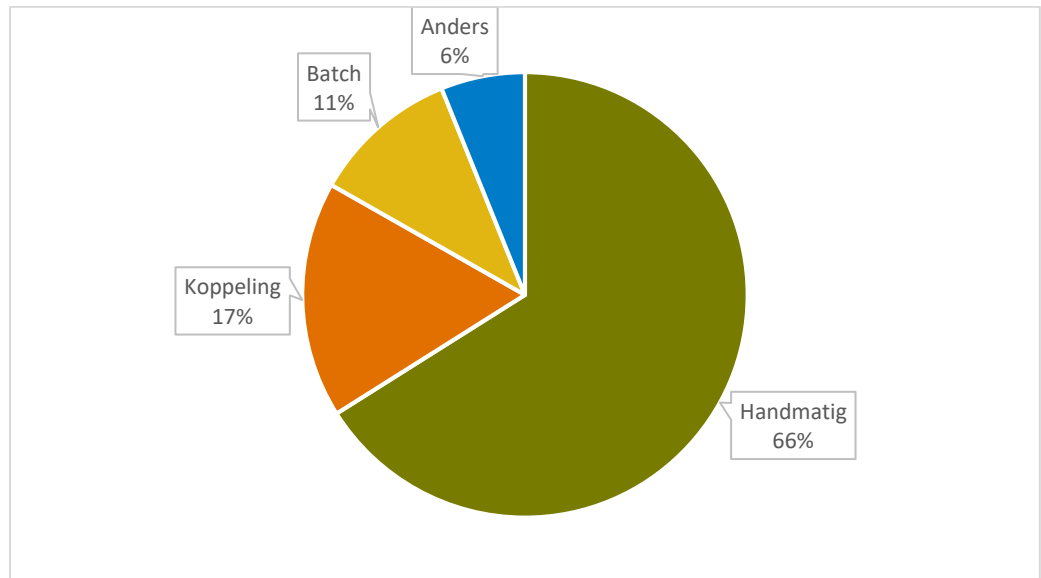
De vraag over de bronnen van de data is door 21 registraties beantwoord. Daarvan geven 18 registraties dat het EPD/ZIS (ziekenhuis informatiesysteem) één van de bronnen is van de aangeleverde gegevens. De andere 3 registraties maken geen gebruik van het EPD/ZIS als bron maar van andere registraties of databases. Naast deze bronnen zijn als bronnen genoemd PROM/PREM (11 registraties) en overige vragenlijsten (6 registraties), zie onderstaande Figuur 15.



Figuur 15 Van welke bronnen zijn de data afkomstig (n=21)

Uit de vraag welk percentage van de data op welke wijze wordt aangeleverd aan de registratie komt naar voren dat gemiddeld 66% van de data handmatig wordt

aangeleverd (n=18). Bij 7 registraties vindt de aanlevering 100% handmatig plaats. Gemiddeld 17% van de aanleveringen vindt plaats via een automatische koppeling vanuit de primaire bron. Eén register geeft aan dat alle data batchgewijs (bijv. in een CSV bestand, comma-separated values) wordt aangeleverd.



Figuur 16 Welk percentage van de data wordt op welke wijze aangeleverd (n=18)

Op basis van de door 19 registers gerapporteerde geschatte extra registratietijd voor de zorgverlener per patiënt is 25 minuten de berekende gemiddelde extra registratietijd. De variatie is van 1 minuut tot 100 minuten. Bij 3 van de 19 registraties is geen extra registratietijd voor de zorgverlener, zij hebben bij de vraag over de registratie van de data aangegeven gebruik te maken van datamanagers.

De vraag over de wijze waarop de patiënt gegevens aanlevert aan de registratie is door 22 registraties beantwoord. Hiervan ontvangen 4 registraties geen gegevens van de patiënt. Van de 18 resterende registraties maken 9 registraties uitsluitend gebruik van elektronische vragenlijsten en 3 uitsluitend van handmatig ingevulde papieren vragenlijsten. Bij 6 registraties is sprake van een combinatie van elektronische en handmatige aanlevering.

3.2 **Bewerking**

Bij 10 registraties (n=24) vindt het beheer en de bewerking van de (ruwe) data plaats door de registratie. Dit betreft 7 registraties binnen indicatiegebieden waar weesgeneesmiddelen worden toegepast. De andere 14 registraties hebben deze werkzaamheden uitbesteed bij 9 verschillende externe partijen.

Op de vraag met gecategoriseerde antwoorden over de bewerkingen die op de data plaatsvinden geven 19 registraties (n=20) aan dat er dataverificatie en datavalidatie plaatsvindt. Daarnaast vindt bij 5 van deze 19 registraties opschoning van bestanden plaats en bij 5 andere registraties bewerking van de data. De registratie die aangeeft helemaal geen bewerkingen op de data te doen heeft het beheer en de bewerking van de data uitbesteed.

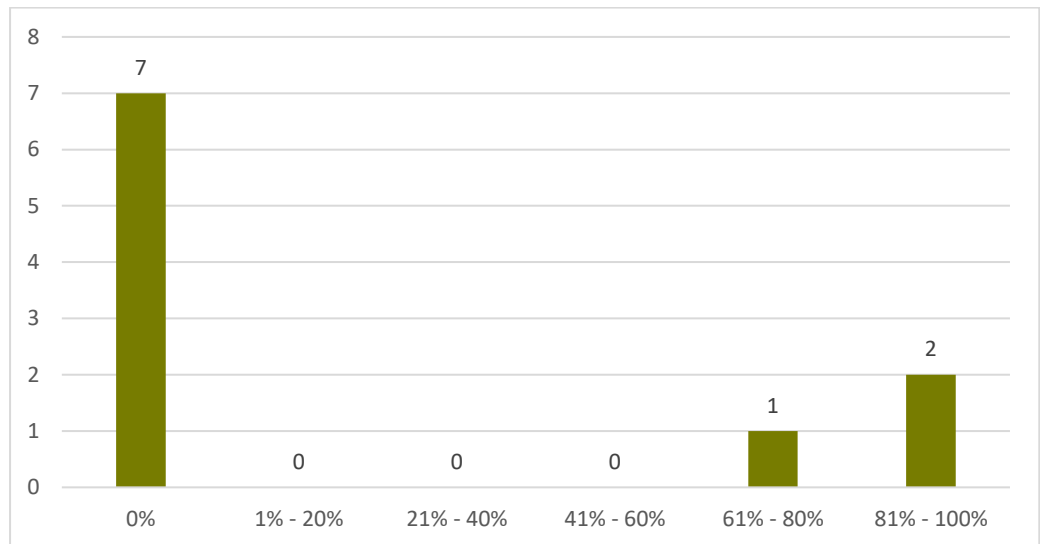
De verantwoordelijkheid voor de analyses van de data en de rapportages ligt bij 16 van de 25 registraties, die deze vraag hebben beantwoord, bij de registratie zelf. Hieronder vallen alle 10 hiervoor genoemde registraties die het beheer en de

bewerking van de data zelf doen. De andere 9 registraties laten de analyses uitvoeren door 7 verschillende partijen.

