

Vergaderjaar 2021–2022

29 477

Geneesmiddelenbeleid

Nr. 757

BRIEF VAN DE MINISTER VAN VOLKSGEZONDHEID, WELZIJN EN SPORT

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 30 mei 2022

In het commissiedebat «Geneesmiddelenbeleid» van 16 juni 2021 (Kamerstuk 29 477, nr. 727) heeft de VVD benadrukt dat «er in algemene zin veel meer inzicht zou moeten komen in de daadwerkelijke waarde van behandelingen met bepaalde medicijnen». Er moet volgens de VVD «meer gekeken worden naar het behandelresultaat». De VVD gaf daarbij aan «voorstander te zijn van uitkomstbekostiging in brede zin en het principe van «pay for performance» te ondersteunen». De VVD heeft gevraagd hoe meer invulling gegeven kan worden aan dat principe. Vervolgens werd in de aangenomen motie van VVD-lid Aukje de Vries verzocht om te onderzoeken hoe er concreet meer kan worden gewerkt met bekostiging op basis van behandelresultaat in brede zin¹.

In antwoord op deze motie wil ik u in deze brief graag informeren over de huidige stand van zaken en vervolgstappen met betrekking tot de inzet van pay-for-performance voor geneesmiddelen.

Pay-for-performance houdt in het kort in dat alleen wordt betaald voor de patiënten waar het geneesmiddel daadwerkelijk gezondheidswinst heeft opgeleverd. Pay-for-performance is primair een vergoedingsmodel om tot maatschappelijk aanvaardbare uitgaven te komen. De benodigde registratie van de behandelresultaten zou daarnaast ook kunnen bijdragen aan het verbeteren van een gepaste inzet van het betreffende middel. Ik zal daar in deze brief ook kort op ingaan. Dit raakt ook aan de opgave in het coalitieakkoord: passende en betaalbare zorg.

In deze brief zal ik eerst in meer detail uitleggen wat pay-for-performance inhoudt en wanneer de inzet zinvol lijkt. Daarna zal ik eerdere ervaringen, de daarbij geïdentificeerde aandachtspunten² en de daaruit volgende voorwaarden voor pay-for-performance beschrijven. Ik zal in deze brief ook ingaan op mogelijke alternatieve opties voor pay-for-performance. Tot

¹ Kamerstuk 29 477, nr. 724

² Zie ook Kamerbrief over geavanceerde therapieën (Kamerstuk 29 477, nr. 748), en mijn antwoorden op het Schriftelijk overleg over de aankondiging sluis kandidaten (Kamerstuk 29 477, nr. 746) waarin al enkele aandachtspunten worden beschreven.

slot zal ik de vervolgstappen bespreken die ik samen met het Zorginstituut van plan ben te zetten om te onderzoeken of, en wanneer, er gegeven de genoemde aandachtspunten en mogelijke alternatieven, een plaats is voor pay-for-performance.

Wat houdt pay-for-performance in en wanneer lijkt de inzet zinvol?

Doel

Het doel van pay-for-performance is om patiënten op financieel verantwoorde wijze toegang te geven tot veelbelovende geneesmiddelen die een doorbraak zouden kunnen betekenen in hun behandeling, maar waarbij onzekerheid bestaat over de effectiviteit in de praktijk. Het gaat hierbij veelal om kostbare geneesmiddelen waarbij de effectiviteit is aangetoond op groepsniveau (het middel voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk), maar waarbij niet duidelijk is of het bij alle patiënten werkt, in welke mate en voor hoe lang. Er is daardoor een disbalans tussen het hoge financiële risico in combinatie met een zeer onzekere effectiviteit. Vanwege deze onzekerheden en de hoge vraagprijs en/of kostenbeslag is het door de firma voorgestelde gebruik tegen de voorgestelde prijs, ondanks dat het voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk, naar verwachting vaak niet kosteneffectief, of niet doelmatig.

Wat houdt pay-for-performance in?

Idealiter geldt bij een pay-for-performance afspraak dat wordt betaald voor de patiënten waar het geneesmiddel de verwachte gezondheidswinst heeft opgeleverd. Om dit mogelijk te maken is het noodzakelijk dat de uitkomsten van de behandeling worden bijgehouden. Er zijn verschillende uitvoeringsopties met verschillende financieringsmechanismen. Ongeacht de uitvoeringsoptie moeten afspraken worden gemaakt over wat betaald wordt bij welke behaalde uitkomst(en). Daarmee kunnen de financiële risico's die gepaard gaan met de onzekerheid over de effectiviteit worden afgedekt.

