

De Pakketsluit voor dure geneesmiddelen



Een ethische evaluatie



De Pakketsluit voor dure geneesmiddelen

Een ethische evaluatie

Auteurs

Ghislaine van Thiel, Féline Scheijmans, Margot Zomers, Rieke van der Graaf, Hans van Delden, Geert Frederix, Marcel Timmen en Ludo van der Pol.

Met bijdragen van

Marthe Onrust, Sina Fadaei, Roosmarijn van der Wal en Lisa Jansen



Inhoudsopgave

	Samenvatting	4
1	De Pakketsluis: beheersing van kosten voor dure geneesmiddelen	6
2	De Pakketsluis in de (internationale) context	
	2.1 Hoge prijzen van geneesmiddelen	8
	2.2 Europese samenwerking als reactie op hoge prijzen	9
	2.3 Alternatieven voor prijsonderhandelingen	9
3	Ervaringen van direct betrokkenen bij de Pakketsluisprocedure voor het geneesmiddel nusinersen	
	3.1 Pakketsluisprocedure is zorgvuldig maar impact op patiënten en naasten is groot	11
	3.2 Visie op de wachttijd tot vergoeding	12
	3.3 Informatie en betrokkenheid voor meer balans in perspectieven	12
	3.4 Verbetervoorstellen	12
4	De publieke opinie over de Pakketsluis	
	4.1 Opvattingen over overheidsbeleid voor dure geneesmiddelen	14
	4.2 Eensgezindheid over realistische vergoedingsbesluiten	14
	4.3 Opvattingen over financiële verantwoordelijkheid	16
	4.4 Wie moet er mee beslissen?	17
5	Literatuur over Solidariteit en rechtvaardigheid in het vergoedingsbeleid	
	5.1 Bestaande literatuur over solidariteit en rechtvaardigheid bij het vergoeden van extreem dure geneesmiddelen	18
	5.2 Theoretische perspectieven op solidariteit en rechtvaardigheid	20
6	De Pakketsluis beschouwd vanuit solidariteit en rechtvaardigheid	
	6.1 De Pakketsluis toont twee gezichten van solidariteit	24
	6.2 De Pakketsluis benadrukt smalle opvatting van rechtvaardigheid	24
7	Conclusies en aanbevelingen	27
	Dankwoord	27
Bijlagen		
1	Lijst met afkortingen	28
2	Verantwoording onderzoeksmethoden	29
3	Tabellen behorend bij hoofdstuk 4	33

Dit onderzoek is uitgevoerd met steun van ZonMW programma Ethiek en Gezondheid (projectnummer: 854011007) en de Stichting Spieren voor Spieren.

Samenvatting

Dure geneesmiddelen worden niet zomaar vergoed via de basisverzekering, maar komen eerst in de zogenaamde Pakketsluis terecht. Dit is een maatregel van de overheid die bepaalt dat bij dure geneesmiddelen een extra onderzoek moet worden gedaan door het Zorg Instituut Nederland. Het ministerie van VWS gaat bovendien onderhandelen met de fabrikant van het geneesmiddel om de prijs naar beneden te krijgen.

De afgelopen jaren zijn een aantal geneesmiddelen in de Pakketsluis terechtgekomen die voor een maatschappelijke discussie hebben gezorgd. De Pakketsluis is bedoeld om de solidariteit binnen het zorgstelsel te beschermen door de kosten in de hand te houden. Maar het betekent ook dat patiënten langer moeten wachten op een nieuwe behandeling en dat roept de vraag op of dat wel eerlijk is. Dit rapport beschrijft een onderzoek naar hoe rechtvaardigheid en solidariteit worden gewaarborgd bij de Pakketsluis, en hoe dit eventueel beter zou kunnen. Voor het onderzoek hebben we gesproken met betrokkenen bij een Pakketsluisprocedure over hun ervaringen. Daarnaast hebben we een vragenlijstonderzoek gedaan onder de Nederlandse bevolking. Voor de evaluatie vanuit de theorie over solidariteit en rechtvaardigheid hebben we wetenschappelijke literatuur gebruikt.

De gecombineerde bevindingen leiden tot de volgende conclusies:

- Vanuit ethisch perspectief bevindt de Pakketsluis zich in het spanningsveld tussen het belang van een solidair gezondheidszorgsysteem en de onderlinge solidariteit tussen individuen. Deze spanning wordt ervaren door patiënten, burgers, zorgverleners en beleidsmakers.
- Bij het maken van lastige keuzes in dit spanningsveld is het van groot belang dat dit rechtvaardig gebeurt. Een rechtvaardige procedure, zoals voorgesteld met A4R, kan een belangrijke rol spelen in het maatschappelijk draagvlak voor keuzes in de zorg.
- In de Pakketsluis procedure komt de nadruk sterk te liggen op de kosteneffectiviteit van een behandeling uitgedrukt in QALY's. Dit is een internationaal aanvaarde methode, die echter ook belangrijke beperkingen heeft. Dit kan leiden tot grenzen aan de zorg die onrechtvaardig zijn.
- Het grote publiek vindt solidariteit in de gezondheidszorg belangrijk. Er is een zekere bereidheid om hoge kosten van geneesmiddelen te accepteren.
- Zowel het algemene publiek als de partijen die nauw betrokken waren bij een Pakketsluis procedure zien de noodzaak om grenzen te stellen aan de zorg. De zorgvuldigheid en onafhankelijkheid van de beoordeling en de partijen bij de Pakketsluis wordt erkend en gewaardeerd.
- Een belangrijk nadeel van de Pakketsluis is dat de pijn van het stellen van grenzen terechtkomt bij een kleine groep mensen die veelal in een kwetsbare positie zitten. De onzekerheid over de wachttijd en de uitkomst van de procedure berokkenen veel leed. Ook de betrokken zorgverleners raken in een moeilijke positie vanwege hun plicht om de medisch gezien beste zorg te bieden aan hun patiënten.
- De Pakketsluis lost het probleem van hoge kosten van geneesmiddelen niet op omdat de oorzaken elders liggen. Er zijn voorstellen gedaan voor alternatieven voor kostenbeheersing naast de Pakketsluis.

Deze conclusies leiden tot de volgende aanbevelingen voor het verbeteren van de Pakketsluis:

- Het A4R-criterium relevantie vraagt aandacht voor de beperkingen van een beoordelingssysteem met de nadruk op QALY's. Er zou ruimte gemaakt kunnen worden voor een verbreding van de overwegingen bij de beoordeling van een geneesmiddel in de Pakketsluis procedure. Kandidaten daarvoor zijn de aard van de ziekte, aanwezigheid van alternatieve behandelingen, de ziektelast van de te behandelen ziekte en de kans op effect van de behandeling. Dit is met name relevant bij geneesmiddelen waarover nog maar weinig wetenschappelijke kennis is als ze op de markt komen.
- De transparantie kan nog vergroot worden door gedurende de Pakketsluis procedure op vooraf bepaalde tijden informatie te verstrekken aan patiënten en zorgverleners. Dit gebeurt idealiter op basis van mijlpalen en hardere tijdslijnen in het proces waarop de voortgang bewaakt wordt. De informatie moet in begrijpelijke taal beschikbaar zijn.
- Patiënten, hun naasten en zorgverleners kunnen meer betrokken worden bij de Pakketsluis. Hun inbreng versterkt de aandacht voor de menselijke kant en de daarmee samenhangende knelpunten in de procedure.
- De toegang tot een geneesmiddel in de Pakketsluis periode verdient meer aandacht. Vanuit het idee van gelijke toegang is een grote variatie problematisch. Als de overheid hier regelingen voor treft (met de fabrikanten), zijn heldere criteria voor toegang essentieel.
- Een maatschappelijke discussie over de Pakketsluis en het bijbehorende spanningsveld tussen solidariteit in het vergoedingsbeleid en solidariteit met bepaalde (groepen) patiënten is aan te bevelen. Het doel is om inzicht en draagvlak in de samenleving te creëren en om te zoeken naar goede ideeën voor het omgaan met deze spanning.
- Fabrikanten van geneesmiddelen zouden een einde moeten maken aan ongerechtvaardigd hoge prijzen. De overheid moet zich blijven inspannen om verantwoorde prijzen af te dwingen.

HOOFDSTUK 1 De Pakketsluis: beheersing van kosten voor dure geneesmiddelen

De kosten van de gezondheidszorg groeien harder dan het totale inkomen van de Nederlandse bevolking. De uitgaven aan gezondheidszorg kwamen in 2020 uit op ruim 100 miljard euro. In 2011 was dit nog 80 miljard. Het kabinet geeft in de VWS-begroting 2022 aan zich zorgen te maken over de sterk stijgende uitgaven, en ook verzekeraars tonen zich bezorgd: 'de houdbaarheid staat op de lange termijn onder toenemende druk.'¹ Deze realiteit dwingt tot het maken van keuzes in de zorg. Dit probleem is al decennia oud, en stelt de overheid voor de uiterst moeilijke opgave van het nemen van maatregelen om de kosten op eerlijke en effectieve wijze te beheersen. Een deel van die maatregelen richt zich op dure geneesmiddelen, onder meer vanwege het toenemende aantal van deze middelen en groeiend onbegrip over de hoge prijzen. Ook betrof het steeds vaker geneesmiddelen tegen zogenaamde weesziekten. De vreugde over de ontwikkeling van geneesmiddelen voor deze zeldzame en veelal ernstige ziekten werd overschaduwed door de torenhoge prijs die vaak ook nog gepaard ging met mager bewijs voor de werkzaamheid van het geneesmiddel.²

Tot een aantal jaar geleden werden alle geneesmiddelen die in het ziekenhuis worden toegepast min of meer automatisch via de basisverzekering vergoed. In 2015 besloot de minister van volksgezondheid (destijds mevrouw Schippers) om dit te veranderen. Dat besluit leidde uiteindelijk tot de zogenaamde *Pakketsluis*: een beleidsmaatregel van de overheid die de instroom van extreem dure ziekenhuisgeneesmiddelen in het basispakket reguleert. Als er een nieuw middel op de markt komt waarvan de kosten over een bepaalde grens gaan, dan besluit de minister dat dit geneesmiddel in de pakketsluis komt (zie Kader 1).

Een recente pakketsluis procedure die veel aandacht kreeg betrof een geneesmiddel voor de spierziekte Spinale Musculaire Atrofie (SMA) (zie Kader 2). De kritiek en de problemen die hiermee gepaard gingen waren de aanleiding om een evaluatieonderzoek voor te stellen. Het doel was om te onderzoeken wat de bijdrage is van de Pakketsluis aan het behoud of versterken van solidariteit en het bevorderen van rechtvaardigheid in de verdeling van zorg.

In dit onderzoeksrapport wordt een aantal deelonderzoeken beschreven, die allemaal een bijdrage hebben geleverd aan de ethische evaluatie. Het rapport eindigt met conclusies en aanbevelingen voor het verbeteren van de pakketsluis. Omwille van de leesbaarheid is een deel van de informatie in bijlagen opgenomen.

¹ ZN en kabinet zien zorgkosten (nu 100 miljard) nog jaren fors stijgen. Zorgvisie 21 september 2021. https://www.zorgvisie.nl/zn-en-kabinet-zien-zorgkosten-nu-100-miljard-nog-jaren-fors-stijgen/?_ga=2.108213186.1599573221.1640855757-1716129753.1640855757

² Boon W, Martins L, Koopmanschap M. Governance of conditional reimbursement practices in the Netherlands. Health Policy 2015;119:180-185

Kader 1 De Pakketsluit in het kort

De minister plaatst een nieuw geneesmiddel in de pakketsluit als:

- de totale kosten van de behandeling van de nieuwe indicatie hoger zijn dan € 40 miljoen per jaar of;
- de kosten per patiënt per jaar hoger zijn dan € 50.000 én de verwachte totale kosten bedragen meer dan € 10 miljoen per jaar.

De pakketsluitperiode start met de beoordelingsprocedure van het Zorg Instituut Nederland (ZIN). Bij een beoordeling gebruikt ZIN vier criteria:

- Noodzakelijkheid: hoe hoog is de ziektelast voor de patiënt?
- Effectiviteit: hoe goed werkt het geneesmiddel?
- Kosteneffectiviteit: wat kost het middel ten opzichte van wat het oplevert voor de patiënt?
- Uitvoerbaarheid: is opname van de behandeling in het pakket in de praktijk te realiseren?

Twee onafhankelijke commissies adviseren ZIN bij de besluitvorming: de Wetenschappelijke Adviesraad voor de toetsing van de gegevens aan de stand van de wetenschap en praktijk en het bepalen van de kosteneffectiviteit, en de Adviescommissie Pakket voor de maatschappelijke afweging. Ook worden belanghebbende partijen tijdens het proces geconsulteerd. Na advies van het ZIN kan de minister prijsonderhandelingen starten met de fabrikant van het geneesmiddel.

Zodra de minister de onderhandeling heeft afgerond en besluit het geneesmiddel – soms onder voorwaarden – op te nemen in het basispakket is het proces afgerond.