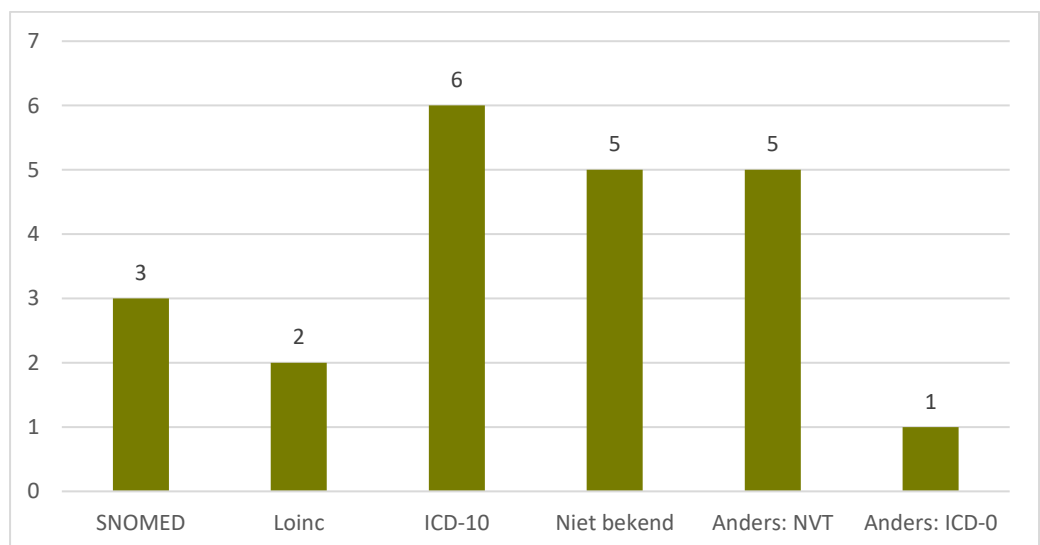
3.3

Vastlegging

Hoe (gestructureerd) de gegevens worden vastgelegd in de registratie is van belang om de gegevens in het register te kunnen hergebruiken voor andere doeleinden. Onderstaande figuren (Figuur 17 en Figuur 18) laten zien in hoeverre (welk percentage, 6 antwoordcategorieën) registers (n=10) de gegevens vastleggen op basis van Zorg Informatie Bouwstenen (ZIB), en of en welke standaard coderingslijsten de registers gebruiken (n=17) om gegevens vast te leggen, zoals SNOMED, LOINC en ICD10. De lage respons bij deze vragen zou erop kunnen duiden dat degene die de enquête heeft ingevuld minder op de hoogte is van de wijze van vastlegging in het register.



Figuur 17 Percentage van gegevens dat registers vastleggen op basis van ZIB's (n=10)

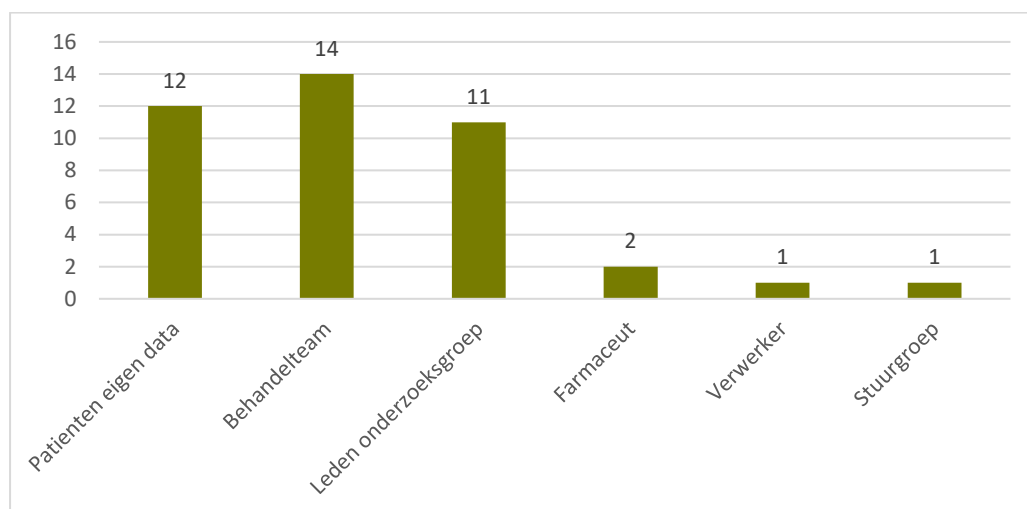


Figuur 18 Coderingslijsten die registers gebruiken (n=17)

De respons op de vraag of de zogenoemde FAIR principes geïmplementeerd zijn bij het register is hoger (n=20). Deze principes maken het mogelijk om de gegevens Findable (vindbaar), Accessible (toegankelijk), Interoperable (interoperabel) en Reusable (herbruikbaar) te beschrijven, op te slaan en te publiceren. 12 registraties geven aan deze principes toe te passen. Daarbij merken wij op dat van dit aantal 7 registraties de vraag over de ZIB's niet hebben beantwoord en 5 de vraag over de standaard coderingslijsten niet hebben beantwoord.

