

Naar een toekomstbestendig stelsel

*Denkrichtingen en vragen
ter bespreking in open dialoog*

Extern gespreksdocument, 20 februari 2025

Vereniging
Innovatieve
Geneesmiddelen



Afkortingen in dit document

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

| Afkorting | Betekenis |
|-----------------|--|
| ACM | Autoriteit Consument & Markt |
| BIA | Budgetimpactanalyse |
| CieBAG | Commissie Beoordeling <i>Add-on</i> Geneesmiddelen |
| CHMP | <i>Committee for Medicinal Products for Human Use</i> |
| EMA | <i>European Medicines Agency</i> (Europees Geneesmiddelenbureau) |
| EPAR | <i>European Public Assessment Report</i> |
| EU | Europese Unie |
| EU HTAR | <i>European Union Health Technology Assessment Regulation</i> |
| FE | Farmaco-Economisch (rapport) |
| FMS | Federatie Medisch Specialisten |
| FT | Farmacotherapeutisch (rapport) |
| ICER | <i>Incremental Cost Effectiveness Ratio</i> |
| JCA | <i>Joint Clinical Assessment</i> |
| JSC | <i>Joint Scientific Consultation</i> |
| LODG | Landelijk Overleg Dure geneesmiddelen |
| MAUG | Maatschappelijk aanvaardbare uitgaven geneesmiddelen |
| NZa | Nederlandse Zorgautoriteit |
| PICO | Patiëntpopulatie, Interventie, Controlebehandeling en Uitkomstmaten (outcomes) |
| PIG (formulier) | Praktijkschrijving Introductie Geneesmiddel |
| RCT | <i>Randomized Controlled Trial</i> |
| SW&P | Stand van de Wetenschap en Praktijk |
| VWS | (Ministerie van) Volksgezondheid, Welzijn en Sport |
| VT | Voorwaardelijke Toelating |

VIG herkent noodzaak voor nieuw stelsel en werkt graag samen met andere veldpartijen aan een eerlijk en transparant toekomstbestendig stelsel

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Aanleiding | Noodzaak voor een nieuw, toekomstbestendig stelsel

Het huidige vergoedingsstelsel van geneesmiddelen voldoet niet meer. Daarom is landelijk een nieuw vergoedingsstelsel in de maak door partijen in het Landelijk Overleg Dure Geneesmiddelen (LODG), onder leiding van het Zorginstituut.

Doel | Samen streven naar een toekomstbestendig stelsel

Dat het stelsel op de schop moet zijn alle partijen het over eens. VIG herkent de noodzaak voor een nieuw stelsel. We werken als VIG graag samen met andere veldpartijen aan een nieuw stelsel. Een eerlijk en transparant toekomstbestendig stelsel dat snelle en gelijke toegang tot nieuwe geneesmiddelen biedt voor patiënten. Een stelsel waarin tijdslijnen voor beoordeling en onderhandeling duidelijk en transparant zijn. De contouren van dit stelsel zijn door het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS) al getekend, maar daarbinnen is er nog veel onzekerheid en onduidelijkheid. Het is belangrijk om nu met elkaar goed na te denken over de verdere inrichting ervan.

Daarom hebben we dit extern gespreksdocument opgesteld, met als doel een inhoudelijke, open dialoog te kunnen voeren met alle veldpartijen en belanghebbenden. We hebben de afgelopen periode als collectief, onder leiding van Gupta Strategists, nagedacht over een aantal belangrijke aandachtspunten binnen de geschetste contouren van het nieuwe stelsel die voor alle partijen relevant zijn en nadere uitwerking verdienen.

Op de volgende bladzijde beschrijven we **wat** deze punten zijn, **waarom** deze belangrijk zijn en **hoe** we deze onderwerpen samen met andere veldpartijen verder willen verkennen.

In het gehele document staan diverse vragen opgesteld. Deze vragen bespreken we graag in open dialoog met alle veldpartijen en belanghebbenden. Met 'jullie' in de vragen bedoelen we dan ook de diverse veldpartijen en belanghebbenden.

Wat is belangrijk in een toekomstbestendig stelsel?

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

1) Aansluiting op Europese processen en tijdslijnen - Zie Hoofdstuk 1

- **Waarom?** Vanaf 2025 gaat een nieuwe Europese wet in voor het evalueren van gezondheidstechnologie (afkorting van de wet: EU HTAR). Dit zou moeten leiden tot een efficiënter proces en gelijke toegang tot geneesmiddelen en medische technologie tussen EU landen. Als we hier optimaal op inspelen zien we hier inderdaad kansen, maar als we hier niet scherp op zijn zien we ook risico's op vertraging en op toenemende complexiteit en capaciteit.
- **Hoe?** EU HTAR brengt rechten en plichten met zich mee. Dit maakt het urgent om de volgende vraag samen met andere veldpartijen te bespreken:
 - Hoe kunnen we de fasen in het Nederlandse, toekomstbestendige stelsel optimaal aansluiten op de Europese processen en tijdslijnen?

2) Een betrouwbare en bruikbare Horizonscan - Zie Hoofdstuk 2

- **Waarom?** In een nieuw vergoedingsstelsel is de Horizonscan een cruciaal instrument om vroegtijdig risico's te identificeren die er spelen bij nieuwe geneesmiddelen. Het ministerie van VWS noemt drie type risico's: onzekerheid over relatieve effectiviteit, risico op niet-gepast gebruik en grote financiële impact. In de fase van de Horizonscan is echter nog weinig (openbare) informatie beschikbaar.
- **Hoe?** We bespreken graag samen met andere veldpartijen:
 - Wat is het beoogde doel en toepassing van de Horizonscan in het nieuwe stelsel?
 - Welke informatie is gegeven dit doel nodig en welke informatie is er op dat moment (openbaar) beschikbaar?
 - Hoe kan onze sector – al dan niet vertrouwelijk – de benodigde informatie aanleveren?





3) Passende beoordeling, vergoeding en risicomitigatie

- **Waarom?** We begrijpen dat er in bij de beoordeling van innovatieve geneesmiddelen soms onzekerheden bestaan (bijvoorbeeld: onzekerheid over effectiviteit in de praktijk, onzekerheid over totale financiële impact). We kijken als sector graag samen met andere partijen naar manieren waarop we dergelijke risico's samen kunnen mitigeren, om zo toegang tot innovatieve behandelingen mogelijk te maken. De huidige instrumenten daarvoor, zoals de Voorwaardelijke Toelating (VT), zijn niet altijd even passend.
- **Hoe?** Daarom onderzoeken we graag samen met andere veldpartijen:
 - Hoe zou de doorontwikkeling van VT eruit kunnen komen te zien? Wat zijn andere routes om versneld toegang te geven? - Zie Hoofdstuk 3
 - Wat zijn andere mogelijke opties om risico's te mitigeren? - Zie Hoofdstuk 4

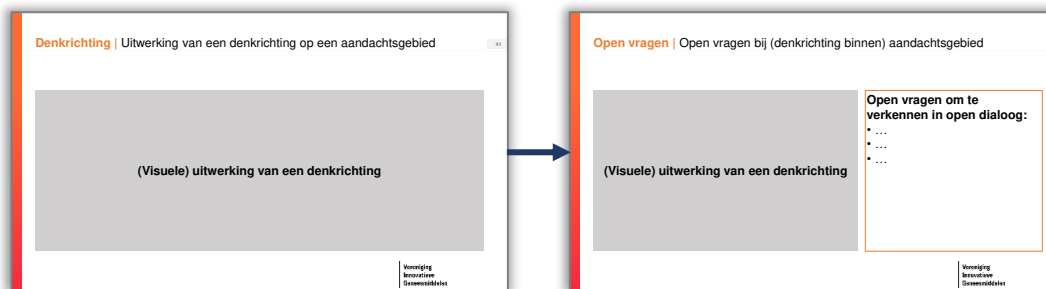
Leeswijzer | Denkrichtingen op vier onderdelen binnen reeds geschetste contouren

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Document is opgebouwd rondom 4 aandachtsgebieden binnen de reeds geschetste contouren van het nieuwe stelsel:

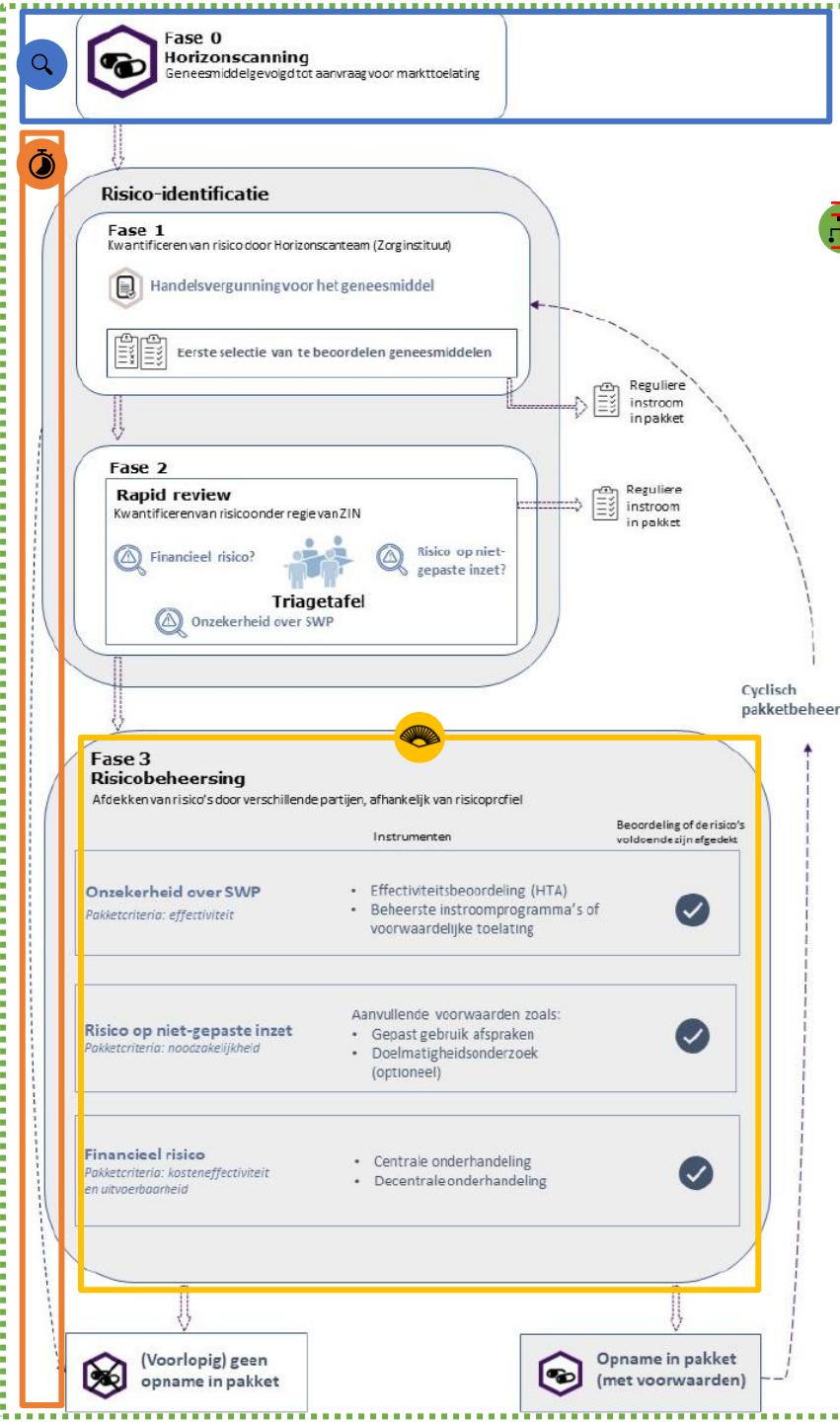
-  **1. Flowchart van het nieuwe stelsel**, rekening houdend met Europese tijdslijnen en met transparante criteria en beoordelingsprocessen
-  **2. Betrouwbare Horizonscan**, met aandacht voor rollen en onzekerheden
-  **3. Routes van versnelde toegang binnen nieuwe stelsel**, met behoud van zorgvuldige beoordeling
-  **Waaier van opties voor risicomitigatie**, om risico's eerlijk te kunnen verdelen tussen partijen

