



> Van grip naar greep

Ex post evaluatie
geneesmiddelenvisie VWS

13 april 2023

SiRM. Strategies
in Regulated
Markets

Colofon

Projectteam

Saskia van der Erf, Nienke van der Kooij, Michiel Slag, Fons Strijbosch

Projectleider: Roderik Ponds - roderik.ponds@sirm.nl

Copyright

Delen van dit rapport mogen gereproduceerd worden met de volgende bronvermelding: SiRM, Van grip naar greep – Ex post evaluatie van de geneesmiddelenvisie van VWS, april 2023.

Opdrachtgever

Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport

Foto voorblad

ANP – Flip Franssen

De titel van dit rapport ‘Van grip naar greep’ refereert aan VWS, en andere overheids- en veldpartijen die sinds 2016 door de geneesmiddelenvisie meer grip hebben gekregen op dure-geneesmiddeleninzet, maar die tegelijkertijd naar de toekomst toe nog stappen kunnen zetten om meer controle te krijgen, oftewel meer greep.

Managementsamenvatting

In 2016 publiceerde het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS) een visie op dure geneesmiddelen. De ambitie van deze geneesmiddelenvisie was het toegankelijk houden van dure geneesmiddelen tegen aanvaardbare prijzen. In de visie werd geconstateerd dat – anno 2016 – bestaande instrumenten onvoldoende werkten om deze ambitie te bereiken en dat aanvullende instrumenten nodig waren. Sindsdien voerde VWS een groot aantal beleidsmaatregelen uit om hier invulling aan te geven.

SiRM heeft in opdracht van de directie Geneesmiddelen en Medische Technologie van VWS de geneesmiddelenvisie geëvalueerd. Deze evaluatie richtte zich uitsluitend op beleid op het gebied van dure geneesmiddelen. Door externe invloeden en de vele verschillende beleidsmaatregelen is het effect van de geneesmiddelenvisie niet exact te bepalen. Wel concluderen we op basis van een combinatie van deskresearch, interviews, een werksessie en kwantitatieve analyses dat de grip op de inzet van dure geneesmiddelen is toegenomen maar dat er nog weinig sprake is van controle (greep). Volledige controle is niet haalbaar, meer controle dan nu is dat wel.

De grip op de inzet van dure geneesmiddelen is toegenomen doordat overheids- en veldpartijen meer gelijkgericht zijn gaan werken en een betere informatiepositie hebben gekregen. Daarnaast droeg de inzet op prijsonderhandelingen bij aan betaalbaarheid, maar dit leidde ook tot een vertraging in de toegang tot nieuwe geneesmiddelen. De inzet op gepast gebruik is toegenomen maar kan systematischer en structureler. VWS heeft nauwelijks invloed gehad op welke middelen tegen welke vraagprijs op de markt kwamen, wat door de kleine omvang van de Nederlandse markt te verwachten viel. VWS zette wel meer in op Europese samenwerking om toch een bepaalde mate van invloed uit te oefenen.

Meer controle over de inzet van de dure geneesmiddelen dan nu is in onze ogen wel mogelijk. VWS kan zich in Europees verband als een kritischere klant opstellen richting de farmaceutische industrie door te kennen te geven aan welke middelen de behoefte het grootst is, wat we bereid zijn hiervoor te betalen, en tegen welke voorwaarden. Daarnaast kan VWS een systematisch proces inrichten waarmee beter geanticipeerd wordt op de komst van nieuwe dure geneesmiddelen en gepast gebruik van bestaande dure geneesmiddelen minder vrijblijvend wordt. Ten slotte kan VWS ervoor zorgen dat de noodzakelijke data-infrastructuur voor de evaluatie van effectiviteit in de praktijk – als onderdeel van de msz-kwaliteitsregistraties – sneller tot stand komt.

Reflecterend op de evaluatie, willen we benadrukken dat het meten van het (middel-) langetermijneffect (>5 jaar) van het dure-geneesmiddelenbeleid lastig is en dat ook in de toekomst zal blijven. Het opnemen van specifieke streefwaarden voor bijvoorbeeld de uitgaven zal dat niet veranderen en is bovendien niet wenselijk. Wel kunnen overheids- en veldpartijen de ontwikkeling van de betaalbaarheid en toegankelijkheid én de voortgang van specifieke beleidsmaatregelen beter monitoren dan nu het geval is. VWS kan de regie over deze monitoring nemen en de inzichten structureel bespreken in onder andere het Landelijk Overleg Dure Geneesmiddelen (LODG). Op basis hiervan kunnen partijen in het LODG beleid en de uitvoering daarvan bijsturen.

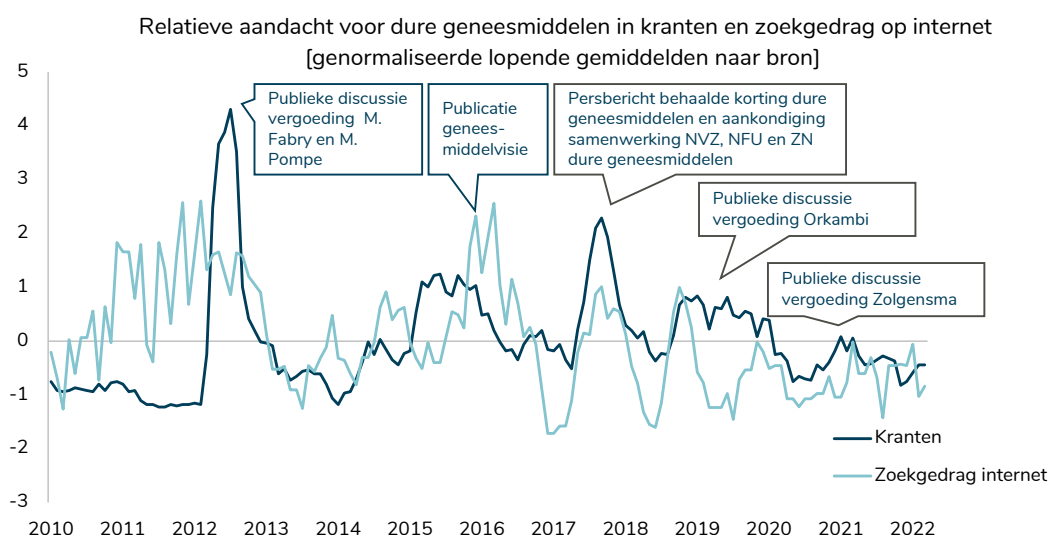
Inhoud

Colofon	1
Managementsamenvatting	2
1 Aanleiding en conclusie	4
1.1 Aanleiding en vragen aan SiRM	4
1.2 Methode	5
1.3 Conclusies en aanbevelingen	6
2 Meer gezamenlijke grip, maar nog weinig controle	8
2.1 Overheids- en veldpartijen zijn meer gelijkgericht aan geneesmiddelenbeleid gaan werken	11
2.2 Het inzicht van de overheid en veldpartijen is verbeterd	11
2.3 VWS heeft lagere prijzen bedongen met onderhandelingen, die wel impact hadden op de toegankelijkheid	13
2.4 Overheids- en veldpartijen hebben meer ingezet op gepast gebruik, al gebeurde dit nog niet systematisch	18
2.5 VWS heeft nauwelijks invloed gehad op welke middelen tegen welke vraagprijzen op de markt kwamen	20
3 Meer controle over geneesmiddeleninzet mogelijk	22
3.1 VWS kan zich in samenspraak met Europa als een kritischere klant opstellen richting de farmaceutische industrie	22
3.2 VWS kan een – niet-vrijblijvend – proces inrichten dat tijdig anticipeert op de komst en het gepast gebruik van een geneesmiddel	25
3.3 VWS kan ervoor zorgen dat de data-infrastructuur voor evaluatie van effectiviteit in de praktijk - als onderdeel van de msz-kwaliteitsregistraties - sneller tot stand komt	27
4 Reflectie: meten nodig voor bijsturen, minder voor evalueren	30
4.1 Meten van (middel)langetermijneffect van dure-geneesmiddelenbeleid is lastig	30
4.2 Meten is wel nodig om het dure-geneesmiddelenbeleid en de uitvoering ervan bij te kunnen sturen	31
Bijlage 1. Onderzoeksopzet	33
Bijlage 2. Kwantitatieve analyses	40
Bijlage 3. Overzicht beleidsmaatregelen	55

I Aanleiding en conclusie

1.1 Aanleiding en vragen aan SiRM

In 2016 publiceerde het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (hierna: VWS) de geneesmiddelenvisie.¹ Deze visie is opgesteld na een periode met veel (media-)aandacht voor vergoedingsvraagstukken van specifieke dure geneesmiddelen. In de geneesmiddelenvisie zelf wordt expliciet gerefereerd aan twee specifieke geneesmiddelen: sofosbuvir (merknaam Sovaldi) voor de behandeling van het hepatitis C-virus en nivolumab (merknaam Opdivo) voor de behandeling van kanker, onder andere van de huid en longen. In de jaren hiervoor was er veel media-aandacht voor vergoedingsvraagstukken voor geneesmiddelen voor de ziektes van Fabry en Pompe in 2012/2013 (Figuur 1).



Figuur 1. In 2012-2013 was er een piek in de media-aandacht voor dure geneesmiddelen rond vergoedingsvraagstukken voor geneesmiddelen voor de ziektes van Fabry en Pompe. Bronnen: LexisNexis (aandacht in kranten) en Google Trends (zoekgedrag internet).

De centrale ambitie van de geneesmiddelenvisie was het toegankelijk houden van dure geneesmiddelen tegen aanvaardbare prijzen.² In de visie werd geconstateerd dat (anno 2016) de bestaande instrumenten onvoldoende werkten om dit te bereiken. Aanvullende instrumenten waren nodig om een sterkere onderhandelingspositie voor de betaler te realiseren en tegelijkertijd voldoende ruimte te bieden voor nieuwe ontwikkelingen en innovaties. De geneesmiddelenvisie schetste daarbij de gewenste veranderingen om deze doelen te realiseren en benoemde een groot aantal bestaande en nieuwe beleidsmaatregelen die hieraan bij moeten dragen.³ In de visie staan geen concrete kwantitatieve doelen of streefniveaus genoemd.

¹ Kamerbrief Visie op geneesmiddelen: Nieuwe geneesmiddelen snel bij de patiënt tegen aanvaardbare kosten dd. 29 januari 2016 (Kenmerk: 899467-145972-GMT).

² Zie pagina 3 van de genoemde Kamerbrief – cursief wat ook in de visie zelf cursief gedrukt stond.

³ Bijlage 3 bevat een overzicht van beleidsmaatregelen op het gebied van dure geneesmiddelen tussen 2016 en 2022.

SiRM heeft in opdracht van de directie Geneesmiddelen en Medische Technologie (GMT) van VWS de geneesmiddelenvisie geëvalueerd. De evaluatie richtte zich op het gevoerde beleid rond dure geneesmiddelen⁴ zoals geformuleerd in de geneesmiddelenvisie en aanvullende maatregelen op dat gebied sinds 2016. Tussen de publicatie van de visie in 2016 en 2022 is het beleid rond dure geneesmiddelen deels aangepast, gestopt of aangevuld (Bijlage 3). Andere onderdelen van het geneesmiddelenbeleid (zoals beleid rond generieke geneesmiddelen of farmaceutische zorg) vormen geen onderdeel van deze evaluatie.

De evaluatie beantwoordt twee hoofdvragen:

- 1 Wat is het effect geweest van de geneesmiddelenvisie? Voor deze vraag beantwoorden we drie deelvragen:
 - a Hoe hebben de betaalbaarheid en toegankelijkheid van dure geneesmiddelen zich ontwikkeld?
 - b Welke activiteiten van VWS of gestimuleerd/gefaciliteerd door VWS hebben plaatsgevonden die hier invloed op hadden? In welke mate hebben ze hieraan bijgedragen?
 - c Welke activiteiten had VWS nog meer of anders kunnen uitvoeren/faciliteren/stimuleren om de doelen van de geneesmiddelenvisie te bereiken?
- 2 Welke lessen zijn er te trekken voor de directie GMT van het ministerie van VWS over het maken van toekomstig beleid en de uitvoering daarvan?

1.2 Methode

Deze ex post evaluatie is een onderdeel van de pilot Lerend evalueren die VWS in 2018 is opgestart naar aanleiding van de Rijksbrede operatie Inzicht in Kwaliteit.⁵ Lerend evalueren vervangt de klassieke beleidsdoorlichting en heeft naast het afleggen van verantwoording over de doelmatigheid en doeltreffendheid van het gevoerde beleid ook de doelstelling om van deze verantwoording te leren. Ook de ex durante evaluatie van de geneesmiddelenvisie was onderdeel van de pilot Lerend evalueren.⁶

De eerste onderzoeksvraag (zie §1.1) is gericht op verantwoorden. Deze vraag staat centraal in dit openbare rapport. De tweede onderzoeksvraag richt zich op het leren. De inzichten hierover zijn niet meegenomen in dit openbare rapport, aangezien dit voornamelijk interne leerproces om vertrouwelijkheid vraagt. Vertrouwelijkheid is van belang zodat medewerkers openlijk kunnen spreken over de dilemma's die zij in hun dagelijkse werk ervaren. De resultaten hiervan zijn op hoofdlijnen besproken met het managementteam van GMT.

⁴ De minister gaf in de geneesmiddelenvisie geen definitie van 'innovatieve geneesmiddelen' of 'dure geneesmiddelen'. Voor dit evaluatierapport scharen wij monopolie- en oligopoliegeneesmiddelen onder dure geneesmiddelen. Beleid gericht op geneesmiddelen in competitie – geneesmiddelen waarvoor recent generieke varianten of biosimilars op de markt zijn gekomen – en multisource-geneesmiddelen waarvoor volledige competitie bestaat, zijn geen onderdeel van deze evaluatie.

⁵ Ministerie VWS (2020), Vaststelling van de begrotingsstaten van het Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (XVI) voor het jaar 2020 (Kamerstuk 25300 XVI, Vergaderjaar 2019-2020).

⁶ SiRM (2019), Op naar hoger hangend fruit - Ex durante evaluatie geneesmiddelenvisie 2016-2018.

Voor de beantwoording van de onderzoeksvragen gebruikten we in de periode van juli 2022 tot en met maart 2023 een ‘mixed methods approach’:

- We voerden **kwantitatieve analyses** uit om inzicht te krijgen in onder meer de ontwikkeling van de betaalbaarheid en toegankelijkheid.
- We voerden **kwantitatief deskresearch** uit om inzicht te krijgen in de verschillende beleidsmaatregelen en de uitvoering hiervan. We bestudeerden hiertoe verschillende rapporten en maakten een analyse van alle Kamerbrieven over de geneesmiddelenvisie.
- We voerden in de periode oktober-december 2022 **interviews** om inzicht te krijgen op het effect en de effectiviteit van de beleidsmaatregelen. Om verschillende perspectieven hierop mee te nemen, interviewden we een brede set aan betrokkenen.
- We organiseerden vier **werksessies**. Deze droegen met name bij aan de beantwoording van onderzoeksvraag 2 die gericht is op het lerend evalueren. Voorafgaand aan de eerste werksessie zetten we een vragenlijst uit onder de medewerkers van GMT om hun belangrijkste leervragen te inventariseren.

We werden tijdens de evaluatie begeleid door een begeleidingscommissie met als onafhankelijk voorzitter Justus Kox, directeur Sanctie- en Slachtofferbeleid bij het Ministerie van Justitie en Veiligheid. In de begeleidingscommissie namen daarnaast medewerkers van het ministerie van Financiën en van VWS deel (directies GMT, Zorgverzekeringen en Financieel-Economische Zaken), en een onafhankelijk geneesmiddelenexpert, Peter Roos.

Het hanteren van een ‘mixed methods approach’ was van belang omdat het effect van de geneesmiddelenvisie niet exact te bepalen is. De ontwikkeling van de betaalbaarheid en toegankelijkheid van dure geneesmiddelen tijdens de periode waarin de beleidsmaatregelen zijn uitgevoerd, zegt op zichzelf niets over de causaliteit tussen beide. Het vaststellen van causaliteit vereist dat het mogelijk is om het effect van beleidsmaatregelen op ontwikkelingen in betaalbaarheid en/of toegankelijkheid te isoleren van andere factoren. Dit is in de praktijk niet mogelijk door drie redenen:

- Factoren buiten het geneesmiddelenbeleid zelf hebben invloed op de betaalbaarheid en/of toegankelijkheid van geneesmiddelen.
- Beleid bestaat in de praktijk uit meerdere beleidsmaatregelen die elkaar beïnvloeden.
- Een deel van de effecten is indirect. Dit geldt voor beleidsmaatregelen zoals het subsidiëren of faciliteren van bepaalde programma’s die andere partijen uitvoeren.

Bijlage 1 beschrijft in meer detail de gebruikte methoden en bevat een overzicht van in welke mate de verschillende methoden hebben bijgedragen aan het beantwoorden van de hoofd- en subvragen.

1.3 Conclusies en aanbevelingen

We concluderen dat door het gevoerde geneesmiddelenbeleid meer grip op de inzet van geneesmiddelen is gekomen maar dat nog weinig sprake is van controle (Hoofdstuk 2). Overheids- en veldpartijen zijn meer gelijkgericht aan geneesmiddelenbeleid gaan werken en hun informatiepositie is verbeterd. Sinds de geneesmiddelenvisie heeft VWS meer ingezet op prijsonderhandelingen die bij hebben gedragen aan de betaalbaarheid, maar wel impact hadden

op de toegankelijkheid. Daarnaast is door overheids- en veldpartijen meer ingezet op gepast gebruik, alhoewel dit nog niet voldoende systematisch gebeurde. VWS heeft – vooral omdat Nederland een kleine markt is – nauwelijks invloed gehad op welke middelen tegen welke vraagprijzen op de markt kwamen.

Meer controle op de inzet van dure geneesmiddelen dan nu is in onze ogen wel mogelijk (Hoofdstuk 3):

- VWS kan zich in samenspraak met Europa als een kritischere klant opstellen richting de farmaceutische industrie.
- VWS kan een – niet-verblijvend – proces inrichten waarmee beter geanticipeerd wordt op de komst en het gepast gebruik van een geneesmiddel.
- VWS kan zorgen dat de data-infrastructuur voor evaluatie van effectiviteit in de praktijk – als onderdeel van de msz-kwaliteitsregistraties – sneller tot stand komt.

Om ervoor te zorgen dat deze aanbevelingen aan VWS ook daadwerkelijk leiden tot meer controle over geneesmiddeleninzet, is goede samenwerking met andere overheids- en veldpartijen voor de uitvoering ervan essentieel. Hierover hebben partijen ook al afspraken gemaakt in het hoofdstuk over dure geneesmiddelen in het Integraal Zorgakkoord (IZA).⁷

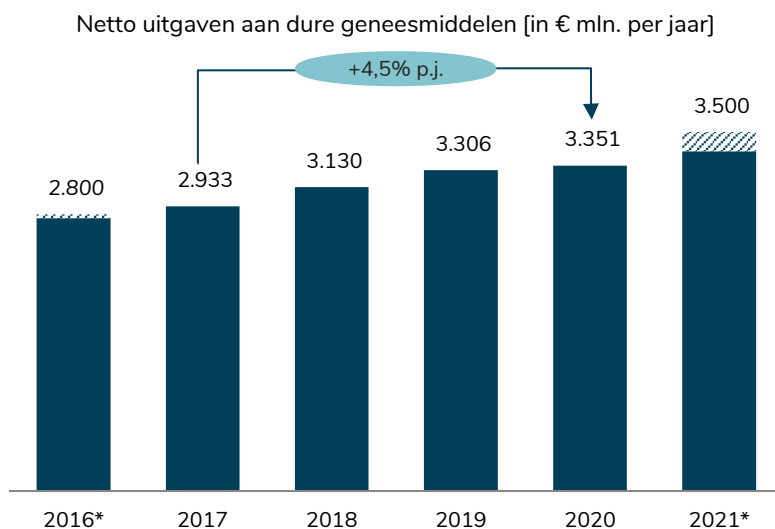
Het meten van het (middel)langetermijneffect van dure-geneesmiddelenbeleid is lastig en zal dat ook in de toekomst blijven (Hoofdstuk 4). Wel kunnen overheids- en veldpartijen de ontwikkeling van betaalbaarheid en toegankelijkheid én de voortgang van beleid beter monitoren dan nu het geval is. VWS kan hiervoor meer regie over monitoring nemen en dit onder andere inbrengen in het LODG voor verdere acties.

⁷ Zie hoofdstuk 8 van het IZA: <https://www.rijksoverheid.nl/documenten/rapporten/2022/09/16/integraal-zorgakkoord-samen-werken-aan-gezonde-zorg>

2 Meer gezamenlijke grip, maar nog weinig controle

Het dure-geneesmiddelenbeleid heeft geleid tot meer grip, doordat overheids- en veldpartijen meer gelijkgericht zijn gaan werken en een betere informatiepositie hebben gekregen. Hiernaast droeg de inzet op prijsonderhandelingen bij aan de betaalbaarheid, maar leidde ook tot tragere toegang tot nieuwe geneesmiddelen. De inzet op gepast gebruik is toegenomen, maar kan systematischer. VWS heeft nauwelijks invloed gehad op welke middelen tegen welke vraagprijs op de markt kwamen, wat door de kleine omvang van de Nederlandse markt te verwachten viel. VWS zette wel meer in op Europese samenwerking om toch invloed uit te oefenen.

De uitgaven aan dure geneesmiddelen namen tussen 2017 en 2020 toe van €2,9 miljard in 2017 tot €3,4 miljard in 2020 (Figuur 2). Dit komt neer op een gemiddelde stijging van 4,5% per jaar.⁸ Het betreft de netto uitgaven (gecorrigeerd voor onder andere vertrouwelijke kortingen) voor intra- en extramurale dure geneesmiddelen samen. Voor de jaren na 2020 is nog niet alle data definitief en voor 2016 is niet bekend hoe hoog de vertrouwelijke extramurale kortingen waren.



Figuur 2. Van 2017 tot 2020 zijn de jaarlijkse netto uitgaven aan dure geneesmiddelen met ruim €400 miljoen gestegen, gemiddeld 4,5% per jaar. *Voor 2016 en 2021 zijn de bruto uitgaven weergegeven; het gearceerde deel geeft illustratief aan wat mogelijk verschil tussen netto en bruto uitgaven is. Bron: NZa.⁹

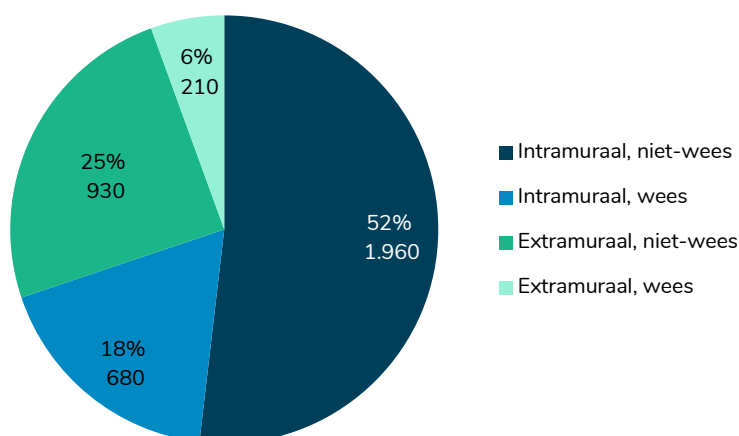
⁸ Niet gecorrigeerd voor inflatie. De consumentenprijsindex (CBS) was over deze zelfde periode gemiddeld 1,9% per jaar.

⁹ De NZa heeft ten behoeve van deze evaluatie in de tweede helft van 2022 gegevens aan SiRM geleverd over de netto uitgaven aan intramurale en de bruto uitgaven aan extramurale dure geneesmiddelen. Op basis van de gerapporteerde vertrouwelijke kortingen in brieven aan de Tweede Kamer maakten we vervolgens een inschatting van de netto uitgaven aan extramurale geneesmiddelen.

Bijlage 2 bevat aanvullende grafieken en analyses voor alle in dit hoofdstuk aangehaalde kwantitatieve analyses over de ontwikkeling van betaalbaarheid en toegankelijkheid van dure geneesmiddelen. We verwijzen daar in de tekst niet steeds specifiek naar.

Onder de definitie van intramurale dure geneesmiddelen vallen alle add-ongeneesmiddelen en ozp-stollingsfactoren.¹⁰ Voor de extramurale dure geneesmiddelen sluiten we aan bij de definitie van de NZa: alle middelen waarvan in het meest actuele jaar de totale vergoeding hoger dan €1 miljoen is en de gemiddelde vergoeding per gebruiker hoger is dan €1.000. Daarnaast maken we onderscheid naar wees- en niet-weesgeneesmiddelen.¹¹ Meer dan de helft van de bruto¹² uitgaven aan dure geneesmiddelen is aan intramurale, niet-weesgeneesmiddelen (Figuur 3). Hieronder vallen bijvoorbeeld veelgebruikte middelen in de oncologie als pembrolizumab en nivolumab. Weesgeneesmiddelen zijn gezamenlijk goed voor circa 24% van de bruto uitgaven (18% intramuraal en 6% extramuraal). De uitgaven aan extramurale niet-weesgeneesmiddelen vormen een kwart van de bruto uitgaven. Intramurale geneesmiddelen (wees- en niet-weesgeneesmiddelen samen) vormen samen 70% van de bruto uitgaven.

Verdeling bruto uitgaven aan dure geneesmiddelen in 2020
[als % van totaal en in € mln., 100% = €3,8 mld.]