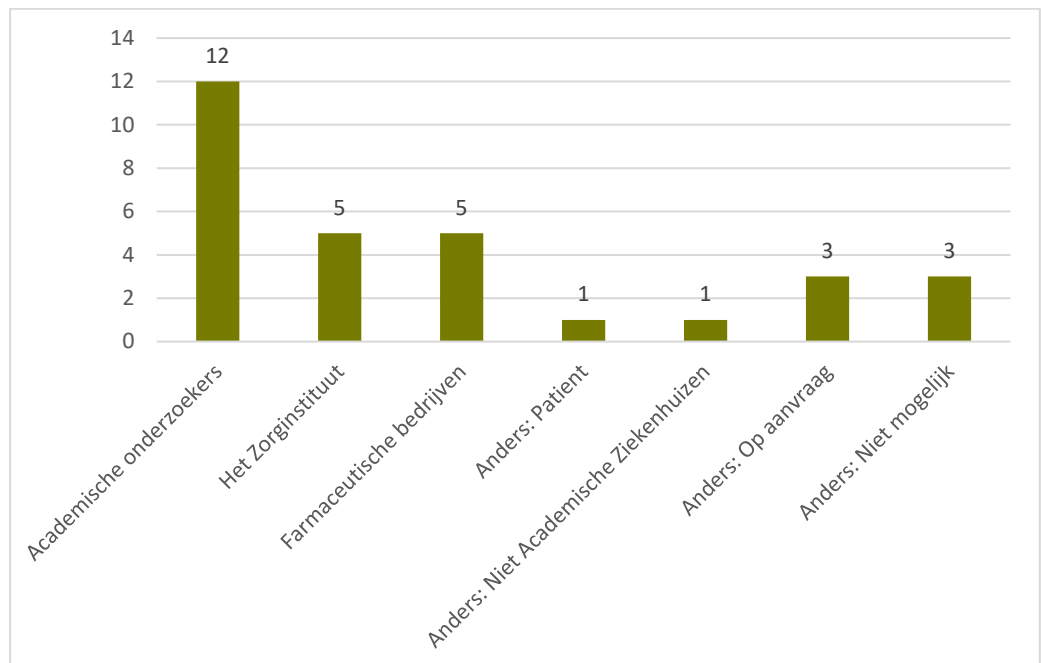
3.4 Toegang en gebruik

Figuur 19 laat zien dat van de 22 registraties met name het behandelteam (bij 14 registraties) en de leden van de onderzoeksgroep (bij 11) toegang hebben tot de ruwe data in de registratie. Bij 12 registraties hebben patiënten toegang tot hun eigen data.



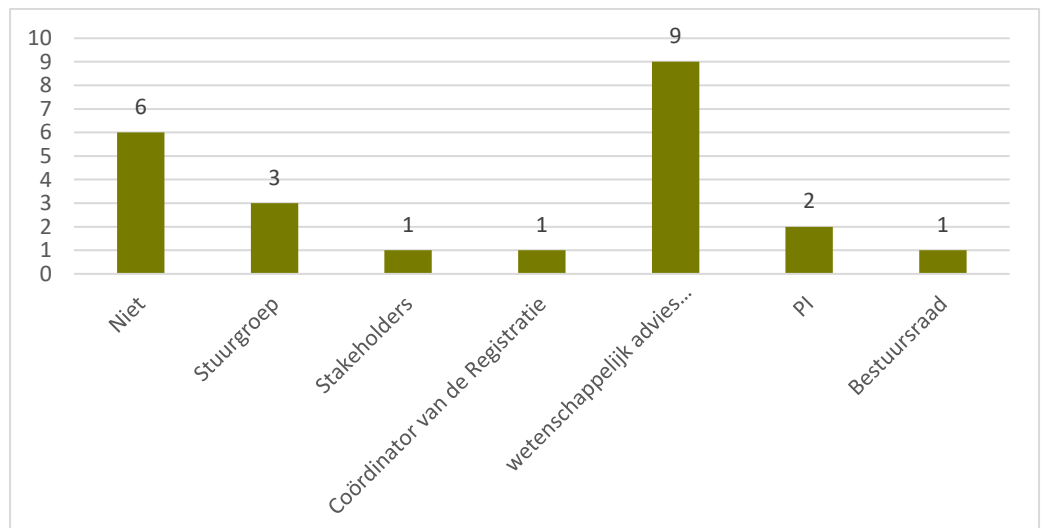
Figuur 19 Toegang tot ruwe data (n=22)

De toegang tot gepseudonimiseerde individuele patiëntendata, door de juiste informed consent, is bij 12 van de 18 registraties mogelijk voor academische onderzoekers, bij 5 voor het Zorginstituut en bij 5 voor farmaceutische bedrijven (Figuur 20). Van de 18 registraties geven 3 registraties aan dat toegang tot gepseudonimiseerde individuele patiëntendata niet mogelijk is.



Figuur 20 Toegang tot gepseudonimiseerde individuele patiëntendata (n=18)

De toegang tot data wordt bij 9 van de 23 registraties verschaft door een aanvraag te doen bij een wetenschappelijke adviescommissie en bij 8 van de 23 bij een ander orgaan (zie Figuur 21). Bij 6 van de 23 registraties is toegang tot de data niet mogelijk.



Figuur 21 Door wie wordt toegang verschaft (n=23)

Koppelen van databronnen

Op de vraag of er de mogelijkheid is tot het koppelen van (gepseudonimiseerde) data met andere databronnen geven 14 van de 22 registraties dat dit mogelijk is en bij de andere 8 niet. Bij deze 8 registraties zitten ook de 3 registraties die geen toegang geven tot gepseudonimiseerde patiëntendata.