Per aandachtsgebied zijn er denkrichtingen en open vragen uitgewerkt:



Opbouw document: uitwerking denkrichting, daarnaast kader met vragen ter bespreking in open dialoog met veldpartijen

Bron: Weergave van Proces op hoofdlijnen van beheerste instroom van geneesmiddelen (Figuur 1 uit Kamerbrief 'Naar een toekomstbestendig stelsel voor de vergoeding van nieuwe dure geneesmiddelen uit het basispakket', van 16 juni 2023)



TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

1. Flowchart van nieuwe stelsel - Aansluiting op Europese processen en tijdslijnen

- Tijdslijnen
- Identificeren van risico's per fase
- Routing, criteria en rollen

2. Een betrouwbare en bruikbare Horizonscan

3. Routes van versnelde toegang binnen nieuwe stelsel

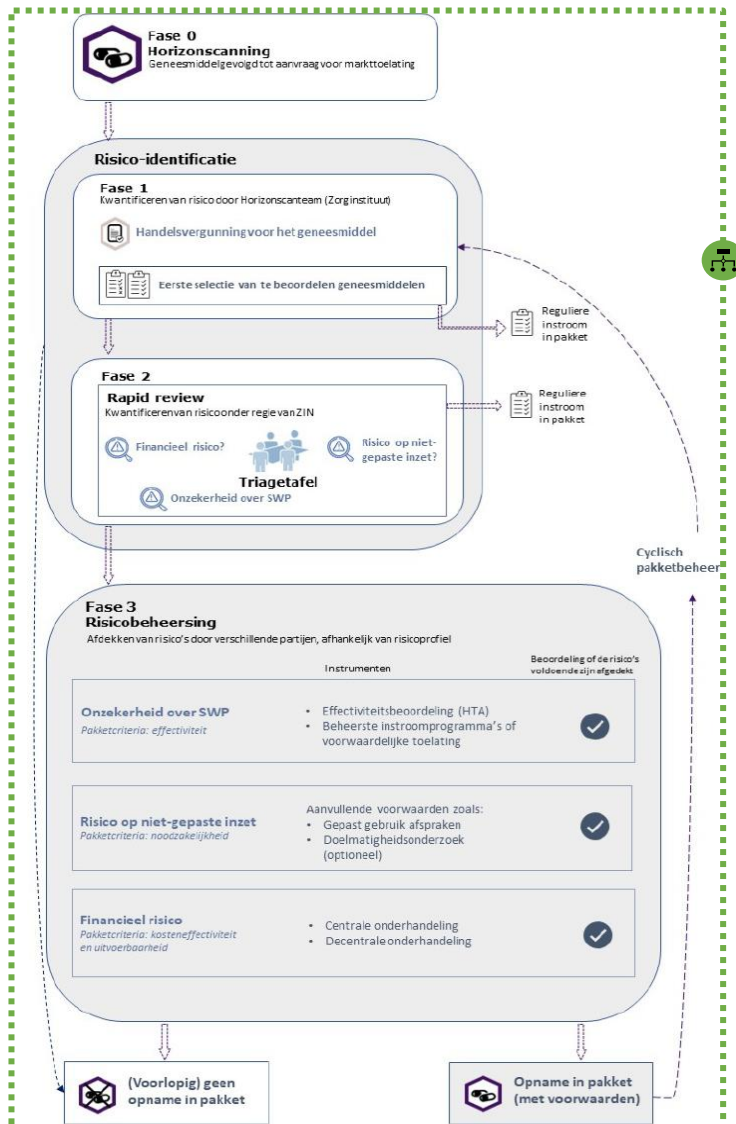
4. Waaier van opties voor risicomitigatie

VIG verkent graag samen met andere partijen hoe we - binnen de reeds geschetste contouren – het toekomstbestendig stelsel kunnen inrichten

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Aanleiding en doel

- **Aanleiding** | De contouren van een toekomstbestendig stelsel zijn door het ministerie van VWS al opgetekend¹, maar daarbinnen is nog veel onzekerheid en onduidelijkheid. Tegelijkertijd zijn er relevante ontwikkelingen in Europa. Vanaf 2025 gaat een nieuwe Europese wet in voor het evalueren van gezondheidstechnologie (afkorting van de wet: EU HTAR). Dit zou moeten leiden tot een efficiënter proces en gelijke toegang tot geneesmiddelen en medische technologie tussen EU landen. Als we hier optimaal op inspelen zien we hier inderdaad kansen, maar als we hier niet scherp op zijn zien we ook risico's op vertraging en op toenemende complexiteit en capaciteit.
- **Doel** van dit hoofdstuk: samen met veldpartijen in open dialoog verkennen van onderstaande vragen:
 - Hoe kunnen we de fasen in het Nederlandse, toekomstbestendige stelsel optimaal aansluiten op de Europese processen en tijdslijnen? (zie blz. 7 t/m 12)
 - Welke risico's worden per fase ingeschat? Op welke manier? (zie blz. 13 t/m 17)
 - Hoe kijken andere partijen naar routing, criteria en rollen? (zie blz. 18 t/m 22)



Contouren van het toekomstbestendig stelsel, uit Kamerbrief 16 juni 2023

1) Kamerbrief 'Naar een toekomstbestendig stelsel voor de vergoeding van nieuwe dure geneesmiddelen uit het basispakket' (16 juni 2023)

Toelichting afkortingen | EU: Europese Unie, EU HTAR: European Union Health Technology Assessment Regulation, VWS: Volksgezondheid, Welzijn en Sport

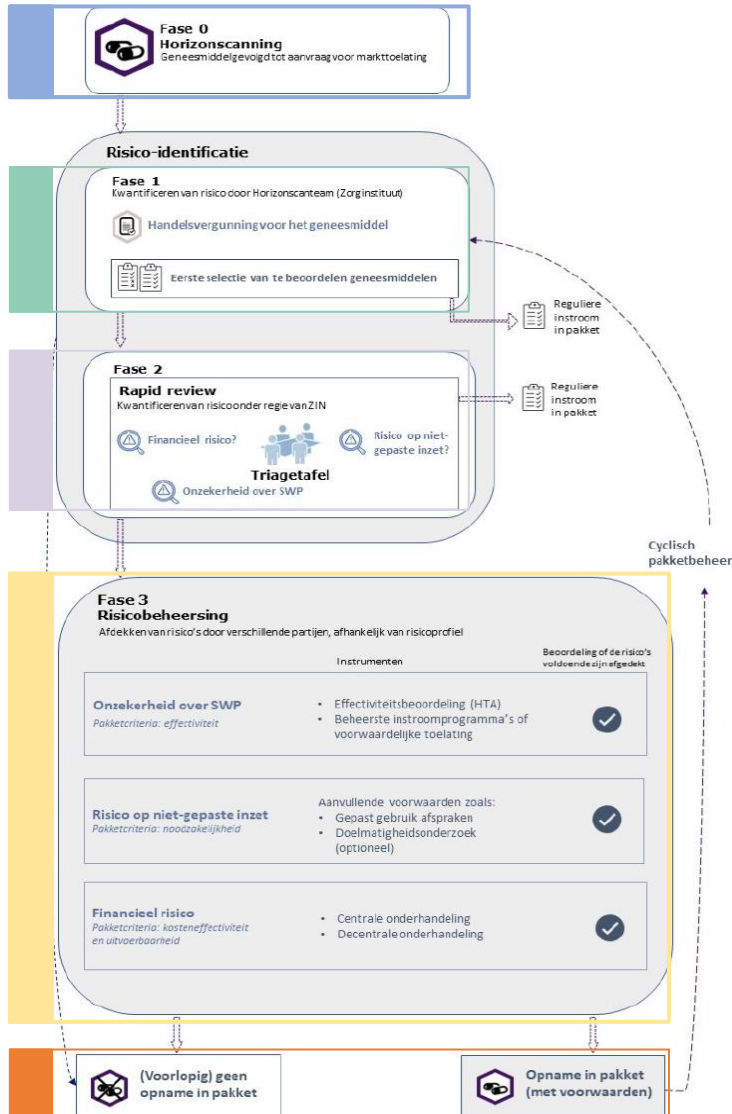
TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

1. Flowchart van nieuwe stelsel - Aansluiting op Europese processen en tijdslijnen

- **Tijdslijnen**

- Identificeren van risico's per fase
 - Routing, criteria en rollen
2. Een betrouwbare en bruikbare Horizonscan
 3. Routes van versnelde toegang binnen nieuwe stelsel
 4. Waaier van opties voor risicomitigatie

Tijdslijnen | VIG denkt graag met andere partijen na over de tijdslijnen van de fasen in een toekomstbestendig stelsel en maakte een concepttekening



TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Nadenken over tijdslijnen van de fasen [toelichting]

- In de contouren van het toekomstbestendig stelsel zijn verschillende fasen getekend (zie weergave hiernaast)
- VIG maakte een **concepttekening**, waarin we deze fasen weergeven in de tijd
 - Start**; De tijdslijn start bij Fase 0 (Horizonscanning). In de weergave hiernaast staat “geneesmiddel gevolgd tot aanvraag voor markttoelating”. De aanvraag voor markttoelating is $t = 0$ in onze tijdslijn (zie volgende bladzijden)
 - Doorlooptijd**; De doorlooptijden van de fasen zijn onbekend. Dit hebben we in de tekening weergegeven middels stippellijnen in de kleuren van de betreffende Fase
- Legenda**; op de volgende bladzijden duiden we de fasen aan met deze kleuren:

■ **Fase 0** Horizonscanning

■ **Fase 1** Risiko-identificatie

Fase 2 Rapid review en triagetafel, we onderscheiden in de concepttekening:

■ Opstellen *rapid review*

■ Bespreken *rapid review* aan triagetafel

Fase 3 Risicobeheersing, we onderscheiden in de concepttekening:

■ Beoordelen (bijv. (kosten)effectiviteitsbeoordeling) – *in fase 2 is bepaald wat er nodig is qua beoordeling*

■ Beheersen van risico's – *na beoordeling van risico's*

■ **Besluit** over opname in pakket

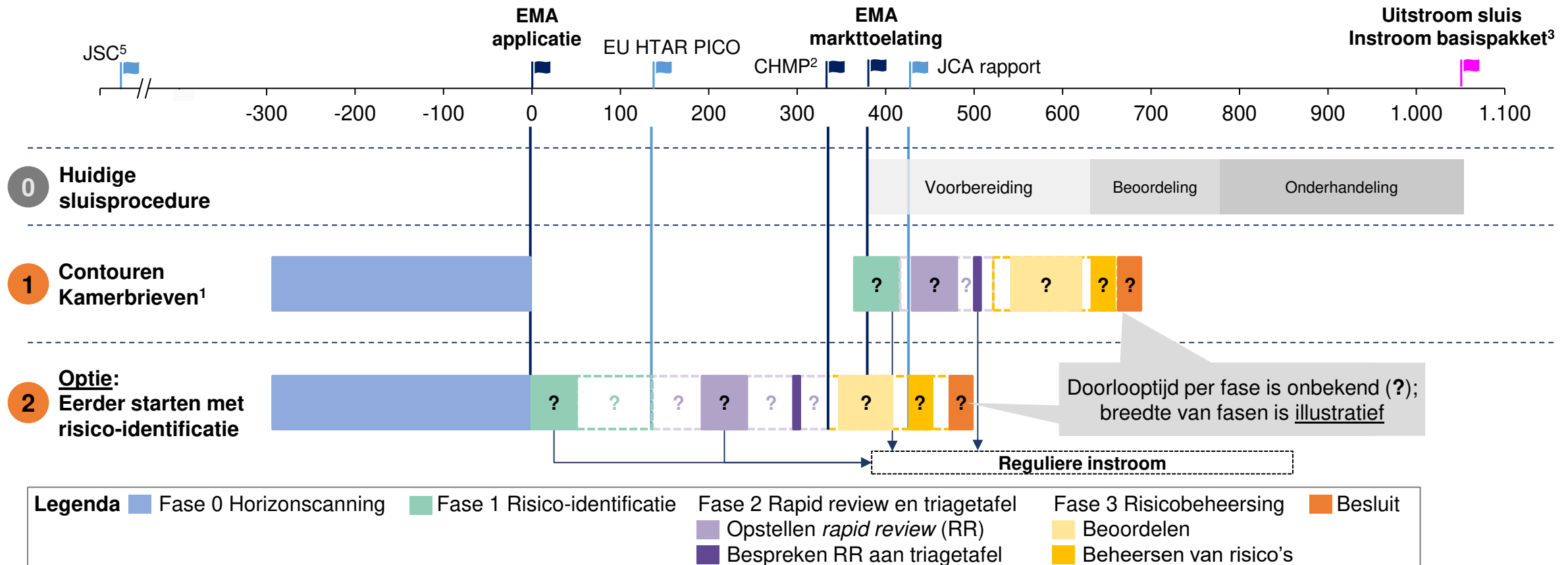
Concepttekening | Contouren kamerbrieven schetsen start Fase 1 rond EMA-markttoelating (1); is er een optie denkbaar waarin Fase 1 en 2 eerder starten? (2)