Figuur 3. Meer dan de helft van de bruto uitgaven aan dure geneesmiddelen is aan intramurale, niet-weesgeneesmiddelen. Bron: NZa en Monitor weesgeneesmiddelen 2022 van ZiN.

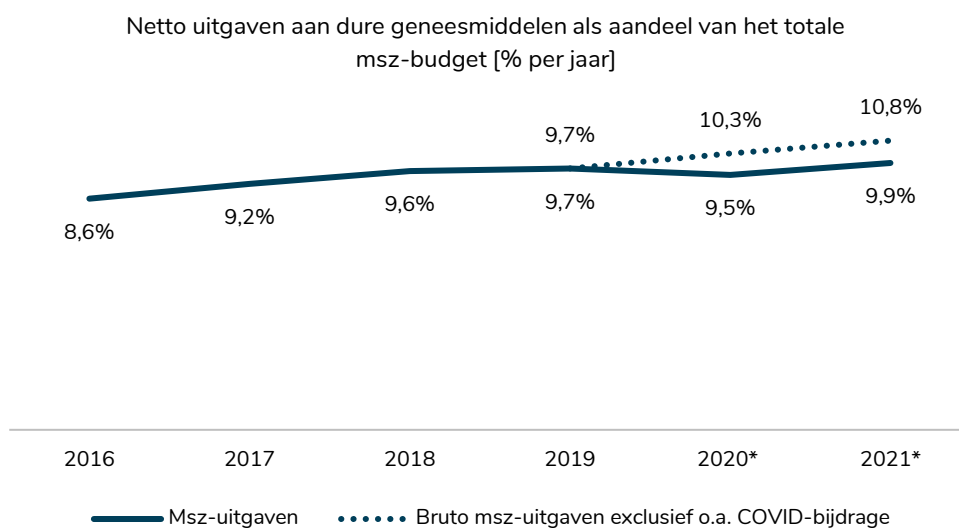
De netto uitgaven aan dure intramurale geneesmiddelen zijn gestegen van €1,9 miljard in 2016 naar €2,6 miljard in 2021. Dit is een gemiddelde jaarlijkse stijging van 7%. Deze stijging is meer dan twee keer zo groot dan de gemiddelde jaarlijkse stijging van de netto uitgaven aan dure extramurale geneesmiddelen. De stijging van de uitgaven aan intramurale geneesmiddelen is ook groter dan de stijging van het budget voor de totale medisch-specialistische zorg (msz). De

¹⁰ Als elders in het rapport de term add-ons wordt gebruikt, bedoelen we hiermee beide groepen geneesmiddelen.

¹¹ Weesgeneesmiddelen zijn geneesmiddelen voor zeldzame, vaak ernstige ziekten. Dit maakt patiëntengroepen vaak dusdanig klein dat de kosten die farmaceutische bedrijven maken voor ontwikkeling en in de handel brengen van een geneesmiddel niet altijd worden gedekt uit de verkoop van dat middel. Zie https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education_AboutOrphanDrugs.php?lng=EN

¹² Omdat de vertrouwelijke kortingen niet per middel bekend zijn is het niet mogelijk om bij het onderscheid naar wees- en niet-weesgeneesmiddelen de netto uitgaven weer te geven.

uitgaven aan intramurale geneesmiddelen beslaan daardoor een steeds groter deel van het gehele msz-budget (Figuur 4).



Figuur 4. De uitgaven aan intramurale dure geneesmiddelen beslaan een steeds groter deel van het gehele msz-budget. *Voor 2020 en 2021 geven we vanwege de impact van COVID-19 ook het aandeel van netto uitgaven ten opzichte van de bruto totale uitgaven (exclusief COVID-bijdrage, betalingen van zorgverleners aan zorgverzekeraars op basis van contractafspraken en betalingen van fabrikanten/leveranciers aan zorgverzekeraars op grond van kortingsafspraken) weer. Bron: NZa.

Er zijn verschillende redenen voor de stijging van de uitgaven. Het aantal unieke patiënten dat geneesmiddelen gebruikt is toegenomen door onder andere de toename van farmacologische behandelopties en door toenemende incidentie en prevalentie van sommige aandoeningen waar dure geneesmiddelen een rol spelen, met name binnen de oncologie. Specifiek voor intramurale dure geneesmiddelen¹³ steeg tussen 2017 en 2021 het aantal unieke patiënten van 255 duizend naar 352 duizend (+38%), zie Figuur 14 in Bijlage 2. In diezelfde periode zijn de gemiddelde uitgaven per unieke patiënt per jaar overigens met bijna 10% afgenomen van circa €8.000 naar circa €7.400. Deze daling is vooral het gevolg van prijsdalingen van geneesmiddelen waar patentverloop tot concurrentie heeft geleid (zoals bij TNF- α -remmers en lenalidomide¹⁴). De uitgavendaling per patiënt betreft een netto effect, want er zijn tegelijkertijd nieuwe geneesmiddelen voor kleine groepen patiënten geïntroduceerd met zeer hoge prijzen per patiënt (zoals ATMP's¹⁵).

Bovenstaande cijfers geven een beeld van de ontwikkelingen van de uitgaven aan dure geneesmiddelen. Op basis van deze cijfers alleen is het niet mogelijk om vast te stellen wat het effect van de geneesmiddelenvisie hierop was. Het geeft een beeld van wat er is gebeurd maar niet of de doelen van de geneesmiddelenvisie wel of niet behaald zijn, of wat de bijdrage van specifieke beleidsmaatregelen hieraan waren (zie ook Hoofdstuk 1 en voor een reflectie hierop Hoofdstuk 4).

¹³ Het was niet mogelijk om dezelfde analyse uit te voeren voor de dure extramurale geneesmiddelen, omdat we hier niet over het aantal unieke patiënten beschikten.

¹⁴ <https://www.eur.nl/eshpm/nieuws/nu-het-octrooi-verlopen-dit-kankermedicijn-plots-99-procent-goedkoper>.

¹⁵ Geneesmiddelen gebaseerd op gen-, cel- en/of weefseltechnieken. Zie <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview>

Op basis van interviews en kwalitatief deskresearch concluderen we in dit hoofdstuk dat er door het dure-geneesmiddelenbeleid in de afgelopen jaar meer gezamenlijke grip is gekomen, maar nog weinig controle. Dit lichten we nader toe in de volgende paragrafen.

2.1 Overheids- en veldpartijen zijn meer gelijkgericht aan geneesmiddelenbeleid gaan werken

We concluderen dat overheids- en veldpartijen sinds de geneesmiddelenvisie meer gelijkgericht aan het geneesmiddelenbeleid zijn gaan werken. Zo heeft VWS na het uitkomen van de visie het Landelijk Overleg Dure Geneesmiddelen (LODG) geïnitieerd. Sindsdien zit VWS dit overleg voor. In het LODG werken overheids- en veldpartijen samen aan geneesmiddelenbeleid en de invulling hiervan. Onder overheidspartijen verstaan we VWS, de Nederlandse Zorgautoriteit (NZa) en het Zorginstituut (ZiN). Onder veldpartijen verstaan we de koepels van zorgverzekeraars, zorgaanbieders, medisch professionals en patiënten. Dankzij VWS verloopt het overleg tussen deze partijen meer gestructureerd. Ook bij de uitwerking van de afspraken over het (dure-)geneesmiddelenbeleid uit het IZA speelt het LODG een belangrijke rol.

De visie heeft ertoe geleid dat veld- en overheidspartijen een grotere gedeelde verantwoordelijkheid voelen voor het geneesmiddelenbeleid. Het vraagstuk over de betaalbaarheid van dure geneesmiddelen heeft bij deze partijen een prominenter plek op de agenda gekregen dan voor de visie, naast dat zij zich ook verantwoordelijk voelen voor de kwaliteit en toegankelijkheid van dure geneesmiddelen. Dit uitte zich ook op de gezamenlijke doelstellingen via het Integraal Pakket Aan Maatregelen (IPAM).¹⁶ Een voorbeeld is gepast gebruik van dure geneesmiddelen. Dit is door alle partijen omarmd als middel om de kwaliteit en betaalbaarheid te vergroten.

2.2 Het inzicht van de overheid en veldpartijen is verbeterd

2.2.1 De informatiepositie van de overheid en veldpartijen is verbeterd

Sinds de publicatie van de geneesmiddelenvisie is de informatiepositie van overheids- en veldpartijen verbeterd. Hierbij gaat het om informatie binnen verschillende domeinen waarbij VWS de verzameling ervan verzocht en/of gefaciliteerd heeft:

- De **Horizonscan geneesmiddelen** biedt inzicht in welke geneesmiddelen in ontwikkeling zijn en mogelijk op de markt komen. Sinds 2017 is ZiN de beheerder van de Horizonscan nadat VWS hier eerder het initiatief toe genomen had.
- De **GIPdatabank** bevat nu ook data over het gebruik van dure geneesmiddelen. VWS had ZiN hiervoor verzocht om add-ongeneesmiddelen toe te voegen aan deze informatiebank.
- Het CIBG is (in 2018) gestart met een **add-on-databank** die de indicatie van add-ongeneesmiddelen registreert.

¹⁶ Het oorspronkelijk IPAM is nagenoeg gelijktijdig met de geneesmiddelenvisie vastgesteld en gepubliceerd (december 2015). In 2019 is het IPAM vervolgens uitgebreid als onderdeel van het Bestuurlijk akkoord medisch-specialistische zorg 2019–2022, zie <https://zoek.officielebekendmakingen.nl/kst-29477-602.html>.

- De NZa publiceert jaarlijks de **monitor medisch specialistische zorg** met daarin ook een hoofdstuk over dure geneesmiddelen. Specifieke subanalyses, zoals uitsplitsingen van uitgaven naar jaar van introductie of orgaansystemen, wisselen per jaar.
- Een meer specifieke publicatie is de jaarlijkse **monitor weesgeneesmiddelen in de praktijk** van ZiN. Deze monitor beschrijft de ontwikkelingen in uitgaven en gebruikers van weesgeneesmiddelen en de voortgang van financiële arrangementen voor deze geneesmiddelen.
- Daarnaast publiceert ZiN over welke geneesmiddelen er in een **voorwaardelijke toelatingsprocedure** zitten en hoe deze procedures verlopen. Hiervoor evalueert ZiN deze procedure. De eerste evaluatie is in april 2022 gepubliceerd, de volgende vindt dit jaar plaats.
- Tot slot heeft VWS de **internationale samenwerking** op de informatiepositie over geneesmiddelen geïntensiveerd. Dit heeft geleid tot meer en betere kennis- en informatie-uitwisseling tussen de samenwerkende landen. Voorbeelden hiervan zijn uitwisseling van informatie over kosteneffectiviteitsbeoordelingen in **EUnetHTA** en van ervaringen rondom prijsonderhandelingen in **BeNeLuxA**.

2.2.2 De overheid en veldpartijen hebben meer kennis opgedaan over welk beleid werkt

In de geneesmiddelenvisie is een groot aantal beleidsmaatregelen aangekondigd die in de jaren na 2016 zijn uitgevoerd (zie Bijlage 3). Deze maatregelen richtten zich op verschillende doelen die in de visie benoemd zijn zoals 'het aanpakken van ongewenste hoge prijzen', 'het bevorderen van gepast gebruik' en het 'aanbrengen van een balans in de farmaceutische marktstructuur'. Sinds het uitkomen van de geneesmiddelenvisie is de aandacht voor en focus op bepaalde maatregelen verlegd door voortschrijdend inzicht.

Een deel van de ambitie en de beleidsmaatregelen die in de geneesmiddelenvisie stonden bleken na nader onderzoek of verkenning van een concrete invulling niet haalbaar of hadden niet het gewenste effect. Het gaat onder andere over de ambitie om alternatieve businessmodellen te stimuleren¹⁷ (zie §2.5). Een deel van de maatregelen die zich richtten op het 'aanpakken van ongewenste prijzen' bleken in de praktijk weinig effectief of lastig te realiseren. Het gaat bijvoorbeeld om het stimuleren van de industrie om transparant te zijn over de opbouw van prijzen. Dit bleek in de praktijk lastig te realiseren. In een brief aan de Tweede Kamer¹⁸ werd eind 2018 geconstateerd dat hier weinig voortgang is en dat farmaceutische bedrijven (in Nederland en in andere Europese landen) geen inzage in prijsopbouw willen en/of kunnen geven. Ook is de mogelijke inzet van dwanglicenties bij hoge prijzen van dure geneesmiddelen verkend door een onderzoekscommissie. Deze commissie kon door verschillen van mening binnen de commissie en om procedurele redenen niet tot een gezamenlijk rapport komen.¹⁹ De voorzitter van de commissie

¹⁷ Zie pagina 8 van de geneesmiddelenvisie: "Het huidige model waarin bedrijven door intellectuele eigendomsrechten en octrooibeschermt hun marktpositie innemen en waarbij de verdiensten hoog zijn, lijkt tegen zijn grenzen aan te lopen. Wij willen ruimte scheppen voor nieuwe ideeën, samenwerkingsverbanden en modellen om geneesmiddelen te ontwikkelen en tegen een maatschappelijk aanvaardbare prijs op de markt te brengen. We gaan hierover graag het gesprek aan met de farmaceutische industrie."

¹⁸ Kamerbrief van 20 december 2018 over '(de voortgang van) het geneesmiddelenbeleid'. Kamerstuk 29 477, nr. 532.

¹⁹ Kamerbrief van 2 juli 2020 over 'De inzet van dwanglicenties bij hoge prijzen van medicijnen' van het Ministerie van Economische Zaken en Klimaat (kenmerk GBI/20178586).

doet in een persoonlijke beschouwing²⁰ verschillende aanbevelingen en geeft aan dat het instrument naar zijn mening slechts in een zeer beperkt aantal gevallen ingezet kan worden.²¹

Sinds de komst van de geneesmiddelenvisie is door bovenstaande ervaringen door VWS en andere partijen steeds meer geleerd over welke beleidsmaatregelen wel en niet zo goed werken als vooraf verwacht. De kennis bij VWS en andere partijen over effectieve opties voor beleidsmaatregelen op het gebied van dure geneesmiddelen is daarmee vergroot.

2.3 VWS heeft lagere prijzen bedongen met onderhandelingen, die wel impact hadden op de toegankelijkheid

VWS onderhandelt op zowel nationaal als internationaal niveau over de prijzen van een deel van de geneesmiddelen als deze naar verwachting een grote budgetimpact hebben (§2.3.1).

Daarnaast onderhandelen ook ziekenhuizen en zorgverzekeraars over de prijs van sommige andere dure geneesmiddelen. Het aantal onderhandelingen door veldpartijen is toegenomen door de publicatie van de leidraad gezamenlijke inkoop geneesmiddelen die de Autoriteit Consument en Markt (ACM) op verzoek van VWS in 2020 heeft opgesteld. De besparingen die ziekenhuizen en verzekeraars daarmee realiseren nemen ook toe. Dit beschrijven we verder in Bijlage 2.

De zogenaamde sluisonderhandelingen van VWS leiden tot kortingen maar ook tot een vertraging in de snelheid waarmee geneesmiddelen in Nederland toegankelijk zijn voor patiënten (§2.3.2).

Er zijn door de komst van de sluis (meer) verschillende instroomroutes ontstaan waarin de mate van gevraagde bewijslast verschilt, wat kan leiden tot verschillen in toegankelijkheid (§2.3.3).

2.3.1 De door VWS onderhandelde korting op uitgaven aan dure geneesmiddelen is van €143 miljoen in 2017 toegenomen tot €641 miljoen in 2020

In 2015 heeft VWS voor het eerst 'de sluis' als instrument voor prijsonderhandelingen ingezet. Sinds de geneesmiddelenvisie heeft VWS steeds vaker gebruik gemaakt van de sluis. Een nieuw geneesmiddel met naar verwachting hoge kosten wordt met dit instrument tijdelijk uit het basispakket gehouden (en daarmee niet vergoed) en in de sluis geplaatst. In die periode beoordeelt ZIN²² het geneesmiddel en geeft een advies aan de minister van VWS over opname in het basispakket (en voor welke patiëntengroep(en)) en of onderhandelingen met de fabrikant nodig zijn. Het Bureau Financiële Arrangementen (BFAG) van VWS voert deze onderhandelingen. Uiteindelijk besluit de minister op basis van de onderhandelingen om wel of niet een financieel arrangement af te sluiten. In dat arrangement staan meerjarige afspraken over de prijs en gepast gebruik van het geneesmiddel.

²⁰ Zie A. de Jong, 16 juni 2022: Persoonlijke beschouwing over de inzet van de dwanglicenties bij hoge prijzen van medicijnen. ABDTOPconsult.

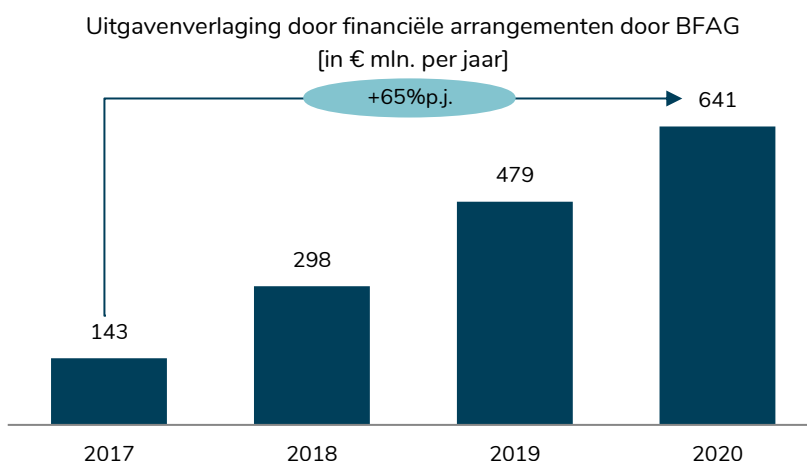
²¹ Dit gaat dan om specifieke gevallen waarbij (i) het geneesmiddelen betreft waarvoor de onderhandelingen in de sluis zijn vastgelopen, (ii) er wordt voldaan aan criteria van het afwegingskader die worden toegelicht in de beschouwing, en (iii) de verwachte voordelen groter zijn dan de verwachte kosten voor de compensatie van de dwanglicentie en de verwachte negatieve impact op het investerings- en innovatieklimaat en op de lange-termijn toegankelijkheid van (andere) geneesmiddelen.

²² ZIN wordt daarbij geadviseerd door haar eigen Wetenschappelijke Adviesraad (WAR) op het gebied van (kosten-) effectiviteit en haar Adviescommissie Pakket (ACP) over de maatschappelijke afweging (o.a. belangen van patiënten en premiebetalers).

VWS plaatst nieuwe geneesmiddelen of indicatie-uitbreidingen van bestaande geneesmiddelen in de sluis als:

- Óf de (verwachte) uitgaven aan een geneesmiddel voor de behandeling van een of meerdere nieuwe indicaties in heel Nederland meer dan €40 miljoen per jaar zijn (per 1 juli 2023 wordt dit verlaagd naar meer dan €20 miljoen).
- Óf de (verwachte) uitgaven aan een geneesmiddel voor een nieuwe indicatie per patiënt jaarlijks meer dan €50.000 zijn en landelijk in totaal meer dan €10 miljoen per jaar (ongewijzigd per 1 juli 2023).

De door VWS onderhandelde korting via deze financiële arrangementen is opgelopen van €143 miljoen in 2017 naar €641 miljoen in 2020 (zie Figuur 5). Daarmee heeft de sluis bijgedragen aan de betaalbaarheid en wordt door vrijwel alle geïnterviewden als een nuttig instrument gezien. De onderhandelde korting bestaat uit een openbare korting (korting ten opzichte van de 'lijstprijs') en een vertrouwelijke korting (de korting ten opzichte van de prijs na openbare korting, deze is niet terug te leiden tot individuele geneesmiddelen).²³ De verhouding tussen openbare en vertrouwelijke korting was in deze jaren ongeveer gelijk: 40% om 60%.



Figuur 5. De totale uitgavenverlaging door onderhandelingen van het BFAG nam toe van €143 miljoen in 2017 naar €641 miljoen in 2020. Bron: Kamerbrieven. De gebruikte bedragen zijn inclusief btw.

De toename in de onderhandelde korting komt door twee factoren:

- Een toename van het aantal lopende financiële arrangementen van 25 in 2017 naar 31 in 2020 (en 39 in 2021). Het betreft vooral intramurale geneesmiddelen (circa 70%).
- Een toename van het gemiddelde lopende kortingspercentage. In 2017 was dit 29%, terwijl het in 2020 opliep naar 45%. Het is hierbij lastig om te beoordelen in hoeverre dit het gevolg is van succesvollere onderhandelingen door het BFAG of van anticiperend gedrag van farmaceutische bedrijven die vooruitlopend op verwachte onderhandelingen de initiële vraagprijs verhogen (of een combinatie van beiden).

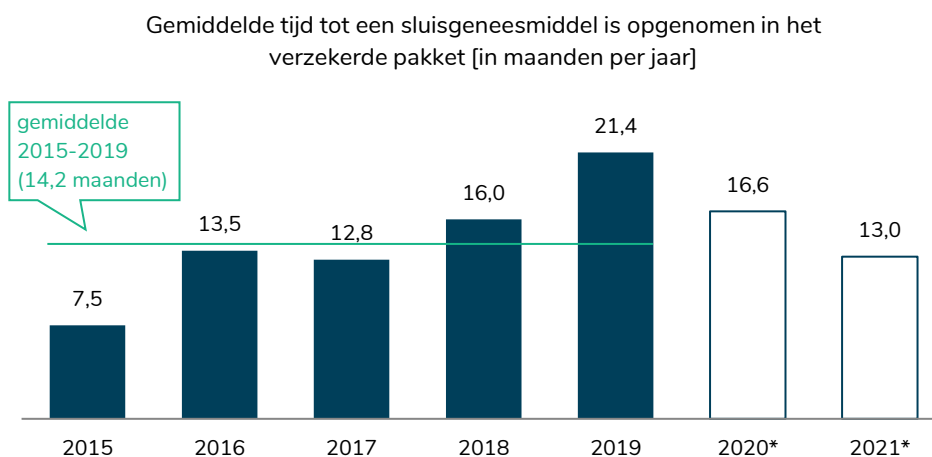
Naast onderhandelingen op nationaal niveau heeft VWS ook ingezet op onderhandelingen in Europees verband via BeNeLuxA. Dit is een samenwerkingsverband met België, Luxemburg,

²³ Hierdoor is het ook onbekend in hoeverre de uiteindelijk prijs voor de geneesmiddelen waarover onderhandeld is ook de prijs is waarvoor het middel kosteneffectief is. Zie ook het rapport van de Rekenkamer van 23 april 2020: 'Paardenmiddel of noodverband? Resultaten prijsonderhandelingen geneesmiddelen.

Oostenrijk en Ierland rond onderwerpen op het gebied van dure geneesmiddelen variërend van het opzetten van een internationale Horizonscan tot gemeenschappelijke beoordeling van (kosten)-effectiviteit ('health technology assessments'). Daarnaast werken de landen samen op het gebied van prijsonderhandelingen door informatie uit te wisselen of gezamenlijke onderhandelingen te voeren. Dit laatste is in de praktijk complex omdat zorgsystemen per land sterk verschillen en daarmee de criteria en regels op gebied van vergoeding ook. VWS heeft in BeNeLuxA-verband de afgelopen jaren twee onderhandelingen afgerond en drie gezamenlijke beoordelingen uitgevoerd.

2.3.2 Prijsonderhandelingen hebben tot een vertraging in de toegang tot nieuwe geneesmiddelen geleid

Het inzetten op betaalbaarheid door prijsonderhandelingen heeft effect op toegankelijkheid. Het plaatsen van geneesmiddelen in de sluis leidt tot latere toegankelijkheid van geneesmiddelen.²⁴ Zolang een geneesmiddel in de sluis zit is dit immers niet vergoed beschikbaar voor patiënten.²⁵ De doorlooptijd varieert tussen geneesmiddelen, maar bedroeg tussen 2015 en 2019 gemiddeld iets meer dan een jaar (Figuur 6).



Figuur 6. De doorlooptijd van moment van plaatsing in de sluis tot moment van vergoeding is tussen 2015 en 2021 vrijwel altijd langer dan een jaar. *De jaren 2020 en 2021 zijn niet ingekleurd gezien het een onderschatting betreft omdat er nog onderhandeld wordt over een deel van de middelen die vanaf 2020 in de sluis zijn geplaatst. Bron: Kamerbrief over stand van zaken verzekerde toegang voor patiënten tot nieuwe geneesmiddelen (doorlooptijden), 8 maart 2023.