Er bestaat soms een erg optimistisch beeld over de bijdrage die pay-for-performance zou kunnen leveren aan snelle beschikbaarheid van geneesmiddelen³. Ik wil daarom opmerken dat niet zeker is of de inzet van pay-for-performance inderdaad leidt tot een versnelling in de toegang voor patiënten. Dit wordt mede veroorzaakt door de complexiteit van een dergelijke afspraak. Ik kom daar later in deze brief op terug.

Voor welk type middelen?

Een pay-for-performance afspraak lijkt met name geschikt voor de volgende type geneesmiddelen:

- Geneesmiddelen waarbij een klein deel van de patiënten baat heeft en niet goed vooraf is te voorspellen wie;
- Geneesmiddelen die een langdurig effect beogen, maar waarvan nog geen (of onvoldoende) langere termijn gegevens bekend zijn;
- Geneesmiddelen waarbij onzekerheid bestaat over de noodzaak van aanvullende medicatie.

Het gaat hierbij bijvoorbeeld om innovatieve middelen zoals gen- en celtherapieën. De onzekerheid over de effectiviteit van dergelijke kostbare geneesmiddelen wordt veroorzaakt door de (zeer) kleine patiëntaantallen

³ [https://www.vereniginginnovatievegeneesmiddelen.nl/actueel/vig-talk-14-april-gebruik-real-world-data-voor-snelle-toegang-pati%C3%ABnt\);](https://www.vereniginginnovatievegeneesmiddelen.nl/actueel/vig-talk-14-april-gebruik-real-world-data-voor-snelle-toegang-pati%C3%ABnt);) <https://www.younginnovatorsofmedicines.nl/actueel/blog-rick-henderik-pay-for-performance-altijd-bespreken>.

waarbij het middel kan worden onderzocht, en het ontbreken van lange termijn informatie over positieve effecten en bijwerkingen. Vaak wordt bijvoorbeeld aangenomen dat een eenmalige behandeling volstaat en de patiënt geneest van een dodelijke ziekte of niet verder achteruit gaat. Patiënten kunnen echter soms toch een aanvullende behandeling nodig hebben⁴.

Het kan gaan om middelen die in de sluis zijn geplaatst (relatief dure intramurale geneesmiddelen met een hoog financieel risico), maar niet uitsluitend. Pay-for-performance zou, op initiatief van bijvoorbeeld zorgverzekeraars in samenwerking met ziekenhuizen, ook kunnen worden toegepast bij middelen die buiten de sluis vallen. In de zogenaamde open instroom voor intramurale geneesmiddelen lopen hiertoe twee initiatieven waarin wordt samengewerkt tussen verschillende veldpartijen, fabrikanten en verzekeraars en waarbij pay-for-performance elementen worden toegepast: het (Orphan) Drug Access Protocol ((O)DAP) en Drug Rediscovery Protocol (DRUP). Via het DAP protocol wordt een oncologisch product gedurende de eerste 4 maanden van behandeling kosteloos door de fabrikant geleverd; wanneer het effectief is neemt de zorgverzekeraar de kosten over. Bij DAP gaat het vooral om behandeling van zeldzame kankersoorten. ODAP is vergelijkbaar met DAP, maar richt zich op niet-oncologische weesgeneesmiddelen. Bij de DRUP-studie gaat het om off-labeltoepassing van doelgerichte behandelingen op basis van het DNA-profiel van de patiënt. Bij patiënten die goed reageren op de behandeling worden de kosten vergoed door de zorgverzekeraar.

Eerder geïdentificeerde aandachtspunten bij pay-for-performance

Zowel in Nederland als in het buitenland is al enige ervaring opgedaan met modellen zoals pay-for-performance⁵. In de jaren 2012–2014 heeft in Nederland een pilot pay-for-performance plaatsgevonden voor het middel omalizumab (Xolair®) bij ernstig ongecontroleerd allergisch astma⁶. Daarna is pay-for-performance nog enkele malen voorgesteld in een advies van het Zorginstituut (bijvoorbeeld bij genterapieën zoals Yescarta, Luxturna, Zolgensma en Zynteglo). De toepassing van pay-for-performance heeft bij Xolair bijgedragen aan doelmatige inzet, met name door criteria voor indicatie en non-respons, die dankzij deze overeenkomst zorgvuldig zijn toegepast. Vanuit deze, en andere ervaringen in binnen- en buitenland zijn echter ook meerdere aandachtspunten geïdentificeerd en is het tot op heden een uitdaging gebleken om daadwerkelijk tot pay-for-performance afspraken te komen. Ik noem de belangrijkste aandachtspunten hieronder.