Kader 2 Pakketsluitprocedure nusinersen

Deze procedure betrof een geneesmiddel voor de spierziekte Spinale Musculaire Atrofie (SMA). Deze ziekte treft 1 op de 6.000 tot 10.000 pasgeborenen en is daarmee een belangrijke genetische aandoening die leidt tot sterfte of ernstige invaliditeit op de baby en kinderleeftijd. De ziekte varieert in ernst en op basis daarvan zijn er vier typen SMA onderscheiden. Type 1 is de meest ernstige – en helaas ook meest voorkomende – vorm. Kinderen met SMA type 1 overlijden zonder behandeling meestal in het eerste levensjaar. Kinderen met type 2 en 3 hebben in de eerste levensjaren een vertraagde motorische ontwikkeling. Ze leren bijvoorbeeld heel laat zitten en laat of helemaal niet lopen. Naarmate hun spierkracht verder achteruitgaat, verliezen deze kinderen hun eerder opgedane motorische vaardigheden en raken ze steeds ernstiger gehandicapt. Ook bij mensen met type 4 (volwassenen) is de spierkracht en motorische functie aangetast en gaat deze steeds verder achteruit.

Er bestond geen behandeling voor deze ziekte toen het middel nusinersen eind mei 2017 op de Europese markt kwam. De behandeling zou rond de €500.000 per patiënt kosten in het eerste jaar (voor zes injecties) en daarna halveren omdat nog maar drie injecties per jaar nodig zijn. Vanwege de prijs kwam nusinersen in de pakketsluit terecht. Het ZIN kwam tot de conclusie dat nusinersen niet kosteneffectief was: er zou 85% van de prijs af moeten om het naar de maatschappij te kunnen verantwoorden. Daarom adviseerde ZIN de minister in eerste instantie om het niet op te nemen in de basisverzekering.

Na onderhandelingen tussen de minister en de fabrikant werd nusinersen vanaf 1 augustus 2018 vergoed voor drie groepen jonge kinderen met SMA. Dit besluit kwam er in de praktijk op neer dat kinderen met SMA met nusinersen behandeld konden worden als zij hier voor de leeftijd van 9,5 jaar mee startten. In mei 2019 werd een nieuw dossier over nusinersen in behandeling genomen. Op basis daarvan is vanaf 1 januari 2020 voorwaardelijke toelating tot het basispakket toegekend voor patiënten met SMA van alle leeftijden. De voorwaarde voor behandeling is dat patiënten deelnemen aan het onderzoek naar de effectiviteit en kosteneffectiviteit van nusinersen. Deze regeling geldt voor zeven jaar. Die periode wordt gebruikt om nader onderzoek te doen naar de effectiviteit van het geneesmiddel.

HOOFDSTUK 2 De Pakketsluis in de (internationale) context

Tijdens dit onderzoek is vaak ter sprake gekomen dat de Pakketsluis probleem van extreem hoge prijzen van geneesmiddelen wel duidelijk maakt, maar niet oplost. De last van de hoge prijzen komt door de Pakketsluis vooral te liggen bij de minst draagkrachtige partij: de patiënt die hoopt op een (beter) werkzaam geneesmiddel. En de overheid laadt met de Pakketsluis de verantwoordelijkheid op zich om te dure geneesmiddelen binnen redelijke tijd beschikbaar te krijgen voor een aanvaardbare prijs. In dit hoofdstuk besteden we kort aandacht aan de context van de Pakketsluis: hoge prijzen van geneesmiddelen en initiatieven om deze naar beneden te krijgen.

2.1 Hoge prijzen van geneesmiddelen

Volgens fabrikanten zijn de hoge prijzen gerechtvaardigd door kosten van onderzoek en ontwikkeling. De schattingen van de gemiddelde kosten van het ontwikkelen van geneesmiddelen lopen echter sterk uiteen, van enkele honderden miljoenen tot een paar miljard.³ Een belangrijk deel van het onderzoek naar nieuwe behandelingen wordt aan universiteiten uitgevoerd en gefinancierd met publiek geld. Fabrikanten van geneesmiddelen kunnen bovendien hulp krijgen (zowel praktisch als financieel) bij het op de markt brengen van geneesmiddelen tegen zeldzame ziekten. Dit is vastgelegd in internationale regelgeving. Veel van de geneesmiddelen die onder deze regels op de markt gebracht worden zijn extreem duur. De fabrikant krijgt een langdurig patentrecht voor de Europese markt. Het patent biedt bescherming tegen concurrentie, waardoor de prijs langdurig hoog kan blijven. Dit wordt nog versterkt door het feit dat een nieuw geneesmiddel in de regel beschermd is door meerdere patenten, vaak tientallen. Dit wordt de octrooi muur of *patentwall* genoemd.⁴

Van geneesmiddelen voor zeldzame aandoeningen is inmiddels aangetoond dat de kosten voor onderzoek en ontwikkeling waarschijnlijk lager liggen dan de kosten voor gewone geneesmiddelen en bedrijven meer winst maken over dit soort geneesmiddelen dan over gewone geneesmiddelen.^{5,6} De rol van het bedrijfsleven bij het kostenprobleem valt buiten dit evaluatieonderzoek naar de Pakketsluis. Het is wel een belangrijk element van de context van de Pakketsluis. Het maatschappelijke en politieke debat erover is ook niet nieuw. Fabrikanten kunnen zich daardoor steeds moeilijker onttrekken aan een maatschappelijke verantwoordelijkheid. In 2020 publiceerde de Vereniging voor Innovatieve Geneesmiddelen (VIG) een Code die tot doel heeft Nederlandse (vestigingen van) bedrijven te houden aan een aantal kernwaarden. Prijsstelling komt in deze Code aan de orde, als onderdeel van de kernwaarde maatschappelijke verantwoordelijkheid.⁷

³ Raad voor Volksgezondheid en Samenleving. Ontwikkeling nieuwe geneesmiddelen. Beter, sneller, goedkoper. Den Haag, 2017:20

⁴ Raad voor Volksgezondheid en Samenleving. Ontwikkeling nieuwe geneesmiddelen. Beter, sneller, goedkoper. Den Haag, 2017:45

⁵ Berdud et al. Establishing a reasonable price for an orphan drug. *Cost Eff Resour Alloc.* 2020; 18:31.

⁶ Hughes DA and J Poletti-Hughes. Profitability and Market Value of Orphan Drug Companies: A Retrospective, Propensity-Matched Case-Control Study. *PLoS ONE* 11(10): e0164681.

⁷ Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen. Code. Via: <https://vig-platform-axaxzmkc.netdna-ssl.com/production/documents/CODE-uitgave-8-juli-2021.pdf>

2.2 Europese samenwerking als reactie op hoge prijzen

Met name kleinere landen realiseren zich dat er veel winst te behalen is door Europese samenwerking. Een voorbeeld van zo'n samenwerking is het BENELUXA-initiatief. Daarin bundelen Nederland, België, Luxemburg, Oostenrijk en Ierland de krachten voor de kosteneffectiviteitsbeoordeling en de prijsonderhandelingen. Dat bespaart tijd en geeft landen met een kleine afzetmarkt een betere onderhandelingspositie. De ervaring wijst uit dat internationale samenwerking niet automatisch leidt tot gelijke toegang tot een geneesmiddel voor patiënten.⁸ Individuele landen nemen een eigen besluit over de indicatie, dat wil zeggen over de patiëntengroep waarvoor het middel vergoed wordt. Ook zijn er per land verschillen in grootte van het zorgbudget en welk percentage daarvan wordt gependeed aan (extreem) dure geneesmiddelen. Dit werkt door in de beslissingen over welke patiënten welke geneesmiddelen kunnen krijgen.

2.3 Alternatieven voor prijsonderhandelingen

In 2017 wees de Raad voor Volksgezondheid en Samenleving (RVS) op de noodzaak om alle mogelijkheden te benutten om de geneesmiddelenprijzen te beteugelen.⁹ Concreet gaat het om dwanglicenties, stimulering van apothekbereiding, toestaan dat patiënten op recept van een arts zelf geneesmiddelen via internet bestellen en aanpak van misbruik van machtspositie door fabrikanten. De RVS stelt dat de overheid hiermee fabrikanten kan aanpakken die niet bereid zijn maatschappelijk aanvaardbare prijzen te rekenen. Om te illustreren dat zulke routes ook in Nederland en ons omringende landen worden bewandeld staan enkele voorbeelden in Kader 3.

Kader 3 Voorbeelden van maatregelen tegen hoge prijzen

In 2021 is een wetsvoorstel ingediend over dwanglicenties voor geneesmiddelen en medische hulpmiddelen.¹⁰ Bij zo'n dwanglicentie wordt het mogelijk dat meerdere bedrijven het geneesmiddel gaan maken en de prijs door concurrentie daalt. Andere Europese landen, zoals Italië en Frankrijk hebben eerder al dwanglicenties afgegeven.

De Nederlandse Zorgautoriteit (NZa) maakte het mogelijk dat een apotheek geneesmiddelen die zij zelf bereiden vergoed krijgen, ook als er een commercieel alternatief is. Daardoor is er meer ruimte voor apothekers om dure geneesmiddelen zelf te maken als dat goedkoper is.

De Autoriteit Consument en Markt (ACM) doet sinds 2018 onderzoek naar misbruik van de machtspositie door geneesmiddelenfabrikanten. In 2021 legde de ACM een hoge boete op aan het bedrijf Laediant voor het rekenen van een excessieve prijs voor het geneesmiddel CDCA.¹¹

⁸ Czech et al. A Review of Rare Disease Policies and Orphan Drug Reimbursement Systems in 12 Eurasian Countries. *Frontiers in Public Health*. 2020 (7);416.

⁹ Raad voor Volksgezondheid en Samenleving. *Ontwikkeling nieuwe geneesmiddelen. Beter, sneller, goedkoper*. Den Haag, 2017:45

¹⁰https://www.parlement.com/id/vli3stgh09xo/nieuws/wetsvoorstel_ingediend_35809_rijkswet?ctx=vkipib6gd7ze

¹¹ <https://www.acm.nl/nl/publicaties/boetebesluit-leadiant-voor-excessieve-prijs-geneesmiddel-cdca>

Samengevat

- De Pakketsluis is een maatregel om directe vergoeding van geneesmiddelen met een extreem hoge prijs tegen te gaan. De Pakketsluis is niet voldoende om de oorzaken van dit probleem aan te pakken. De verantwoordelijkheid voor aanvaardbare prijzen ligt primair bij de fabrikanten van geneesmiddelen.
- In reactie op de toenemende kosten is Nederland betrokken bij verschillende binnen- en buitenlandse initiatieven gericht op onderhandelen over de prijzen met de fabrikant.
- Naast de Pakketsluis neemt de overheid ook nog andere maatregelen om maatschappelijk aanvaardbare prijzen voor geneesmiddelen te bewerkstelligen.

HOOFDSTUK 3 Ervaringen van directbetrokkenen bij de Pakketsluisprocedure voor het geneesmiddel nusinersen

De pakketsluis heeft sinds de invoering stof doen opwaaien en een aantal sluisprocedures trok veel media-aandacht. Voor deze evaluatie van de Pakketsluis zijn diepte-interviews gehouden met directbetrokkenen bij de pakketsluisprocedure rondom het geneesmiddel nusinersen. Zie voor een beknopte beschrijving van deze casus Kader 2. We spraken met ouders van patiëntjes, met zorgverleners en met vertegenwoordigers van de overheid, een zorgverzekeraar, de patiëntenvereniging en de fabrikant van nusinersen. We vroegen de geïnterviewden niet alleen naar hun ervaringen en knelpunten maar ook naar ideeën voor verbetering. In dit hoofdstuk zijn de belangrijkste resultaten van de interviews beschreven.

3.1 De Pakketsluisprocedure is zorgvuldig maar impact op patiënten en naasten is groot

In het algemeen erkenden alle betrokkenen dat kostenbeheersing in de gezondheidszorg noodzakelijk is en dat de Pakketsluis een manier is om kosten te verlagen. Er was ook vertrouwen in de onafhankelijkheid en zorgvuldigheid van de procedure. Daar staat tegenover dat de negatieve impact op patiënten, hun naasten en ook op zorgverleners, groot was.

Onzekerheid en machteloosheid weegt zwaar

De ouders van patiënten en ook de zorgverleners stonden tijdens de Pakketsluis procedure van nusinersen onder hoge druk. Gevoelens van onzekerheid, machteloosheid en onrechtvaardigheid vormden een zware last. Een ouder vertelde:

“Voor ons was dat hele heftige periode want je voelt je gewoon machteloos. Je denkt er is iets en ik kan het niet kopen bij de supermarkt; hoe kom ik eraan? Ik wil gewoon dat mijn kind dat krijgt. Wij waren op dat moment echt wanhopig omdat het steeds slechter ging met ons kind.”