De totale doorlooptijd in de sluis wordt bepaald door de tijd die nodig is voor achtereenvolgens:

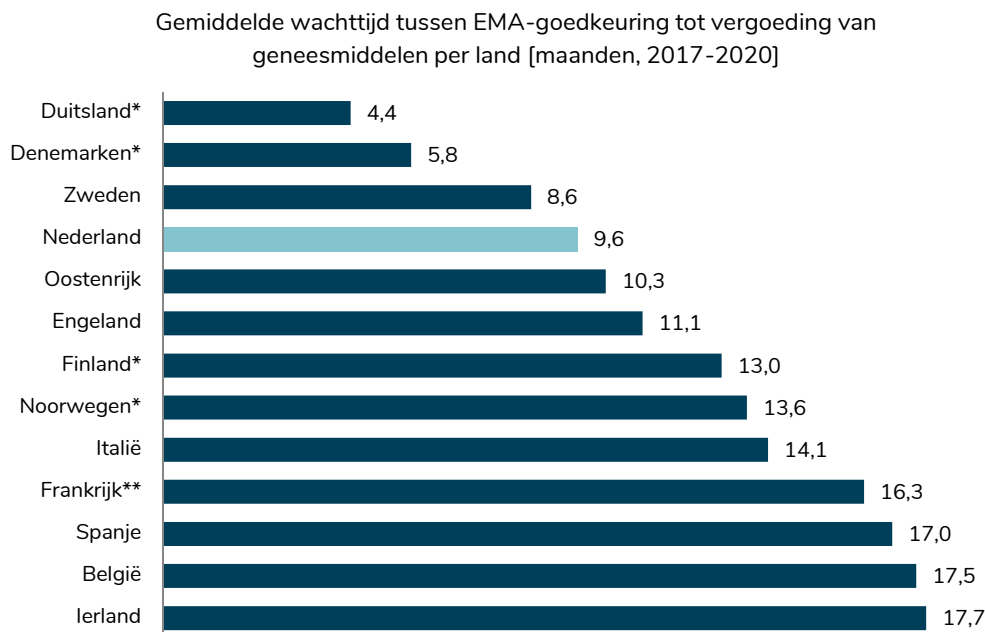
- 1 Het aanleveren van het dossier door de fabrikant bij ZiN.
- 2 Het beoordelen van dat dossier door ZiN.
- 3 Het onderhandelen over de geneesmiddelprijs door het BFAG met de fabrikant.

De onderhandelingen vormen in de meeste jaren de stap die het langste duurt, gevolgd door de beoordeling door ZiN.

²⁴ In vergelijking met intramurale geneesmiddelen die niet via de sluis instromen – zie bijvoorbeeld ook een vergelijking van HollandBIO: Vergoeding intramurale geneesmiddelen: van-EMA registratie tot add-on.

²⁵ De fabrikant kan tijdens deze periode het geneesmiddel 'om niet' beschikbaar stellen aan patiënten. De kosten van het beschikbaar stellen voor fabrikanten kunnen mogelijk weer worden meegewogen bij de prijsonderhandelingen.

Op basis van gegevens van de EFPIA²⁶ blijkt dat tijdige toegankelijkheid in Nederland in vergelijking met veel andere voornamelijk West-Europese landen²⁷ bovengemiddeld is, maar er zijn ook landen waar dit beter is. Gemiddeld duurt het in Nederland bijna tien maanden vanaf EMA-goedkeuring tot een geneesmiddel vergoed wordt (Figuur 7). Daarnaast staat Nederland voor het aandeel beschikbare geneesmiddelen tussen 2017 en 2020 met 70% op de 6^e plek van diezelfde groep landen.²⁸ Voor specifieke geneesmiddelen (zoals oncologische weesgeneesmiddelen) is dat aandeel en de positie van Nederland enkele plaatsen lager.



Figuur 7. Gemiddeld duurt het in Nederland bijna tien maanden vanaf EMA-goedkeuring tot een geneesmiddel vergoed wordt. *Enkele ontbrekende wachttijden. **Relatief groot aandeel ontbrekende wachttijden. Luxemburg en Zwitserland zijn niet opgenomen vanwege ontbrekende data.

2.3.3 Door de komst van de sluis zijn (meer) instroomroutes ontstaan met verschillende mate van gevraagde bewijslast, wat kan leiden tot verschillen in toegankelijkheid

Sinds begin jaren negentig van de vorige eeuw bestaat in Nederland het Geneesmiddelenvergoedingssysteem (GVS) voor extramurale geneesmiddelen, waarbij fabrikanten een van drie procedures²⁹ volgen om een middel voor het GVS aan te bieden. Intramurale geneesmiddelen stromen automatisch in het basispakket in wanneer zij voldoen aan de stand van wetenschap en praktijk.

Sinds het publiceren van de geneesmiddelenvisie zijn er afhankelijk van de prijs en het aantal (verwachte) gebruikers van het geneesmiddel twee instroomroutes bij gekomen:

²⁶ De Patients W.A.I.T. Indicator survey van de European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA).

²⁷ We hebben hierbij een selectie gemaakt van West-Europese landen uit een totaal van 39 landen (waaronder ook bijvoorbeeld Turkije, Albanië en Kazachstan).

²⁸ Zie het onderdeel 'Internationale vergelijking toegankelijkheid' in Bijlage 2 voor een uitgebreidere bespreking van toegankelijkheid en hoe dit percentage een onder- en overschatting kan zijn.

²⁹ Het gaat om de verkorte procedure, de marginale toetsing en de volledige procedure. Zie <https://www.farmatec.nl/prijsvorming/geneesmiddelenvergoedingssysteem/aanvraag-gvs>

- VWS plaatst intramurale geneesmiddelen die voldoen aan de sluiscriteria (zie §2.3.1) in de sluis. Ook voor extramurale geneesmiddelen kan VWS overigens een financieel arrangement afspreken, maar omdat het GVS een gesloten systeem betreft wordt er daarbij niet gesproken van de sluis.
- De Commissie Beoordeling Add-on Geneesmiddelen (CieBAG) van Zorgverzekeraars Nederland (ZN) beoordeelt intramurale geneesmiddelen waarvoor een add-on-status moet worden aangevraagd, waarbij het belangrijkste criterium is dat de kosten €1.000 of meer per patiënt per jaar zijn.

Het beoordelen van de (kosten-)effectiviteit door ZiN en/of de CieBAG vormt een belangrijk onderdeel in deze instroomroutes. Dit blijkt in de praktijk steeds lastiger omdat er meer nieuwe geneesmiddelen voor zeer kleine patiëntgroepen ontwikkeld worden. Dit maakt grootschalige studies die de effectiviteit met hoge bewijslast aantonen vaak niet goed uitvoerbaar. Om de toegankelijkheid van deze geneesmiddelen te vergroten worden afspraken over tijdelijke toelating gemaakt. Hierbij worden geneesmiddelen aan patiënten verstrekt en ook voorlopig vergoed terwijl er meer data wordt verzameld over de effectiviteit en bijwerkingen. Op basis van deze resultaten stroomt het geneesmiddel vervolgens al dan niet het basispakket in. De afspraken/procedures verschillen:

- Voor weesgeneesmiddelen en geneesmiddelen die de status conditionals³⁰ of exceptionals³¹ van het Europees Geneesmiddelen Agentschap (EMA) hebben ontvangen, hebben VWS en ZiN in 2019 de procedure voor voorwaardelijke toelating opgericht.³² Hierbij wordt nog steeds onderhandeld tussen VWS en fabrikanten over prijsafspraken voor deze middelen.³³
- Voor oncologische middelen en voor weesgeneesmiddelen die beoordeeld worden door de CieBAG maakten veldpartijen, ZiN, zorgverzekeraars, fabrikanten en patiëntenorganisaties afspraken over tijdelijke toelating in respectievelijk het Drug Access Protocol (DAP)³⁴ en het Orphan Drug Access Protocol (ODAP).³⁵ Overigens kunnen geneesmiddelen die door de beroepsgroep als veelbelovend zijn aangemerkt, maar door de CieBAG negatief beoordeeld zijn vanwege gebrek aan bewijs, ook alsnog door de registratiehouder bij ZiN worden aangemeld voor de voorwaardelijke toelating.

De verschillende instroomroutes van geneesmiddelen leiden tot een verschil in (de snelheid van) toegankelijkheid. Een deel van de farmaceutische industrie vindt bijvoorbeeld de route van voorwaardelijke toelating vanuit commercieel oogpunt op dit moment niet interessant.³⁶ Hierdoor bestaat de kans dat bepaalde dure geneesmiddelen in Nederland niet op de markt komen. Daarnaast bestaan er verschillen tussen de eisen die het programma voorwaardelijke toelating,

³⁰ Geneesmiddelen die met voorwaarden tot de markt zijn toegelaten door de EMA. Zie voor een nadere toelichting: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/marketing-authorisation/conditional-marketing-authorisation>.

³¹ Geneesmiddelen die onder bijzondere omstandigheden tot de markt zijn toegelaten door de EMA. Zie voor een nadere toelichting: <https://www.ema.europa.eu/en/glossary/exceptional-circumstances>.

³² Tussen 2019 en 2021 is voor vier geneesmiddelen een voorwaardelijk toelatingstraject gestart.

³³ Bijvoorbeeld voor de geneesmiddelen ataluren (merknaam Translarna) en recombinant hPTH 1-84 (merknaam Natpar). Zie: <https://www.rijksoverheid.nl/actueel/nieuws/2021/10/29/drie-geneesmiddelen-tegen-zeldzame-aandoeningen-in-het-basispakket>.

³⁴ <https://www.nvmo.org/dap/>

³⁵ <https://medicijnvoordemaatschappij.nl/odap-orphan-drug-access-protocol/>

³⁶ Zorginstituut Nederland (2022), Evaluatierapport Procedure voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals.

DAP en ODAP stellen. Zo moeten fabrikanten bij het voorwaardelijke toelatingstraject van ZiN, in tegenstelling tot de procedure via (O)DAP, gedurende het voorwaardelijke toelatingstraject op eigen kosten onderzoek doen naar de effectiviteit en doelmatige inzet. Hiervoor moeten ze een onderzoeksopzet indienen bij ZiN.

2.4 Overheids- en veldpartijen hebben meer ingezet op gepast gebruik, al gebeurde dit nog niet systematisch

Gepast gebruik betekent het bieden van zorg die meerwaarde heeft voor patiënten en het niet bieden van zorg die geen meerwaarde heeft.³⁷ Voor geneesmiddelen betekent dit het alleen verstrekken van geneesmiddelen aan patiënten die daar naar verwachting baat bij hebben, niet hoger gedoseerd en niet langer dan nodig en op een optimaal moment in de behandeling. Gepast gebruik draagt op die manier bij aan de kwaliteit van zorg door onnodige en mogelijk schadelijke onder- of overbehandeling te voorkomen. Daarnaast draagt het bij aan betaalbaarheid door het beperken van de uitgaven aan geneesmiddelen. Een onderdeel van gepast gebruik is ook het voorkomen van onnodig duur geneesmiddelengebruik als er vergelijkbare goedkopere alternatieven op de markt aanwezig zijn. Hierbij is het gebruik van biosimilars van belang. Biosimilars zijn vergelijkbare alternatieven voor een biologisch geneesmiddel die op de markt kunnen komen na het verlopen van het patent van het originele geneesmiddel.

De afgelopen jaren hebben overheids- en veldpartijen meer ingezet op het bevorderen van gepast gebruik van geneesmiddelen, waaronder biosimilars. Het gaat om acties die gericht zijn op gepast gebruik bij de marktintroductie van een geneesmiddel (§2.4.1) en acties nadat het geneesmiddel al op de markt is (§2.4.2). VWS stimuleerde daarnaast het gebruik van biosimilars via het Biosimilars op Maat-programma (§2.4.3).

2.4.1 Wetenschappelijke verenigingen in de cieBOM hebben een sterkere rol ingenomen bij beoordeling en plaatsbepaling bij marktintroductie van nieuwe geneesmiddelen

Wanneer nieuwe geneesmiddelen op de markt komen, is beoordeling en bepaling van de plaats in behandelingen nodig. Overheid en veldpartijen zien dit in toenemende mate als belangrijk moment om direct afspraken te maken over gepast gebruik van die middelen, maar slagen hier nog niet altijd in.

Van oudsher ging beoordeling van geneesmiddelen door de EMA en het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG) over de werkzaamheid en de veiligheid en was plaatsbepaling een afzonderlijk proces door wetenschappelijke verenigingen. De rol van de Commissie ter Beoordeling van Oncologische Middelen (cieBOM) – een orgaan waarin de NVMO en NVALT³⁸ samenwerken – in beoordeling en plaatsbepaling bij introductie is de afgelopen jaren gegroeid. Met de cieBOM willen de NVMO en NVALT de waarde van nieuwe oncologische geneesmiddelen landelijk beoordelen om zo tot goede afstemming over toepassing ervan te komen.³⁹ De cieBOM beoordeelt geneesmiddelen aan de hand van zelf ontwikkelde criteria per behandelsetting en/of

³⁷ Zie ook <https://www.igj.nl/publicaties/brieven/2021/05/19/igj-advies-gepast-gebruik>.

³⁸ Respectievelijk de wetenschappelijke verenigingen voor medische oncologie en longziekten/tuberculose.

³⁹ <https://www.nvmo.org/over-de-adviezen/>

type bewijslast. Geneesmiddelkosten zijn vaak ook een van de criteria. Zo bespreekt de cieBOM in een advies van september 2022 over drie geneesmiddelen bij patiënten met niet-gemetastaseerd castratieresistent prostaatacarcinoom onder meer effectiviteit, bijwerkingen en financiële impact.⁴⁰

Veel geïnterviewden zien het functioneren van de cieBOM als voorbeeld voor andere therapeutische gebieden, waar dit nog minder of niet gebeurt. Op dit moment wordt de cieBOM door leden van de deelnemende verenigingen gefinancierd zonder rol van VWS. In mei 2022 kondigde VWS aan een initiatief van de Federatie Medisch specialisten te gaan ondersteunen waarbij wetenschappelijke verenigingen verder professionaliseren om plaatsbepaling van dure geneesmiddelen voor alle therapeutische gebieden te versnellen.⁴¹

2.4.2 Gepast-gebruikonderzoek voor bestaande geneesmiddelen wordt vaker succesvol uitgevoerd, al is het onderzoek ernaar en de implementatie ervan nog niet systematisch

VWS stimuleert onderzoek naar gepast gebruik van dure geneesmiddelen op meerdere manieren. Dit gebeurt echt nog niet systematisch en implementatie van uitkomsten blijft een uitdaging. De langst lopende manier van stimulering is via het programma Goed Gebruik Geneesmiddelen (GGG) van ZonMw, waar VWS direct opdrachtgever van is. Het budget van GGG steeg van €3,3 miljoen in 2012 naar een piek van €22,1 miljoen in 2021. Een veelbesproken gepast-gebruikstudie die door GGG gefinancierd is, is de SONIA-studie: een onderzoek naar doelmatige inzet van een nieuwe groep geneesmiddelen bij patiënten met uitgezaaide, hormoongevoelige borstkanker.⁴²

‘Goed gebruik’ is een breed begrip, en het programma GGG gaat naast gepast gebruik ook expliciet over kwalitatief betere en veiligere farmacotherapeutische zorg. Onderzoek naar gepast gebruik binnen GGG is daardoor sterk afhankelijk van de projecten die inschrijvers indienen bij de subsidierondes. Ook is er geen gezamenlijk, gestructureerde onderzoeksagenda waar de meest prangende vragen op de kennisagenda’s van wetenschappelijke verenigingen prioriteit krijgen.

Uit de evaluatie van 10 jaar GGG uit 2022 blijkt dat het gehele programma minimaal 9.800 levensjaren in goede gezondheid heeft opgeleverd. De netto maatschappelijke opbrengsten zijn ingeschat op ruim €1 miljard, waarvan de ‘waarde’ van 9.800 levensjaren in goede gezondheid op €200 miljoen is geschat (als gemonetariseerde QALY’s).⁴³ Deze opbrengsten hebben wel betrekking op alle onderzoeken en kunnen niet alleen worden toegerekend aan het gepast-gebruikonderzoek.

Een tweede manier waarop VWS gepast-gebruikonderzoek en de toepassing van de resultaten stimuleert, is via het IPAM. Als onderdeel hiervan hebben FMS, NFU, NVZ, Patiëntenfederatie en ZN het programma Gepast Gebruik Dure Geneesmiddelen (GGDG) opgestart. GGDG begon met een inventarisatie⁴⁴ door SiRM en het Radboudumc. De inventarisatie leverde meer dan 90 gepast-gebruikinitiatieven op, maar bevestigde tegelijkertijd het beeld dat brede toepassing van

⁴⁰ <https://www.nvmo.org/bom/apalutamide-darolutamide-en-enzalutamide-bij-het-niet-gemetastaseerd-castratieresistent-prostaatacarcinoom/>

⁴¹ Kamerbrief verzekerde toegang van patiënten tot nieuwe geneesmiddelen 09 mei 2022 (Kamerstuk 29477 nr. 752).

⁴² <https://publicaties.zonmw.nl/goed-gebruik-geneesmiddelen-interviews/inclusie-sonia-studie-naar-uitgezaaide-hormoongevoelige-borstkanker-voltooid/>

⁴³ https://www.zonmw.nl/fileadmin/zonmw/documenten/Geneesmiddelen/Evaluatierapport_GGG_2012-2022.pdf

⁴⁴ <https://www.sirm.nl/publicaties/klim-op-schouders-van-reuzen-inventarisatie-van-gepast-gebruik-dure-geneesmiddelen-interventies>

gepast-gebruikonderzoek weerbarstig is. Dit komt doordat toepassing complex, tijdrovend en momenteel grotendeels vrijblijvend is. Wetenschappelijke verenigingen hebben een grote rol in het op waarde schatten en uitdragen van deze initiatieven rond gepast gebruik. Zij zijn echter vaak niet betrokken bij het onderzoek waardoor draagvlak en implementatie achterblijft.⁴⁵ Ook hebben ze vaak niet de slagkracht of de financiële middelen om dergelijke initiatieven gestructureerd en tijdig te beoordelen. Tot slot bestaat er discussie over het gewenste niveau van wetenschappelijk bewijs voor deze initiatieven. Om de slagkracht op dit onderwerp te vergroten, is de gestructureerde aanpak van gepast gebruik van dure geneesmiddelen onderdeel geworden van het programma Zorgevaluatie en Gepast Gebruik (ZE&GG).⁴⁶

2.4.3 VWS heeft het gebruik van biosimilars gestimuleerd via subsidiering van het Biosimilars op Maat-programma

VWS zette via het subsidiëren van het Biosimilars op Maat-programma van Biosimilars Nederland en het Instituut Verantwoord Medicijngebruik in op stimuleren van biosimilars. Het programma liep van 2018 tot en met 2021 en had als doel het stimuleren van het gebruik van biosimilars door bewustzijn van en acceptatie onder zorgverleners te vergroten. De prijs van biosimilars is veelal veel lager dan van het originele geneesmiddel, waardoor concurrentie toeneemt en de uitgaven aan dure geneesmiddelen dalen. Hiervoor is het noodzakelijk dat biosimilargebruik voor voorschrijvers en patiënten een reëel alternatief is zodat er daadwerkelijk concurrentie en daarmee prijsdruk ontstaat.⁴⁷ De prijsconcurrentie die optreedt bij het op de markt komen van biosimilars, is de belangrijkste oorzaak van de afname van de gemiddelde uitgaven aan intramurale geneesmiddelen per unieke patiënt (zie inleiding van dit hoofdstuk).

2.5 VWS heeft nauwelijks invloed gehad op welke middelen tegen welke vraagprijs op de markt kwamen

De geneesmiddelenvisie beschrijft in pijler 1 ambities op het gebied van nieuwe businessmodellen en innovatieve producten. De inzet was het stimuleren van een andere benadering van de ontwikkeling en het op de markt brengen van geneesmiddelen dan tot dan toe het geval was. Nederland moest een broedplaats worden voor nieuwe businessmodellen. Om dit te bereiken, is ingezet op het verbinden van voorwaarden op dat gebied aan de collectieve financiering van onderzoek en het bevorderen van alternatieve businessmodellen. De focus lag hierbij op ziekten of productgroepen waarvoor het huidige verdienmodel nu onvoldoende gunstig is.

Uit interviews en deskresearch blijkt dat deze ambitie te hoog gegrepen was en dat VWS nauwelijks invloed heeft gehad op het businessmodel van de farmaceutische industrie, en daarmee op welke middelen tegen welke vraagprijs op de markt kwamen. De invloed van VWS is

⁴⁵ https://demedischspecialist.nl/sites/default/files/2022-07/brief_resultaten_inventarisatie_gepast_gebruik_dure_geneesmiddelen.pdf

⁴⁶ Zie <https://zorgevaluatiegepastgebruik.nl/actueel/ze-gg-programma/programma-ze-gg-aan-de-slag-met-gepast-gebruik-dure-geneesmiddelen/index>. Sinds januari 2023 staan gepast-gebruikonderwerpen op de implementatieagenda van ZE&GG (<https://zorgevaluatiegepastgebruik.nl/aan-de-slag/implementatieagenda/>).

⁴⁷ De ACM constateerde in 2019 in een onderzoek naar de concurrentie door biosimilars bij TNF-alfaremmers dat brede inspanningen (van ziekenhuizen, zorgverzekeraars en de overheid) nodig is voor duurzame concurrentie. Zie ACM 2019: sectoronderzoek TNF-alfaremmers: concurrentie voor en na toetreding van biosimilars.

beperkt doordat Nederland internationaal gezien een relatief kleine markt voor geneesmiddelen is. In deze markt komt het grootste deel van de omzet uit de Verenigde Staten, gevolgd door de EU.⁴⁸ Binnen de EU is Nederland slechts een van de kleinere landen. Het beïnvloeden van ontwikkeling en prijsstelling van fabrikanten in een mondiale markt kan alleen door gezamenlijk op te trekken binnen de EU. Dit gezamenlijk optrekken vergt tijd om onder meer succesvolle en bestendige coalities te bouwen.

Het bouwen van succesvolle coalities start met een gezamenlijk inzicht en overeenstemming over de feiten. VWS heeft sinds het uitkomen van de visie hieraan bijgedragen door het gezamenlijke inzicht in het functioneren van de markt te versterken. Zo heeft VWS samen met het ministerie van Economische Zaken en Klimaat een onderzoek uitgezet naar de effecten van de bescherming van intellectueel eigendom van geneesmiddelen en financiering van geneesmiddelenontwikkeling.^{49, 50} Tijdens het Nederlandse EU-voorzitterschap in de eerste helft van 2016 heeft Nederland dit onderwerp ook op de politieke agenda geplaatst. Dit heeft er mede toe geleid dat vanuit de Europese Commissie meerdere onderzoeken zijn uitgevoerd naar de aanvullende beschermingsmechanismen voor intellectueel eigendom die EU-wetgeving biedt.⁵⁰ In 2020 is uiteindelijk ook de Europese weesgeneesmiddelenverordening geëvalueerd.

VWS benadrukt in haar reactie op de evaluatie van de Europese weesgeneesmiddelenverordening – samen met andere Europese landen – het belang om meer in gezamenlijkheid in te zetten op de gebieden waar de grootste ‘unmet medical need’ voor patiënten is, om daarmee meer invloed uit te oefenen op welke middelen op de markt komen.⁵¹ VWS neemt het initiatief om deze unmet medical needs in kaart te brengen. Zo heeft zij onderzoek uitgezet om in kaart te brengen voor welke aandoeningen met grote maatschappelijke impact er grote verschillen bestaan in het patroon van geneesmiddelenontwikkeling.⁵² Vergelijking met de aandoeningen waar de grootste behoefte aan nieuwe geneesmiddelen bestaat, brengt vervolgens de belangrijkste ‘unmet medical needs’ in kaart.

⁴⁸ SiRM, L.E.K. Consulting & RAND Europe, the financial ecosystem of pharmaceutical R&D: an evidence base to inform further dialogue, 2022. Zie bijvoorbeeld de case studies in Annex A van dit rapport.

⁴⁹ Brief van de minister van Medische Zorg en Sport aan de Tweede Kamer (2018) over de voortgang van het geneesmiddelenbeleid (kenmerk: 29 477, nr. 532).

⁵⁰ SiRM, L.E.K. Consulting & RAND Europe, the financial ecosystem of pharmaceutical R&D: an evidence base to inform further dialogue, 2022.

⁵¹ Dit blijkt onder meer uit de gezamenlijke feedback van Nederland en België op de ‘Inception Impact Assessment of Revision of the EU regulations on medicines for children and rare diseases’ en de gezamenlijke verklaring van meerdere EU-landen (waaronder Nederland) onder de naam van ‘Prescription4EU – Five remedies for a Pharmaceutical Strategy for Europe catering for national health systems and patients’ needs’.

⁵² SiRM, Opbrengsten huidige R&D-ecosysteem, 2023.

3 Meer controle over geneesmiddeleninzet mogelijk

Meer controle over de inzet van de dure geneesmiddelen dan nu is mogelijk. VWS kan zich in Europees verband als een kritischere klant opstellen door te kennen te geven aan welke geneesmiddelen de grootste behoefte is, wat ze bereid is hiervoor te betalen en tegen welke voorwaarden. Daarnaast kan VWS een systematisch proces inrichten waarmee beter geanticipeerd wordt op de komst van nieuwe dure geneesmiddelen en gepast gebruik van bestaande dure geneesmiddelen minder vrijblijvend wordt. Ten slotte kan VWS ervoor zorgen dat de noodzakelijke data-infrastructuur voor de evaluatie van effectiviteit in de praktijk, sneller tot stand komt.

Door het mondiale karakter van de geneesmiddelenmarkt is volledige controle over de ontwikkeling, prijsstelling en inzet van geneesmiddelen door de Nederlandse overheid niet mogelijk. In dit hoofdstuk beargumenteren we dat Nederland wel meer controle kan uitoefenen dan op dit moment het geval is.

Om ervoor te zorgen dat de aanbevelingen in dit hoofdstuk aan VWS ook daadwerkelijk leiden tot meer controle over geneesmiddeleninzet, is goede samenwerking met andere overheids- en veldpartijen voor de uitvoering ervan essentieel. Hierover hebben partijen ook al afspraken gemaakt in het hoofdstuk over dure geneesmiddelen in het Integraal Zorgakkoord (IZA).