4 Governance en financiering

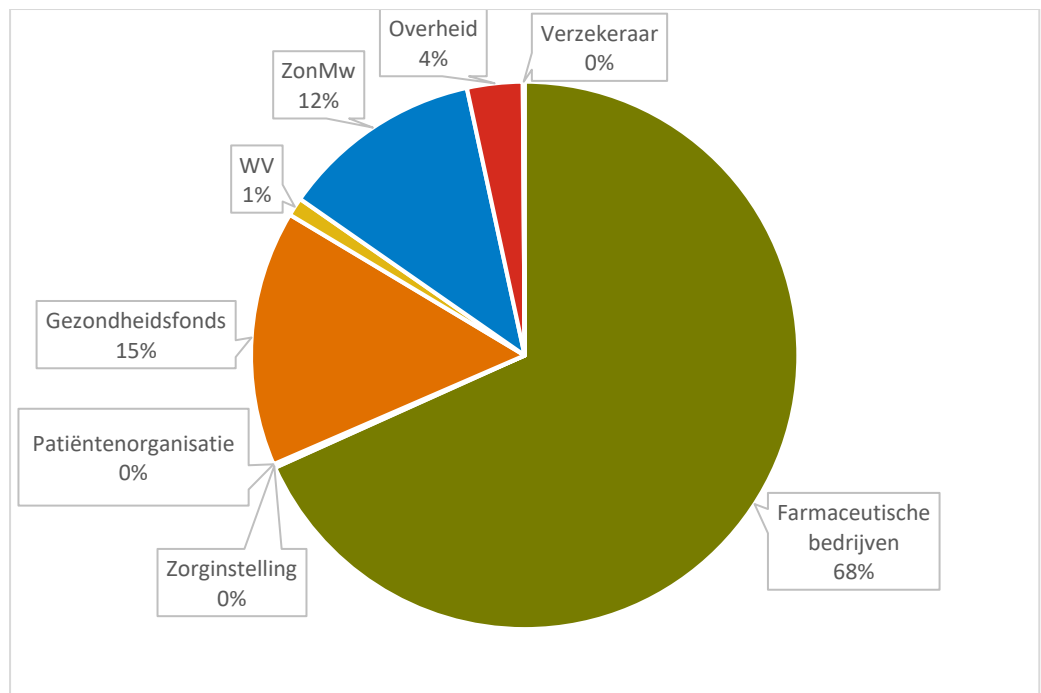
De respons op de vragen over governance en financiering verschilt per onderwerp. In de governance paragraaf komen deze bijna volledig overeen met het aantal registraties dat hebben gereageerd op de deelonderwerpen inhoud en data/IT. In het geval van financiering was de respons lager.

4.1 Financiering

De financiering van registraties is bevroegd aan de hand van de totaal ontvangen financiering op het moment van beantwoorden. Dit gaat dus nadrukkelijk over de inkomsten van de registratie en niet over de kosten en uitgaven.

4.1.1 Financiering per financierer

In onderstaande figuur (Figuur 22) wordt weergegeven hoeveel procent van de totaal ontvangen financiering afkomstig is van welke financieringsbron (n=10). 3 van de 10 registraties worden volledig gefinancierd door farmaceutische bedrijven. De gerapporteerde financiële bijdrage vanuit zorginstellingen is vrijwel nihil, maar een aantal registraties geeft wel aan dat er veel tijd door medewerkers in de registratie wordt gestoken.



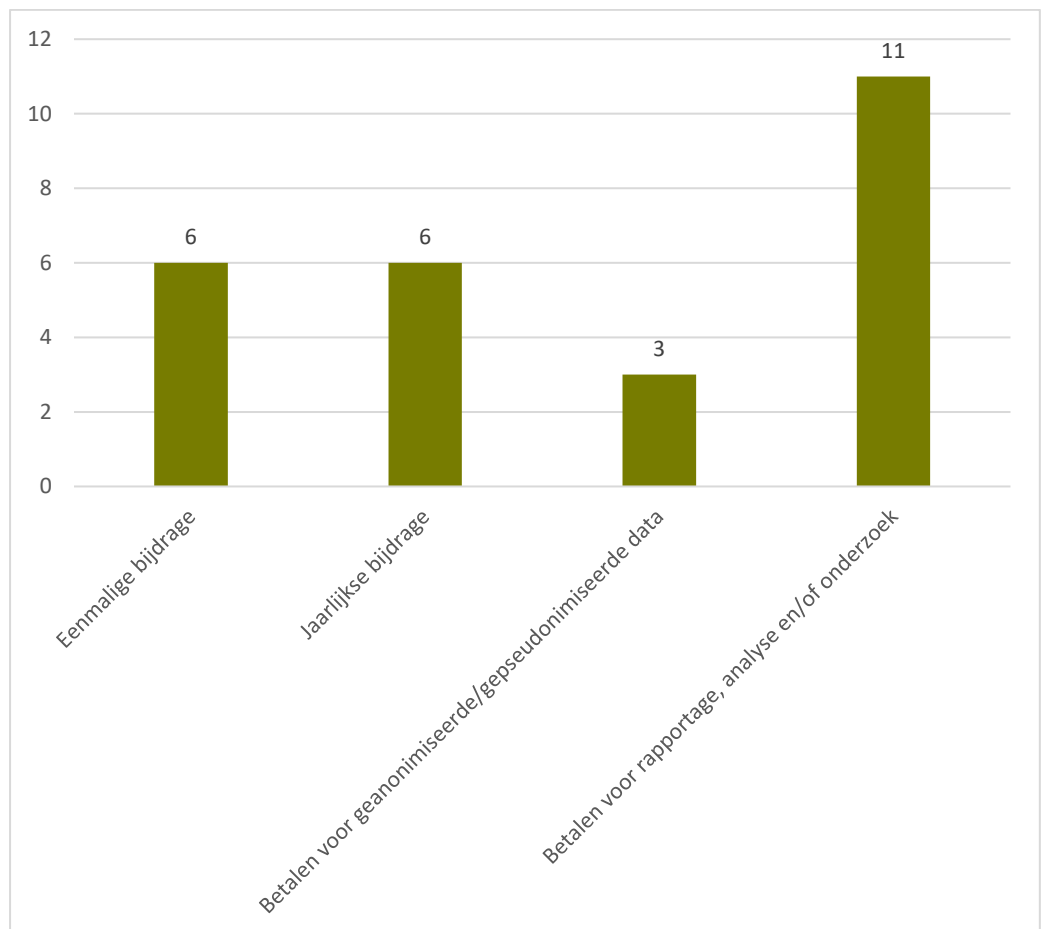
Figuur 22 Percentage van de totaal ontvangen financiering per financieringsbron (n=10)

4.1.2 Financiering door farmaceutische bedrijven

In het geval van financiering is ook bevroegd of (ja/nee) en op welke wijze farmaceutische bedrijven bijdragen. Hieruit komt naar voren dat bij 15 registraties (N=21) farmaceutische bedrijven betrokken zijn als (co)financier van een registratie en bij 6 registraties niet.

Bij de vraag over de wijze waarop farmaceutische bedrijven bijdragen waren vier antwoordcategorieën (zie Figuur 23) en waren meerdere antwoorden mogelijk. Bij

11 registraties (n=15) betalen de farmaceutische bedrijven voor rapportages, specifieke analyses en/of onderzoek. De rapportages kunnen bijvoorbeeld gaan over de volledige database of specifiek over het geneesmiddel van het betreffende bedrijf. Bij 3 van de 15 registraties betalen farmaceutische bedrijven voor een geanonimiseerde/ gepseudonimiseerde dataset. 6 registraties ontvangen een jaarlijkse bijdrage van farmaceutische bedrijven en 5 andere registraties hebben een eenmalige bijdrage ontvangen. Er is 1 registratie die alle 4 de antwoordcategorieën heeft aangekruist.