Ouders hadden moeite om blij te zijn als hun kind uiteindelijk wel behandeld kon worden, omdat ze meeleefden met andere ouders, die een kind hadden dat net te oud was om voor vergoeding in aanmerking te komen. De wanhoop van de ouders en de leeftijdsgrens van 9,5 jaar voor de behandeling met nusinersen leidde ook bij de betrokken zorgverleners tot gevoelens van machteloosheid en onrechtvaardigheid. Ze vonden de keuze voor deze grens moeilijk te verdedigen en van een hoog theoretisch gehalte. Dat maakte het extra moeilijk om de pijnlijke boodschap te brengen aan patiënten en hun ouders die buiten de boot vielen, en om hun te ondersteunen in de wachttijd. Daarbij hadden zorgverleners er last van dat de behandeling met nusinersen in principe beschikbaar was, maar dat ze hun patiënten niet konden behandelen en er ook geen alternatief was. Een van hen formuleerde dit als volgt:

“Ik bedoel, je kan er misschien leuk een afkapgrens mee formuleren, maar is die betekenisvol genoeg vol om op te wegen tegen die plicht van die dokter om niet op oneigenlijke gronden....?, De dokter heeft nog altijd zelf die plicht en dat voelen anderen waarschijnlijk ook gewoon. Dat wringt ergens dat het niet rechtvaardig is.”

3.2 Visie op de wachttijd tot vergoeding

Het feit dat nusinersen in enkele ons omringende landen eerder vergoed werd dan in Nederland, versterkte het gevoel dat de toegang te lang op zich liet wachten. De betrokken beleidsmakers hadden begrip voor de last van het wachten, maar wezen er ook op dat in vergelijking met het buitenland, Nederland een toppositie inneemt waar het gaat om het totale pakket geneesmiddelen dat vergoed wordt en de gemiddelde tijd tot toegang. Daarnaast vroegen beleidsmakers in dit verband aandacht voor de soms onrealistisch hoge verwachtingen over effectiviteit van het geneesmiddel die bijvoorbeeld op sociale media werden voorgespiegeld.

3.3 Informatie en betrokkenheid voor meer balans in perspectieven

De betrokkenen hadden tijdens het Pakketsluit proces behoefte aan informatie en transparantie. De mate waarin die ervaren werden loopt uiteen. Sommige ouders van patiënten hadden een publieksbijeenkomst bijgewoond en vonden dat ze daardoor goed op de hoogte waren gebracht. Andere ouders en ook sommige zorgverleners vroegen zich af wat zich achter de schermen afspeelt tijdens de procedure, wie er betrokken zijn bij de besluitvorming en welke zorg verleend kan worden als een geneesmiddel in de Pakketsluit zit. Ook beleidsmakers wisten niet altijd of een geneesmiddel door de fabrikant beschikbaar wordt gesteld in afwachting van de uitkomst van de Pakketsluitprocedure. Het feit dat er geen vooraf vastgestelde tijdslijnen zijn voor de Pakketsluit procedure draagt bij aan de gevoelens van onzekerheid van ouders. Ook beleidsmakers hebben behoefte aan meer helderheid over wat er precies verwacht wordt van de betrokken partijen, welke mijlpalen gehaald moeten worden en wat daarvoor de beschikbare tijd is.

3.4 Verbetervoorstellen

In de visie van ouders en zorgverleners werd hun perspectief onvoldoende gewogen in de uitvoering van de Pakketsluit. Zij willen meer betrokken zijn en invloed krijgen om naast de kosten ook de menselijke kant aandacht te geven. Daarnaast pleitten zowel beleidsmakers als zorgverleners als ook ouders van patiënten ervoor om de tijdslijnen helder te maken en af te stemmen op het ziektebeeld. Mensen met ziekten die snel verslechteren zouden dan sneller toegang moeten kunnen krijgen dan mensen met stabiele ziekte. Sommige zorgverleners en patiëntvertegenwoordigers pleitten voor een uitzondering voor behandelingen voor zeldzame ziekten. Het vergaren van gegevens over de effectiviteit van deze geneesmiddelen is een langdurig traject vanwege de kleine patiëntengroepen, en dit is een probleem voor de kosteneffectiviteitsanalyses die centraal staan in de Pakketsluit.

Samengevat

- De Pakketsluitprocedure van het geneesmiddel nusinersen had een grote impact op patiënten, hun ouders en de betrokken zorgverleners.
- Een groot deel van de patiënten had geen toegang tot het geneesmiddel toen het in de Pakketsluit zat. Het wachten op een uitkomst was extra moeilijk voor ouders die hun kind (verder) achteruit zagen gaan.

- De leeftijdsgrens van 9,5 jaar voor vergoeding werd gezien als te veel ingegeven door theorie. Ouders en zorgverleners vinden dat de menselijke kant meer betrokken moet worden bij de besluitvorming
- Er is behoefte aan meer informatie over de Pakketsluis zelf, bijvoorbeeld over wie betrokken zijn en hoe de besluitvorming precies gaat. Ook pleiten betrokkenen voor meer duidelijkheid over de stappen die genomen worden, bijvoorbeeld door het vaststellen van tijdslijnen

HOOFDSTUK 4 De publieke opinie over de Pakketsluis

Het verdelen van schaarse middelen in de zorg is een maatschappelijke kwestie die alle burgers aangaat. In deze evaluatie is daarom ook onderzoek gedaan naar de opvattingen van het algemene publiek. Dit onderzoek is uitgevoerd in samenwerking met onderzoeksbureau Kantar Public en betrof een vragenlijst die is ingevuld door een representatieve groep respondenten. In dit hoofdstuk worden de belangrijkste resultaten besproken. De belangrijkste tabellen staan in Bijlage 3.

4.1 Opvattingen over overheidsbeleid voor dure geneesmiddelen

De burgers die meewerkten aan ons onderzoek beantwoordden een aantal vragen over de wijze waarop de samenleving en de overheid (moeten) omgaan met vergoeding van dure geneesmiddelen. Aan alle deelnemers is gevraagd om te kiezen uit vier voorstellen voor het omgaan met dure geneesmiddelen (zie Kader 4). Systeem 3 – dat het meeste op de Pakketsluis lijkt – kreeg de meeste stemmen (40%). Ruim 36% van de respondenten was van mening dat alle geneesmiddelen - ongeacht de kosten - voor vergoeding in aanmerking moeten komen (systeem 1). De groep die systeem 4 koos en dus geen enkel duur geneesmiddel via de basisverzekering wil vergoeden was nog geen 3%. Dit getuigt van draagvlak voor solidariteit met patiënten die afhankelijk zijn van dure geneesmiddelen.

Kader 4 Vergoedingssystemen voor dure geneesmiddelen

In systeem 1 worden ook heel dure behandelingen allemaal vergoed en beschikbaar gesteld. Patiënten die deze behandelingen nodig hebben kunnen dan allemaal worden behandeld, maar de overheid zal gedwongen zijn om op andere gebieden keuzen te maken in de zorg.

In systeem 2 wordt een duur geneesmiddel in eerste instantie vergoed en beschikbaar gesteld voor patiënten. Op een later moment volgt dan alsnog een beoordeling. Daardoor kan deze beslissing teruggetrokken worden en moet de behandeling van patiënten alsnog stoppen.

In systeem 3 moeten patiënten eerst een periode wachten totdat een duur geneesmiddel vergoed en beschikbaar gesteld wordt, maar als deze beslissing eenmaal genomen is, lopen patiënten geen risico dat hun behandeling op een later moment stopgezet moet worden.

In systeem 4 worden geneesmiddelen die heel duur zijn helemaal niet meer vergoed en beschikbaar gesteld voor patiënten. Patiënten die deze dure geneesmiddelen nodig hebben blijven verstoken van deze behandeling.

Ondanks de steun hadden veel burgers ook moeite met de Pakketsluis: bijna twee derde vond desgevraagd dat de Pakketsluis geen terechte maatregel is. De reden was dat patiënten er niets aan kunnen doen dat ze een duur geneesmiddel nodig hebben of omdat men het onverantwoord vond patiënten te laten wachten.

4.2 Eensgezindheid over realistische voorbeelden van vergoedingsbesluiten

De respondenten kregen vier realistische voorbeelden van dure geneesmiddelen met daarbij de vraag of zij van mening waren dat het betreffende geneesmiddel via de basisverzekering vergoed zou moeten worden. Deze voorbeelden zijn weergegeven in Kader 5-8. Twee

geneesmiddelen moesten volgens een overgrote meerderheid vergoed worden: B en D. Bij de twee anderen (A en C) was een grote meerderheid juist tegen vergoeding. Bij deze keuzen blijkt (kosten-)effectiviteit voor burgers een belangrijke overweging. Een deel van de respondenten was tegen vergoeding omdat ze menen dat fabrikanten een signaal moeten krijgen dat de prijzen onacceptabel hoog zijn. Bij het geneesmiddel D tegen de zeldzame spierziekte SMA – dat men wel vergoed wilde zien – speelde naast effectiviteit ook een belangrijke rol dat patiënten steeds verder achteruitgaan en er geen alternatief was voor de dure behandeling. De dure behandeling B voor chronische darmziekte, moest volgens de meeste respondenten vergoed worden omdat het veel lijden bespaart bij mensen die langdurig met de symptomen van de ziekte moeten leven. De minderheid van de respondenten die vergoeding van de middelen B en D afwees, deed dat omdat fabrikanten volgens hen een signaal moeten krijgen dat de prijzen onacceptabel hoog zijn of omdat er een goedkoper alternatief was.

Kader 5 Voorbeeld van duur geneesmiddel A

Dit is een medicijn voor de behandeling van een levensbedreigende vorm van kanker die vooral bij oudere mensen voorkomt (> 55 jaar). Het medicijn geeft de patiënt een kans op levensverlenging van enkele maanden. Het middel heeft ook bijwerkingen: kortademigheid, vermoeidheid, misselijkheid, braken en koorts komen het meest voor.

Er zijn geen andere levensverlengende behandelingen mogelijk. Patiënten gebruiken de behandeling hooguit enkele maanden. De kosten zijn gemiddeld €100.000 per patiënt. Per jaar komen naar schatting 300 patiënten in aanmerking. Als alle patiënten behandeld worden kost dit de overheid bij elkaar bijna 30 miljoen euro per jaar.

Kader 6 Voorbeeld van duur geneesmiddel B

Dit is een medicijn voor de behandeling van een chronische darmziekte. De ziekte komt vooral voor bij patiënten in de leeftijd van 25 en 60 jaar en heeft een grote impact op de kwaliteit van leven. Het medicijn geneest de ziekte niet, maar onderdrukt de klachten. Er zijn andere behandelingen mogelijk maar die zijn minder effectief. Patiënten moeten de behandeling jarenlang blijven gebruiken. De kosten zijn ongeveer €20.000 per patiënt per jaar. Per jaar komen naar schatting 800 patiënten in aanmerking. Als alle patiënten behandeld worden kost dit de overheid bij elkaar zo'n 16 miljoen euro per jaar.

Kader 7 Voorbeeld van duur geneesmiddel C

Dit is een medicijn voor de behandeling van patiënten met Alzheimer dementie. Deze ziekte komt vooral bij oudere mensen voor (>65 jaar) en patiënten hebben geheugenklachten, gedragsproblemen en veranderingen in karakter. Het medicijn moet ervoor zorgen dat de ziekte een beetje vertraagt, maar of het echt werkt is onzeker. Er zijn andere behandelingen mogelijk, maar ook die hebben beperkt effect. Patiënten moeten de behandeling jarenlang blijven gebruiken. De kosten zijn €50.000 per patiënt per jaar. Per jaar komen naar schatting een kleine 5000 patiënten in aanmerking. Als alle patiënten behandeld worden kost dit de overheid bij elkaar ruim 240 miljoen euro per jaar.

Kader 8 Voorbeeld van duur geneesmiddel D

Dit is een medicijn voor de behandeling van patiënten met een erfelijke spierziekte. Patiënten met deze ziekte hebben van jongs af aan klachten en de ziekte leidt tot ernstige lichamelijke handicaps en is soms dodelijk. Het medicijn zorgt ervoor dat een meerderheid van de kinderen zich beter ontwikkelt en minder handicaps heeft. Over het effect bij volwassenen is niets bekend. Er zijn geen andere behandelingen mogelijk. Patiënten moeten de behandeling jarenlang blijven gebruiken. De kosten zijn €350.000 per patiënt per jaar. Per jaar komen naar schatting 85 patiënten in aanmerking. Als alle patiënten behandeld worden kost dit de overheid bij elkaar 30 miljoen euro per jaar.

4.3 Opvattingen over financiële verantwoordelijkheid

en overgrote meerderheid vond dat een duur geneesmiddel tijdens de Pakketsluisprocedure beschikbaar moet zijn voor patiënten die ervoor in aanmerking komen. Over wie de kosten daarvoor moet dragen – de overheid of de fabrikant – lopen de meningen uiteen. Iets meer dan de helft koos in het algemeen voor de fabrikant. Dat verschoof echter als het gaat om een geneesmiddel voor een levensbedreigende ziekte, wanneer patiënten geen alternatief hebben, als de ziekte onomkeerbaar zal verergeren door uitstel van de behandeling en als de patiënten kinderen zijn. Dan was een meerderheid van mening dat de overheid de kosten moet dragen.