3.1 VWS kan zich in samenspraak met Europa als een kritischere klant opstellen richting de farmaceutische industrie

VWS kan haar invloed vergroten op welke geneesmiddelen onder welke voorwaarden tegen welke prijs op de Nederlandse markt komen. Om dit bereiken kan VWS zich samen met Europese partners meer opstellen als een kritische klant. Hieronder verstaan we dat VWS duidelijk aangeeft wat de behoefte is en wat zij bereid is te betalen (§3.1.1), en welke voorwaarden, inclusief bewijslast, zij daarbij stelt (§3.1.2). Dit vindt bij voorkeur plaats in EU-verband zodat dit ook de farmaceutische industrie een stabiel en voorspelbaar langetermijnperspectief biedt. Voor patiënten en premiebetalers biedt dit een duidelijker beeld waarom bepaalde geneesmiddelen wel, niet of met zekere vertraging toegang krijgen.

3.1.1 Europese overheden kunnen beter aangeven aan welke middelen zij behoefte hebben en wat ze bereid zijn hiervoor te betalen

VWS kan in EU-verband beter aangeven welke geneesmiddelen ontwikkeld zouden moeten worden en wat zij bereid is voor welke geneesmiddelen te betalen. Het is van belang om daar vervolgens consequent aan vast te houden. De verwachte betalingsbereidheid van overheden en

zorgverzekeraars beïnvloedt namelijk op lange termijn in belangrijke mate het aanbod van nieuwe geneesmiddelen en de spreiding ervan over therapeutische gebieden.⁵³ Het is noodzakelijk om dit in EU-verband te doen vanwege de mondiale markt waarin geneesmiddelenontwikkeling plaatsvindt. Alleen in Europees verband zijn signalen over de verwachte betalingsbereidheid krachtig genoeg.

Het is hiervoor noodzakelijk om Europese samenwerking te continueren en intensiveren. Door het aantal betrokken landen is dit echter complex. Zo zijn er verschillen tussen landen qua zorgsystemen en beoordelingsprocedures voor het wel of niet toelaten en vergoeden van geneesmiddelen. Hiernaast spelen voor sommige landen andere (economische) belangen sterk mee, bijvoorbeeld rond kennisinfrastructuur of werkgelegenheid. In Europees verband heeft Nederland de afgelopen jaren onder meer ingezet op gezamenlijke onderhandelingen en beoordelingen in BeNeLuxA-verband (Tabel 1). Dit soort samenwerkingen leiden niet alleen tot openbare resultaten, zoals gezamenlijke onderhandelingen en beoordelingen, maar ook tot een betere informele informatie-uitwisseling, bijvoorbeeld tussen individuele landen voor en tijdens onderhandelingen met de farmaceutische industrie. Om die redenen verdienen ze uitbreiding.

Tabel 1. Sinds 2017 heeft Nederland in BeNeLuxA-verband meegeholpen aan verschillende beoordelingen en onderhandelingen over de prijs van geneesmiddelen.

Jaar	Type	Stofnaam (merknaam)
2018	Onderhandeling	nusinersen (Spinraza)
2020	Beoordeling	onasemnogene abeparvovec (Zolgensma)
2021	Onderhandeling	onasemnogene abeparvovec (Zolgensma)
2021	Beoordeling	betibeglogene autotemcel (Zynteglo)
2022	Beoordeling	atidarsagene autotemcel (Libmeldy)

De intensivering van Europese samenwerking neemt ook een belangrijke rol in de Pharmaceutical Strategy for Europe van de Europese Commissie in.⁵⁴ Die strategie bevat de ambitie om bestaande initiatieven voort te zetten en te intensiveren en nieuwe activiteiten uit te voeren zoals het gezamenlijk adresseren van de belangrijkste onderzoeksprioriteiten op basis van unmet needs. Dit vereist op nationaal niveau dat VWS, in samenspraak met ZiN en zorgverzekeraars, duidelijker aangeeft wat zij bereid is te betalen voor welke geneesmiddelen en welke criteria zij hanteert om dit te bepalen. Het gaat dan bijvoorbeeld om de vraag of de betalingsbereidheid voor (geneesmiddelen voor) aandoeningen waar nu geen adequate therapie voor bestaat anders zou moeten zijn dan voor indicatie-uitbreidingen en geneesmiddelen die ‘alleen’ de kwaliteit van leven verbeteren bij aandoeningen waar al wel behandelingen voor bestaan. Een afwegingskader dat antwoorden kan bieden op dat soort vragen maakt besluitvorming bij vergoedingsvraagstukken voor toekomstige (dure) geneesmiddelen meer voorspelbaar en transparant. Het eerste initiatief

⁵³ SiRM, L.E.K. Consulting & RAND Europe, the financial ecosystem of pharmaceutical R&D: an evidence base to inform further dialogue, 2022.

⁵⁴ Europese Commissie (2020), Pharmaceutical Strategy for Europe (COM/2020/761 final).

hiertoe is genomen door de ACM, de NZa en het ZiN.⁵⁵ Deze organisaties gaan gezamenlijk een beleidsadvies voor de minister van VWS opstellen over onder andere een maatschappelijk kader aanvaardbare prijzen. Het opstellen en vasthouden aan dit kader vereist uiteindelijk een brede maatschappelijke afweging over wat we als maatschappij onder welke omstandigheden bereid zijn te betalen voor welke gezondheidswinst. Het is daarom van belang dat ook andere belanghebbenden, zoals patiëntenorganisaties en vertegenwoordigers van burgers (als premiebetalers), betrokken zijn bij de ontwikkeling van een dergelijk afwegingskader.

3.1.2 VWS kan in samenspraak met andere EU-landen duidelijker aangeven welke bewijslast over (kosten)effectiviteit nodig is voor instroom

Meer duidelijkheid en eenduidigheid over de benodigde bewijslast voor de beoordeling van kosteneffectiviteit op EU-niveau kan zorgen voor een efficiënter toelatingsproces van geneesmiddelen. Dit biedt voordelen voor alle partijen: de toegankelijkheid voor kleinere patiëntgroepen in kleinere landen kan toenemen, terwijl de inzet van fabrikanten en beoordelaars kan afnemen door verdere harmonisatie. ZiN heeft de afgelopen jaren als (co-) auteur en reviewer via EUnetHTA al samengewerkt met vergelijkbare organisaties uit andere Europese landen voor het uitvoeren van beoordelingen (Tabel 2).

Tabel 2. Sinds 2017 heeft Nederland via EUnetHTA meegeholpen aan verschillende beoordelingen van geneesmiddelen.

Jaar	Type	Stofnaam (merknaam)
2017	Reviewer	midostaurin (Rydapt en Tauritmo)
2019	Co-auteur	sotagliflozin (Zynquista)
2020	Reviewer	siponimod (Mayzent)
2020	Co-auteur	cefiderocol (Fetroja)
2020	Auteur	crizanlizumab (Adakveo en Ryverna)
2021	Auteur	elivaldogene autotemcel (Skysona)

In 2025 gaat de nieuwe wet EU HTAR in (verordening 2021/2282). Op dit moment bereiden de EU-lidstaten zich hierop voor. Het doel is dat EU-lidstaten meer samenwerken bij het beoordelen van geneesmiddelen en hulpmiddelen. De EU-lidstaten mogen wel zelf blijven bepalen welke geneesmiddelen ze wel of niet vergoeden. De samenwerking beperkt zich tot evaluaties over de werking van een genees- of hulpmiddel. Economische, ethische en organisatorische kwesties vallen erbuiten. Dit doen landen op nationaal niveau. VWS kan samen met ZiN op bijvoorbeeld het gebied van economische evaluaties ook meer samenwerking zoeken.

Hiernaast kan VWS op nationaal niveau ervoor zorgen dat de niveaus van bewijslast van de verschillende instroomroutes beter op elkaar aansluiten (zie §2.3.3). Dit vraagt om een overkoepelende, flexibele procedure voor voorwaardelijke toelating voor geneesmiddelen met nog onvoldoende bewijslast. Daarbij kan VWS programma's als VT, DAP en ODAP en hun vereisten

⁵⁵ Deze partijen kondigden in een gezamenlijke werkagenda 'Op weg naar maatschappelijk aanvaardbare prijzen en uitgaven van geneesmiddelen in het basispakket' op 23 februari 2023 aan om in jaar tot een beleidsadvies te komen voor het ministerie van VWS over onder andere een kader voor maatschappelijk aanvaardbare prijzen en uitgaven van geneesmiddelen.

hierin integreren en uniformeren. Hierbij kan VWS de wettelijke mogelijkheden van ZiN voor vergoeding uitbreiden, zodat zij in haar adviezen ook een ‘oranje’ als uitkomst kan geven. Dit kan een aparte (inflexibele) VT-procedure overbodig maken.

3.2 VWS kan een – niet-vrijblijvend – proces inrichten dat tijdig anticipeert op de komst en het gepast gebruik van een geneesmiddel

Om dure geneesmiddelen in Nederland zo kosteneffectief mogelijk in te zetten kan VWS een systematisch proces inrichten waarmee beter geanticipeerd wordt op de komst van nieuwe geneesmiddelen (§3.2.1) en gepast gebruik van bestaande geneesmiddelen minder vrijblijvend wordt (§3.2.2).

Beter anticiperen op nieuwe geneesmiddelen zorgt ervoor dat plaatsbepaling van deze geneesmiddelen eerder en meer structureel ingezet kan worden, en maakt het mogelijk om gepast-gebruikonderzoek vóór toelating al voor te bereiden. Ook zorgt beter anticiperen voor meer voorspelbaarheid van de verwachte budgetimpact, waardoor overheids- en veldpartijen hierin meerjarenbegrotingen en beleidsafspraken zoals in het IZA beter rekening mee kunnen houden. Beter anticiperen kan ten slotte leiden tot kortere doorlooptijden van het beoordelingsproces. Minder vrijblijvend gepast gebruik van bestaande geneesmiddelen leidt tot minder onder- en overbehandeling. Daarnaast draagt het bij aan betaalbaarheid door het beperken van de uitgaven aan geneesmiddelen.

3.2.1 VWS kan meer regie voeren op de te zetten stappen voordat een nieuw geneesmiddel op de markt komt

Dat een nieuw duur geneesmiddel op de markt komt, is al enkele jaren van tevoren te voorspellen. Geneesmiddelen doorlopen immers klinische studies voordat ze goedgekeurd worden door de EMA. Sinds halverwege het tweede decennium biedt de Horizonscan geneesmiddelen inzicht in welke geneesmiddelen in ontwikkeling zijn en mogelijk op de markt komen (§2.2). Door deze (internationale) Horizonscan te continueren en uit te breiden, is de komst van nieuwe geneesmiddelen nog beter te voorspellen. Geïnterviewden noemen dat de Horizonscan in de huidige vorm al een grote bijdrage levert aan inzicht in welke nieuwe geneesmiddelen en indicatie-uitbreidingen mogelijk op de markt komen. Verdere internationale samenwerking op dit onderwerp kan de inhoud verbeteren door informatie en inschattingen, zoals over aantallen patiënten en prijzen, te delen. VWS kan deze internationale samenwerking faciliteren met haar EU-contacten. Ook kan ZiN de Horizonscan inhoudelijk uitbreiden door meer aandacht te hebben voor verwachte slagingskansen en de budgetimpact van nieuwe dure geneesmiddelen.

Op basis van de inzichten van de Horizonscan is het mogelijk om per nieuw duur geneesmiddel een systematisch proces te doorlopen met de volgende stappen - welke inhoudelijk grotendeels aansluiten bij de eindrapportage van het Platform Inkoopkracht Dure Geneesmiddelen⁵⁶:

⁵⁶ Dit platform bestond na instelling door VWS tussen 2017 en 2019. Zie §2.2 van de eindrapportage op https://www.eerstekamer.nl/overig/20191001/eindrapportage_platform/meta.

- Bepalen van de plaats in de behandeling van het nieuwe geneesmiddel of de indicatie-uitbreiding.
- Bepalen welke instroomroute van toepassing is en voorbereiden mogelijke prijsonderhandelingen door het B FAG of de gezamenlijke zorgverzekeraars.
- In kaart brengen van eventuele financiële knelpunten door de budgetimpact van het nieuwe geneesmiddel of de indicatie-uitbreiding.
- Voorbereidingen treffen voor gepast-gebruikonderzoek in de praktijk. In dat kader is het ook van belang om te inventariseren of er al een register bestaat voor de betreffende aandoening en zo ja wat nodig is om dit register geschikt te maken voor gepast-gebruikonderzoek.

Hoewel het belang van deze stappen onderschreven wordt door geïnterviewden, worden ze onvoldoende systematisch en/of tijdig gezet bij komst van een nieuw duur geneesmiddel.

We adviseren VWS daarom om een regierol op dit onderwerp te nemen door voor deze stappen een duidelijk draaiboek vast te stellen met per stap de verantwoordelijkheid per betrokken partij en de doorlooptijd. Een dergelijk draaiboek geeft tijdige, duidelijkere informatie aan ZiN, de CieBAG, het B FAG en andere betrokkenen over de verwachte gevraagde capaciteit op basis van de verwachte komst van nieuwe middelen en indicatie-uitbreidingen. Daardoor kunnen betrokken partijen actiever sturen op benodigde inzet en zo processen versnellen. Waar mogelijk zetten deze partijen dan ook vaker in op het gelijktijdig doorlopen van stappen in het instroomproces.

3.2.2 VWS kan gepast-gebruikonderzoek en de toepassing ervan en cyclisch pakketbeheer nadrukkelijker faciliteren en mogelijk wettelijk verankeren

Als het dure geneesmiddel eenmaal op de markt is, is het belangrijk dat voorschrijvers er gepast gebruik van maken. Hiervoor is praktijkonderzoek nodig over optimale dosering, behandelduur, plaats in de behandeling en (kosten)effectiviteit, en deze resultaten vervolgens toe te passen. Het belang van dit gepast-gebruikonderzoek neemt toe doordat geneesmiddelen steeds vaker op basis van minder sterke wetenschappelijke evidentie op de markt komen. Het belang van meten van de effectiviteit in de praktijk, op basis van 'real world data', neemt daarmee toe.

VWS kan ervoor zorgen dat het structureel en vroegtijdig uitvoeren van gepast-gebruikonderzoek minder vrijblijvend wordt, bijvoorbeeld door wettelijke verankering hiervan. VWS kan bijvoorbeeld ZiN-advies over gepast-gebruikonderzoek als bindend verklaren. Dit vraagt wel om andere financiering dan via het huidige programma GGG van ZonMw, waarbij financiering van gepast-gebruikonderzoek afhankelijk is van goedkeuring van specifieke voorstellen binnen brede subsidierondes. Directe en structurele financiering van gepast-gebruikonderzoek is nodig als dit verplicht wordt op basis van een ZiN-advies.

Ook kan VWS het toepassen van de resultaten van gepast-gebruikonderzoek minder vrijblijvend maken door bijvoorbeeld de vergoeding vanuit het basispakket na verloop van tijd erop aan te passen. Wanneer gepast-gebruikonderzoek bijvoorbeeld laat zien dat een geneesmiddel in de praktijk alleen kosteneffectieve meerwaarde biedt voor specifieke subgroepen van de geregistreerde indicatie van een geneesmiddel, kan VWS ervoor zorgen dat alleen voor die subgroepen gebruik van het geneesmiddel nog wordt vergoed vanuit het basispakket.

VWS kan ZiN daartoe vragen om cyclisch pakketbeheer te introduceren en dit wettelijk te verankeren. Cyclisch pakketbeheer betekent dat ZiN behandelingen volgt in de praktijk om vast te stellen of de tot het basispakket toegelaten behandelingen inderdaad meerwaarde hebben voor de patiënt, doelmatig worden ingezet en tegen maatschappelijk aanvaardbare prijzen worden geleverd. ZiN zal voor cyclisch pakketbeheer specifieke eisen stellen aan onderzoek naar (kosten)effectiviteit in de praktijk. Dit betekent onder andere dat de aandoeningenregisters hiervoor geschikt moeten zijn. Daarnaast is het van groot belang om patiëntenorganisaties te betrekken bij cyclisch pakketbeheer om ervoor te zorgen dat beslissingen over eventuele de-implementatie van geneesmiddelen voor bepaalde groepen kan rekenen op maatschappelijk draagvlak. Overigens blijkt nationaal en internationaal dat de-implementatie van (farmacologische) behandelingen weerbarstig is in de praktijk.

3.3 VWS kan ervoor zorgen dat de data-infrastructuur voor evaluatie van effectiviteit in de praktijk - als onderdeel van de msz-kwaliteitsregistraties - sneller tot stand komt

Goede registratie van het gebruik van geneesmiddelen en de uitkomsten van de behandeling ermee maakt het mogelijk om de positieve en uitblijvende/negatieve effecten in de praktijk te meten en structureel onderzoek naar gepast gebruik uit te voeren. Het is ook een randvoorwaarde voor cyclisch pakketbeheer. Goede registratie is daarmee een vereiste om meer controle over geneesmiddeleninzet te krijgen.

Tot op heden komt het echter onvoldoende van de grond. De data-infrastructuur voor de evaluatie van effectiviteit van geneesmiddelen is op dit moment sterk versnipperd. Er is een groot aantal registers met verschillende doelen waardoor de informatie niet altijd even goed bruikbaar is. Voor een deel van de aandoeningen waar dure geneesmiddelen voor worden gebruikt bestaan geen registers. Bovendien is deelname aan registers vrijblijvend waardoor deze vaak niet volledig zijn. De governance van bestaande registers is onvoldoende gericht op delen en combineren van gegevens en de financiering ervan is ad hoc, afhankelijk van beschikbare subsidies en van de mate waarin individuele onderzoeksgroepen erin slagen om deze krijgen.

Deze situatie bestond ook al in 2016. In de geneesmiddelenvisie en vooral in de daaropvolgende voortgangsbrieven aan de Tweede Kamer zijn registers daarom ook als een van de prioriteiten benoemd. Ondanks dat, geven alle geïnterviewden aan dat er afgelopen jaren vrijwel geen voortgang is geboekt en dat er door VWS in de praktijk weinig prioriteit aan lijkt te zijn gegeven:

- In november 2017 benoemde de minister van VWS in een Kamerbrief⁵⁷ dat goede, toegankelijke registers een belangrijke randvoorwaarde zijn voor innovatie in de inzet van geneesmiddelen. ZiN is vervolgens door VWS gevraagd⁵⁸ het project Regie op Registers voor dure geneesmiddelen uit te voeren om tot meer uniformiteit van geneesmiddelenregisters te komen.

⁵⁷ Kamerbrief voortgang geneesmiddelenbeleid 16 november 2017 (Kamerstuk 29 477 – nr.452).

⁵⁸ Kamerbrief voortgang geneesmiddelenbeleid 20 december 2018 (Kamerstuk 29 477 – nr. 532).

- Op 1 april 2019 werden de resultaten van de uitvoeringstoets⁵⁹ door ZiN op dit verzoek en een voorstel voor het plan van aanpak voor het project Regie op Registers naar de Tweede Kamer gestuurd, waarna het project een maand later startte.
- In juni 2021 kwam vanuit dit project het advies⁶⁰ om geneesmiddelenregisters samen te brengen met kwaliteitsregistraties. Zes maanden later kondigde VWS⁶¹ aan dit advies over te nemen maar wel eerst een nadere uitwerking van de benodigde stappen te willen laten uitvoeren.
- Daarnaast is er in opdracht van VWS een onderzoek naar de maatschappelijke kosten en baten uitgevoerd van (verbeteringen in) geneesmiddelenregisters.⁶²
- Ook zijn vier casestudies gestart binnen het project Regie op Registers met als doel om inzicht te krijgen in de noodzakelijke afspraken voor uitwisseling van gegevens en de praktische impact van deze afspraken. Tenslotte is er een visie opgesteld over 'een zorginformatielandschap waarin praktijkeffecten van dure geneesmiddelen gemonitord worden'. Regie op Registers besprak deze visie in de zomer van 2022 met veldpartijen en publiceerde een document met de uitkomsten van de consultatie.⁶³

Er zijn twee grote uitdagingen in het realiseren van een goede data-infrastructuur voor geneesmiddelenevaluatie, en voor kwaliteitsregistraties in de msz in het algemeen:

- Het primaire dataproces (de dataregistratie door de zorgverlener) is in Nederland versnipperd: data wordt niet op uniforme wijze geregistreerd en het uitwisselen en samenbrengen van gegevens van verschillende aanbieders is complex.
- Betrokken partijen zetten voor specifieke onderwerpen en aandoeeningen nu (met ondersteuning van organisaties als DHD en DICA) aparte registers op. Het verzamelen en uniform maken van data voor secundair gebruik van data (bijvoorbeeld het analyseren van effectiviteit) kost daarmee ook veel tijd en geld.

Idealiter is het primaire dataproces zo georganiseerd dat zorgverleners gegevens aan de bron op uniforme wijze registreren. Op die manier zijn gegevens van verschillende aanbieders uitwisselbaar en bruikbaar voor combinatie voor specifieke doeleinden. Gegevens over geneesmiddelengebruik vormen daar dan een logisch onderdeel van. Vanuit de directie Informatiebeleid van VWS wordt gewerkt aan een brede visie op gegevensverzameling en -gebruik in de zorg, en aan een stappenplan om deze visie te realiseren. Dit is een lange-termijnambitie die parallel loopt met ontwikkelingen op Europees gebied rond de European Health Data Space (EHDS). In het IZA is verder een werkagenda opgesteld over gegevensuitwisseling voor de komende jaren met expliciete aandacht voor secundair gebruik van data.⁶⁴

Voor de komende vijf tot tien jaar is het noodzakelijk dat parallel hieraan de huidige data-infrastructuur voor de evaluatie van effectiviteit van geneesmiddelen verbetert. Een belangrijke

⁵⁹ Uitvoeringstoets Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen door ZiN van 13 maart 2019.

⁶⁰ Advies Governance & Financiering over Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen van ZiN (2021).

⁶¹ Kamerbrief stand van zaken Regie op registers dure geneesmiddelen 17 december 2021 (Kamerstuk 29 477 – nr. 743).

⁶² Zie Ecorys 2021: MKBA Regie op Registers. Een maatschappelijke kosten-batenanalyse van Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen.

⁶³ Consultatie visie Regie Op Registers voor Dure Geneesmiddelen, Zorginstituut, maart 2023.

⁶⁴ Zie Onderdeel I. Digitalisering en gegevensuitwisseling van het IZA en in het bijzonder onderdeel 4: Data worden digitaal, eenduidig en gestandaardiseerd geregistreerd in het zorgproces en beschikbaar gesteld voor diverse secundaire doelen.

stap daarbij is het verbeteren van de landelijke governance en financiering van registers voor geneesmiddelenevaluatie. In juni 2021 publiceerde ZiN haar advies over governance en financiering van geneesmiddelenregisters⁶⁵ waarin zij adviseert om 'Regie op Registers' aan te laten sluiten bij de voorgestelde governance en financiering van kwaliteitsregistraties van de msz.⁶⁶ SiRM vindt het een logisch advies om geneesmiddelenregisters inhoudelijk en organisatorisch onderdeel van msz-kwaliteitsregistraties te laten zijn aangezien:

- Beide type registraties vergelijkbare doelen hebben:
 - Het meten en verbeteren van de kwaliteit van zorg rond specifieke aandoeningen.
 - Het meten van de effectiviteit van behandelingen in de praktijk om daarmee passende zorg stimuleren.
- De typen registraties een grote inhoudelijke overlap hebben. Geneesmiddelen zijn een integraal onderdeel van veel msz-behandelingen. Het effect van geneesmiddelen is vaak niet los te zien van niet-farmacologische behandelingen (en omgekeerd).
- Grotendeels dezelfde partijen betrokken zijn bij de landelijke governance van kwaliteitsregistraties en van dure geneesmiddelen.

Voor geneesmiddelenregisters spelen daarbij wel een aantal specifieke vraagstukken over:

- De dubbele rollen van ZiN in de governance: als regisseur op het gehele proces en als inhoudelijk belanghebbende vanuit haar adviesrol bij pakketbeheer.⁶⁷
- De verhouding tussen publieke financiering en financiering vanuit farmaceutische bedrijven, en de daarbij behorende voorwaarden rond toegang tot en invloed op de governance.

Alle geïnterviewden noemen betere geneesmiddelenregisters een belangrijke prioriteit voor de komende jaren. Dit werd ook bevestigd in de derde werksessie in dit traject waar deelnemers uit het veld de data-infrastructuur als belangrijkste thema voor de komende jaren benoemden. De samenhang en positie ten opzichte van kwaliteitsregistraties in de msz is echter ondanks ZiN advies uit 2021 nu niet duidelijk. Om het wetgevingstraject voor kwaliteitsregistraties in de msz niet te vertragen is ervoor gekozen om geneesmiddelenregisters hier vooralsnog buiten te laten. In het IZA staat mede daarom nu dat nog nader moet worden bepaald hoe registers van dure geneesmiddelen aansluiten bij de governance en financiering van msz-kwaliteitsregistraties.

Vanwege de overlap tussen geneesmiddelenregisters en kwaliteitsregistraties, waarbij ook veel belanghebbende partijen met uiteenlopende belangen betrokken zijn, is een regierol voor VWS essentieel. Veldpartijen verwachten ook dat VWS hier een veel sterkere, leidende rol in neemt dan de afgelopen jaren. VWS moet geneesmiddelenregisters zo snel mogelijk integraal onderdeel van de kwaliteitsregistraties msz maken en regie voeren op eventuele andere vraagstukken over de data-infrastructuur.

⁶⁵ Zie Advies Governance & Financiering over Regie op Registers voor Dure Geneesmiddelen van ZiN uit 2021

⁶⁶ Keuzenkamp (2020): Een programma voor regie op kwaliteitsregistraties en verbetering van data-governance. Dit programma bouwt voort op het advies van de commissie Van der Zande (2019) over de governance van kwaliteitsregistraties.