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Tijdslijnen toekomstbestendig stelsel in relatie tot EMA (standaard proces) en EU HTAR⁴

[# dagen], SAMENVATTING, VERDIEPING OP VOLGENDE BLADZIJDEN

■ mijlpalen EMA ■ EU HTAR ■ huidige sluis



1) Weergave gebaseerd op figuur 1 'Proces op hoofdlijnen van beheerste instroom van geneesmiddelen' uit Kamerbrief 16 juni 2023
 2) CHMP evaluatie duurt 210 actieve dagen. Weergave in tijdslijn hierboven met inclusie van periode van 'clock stop' (periode waarin aanvrager moet reageren op vragen van CHMP)
 3) Tabel 5 uit 'Voortgangsbrief financiële arrangementen geneesmiddelen 2023', 13 juni 2024; naar aantal dossiers gewogen gemiddelde 2021-2023 is 670 dagen na markttoelating (ongewogen gemiddelde 2021-2023 is 692 dagen). In eerdere weergave stond gemiddelde doorlooptijd van 440 dagen na EMA-markttoelating uit Equalis 'Effecten van de sluis', 31 maart 2023
 4) Voor uitleg afkortingen zie blz. 1 5) EU HTAR biedt raamwerk voor *Joint Scientific Consultations* (JSC), waardoor ontwikkelaars van innovatieve gezondheidstechnologieën vroegtijdig advies kunnen krijgen over benodigde *evidence* later in het proces (voor meer informatie: zie [link](#))

Inzoomen op tijdslijn huidige sluisprocedure | Doorlooptijd toegelaten sluis-geneesmiddelen neemt toe, waarvan in 2021-2023 ~250 dagen onderhandeling

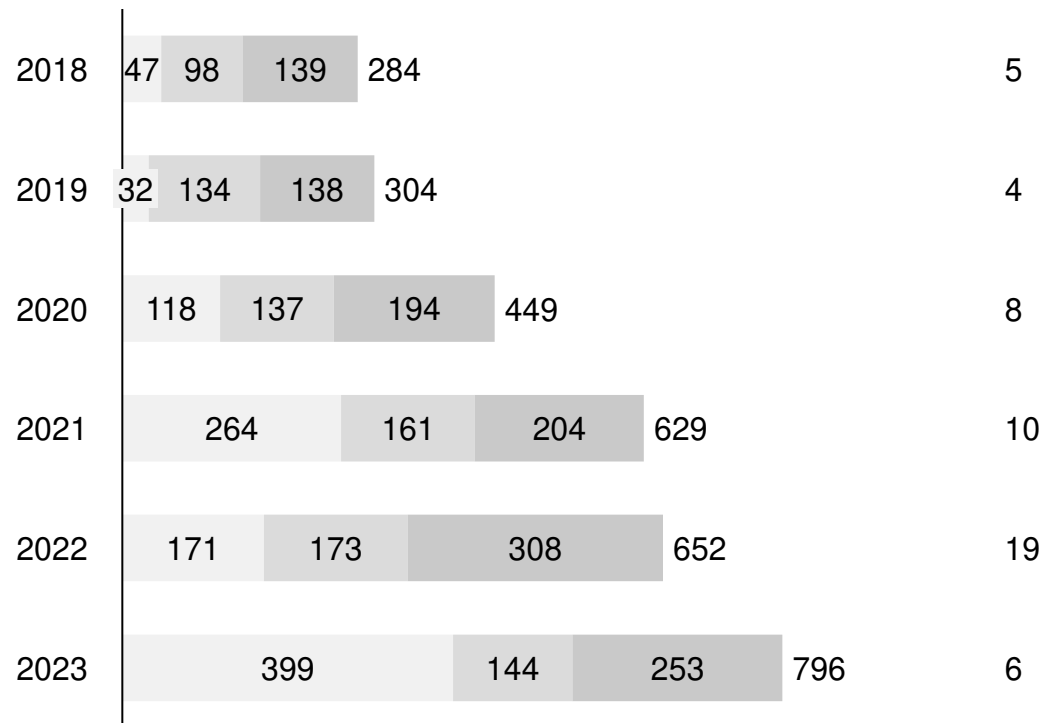
TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Doorlooptijden van intramurale geneesmiddelen¹
[# dagen, jaar dat geneesmiddel uit de sluis komt]

Afgeronde dossiers [#]^{1,2}

Toelichting fasen en open vragen aan andere veldpartijen

Fase 1 Fase 2 Fase 3



- Fase 1**; tijd tussen markttoelating en indiening van een compleet vergoedingsdossier
- Fase 2**; tijd voor de beoordeling door het Zorginstituut
- Fase 3**; tijd voor de prijsonderhandeling tussen het ministerie van VWS en de fabrikant

Open vragen aan andere veldpartijen:

- In hoeverre verwachten jullie dat de doorlooptijd van het voorbereiden, beoordelen en van het onderhandelen in het nieuwe stelsel korter zal worden dan de doorlooptijden die in de huidige sluisprocedure zijn toegenomen?
- Wat zijn hier de belangrijkste redenen voor?
- Hoe zouden we kunnen borgen dat dit gaat lukken?

1) Tabel 5 uit 'Voortgangsbrief financiële arrangementen geneesmiddelen 2023', 13 juni 2024

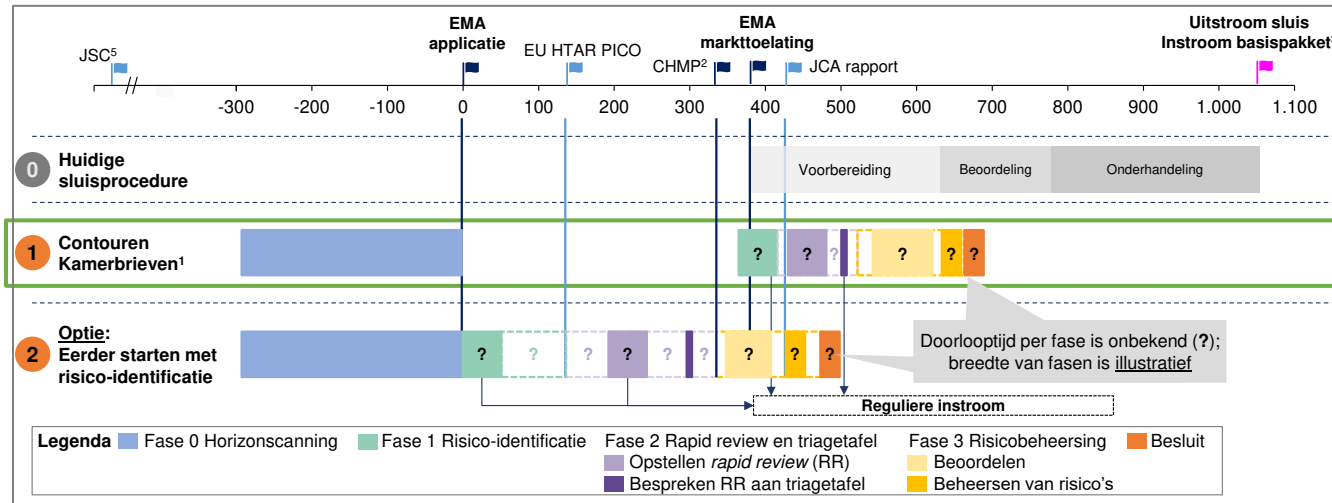
2) Intramurale geneesmiddelen die in het basispakket zijn opgenomen, per jaar dat geneesmiddel uit de sluis komt

Inzoomen op tijdslijn contouren Kamerbrieven | Wat is de verwachting van de doorlooptijden in het nieuwe stelsel?

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Weergave van tijdslijnen huidige sluisprocedure en contouren Kamerbrieven⁴

[# dagen, zie grotere weergave op blz. 9] ■ mijlpalen EMA ■ EU HTAR ■ huidige sluis



Open vragen aan andere veldpartijen

Scope

- Voor welke geneesmiddelen gelden de contouren van het toekomstbestendig stelsel: intra- en/of extramuraal? Hoe ziet de afbakening eruit in het toekomstbestendig stelsel?

Weergave tijdslijnen

- In hoeverre is deze weergave kloppend met hoe de contouren bedoeld zijn?
- Hoe verhouden deze tijdslijnen zich tot die van EU HTAR?

Duidelijkheid

- Hoe wordt in nieuwe stelsel duidelijkheid over de tijdslijnen bereikt?
- Wat zou de potentiële rol van het Kerndocument kunnen zijn in het nieuwe stelsel?
- Wanneer is er in nieuwe stelsel duidelijkheid over gevraagde dossiervoorbereiding voor farmaceutische bedrijven?
 - Wat zijn kansen en risico's van de JSC⁵ voor dossiervoorbereiding in Nederland?

Doorlooptijd

- Wat verwachten jullie van de totale doorlooptijd en de doorlooptijd per fase?
- Welke risico's in doorlooptijd zien jullie als Rapid Review na markttoelating plaatsvind⁶

1) Weergave gebaseerd op figuur 1 'Proces op hoofdlijnen van beheerste instroom van geneesmiddelen' uit Kamerbrief 16 juni 2023

2) CHMP evaluatie duurt 210 actieve dagen. Weergave in tijdslijn hierboven met inclusie van periode van 'clock stop' (periode waarin aanvrager moet reageren op vragen van CHMP)

3) Tabel 5 uit 'Voortgangsbrief financiële arrangementen geneesmiddelen 2023', 13 juni 2024; naar aantal dossiers gewogen gemiddelde 2021-2023 is 670 dagen na markttoelating (ongewogen gemiddelde 2021-2023 is 692 dagen). In eerdere weergave stond gemiddelde doorlooptijd van 440 dagen na EMA-markttoelating uit Equalis 'Effecten van de sluis', 31 maart 2023

4) Voor uitleg afkortingen zie blz. 1.