Een ethisch beladen vraag is of patiënten die de kosten zelf willen betalen, toegang moeten krijgen tot een geneesmiddel – ook al zit het in de Pakketsluis. Bijna 45% was daartegen, meestal omdat dit leidt tot ongelijkheid in toegang tot zorg. Ongeveer een derde van de respondenten vond het wel acceptabel.

Een ander maatschappelijk discussiepunt is zogenaamde *medische crowdfunding*. Daarbij halen mensen geld op via online platforms voor een operatie of behandeling (vaak in het buitenland). Zowel artsen als ethici wijzen op de risico's en nadelen.^{12 13}

Kader 9 Crowdfunding voor de buurjongen

Uw buurjongetje van 1,5 jaar oud blijkt een zeldzame ziekte te hebben. Als hij niet wordt behandeld zal hij nooit leren lopen, mogelijk afhankelijk zijn van beademing en mogelijk zelfs jong overlijden. Er is een duur geneesmiddel beschikbaar dat uw buurjongen een kans biedt op een normale levensverwachting en een leven met minder handicaps.

Echter, in Nederland zit dit geneesmiddel in de Pakketsluis. De kosten van €1,9 miljoen per patiënt worden niet vergoed. In Nederland krijgen patiënten het middel ook niet als ze er zelf voor betalen. Uw burens, de ouders van het jongetje, starten een crowdfunding actie om de behandeling met het dure geneesmiddel elders in Europa te kunnen bekostigen.

¹² Gestel M van. Medisch crowdfunden in opkomst – medici waarschuwen voor 'schaduwzijde'. De Volkskrant 7 juni 2019

¹³ Centrum voor Ethiek en Gezondheid. Medische crowdfunding. Een ethische verkenning van online inzamelacties. Den Haag, 2022.

In ons onderzoek vroegen we aan het publiek of zij zouden bijdragen aan een medische crowdfunding actie (zie Kader 9). Ruim driekwart zou dat doen. Meestal omdat ze zich voorstelden dat ze zelf in deze situatie zouden zitten. De mensen die niet zouden bijdragen hadden daarvoor verschillende redenen, maar het vaakst werd genoemd dat door deze crowdfunding actie de ongelijkheid tussen patiënten toeneemt omdat er ook ouders zijn die het bedrag niet bij elkaar krijgen.

Als laatste deel van de vragenlijst kregen de respondenten de vraag of ze bereid zouden zijn om meer verzekeringspremie te betalen, als daarmee niet alleen hun buurjongetje maar alle kinderen met dezelfde ziekte de dure behandeling kunnen krijgen. Ongeveer de helft was daartoe bereid en van deze mensen vond een kleine 40% een premiestijging van 2% acceptabel. Dit is ongeveer €30 per jaar en €2,40 per maand. Bijna 40% accepteerde ook een stijging met 5%, wat neerkomt op ongeveer €75 per jaar en € 6,25 per maand. De respondenten die geen premieverhoging wilden, noemden daarvoor uiteenlopende redenen. Een kwart gaf aan het niet te kunnen betalen. Een even grote groep respondenten wilde geen premieverhoging omdat alleen kinderen met deze ziekte hiermee geholpen zijn en andere patiënten die dure geneesmiddelen nodig hebben niet.

4.4 Wie moet er meebeslissen over vergoeding?

Als een geneesmiddel in de Pakketsluit zit, wordt het wetenschappelijk bewijs over de effectiviteit en de prijs beoordeeld door speciaal daarvoor opgerichte commissies. Hun adviezen gaan naar de minister. Die beslist vervolgens om het geneesmiddel wel of niet te vergoeden. In ons onderzoek is gevraagd wie volgens de respondenten in deze commissies zou moeten plaatsnemen en dus betrokken zou moeten zijn bij vergoedingsbesluiten. Artsen, wetenschappers en patiënten werden door een meerderheid gekozen. Andere partijen, waaronder ziekenhuisbestuurders, burgers en vertegenwoordigers van farmaceutische bedrijven zag men in meerderheid liever niet in deze commissies.

Samengevat

- Uit dit publieksonderzoek komt het beeld naar voren dat de meeste burgers in Nederland solidair zijn met patiënten die dure geneesmiddelen nodig hebben.
- Een hele kleine minderheid was van mening dat dure geneesmiddelen niet in het basispakket thuishoren.
- Er is onder het algemene publiek een zeker draagvlak voor een procedure zoals de Pakketsluit. Burgers vinden dat niet alle dure geneesmiddelen vergoed moeten worden.
- De meeste burgers hebben daarnaast ook bezwaren tegen de Pakketsluit. Dit omdat men veel belang hecht aan gelijke toegang tot de zorg.

HOOFDSTUK 5 Literatuur over solidariteit en rechtvaardigheid in het vergoedingsbeleid

In deze evaluatie is het doel om duidelijk te krijgen wat het effect van de Pakketsluis is op twee belangrijke ethische uitgangspunten: solidariteit en rechtvaardigheid. Een sterke nadruk op solidariteit loopt als een rode draad door de geschiedenis van het Nederlandse gezondheidszorgstelsel heen.¹⁴ Daarnaast is rechtvaardigheid een fundamenteel ethisch principe in het optreden van de overheid in het algemeen en dus ook in het keuzebeleid. Als de pakketsluis zorgt voor het behoud van deze twee kernwaarden in de zorg, dan is dit beleid voor kostenbeheersing in lijn met fundamentele ethische principes van het gezondheidszorgsysteem in Nederland.

5.1 Bestaande literatuur over solidariteit en rechtvaardigheid bij het vergoeden van extreem dure geneesmiddelen

Het verdelen van schaarse middelen in de gezondheidszorg is een lang bestaand probleem dat regeringen in veel landen tot keuzen dwingt. Er is zeer veel gepubliceerd over de ethische aspecten van deze keuzeproblematiek. In dit onderzoek zochten we specifiek naar publicaties over solidariteit en rechtvaardigheid in het vergoedingsbeleid voor dure geneesmiddelen. Het blijkt dat er veel meer geschreven is over rechtvaardigheid dan over solidariteit. We vonden geen artikelen die uitsluitend over solidariteit gaan in dit verband. Er worden uiteenlopende theorieën en principes van rechtvaardigheid aangehaald. In één artikel worden solidariteit en rechtvaardigheid aan elkaar gerelateerd. De auteur beschrijft het concept van 'just solidarity' en stelt dat solidariteit – die is ingegeven door een gevoel van compassie – bekeken moet worden vanuit een rechtvaardigheidsperspectief:

"(...) acts of health care compassion are not necessarily above or beyond critical consideration from the perspective of health care justice. In other words, acts of compassion are not intrinsically self-justifying, especially when social or public resources are the means through which those compassionate acts are carried out."¹⁵

Rechtvaardigheid is in de literatuur een aantal keer uitgewerkt in het kader van dure geneesmiddelen:

- Het toepassen van kosteneffectiviteitsanalyse of daaraan gerelateerde methoden zoals het berekenen van QALY's is veruit de meest genoemde manier om tot rechtvaardige besluiten te komen over vergoeding. Zie Kader 10 voor een beknopte uitleg. Achter het gebruik van QALY's voor maken van keuzen in de zorg ligt de wens om de hoogste opbrengst voor de grootste groep te bereiken. De belangrijkste kritiek op deze benadering is dat mensen met ernstige zeldzame ziekten nooit aan de beurt komen. Enkele auteurs stellen voor om dit te corrigeren door de belangen van individuen meer voorop te stellen en die van groepen minder:

¹⁴ Bertens RM. Liberal Solidarity. Guaranteeing Access to Dutch Health Care Under the Banner of Private Initiative, 1848-2015. Utrecht: UMC Repository (Dissertation); p 23. <http://dspace.library.uu.nl/handle/1874/401846>

¹⁵ Fleck LM. Just solidarity: The Key to Fair Health Care Rationing. *Diametros*. 2015;43:44-45.

"Applying an egalitarian principle to the distribution of QALYs could mean that every person is not just considered to be a converter of resources into QALYs, but that every individual is regarded as somebody who has the right to equal consideration of his or her needs."¹⁶

- Op basis van verschillende theoretische uitgangspunten wordt in de literatuur gepleit voor voorrang voor de mensen die 'het slechtste af zijn' bij het verdelen van schaarse middelen. Als achtergrond spelen ook hierbij zogenaamde egalitaristische theorieën een grote rol:

"As it has been established that equal opportunity is considered crucial for justice and that some form of compensation for disadvantages hindering individuals from having equal opportunity is required, and since it is indubitable that genetic diseases cause disadvantages for individuals that prohibit them from enjoying equal opportunities, justice requires compensation for such disadvantages."¹⁷

- Enigszins in het verlengde van het principe dat mensen die het slechtste af zijn voorrang moeten krijgen, liggen twee andere voorstellen: zorg voor een respectabele ondergrens en de 'rule of rescue' die wijst op een plicht om het leven van mensen te redden waar mogelijk. Het laatste uitgangspunt wordt vertaald in de stelling dat levensreddende behandelingen altijd vergoed moeten worden, ongeacht de kosten.
- Een iets andere uitwerking is het uitsluiten van behandelingen waarvan de werking niet of onvoldoende bewezen is. De effectiviteit komt dus centraal te staan. Naast rechtvaardigheid is dit ook voor solidariteit van belang: solidariteit met onbewezen therapieën kan volgens deze benadering niet worden gevraagd van burgers.
- Ten slotte komt de zogenaamde Accountability for Reasonableness (A4R) methode verschillende keren aan de orde. Deze stelt eisen aan de besluitvorming rond de vergoeding van dure geneesmiddelen met als doel een rechtvaardig proces van besluitvorming. Het idee hierachter is dat een rechtvaardig proces ook leidt tot een acceptabel en rechtvaardig besluit. In deze evaluatie komt A4R nog uitgebreid aan de orde. Een nadere uiteenzetting staat in de volgende paragraaf.

¹⁶ Ehni H. Expensive cancer drugs and just health care. Best Practice & Research Clinical Gastroenterology. 2014;28:327-337.

¹⁷ Ekmekci PE, Gunder MD. Do fair and just systems require compensation for the disadvantages of the natural lottery? A discussion on society's duties on the provision of gene therapy. BJMG. 2019;22:69-74.

Kader 10 Kosteneffectiviteit en QALY's

Kosteneffectiviteit is een van de pakketcriteria voor het Nederlandse basispakket. Bij kosteneffectiviteit wordt er gekeken naar de verhouding tussen de prijs voor het medicijn en de (bewezen) effectiviteit. Omdat medicijnen en ziekten verschillen kan het lastig zijn om de effectiviteit te vergelijken. Daarom is ervoor gekozen om een universele uitkomstmaat te gebruiken: Quality Adjusted Life Year (QALY). Een QALY staat voor een levensjaar in volledige gezondheid. Zo kan er per behandeling worden bekeken hoeveel QALY deze opbrengt en wat de prijs per QALY is. De prijs per QALY is eigenlijk de uitdrukking van de kosteneffectiviteit.

Als er dan een keuze moet worden gemaakt voor het basispakket streeft de Nederlandse overheid ernaar om binnen het zorgbudget zoveel mogelijk QALY's te behalen. Dat kan betekenen dat als de kosten per QALY van een bepaald medicijn heel erg hoog liggen, de overheid beslist dit niet te vergoeden, omdat met hetzelfde geld bij een andere behandeling meer QALY's te behalen zijn.¹⁸

Ondanks het feit dat we specifiek zochten naar praktische uitwerkingen van de principes solidariteit en rechtvaardigheid, heeft het merendeel van de gevonden literatuur een hoog abstractieniveau. Hierdoor wordt nog onvoldoende duidelijk hoe rechtvaardigheid en solidariteit tot uitdrukking kunnen komen in besluitvorming over vergoeding van dure geneesmiddelen.

Het aantal voorbeelden van concrete beleidstoepassingen is nog schaarser. We vonden voorbeelden van toepassingen van de kosteneffectiviteitsanalyse in verschillende landen, waaronder ook de meeste landen van de Europese Unie. Beleid uit Australië en het Verenigd Koninkrijk dienen als voorbeelden van het meewegen van de ernst van de ziekte en van de 'rule of rescue'. In Australië hield de Pharmaceutical Benefits Advisory committee 'waarschijnlijk' rekening met de ernst van de ziekte waarvoor een duur geneesmiddel bedoeld was. De Britse overheid en de National Health Service gebruiken een kosteneffectiviteitsdrempel voor levensverlengende behandelingen die gemakkelijker te halen is, en richtten een speciaal fonds op voor behandelingen tegen kanker. Een concrete toepassing van A4R komt eveneens uit het Verenigd Koninkrijk, waar het National Institute of Health and Clinical Excellence (NICE) – met een vergelijkbare opdracht als het ZIN in Nederland – expliciet ernaar streeft om aan de voorwaarden van A4R te voldoen.