⁶⁷ ZiN zou in de bredere governance van registers een rol moeten hebben bij vraagstukken over planning en agendering van specifieke registers (zeker als het opzetten van een register een voorwaarde wordt voor vergoeding bij nieuwe geneesmiddelen (zie §3.2.1) en over inhoudelijke vereisten aan registers zodat op basis van de resultaten ook cyclische pakketbeheer rond geneesmiddelen mogelijk wordt.

4 Reflectie: meten nodig voor bijsturen, minder voor evalueren

Het meten van het (middel)langetermijneffect (>5 jaar) van het dure-geneesmiddelenbeleid is lastig en zal dat ook in de toekomst blijven. Het opnemen van specifieke streefwaarden voor de uitgaven verandert dat niet en is bovendien niet wenselijk. Wel kunnen overheid en veld de ontwikkeling van de betaalbaarheid en toegankelijkheid én de voortgang van specifieke beleidsmaatregelen beter monitoren dan nu het geval is. VWS kan de regie over deze monitoring nemen en de inzichten structureel bespreken in onder andere het LODG. Op basis hiervan kunnen partijen in het LODG beleid en de uitvoering ervan bijsturen.

In dit hoofdstuk reflecteren wij als onderzoekers op de evaluatie van het dure-geneesmiddelenbeleid. We concluderen dat het meten van uitkomsten niet zozeer nuttig is voor het evalueren van het (middel)langetermijneffect (>5 jaar) van het dure-geneesmiddelenbeleid, maar dat meten wel nodig is voor het bijsturen van beleid en de uitvoering ervan.

4.1 Meten van (middel)langetermijneffect van dure-geneesmiddelenbeleid is lastig

In Hoofdstuk 1 noemden we al dat het niet mogelijk is om ‘harde’ uitspraken over de effectiviteit van het dure-geneesmiddelenbeleid te doen. Het vaststellen van causaliteit vereist dat het mogelijk is om het effect van beleidsmaatregelen op ontwikkelingen in betaalbaarheid en/of toegankelijkheid te isoleren van andere factoren. Dit is in de praktijk niet mogelijk om redenen die we in §1.2 beschrijven.

Ook bevat de geneesmiddelenvisie geen concrete, meetbare, tijdgebonden doelstellingen, bijvoorbeeld een streefwaarde over het niveau van de gewenste uitgaven aan dure geneesmiddelen waarvan VWS jaarlijks het al dan niet behalen ervan kan vaststellen. Wij denken dat streefwaarden voor de (middel)lange termijn (>5 jaar) in een geneesmiddelenvisie ook onwenselijk zijn en niet bijdragen aan het beter meten van beleidseffectiviteit:

- Streefwaarden voor de (middel)lange termijn kunnen in de weg staan van maatschappelijk gewenste uitkomsten. Denk aan het beschikbaar komen van een effectief geneesmiddel voor een grote patiëntengroep (zoals dementie), waarvoor op basis van een streefwaarde voor uitgaven onvoldoende budget is. Op langere termijn is niet goed te voorspellen of dit type geneesmiddelen ontwikkeld wordt en beschikbaar komt.
- Betrokken partijen kunnen streefwaarden voor de (middel)lange termijn als doelen op zichzelf gaan zien. Wanneer er bijvoorbeeld een streefwaarde voor uitgaven aan dure geneesmiddelen zou bestaan en partijen verwachten minder uit te geven dan oorspronkelijk verwacht, is dat een prikkel om hun inspanningen op dit terrein te verminderen. Andersom

kan een verwachte overschrijding vanuit dat perspectief leiden tot lagere toegankelijkheid voor patiënten die kosteneffectief baat zouden hebben bij behandeling met dure geneesmiddelen.

Overigens bestaan streefwaarden voor de korte termijn natuurlijk impliciet wel, bijvoorbeeld in de vorm van de hoogte van het beschikbaar gestelde msz-budget. Uit dit msz-budget worden de dure intramurale geneesmiddelen jaarlijks betaald.

4.2 Meten is wel nodig om het dure-geneesmiddelenbeleid en de uitvoering ervan bij te kunnen sturen

Het monitoren van de betaalbaarheid en toegankelijkheid van dure geneesmiddelen én van specifieke beleidsmaatregelen vergroot wel de mogelijkheden om sneller bij te sturen in beleid.

Structurele prognoses van de uitgaven op korte termijn (2-4 jaar) bijvoorbeeld, geven waardevolle informatie over **betaalbaarheid**. Door informatie over onder andere de verwachte komst van nieuwe spécialités of indicatie-uitbreidingen (via de Horizonscan), patentverloop, de verwachte komst van generieken en biosimilars en ontwikkelingen in demografie en incidentie te combineren, is een prognose van uitgaven aan dure geneesmiddelen binnen een bepaalde bandbreedte goed mogelijk.⁶⁸ Een dergelijke prognose heeft meerwaarde omdat het hierdoor mogelijk is om:

- De verwachte uitgavenontwikkeling mee te nemen in beleidskeuzes en strategische beslissingen.
- Proactiever te anticiperen op verwachte ontwikkelingen, zoals de komst van specifieke nieuwe middelen met een grote budgetimpact of nieuwe biosimilars.
- (Grote) afwijkingen van de verwachte uitgaven te signaleren.

Het voorspellen van de verwachte uitgaven aan (dure) geneesmiddelen voor een langere periode (meer dan vier jaar) is lastiger vanwege het toenemen van onzekerheden. Geneesmiddelen kunnen in een vergevorderd stadium, bijvoorbeeld in de klinische testfase, alsnog onsuccesvol blijken of farmaceutische bedrijven kunnen verdere ontwikkeling om andere redenen afbreken. Zo wordt voor slechts 31% van de geneesmiddelen waarvoor een fase-2-onderzoek wordt uitgevoerd ook een fase-3-onderzoek opgezet.⁶⁹ Na het afronden van een fase-2-onderzoek duurt – met uitzondering van weesgeneesmiddelen – het uitvoeren van een fase-3-studie en de tijd tot goedkeuring en het op de markt brengen van een middel gemiddeld nog ruim vier jaar.⁷⁰

Voor de **toegankelijkheid** van dure geneesmiddelen is het nuttig om het verloop van de score van Nederland op EFPIA-indicatoren te monitoren (§2.3). Bijvoorbeeld het aandeel toegankelijke geneesmiddelen van alle EMA-registraties in een bepaalde periode en de doorlooptijd van EMA-registratie tot aan pakketbeslissing in Nederland.

Wanneer de ontwikkeling van de uitgaven of de toegankelijkheid sterk afwijken van de prognose geeft dit een belangrijk signaal dat bijsturing op een bepaald gebied gewenst is. Om te bepalen op

⁶⁸ Zie SiRM 2022: Een steeds groter stuk van de taart – Prognose uitgaven add-ongeneesmiddelen 2022-2026.

⁶⁹ BioMedTracker (2016), Clinical Development Success Rates report.

⁷⁰ Paul, S. M., Mytelka, D. S., Dunwiddie, C. T., Persinger, C. C., Munos, B. H., Lindborg, S. R., & Schacht, A. L. (2010). How to improve R&D productivity: the pharmaceutical industry's grand challenge. *Nature reviews Drug discovery*, 9(3), 203-214; BioMedTracker (2016), Clinical Development Success Rates report.

welk gebied dit nodig is, moeten de belangrijkste achterliggende factoren achter de ontwikkeling van betaalbaarheid en toegankelijkheid inzichtelijk zijn.

Als bijvoorbeeld de uitgaven fors hoger blijken dan verwacht, is het van belang om minimaal in beeld te hebben of dit bijvoorbeeld komt doordat:

- Het aantal nieuwe geneesmiddelen en indicatie-uitbreidingen met grote budgetimpact wat geïntroduceerd wordt groter is dan verwacht.
- Bepaalde biosimilars en generieken niet op de markt gekomen zijn of een veel lagere uptake hebben dan verwacht waardoor prijsdaling van bepaalde middelen die uit patent zijn gegaan uitblijft.
- De patiëntgroepen voor wie zorgverleners specifieke geneesmiddelen inzetten groter zijn dan verwacht.
- De gerealiseerde kortingen via onderhandelingen lager zijn dan in het verleden.
- Het effect van beleidsmaatregelen minder groot is dan verwacht.

Als de toegankelijkheid van dure geneesmiddelen afneemt, is het van belang om minimaal inzichtelijk te hebben:

- Waar welke geneesmiddelen zich in het registratieproces van de EMA bevinden en hoe lang al.
- Of er specifieke routes in het instroomproces langer duren dan in het verleden.
- Of meer middelen in de sluis terecht zijn gekomen dan vooraf verwacht.
- Of meer middelen op de markt zijn gekomen (zoals ATMP's of personalised medicines) waarvoor bestaande instroomroutes en beoordelingskaders minder goed geschikt blijken en de procedures langer duurden.
- Of specifieke stappen in het instroomproces (indienen dossier door fabrikant, beoordeling kosteneffectiviteit, prijsonderhandelingen) langer duurder dan in het verleden.
- Of het effect van beleidsmaatregelen minder groot is dan verwacht.

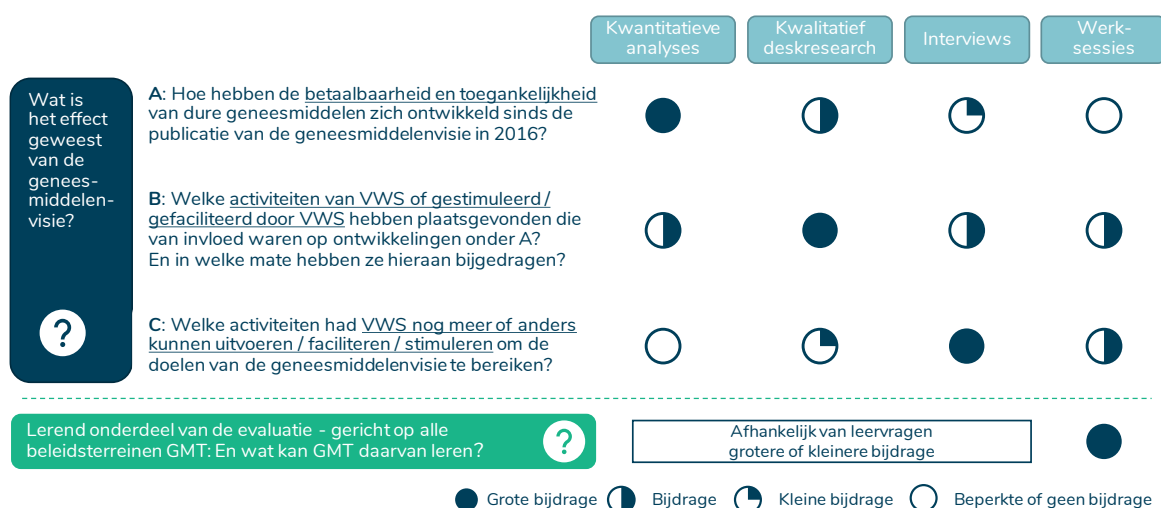
Om inzichtelijk te maken of het effect van beleidsmaatregelen minder groot is dan verwacht, is het nodig om per beleidsmaatregel indicatoren op te stellen die de voortgang ervan meten. Dit vraagt per beleidsmaatregel een gefaseerd proces met concrete mijlpalen, welke vertaald kunnen worden in indicatoren met bijpassende streefwaarden voor de korte termijn. Bijvoorbeeld over het aantal gepast-gebruikonderzoeken dat is uitgevoerd en tot hoeveel richtlijnwijzigingen in de behandeling dit heeft geleid.

VWS heeft in onze ogen de verantwoordelijkheid om deze monitoring tot stand te brengen en de inzichten structureel bespreken in onder andere het LODG. Op basis hiervan kunnen partijen in het LODG besluiten om beleidsmaatregelen en de uitvoering ervan bij te sturen of om nieuw beleid te ontwikkelen.

Bijlage 1. Onderzoeksopzet

In 2018 is VWS gestart met een vijfjarige pilot Lerend evalueren met als doel om de kwaliteit van de eigen beleidsevaluaties te verhogen en er meer van te leren.⁷¹ In het kader van deze pilot voerden wij deze ex post evaluatie van de geneesmiddelenvisie uit 2016 uit. Deze bijlage beschrijft de onderzoeksopzet die wij voor de evaluatie hanteerden.

Inzichten uit kwantitatieve analyses, zoals data- en nieuwsanalyse, kwalitatief deskresearch, interviews en verschillende werksessies vormen de basis van deze evaluatie. Deze onderzoeksmethoden droegen op verschillende manieren bij aan het beantwoorden van de verschillende onderzoeksvragen (Figuur 8).



Figuur 8. De onderzoeksmethodes dragen in verschillende mate bij aan het beantwoorden van de opgestelde onderzoeksvragen.

Kwantitatieve analyses

De kwantitatieve analyses bestonden uit het inzichtelijk maken van de ontwikkeling van de betaalbaarheid en toegankelijkheid van dure geneesmiddelen, en waar mogelijk van de activiteiten die door VWS zijn uitgevoerd of gestimuleerd. Daarbij gingen wij uit van een indicatorenlijst die VWS in de offerte-aanvraag als vereiste stelde. Deze lijst is grotendeels gebaseerd op de indicatoren die zijn aanbevolen in de ex durante evaluatie van het dure-geneesmiddelenbeleid in 2019.⁷²

De achterliggende gegevens voor deze indicatoren waren niet centraal verzameld maar zijn afkomstig van verschillende, grotendeels openbare bronnen. Het gaat onder andere om GIP- en Vektisdata, data uit monitors van de NZa en het ZiN, data uit Kamerbrieven en data aangeleverd door veldpartijen zoals het Cleanteam van ZN (Tabel 3). In het rapport verwijzen we bij het gebruik

⁷¹ Taakopdracht Ex durante evaluatie VWS-pilot Lerend evalueren, 14 september 2020 (Kamerstuk 31865 nr. 177).

⁷² SiRM (2019), Op naar hoger hangend fruit - Ex durante evaluatie geneesmiddelenvisie 2016-2018.

van indicatoren naar de gebruikte databronnen ter onderbouwing van de analyse. Niet voor alle indicatoren die zijn opgenomen bleek in de praktijk data beschikbaar.

Tabel 3. We analyseerden 19 van de voorgestelde indicatoren. Elf van de voorgestelde indicatoren zijn niet meegenomen vanwege gebrek aan data.

Nr.	Omschrijving	Bron
Betaalbaarheid		
b1	Uitgaven aan innovatieve, niet-weesgeneesmiddelen als percentage van het msz-budget	NZa-rapport op basis van GIP- en Vektisdata
b2	Uitgaven aan weesgeneesmiddelen als percentage van het totale msz-budget	NZa-rapport op basis van GIP- en Vektisdata
b3	Jaarlijkse uitgavenverlaging voor dure geneesmiddelen waarvoor VWS een financieel arrangement afgesloten heeft	Kamerbrieven, rekenkamerrapport, NZa-rapport op basis van GIP- en Vektisdata, GIPdatabank
b4	Aantal onderhandelingen op landelijk niveau door zorgverzekeraars (door Cleanteam zorgverzekeraars)	Cleanteam-data, aangeleverd door ZN in najaar 2022
b5	Deel van de geneesmiddelenmarkt waarvoor door de gezamenlijke zorgverzekeraars is onderhandeld	Niet af te leiden uit beschikbare data
b6	Jaarlijkse uitgavenverlaging (aandeel dat terugvloeit naar zorgverzekeraars) door onderhandelingen Cleanteam	Cleanteam-data, aangeleverd door ZN in najaar 2022
b7	Aantal (afgeronde) onderhandelingen door zorgaanbieders en zorgverzekeraars individueel en/of inkoopverband	Geen data beschikbaar
b8	Deel van de geneesmiddelenmarkt waarover door zorgaanbieders en zorgverzekeraars individueel en/of inkoopverband is onderhandeld	Niet af te leiden uit beschikbare data
b9	Jaarlijkse uitgavenverlaging door onderhandelingen zorgaanbieder en zorgverzekeraar individueel en/of inkoopverband	NZa, msz-monitor 2022
b10	Jaarlijks in de sluis geplaatste middelen met sluis criterium van >€40 miljoen per jaar en aantal opvolgende indicaties	Overzicht sluisplaatsingen aangeleverd door ZiN (september 2022), aangevuld met publicaties Staatscourant t/m 12-09-2022
b11	Jaarlijks in de sluis geplaatste middelen met criterium van >€10 miljoen en €50.000 waarvoor in jaar x, y, z indicatie-uitbreidingen zijn geweest	Overzicht sluisplaatsingen aangeleverd door ZiN (september 2022), aangevuld met publicaties Staatscourant t/m 12-09-2022
b12	Aantal sluismiddelen waarbij ZiN een advies heeft gegeven met en zonder uitspraak over kosteneffectiviteit	Overzicht sluisplaatsingen aangeleverd door ZiN (september 2022), aangevuld met publicaties Staatscourant t/m 12-09-2022
b13	De mate waarin de macro-uitgaven verlaagd zijn voor sluismiddelen met kosteneffectiviteitsadvies van ZiN	Geen data beschikbaar

Nr.	Omschrijving	Bron
b14	De mate waarin de macro-uitgaven verlaagd zijn voor sluismiddelen zonder kosteneffectiviteitsadvies van ZiN	Geen data beschikbaar
b15	De (eventuele) prijsdaling na patentverloop, vooral voor weesgeneesmiddelen	Geen landelijke overkoepelende data beschikbaar
b16	Aantal afgeronde gezamenlijke beoordelingen in BeNeLuxA-verband	Website BeNeLuxA (20-12-2022)
b17	Aantal afgeronde gezamenlijke onderhandelingen in BeNeLuxA-verband	Website BeNeLuxA (20-12-2022)
b18	Aantal effectiviteitsrapporten in EUnetHTA-verband en aantal waaraan ZiN heeft meegeschreven en aantal die ZiN heeft gebruikt in de nationale procedure	Website EUnetHTA (20-12-2022)
b19	Percentage dure geneesmiddelen waarvoor VWS een financieel arrangement afgesloten heeft, en ZiN advies heeft gegeven om afspraken te maken en/of afspraken heeft gemaakt over gepast gebruik	Kamerbrief voortgang financiële arrangementen 2021, Kamerbrief voortgang financiële arrangementen 2022
b20	Percentage dure geneesmiddelen waarvoor ziekenhuizen en/of zorgverzekeraars op landelijk niveau een financieel arrangement afgesloten hebben, en ZiN afspraken heeft gemaakt over (i) gepast gebruik en (ii) gepast-gebruikonderzoek	Geen data beschikbaar
b21	Percentage gepast-gebruikafspraken voor dure geneesmiddelen dat terechtgekomen is in relevante behandelrichtlijnen	Geen data beschikbaar
b22	Percentage dure geneesmiddelen met gepast-gebruik(onderzoeks)afspraken waarvoor vanuit registers relevante informatie beschikbaar is voor ZiN om deze afspraken te monitoren en herbeoordelingen te kunnen uitvoeren	Geen data beschikbaar
Toegankelijkheid		
t1	Percentage dure geneesmiddelen dat is goedgekeurd door de EMA, dat is opgenomen in het verzekerde pakket in Nederland. En de vergelijking van dit percentage met andere Westerse landen, in ieder geval met de landen uit het BeNeLuxA verband	EFPIA W.A.I.T. indicator 2022
t2	Gemiddelde tijd vanaf goedkeuring EMA tot eerste toediening/verstrekking van dure geneesmiddelen (exclusief compassionate use). Waar mogelijk, inclusief de vergelijking met andere landen uit het BeNeLuxA verband	EFPIA W.A.I.T. indicator 2022, Kamerbrief over stand van zaken verzekerde toegang voor patiënten tot nieuwe geneesmiddelen (doorlooptijden) (08-03-2023)
t3	Percentage dure geneesmiddelen goedgekeurd door EMA en opgenomen in het verzekerde pakket, waarbij de plaatsbepaling van het innovatieve geneesmiddel (of groep	Geen data beschikbaar

Nr.	Omschrijving	Bron
	geneesmiddelen) beschreven staat in de relevante behandelrichtlijnen (per indicatie)	
t4	Aantal effectieve geneesmiddelen dat niet in het pakket is opgenomen	EFPIA W.A.I.T. indicator 2022
t5	Praktijkvariatie in Nederland tussen ziekenhuizen in tijdsduur vanaf goedkeuring EMA tot eerste toediening/verstrekking en in percentage patiënten	Geen data beschikbaar
t6	Aantal aanvragen voor voorwaardelijke toelating	ZiN - Evaluatierapport Procedure voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals (4 mei 2022)
t7	Aantal middelen daadwerkelijk in voorwaardelijke toelating	ZiN - Evaluatierapport Procedure voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals (4 mei 2022)
t8	Ingeschatte aantal patiënten dat met geneesmiddelen behandeld wordt waarvoor voorwaardelijke toelating is aangevraagd	ZiN adviezen geneesmiddelen

Ook voerden we een nieuwsanalyse uit met Google Trends (online zoekgedrag) en LexisNexis (kranten) om te kijken naar het voorkomen van het onderwerp dure geneesmiddelen.

Kwalitatief deskresearch

Voor de kwalitatieve deskresearch analyseerden we verschillende typen documenten: Kamerbrieven over de voortgang van (specifieke onderdelen van) het geneesmiddelenbeleid, rapporten over onderdelen van het beleid voor dure geneesmiddelen en rapporten en websites waarin (openbare) inzet van Nederland in het beleid voor dure geneesmiddelen in Europees verband duidelijk werd. De verwijzingen naar deze documenten zijn opgenomen in de hoofdtekst van het rapport.

Interviews

We interviewden verschillende veld- en overheidspartijen (Tabel 4) over hun beeld op de geneesmiddelenvisie en de effecten hiervan in de afgelopen vijf jaar. We voerden deze interviews semigestructureerd en gebruikten een interviewleidraad (Figuur 9 tot en met Figuur 11).

Tabel 4. We interviewden in de eerste fase van de evaluatie verschillende overheid- en veldpartijen actief in het veld van dure geneesmiddelen.

Organisatie
Bureau Financiële Arrangementen Geneesmiddelen van VWS
Bogin
Federatie Medisch Specialisten
Directie Geneesmiddelen en Medische Technologie van VWS
Directie Informatiebeheer van VWS



Figuur 10. We voerden de interviews semigestructureerd met een driedelige interviewleidraad (2/3).



Figuur 11. We voerden de interviews semigestructureerd met een driedelige interviewleidraad (3/3).

Werkessies

We zetten de werksessies met name in om onderzoeksvraag 2 (zie §1.1) te beantwoorden. Alleen tijdens de derde werksessie zat een element van reflectie voor onderzoeksvraag 1. Tijdens deze werksessie waren naast medewerkers van VWS ook andere veld- en overheidspartijen uitgenodigd. Bij werksessie 1, 2 en 4 waren alleen medewerkers van GMT uitgenodigd. De invulling van de sessies was als volgt:

- Werksessie 1 – Formuleren leervragen GMT. Het doel van de sessie was het formuleren van de relevante en breed gedeelde leervragen binnen vier thema's. We identificeerden deze vier thema's door de online vragenlijst te analyseren.
- Werksessie 2 – Aan de slag met leervragen op twee thema's. Het doel van de sessie was het uitdiepen van de leervragen en het uitwisselen van ideeën voor (praktische) oplossingen.
- Werksessie 3 – Ophalen opvattingen van veld- en overheidspartijen op twee andere thema's.
- Werksessie 4 – Aan de slag met leervragen op dezelfde thema's als werksessie 3. Het doel van de sessie was het uitdiepen van leervragen en het uitwisselen van ideeën voor (praktische) oplossingen

Voorafgaand aan de eerste werksessie in het kader van onderzoeksvraag 2 (zie §1.1) hebben we geïnventariseerd wat de belangrijkste leervragen van medewerkers bij GMT waren. Dit kon zowel over het proces van beleid maken als het uitvoeren hiervan gaan. We inventariseerden dit met een online vragenlijst onder alle medewerkers van GMT.

Bijlage 2. Kwantitatieve analyses

Op basis van verschillende databronnen analyseerden we 19 van de opgestelde indicatoren (zie Bijlage 1) om een beeld te geven van de ontwikkelingen in betaalbaarheid en toegankelijkheid van dure geneesmiddelen in Nederland. In deze bijlage geven we de uitkomsten van deze analyses weer. Ook geven we aan hoe de uitkomsten terugkomen in het verdere rapport.