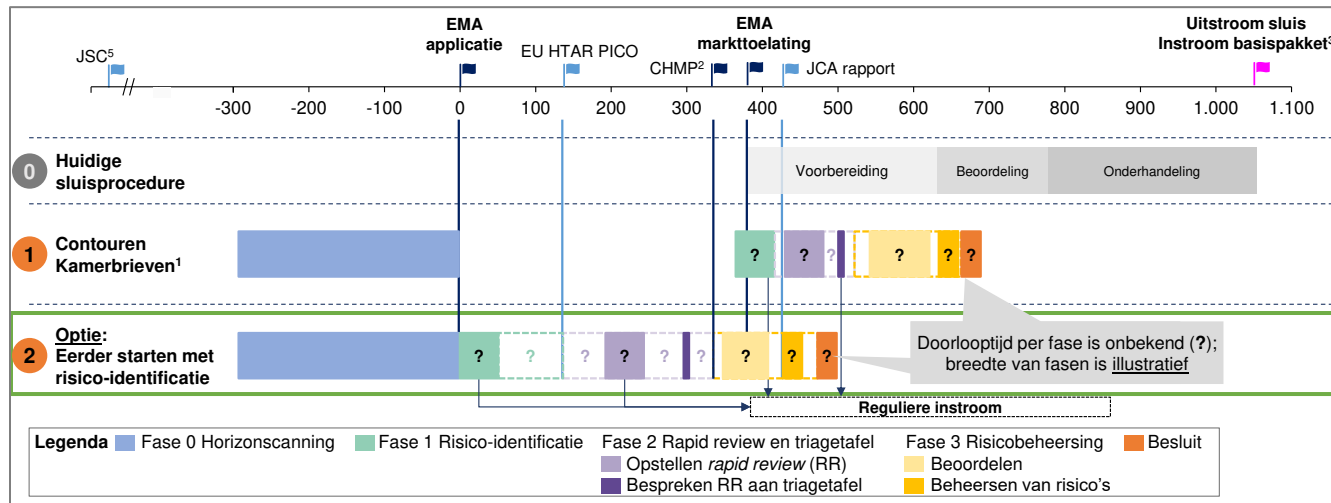
5) EU HTAR biedt raamwerk voor *Joint Scientific Consultations* (JSC), waardoor ontwikkelaars van innovatieve gezondheidstechnologieën vroegtijdig advies kunnen krijgen over benodigde *evidence* later in het proces (voor meer informatie: zie [link](#))

6) Ook in de invulling van RR in Nederland lijkt pas na EMA approval RR beoordeling plaats te vinden. <https://www.ncpe.ie/assessments/> Een fabrikant kan RR aanvragen, maar als dit niet wordt toegekend volgt alsnog een normale HTA.

Inzoomen op optie eerder starten met Fase 1 en 2 | Wat zouden kansen en risico's zijn van het eerder starten van Fase 1 en 2?

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Tijdslijnen toekomstbestendig stelsel in relatie tot EMA (standaard proces) en EU HTAR⁴
 [# dagen, zie grotere weergave op blz. 9] ■ mijlpalen EMA ■ EU HTAR ■ huidige sluis



Open vragen aan andere veldpartijen

Blik op eerder starten met Fase 1 en Fase 2:

- Wat zijn kansen en risico's van eerder (voor EMA-markttoelating) starten met Fase 1 en Fase 2?
- In hoeverre is deze optie **haalbaar** en **wenselijk**?
 - Wat zou er nodig zijn voor succes?
 - Waar kunnen wij onze verantwoordelijkheid nemen?

Oplossingen

- Hoe zouden we het risico op vertraging in het nieuwe stelsel kunnen beperken?
- Welke mogelijkheden zijn er om optimaal aan te sluiten bij de processen en tijdslijnen van EU HTAR?
- Wat zijn kansen en risico's van JSC⁵ voor doorlooptijden en verkleinen van risico's in nieuwe stelsel? (kanttekening: voor selecte groep geneesmiddelen, selectiecriteria op Europees niveau bepaald)
- Waar kunnen wij onze verantwoordelijkheid nemen?

1) Weergave gebaseerd op figuur 1 'Proces op hoofdlijnen van beheerste instroom van geneesmiddelen' uit Kamerbrief 16 juni 2023

2) CHMP evaluatie duurt 210 actieve dagen. Weergave in tijdslijn hierboven met inclusie van periode van 'clock stop' (periode waarin aanvrager moet reageren op vragen van CHMP)

3) Equalis 'Effecten van de sluis', 31 maart 2023, gemiddelde doorlooptijd van toegelaten sluisgeneesmiddelen is 440 dagen na EMA markttoelating.

4) Voor uitleg afkortingen zie blz. 1

5) EU HTAR biedt raamwerk voor *Joint Scientific Consultations* (JSC), waardoor ontwikkelaars van innovatieve gezondheidstechnologieën vroegtijdig advies kunnen krijgen over benodigde *evidence* later in het proces (voor meer informatie: zie [link](#))

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

1. Flowchart van nieuwe stelsel - Aansluiting op Europese processen en tijdslijnen

- Tijdslijnen
 - **Identificeren van risico's per fase**
 - Routing, criteria en rollen
2. Een betrouwbare en bruikbare Horizonscan
 3. Routes van versnelde toegang binnen nieuwe stelsel
 4. Waaier van opties voor risicomitigatie

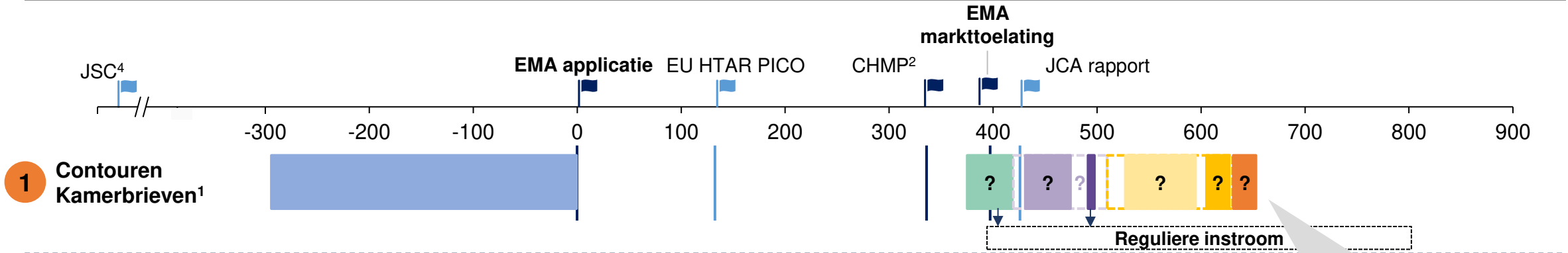
Inzoomen op contouren Kamerbrieven | Hieronder schetsen we inclusie van risico's per fase, met kleurcodering om de mate van onzekerheid te illustreren

Tijdslijnen toekomstbestendig stelsel in relatie tot EMA (standaard proces) en EU HTAR³

[# dagen, inschatting van criteria per risico per fase]
laag

Mate van onzekerheid: **hoog**
[Red checkmark] [Orange checkmark] [Green checkmark] [Green checkmark] [Green checkmark]

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG



1 Contouren Kamerbrieven¹

Financieel risico?

- Macrokostenbeslag
- Kosten per patiënt
- Kosteneffectiviteit



Significant risico op niet-gepass gebruik?



Risico op niet voldoende relatieve effectiviteit?



Doorlooptijd per fase is onbekend (?); breedte van fasen is illustratief

Legenda

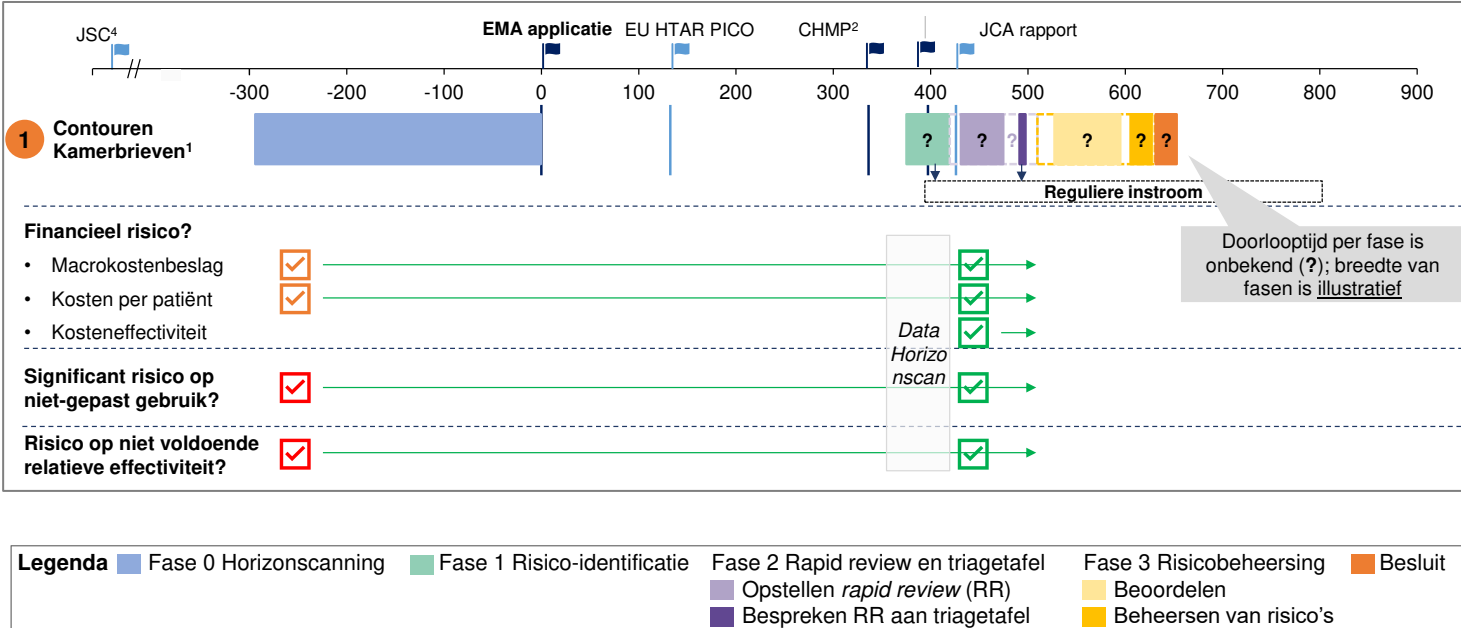
| | | | | |
|--|--|------------------------------------|-------------------------|---|
| ■ Fase 0 Horizonscanning | ■ Fase 1 Risico-identificatie | Fase 2 Rapid review en triagetafel | Fase 3 Risicobeheersing | ■ Besluit |
| | | Opstellen <i>rapid review</i> (RR) | Beoordelen | |
| | | Bespreken RR aan triagetafel | Beheersen van risico's | |

1) Weergave gebaseerd op figuur 1 'Proces op hoofdlijnen van beheerste instroom van geneesmiddelen' uit Kamerbrief 16 juni 2023
 2) CHMP evaluatie duurt 210 actieve dagen. Weergave in tijdslijn hierboven met inclusie van periode van 'clock stop' (periode waarin aanvrager moet reageren op vragen van CHMP)
 3) Voor uitleg afkortingen zie blz. 1
 4) EU HTAR biedt raamwerk voor *Joint Scientific Consultations* (JSC), waardoor ontwikkelaars van innovatieve gezondheidstechnologieën vroegtijdig advies kunnen krijgen over benodigde *evidence* later in het proces (voor meer informatie: zie [link](#))

Open vragen over contouren kamerbrieven | Hoe kijken andere partijen naar deze weergave van de tijdslijn en de inclusie van risico's per fase?

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Weergave van tijdslijnen contouren Kamerbrieven en inclusie risico's per fase³
[# dagen, zie grotere weergave op blz. 14], Mate van onzekerheid: hoog laag



Open vragen aan andere veldpartijen

- Ons begrip van inclusie van risico's:**
- Hoe kijken jullie naar deze weergave?
 - Klopt ons begrip dat drie type risico's worden meegenomen in alle fasen, startend vanaf de Horizonscan?
- Inschatting van risico's:**
- Hoe worden financiële risico's ingeschat?
 - Wie levert informatie of data aan?
 - Wat zijn de eisen aan deze informatie of data?
 - Hoe wordt risico op niet voldoende relatieve effectiviteit ingeschat?
 - Hoe wordt omgegaan met de onzekerheid op verschillende momenten in de tijd?
 - Hoe wordt EU HTAR hierin meegenomen? (JSC, PICO, JCA)
 - Hoe wordt risico op niet-gepast gebruik ingeschat?
- Rol experts (bv. eligible patient pool, artsen):**
- Hoe wordt input van experts meegenomen in de verschillende fasen?
 - Hoe kan de rol van de beroepsgroep structureel worden geborgd?