5.2 Theoretische perspectieven op solidariteit en rechtvaardigheid

Buiten het literatuuronderzoek hebben we gezocht naar theorieën van solidariteit en rechtvaardigheid die breder georiënteerd zijn en een sterke pragmatische kant hebben. Er zijn twee benaderingen die eruit springen: de analyse van solidariteit van Prainsack en Buyx en de Accountability for Reasonableness (A4R) opvatting van rechtvaardigheid van Daniels en Sabin.^{19 20} Deze benaderingen zijn richtinggevend in deze ethische evaluatie van de pakketsluit en hun kern is hieronder samengevat.

¹⁸ : Zorg Instituut Nederland, Kosteneffectiviteit in de praktijk, 2015.

¹⁹ Prainsack B, Buyx A. Solidarity in medicine and beyond. Cambridge: Cambridge University Press 2017

²⁰ Daniels N, Sabin J: Limits to health care: fair procedures, democratic deliberation, and the legitimacy problem for insurers. Philosophy Public Affairs. 1997, 26 (4): 303-350.

Solidariteit als een praktijk

Prainsack en Buyx definiëren solidariteit als:

"An enacted commitment to carry costs (financial, social, emotional or otherwise) to assist others with whom a person or persons recognize similarity in a relevant respect."

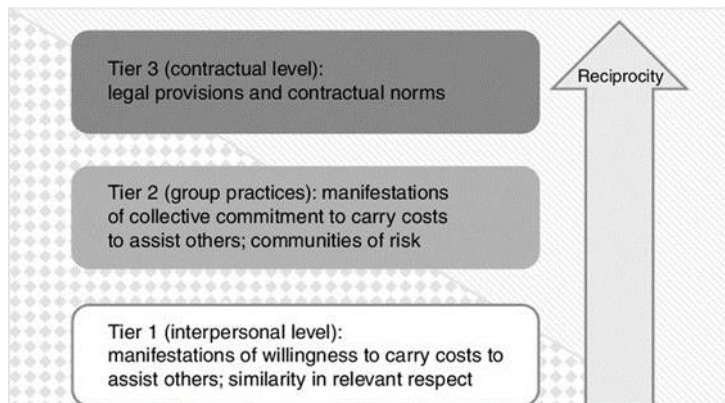
Belangrijke elementen in deze definitie zijn ten eerste dat solidariteit wordt opgevat als een actie, in tegenstelling tot een abstract ethisch ideaal of een persoonlijke emotie. Ten tweede is een noodzakelijke voorwaarde voor solidariteit dat mensen een zekere mate van onderlinge overeenkomst (h)erkennen. Dit sluit niet uit dat mensen die solidair zijn met elkaar op veel punten van elkaar verschillen, maar er moet minstens één overeenkomst zijn- die zwaar genoeg weegt – als basis voor solidariteit.

Uit deze definitie vloeit een aantal kenmerken van solidariteit voort:

- Persoonlijke gevoelens of sentimenten zijn niet voldoende om van solidariteit te spreken. Er moet sprake zijn van een 'externe manifestatie'. Dit gaat meestal om handelingen van een of meerdere personen, maar solidariteit kan ook tot uitdrukking komen in wetgeving of beleid. De focus moet daarom liggen op waarneembare handelingen en beleid, en op hun context.
- Context is van cruciaal belang om te bepalen of er sprake is van een solidaire actie. Bijvoorbeeld het ophalen van andermans kinderen van school kan een uiting van solidariteit tussen ouders zijn. Maar op het moment dat er betaald wordt voor het ophalen is het niet meer als solidariteit te zien, en is het een betaalde dienst. Solidair zijn is tegengesteld aan iets doen om er zelf beter van de te worden. Als iemand die een ander helpt dat hoofdzakelijk doet omdat er iets tegenover staat, dan is er geen sprake van een solidaire actie.
- De praktijken waarin solidariteit tot uitdrukking komt zijn niet volledig te vatten in rationele termen. Solidariteit komt ook voort uit morele intuïties. Dat zijn gedachten en overtuigingen die bij mensen 'automatisch' opkomen. Het is niet gemakkelijk deze intuïties te negeren en ze zetten mensen aan tot actie.
- Het mensbeeld achter solidariteit is relationeel. Zonder te erkennen dat mensen sociale wezens zijn die beïnvloed worden door en afhankelijk zijn van hun omgeving, is solidariteit niet denkbaar.

Wat in deze kenmerken al doorschemert is dat solidariteit op meerdere niveaus (*tiers*) tot uitdrukking kan komen (zie Figuur 1). Op het eerste, interpersoonlijke niveau gaat het om de bereidheid om kosten te dragen om een ander bij te staan op basis van herkenning van een overeenkomst ('we zijn allebei ouder van een klein kind'). Niveau 2 betreft het groepsniveau. Solidariteit op dit niveau omvat een gedeeld commitment om kosten voor anderen te dragen waar we ons op minstens één punt in herkennen ("dit had mij ook kunnen overkomen of kan mij in de toekomst nog gebeuren). Op het derde niveau is solidariteit onderdeel van een institutie en komt het tot uitdrukking in contractuele, wettelijke of administratieve normen. Een voorbeeld daarvan is dat de vergoeding voor de behandeling van een ziekte in het verzekerde pakket wordt opgenomen. De hogere niveaus van solidariteit kunnen niet bestaan zonder de lagere niveaus, andersom is dat wel mogelijk.

De drie niveaus en hun verband met wederkerigheid zijn weergegeven in Figuur 1.



Figuur 1: Prainsack B, Buyx A. Solidarity in medicine and beyond. Cambridge: Cambridge University Press 2017: p 55.

Rechtvaardigheid als Accountability for Reasonableness (A4R)

Waar Prainsack en Buyx spreken over solidariteit, gaat het in het werk van Daniels en Sabin over rechtvaardigheid. Als startpunt voor hun denken nemen Daniels en Sabin de stelling dat in de afgelopen decennia geen consensus is bereikt over ethische principes die tot een rechtvaardige verdeling van schaarse middelen in de gezondheidszorg leiden. In deze periode is de urgentie van het maken van keuzen in de zorg toegenomen, door de groei van het aantal behandelingen en de extreem hoge kosten van een deel daarvan. Tegen deze achtergrond stellen Daniels en Sabin voor om niet langer de focus te leggen op het formuleren van universele principes, en in plaats daarvan de nadruk te leggen op een rechtvaardig proces bij het stellen van prioriteiten in de zorg: Accountability for Reasonableness (A4R).²¹

Rechtvaardige en legitieme keuzen in de zorg moeten volgens het A4R model tot stand komen in een besluitvormingsproces dat een aantal kenmerken heeft:

- Openbaarheid – de beslissingen inclusief de onderbouwing daarvan moeten publiek toegankelijk zijn.
- Relevantie – de onderbouwing van vergoedingsbesluiten moet gebaseerd zijn op redenen en principes waarvan redelijke mensen vinden dat ze relevant zijn en het doel dienen van nastreven van passende zorg ten tijde van schaarste.
- Omkeerbaarheid – het moet mogelijk zijn om in beroep te gaan tegen vergoedingsbesluiten.
- Handhaafbaarheid – de bovenstaande voorwaarden moeten geborgd zijn in een vorm van regulering van het proces.

²¹ Daniels, N. and Sabin, J. (1997), Limits to Health Care: Fair Procedures, Democratic Deliberation, and the Legitimacy Problem for Insurers. *Philosophy & Public Affairs*, 26: 303-350. <https://doi.org/10.1111/j.1088-4963.1997.tb00082.x>

In samenlevingen waarin de noodzaak van grenzen aan de zorg erkend wordt, biedt A4R een mogelijkheid om verdedigbare keuzen te maken en in de loop der tijd de ideeën over wat relevant is in de besluitvorming verder ontwikkelen:

“Since we may not be able to construct principles that yield fair decisions ahead of time, we need a process that allows us to develop those reasons over time as we face real cases.”²²

Samengevat

- In de bestaande literatuur over solidariteit en rechtvaardigheid bij het vergoeden van dure geneesmiddelen wordt solidariteit nauwelijks besproken. In het kader van rechtvaardigheid wordt een veelheid van theorieën en principes aangehaald.
- Er is geen consensus over de manier waarop de principes een rol moeten spelen bij vergoeden van dure geneesmiddelen. Er is een beperkt aantal voorbeelden van uitwerking van de principes in beleid. Het toepassen van kosteneffectiviteitsanalyse of daaraan gerelateerde methoden zoals het berekenen van QALY's is veruit de meest genoemde manier om rechtvaardigheid na te streven.
- In het kader van deze evaluatie is gekozen voor de theorie over solidariteit van Prainsack en Buyx en de Accountability for Reasonableness (A4R) procedure voor rechtvaardige besluiten van Daniels en Sabin.
- Solidariteit moet volgens Prainsack en Buyx waarneembaar zijn in concrete handelingen tussen individuen onderling, tussen groepen of in beleid. Het gaat om een bereidheid om iets voor een ander te doen – bijvoorbeeld kosten te dragen – zonder dat er direct iets tegenover staat.
- Rechtvaardige en legitieme keuzen in de zorg moeten volgens het A4R model tot stand komen in een besluitvormingsproces dat aan een criteria voldoet, te weten: openbaarheid, relevantie, omkeerbaarheid en handhaafbaarheid.

²² Daniels N. Accountability for reasonableness. *BMJ*. 2000;321(7272):1300-1301. doi:10.1136/bmj.321.7272.1300

HOOFDSTUK 6 De Pakketsluis bezien vanuit solidariteit en rechtvaardigheid

Het doel van dit onderzoek was om te kijken in hoeverre de Pakketsluis solidariteit en rechtvaardigheid in de gezondheidszorg versterkt en welke verbeteringen mogelijk zijn. Voor dit doel zijn empirische informatie en theoretische inzichten verzameld. In dit hoofdstuk zijn deze elementen samengebracht.

6.1 De Pakketsluis toont twee gezichten van solidariteit

Solidariteit komt tot uitdrukking in concrete handelingen en op verschillende niveaus. In de literatuur wordt onderscheid gemaakt tussen het niveau van de onderlinge relatie tussen mensen, het niveau van groepen en van instituties. Op het niveau van instituties (de overheid) uit solidariteit zich in wetten en beleid die een collectieve verzekering tegen zorgkosten realiseren.²³ Om dit solidaire systeem te beschermen zijn ook kostenbeheersingsmaatregelen van de overheid nodig. Solidariteit vraagt dan om maatregelen zoals de Pakketsluis. Zowel burgers als betrokkenen bij de Pakketsluis erkennen deze noodzaak. De directe vormen van solidariteit – tussen individuen en groepen – zijn ook aanwezig in de samenleving. De meeste mensen steunen de mogelijkheid dat dure geneesmiddelen in het basispakket komen en velen zijn bereid bij te dragen aan medische crowdfunding. Dit toont de bereidheid om financiële kosten te dragen om dure behandelingen voor een ander mogelijk te maken.

De analyse van solidariteit van Prainsack en Buyx legt de spanning bloot tussen het beschermen van solidariteit in het gezondheidszorgbeleid en de solidariteit tussen burgers onderling. In het geval van de Pakketsluis wordt deze spanning met name gevoeld door de patiënten, hun naasten en zorgverleners, die geconfronteerd worden met de grenzen aan de vergoeding van zorg. Met een beroep op het belang van behoud van ons solidaire zorgsysteem, worden er drempels opgeworpen voor de toegang tot de geneesmiddelen die hen kunnen helpen. Ook onder het algemene publiek bestaat er een ambivalentie tussen enerzijds accepteren van grenzen en het maken van keuzes en anderzijds oog voor de positie van patiënten.

Het inzicht dat solidariteit in de gezondheidszorg twee gezichten heeft lost het probleem van de spanning niet op. Het is wel aanleiding om meer aandacht te hebben voor het gegeven dat door de Pakketsluis een zware last terechtkomt bij patiënten, hun naasten en zorgverleners. Dit is problematisch omdat de oorzaken van het probleem van dure geneesmiddelen elders liggen.

6.2 De Pakketsluis gaat uit van een smalle opvatting van rechtvaardigheid

De Pakketsluis procedure bestaat uit een nader onderzoek van de kosteneffectiviteit van een geneesmiddel en daarnaast onderhandelingen met de fabrikant over de prijs. De literatuur over rechtvaardigheid bij vergoedingsbesluiten laat zien dat kosteneffectiviteit – berekend op basis van QALY's - een grote rol speelt. Dit heeft een aantal belangrijke nadelen. Ten eerste is er door de focus op kosteneffectiviteit nauwelijks ruimte voor andere overwegingen die ook belangrijk zijn vanuit rechtvaardigheidsoogpunt. Uit ons onderzoek blijkt dat voor patiënten, het publiek en artsen een aantal extra overwegingen een belangrijke rol spelen.