Betaalbaarheid van dure geneesmiddelen

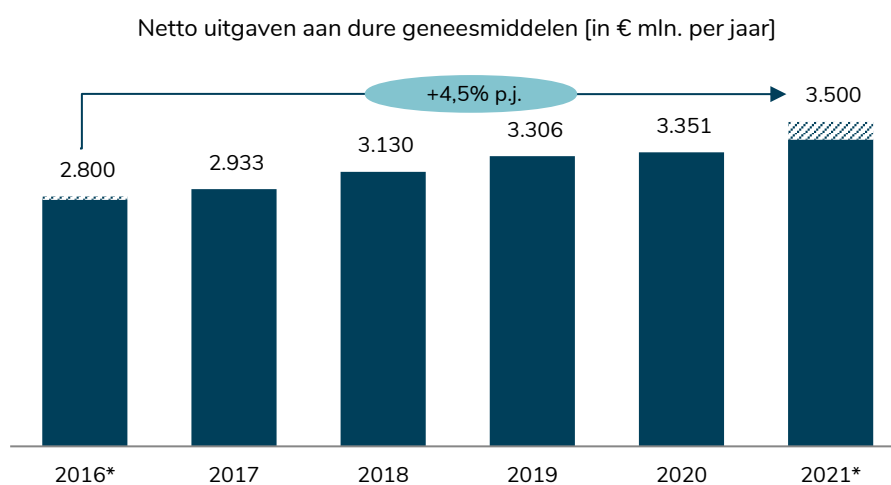
Ontwikkeling van de uitgaven aan dure geneesmiddelen

De uitgavenontwikkeling bespreken we in het rapport in de inleiding van Hoofdstuk 2. Om dit in kaart te brengen hanteerden we de volgende definities van dure geneesmiddelen:

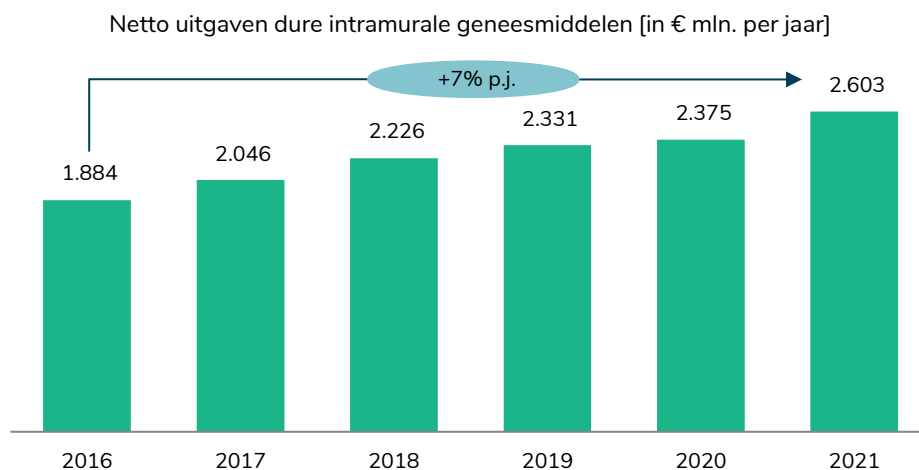
- Onder intramurale dure geneesmiddelen verstaan we alle add-ongeneesmiddelen en oorzakingsfactoren.
- Onder extramurale dure geneesmiddelen verstaan we geneesmiddelen waarvan in het meest actuele jaar de vergoeding hoger was dan €15 miljoen euro en de gemiddelde vergoeding per gebruiker hoger was dan €1.000.

We laten waar mogelijk de netto uitgavenontwikkeling zien en in de andere gevallen de bruto uitgaven. De reden hiervoor is dat de uitsplitsingen van kortingen bedongen door bijvoorbeeld het BFAG en het Cleanteam alleen in totalen uitgesplitst naar intra- en extramuraal bekend zijn. Dit maakt het niet mogelijk onderscheid te maken naar bijvoorbeeld wees- en niet-weesgeneesmiddelen. Concreet gebruiken we in de figuren in dit rapport:

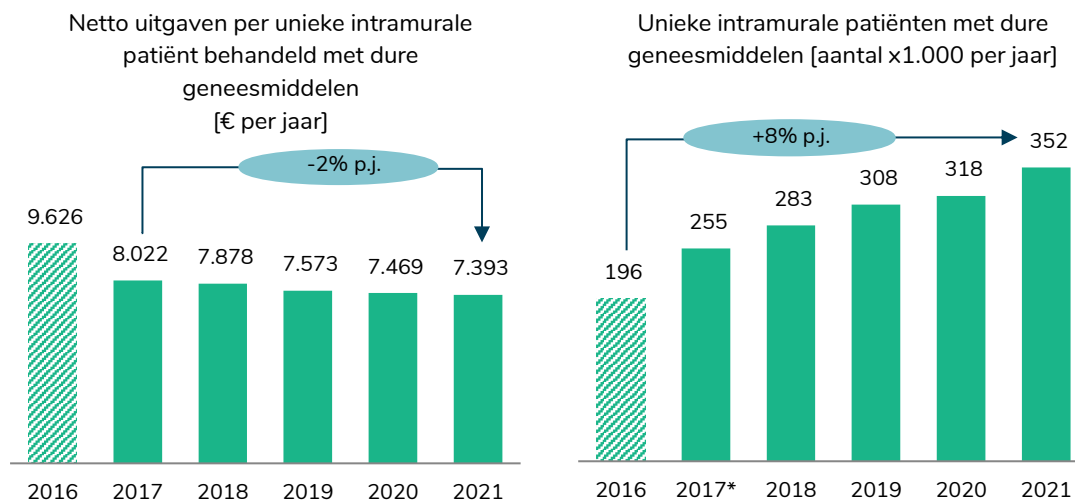
- Netto uitgaven voor de totale intramurale en extramurale uitgaven.
- Bruto uitgaven voor deelgroepen zoals wees- en niet weesgeneesmiddelen.



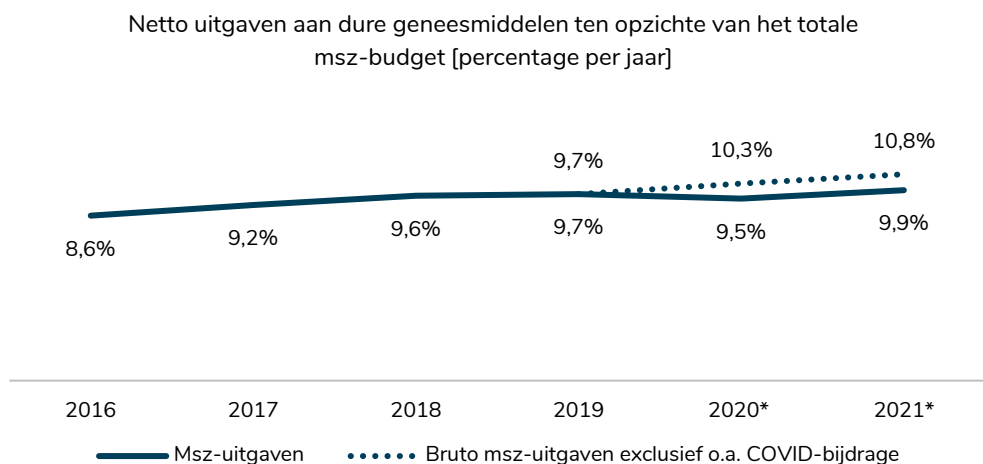
Figuur 12. Van 2017 tot 2020 zijn de netto uitgaven aan dure geneesmiddelen met ruim €400 miljoen gestegen, gemiddeld 4,5% per jaar. Van 2016 en 2021 zijn voor extramurale uitgaven alleen de bruto uitgaven bekend, die opgeteld zijn bij de netto intramurale uitgaven. Het gearceerde deel geeft illustratief aan wat mogelijk verschil tussen netto en bruto uitgaven is. Bron: NZa.



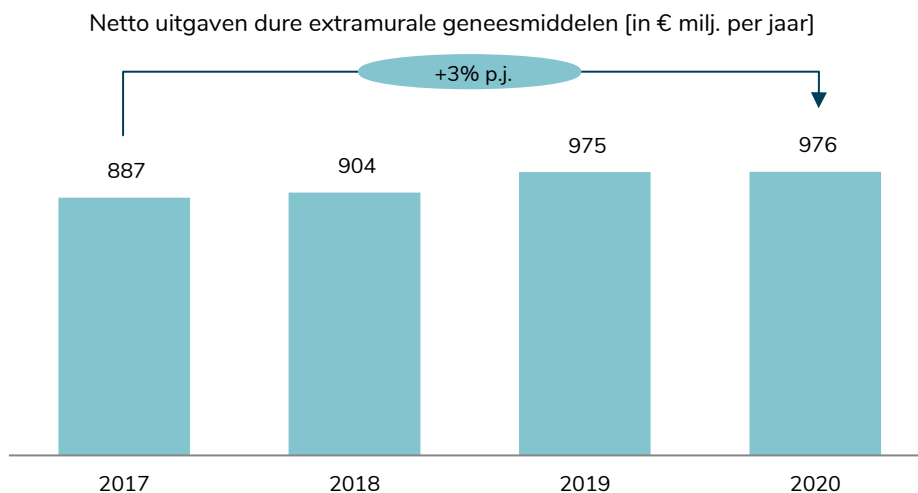
Figuur 13. Van 2016 tot 2021 zijn de netto intramurale uitgaven aan dure geneesmiddelen met bijna €800 miljoen gestegen, gemiddeld 7% per jaar. Bron: NZa.



Figuur 14. Intramuraal komt de groei in uitgaven aan dure geneesmiddelen door de stijging in het aantal patiënten, niet door uitgaven per patiënt. *Het relatief grote verschil tussen 2016 en 2017 komt door de veranderde declaratiesystematiek voor add-ongeneesmiddelen. Zie voor meer details: NZa circulaire regelgeving 2017 add-ongeneesmiddelen en oorzakelijke factoren – CI/16/28c. Bron: NZa.

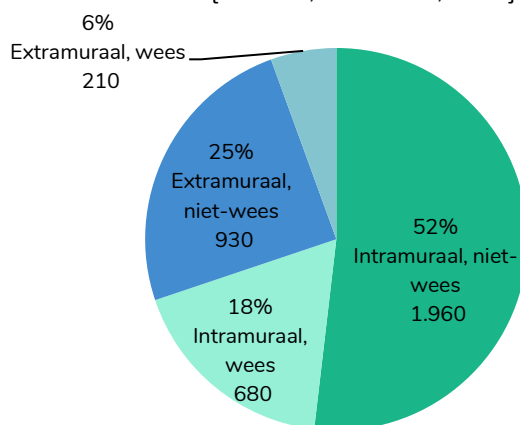


Figuur 15. De netto uitgaven aan intramurale dure geneesmiddelen beslaan een steeds groter deel van het gehele msz-budget. Van 2020 en 2021 is vanwege de impact van COVID-19 ook het aandeel netto uitgaven ten opzichte van de bruto totale uitgaven (exclusief onder andere COVID-bijdrage) weergegeven. Bron: NZa.

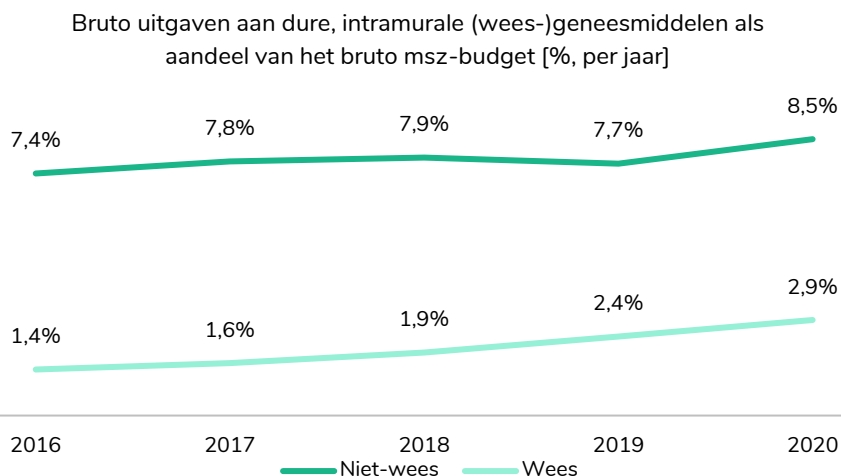


Figuur 16. Van 2017 tot 2020 zijn de netto uitgaven aan dure geneesmiddelen met bijna €100 miljoen gestegen, 3% per jaar. 2016 en 2021 zijn niet meegenomen aangezien de netto uitgaven in deze jaren niet bekend zijn. Bron: NZa.

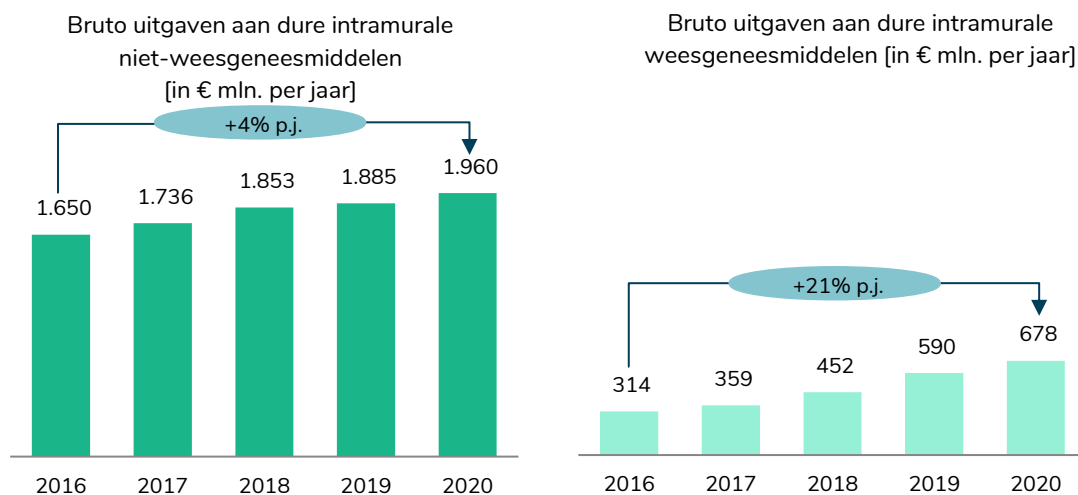
Verdeling bruto uitgaven aan dure geneesmiddelen in 2020
[in mln. €, totaal = €3,8 mld.]



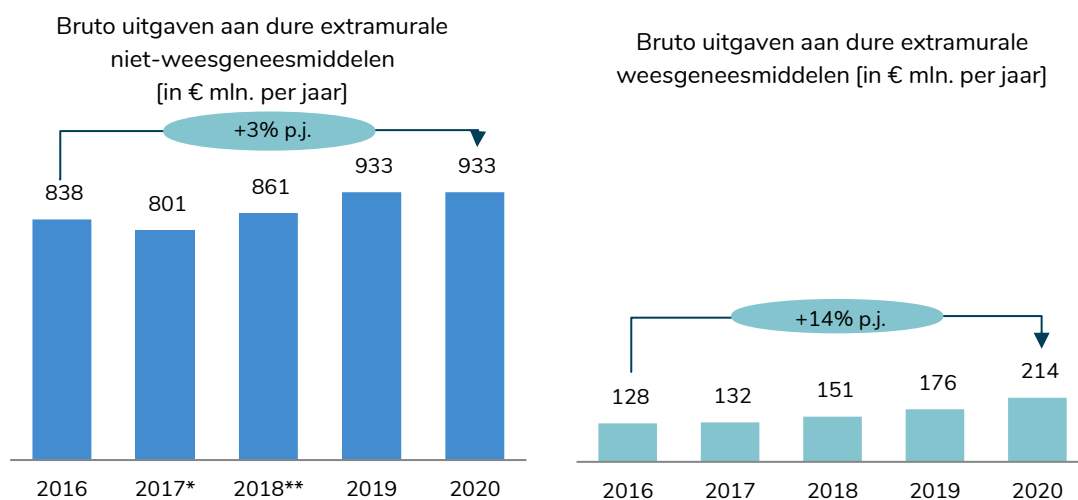
Figuur 17. Meer dan de helft van de bruto uitgaven aan dure geneesmiddelen is aan intramurale niet-weesgeneesmiddelen. Bron: NZa, ZiN.



Figuur 18. Het aandeel van bruto uitgaven aan weesgeneesmiddelen in het msz-budget is tussen 2016 en 2020 verdubbeld, terwijl het aandeel van niet-weesgeneesmiddelen maar met ~15% steeg. Bron: NZa, ZiN.



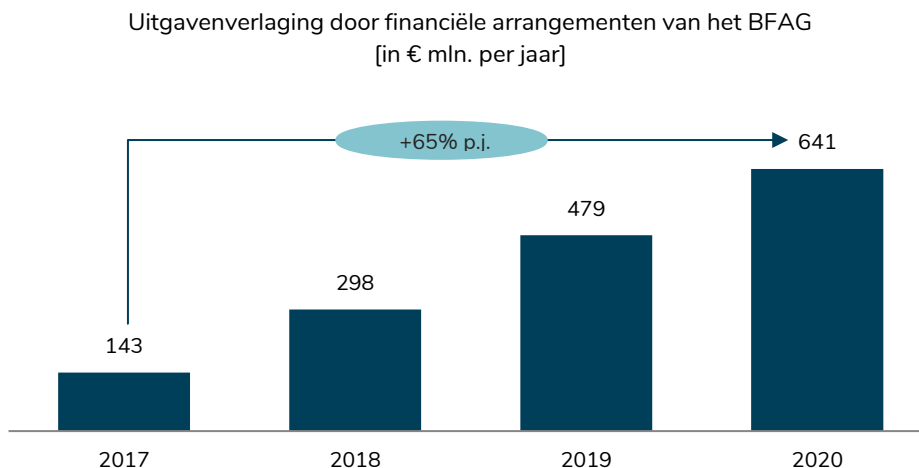
Figuur 19. De bruto uitgaven aan intramurale weesgeneesmiddelen stegen tussen 2016 en 2020 verhoudingsgewijs meer dan vijfmaal zo sterk als aan niet-weesgeneesmiddelen. Bron: NZa, ZiN.



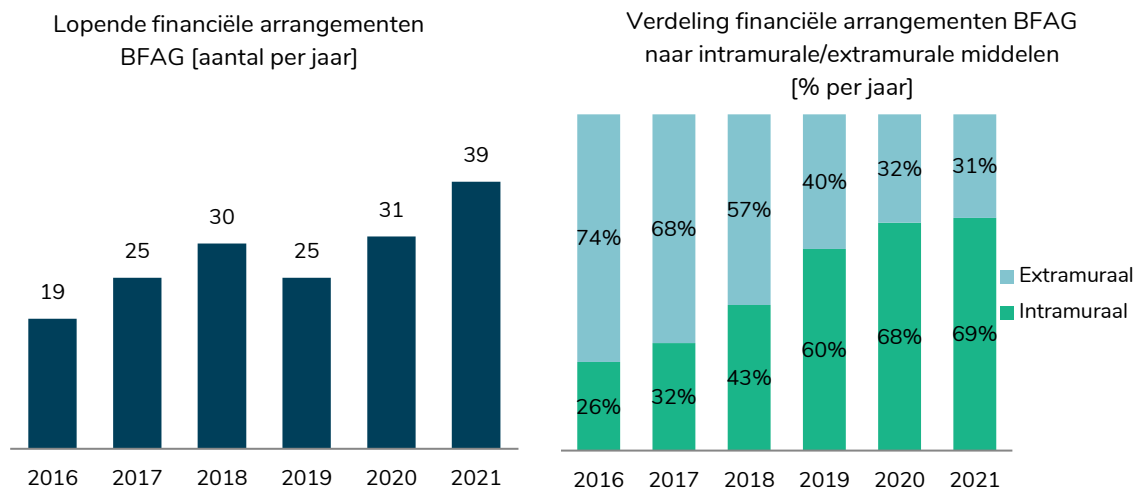
Figuur 20. De uitgaven aan extramurale weesgeneesmiddelen stegen tussen 2016 en 2020 relatief meer dan viermaal zo hard als de uitgaven aan niet-weesgeneesmiddelen. *De daling in uitgaven in 2017 is te verklaren door overheveling van stollingsfactoren. **De stijging in 2018 komt voornamelijk door de introductie van Orkambi. Bron: NZa, ZiN.

Uitgavenverlaging door onderhandelingen door het BFAG, Cleanteam en ziekenhuizen

In deze paragraaf vatten we de resultaten van prijsonderhandelingen over dure geneesmiddelen samen in verschillende figuren, uitgesplitst naar de partijen die deze onderhandelingen uitvoeren. In het rapport bespreken we dit in §2.3.1. De hiervoor beschikbare data verschilt per weergegeven jaar. Zo is er van de jaren vóór 2017 en na 2021 niet bekend wat de resultaten van de onderhandelingen van het BFAG qua behaalde kortingen waren, terwijl we wel weten voor hoeveel geneesmiddelen er in die jaren een financieel arrangement was afgesloten.

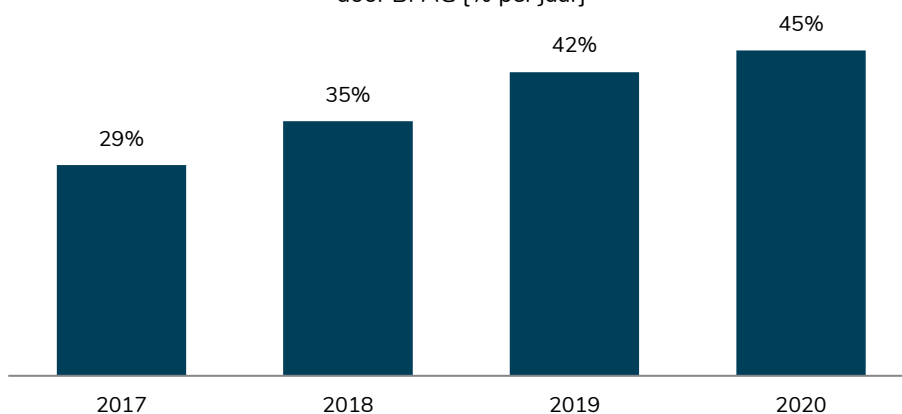


Figuur 21. De totale uitgavenverlaging door onderhandelingen van het BFAG nam toe van €143 miljoen in 2017 naar €641 miljoen in 2020. Bron: Kamerbrief voortgang financiële arrangementen 2021.



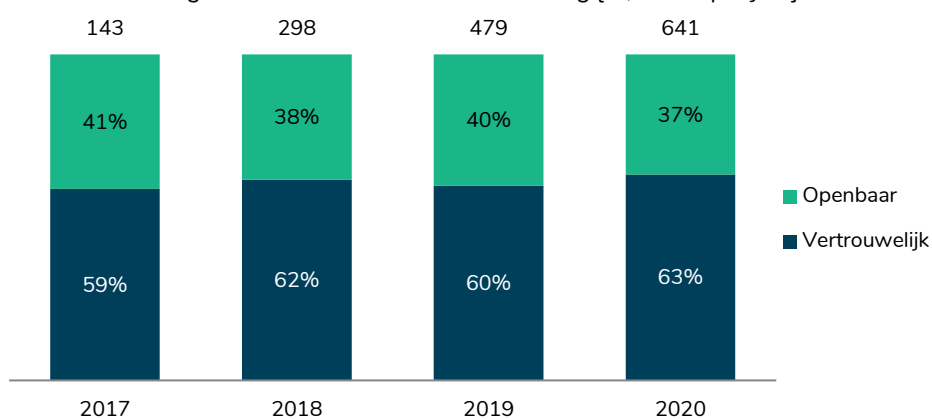
Figuur 22. Het aantal financiële arrangementen van het BFAG neemt vooral toe door de groei van arrangementen voor intramurale middelen. Bron: Kamerbrief voortgang financiële arrangementen 2021.

Gemiddelde kortingspercentage van lopende financiële arrangementen door BFAG [% per jaar]



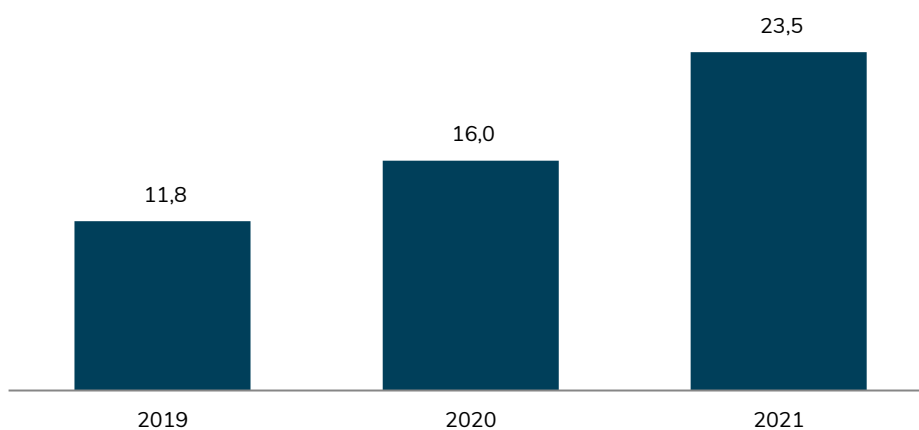
Figuur 23. Het gemiddelde kortingspercentage per financieel arrangement steeg in drie jaar tijd met ~50%. Bron: Kamerbrief voortgang financiële arrangementen 2021.

Verdeling korting naar openbaar en vertrouwelijk binnen financiële arrangementen van BFAG en totale korting [% , € mln. per jaar]

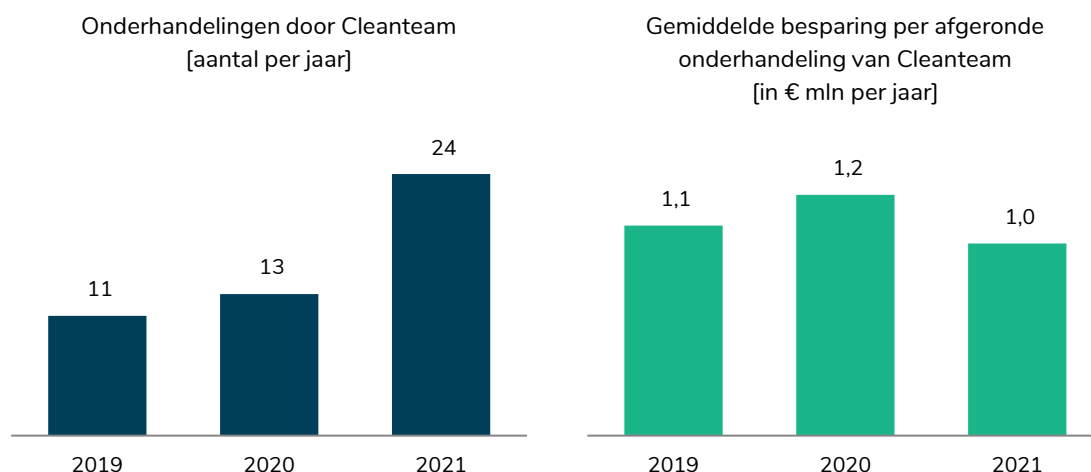


Figuur 24. De uitgavenverlaging door financiële arrangementen bestond tussen 2017 en 2020 elk jaar voor ~60% uit vertrouwelijke kortingen. Bron: Kamerbrief voortgang financiële arrangementen 2021.