1) Weergave gebaseerd op figuur 1 'Proces op hoofdlijnen van beheerste instroom van geneesmiddelen' uit Kamerbrief 16 juni 2023
 2) CHMP evaluatie duurt 210 actieve dagen. Weergave in tijdslijn hierboven met inclusie van periode van 'clock stop' (periode waarin aanvrager moet reageren op vragen van CHMP)
 3) Voor uitleg afkortingen zie blz. 1
 4) EU HTAR biedt raamwerk voor *Joint Scientific Consultations* (JSC), waardoor ontwikkelaars van innovatieve gezondheidstechnologieën vroegtijdig advies kunnen krijgen over benodigde evidence later in het proces (voor meer informatie: zie [link](#))

Inzoomen op denkrichting | We denken dat het mogelijk kan zijn om risico's te identificeren en te triëren op basis van info die duidelijk wordt uit EU HTAR proces

Tijdslijnen toekomstbestendig stelsel in relatie tot EMA (standaard proces) en EU HTAR^{1,3}

[# dagen, inschatting van criteria per risico per fase]

Mate van onzekerheid: **hoog**

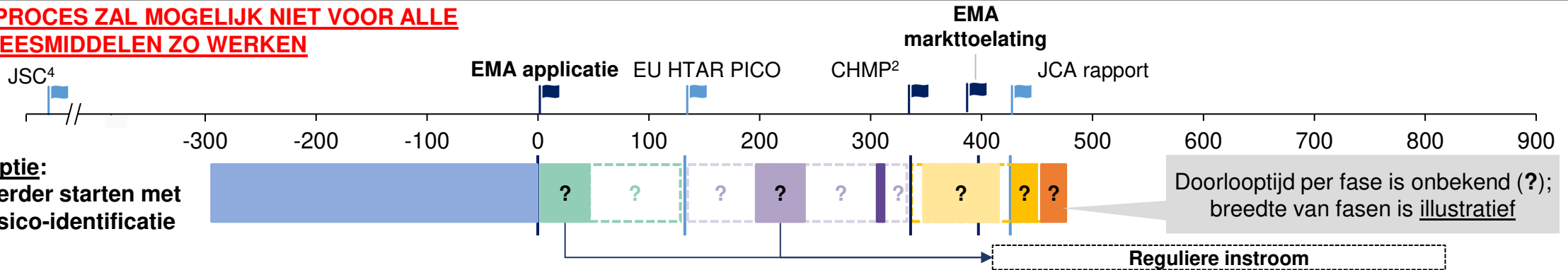
laag



DIT PROCES ZAL MOGELIJK NIET VOOR ALLE GENEESMIDDELEN ZO WERKEN

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

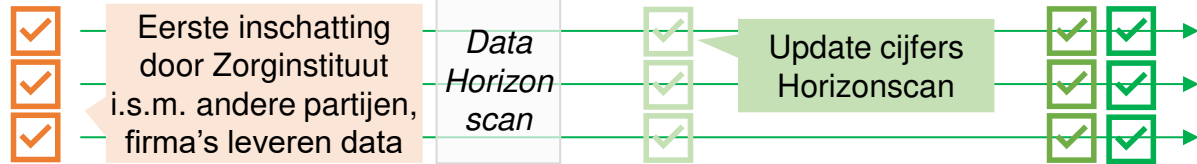
2 **Optie:**
Eerder starten met risico-identificatie



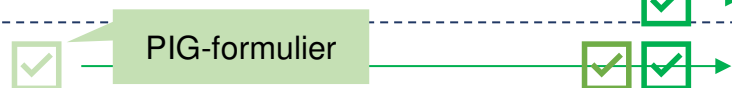
Claim⁵

Financieel risico?

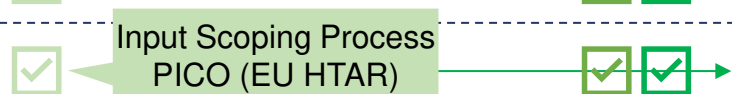
- Macrokostenbeslag
- Kosten per patiënt
- Verwachte marktwerking
- Kosteneffectiviteit



Significant risico op niet-gepast gebruik?



Risico op niet voldoende relatieve effectiviteit?



Legenda:

- Fase 0** Horizonscanning
- Fase 1** Risico-identificatie
- Fase 2** *Rapid review* en triagetafel
 - Opstellen *rapid review*
 - Bespreken *rapid review* aan triagetafel
- Fase 3** Risicobeheersing
 - Beoordelen
 - Beheersen van risico's
 - Besluit over opname in pakket

1) Weergave gebaseerd op figuur 1 'Proces op hoofdlijnen van beheerste instroom van geneesmiddelen' uit Kamerbrief 16 juni 2023

2) CHMP evaluatie duurt 210 actieve dagen. Weergave in tijdslijn hierboven met inclusie van periode van 'clock stop' (periode waarin aanvrager moet reageren op vragen van CHMP)

3) Voor uitleg afkortingen zie blz. 1

4) EU HTAR biedt raamwerk voor *Joint Scientific Consultations* (JSC), waardoor ontwikkelaars van innovatieve gezondheidstechnologieën vroegtijdig advies kunnen krijgen over benodigde *evidence* later in het proces (voor meer informatie: zie [link](#))

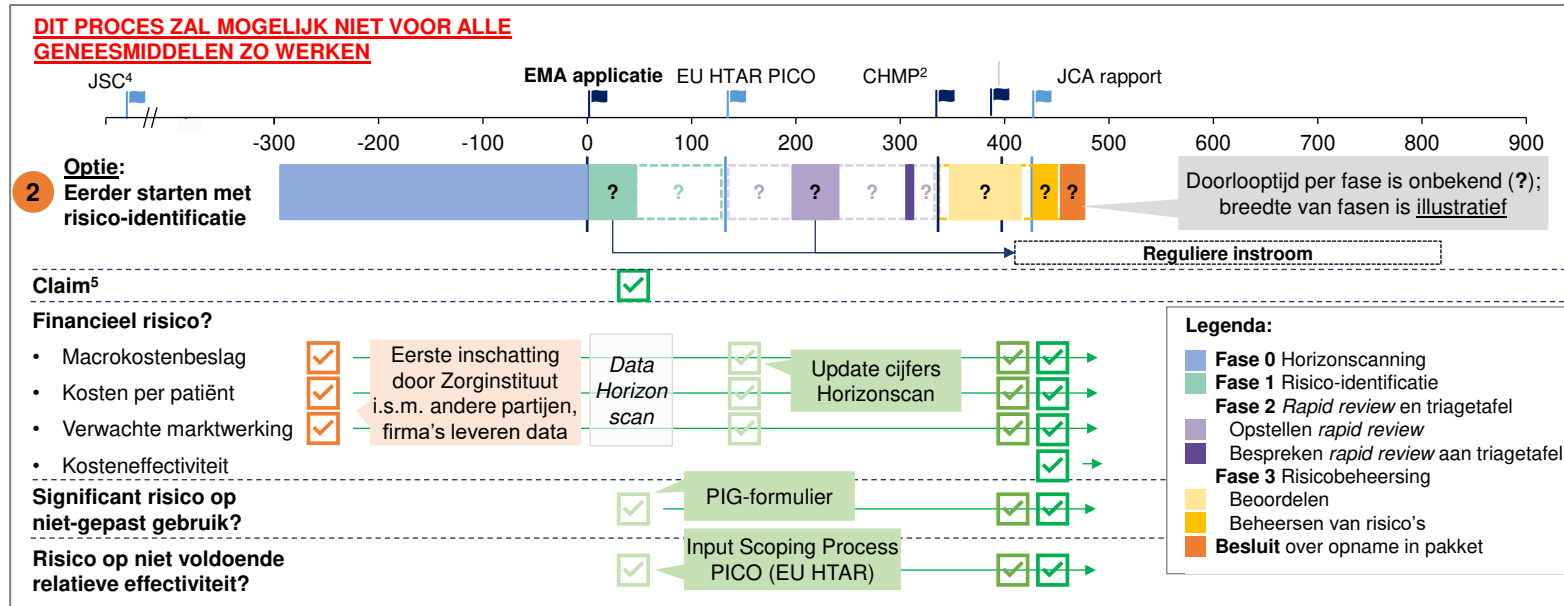
5) In onveranderde situatie is claim vrij zeker rond dit moment. Dit zou kunnen veranderen als er een nieuw toegelaten middel de standard of care wordt.

Open vragen over denkrichting | Hoe kijken andere partijen naar deze weergave van de tijdslijn en de inclusie van risico's per fase?

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Weergave van tijdslijnen denkrichting en inclusie risico's per fase^{1,3}

[# dagen, zie grotere weergave op blz. 16], Mate van onzekerheid: hoog ✓ ✓ ✓ ✓ ✓ laag



Open vragen aan andere veldpartijen

- Hoe denken jullie over het eerder starten met Fase 1 (risico-identificatie), namelijk tijdens het *scoping process* (PICO) van EU HTAR?
 - Wat zijn kansen en risico's van de JSC⁵ voor de *timing* van fasen in het Nederlandse stelsel?
- Hoe denken jullie over het moment van invullen van het PIG-formulier?
 - Wat zijn kansen en risico's van het invullen van het PIG-formulier in dezelfde periode als het *Scoping Process* binnen EU HTAR?
- Hoe kijken jullie naar een mogelijkheid om in het nieuwe stelsel op basis van het PIG-formulier af te stemmen welk dossier er ingediend gaat worden?
 - Wat zijn de kansen en risico's hiervan?
 - Herkennen jullie kansen die wij zien, zoals slimme *resourcing* van beoordelaars, beroepsgroep en fabrikant en tijdig op maat dossier voorbereiden?

1) Weergave gebaseerd op figuur 1 'Proces op hoofdlijnen van beheerste instroom van geneesmiddelen' uit Kamerbrief 16 juni 2023

2) CHMP evaluatie duurt 210 actieve dagen. Weergave in tijdslijn hierboven met inclusie van periode van 'clock stop' (periode waarin aanvrager moet reageren op vragen van CHMP)

3) Voor uitleg afkortingen zie blz. 1

4) EU HTAR biedt raamwerk voor *Joint Scientific Consultations* (JSC), waardoor ontwikkelaars van innovatieve gezondheidstechnologieën vroegtijdig advies kunnen krijgen over benodigde *evidence* later in het proces (voor meer informatie: zie [link](#))

5) In onveranderde situatie is claim vrij zeker rond dit moment. Dit zou kunnen veranderen als er een nieuw toegelaten middel de standard of care wordt.