²³ Prainsack B, Buyx A. Solidarity in medicine and beyond. Cambridge: Cambridge University Press 2017

Een tweede probleem is het bepalen van de grens voor kosteneffectiviteit, met andere woorden: hoeveel mag een QALY kosten? Elk bedrag dat hiervoor gekozen wordt en de mogelijkheid van uitzonderingen daarop zijn vatbaar voor kritiek. Tenslotte is het voor sommige behandelingen zeer tijdrovend om de gegevens te verzamelen die nodig zijn voor een goede kosteneffectiviteitsberekening. Dit geldt met name bij zeldzame ziekten en kan leiden tot grote vertraging of een smalle basis voor bewijs van effectiviteit.

De decennialange discussie over welk principe tot een rechtvaardige verdeling van schaarse middelen in zorg leidt heeft niet tot een consensus geleid. Om die reden is er gepleit voor het verleggen van de focus, weg van de principes en gericht op het besluitvormingsproces. Dit wordt Accountability for Reasonableness (A4R) genoemd. De kenmerken zijn openbaarheid, relevantie, omkeerbaarheid en handhaafbaarheid. Het voorstel om A4R als uitgangspunt te nemen voor rechtvaardige verdeling van schaarse middelen biedt concrete aanknopingspunten voor verbetering van de Pakketsluisprocedure.

HOOFDSTUK 7 Conclusies en aanbevelingen

De gecombineerde bevindingen leiden ons tot de volgende conclusies:

- Vanuit ethisch perspectief bevindt de Pakketsluis zich in het spanningsveld tussen het belang van een solidair gezondheidszorgsysteem en de onderlinge solidariteit tussen individuen. Deze spanning wordt ervaren door patiënten, burgers, zorgverleners en beleidsmakers.
- Bij het maken van lastige keuzes in dit spanningsveld is het van groot belang dat dit rechtvaardig gebeurt. Een rechtvaardige procedure, zoals voorgesteld met A4R, kan een belangrijke rol spelen in het maatschappelijk draagvlak voor keuzes in de zorg.
- In de Pakketsluis procedure komt de nadruk sterk te liggen op de kosteneffectiviteit van een behandeling uitgedrukt in QALY's. Dit is een internationaal aanvaarde methode, die echter ook belangrijke beperkingen heeft. Dit kan leiden tot grenzen aan de zorg die onrechtvaardig zijn.
- Het grote publiek vindt solidariteit in de gezondheidszorg belangrijk. Er is een zekere bereidheid om hoge kosten van geneesmiddelen te accepteren.
- Zowel het algemene publiek als de partijen die nauw betrokken waren bij een Pakketsluis procedure zien de noodzaak om grenzen te stellen aan de zorg. De zorgvuldigheid en onafhankelijkheid van de beoordeling en de partijen bij de Pakketsluis wordt erkend en gewaardeerd.
- Een belangrijk nadeel van de Pakketsluis is dat de pijn van het stellen van grenzen terechtkomt bij een kleine groep mensen die veelal in een kwetsbare positie zitten. De onzekerheid over de wachttijd en de uitkomst van de procedure berokkenen veel leed. Ook de betrokken zorgverleners raken in een moeilijke positie vanwege hun plicht om de medisch gezien beste zorg te bieden aan hun patiënten.
- De Pakketsluis lost het probleem van hoge kosten van geneesmiddelen niet op omdat de oorzaken elders liggen. Er zijn voorstellen gedaan voor alternatieven voor kostenbeheersing naast de Pakketsluis.

Deze conclusies leiden tot de volgende aanbevelingen voor het verbeteren van de Pakketsluis:

- Het A4R-criterium relevantie vraagt aandacht voor de beperkingen van een beoordelingssysteem met de nadruk op QALY's. Er zou ruimte gemaakt kunnen worden voor een verbreding van de overwegingen bij de beoordeling van een geneesmiddel in de Pakketsluis procedure. Kandidaten daarvoor zijn de aard van de ziekte, aanwezigheid van alternatieve behandelingen, de ziektelast van de te behandelen ziekte en de kans op effect van de behandeling. Dit is met name relevant bij geneesmiddelen waarover nog maar weinig wetenschappelijke kennis is als ze op de markt komen.
- De transparantie kan nog vergroot worden door gedurende de Pakketsluis procedure op vooraf bepaalde tijden informatie te verstrekken aan patiënten en zorgverleners. Dit gebeurt idealiter op basis van mijlpalen en hardere tijdslijnen in het proces waarop de voortgang bewaakt wordt. De informatie moet in begrijpelijke taal beschikbaar zijn.
- Patiënten, hun naasten en zorgverleners kunnen meer betrokken worden bij de Pakketsluis. Hun inbreng versterkt de aandacht voor de menselijke kant en de daarmee samenhangende knelpunten in de procedure.

- De toegang tot een geneesmiddel in de Pakketsluit periode verdient meer aandacht. Vanuit het idee van gelijke toegang is een grote variatie problematisch. Als de overheid hier regelingen voor treft (met de fabrikanten), zijn heldere criteria voor toegang essentieel.
- Een maatschappelijke discussie over de Pakketsluit en het bijbehorende spanningsveld tussen solidariteit in het vergoedingenbeleid en solidariteit met bepaalde (groepen) patiënten is aan te bevelen. Het doel is om inzicht en draagvlak in de samenleving te creëren en om te zoeken naar goede ideeën voor het omgaan met deze spanning.
- Fabrikanten van geneesmiddelen zouden een einde moeten maken aan ongerechtvaardigd hoge prijzen. De overheid moet zich blijven inspannen om verantwoorde prijzen af te dwingen.

Dankwoord

Dit onderzoek kwam tot stand met de hulp van velen. Een speciaal woord van dank aan de mensen die bereid waren hun ervaringen te delen en aan de respondenten van het Kantar Public panel voor het invullen van de vragenlijst.

BIJLAGE I Lijst met afkortingen

ACM = Autoriteit Consument en Markt

ACP = Advies Commissie Pakket

A4R = Accountability for Reasonableness

METC = Medisch Ethische Toetsingscommissie

NICE = National Institute of Health and Clinical Excellence

NZa = Nederlandse Zorg autoriteit

QALY = Quality Adjusted Life Year

RVS = Raad voor Volksgezondheid en Samenleving

SMA = Spinale Musculaire Atrofie

VWS= ministerie voor Volksgezondheid, Welzijn en Sport

WAR = Wetenschappelijke Advies Raad

ZIN= Zorg Instituut Nederland

BIJLAGE 2 Gebruikte onderzoeksmethoden

De ethische evaluatie is gebaseerd op de resultaten van drie deelonderzoeken: een kwalitatieve interviewstudie, een vragenlijst onderzoek en een literatuurstudie. Voor elk van deze deelonderzoeken is in deze bijlage een beknopte beschrijving van de gebruikte onderzoeksmethoden opgenomen.

Kwalitatieve interviewstudie

Het doel van de kwalitatieve interviewstudie was om een gedetailleerd beeld te krijgen van de effecten van de Pakketsluis op de directbetrokkenen. Dit biedt inzichten die niet via de literatuur of door theoretische analyse te verkrijgen zijn.

Aan het begin van dit onderzoek is een stakeholder analyse gemaakt, en vervolgens zijn potentiële deelnemers uit elke stakeholdergroep benaderd met het verzoek om deel te nemen aan een interview. Alle geïnterviewden waren direct betrokken bij de casus nusinersen. De opzet van de interviews was semigestructureerd. De vragen hadden betrekking op de rol die de geïnterviewde had in de Pakketsluisprocedure, hun ervaringen tijdens het proces, en de sterke en zwakke punten van de Pakketsluis. Nadat minstens één vertegenwoordiger van elke stakeholdergroep had deelgenomen, is de dataverzameling gestopt. Tabel 1 bevat een overzicht van enkele kenmerken van de deelnemers.

Alle interviews zijn verbatim getranscribeerd. Met behulp van het kwalitatieve analyseprogramma Nvivo 12 zijn de transcripten gecodeerd. De eerste negen transcripten zijn door twee onderzoekers onafhankelijk van elkaar gecodeerd. Twee andere leden van de onderzoeksgroep hebben de transcripten eveneens gelezen en in samenspraak is de codeboom aangepast. Vervolgens zijn alle transcripten opnieuw gecodeerd door een onderzoeker. Een random check op de codering werd door twee andere onderzoekers uitgevoerd. Aan de hand van de codering is een thematische analyse uitgevoerd. De keuze van de thema's en de interpretatie van de resultaten is getoetst in een bijeenkomst met de geïnterviewden.

De METC Utrecht heeft de WMO-plichtigheid van het onderzoek beoordeeld en geconcludeerd dat toetsing door een commissie niet nodig was (dossiernr. 20/696, besluit van 11 November 2020).

Tabel 1 Kenmerken van de geïnterviewden

Stakeholder	Aantal geïnterviewden
Ouder van patiënten met SMA	4
Vertegenwoordiger van een patiëntenorganisatie	1
Verpleegkundig specialist in de zorg voor patiënten met SMA	2
Arts betrokken bij de behandeling van patiënten met SMA	1
Vertegenwoordiger van betrokken overheidsinstantie	5
Vertegenwoordiger van de betrokken geneesmiddelenfabrikant	1
Vertegenwoordiger van een zorgverzekeraar	1

Vragenlijst onderzoek onder het algemene publiek

Het doel van het vragenlijstonderzoek was om inzicht te krijgen in de opvattingen van burgers in Nederland over de Pakketsluis. Voor dit onderzoek werd een online vragenlijst ontwikkeld. Deze bestond uit 30 multiple choice vragen en twee open vragen. In het eerste deel werden een aantal achtergrondkarakteristieken van de respondenten uitgevraagd. Vervolgens kregen de deelnemers in deel twee een aantal vragen over hun kennis van de Pakketsluis en hun algemene opvattingen over de noodzaak en aanvaardbaarheid ervan. In deel drie waren vier geneesmiddelen beschreven die ooit in de Pakketsluis zaten of erin dreigden te komen. De respondenten beantwoordden een aantal vragen over de vergoeding van deze middelen. Het laatste en vierde deel van de vragenlijst ging over de vraag wie moet deelnemen aan besluitvorming over vergoeding van dure geneesmiddelen en over de bereidheid om financiële kosten te dragen om extreem dure therapie mogelijk te maken.

In samenwerking met onderzoeksbureau Kantar Public werd een steekproef getrokken van ruim 1999 respondenten uit een database van ongeveer 120.000 personen (de NIPObase). Dit is voldoende om betrouwbare uitspraken te kunnen doen over de totale groep. De steekproef is representatief voor de Nederlandse bevolking op de volgende achtergrondkenmerken: geslacht, leeftijd, opleiding, regio, huishoudgrootte en sociale klasse. De respondenten ontvingen een e-mail met informatie over het onderzoek. In deze e-mail stond een unieke link naar de online vragenlijst. De resultaten zijn verkregen in de periode 8-14 december 2021. Het responspercentage was 59% (n=1179).

De analyse bestond uit descriptieve statistiek die is uitgevoerd met het programma SPSS-versie 26.0.0.1.