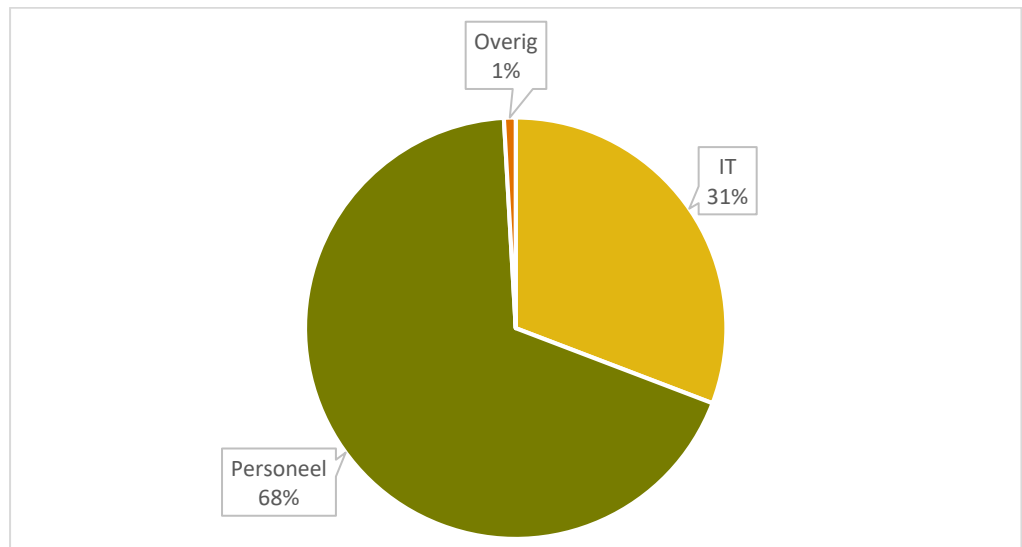


Figuur 23 Wijze waarop farmaceutische bedrijven financieel bijdragen (n=15)

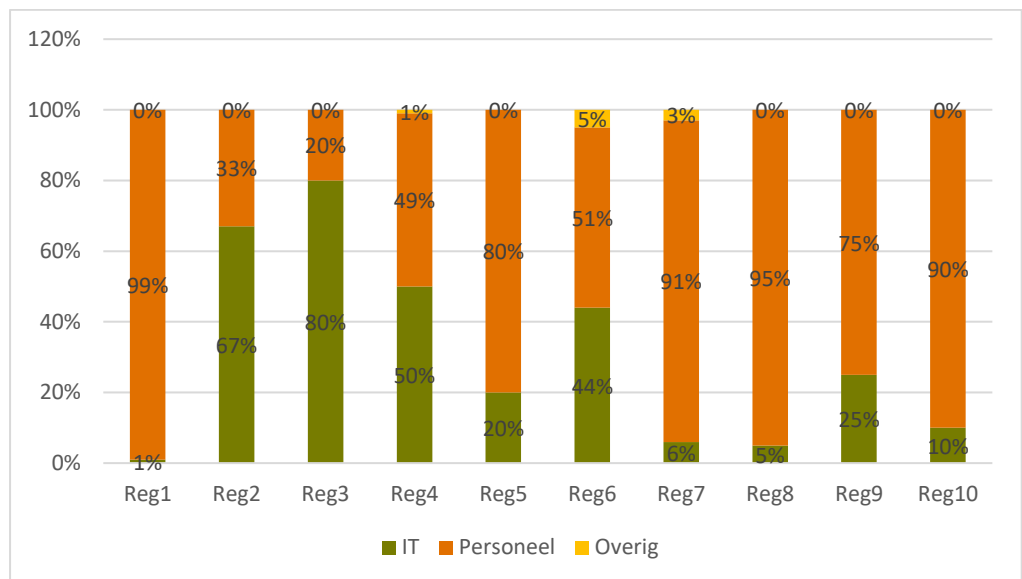
4.1.3

Procentuele verdeling kosten IT, personeel en overig

In Figuur 2424 is weergegeven hoeveel procent van de jaarlijkse operationele kosten gemiddeld bestaat uit IT gerelateerde kosten, personele kosten en overige kosten, berekend op basis van gerapporteerde procentuele inschattingen van 10 registraties. In Figuur 252425 zijn de opgegeven percentages per registratie weergegeven. In tegenstelling tot de vorige paragrafen gaan deze figuren over kosten en niet over financiering.



Figuur 24 Berekende gemiddelde procentuele kostenverdeling (n=10)



Figuur 2524 Gerapporteerde schatting procentuele kostenverdeling per registratie (n=10)

4.2 Governance

De governance van de registraties is bevraagd aan de hand van een aantal open vragen. Hierin werd gevraagd naar de aanwezigheid van bestuurlijke, adviserende en ondersteunende organen en de verhouding tussen deze organen.

4.2.1 Governance structuur

Op de vraag welke bestuurlijke organen het register heeft, geven 5 registraties aan een algemeen én een dagelijks bestuur te hebben en 7 registraties een algemeen bestuur (n=24). Van de overige 12 registraties hebben 5 registraties een stuurgroep en is bij de andere 7 registraties sprake van een (coördinerend) team. Naast de vormen van bestuur en is ook gevraagd naar adviserende organen. Deze organen adviseren in brede zin, vaak als wetenschappelijk adviesraad of commissie of als klankbordgroep, 10 registraties (n=24) hebben een dergelijk orgaan.

5 Bevindingen en kanttekeningen

5.1 **Belangrijkste bevindingen**

Vanuit de verschillende onderwerpen die in onze inventarisatie aan bod zijn gekomen, geven wij hieronder de belangrijkste bevindingen weer.