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

1. Flowchart van nieuwe stelsel - Aansluiting op Europese processen en tijdslijnen

- Tijdslijnen
- Identificeren van risico's per fase

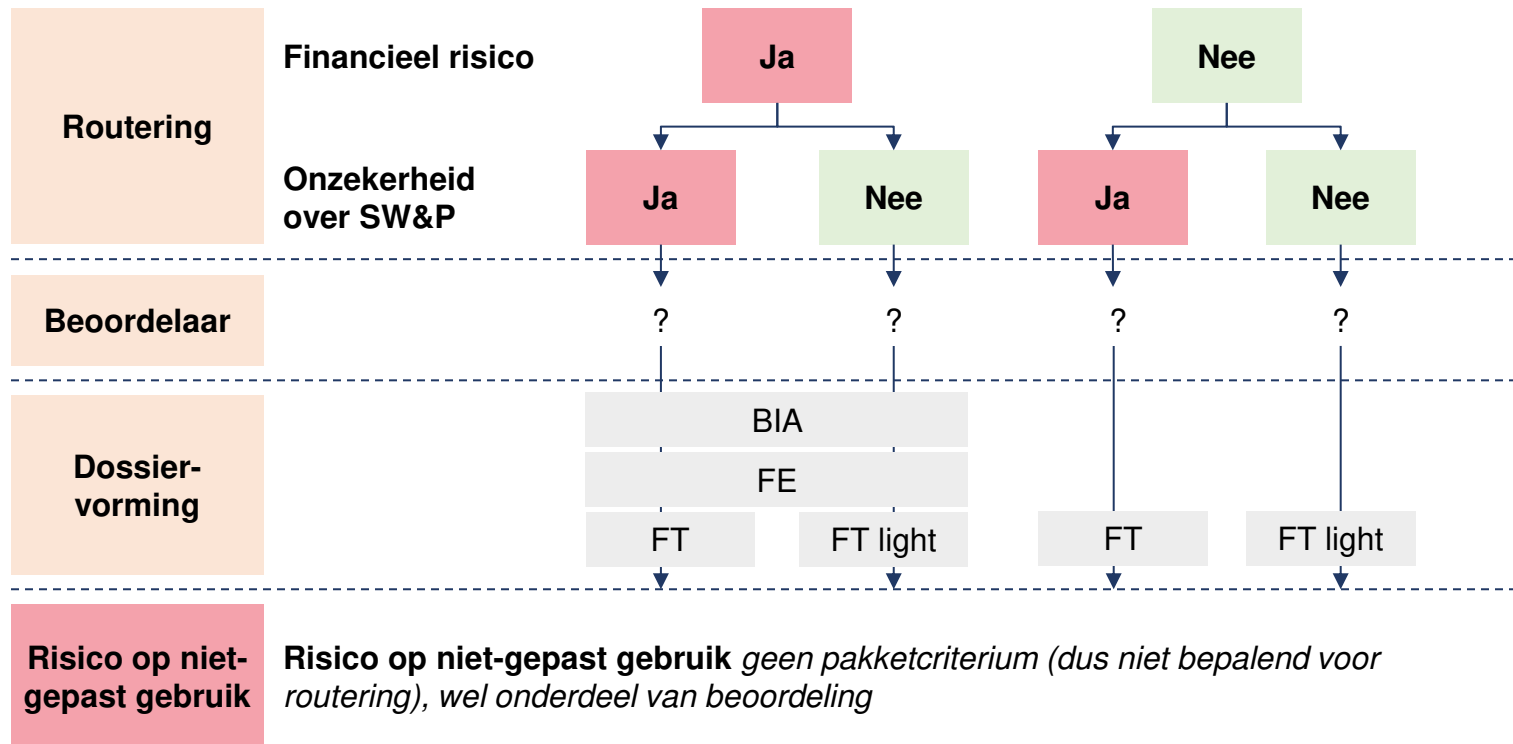
• **Routing, criteria en rollen**

2. Een betrouwbare en bruikbare Horizonscan
3. Routes van versnelde toegang binnen nieuwe stelsel
4. Waaier van opties voor risicomitigatie

Routing na triagetafel | Hoe kijken andere partijen naar routing na de triagetafel? Welke risico's worden wel of niet meegenomen?

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Routing na Triagetafel [weergave zegt nog niets over welke criteria een risico identificeren, verdieping op volgende bladzijden]



Bespreekpunten en vragen

- **Routing:** Welke risico's worden meegenomen om de routing na de triagetafel te bepalen?
Beoordelaar: Wie is de beoordelaar bij welke combinatie van risico's?
- **Dossievorming:** Wat zijn de vereisten wat betreft de dossievorming bij verschillende combinaties van risico's?
 - Wat zijn kansen en risico's van de *Joint Scientific Consultation (JSC¹)* voor de dossievorming in het Nederlandse stelsel?
- Wat wordt de beoordelingsmethodiek van risico op **niet-gepast gebruik**?
 - Wie is verantwoordelijk voor de beoordeling?
 - Wat zou de rol voor beroepsgroep kunnen zijn?
- **Ervaring opdoen:**
 - Hoe kunnen we met elkaar ervaring opdoen in dit aspect van het nieuwe stelsel?
 - Hoe zouden de VIG en haar leden hieraan kunnen bijdragen? (bijvoorbeeld: *pilots* in het kader van leren en verbeteren?)

1) EU HTAR biedt raamwerk voor Joint Scientific Consultations (JSC), waardoor ontwikkelaars van innovatieve gezondheidstechnologieën vroegtijdig advies kunnen krijgen over benodigde evidence later in het proces (voor meer informatie: zie [link](#))

Toelichting afkortingen | BIA: budgetimpactanalyse, FE: farmaco-economische deel van het vergoedingsdossier, FT: farmacotherapeutische deel van het dossier, SW&P: stand van de wetenschap en praktijk, JSC: Joint Scientific Consultation, EU HTAR: European Union Health Technology Assessment Regulation

Criteria om risico's te identificeren | Wat worden de criteria en drempelwaarden om risico's te identificeren?

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Risico's en criteria

Ja

Risico? [denkrichting wanneer iets een risico is; bullets bieden geen uitputtend overzicht]

Financiële risico's

- Macrokostenbeslag
- Kosten per patiënt
- Verwachte marktwerking

- Kosteneffectiviteit²

- ≥EUR 20 mln/jaar, of ≥EUR 10 mln/jaar en > EUR 50.000/patiënt
- Eén of geen concurrent binnen dezelfde indicatie¹ én minder dan 1 jaar vergoed in Nederland
- Aan triagetafel bepalen of kosteneffectiviteit relevant is (mede afhankelijk van de claim)

Onzekerheid over SW&P

- Standpunt van beroepsgroep
- Mate van bewijs
- Beroepsgroep ziet mogelijk waarde bij een subpopulatie
- Nederlandse situatie komt niet overeen met studie

Risico's op niet-gepast gebruik

- Situaties zoals omschreven in Handreiking 'Opstellen afspraken over gepast gebruik' van het Zorginstituut (23-10-2024)

Bespreekpunten en vragen

Financiële risico's

- Blijven de criteria voor het identificeren van een financieel risico hetzelfde als in huidige sluisprocedure?
- Wat betekenen de uitkomsten uit het programma MAUG voor de criteria en afkapwaarden van financiële risico's?
- Wat zouden kansen en risico's zijn om verwachte marktwerking¹ als criterium mee te nemen?

Onzekerheid over SW&P

- Wat zijn criteria voor het bepalen van (on)zekerheid over SW&P?
- In hoeverre wegen alle criteria even zwaar?

Risico's op niet-gepast gebruik

- Wat worden de criteria om de situaties uit de Handreiking vast te stellen?

1) Verwachte marktwerking zou gekoppeld kunnen worden aan het standpunt van de beroepsgroep: als geneesmiddelen als uitwisselbaar worden gezien dan is er sprake van verwachte marktwerking. Als het nieuwe geneesmiddel de voorkeur heeft voor (een deel van) de populatie, dan speelt het geen rol.

2) Kosteneffectiviteit is een criterium om een financieel risico vast te stellen, maar kan niet worden meegenomen in fase van risico-identificatie of triagetafel, omdat model en uitkomsten dan nog niet beschikbaar zijn.

Informatie en rollen | Welke informatie wordt gebruikt? Wie bepaalt of iets een risico is?

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Risico's en criteria

Financiële risico's

- Macrokostenbeslag
- Kosten per patiënt
- Verwachte marktwerking
- Kosteneffectiviteit

Onzekerheid over SW&P

- Claim van de fabrikant?
- Standpunt van beroepsgroep
- Mate van bewijs

Risico's op niet-gepast gebruik (zie Handreiking van het Zorginstituut)



Welke informatie?

Bespreekpunten en vragen

- Welke informatie is er wanneer nodig en beschikbaar om financiële risico's in te schatten?
- Welke informatie wordt gebruikt om het aantal patiënten in te schatten?
- Wat zijn eisen aan de informatie? Bijv. dient de informatie gepubliceerd te zijn?
- Wat is hierbij de rol van de beroepsgroep / experts? Wie zijn experts?

Welke informatie wordt gebruikt?

- PIG-formulier?
- PICO-survey? (NL PICO)
- Ingediend dossier bij EMA?

Welke informatie wordt gebruikt?



Wie beslist of het een risico is?

Bespreekpunten en vragen

- Wie zitten aan de triagetafel?
 - Patiëntenfederatie?
 - Artsen / FMS?
 - Zorginstituut?
 - Ministerie van VWS?
 - VIG / farmaceuten?
 - Experts risicomitigatie? Wie?
- Hoe wordt de samenstelling van de aanwezigen bepaald?
 - Wat is hierin de samenhang met de fase van risico-identificatie?
- Wie beslist er over welk risico?
 - Hoe werkt besluitvorming?
 - In hoeverre verschilt dit per risico? Bijv. Hebben de artsen / FMS een doorslaggevende stem als het gaat over het vaststellen van onzekerheid SW&P?

1) 'Opstellen afspraken over gepast gebruik', Handreiking van Zorginstituut, 23 oktober 2024

Rollen | In hoeverre zien andere partijen in een toekomstbestendig stelsel een rol voor CieBAG?

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Open vragen aan andere veldpartijen

- In hoeverre zien jullie in een toekomstbestendig stelsel een rol voor CieBAG (Commissie Beoordeling *Add-on* Geneesmiddelen)?
- Indien een rol gezien wordt:
 - Wat is de rolverdeling tussen Zorginstituut en CieBAG in verschillende fasen van het nieuwe stelsel?
 - Hoe kijken andere partijen naar de beoordelingsmethodiek van Zorginstituut en CieBAG?
 - Hoe kunnen we borgen dat de beoordelingsmethodiek van Zorginstituut en CieBAG – en eventuele verschillen daartussen - voor alle partijen ook goed uitvoerbaar is?

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

1. Flowchart van nieuwe stelsel - Aansluiting op Europese processen en tijdslijnen

2. Een betrouwbare en bruikbare Horizonscan

3. Routes van versnelde toegang binnen nieuwe stelsel

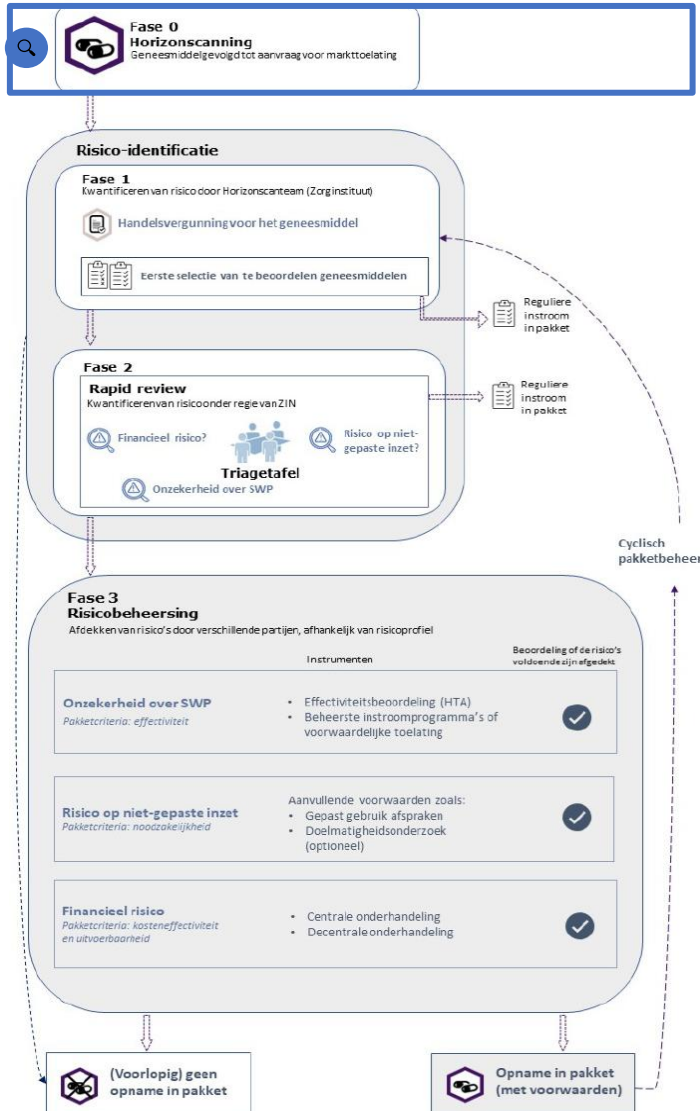
4. Waaier van opties voor risicomitigatie

VIG verkent graag samen met andere partijen hoe we verschillende risico's zo goed mogelijk kunnen inschatten in Horizonscan

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Aanleiding en doel

- **Aanleiding** | In een nieuw vergoedingsstelsel is de Horizonscan een cruciaal instrument om vroegtijdig te identificeren welke risico's kunnen optreden bij de vergoeding van een geneesmiddel. Het ministerie van VWS noemt risico's zoals: onzekerheid over relatieve effectiviteit, risico op niet-gepast gebruik en grote financiële impact¹. In de fase van de Horizonscan is echter nog weinig (openbare) informatie beschikbaar.
- **Doel** van dit hoofdstuk:
 - Onderzoeken hoe we in toekomstbestendig stelsel zo vroeg mogelijk in proces tot een realistische inschatting kunnen komen van de verschillende risico's
 - Onderzoeken hoe de Horizonscan als instrument hiervoor ingezet kan worden
- We bespreken graag samen met andere veldpartijen:
 - Wat is het beoogde doel en de beoogde toepassing van de Horizonscan in het nieuwe stelsel? (zie blz. 25)
 - Welke informatie zou er nodig zijn om risico's in te kunnen schatten? Hoe kan onze sector – al dan niet vertrouwelijk – de benodigde informatie aanleveren? (zie blz. 26)



Doel Horizonscan | Huidige Horizonscan richt zich op tien doelen, wat is beoogde doel en beoogde toepassing van Horizonscan in nieuwe stelsel?