Discussie over de uitkomstmaat en het tijdstip van de «performance» meting

Eerdere ervaringen hebben laten zien dat het soms lastig is om een eenduidige, goed te meten, klinisch relevante uitkomstmaat te identificeren. Een klinisch relevant effect van behandeling met bijvoorbeeld

⁴ Pakketadvies sluisgeneesmiddel onasemnogene abeparvovec (Zolgensma®).

⁵ Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: How they work and possible improvements going forward, 2020; Garattini, Curto en Van de Vooren (2015): Italian risk-sharing agreements on drugs: are they worthwhile? Eur J Health Econ 16:1–3; Van de Vooren, Curto, Garratini (2015): Market-access agreements for anti-cancer drugs; Journal of the Royal Society of Medicine, Vol. 108(5) 166–170K; Vreman et.al (2020): Application of Managed Entry Agreements for Innovative Therapies in Different Settings and Combinations: A Feasibility Analysis, Int. J. Environ. Res. Public Health 17, 8309; Nederlandse uitvraag bij het «Pharmaceutical pricing and reimbursement information (PPRI)» netwerk.

⁶ Pay-for-performance-overeenkomst omalizumab (Xolair) voor de behandeling van ernstige astma | Advies | Zorginstituut Nederland

gentherapieën is soms pas na jaren of decennia aantoonbaar. Een jarenlange pay-for-performance afspraak kan om meerdere redenen lastig zijn, bijvoorbeeld omdat de standaardzorg in de loop der tijd kan veranderen of vanwege de relatief korte resterende patentperiode.

Mogelijke terughoudendheid bij deling financieel risico

Er zal overeenstemming moeten worden bereikt met de firma over een maatschappelijk aanvaardbare prijs bij verschillende mogelijke uitkomsten. Enerzijds wil de betaler (en daarmee de maatschappij) de financiële risico's adresseren die gepaard gaan met de onzekerheid over de effectiviteit. Aan de andere kant is het de vraag in hoeverre firma's financiële onzekerheden accepteren. Het is niet in alle gevallen mogelijk hierover overeenstemming te bereiken.

Administratieve lasten/ uitvoerbaarheid

Het bijhouden en analyseren van de uitkomstmaat brengt administratieve lasten met zich mee. Informatie over de «performance» (het behandelresultaat) kan verkregen worden via een register. Mogelijk zou informatie over het behandelresultaat ook verkregen kunnen worden op basis van declaratiedata. De uitvoeringslast voor zorgverleners is vooral groot als gebruik wordt gemaakt van een (productspecifiek) register om de uitkomstdata vast te leggen, te analyseren en daarop af te rekenen. Deze lasten nemen aanzienlijk toe naarmate het aantal pay-for-performance afspraken toeneemt. De belasting is hoger dan voor een regulier kwaliteitsregister. Ieder middel vergt immers een eigen registratie en afrekening, omdat per geneesmiddel specifieke afspraken worden gemaakt. Ook moet de bescherming van patiëntgegevens worden geborgd.

Geheimhouding van uitkomsten

Uit een OECD-rapport⁷ waarin ervaringen met modellen zoals pay-for-performance worden besproken blijkt dat klinische uitkomsten vaak niet openbaar worden gemaakt. Daardoor is het niet mogelijk om deze inzichten te gebruiken om bijvoorbeeld richtlijnen aan te passen op basis van de verzamelde informatie. Aanpassing van richtlijnen zou kunnen leiden tot meer gepast gebruik van het middel en dus tot betere kwaliteit van zorg. Als bijvoorbeeld zou blijken dat een bepaald deel van de patiënten onvoldoende reageert op de behandeling zou onnodige blootstelling aan het geneesmiddel bij deze groep patiënten in de toekomst kunnen worden voorkomen.