Uitgavenverlaging door Cleanteam [in € mln. per jaar]



Figuur 25. Tussen 2019 en 2021 verdubbelde de uitgavenverlaging door onderhandelingen van het Cleanteam. Bron: ZN.

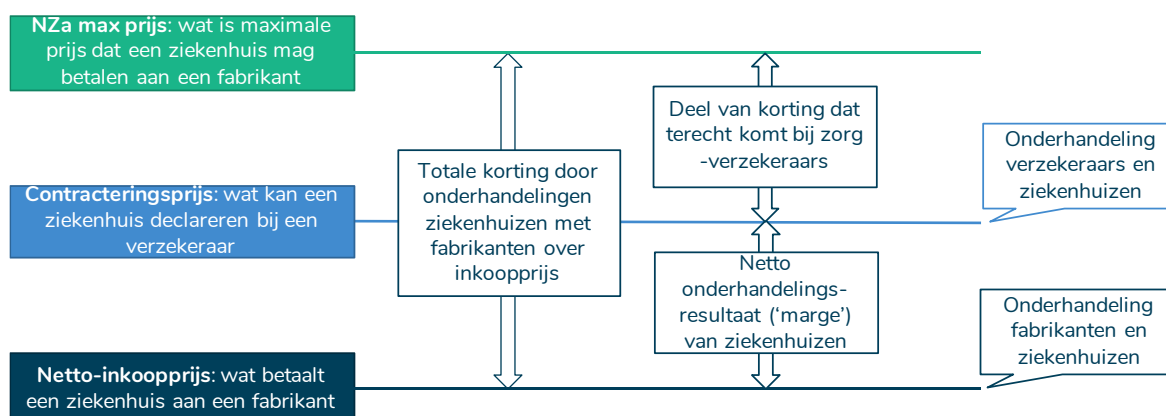


Figuur 26. Het aantal onderhandelingen door het Cleanteam neemt toe. De besparing per onderhandeling blijft ongeveer gelijk. Bron: ZN.

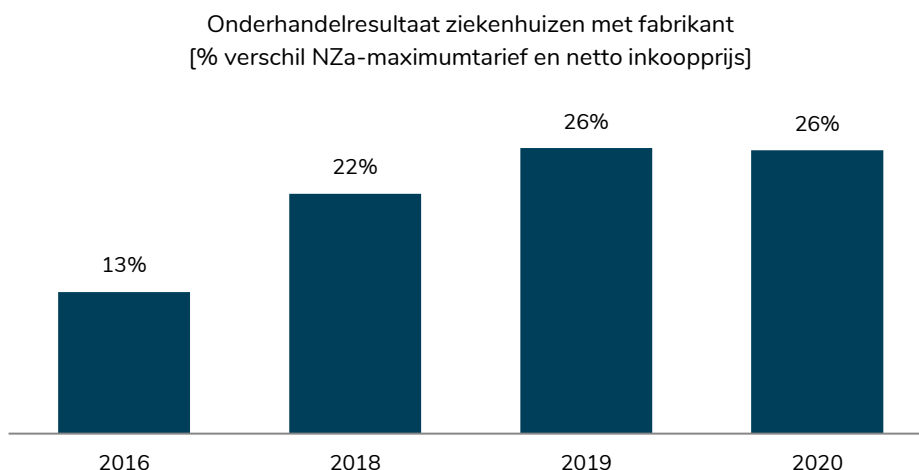
Bij het onderhandelresultaat van ziekenhuizen hanteren we de volgende definities (grafisch weergegeven in Figuur 27):

- Het NZa-maximumtarief: de maximale prijs die een ziekenhuis mag betalen aan de fabrikant van het geneesmiddel zoals vastgesteld door de NZa. Hier wordt niet over onderhandeld.
- Contracteringsprijs: de prijs die een ziekenhuis voor datzelfde geneesmiddel kan declareren bij de zorgverzekeraar. Hierover onderhandelen ziekenhuizen met zorgverzekeraars.
- Netto inkoopprijs: de prijs die een ziekenhuis betaalt aan een fabrikant. Hierover onderhandelen ziekenhuizen met fabrikanten.

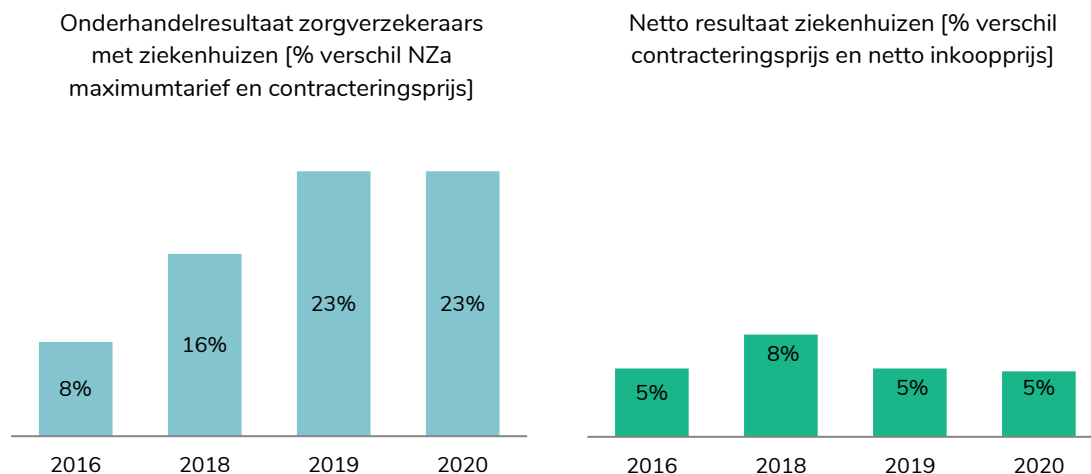
Het resultaat van deze onderhandelingen is op te splitsen in een gedeelte wat terugvloeit naar de zorgverzekeraars en een gedeelte wat de ziekenhuizen als resultaat zelf behouden. Uit gesprekken voor deze evaluatie blijkt dat ook kan voorkomen dat de netto inkoopprijs boven de contracteringsprijs ligt. Op dat moment moet een ziekenhuis zelf geld bijleggen voor het betreffende geneesmiddel.



Figuur 27. Ziekenhuizen onderhandelen zowel met fabrikanten als verzekeraars over de prijs van geneesmiddelen. Bron: NZa.



Figuur 28. Ziekenhuizen onderhandelen een steeds grotere korting met fabrikanten ten opzichte van het NZa-maximumtarief. De gepresenteerde resultaten gelden voor ziekenhuizen en geneesmiddelen als geheel. Resultaten variëren in de praktijk tussen ziekenhuizen en binnen ziekenhuizen weer tussen geneesmiddelgroepen. Bron: NZa.

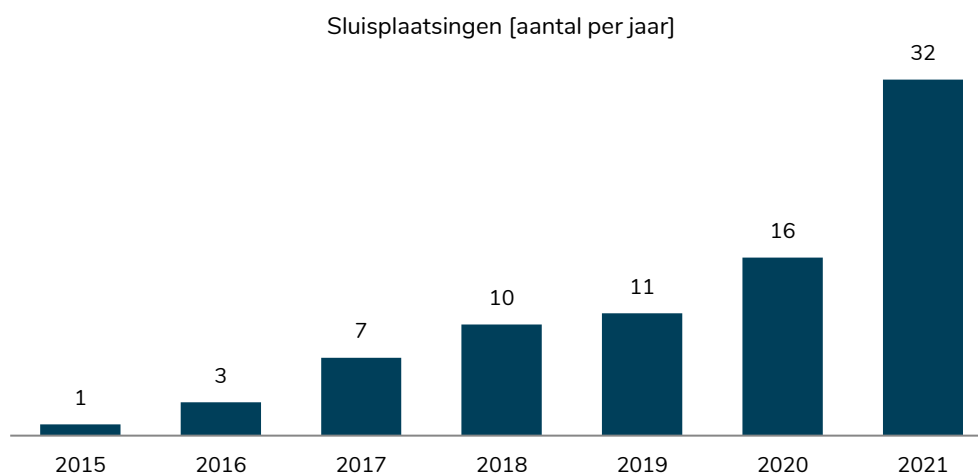


Figuur 29. Een groot deel van het onderhandelingsresultaat tussen ziekenhuizen en fabrikanten komt bij zorgverzekeraars terecht. De gepresenteerde resultaten gelden voor ziekenhuizen en geneesmiddelen als geheel. Resultaten variëren in de praktijk tussen ziekenhuizen en binnen ziekenhuizen weer tussen geneesmiddelgroepen. Bron: NZa.

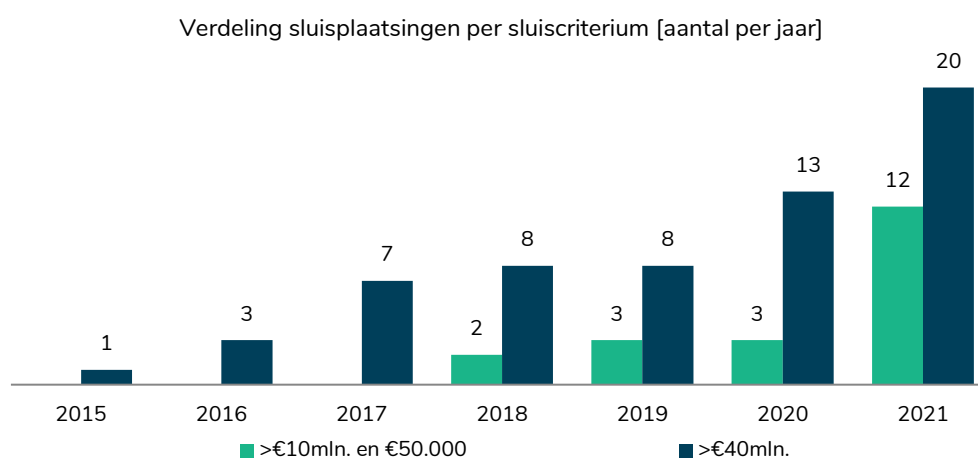
Nadere analyse van de sluis

We bespreken de sluis in §2.3. Sluisplaatsingen zijn gedefinieerd als de sluisplaatsing van een nieuw middel als het middel niet eerder in de sluis geplaatst is. Middelen die al op de markt zijn (en vergoed worden), maar door een indicatie-uitbreiding voor het eerst in de sluis komen worden daarmee als nieuw middel (in de sluis) getypeerd. Wanneer een nieuw middel voor meer dan één indicatie op dezelfde dag in de sluis wordt geplaatst is dit één keer als nieuw middel geteld. De overige sluisplaatsingen van die dag zijn geteld als indicatie-uitbreidingen.

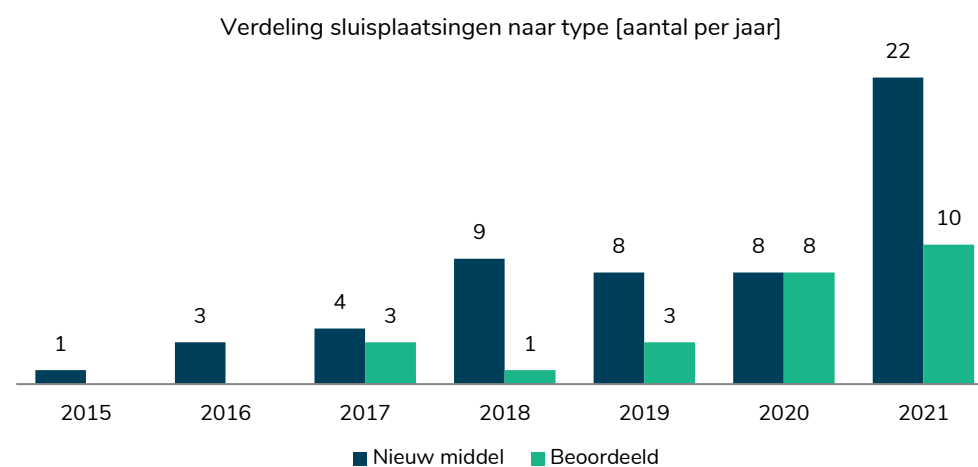
De indicatie-uitbreidingen zijn verder gedefinieerd als een middel wat al in de sluis zit of heeft gezeten (voor een andere indicatie). Verder moet de indicatie-uitbreiding niet vallen onder de voorwaarden van een al bestaand financieel arrangement.



Figuur 30. Het aantal sluisplaatsingen per jaar verdubbelde van 2020 naar 2021. Bron: ZiN, Staatscourant.



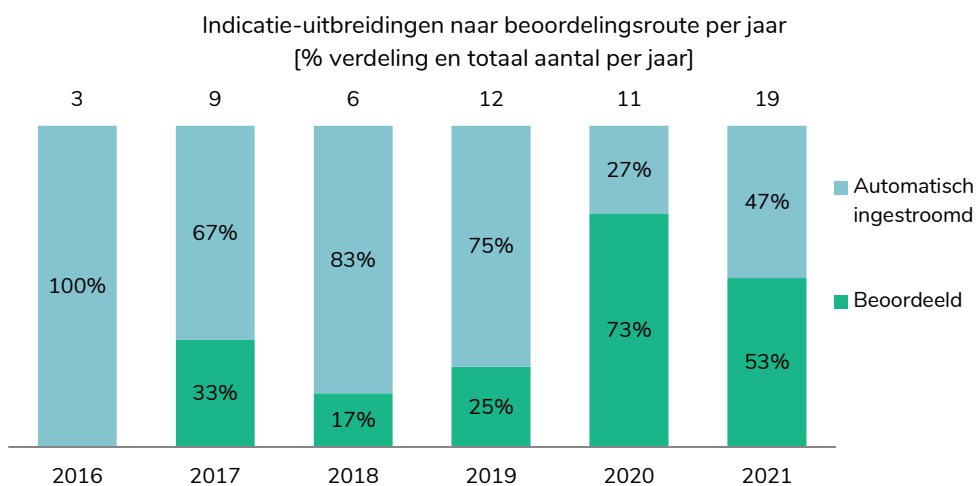
Figuur 31. Het grootste deel van de sluisplaatsingen betreft middelen met (verwachte) totale uitgaven van meer dan €40 miljoen euro. Bron: ZiN, Staatscourant.



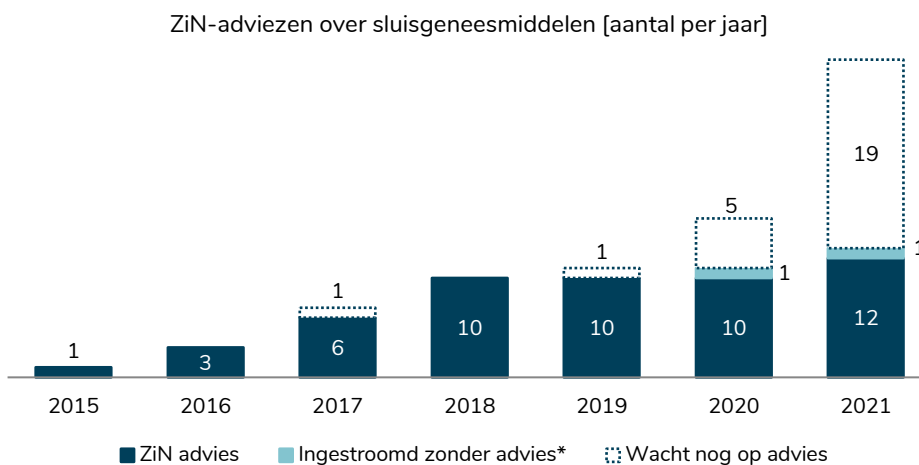
Figuur 32. Het aantal nieuwe geneesmiddelen in de sluis is in 2021 veel sterker toegenomen dan het aantal beoordeelde indicatie-uitbreidingen. Bron: ZiN, Staatscourant.

Bij indicatie-uitbreidingen van sluisgeneesmiddelen verstaan we twee verschillende soorten uitbreiding:

- **Automatisch ingestroomd:** een indicatie die zonder beoordeling van ZiN en onderhandeling door het BFAG instroomt in het pakket. De indicatie vormt hierin een onderdeel van een eerder afgesloten financieel arrangement voor het middel (voor een andere indicatie).
- **Beoordeeld:** een indicatie met aparte beoordeling van ZiN en onderhandeling door het BFAG via de sluisprocedure. Geen onderdeel van een eerder afgesloten financieel arrangement voor het middel (voor een andere indicatie).



Figuur 33. Het aandeel indicatie-uitbreidingen dat als onderdeel van een bestaand financieel arrangement automatisch instroomt neemt af. Bron: ZiN, Staatscourant.



Figuur 34. Het toenemend aantal geneesmiddelen in de sluis betekent een vrijwel even grote groei van het aantal adviezen van ZiN. *Twee sluisplaatsingen zijn niet beoordeeld door ZiN: acalabrutinib in 2020 en cemiplimab in 2021. Bron: ZiN, Staatscourant

Toegankelijkheid van dure geneesmiddelen

We bespreken de toegankelijkheid van dure geneesmiddelen in §2.3.2.

Internationale vergelijking toegankelijkheid

De internationale vergelijking van toegankelijkheid van geneesmiddelen is gebaseerd op indicatoren uit de EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator Survey 2022. In deze vragenlijst zijn indicatoren opgenomen die gebaseerd zijn op data van 1 januari 2022, met een uitvraag over merknamen van geneesmiddelen die goedgekeurd zijn door EMA in de periode 2017-2020. Bij afwezigheid van een merknaam keek deze vragenlijst niet of in dat land wel een alternatieve merknaam aangeboden wordt,⁷³ wat vanuit klinisch perspectief tot onderschattingen van toegankelijkheid kan leiden. Daarnaast kan onderzoek naar geneesmiddelen die de afgelopen 2-5 jaar goedgekeurd zijn een kleine onderschatting geven wanneer deze middelen nog in landelijke goedkeuringsprocedures zitten of daar nog voor aangeboden gaan worden. De partij die de data voor Nederland aanlevert is de Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen Nederland.

Toegankelijkheid is in de survey uitgedrukt in 'percentage toegankelijkheid' en 'doorlooptijd':

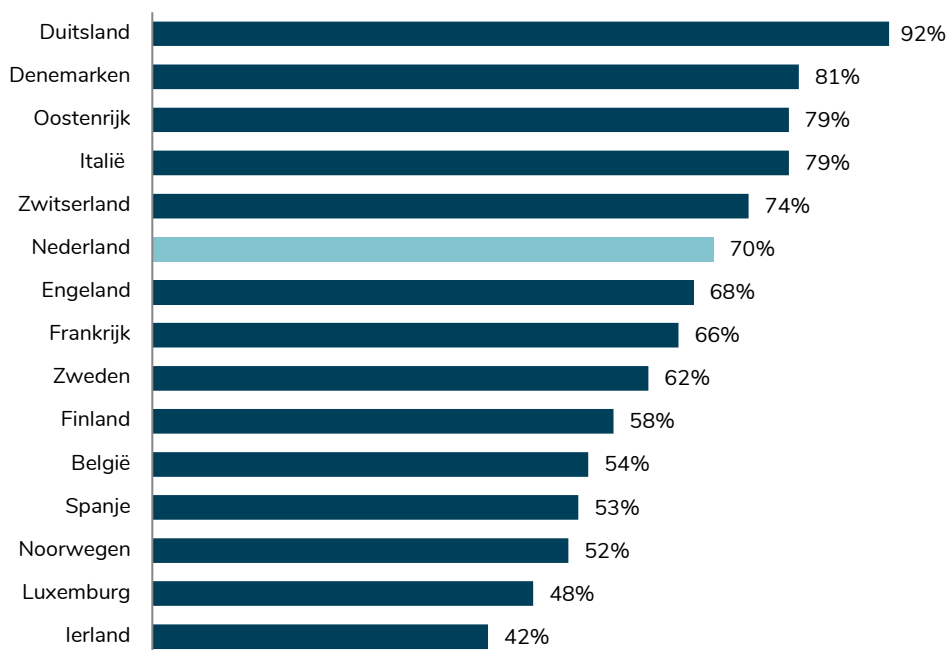
- Het percentage toegankelijke geneesmiddelen betreft het aantal goedgekeurde geneesmiddelen (merknamen) dat vergoed wordt in een land ten opzichte van het totaal aantal goedgekeurde geneesmiddelen (weer merknamen) door EMA. Hierin is de meest recente periode aan beschikbare data 2017-2020. De vragenlijst geeft een overzicht van twee definities van toegankelijkheid, gebaseerd op vergoeding (volledig of begrensd⁷⁴):
 - Cijfers gebaseerd op volledige toegankelijkheid van geneesmiddelen.
 - Cijfers gebaseerd op zowel volledig als beperkt toegankelijke geneesmiddelen (oftewel geneesmiddelen met een begrensde vergoeding).
- Doorlooptijd van geneesmiddelen betreft het gemiddeld aantal maanden tussen het moment van goedkeuring door de EMA en het moment dat het geneesmiddel vergoed wordt in een land in de periode van 2017-2020. Dit is een optelsom van de tijd die het kost om verschillende stappen in instroomroutes te doorlopen. Welke stappen dit zijn, is afhankelijk van de registratieroute die het geneesmiddel doorloopt.

Tussen landen varieert de verhouding tussen volledige en beperkte toegankelijkheid, vooral door verschillen in zorg- en vergoedingssysteem. In dit rapport gebruiken we de som van volledig toegankelijke en beperkt toegankelijke geneesmiddelen om Nederland te vergelijken met andere Europese landen. Hiermee geven we een beeld van het aandeel ontwikkelde geneesmiddelen dat toegankelijk is binnen het publieke zorgsysteem. Hierbij geldt dat er verschillen kunnen bestaan tussen landen in organisatie van vergoedingen en eventuele begrenzingen daaraan.

⁷³ In het rapport 'Opbrengsten huidige R&D-ecosysteem' (SiRM, 2023) onderzochten we onder andere toegankelijkheid van geneesmiddelen op merknaamniveau die in de periode 1995-2021 voor veertig aandoeningen met hoge ziektelast bij de EMA geregistreerd zijn. Hierbij keken we waar relevant ook naar de aanwezigheid van alternatieven, bijvoorbeeld dat de werkzame stof van een merknaam wel onder een andere merknaam aanwezig is. Binnen deze analyse was ~95% van die werkzame stoffen op een manier toegankelijk in Nederland of wordt dat op korte termijn.

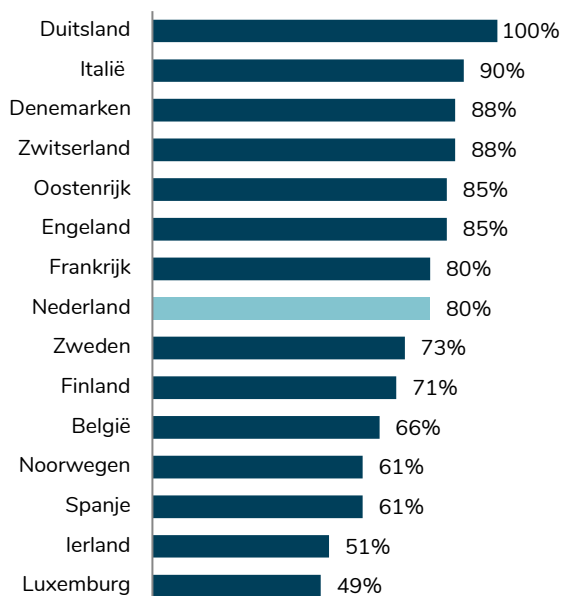
⁷⁴ 'Begrensd' is in de EFPIA-rapportage breed gedefinieerd: het kan gaan om niet volledig of automatisch vergoed en/of begrenzingen in patiëntpopulatie waarvoor het geneesmiddel vergoed wordt.

Aandeel toegankelijke, door de EMA goedgekeurde geneesmiddelen per land [cumulatief % van 2017-2020]

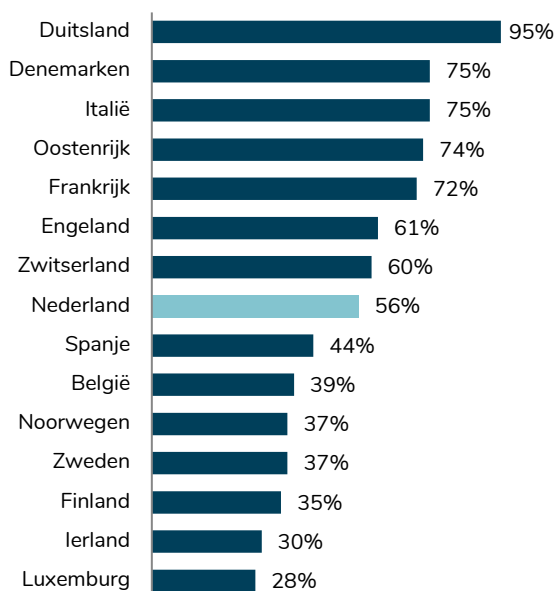


Figuur 35. Nederland staat Europees op de zesde plek bij het aandeel toegankelijke geneesmiddelen tussen 2017 en 2020. Bron: EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator Survey 2022.