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Clustering van doelen waar de huidige Horizonscan zich op richt [formulering van doelen is letterlijk overgenomen van website www.horizonscangeneesmiddelen.nl, clustering door Gupta Strategists]

Vroegtijdige toegang tot informatie...

- Kennis omtrent het op de markt komen van (innovatieve) geneesmiddelen wordt gebundeld en de toegang tot deze informatie wordt geoptimaliseerd;
- Patiënten, behandelaars, ziekenhuizen, zorgverzekeraars en overheidsorganen zijn vroegtijdig op de hoogte van welke ontwikkelingen verwacht worden op het gebied van geneesmiddelen en wat de mogelijke effecten hiervan zijn;

... waardoor veldpartijen kunnen handelen op deze informatie

Behandelaanbod (behandelaars, ziekenhuizen, verzekeraars)

- Behandelaars kunnen beter bepalen wat deze ontwikkelingen betekenen voor het behandelaanbod;
- Ziekenhuizen en behandelaars kunnen duidelijke afspraken maken over de inzet van deze geneesmiddelen en tijdig de organisatie van de zorg en de financiering hiervan oppakken;
- Behandelaars, ziekenhuizen en zorgverzekeraars kunnen anticiperen op patentverloop en eerder starten met de inzet van goedkopere alternatieven (*biosimilars* en generieke producten);

Inkoop / financiële afspraken (zorgverzekeraars en ziekenhuizen)

- Zorgverzekeraars en ziekenhuizen kunnen op basis van deze informatie hun inkoop beter organiseren;
- Ziekenhuizen en/ of zorgverzekeraars worden gefaciliteerd in het versterken van de onderhandelingspositie als inkoper van geneesmiddelen;
- Ziekenhuizen en/of zorgverzekeraars kunnen bepalen voor welke geneesmiddelen een eigen (lokaal of landelijk) financieel arrangement wordt ingezet;

Beoordeling (ministerie van VWS, Zorginstituut Nederland)

- Het ministerie van VWS kan bepalen voor welke geneesmiddelen een centraal financieel arrangement wordt ingezet en/of welke geneesmiddelen in de sluis worden geplaatst;
- Zorginstituut Nederland kan beoordelingen van geneesmiddelen tijdig agenderen en voorbereiden.

Open vragen aan andere veldpartijen

Huidige Horizonscan

- Wat vinden jullie van de doelen van de huidige Horizonscan? (In hoeverre zijn alle doelen even belangrijk en haalbaar?)
- In hoeverre dient de huidige Horizonscan alle doelen evengoed?
 - Welke doelen wel/ niet?
 - Wat zijn mogelijke oorzaken hiervan?

Horizonscan in nieuw stelsel

- Wat is het beoogde doel en de beoogde toepassing van de Horizonscan in het nieuwe stelsel?
- In hoeverre bepaalt informatie in de Horizonscan de routing in het nieuwe stelsel? (bijv. route naar reguliere instroom)
- Wie is de beoordelaar van de informatie in de Horizonscan?
- Wat is de rol van experts hierbij?

Relevante informatie en data in Horizonscan | Welke informatie zou er nodig zijn om risico's in te kunnen schatten? Hoe kan de sector hieraan bijdragen?

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

| Risico's | Welke informatie zou hiervoor nodig zijn? | (Met welke mate van onzekerheid) is deze informatie beschikbaar? | Door wie kan dit worden aangeleverd? |
|--|--|--|--|
| Financieel risico <ul style="list-style-type: none"> • Macrokostenbeslag • Kosten per patiënt | <ul style="list-style-type: none"> • Aantal patiënten x • Prijs per patiënt | <ul style="list-style-type: none"> • Eerste inschatting door beroepsgroep • Eerste inschatting, bijv. op basis van kostenbeslag van alternatieve therapieën) | <ul style="list-style-type: none"> • Experts vanuit beroepsgroep • Farmaceut |
| Risico op niet-gepast gebruik | <ul style="list-style-type: none"> • Inschatting van gebruik van middel in de praktijk | <ul style="list-style-type: none"> • Eerste inschatting, a.d.h.v. PIG-formulier | <ul style="list-style-type: none"> • Beroepsgroep |
| Onzekerheid over relatieve effectiviteit | <ul style="list-style-type: none"> • Claim van firma • PICO • Wetenschappelijke studie • EMA dossier | <ul style="list-style-type: none"> • Eerste inschatting op basis van studieprotocol, fase 2 data, data bekend van congressen | <ul style="list-style-type: none"> • Farmaceut • Beroepsgroep |

Open vragen aan andere veldpartijen:

- Hoe worden de risico's in de Horizonscan ingeschat? Welke informatie of data is hiervoor nodig?
- Hoe en hoe vaak wordt de informatie in de Horizonscan geüpdatet?
- Wie levert de benodigde informatie of data aan?
- Welke waarde heeft de informatie van verschillende bronnen? Bijvoorbeeld:
 - Hoe wordt input van experts gewogen? Is er een rol voor andere partijen in aanleveren van informatie voor de horizonscan? Welke?
 - Wat is de waarde van een inschatting van het aantal patiënten door de beroepsgroep vs. volgens openbare data?
 - Hoe kan onze sector – al dan niet vertrouwelijk – de benodigde informatie aanleveren?

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

1. Flowchart van nieuwe stelsel - Aansluiting op Europese processen en tijdslijnen
2. Een betrouwbare en bruikbare Horizonscan
- 3. Routes van versnelde toegang binnen nieuwe stelsel**
4. Waaier van opties voor risicomitigatie

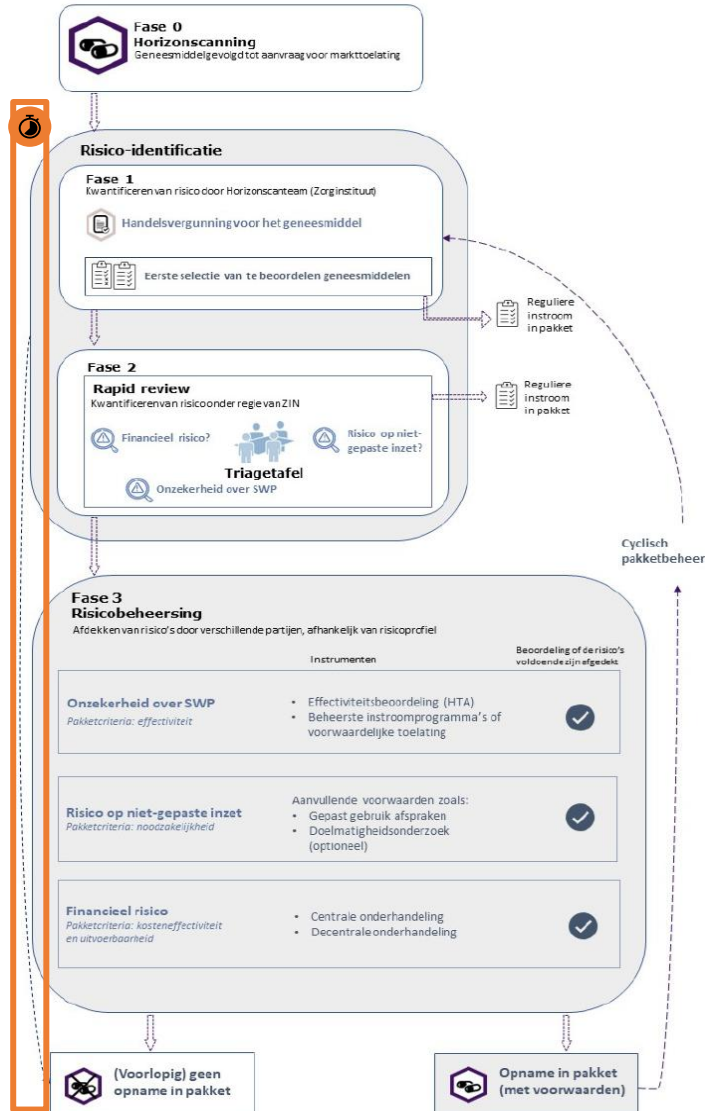
VIG verkent graag samen met andere partijen wat in nieuw stelsel mogelijke routes kunnen zijn om geneesmiddelen versneld bij patiënt te brengen

28

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Aanleiding en doel

- **Aanleiding** | We begrijpen dat er na EMA-markttoelating nog risico's kunnen bestaan. Passende oplossingen zijn nodig om patiënten wel versneld toegang te kunnen geven tot noodzakelijke en effectieve geneesmiddelen, ondanks het bestaan van risico's.
- De huidige instrumenten, zoals de Voorwaardelijke Toelating (VT) zijn niet altijd even passend.
- Ministerie van VWS evalueert op dit moment de huidige VT¹. De VIG kijkt graag samen met andere partijen hoe we kunnen komen tot maatwerkafspraken, zoals een doorontwikkeling van VT, en waar wij onze verantwoordelijkheid kunnen nemen
- **Doel** van dit hoofdstuk: onderzoeken wat in een toekomstbestendig stelsel **mogelijke routes** zouden kunnen zijn om effectieve of noodzakelijke geneesmiddelen eerder bij de patiënt te brengen
- Dit doen we aan de hand van een aantal open vragen over:
 - Wat zouden in toekomstbestendig stelsel mogelijke routes kunnen zijn om effectieve of noodzakelijke geneesmiddelen tijdig bij patiënt te brengen? (zie blz. 29 en 30)
 - Wat is de impact en haalbaarheid van mogelijke routes? Wat zijn de belangrijkste risico's? (zie blz. 31 en 32)



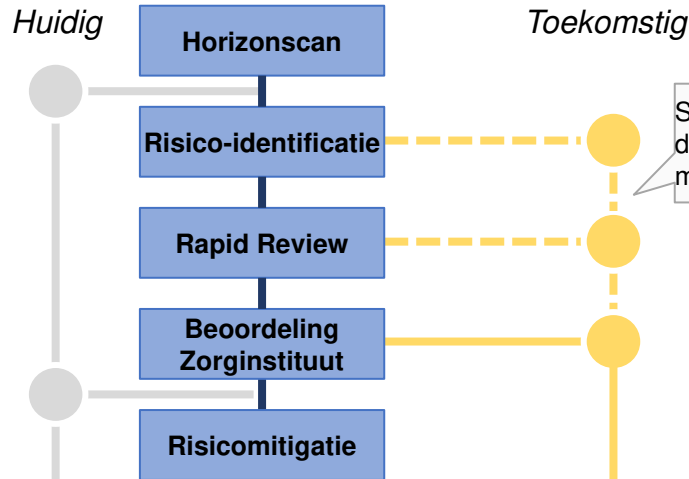
1) Voormalig minister voor Medische Zorg P.A. Dijkstra, 'Brief van de minister voor medische zorg: Geneesmiddelenbeleid', 11 april 2024

Toelichting afkortingen | EMA: Europees Geneesmiddelenbureau, VT: Voorwaardelijke Toelating, VWS: Volksgezondheid, Welzijn en Sport