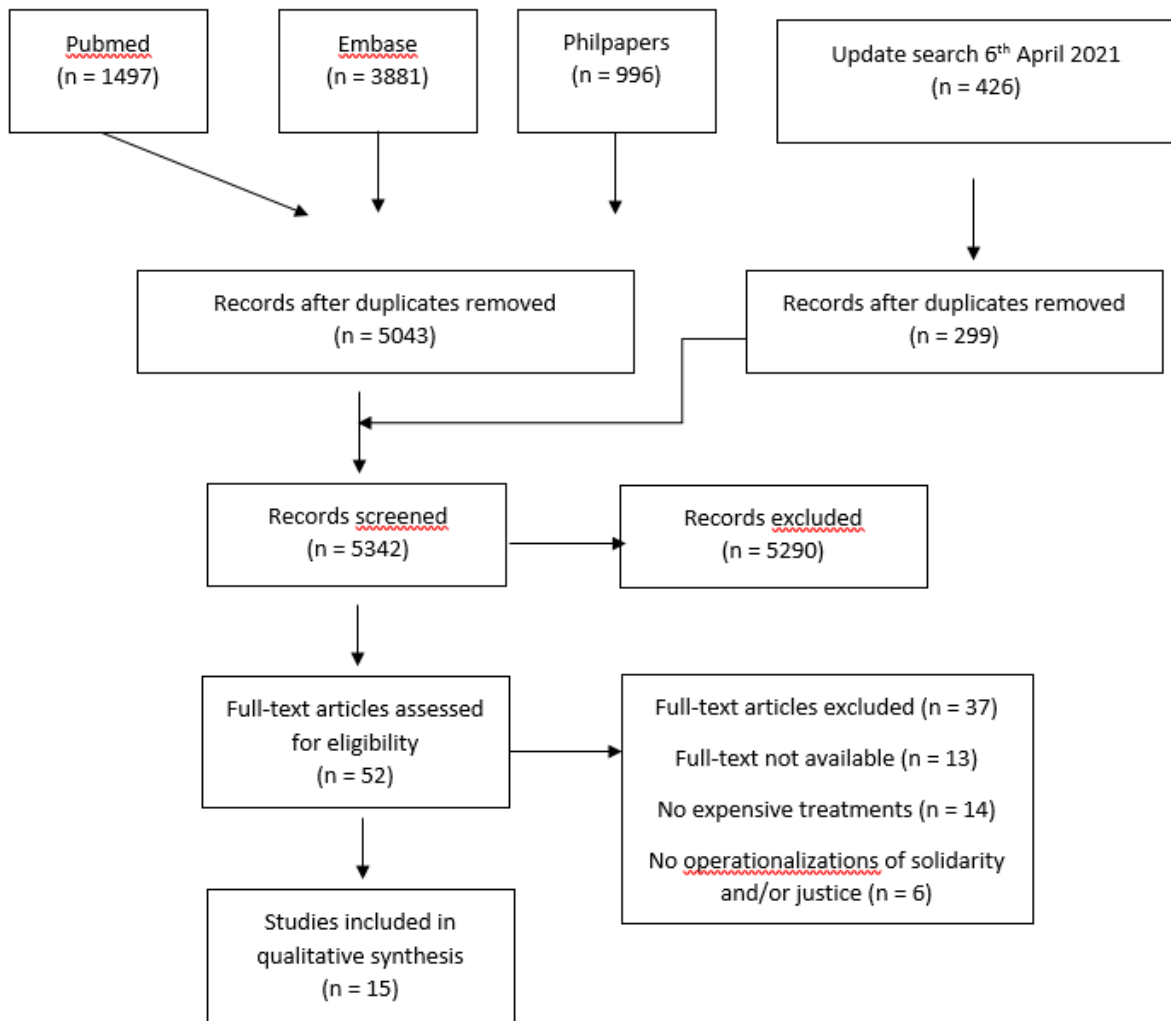
Literatuuronderzoek

In dit onderzoek is literatuur geraadpleegd over solidariteit en rechtvaardigheid en over vergoedingssystemen. Om op het spoor te komen van literatuur over concrete uitwerkingen van de principes van solidariteit en rechtvaardigheid in de specifieke context van vergoeding van dure geneesmiddelen, is een scoping review verricht. In Tabel 2 staat weergegeven op welke termen is gezocht en Figuur 1 laat de selectie van artikelen zien.

Tabel 2 Zoektermen per database

<p>Pubmed</p>	<p>("solidarity" [Title/Abstract] OR "solidaristic" [Title/Abstract] OR "social justice"[MeSH Terms] OR "justice" [Title/Abstract] OR "just" [Title/Abstract] OR "equality" [Title/Abstract] OR "equal" [Title/Abstract] OR "fairness" [Title/Abstract] OR "fair" [Title/Abstract] OR "equity" [Title/Abstract] OR "equitable" [Title/Abstract] OR "obligations of society"[Title/Abstract] OR "common good*" [Title/Abstract]) AND ("resource allocation"[MeSH Terms] OR "allocat*" [Title/Abstract] OR "healthcare resourc*" [Title/Abstract] OR "health care resourc*" [Title/Abstract] OR "distribut*" [Title/Abstract] OR "insurance, health, reimbursement"[MeSH Terms:noexp] OR "reimburs*" [Title/Abstract] OR "insur*" [Title/Abstract] OR "compens*" [Title/Abstract] OR "restitut*" [Title/Abstract] OR "refund*" [Title/Abstract] OR "fund*" [Title/Abstract] OR "cover*" [Title/Abstract] OR "expense*" [Title/Abstract] OR "budget*" [Title/Abstract] OR "financ*" [Title/Abstract] OR "co-pay*" [Title/Abstract] OR "copay*" [Title/Abstract] OR "cost-shar*" [Title/Abstract] OR "cost shar*" [Title/Abstract]) AND (("expensive" [Title/Abstract] OR "high cost*" [Title/Abstract] OR "high-cost*" [Title/Abstract] OR "costly" [Title/Abstract] OR "rising cost*" [Title/Abstract] OR "excess cost*" [Title/Abstract] OR "excessive cost*" [Title/Abstract] OR "overpriced" [Title/Abstract] OR "high-priced" [Title/Abstract] OR "valuable" [Title/Abstract] OR "exorbitant" [Title/Abstract] OR "orphan" [Title/Abstract] OR "rare" [Title/Abstract]) AND ("treat*" [Title/Abstract] OR "therap*" [Title/Abstract] OR "cure*" [Title/Abstract] OR "drug*" [Title/Abstract] OR "medicine" [Title/Abstract] OR "medicines" [Title/Abstract] OR "medication" [Title/Abstract] OR "medications" [Title/Abstract] OR "pharmaceutical*" [Title/Abstract] OR "patient" [Title/Abstract] OR "patients" [Title/Abstract] OR "disease*" [Title/Abstract] OR "disorder*" [Title/Abstract] OR "cancer*" [Title/Abstract] OR "health condition*" [Title/Abstract] OR "medical condition*" [Title/Abstract])) OR "rare diseases" [MeSH Terms]</p>
<p>Embase</p>	<p>(solidarity:ab,ti OR solidaristic:ab,ti OR 'social justice/noexp' OR justice:ab,ti OR just:ab,ti OR equality:ab,ti OR equal:ab,ti OR fairness:ab,ti OR fair:ab,ti OR equity:ab,ti OR equitable:ab,ti OR 'obligations of society':ab,ti OR 'common good*':ab,ti) AND ('resource allocation':ab,ti OR allocat*:ab,ti OR 'health insurance'/de OR 'healthcare resourc*':ab,ti OR 'health care resourc*':ab,ti OR distribut*:ab,ti OR reimburs*:ab,ti OR insur*:ab,ti OR compens*:ab,ti OR restitut*:ab,ti OR equitable:ab,ti OR refund*:ab,ti OR fund*:ab,ti OR cover*:ab,ti OR expense*:ab,ti OR budget*:ab,ti OR financ*:ab,ti OR 'co-pay*':ab,ti OR copay*:ab,ti OR 'cost-shar*':ab,ti OR 'cost shar*':ab,ti) AND ((expensive:ab,ti OR 'high cost*':ab,ti OR 'high-cost*':ab,ti OR costly:ab,ti OR 'rising cost*':ab,ti OR 'excess cost*':ab,ti OR 'excessive cost*':ab,ti OR overpriced:ab,ti OR 'high-priced':ab,ti OR valuable:ab,ti OR exorbitant:ab,ti OR orphan:ab,ti OR rare:ab,ti) AND (treat*:ab,ti OR therap*:ab,ti OR cure*:ab,ti OR drug*:ab,ti OR medicine:ab,ti OR medicines:ab,ti OR medication:ab,ti OR medications:ab,ti OR pharmaceutical*:ab,ti OR patient:ab,ti OR patients:ab,ti OR disease*:ab,ti OR disorder*:ab,ti OR cancer*:ab,ti OR 'health condition*':ab,ti OR 'medical condition*':ab,ti) OR 'rare disease'/exp)</p>
<p>Philpapers</p>	<p>solidarity solidaristic "social justice" justice just equality equal fairness fair equity equitable "obligations of society" "common good"</p>

Figuur 1 PRISMA 2009 Flow Diagram²⁴



Het theoretisch kader voor deze evaluatie bestaat uit een theorie over solidariteit en een theorie van rechtvaardigheid. Deze zijn gekozen uit een scala aan mogelijkheden, waarbij gezocht is naar theoretische benaderingen die op het eerste gezicht goed leken te passen bij het doel van ons evaluatieonderzoek. Bij de keuze voor de theorie over solidariteit van Prainsack en Buyx speelde een belangrijke rol dat deze auteurs niet alleen een definitie van het concept geven, maar ook praktische toepassingen uitwerken.²⁵ De A4R benadering biedt een mogelijkheid om verdedigbare keuzen te maken en in de loop der tijd de ideeën over wat relevant is in de besluitvorming verder ontwikkelen.²⁶ De rechtvaardigheid van de Pakketsluit kan worden geëvalueerd door het proces van besluitvorming te toetsen aan de A4R criteria. Daarnaast is het ontwikkelperspectief relevant: het was ons doel om naast evalueren te zoeken naar verbeteringen van de Pakketsluit – ook aan de hand van de uitkomsten van het empirisch onderzoek.

²⁴ Moher D, Liberati A, Tetzlaff J, Altman DG, The PRISMA Group (2009). *Preferred Reporting Items for Systematic Reviews and Meta-Analyses: The PRISMA Statement*. PLoS Med 6(7): e1000097.

²⁵ Prainsack B, Buyx A. *Solidarity in biomedicine and beyond*. Cambridge UK: Cambridge University Press, 2017

²⁶ Daniels N. *Accountability for reasonableness*. BMJ. 2000;321(7272):1300-1301. doi:10.1136/bmj.321.7272.1300

BIJLAGE 3 Tabellen behorend bij hoofdstuk 4

Tabel 1 Respondentkenmerken	
N= 1144	
Geslacht	
Man	565 (49.4%)
Vrouw	579 (50.6%)
Leeftijd (jaren)	
18 – 24	125 (10.9%)
25 - 34	182 (15.9%)
35 – 44	170 (14.9%)
45 – 54	208 (18.2%)
55 - 64	194 (16.9%)
65+	266 (23.3%)
Opleidingsniveau ^a	
Laag	243 (21.3 %)
Midden	455 (39.8%)
Hoog	446 (39.0%)
Sociale klasse ^b	
Laag	346 (30.3%)
Hoog	797 (69.7%)
Groote huishouden (aantal personen)	
1	249 (21.8%)
2	418 (36.6%)
3	184 (16.1%)
4	198 (17.3%)
5 of meer	95 (8.3%)
Regionale indeling (Nielsen-indeling CBS)	
Drie grote gemeenten ^c	137 (12.0%)
West ^c	336 (29.4%)
Noord ^d	114 (10.0%)
Oost ^e	239 (20.9%)
Zuid ^f	272 (23.8%)
Randgemeenten ^g	46 (4.0%)

^a **Opleidingsniveau:** Laag = basisonderwijs, laag secundair onderwijs, of minder;

Midden = voortgezet secundair onderwijs of postsecundair (niet hoger) onderwijs;

Hoog = hoger beroepsonderwijs of universiteit

^b **Sociale klasse** construct gebaseerd op opleiding en beroep van de kostwinner.

^c **Drie grote gemeenten:** Amsterdam, Rotterdam, Den Haag

^d **West** = Utrecht, Noord-Holland, Zuid-Holland excl. grote en randgemeenten.

^e **Noord** = Groningen, Friesland, Drenthe

^f **Oost** = Overijssel, Gelderland, Flevoland.

^g **Zuid** = Zeeland, Noord-Brabant, Limburg

^h **Randgemeenten** = Amstelveen, Diemen, Landsmeer, Ouder-Amstel, Ridderkerk, Barendrecht, Albrandwaard, Krimpen a/d IJssel, Capelle a/d IJssel, Schiedam, Westland, Rijswijk, Leidschendam-Voorburg, Wassenaar.

Tabel 2 Opvattingen over de Pakketsluit
N=1140

De Pakketsluit is terecht		400 (35.1%)
Omdat de prijzen van dure geneesmiddelen te hoog zijn		171 (42.7%)
Omdat extreem dure geneesmiddelen andere vormen van zorg onder druk zetten		152 (37.5%)
Omdat de kosten van de zorg teveel oplopen		77 (19.3%)
De Pakketsluit is onterecht		740 (64.9%)
Omdat patiënten er niets aan kunnen doen dat ze zo'n duur geneesmiddel nodig hebben		391 (52.8%)
Omdat het onverantwoord is om patiënten te laten wachten op een duur geneesmiddel		182 (24.6%)
omdat we veel beter op andere kosten in de gezondheidszorg kunnen bezuinigen		96 (13.0%)
omdat we in Nederland rijk genoeg zijn om dure behandelingen mogelijk te maken		71 (9.6%)

Tabel 3 Voorkeur ten aanzien van vergoedingssysteem
N=1121

In systeem 1 worden ook heel dure behandelingen allemaal vergoed en beschikbaar gesteld. Patiënten die deze behandelingen nodig hebben kunnen dan allemaal worden behandeld, maar de overheid zal gedwongen zijn om op andere gebieden keuzen te maken in de zorg	410 (36.6%)
In systeem 2 wordt een duur geneesmiddel in eerste instantie vergoed en beschikbaar gesteld voor patiënten. Op een later moment volgt dan alsnog een beoordeling. Daardoor kan deze beslissing teruggetrokken worden en moet de behandeling van patiënten alsnog stoppen.	227 (20.2%)
In systeem 3 moeten patiënten eerst een periode wachten totdat een duur geneesmiddel vergoed en beschikbaar gesteld wordt, maar als deze beslissing eenmaal genomen is, lopen patiënten geen risico dat hun behandeling op een later moment stopgezet moet worden.	452 (40.3%)
In systeem 4 worden geneesmiddelen die heel duur zijn helemaal niet meer vergoed en beschikbaar gesteld voor patiënten. Patiënten die deze dure geneesmiddelen nodig hebben blijven verstoken van deze behandeling.	33 (2.9%)

Tabel 4A Opvattingen over vergoeding van Pakketsluit geneesmiddelen
N=1109

Geneesmiddel A Dit is een medicijn voor de behandeling van een levensbedreigende vorm van kanker die vooral bij oudere mensen voorkomt (>55 jaar). Het medicijn geeft de patiënt een kans op levensverlenging van enkele maanden. Het middel heeft ook bijwerkingen: kortademigheid, vermoeidheid, misselijkheid, braken en koorts komen het meest voor. Er zijn geen andere levensverlengende behandelingen mogelijk. Patiënten gebruiken de behandeling hooguit enkele maanden. De kosten zijn gemiddeld €100.000 per patiënt. Per jaar komen naar schatting 300 patiënten in aanmerking. Als alle patiënten behandeld worden kost dit de overheid bij elkaar bijna 30 miljoen euro per jaar.