Inhoud

Een eerste interessante uitkomst van onze inventarisatie is dat de geïnccludeerde registraties voor heel verschillende doelen zijn opgezet. Er is veel variëteit tussen registraties: sommige registraties hebben een belangrijke focus op de kwaliteit van zorg, terwijl voor andere registraties het primaire doel onderzoek is. Patiëntenregistraties voor weesziekten of weesgeneesmiddelen die in ons onderzoek zijn geïnccludeerd hebben eerder een primaire focus op onderzoek en minder op kwaliteit van zorg. Deze registraties hebben ook vaker een internationaal karakter, wat voor de hand ligt omdat het aantal patiënten met deze ziekte (heel) klein is en het daarom moeilijk is om alleen op basis van nationale data onderzoek te doen. Als we vervolgens kijken naar de gegevens die in de registraties worden verzameld, zien we dat informatie over kwaliteitsindicatoren en zorggebruik beperkt wordt gemeten. Daarentegen geeft een meerderheid van de geïnccludeerde registraties wel aan dat PROMS/PREMS en kwaliteit van leven worden geregistreerd. Het is op basis van onze gegevens echter onduidelijk in hoeverre dergelijke gegevens bij alle patiënten in deze registraties worden verzameld en wat de frequentie van de registratie van deze gegevens is.

Data/ICT

Een eerste analyse van hoe data worden aangeleverd laat zien dat voor ongeveer twee derde van de registraties data (gedeeltelijk) handmatig worden verzameld. Voor iets minder dan helft van de registraties vindt de aanlevering uitsluitend handmatig plaats. Slechts een beperkt aantal registraties maakt gebruik van een automatische koppeling. Niet geheel onverwacht zijn het met name de registraties van weesziekten waar de gegevens veelal handmatig worden verzameld. Gezien het kleine aantal patiënten dat wordt geïnccludeerd in deze registraties is te verwachten dat de last van de handmatige invoer relatief beperkt is ten opzichte van het extra werk om voor deze patiëntenpopulatie een automatische koppeling tot stand te brengen. Ook gaat het hierbij vaak om patiënten met bijzondere ziektebeelden, waarvoor extra informatie moet worden verzameld die vaak niet standaard in de EPD's wordt opgenomen. Een ander opvallend resultaat is dat er op basis van onze inventarisatie een beeld ontstaat dat slechts weinig registraties gebruikmaken van standaarden bij het vastleggen van de data. Slechts enkelen maken gebruik van Zorg Informatie Bouwstenen (ZIB's) en ook het gebruik van standaardcoderingslijsten (SNOMED, LOINC en ICD10) lijkt beperkt. Daarbij moet worden opgemerkt dat de respons op deze vragen laag is. Dit zou kunnen betekenen dat diegenen die deze vragenlijsten hebben ingevuld minder op de hoogte zijn van de wijze van vastleggen in het register. Het lijkt echter wel aangewezen om bij verdere opzet van deze patiëntenregistraties extra aandacht te besteden aan standaardisatie en gebruik van inhoudelijke standaarden.

Governance en financiering

Als we de governance en financiering van de geïnccludeerde registraties in meer detail bestuderen zien we een wisselend beeld. Sommige registraties hebben een getrappt bestuur (bijvoorbeeld een algemeen en een dagelijks bestuur), maar de meeste registraties hebben maar één bestuurslaag. Daarnaast hebben diverse

registraties een adviserend orgaan, zoals een wetenschappelijke adviesraad of commissie of een klankbordgroep. De wetenschappelijke adviesraad of commissie is veelal ook bedoeld om (wetenschappelijke) aanvragen voor data te beoordelen. Gegevens over de financiering van de registraties waren slechts beschikbaar van een minderheid van de geïnccludeerde registraties in ons onderzoek. Het is niet geheel duidelijk waarom deze gegevens zo beperkt beschikbaar zijn. Het kan zijn dat degenen die inhoudelijk verantwoordelijk zijn voor deze registratie niet over deze informatie beschikken. Anderzijds zou men ook terughoudend kunnen zijn om deze 'meer gevoelige' informatie te delen. Wat wel opvalt in de kleine groep van registraties die wel informatie hebben gegeven over financiering, is dat de rol van de farmaceutische bedrijven relatief groot is.

5.2 Kanttekeningen

Onze inventarisatie laat zien dat het vergaren van representatieve gegevens over bestaande aandoeningsspecifieke registraties, waarin ook het gebruik van dure, medisch-specialistische geneesmiddelen wordt gevolgd, niet eenvoudig is. Als een startpunt voor onze inventarisatie hebben we gebruikgemaakt van een eerdere inventarisatie van patiëntenregistraties, zoals die in 2015 door Nictiz, het Zorginstituut en elf zorgpartijen is opgesteld.² Hoewel Nictiz (informeel) deze inventarisatie up-to-date heeft gehouden, bleek het niet eenvoudig om uit deze inventarisatie registraties te selecteren waarin informatie over dure, medisch-specialistische geneesmiddelen structureel wordt verzameld. Vanuit de kwaliteitsregisters is ook geen openbaar up-to-date overzicht beschikbaar, en omdat de doelen soms verschillen van de aandoeningsregisters die dure geneesmiddelen registeren hebben wij geen aparte inventarisatie naar de bestaande kwaliteitsregistraties verricht. Om die redenen is het moeilijk om vast te stellen in hoeverre ons overzicht representatief is en of we toch nog relevante patiëntenregistraties hebben gemist waarover weinig publieke gegevens beschikbaar zijn.

Dit is het eerste nationale overzicht dat probeert om een beschrijving te geven van aandoeningsspecifieke patiëntenregistraties die ook het gebruik van dure, medisch-specialistische geneesmiddelen monitoren. Omdat het niet duidelijk is hoe representatief onze inventarisatie is, zijn we terughoudend geweest in het geven van kwantitatieve analyses. De inventarisatie geeft wel voldoende mogelijkheden om kwalitatief resultaten te beschrijven, die een perspectief geven op het huidige landschap van aandoeningsspecifieke registraties voor de monitoring van dure, medische-specialistische geneesmiddelen. Deze resultaten bieden ook een handvat voor de verdere ontwikkeling van aandoeningsspecifieke registraties voor de monitoring van dure, medisch-specialistische geneesmiddelen.

²<https://www.zorginstituutnederland.nl/actueel/nieuws/2015/02/19/help-mee-het-overzicht-van-patientenregistraties-compleet-te-maken>.