Voorwaarden

Op basis van de hierboven beschreven ervaringen en geïdentificeerde aandachtspunten kunnen de volgende voorwaarden worden voorgesteld om de kans op succesvolle inzet van pay-for-performance te vergroten:

Eenduidige uitkomstmaat

Om goede pay-for-performance afspraken te kunnen maken is het van belang dat betrokken partijen, zoals de beroepsgroep en patiëntenorganisaties, overeenkomen welk behandelresultaat van betekenis is voor behandeling van de patiënt. Het effect van het geneesmiddel moet duidelijk meetbaar zijn en onomstotelijk kunnen worden toegewezen aan

⁷ Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: How they work and possible improvements going forward, 2020.

het geneesmiddel en niet aan andere, aanpalende zorg en/of natuurlijk beloop. Daarnaast is het van belang dat overeengekomen wordt op welk moment wordt vastgesteld in hoeverre het behandelresultaat is bereikt. Om tot overeenstemming te komen over de uitkomstmaat is het van belang dat tijdig wordt gestart met gesprekken tussen partijen hierover. De betrokken partijen zullen zich vervolgens ook moeten committeren aan de te maken afspraken.

Financiële afspraken

Vervolgens moet worden vastgesteld wat wordt betaald bij succes, en wat als de behandeling van een patiënt faalt of de patiënt slechts gedeeltelijk reageert. De door de firma gevraagde lijstprijs is hierbij niet per definitie het uitgangspunt.

Acceptabele administratieve belasting/ uitvoerbaarheid

De investering (in tijd/mankracht) moet naar verwachting opwegen tegen de opbrengst (financieel of gepast gebruik). Het verzamelen, delen en analyseren van de data moet haalbaar zijn. Dit speelt vooral als voor het meten van de uitkomst gebruik gemaakt moet worden van een register. De administratieve belasting is naar verwachting lager als gebruik kan worden gemaakt van declaratiegegevens of als uitkomstdata eenvoudig uit het dossier van de patiënt gehaald kunnen worden.

Openbaarmaking

Het is belangrijk dat de klinische uitkomsten van een pay-for-performance overeenkomst openbaar worden gemaakt zodat de behandelrichtlijnen hier zo nodig op kunnen worden aangepast⁸. Idealiter wordt hierbij aangesloten bij de criteria die worden opgeteld bij het project Regie op Registers⁹.

Alternatieve mogelijkheden voor pay-for performance

Voor belangrijke aspecten waar pay-for-performance een zinvolle optie lijkt (grote onzekerheid over de effectiviteit, hoge vraagprijs en stimuleren van gepast gebruik) bestaan ook alternatieve mogelijkheden. Het is dus per geneesmiddel de vraag of en op welke wijze pay-for-performance een rol kan spelen en of andere al bestaande opties niet meer geschikt zijn.

Vervolgonderzoek

Bij sommige veelbelovende middelen zijn, zoals eerder genoemd, meer gegevens nodig om vast te kunnen stellen bij welke patiënten het precies werkt, in welke mate en voor hoe lang. Het Zorginstituut kan nu al aanbevelen om vervolgonderzoek uit te voeren. Momenteel kijkt het Zorginstituut naar mogelijkheden om meer bindende voorwaarden te stellen aan het uitvoeren van dit vervolgonderzoek om de onzekerheden te beperken.

Kortingen op prijzen van kostbare geneesmiddelen

De onzekerheden over de effectiviteit kunnen ook worden geadresseerd door deze vooraf mee te wegen in een prijskorting, in plaats van een

⁸ Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states: How they work and possible improvements going forward, 2020.

⁹ <https://www.zorginstituutnederland.nl/werkagenda/regie-op-registers-voor-dure-geneesmiddelen>

pay-for-performance overeenkomst. Hierbij wordt het behandelresultaat eveneens meegewogen; met het verschil dat dit in studieverband is waargenomen, en niet in de klinische praktijk wordt vastgesteld zoals bij pay-for-performance. Dergelijke kortingen worden nu bijvoorbeeld al toegepast bij sluisgeneesmiddelen en kunnen hetzelfde resultaat geven als een pay-for-performance afspraak¹⁰.