Zou u dit geneesmiddel tot de basisverzekering toelaten?

Ja		311 (28.0%)
	Met als belangrijkste reden:	
	Het geneesmiddel werkt	93 (29.9%)
	Voor deze patiënten is er geen alternatieve behandeling	86 (27.7%)
	Er bestaat een kans dat dit geneesmiddel levensreddend is	83 (26.6%)
	Het geneesmiddel heeft een redelijke prijs als je kijkt naar de gezondheidswinst die het oplevert voor de patiënt	23 (7.5%)
	De behandelduur is relatief kort wat de kosten beperkt	16 (5.2%)
	Anders	10 (3.1%)
Nee		798 (72.0%)
	Met als belangrijkste reden:	
	Het geneesmiddel is te duur als je kijkt naar de gezondheidswinst die het oplevert voor de patiënt	338 (42.5%)
	Fabrikanten van geneesmiddelen moeten een signaal krijgen dat de hoge prijzen niet geaccepteerd worden	165 (20.8%)
	Het geneesmiddel biedt alleen een kans op levensverlenging maar geen zekerheid	159 (20.0%)
	De overheid moet prioriteit geven aan goedkopere behandelingen die aan een grotere groep patiënten ten goede komen	45 (5.7%)
	De gezondheidszorg wordt onbetaalbaar als behandelingen met deze prijs vergoed worden	43 (5.4%)
	Anders	44 (5.5%)

Tabel 4B Opvattingen over vergoeding van Pakketsluit geneesmiddelen
N=1100

Geneesmiddel B Dit is een medicijn voor de behandeling van een chronische darmziekte. De ziekte komt vooral voor bij patiënten in de leeftijd van 25 en 60 jaar en heeft een grote impact op de kwaliteit van leven. Het medicijn geneest de ziekte niet, maar onderdrukt de klachten. Er zijn andere behandelingen mogelijk maar die zijn minder effectief. Patiënten moeten de behandeling jarenlang blijven gebruiken. De kosten zijn ongeveer €20.000 per patiënt per jaar. Per jaar komen naar schatting 800 patiënten in aanmerking. Als alle patiënten behandeld worden kost dit de overheid bij elkaar zo'n 16 miljoen euro per jaar.

Zou u dit geneesmiddel tot de basisverzekering toelaten?

Ja		982 (89.3%)
	Met als belangrijkste reden:	
	Het geneesmiddel bespaart veel leed want het is voor patiënten met een ziekte waarmee zij lange tijd moeten leven	381 (38.9%)
	Het geneesmiddel geeft mensen een betere kwaliteit van leven	306 (31.2%)
	Het geneesmiddel heeft een redelijke prijs als je kijkt naar de gezondheidswinst die het oplevert voor de patiënt	152 (15.5%)
	Het geneesmiddel werkt	130 (13.3%)
	Anders	11 (1.1%)
Nee		118 (10.7%)
	Met als belangrijkste reden:	
	Er is een minder dure behandeling voor deze patiënten beschikbaar	31 (26.0%)
	Fabrikanten van geneesmiddelen moeten een signaal krijgen dat de hoge prijzen niet geaccepteerd worden	24 (20.3%)
	De ziekte waartegen dit geneesmiddel helpt is niet levensbedreigend	18 (15.7%)
	Het medicijn is te duur in vergelijking met de gezondheidswinst die het oplevert	13 (10.9%)
	De overheid moet prioriteit geven aan goedkopere behandelingen die aan een grotere groep patiënten ten goede komen	9 (7.5%)
	De gezondheidszorg wordt onbetaalbaar als behandelingen met deze prijs vergoed worden	9 (8.1%)
	Anders	7 (6.2%)

Tabel 4C Opvattingen over vergoeding van Pakketsluit geneesmiddelen
N=1091

Geneesmiddel C Dit is een medicijn voor de behandeling van patiënten met Alzheimer dementie. Deze ziekte komt vooral bij oudere mensen voor (>65 jaar) en patiënten hebben geheugenklachten, gedragsproblemen en veranderingen in karakter. Het medicijn moet ervoor zorgen dat de ziekte een beetje vertraagt, maar of het echt werkt is onzeker. Er zijn andere behandelingen mogelijk, maar ook die hebben beperkt effect. Patiënten moeten de behandeling jarenlang blijven gebruiken. De kosten zijn €50.000 per patiënt per jaar. Per jaar komen naar schatting een kleine 5000 patiënten in aanmerking. Als alle patiënten behandeld worden kost dit de overheid bij elkaar ruim 240 miljoen euro per jaar.

Zou u dit geneesmiddel tot de basisverzekering toelaten?

Ja		287 (26.4%)
	Met als belangrijkste reden:	
	Het geneesmiddel biedt een kans op verbetering, ook al is dat onzeker	134 (46.7%)
	Het geneesmiddel is bedoeld voor patiënten met een ziekte die steeds meer handicaps veroorzaakt	73 (25.4%)
	Het geneesmiddel heeft een redelijke prijs als je kijkt naar de gezondheidswinst die het oplevert voor de patiënt	69 (24.0%)
	Anders	11 (3.9%)
Nee		804 (73.6%)
	Met als belangrijkste reden:	
	Het geneesmiddel biedt alleen een kans op vertragen van de ziekte, maar geen zekerheid	342 (42.5%)
	Het geneesmiddel is te duur als je kijkt naar de gezondheidswinst die het oplevert voor de patiënt	166 (20.7%)
	Fabrikanten van geneesmiddelen moeten een signaal krijgen dat de hoge prijzen niet geaccepteerd worden	104 (12.9%)
	Voor deze patiënten is er een minder dure behandeling beschikbaar	64 (8.0%)
	De gezondheidszorg wordt onbetaalbaar als behandelingen met deze prijs vergoed worden	41 (5.1%)
	De overheid moet prioriteit geven aan goedkopere behandelingen die aan een grotere groep patiënten ten goede komen	36 (4.5%)
	De ziekte waartegen dit geneesmiddel helpt is niet levensbedreigend	30 (3.7%)
	Anders	20 (2.5%)

Tabel 4D Opvattingen over vergoeding van Pakketsluit geneesmiddelen
N=1087

Geneesmiddel D Dit is een medicijn voor de behandeling van patiënten met een erfelijke spierziekte. Patiënten met deze ziekte hebben van jongs af aan klachten en de ziekte leidt tot ernstige lichamelijke handicaps en is soms dodelijk. Het medicijn zorgt ervoor dat een meerderheid van de kinderen zich beter ontwikkelt en minder handicaps heeft. Over het effect bij volwassenen is niets bekend. Er zijn geen andere behandelingen mogelijk. Patiënten moeten de behandeling jarenlang blijven gebruiken. De kosten zijn €350.000 per patiënt per jaar. Per jaar komen naar schatting 85 patiënten in aanmerking. Als alle patiënten behandeld worden kost dit de overheid bij elkaar 30 miljoen euro per jaar

Zou u dit geneesmiddel tot de basisverzekering toelaten?

Ja		861 (79.2%)
	Met als belangrijkste reden:	
	Het geneesmiddel werkt	177 (20.5%)
	Voor deze patiënten is er geen alternatieve behandeling	166 (19.3%)
	Het geneesmiddel is bedoeld voor patiënten met een ziekte die steeds meer handicaps veroorzaakt	159 (18.5%)
	Het geneesmiddel behandelt patiënten met een ziekte waarvoor geen andere behandelingen beschikbaar zijn	136 (15.8%)
	Het geneesmiddel heeft een redelijke prijs als je kijkt naar de gezondheidswinst die het oplevert voor de patiënt	125 (14.5%)
	Het geneesmiddel is ook geschikt voor kinderen	78 (9.1%)
	Anders	20 (2.3%)
Nee		226 (20.8%)
	Met als belangrijkste reden:	
	Fabrikanten van geneesmiddelen moeten een signaal krijgen dat de hoge prijzen niet geaccepteerd worden	60 (26.5%)
	De gezondheidszorg wordt onbetaalbaar als behandelingen met deze prijs vergoed worden	50 (22.3%)
	Het geneesmiddel biedt een kans op verbetering, maar geen zekerheid	36 (16.0%)
	Het geneesmiddel is te duur als je kijkt naar de gezondheidswinst die het oplevert voor de patiënt	35 (15.5%)
	De overheid moet prioriteit geven aan goedkopere behandelingen die aan een grotere groep patiënten ten goede komen	31 (13.6%)
	Anders	14 (6.1%)

Tabel 5 Toegankelijkheid van geneesmiddelen gedurende een Pakketsluitprocedure**N = 1082**

Als een geneesmiddel in de Pakketsluit zit wordt een extra beoordeling gedaan van het wetenschappelijk bewijs over de effectiviteit en onderhandelt de minister met de fabrikant om de prijs van het middel te verlagen. Dit proces kost tijd, gemiddeld ongeveer 11 maanden.

Wilt u in onderstaand overzicht aangeven wanneer u vindt dat een geneesmiddel in de pakketsluit periode toch al beschikbaar moet komen en wie de kosten daarvoor moet dragen?

	Nee	Ja: de overheid betaalt de kosten hiervoor	Ja: de fabrikant betaalt de kosten hiervoor
Voor alle patiënten die ervoor in aanmerking komen	155 (14.4%)	347 (32.0%)	580 (53.6%)
Als het geneesmiddel bedoeld is voor patiënten met een levensbedreigende ziekte	42 (3.9%)	590 (54.5%)	451 (41.6%)
als het geneesmiddel bedoeld is voor patiënten voor wie er geen alternatieve behandeling mogelijk is	71 (6.6%)	577 (53.3%)	434 (40.1%)
als uitstel van de behandeling onomkeerbare verergering van de klachten of handicaps veroorzaakt bij de patiënten	71 (6.6%)	592 (54.7%)	419 (38.7%)
Als de patiënten kinderen zijn	89 (8.2%)	637 (58.9%)	357 (32.9%)

Tabel 6 Bereidheid tot het betalen van extra zorgpremie**N = 1075****Stelt u zich de volgende situatie voor:**

Als de zorgpremie voor iedereen in Nederland verhoogd wordt, kan niet alleen uw buurjongen behandeld worden, maar ook alle andere kinderen in Nederland met dezelfde ziekte.

Zou u er voorstander van zijn om de premie van de verplichte zorgverzekering te verhogen zodat alle kinderen met deze ziekte in Nederland behandeld kunnen worden?

Ja	<i>De gemiddelde prijs van een basis zorgverzekering is 1498 euro per jaar (dat is €124,80 per maand). Kunt u uit onderstaande lijst aangeven welke verhoging van de premie voor u maximaal acceptabel is?</i>	525 (48.8%)
	5%: dit is ongeveer €75 per jaar en €6.25 per maand.	208 (38.5%)
	2%: dit is ongeveer €30 per jaar en €2.40 per maand.	202 (39.6%)
	10%: dit is ongeveer €150 per jaar en €12.48 per maand.	100 (19.0%)
	25%: dit is ongeveer €375 per jaar ad €31.20 per maand.	12 (2.2%)
	> 25%	4 (0.8%)

Nee	Wat is de belangrijkste reden dat u niet bereid bent meer te betalen aan zorgpremie.	550 (51.2%)
	Dat ik er geen geld voor heb	138 (25.0%)
	Dat alleen kinderen met deze ziekte hiermee geholpen zijn en andere patiënten die dure geneesmiddelen nodig hebben niet	135 (24.6%)
	Dat het geld beter besteed kan worden aan een goedkopere behandeling voor een grotere groep patiënten	70 (12.8%)
	Dat deze behandeling in mijn ogen te duur is	41 (7.5%)
	Dat ik me niet geroepen voel om de behandeling van kinderen met deze zeldzame ziekte mee te bekostigen	19 (3.4%)
	Anders	147 (26.7%)