6 Aandachtspunten voor het vervolg

Ondanks de eerdere genoemde beperkingen van onze inventarisatie denken wij dat de uitkomsten relevant zijn voor de toekomstige ontwikkelingen van aandoeningsspecifieke registraties voor de monitoring van dure, medisch-specialistische geneesmiddelen. De belangrijkste aandachtspunten voor het vervolg zijn:

- De variëteit/heterogeniteit binnen de aandoeningsspecifieke patiëntenregistraties is groot. Als we in de toekomst op een eenduidige, meer gestandaardiseerde, manier gegevens willen verzamelen en (her)gebruiken, zullen we moeten streven naar een meer gestandaardiseerde opzet en inrichting van deze registraties.
- Betere afstemming van de doelen waarvoor registraties worden opgestart en gebruikt is wenselijk. Het uitgangspunt van ROR DGM is om dezelfde data zoveel mogelijk voor verschillende doelen te gebruiken. Dat betekent dat registraties die in eerste instantie worden opgezet voor onderzoeksdoeleinden ook bruikbaar zouden moeten zijn voor kwaliteitsdoeleinden en vice versa. Daarnaast is de informatie over geneesmiddelen onlosmakelijk verbonden met het primaire zorgproces en zouden de registraties ziektebeeld- en domeingericht moeten zijn.
- In het bijzonder voor zeldzame ziekten zou er nog meer focus moeten liggen op internationale samenwerking. Nationale registraties voor weesziekten zouden eigenlijk automatisch deel moeten uitmaken van een groter Europees geheel. Dat heeft ook implicaties voor hoe dergelijke registraties in de toekomst worden opgezet, bijvoorbeeld welke standaarden worden gebruikt om data vast te leggen en te coderen.
- Het meten van niet-klinische uitkomsten, zoals PROMS/PREMS, kwaliteit van leven en zorggebruik, is nog te vaak een sluitstuk van een registratie. Nog meer dan nu zal moeten worden gerealiseerd dat dergelijke gegevens standaard bij patiënten worden verzameld. Wel moet er van tevoren een standaard worden afgesproken tussen verschillende initiatieven die deze gegevens registreren, zodat patiënten en behandelaren niet met veel verschillende vragenlijsten (met deels dezelfde vragen) worden lastiggevallen.
- Het is duidelijk dat een vermindering van de handmatige invoer zal moeten worden nagestreefd. Als het eenvoudiger wordt om direct gebruik te maken van de gegevens in het EPD, dan zal het zelfs voor registraties voor weesziekten makkelijker worden om gegevens te verzamelen. Een vraag die we wel moeten beantwoorden is of, en in hoeverre bepaalde meer aandoeningsspecifieke informatie in het EPD moet worden opgenomen of op een andere manier – meer onderzoeksgewijs – moet worden verzameld.
- Informatie over geneesmiddelen wordt bij voorkeur in de primaire zorgsystemen opgenomen. Standardisatie van hoe gegevens worden vastgelegd is van groot belang. Er worden op dit moment nationaal stappen gezet om steeds meer gebruik te maken van Zorg Informatie Bouwstenen (ZIB's) om gegevens vast te leggen. Hier zullen registraties op aan moeten sluiten. Waar dit niet mogelijk is, vindt standardisatie plaats conform (inter)nationale standaarden.
- De toekomstige governance van deze registraties behoeft ook aandacht. Het Zorginstituut heeft in het kader van dit project, in samenwerking met verschillende partijen uit de zorg, een advies uitgebracht over governance en financiering. Ook in het kader van het programma voor regie op kwaliteitsregistraties staat het thema governance hoog op de agenda. Het ligt voor de hand dat deze activiteiten bij elkaar komen, zodat ook aandoenings- en domeinspecifieke registraties voor de monitoring van dure geneesmiddelen, die al dan niet deel uitmaken van grotere kwaliteitsregistraties, zodanig worden bestuurd dat alle rechthebbende partijen toegang hebben tot voor hen relevante

informatie.

- Ten slotte is ook financiering van deze registraties een belangrijk onderwerp en opgenomen in het hiervoor genoemde advies over governance en financiering. Grote afhankelijkheid van financiering door private partijen wordt niet wenselijk geacht. De samenhang met andere trajecten, met name kwaliteitsregistraties, zou moeten leiden tot een structurele en transparante financiering.

Samenvattend laat onze inventarisatie zien dat er veel activiteiten plaatsvinden in het kader van de monitoring van het gebruik van dure, medisch-specialistische, geneesmiddelen. Dit gebeurt in een veelheid van aandoeningsspecifieke patiëntenregistraties die verschillen in doelstelling, opzet en uitvoering. Het project ROR DGM streeft ernaar om in de komende jaren samen met deze registraties, en in afstemming met andere aanpalende projecten zoals kwaliteitsregistraties, tot meer afstemming en standaardisatie te komen, zodat de gegevens structureel, sneller en met een betere kwaliteit beschikbaar komen voor verschillende doelen, waaronder gepast gebruik en pakketbeheer van geneesmiddelen.

Bijlage 1 Definities

Duur geneesmiddel

Het gaat om een medisch-specialistisch^[1] geneesmiddel dat tenminste voldoet aan één van de volgende criteria:

- Komt uit de sluis in het basispakket;
- Wordt in het GVS opgenomen EN voldoet aan de criteria van de sluis (budgetimpact) of heeft een voorwaardelijke markttoegang (CMA) of is toegelaten onder Exceptional Circumstances (EC) of is een weesgeneesmiddel;
- Wordt met een CMA/EC status zonder verdere beoordeling in het basispakket opgenomen;
- Wordt opgenomen in de regeling voorwaardelijke vergoeding geneesmiddelen en waarvoor specifieke eisen met betrekking de verzameling van gegevens uit de praktijk zijn vastgesteld.

Op basis van de gegevens uit de Horizonscan Geneesmiddelen besluit de minister welke middelen in de sluis worden geplaatst.

De *sluiscriteria* zijn:

- De kosten voor een geneesmiddel voor de behandeling van 1 of meerdere nieuwe indicaties in heel Nederland zijn meer dan € 40 miljoen per jaar. In dit geval worden alle nieuwe indicaties in de sluis geplaatst.
- De kosten van het geneesmiddel voor een nieuwe indicatie per patiënt zijn jaarlijks € 50.000 of meer en bedragen in totaal € 10 miljoen of meer per jaar. In dit geval wordt alleen de nieuwe indicatie in de sluis geplaatst.