Aandeel toegankelijke, door EMA goedgekeurde oncolytica per land [cumulatief % van 2017-2020]

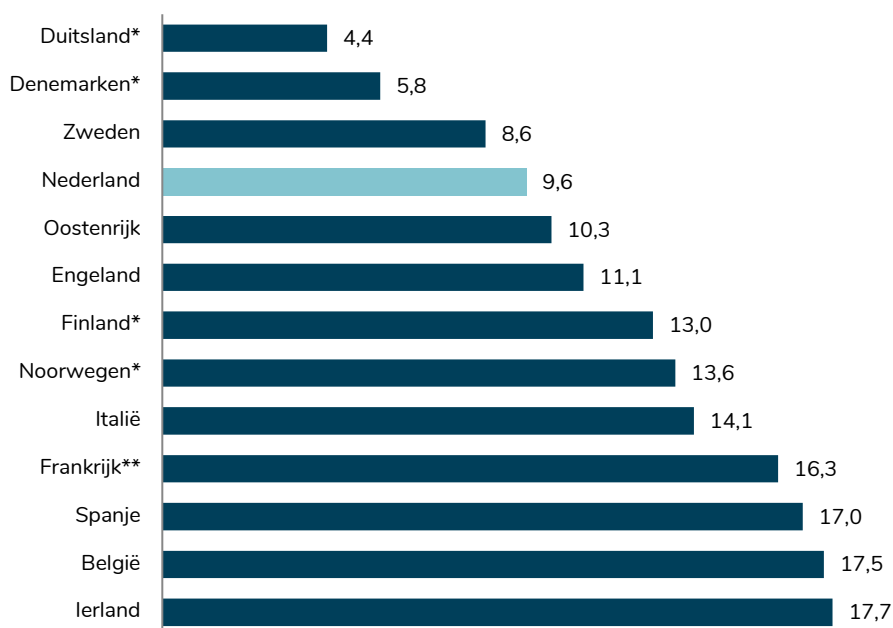


Aandeel toegankelijke, door EMA goedgekeurde weesgeneesmiddelen per land [cumulatief % van 2017-2020]



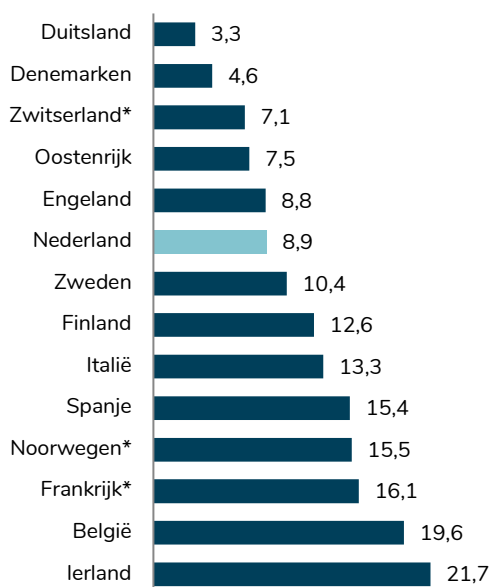
Figuur 36. Nederland staat Europees op de achtste plek bij het aandeel toegankelijke oncolytica en weesgeneesmiddelen tussen 2017 en 2020. Er bestaat overlap tussen deze categorieën. Bron: EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator Survey 2022.

Gemiddelde wachttijd tussen vanaf EMA-goedkeuring tot vergoeding van geneesmiddelen [maanden van 2017-2020]

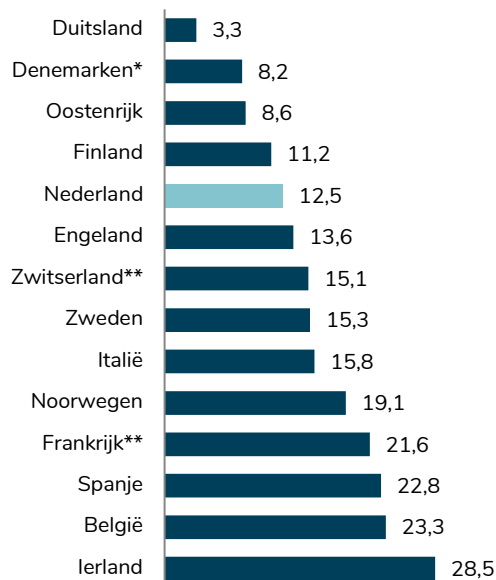


Figuur 37. Gemiddeld duurt het in Nederland bijna tien maanden vanaf EMA-goedkeuring tot een geneesmiddel vergoed wordt. *Enkele ontbrekende wachttijden. **Relatief groot aandeel ontbrekende wachttijden. Luxemburg en Zwitserland zijn niet opgenomen vanwege ontbrekende data. Bron: EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator Survey 2022.

Gemiddelde tijd per land tussen EMA-goedkeuring en vergoeding van oncologische geneesmiddelen [maanden van 2017-2020]



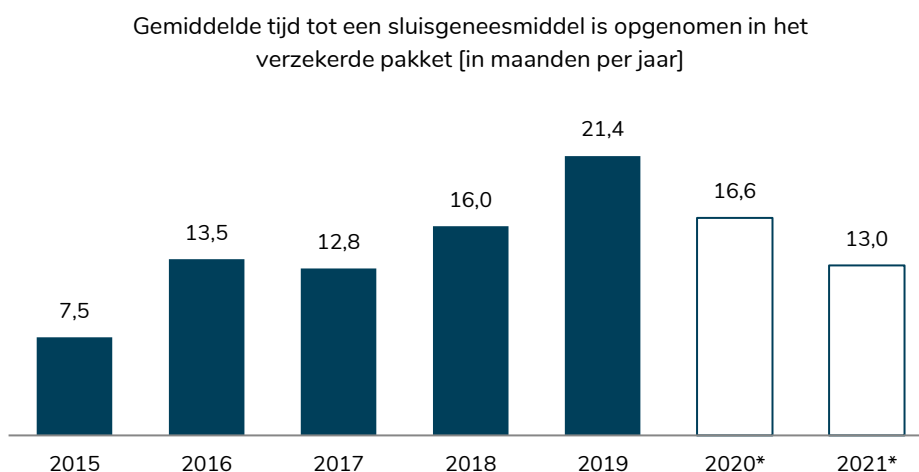
Gemiddelde tijd per land tussen EMA-goedkeuring en vergoeding van weesgeneesmiddelen [maanden van 2017-2020]



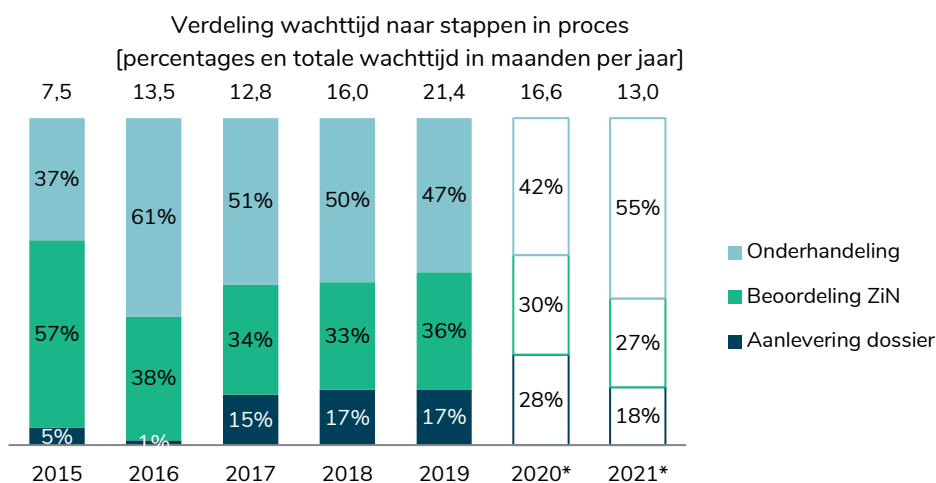
Figuur 38. De doorlooptijd van een weesgeneesmiddel is in Nederland gemiddeld 3,5 maand langer dan van een oncologisch geneesmiddel. *Enkele ontbrekende wachttijden. **Relatief groot aandeel ontbrekende wachttijden. Luxemburg is niet opgenomen vanwege ontbrekende data. Bron: EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator Survey 2022.

Nadere analyse van de toegankelijkheid in Nederland

Bij het analyseren van wachttijden van sluisgeneesmiddelen laten we de tijd in maanden zien van de datum dat een geneesmiddel in de sluis is geplaatst totdat deze vergoed wordt uit het basispakket. Hierbij is het jaar dat een middel in de sluis is geplaatst leidend in de visualisatie. Een geneesmiddel wat dus in 2016 in de sluis is geplaatst wat pas in 2018 in het pakket is gekomen, wordt meegenomen in de gemiddelde tijd dat men moet wachten op geneesmiddelen uit 2016.



Figuur 39. De doorlooptijd van moment van plaatsing in de sluis tot moment van vergoeding is tussen 2015 en 2021 vrijwel altijd langer dan een jaar. *2020 en 2021 zijn niet ingekleurd aangezien een deel van de middelen uit deze jaren nog in de sluis zit en de gemiddelden daardoor nog stijgen. Bron: Kamerbrief over stand van zaken verzekerde toegang voor patiënten tot nieuwe geneesmiddelen (doorlooptijden) (08-03-2023)



Figuur 40. In de meeste jaren vormt de onderhandeling tussen het BFAG en een fabrikant het grootste onderdeel van de doorlooptijd van de sluis. *2020 en 2021 zijn niet ingekleurd aangezien een deel van de middelen uit deze jaren nog in de sluis zit en de verdelingen nog kunnen veranderen. Bron: Kamerbrief over stand van zaken verzekerde toegang voor patiënten tot nieuwe geneesmiddelen (doorlooptijden) (08-03-2023)

Voor geneesmiddelen die door EMA worden goedgekeurd waarvan de klinische bewijslast volgens Nederlandse norm nog te laag is, heeft ZiN het programma Voorwaardelijke Toelating (VT) opgezet. Vaak gaat het hierbij om geneesmiddelen die een kleine doelgroep hebben met bijzondere kenmerken, waardoor randomiseren en blinderen van onderzoek niet altijd mogelijk is.

Binnen VT kunnen registratiehouders het geneesmiddel verder laten onderzoeken terwijl het beschikbaar wordt gesteld in Nederland voor een periode van 7 of 14 jaar onder een financieel arrangement. In Tabel 5 zijn vier geneesmiddelen die sinds 2019 zijn toegelaten, en in de tussentijdse evaluatie van ZiN zijn meegenomen, weergegeven. Hiernaast zijn er nog vier middelen die in oktober en november een voorwaardelijk traject zijn gestart die geen onderdeel waren van de tussenevaluatie voorwaardelijke toelating.

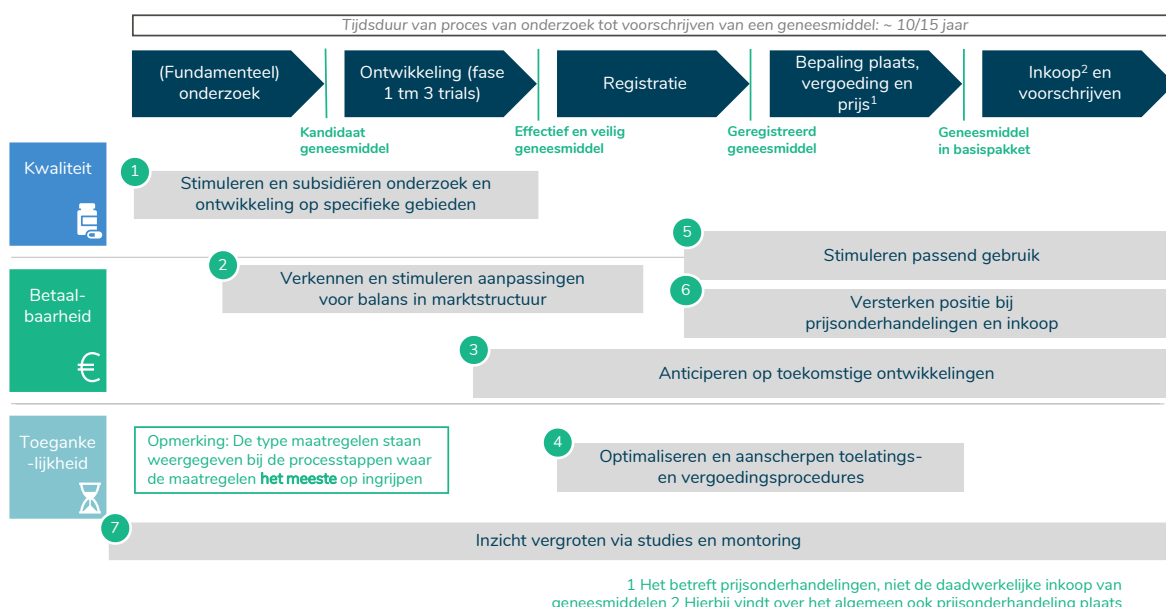
Tabel 5. Sinds 2019 zijn er vier middelen toegelaten via het traject Voorwaardelijke Toelating van ZiN.

Stofnaam	Weesgeneesmiddel	Plaats	Financieel arrangement sinds	Patiënten (geschat)
Larotrectinib	Nee	Intramuraal	16 september 2021	10-20 per jaar
Entrectinib	Nee	Intramuraal	16 september 2021	10-20 per jaar
rPTH 1-84	Ja	Extramuraal	1 november 2021	~100 tijdens het traject voorwaardelijke toelating
Ataluren	Ja	Extramuraal	1 november 2021	Maximaal 21 tijdens het traject voorwaardelijke toelating

Bijlage 3. Overzicht beleidsmaatregelen

Vanaf de publicatie van de geneesmiddelenvisie in 2016 heeft VWS een groot aantal beleidsmaatregelen uitgevoerd op het gebied van dure geneesmiddelen. In deze bijlage geven we een overzicht van de verschillende uitgevoerde beleidsmaatregelen vanaf 2016. We deelden de beleidsmaatregelen in zeven categorieën in⁷⁵ (Figuur 41). De categorieën onderscheiden zich door:

- De stappen tussen (fundamenteel) onderzoek tot en met voorschrijven van een geneesmiddelen waarop maatregelen zich richten.
- De focus van de maatregelen: zijn deze vooral gericht op kwaliteit (inclusief inzet op ontwikkeling nieuwe geneesmiddelen zodat de kwaliteit van zorg voor specifieke patiënten verbetert), betaalbaarheid of toegankelijkheid.



Figuur 41. We deelden de beleidsmaatregelen in naar zeven categorieën, met onderscheid naar stappen in geneesmiddelontwikkeling en focus van de maatregelen.

We inventariseerden de aangekondigde en uitgevoerde beleidsmaatregelen op basis van de geneesmiddelenvisie zelf, Kamerbrieven met een periodieke update over het geneesmiddelenbeleid en specifieke Kamerbrieven die over een of meerdere beleidsmaatregelen gingen. Onderstaande tabellen bevatten een overzicht van deze beleidsmaatregelen per categorie. Bij elk type beleidsmaatregel zijn (voorbeelden van) de specifieke acties, programma's of subsidies die weergegeven.

⁷⁵ Voor een deel van de maatregelen geldt dat ze net niet helemaal binnen de afbakening van de categorie passen omdat ze bijvoorbeeld ook een andere fase in het proces van onderzoek tot voorschrijven beïnvloeden of twee doelen tegelijk hebben.

Tabel 6. Beleidsmaatregelen uit categorie 1: stimuleren en subsidiëren onderzoek en ontwikkeling op specifieke gebieden.

Type beleidsmaatregel	Uitwerking via individuele acties, programma's of subsidies
Subsidiëren specifiek onderzoek of samenwerkingsverbanden	Subsidiëren van o.a. Oncode, RegMed XB, Future Affordable and Sustainable Therapies (FAST), Actieprogramma Nieuwe Kansen voor de Topsector LSH (naar aanleiding komst EMA samen met EZK), stimuleren drug rediscovery en repurposing (via Oncode, ZonMw en in EU-verband).
Samenwerken rond Europees weesgeneesmiddelbeleid	Bieden van financiële prikkels voor ontwikkeling geneesmiddelen voor zeldzame ziektes en inzetten op aanpassingen om onbedoelde neveneffecten tegen te gaan (in Europees verband).
Versterken valorisatie kennisinstellingen	Verkennen en inzetten op technology transfer offices (TTO's) bij universiteiten en andere publieke kennisinstellingen.

Tabel 7. Beleidsmaatregelen uit categorie 2: verkennen en stimuleren aanpassingen balans marktstructuur.

Type beleidsmaatregel	Uitwerking via individuele acties, programma's of subsidies
Onderzoeken inzet dwanglicenties	Instellen commissie dwanglicenties (geen gedeelde conclusies mogelijk - inschatting voorzitter: middel lijkt beperkt inzetbaar).
Onderzoeken (effecten van) beschermingsmechanismen en verkennen alternatieven	Onderzoeken naar effecten aanvullende beschermingsmechanismen en inzet op aanpassen (EU-verband), subsidiëren Nationaal Farmaceutisch Kennis-, Ontwikkel- en Opleidingscentrum (NFKOO).
Onderzoeken bestaande en alternatieve businessmodellen	Industrie oproepen om mee te denken over alternatief businessmodel, adviesopdracht verstrekken aan de RVS, onderzoek naar financieel ecosysteem geneesmiddelenontwikkeling.
Inzetten op transparantie over prijsopbouw en alternatieve beprijzing	Organiseren Fair Pricing Forum, inzetten op transparantie via gesprekken met industrie over prijsopbouw, subsidiëren Fair Medicine, in BeNeLuxA verband meer onderlinge transparantie over prijzen stimuleren.
Voorwaarden stellen collectieve financiering onderzoek	Onderzoeken opties om voorwaarden te stellen aan collectieve financiering van onderzoek, inzetten op open acces (publicatie en data) als randvoorwaarde bij ZonMw-subsidies, inzetten op maatschappelijk verantwoord licenseren (instrumentontwikkeling door VSNU samen met NFU).
Verkennen opties magistrale bereiding	Bieden van kaders over wat wel en niet past binnen regelgeving rond magistrale bereidingen (onder andere veiligheid, octrooiwet), kennis bevorderen over magistrale bereidingen (samenwerking stimuleren tussen partijen).

Tabel 8. Beleidsmaatregelen uit categorie 3: anticiperen toekomstige ontwikkelingen.

Type beleidsmaatregel	Uitwerking via individuele acties, programma's of subsidies
Opzetten Horizonscan	Opzetten Horizonscan (via ZIN), doorontwikkelen en uitbreiden van Horizonscan door inzet van experts van stakeholders in werkgroepen
Aanpassen en actualiseren wetgeving nieuwe ontwikkelingen	Aanpassen specifieke wetgeving rond ATMP's op Europees niveau (onder andere herziening Europees bloed, weefsel- en celwetgeving, veiligheid)

Type beleidsmaatregel	Uitwerking via individuele acties, programma's of subsidies
Actualiseren en differentiëren beoordelingskader vergoeding	Verkennen mogelijkheden voor differentiatie (voor onder andere personalised medicines en ATMP's), aanvullende randvoorwaarden toelating (onder andere evaluatie effectiviteit in praktijken en koppelen onderzoekssubsidie gepast gebruik in relatie tot pakketadvies. Verkennen aanvullende en bindende voorwaarden bij toelatingsvraagstukken rond ATMP's.
Verkennen afwegingskader	Verkennen mogelijkheden voor 'praktisch toepasbaar afwegingskader voor maatschappelijk aanvaardbare prijzen dat internationaal breder ondersteund wordt'.

Tabel 9. Beleidsmaatregelen uit categorie 4: optimaliseren en aanscherpen toelatings- en vergoedingsprocedures.

Type beleidsmaatregel	Uitwerking via individuele acties, programma's of subsidies
Opstellen regeling voorwaardelijke toelating	Opstellen (nieuwe) regeling voorwaardelijke toelating voor weesgeneesmiddelen en conditionals, opties voor versnelde beoordeling, ondersteunen DAP en ODAP.
Verkennen Parallele procedures CBG en ZiN	Starten pilot om CBG (markttoelating) en ZiN (kosteneffectiviteit voor vergoeding) parallel te laten werken (positief resultaat) en besluit om dit vanaf 2022 standaard voor bepaalde nieuwe geneesmiddelen te gebruiken.
Verhogen transparantie	Inzetten om samen met ZiN meer informatie te geven over plek van geneesmiddelen in de sluisprocedure en de doorlooptijden, met verzekeraars kijken naar mogelijkheden om meer transparantie geven over proces open instroom (add-on-procedure).

Tabel 10. Beleidsmaatregelen uit categorie 5: stimuleren passend gebruik.

Type beleidsmaatregel	Uitwerking via individuele acties, programma's of subsidies
Stimuleren gebruik biosimilars	Subsidiëren Biosimilars op Maat programma (BOM-programma) van Biosimilars Nederland en het Instituut Verantwoord Medicijngebruik, organiseren expertmeetings, inzetten op monitoren voorschrijven biosimilars.
Stimuleren gepast-gebruikonderzoek	Subsidiëren (en evaluatie van) programma GGG (ZonMw); onderzoeken financieringsgrondslag voor onderzoek naar gepast gebruik (in aansluiting met ZE&GG).
Stimuleren toepassing resultaten gepast-gebruikonderzoek	Subsidiëren programma gepast gebruik dure geneesmiddelen, stimuleren geneesmiddelencommissies ziekenhuizen, stimuleren samenwerking, afstemming en kennis tussen veldpartijen en overheid over resultaten gepast gebruik (onder andere binnen LODG als onderdeel van IPAM).
Maken van gepast gebruik afspraken bij financiële arrangementen	Maken van specifieke afspraken binnen financiële arrangementen over (onderzoek naar) gepast gebruik.
Stimuleren data-infrastructuur uitkomstenonderzoek	Stimuleren opstellen registers voor dataverzameling voor geneesmiddelenonderzoek, programma Regie op Registers Dure Geneesmiddelen (uitvoering door ZiN).
Onderzoeken off-labelgebruik	Onderzoek laten uitvoeren (door RIVM) naar mogelijke problemen en verbeterpunten off-label gebruik geneesmiddelen.

Type beleidsmaatregel	Uitwerking via individuele acties, programma's of subsidies
Versnellen opname geneesmiddelengebruik in richtlijnen	(Voornemen tot) subsidiëren voorgestelde proces van FMS om plaatsbepaling (en opname in richtlijnen) door wetenschappelijke verenigingen te versnellen.

Tabel 11. Beleidsmaatregelen uit categorie 6: Versterken positie prijsonderhandelingen en inkoop.

Type beleidsmaatregel	Uitwerking via individuele acties, programma's of subsidies
Verankeren en continueren sluisprocedures	Wettelijk verankeren sluiscriteria, continueren en doorontwikkelen van procedure en uitbreiding capaciteit betrokken partijen en (per 1 juli 2023) aanpassing sluiscriteria.
Afsluiten weesgeneesmiddelenarrangementen	Afsluiten specifiek weesgeneesmiddelenarrangement met afspraken over doelmatige inzet om kosteneffectiviteit te vergroten.
Stimuleren vergroten inkoopkracht veldpartijen	Faciliteren samenwerking via Landelijk Platform Inkoopkracht, faciliteren LODG en actielijnen in het IPAM (vanuit HLA) op gebied van vergroten onderhandelingspositie decentrale inkoopende partijen, ACM verzoeken om een leidraad gezamenlijk inkoop samenwerkende ziekenhuizen. Stimuleren samenwerking NFU, NVZ en ZN bij inkoop.
Inzetten op internationale samenwerking	Samenwerken binnen BeNeLuxA: informatie-uitwisseling over prijzen, internationale Horizonscan, gezamenlijke beoordelingen en inkoop. Verkennen uitbreiding internationale samenwerking met onder andere Nordic Forum (Scandinavische landen), inzetten op meer informatie-uitwisseling tussen landen over behaalde vertrouwelijke kortingen
Aanpassen Wgp-maximumprijs	Verlagen maximumprijzen door Duitsland te vervangen door Noorwegen in de groep referentielanden.
Verkennen opties pay for performance	Onderzoeken van eventuele meerwaarde van pay for performance opties in vergoedingssysteem.
Overhevelen naar intramuraal kader	Overhevelen geneesmiddelen van extramuraal naar intramuraal bekostigingskader (onder andere M. Gaucher, hematopoëtische groeifactoren, immunoglobulinen).

Tabel 12. Beleidsmaatregelen uit categorie 7: Vergroten inzicht door monitoring en studies.

Type beleidsmaatregel	Uitwerking via individuele acties, programma's of subsidies
Monitoren uitgaven en gebruik	Opdracht geven voor uitvoeren monitors, zoals jaarlijkse Monitor dure geneesmiddelen (NZa) en monitor weesgeneesmiddelen (ZiN), uitbreiding openbare informatie in GIPdatabank.
Opzetten add-on-databank	Faciliteren partijen in het opzetten van een add-on-databank zodat de indicatie van add-ons geregistreerd kan worden.
Uitvoeren onderzoek komst ATMP's	(Laten) uitvoeren onderzoeken naar bijkomende kosten en uitvoeringsvraagstukken rond ATMP's.
Integraal informatiebeeld	Opzetten van (eerste versies van) integraal overzicht van feiten en cijfers op basis van verschillende jaarlijkse rapportages en analyses.