Stimuleren van gepast gebruik

De resultaten van een pay-for-performance overeenkomst kunnen leiden tot meer gepast gebruik, bijvoorbeeld via aanpassing van richtlijnen op basis van de uitkomsten. Tegelijkertijd worden op dit moment door het Ministerie van VWS en het Zorginstituut ook andere mogelijkheden verkend tot het ontwikkelen van instrumenten om nadere (indien nodig afdwingbare) voorwaarden te kunnen stellen bij pakkettoelating om gepast gebruik te stimuleren. Het gaat bijvoorbeeld om afspraken over vervolgonderzoek, doelmatige inzet en kwaliteit van zorg. Hiermee zou het in de toekomst mogelijk zijn om middelen die relatief duur zijn en een hoge mate van (lange termijn) onzekerheid over de effectiviteit kennen, tot het verzekerde pakket toe te laten met duidelijke afspraken over de monitoring van inzet en effecten¹¹.

Voor extramurale geneesmiddelen kunnen reeds voorwaarden worden gesteld aan de vergoeding. Bijvoorbeeld als, op basis van klinische gegevens, blijkt dat bij de geregistreerde indicatie niet de gehele patiëntengroep, maar slechts een deel van patiënten voor vergoeding van een middel in aanmerking komt. Bij deze geneesmiddelen gebeurt dit door op Bijlage 2 van de Regeling zorgverzekering nadere voorwaarden voor de vergoeding van het middel op te nemen.

Vervolgstappen

Zoals aangegeven kunnen modellen zoals pay-for-performance, op initiatief van bijvoorbeeld zorgverzekeraars in samenwerking met ziekenhuizen, al worden toegepast. Voor geneesmiddelen waar ik, op advies van het Zorginstituut, over onderhandel zal ik samen met hen via een aantal casussen onderzoeken of er, gegeven de genoemde aandachtspunten en mogelijke alternatieven, situaties zijn waar de inzet van pay-for-performance zinvol is. We bekijken gezamenlijk de mogelijkheid tot een pilot bij één of meer geneesmiddelen. Hierbij wordt rekening gehouden met de genoemde voorwaarden (eenduidige uitkomstmaat, financiële afspraken, acceptabele administratieve belasting en uitvoerbaarheid en openbaarmaking van klinische uitkomsten zodat richtlijnen zo nodig kunnen worden aangepast). Vanwege het belang van een goede uitkomstmaat en uitvoerbaarheid wordt tijdig overlegd met de beroepsgroep en patiëntenverenigingen. Om de impact van de administratieve belasting verder in kaart te brengen streven we naar een pilot met een geneesmiddel waar alternatieve dataverzameling zoals een register nodig is voor het vastleggen van de uitkomstmaat, als ook een geneesmiddel waar gebruik gemaakt kan worden van declaratiedata. Bij deze casussen wil ik, samen met het Zorginstituut, ook verder onderzoeken of de inzet van pay-for-performance het gepast gebruik in de praktijk stimuleert en wellicht leidt tot aanpassing van de richtlijnen. Ook ben ik in overleg met het Zorginstituut over de wijze waarop het Zorginstituut mij kan adviseren

¹⁰ Van de Vooren, Curto, Garratini (2015): Market-access agreements for anti-cancer drugs; Journal of the Royal Society of Medicine, Vol. 108(5) 166–170K.

¹¹ Kamerstuk 29 477, nr. 720 Motie van het lid Van den Berg c.s. over instrumenten van het Zorginstituut voor maatwerk in de toelating van innovatieve geneesmiddelen; en Kamerstuk 29 477, nr. 752.

over een eventuele pay-for-performance afspraak. Op termijn betrek ik hier ook de zorgverzekeraars bij.

Conclusie

Ik begrijp dat er vraag is naar vergoedingsmodellen waarbij alleen wordt afgerekend voor patiënten waar het geneesmiddel gezondheidswinst heeft opgeleverd. Tegelijkertijd moet ook rekening gehouden worden met de geïdentificeerde aandachtspunten en randvoorwaarden voor pay-for-performance. Dit betekent niet dat pay-for-performance als model wordt uitgesloten. De toegevoegde waarde is momenteel echter nog onvoldoende duidelijk. Ik onderzoek daarom, zoals aangegeven, samen met het Zorginstituut via een aantal casussen of er situaties zijn waar de inzet van pay-for-performance zinvol is. Over de voortgang van de uitgezette acties zal ik uw Kamer volgend jaar informeren.

De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
E.J. Kuipers