^[1] Er is vaak verwarring over wat bedoeld wordt met medische specialistische geneesmiddelen. In het kader van ROR DGM hebben we het over dure geneesmiddelen die door de medisch specialist worden voorgeschreven. De meeste van deze geneesmiddelen worden tegenwoordig bekostigd uit de Medisch-specialistische Zorg (vroeger, voor de overheveling werden veel van deze middelen vanuit het GVS bekostigd). Maar er zijn (nu nog) een aantal dure geneesmiddelen, zoals geneesmiddelen voor multiple sclerose (MS) maar ook een aantal weesgeneesmiddelen, die vanuit het GVS worden bekostigd. Deze laatste groep nemen wij ook mee in ROR DGM.

Weesgeneesmiddel

Voor de definitie van weesgeneesmiddelen hanteert het Zorginstituut de definitie van de EMA. De EMA geeft het label weesgeneesmiddel af indien:

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

In dit document is een registratie aangemerkt als registratie met weesgeneesmiddel(en) als weesgeneesmiddelen de belangrijkste geneesmiddelen binnen de registratie zijn.

Patiëntenregistraties

Registraties waarin structureel informatie over patiënten wordt vastgelegd.

Registratiestudies

Registraties waarin informatie over patiënten wordt vastgelegd, met een gespecificeerde einddatum.

Bijlage 2 Bronnen bureau onderzoek

Bronnen bureau onderzoek registerlandschap:

- Inventarisatie patiëntenregisters; Zorginstituut Nederland & Nictiz, 2015
- De metadatabase zorggegevens; Volksgezondheidszorg.info
- Projecten patiëntenregistraties; ZonMw
- Orpha.net
- Clinicaltrials.gov
- European Network of Centres for Pharmacoepidemiology and Pharmacovigilance (ENCePP) Resources Database
- Trialregister.nl
- Databases Zorggegevens online in NARCIS. Data Archiving and Networked Services (DANS)

Bijlage 3 Nederlandse registraties met dure geneesmiddelen

	Registratie	Aandoening
1	Biobank Neuromusculaire Ziekten (NMZ), voorheen Prospectieve ALS studie Nederland (PAN)	ALS, PSMA, PLS en andere neuromusculaire aandoeningen
2	CAstration-resitant Prostate cancer RegIstry (CAPRI) *)	Prostaatcarcinoom
3	CureIHus onderzoek *)	aHUS Atypisch hemolytisch uremisch syndroom
4	DREAM-IB *)	Inflammatoire darmziekten
5	DREAM-Jicht *)	Jicht
6	DREAM-RA *)	Reumatoïde artritis
7	DREAM-SpA-Net *)	Spondyloartritis
8	Dutch Autoimmune Registry (DAIRE)	Systemische lupus erythematoses
9	Dutch Dystrophinopathy Database (DDD) *)	Duchenne en Becker spierdystrofie
10	Dutch Lung Cancer Audit (DCLA)	Longcarcinoom
11	Dutch Melanoma Treatment registry (DMTR)	Melanoom
12	Dutch national registry for patients with moderate to severe atopic eczema on photo - or systemic therapies (TREAT-NL) *)	Eczeem
13	Dutch Pancreatic Cancer Project (PACAP)	Pancreascarcinoom
14	Dutch Severe Chronic Neutropenia registry	Neutropenie
15	European prospective cohort on thrombophilia (EPCOT)	Thrombofilie
16	Fabry database *)	Fabry
17	FSHD registratie *)	Facioscapulohumerale spierdystrofie
18	Gaucher database *)	Gaucher
19	HEMATO-oncologie register NKR, voorheen Population based haematological registry for observational studies (PHAROS) *)	Hemato-oncologische aandoeningen
20	IPF register *)	Idiopathische pulmonale fibrose
21	Landelijke database Stichting HIV Monitoring	HIV
22	MLD initiative	Metachromatische leukodystrofie
23	MPS register AMC I lysososome center *)	Mucopolysaccharidose
24	MPS register Erasmus MC *)	Mucopolysaccharidose
25	MS-registratie (MSR) *)	Multiple sclerose
26	National study for blood-based response monitoring of b-cell lymphoma patients	B-cell lymfoom

	Registratie	Aandoening
27	Nederlands Hemofilie Register (HemoNED) *)	Hemofilie
28	Nederlands Pompe Register *)	Pompe
29	Nederlandse Cystic Fibrosis Registratie (NCFR) *)	Cystic fibrosis
30	Nederlandse Kankerregistratie (NKR) *)	Oncologische aandoeningen
31	Nederlandse SMA database *)	Spinale musculaire atrofie
32	Niemann Pick Data Collection *)	Niemann-Pick
33	Patient Reported Outcomes Following Initial treatment and Long term Evaluation of Survivorship (PROFIEL, NKR)	Oncologische aandoeningen
34	PHARMACHILD/PRINTO registry *)	Juvenile Idiopathische Arthritis
35	PNH registratiestudie	Paroxismale nachtelijke hemoglobinurie
36	Prospective Bladder Cancer Infrastructure (ProBCI)	Blaascarcinoom
37	Prospective Cohort - Renal Cell Carcinoma (PRO-RCC) *)	Niercelcarcinoom
38	Prospective landelijk CRC cohort (PLCRC) *)	Colorectaal carcinoom
39	Prospective Observational Cohort Study of Oesophageal-gastric cancer Patients (POCOP)	Maag- en slokdarmcarcinoom
40	Prospective, observational registration study for women with inflammatory breast cancer (INFLAME)	Mammacarcinoom
41	Pyruvate Kinase deficiency global longitudinal registry (PEAK) *)	Pyruvaat kinase deficiëntie
42	Registry of Adult Patients with Severe asthma for Optimal Disease management (RAPSODI) *)	Astma
43	Reumatoïde Arthritis Kwaliteitsregistratie (DQRA) *)	Reumatoïde artritis
44	SCN international registry (SCNIR)	Neutropenie
45	Southeast Netherlands Advanced Breast Cancer Registry (SONABRE) *)	Mammacarcinoom
46	STRIVE registry	Juvenile Idiopathische Arthritis
47	Tenosynovial Giant Cell Tumors observational platform project	Tenosynoviale reusceltumor
48	Transthyretin Amyloidosis Outcome Survey (THAOS registry) *)	Erfelijke amyloidose
49	Utrecht Prostaat Cohort Onderzoek (UPC)	Prostaatafcarcinoom
50	WIN-O RCC registry	Niercelcarcinoom

*) Registraties die de enquête hebben ingevuld