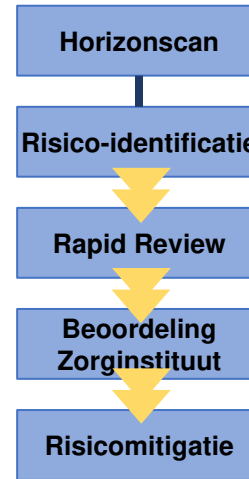
Denkrichting | In toekomstbestendig stelsel zouden meerdere routes mogelijk kunnen zijn om geneesmiddelen sneller bij patiënt te brengen

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

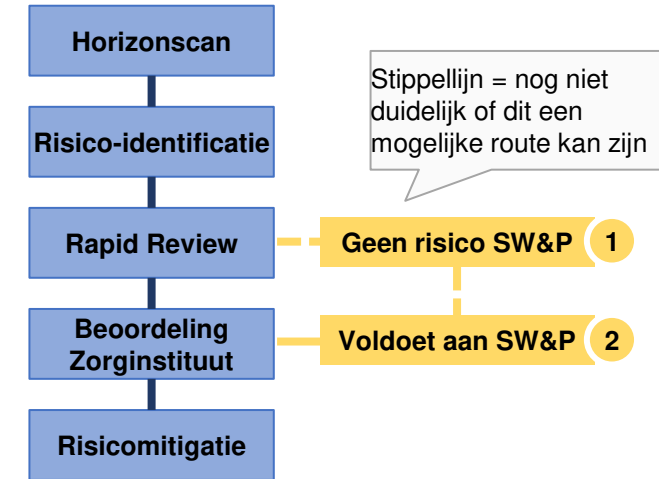
Doorontwikkelde voorwaardelijke toelating (VT 2.0)



Fast track²



Overbruggingsvergoeding



| Situatie | Doel |
|--|---|
| <ul style="list-style-type: none"> Geneesmiddelen met onzekerheid over SW&P; <i>real world data</i> is nodig voor duiding Nu alleen mogelijk voor <i>conditionals</i>, <i>exceptionals</i> en weesgeneesmiddelen | <ul style="list-style-type: none"> Toegang tot geneesmiddelen tijdens nader onderzoek naar SW&P Doorontwikkeling van voorwaardelijke toelating is één van de manieren om onzekerheid over SW&P te mitigeren |
| <ul style="list-style-type: none"> Geneesmiddelen die een <i>unmet medical need</i> adresseren en/ of geneesmiddelen waarover wetenschappelijke vereniging of patiëntfederaties zich uitspreken | <ul style="list-style-type: none"> Sneller duidelijkheid voor patiënten in hoge nood door verkorting van beoordelingsprocedure, maar waarbij dezelfde beoordelingscriteria worden gehanteerd¹ |
| <ul style="list-style-type: none"> Geneesmiddelen waarbij SW&P duiding positief is | <ul style="list-style-type: none"> Sneller toegang tot effectieve geneesmiddelen met financieel risico tijdens prijsonderhandeling |

Transparant proces, duidelijke criteria en tijdslijnen zijn voor alle routes voorwaarden voor succes

1) Uit 'Commissiebrief Tweede Kamer inzake Kabinetsvisie over dure geneesmiddelen', 4 oktober 2024. 2) In het Verslag van Schriftelijk Overleg Geneesmiddelenbeleid (7 februari 2025) staat dat de Minister heeft besloten de *fast track* onder te brengen in het traject toekomstbestendig pakketbeheer dure geneesmiddelen.
Toelichting afkortingen | VT: Voorwaardelijke Toelating, SW&P: Stand van de Wetenschap en Praktijk

Open vragen over denkrichting | Hoe kijken andere veldpartijen naar routes om effectieve of noodzakelijke geneesmiddelen sneller bij patiënt te brengen?

30

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Doorontwikkelde voorwaardelijke toelating (VT 2.0)

Open vragen aan andere veldpartijen

- Wat zou het doel van de doorontwikkelde voorwaardelijke toelating moeten zijn?
- Hoe kijkt men naar de doorontwikkeling of uitbreiding van het huidige VT-traject als één van de opties om onzekerheid over relatieve effectiviteit te mitigeren?
- Voor welke situaties zou dit wel, en voor welke situaties expliciet niet passend zijn?
- Wat zijn voorwaarden aan dataverzameling? (bestaande bronnen, lopende studie, ...?)
- Hoe zou de financiering van dit traject eruit kunnen zien?
 - Wat zijn passende financiële afspraken over verdere dataverzameling?
- Wat is de beoogde duur van deze route?
- Waar kunnen wij onze verantwoordelijkheid nemen?
- Hoe kunnen we er voor zorgen dat de beoogde doelen ook gehaald worden na het VT traject?

Fast track

Open vragen aan andere veldpartijen

- Wat is het doel van een *fast track*?
- Hoe wordt bepaald welke geneesmiddelen in aanmerking komen voor een *fast track*?
 - Door wie, op basis van welke informatie, wanneer?
 - Welke definitie van *unmet medical need* wordt gehanteerd?
- Wat is de beoogde duur van deze route?
 - Wat zou de maximale doorlooptijd per fase mogen zijn?
 - Hoeveel sneller doorloopt een geneesmiddel in de *fast track* het proces ten opzichte van de reguliere route?
 - Wat zouden risico's kunnen zijn voor geneesmiddelen die niet in aanmerking komen voor een *fast track*?
- Waar kunnen wij onze verantwoordelijkheid nemen?

Overbruggingsvergoeding

Open vragen aan andere veldpartijen

- Wat is jullie mening over een route van versnelde toegang voor geneesmiddelen die voldoen aan SW&P?
- Wat zijn kansen en risico's van overbruggingsvergoeding voor geneesmiddelen die bewezen effectief zijn?
- Wat zou een andere route kunnen zijn voor deze situatie?
- Wat zou een route kunnen zijn voor geneesmiddelen waarvoor op groepsniveau onzekerheid over relatieve effectiviteit bestaat, maar waarbij voor individuele patiënten toegevoegde waarde kan zijn?
- Waar kunnen wij onze verantwoordelijkheid nemen?

Denkrichting | Drie mogelijke routes van versnelde toegang hebben verschillende impact en haalbaarheid

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

| Impact en haalbaarheid |  Doorontwikkelde VT |  <i>Fast track</i> |  Overbruggingsvergoeding |
|---|--|--|---|
| Impact Snellere toegang tot geneesmiddelen voor patiënten | ● | ● Risico op langere doorlooptijden voor overige geneesmiddelen | ● |
| Grip op onzekerheid over relatieve effectiviteit | ● Kans om effectiviteit in praktijk te onderzoeken, maar data in veel gevallen zeer beperkt | ● Zelfde beoordelingsprocedure, maar sneller | ● N.v.t. want geneesmiddelen zijn SW&P positief |
| Impact op beheersen van kosten | ● Voorwaardelijke karakter geeft meer grip op kosten, maar kostbaar traject | ● Zelfde beoordelingsprocedure maar sneller | ● Risico op onderhandelingsmacht |
| Haalbaarheid Weinig aanpassingen nodig aan stelsel | ● Uitbreiding van bestaand systeem, vraagt wel om aanpassingen op maat | ● Extra afspraken over welke geneesmiddelen in aanmerking komen en maximale doorlooptijd per fase in <i>fast track</i> | ● Extra afspraken over vergoeding en spelregels |
| Verwacht draagvlak voor toepassing in praktijk | ● Beleidsevaluatie en doorontwikkeling VT nu opgestart ¹ | ● Nog niet toegepast, wel genoemd door minister Agema ² | ● Vooralsnog ziet ministerie van VWS geen meerwaarde ³ |

● Hoog ● Risico ● Laag ● Niet van toepassing

1) Kamerbrief Dijkstra - 11 april 2024
 2) Kamerbrief Agema - 4 oktober 2024
 3) Kamerbrief Helder - 22 januari 2024

Open vragen over impact, haalbaarheid en risico's | Wat is de beoogde impact van routes van versnelde toegang? Welke routes lijken het meest haalbaar?

32

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Open vragen over impact, haalbaarheid en risico's van de drie mogelijke routes voor versnelde toegang

[ doorontwikkelde voorwaardelijke toelating,  fast track,  overbruggingsvergoeding]

Impact

Open vragen aan andere veldpartijen over de drie mogelijke routes van versnelde toegang

- Wat is het belangrijkste doel van versnelde toegang? (snellere toegang voor de patiënt, meer gezondheidswinst, meer grip op relatieve effectiviteit, allemaal belangrijk?)
- Welke van de routes draagt het beste bij aan deze beoogde impact?

Haalbaarheid

Open vragen aan andere veldpartijen over de drie mogelijke routes van versnelde toegang

- Welke van deze routes lijkt het meest haalbaar?
- Wat is er voor nodig om dit goed in de praktijk te implementeren?
- Wat vraagt dit van de verschillende veldpartijen?

Risico's

Open vragen aan andere veldpartijen over de drie mogelijke routes van versnelde toegang

- Wat zijn de belangrijkste risico's van deze mogelijke opties?
- In hoeverre is het mogelijk om deze risico's te mitigeren?
- Welke optie(s) valt/vallen af vanwege de risico's?

Doorontwikkeling huidig VT-traject biedt mogelijkheid om SW&P in de praktijk te bepalen

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG



Doorontwikkeling voorwaardelijk toelating (VT 2.0)

Toegang tot geneesmiddelen onder voorwaarde van verder onderzoek naar SW&P

Categorie geneesmiddelen¹

Geneesmiddelen met onzekerheid over effectiviteit die met *real world data* verder onderzocht kan worden

- Breder dan alleen *conditionals*, *exceptionals* en weesgeneesmiddelen
- Kanttekening: een onbeantwoorde effectiviteitsvraag is niet hetzelfde als een doelmatigheidsvraag waarbij bijvoorbeeld dosisaanpassing wordt onderzocht

Varianten¹

Binnen het toekomstig stelsel zijn grofweg twee varianten van VT te bedenken

1. Voorwaardelijke toelating zoals dit nu mogelijk is
2. Doorontwikkeling van het huidige stelsel voor een bredere groep middelen dan *conditionals*, *exceptionals* en weesgeneesmiddelen

Proces¹

Zorginstituut en fabrikant samen verantwoordelijk

- **Start**: na triagetafel of beoordeling van Zorginstituut
- **Voorwaarde**: heldere afspraken over additionele dataverzameling (duur, eindpunten, aantal patiënten, etc.) om tot formele (her)beoordeling van SW&P te komen
- **Rollen en verantwoordelijkheden**:
 - Dataverzameling: behandelaren, farmaceuten
 - Coördinatie en herbeoordeling: Zorginstituut

Open vragen

Bij een doorontwikkeling van voorwaardelijke toelating zal er invulling gegeven moeten worden aan meerdere vragen:

1. Wat zijn de kansen en risico's van de verschillende varianten?
2. Wat zijn de rollen en verantwoordelijkheden in het nieuwe systeem?
3. Welke tijdlijnen zijn er aan het nieuwe VT traject verbonden?
4. Welke data wordt geaccepteerd en welke moet verzameld worden?
5. Wat zijn gewenste verrekeningsmodellen bij VT?

1) Denkrichtingen

Een 'fast track' biedt mogelijkheden voor prioritering van beoordeling, maar er bestaat een risico op vertraging voor de overige geneesmiddelen

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG



Fast track

Kortere doorlooptijd voor noodzakelijke geneesmiddelen

Categorie geneesmiddelen¹

Geneesmiddelen met *unmet medical need*

Proces¹

Voor transparant en spoedig verloop van *fast track* zijn heldere criteria nodig en commitment van zowel Zorginstituut als fabrikanten

- **Start:** vanaf marktautorisatie
- **Voorwaarden:**
 - Heldere criteria
 - Geneesmiddelen worden met voorrang behandeld
 - Kortere doorlooptijden met duidelijke deadlines
- **Rollen en verantwoordelijkheden:**
 - Fabrikant en/of beroepsgroep dient aanvraag voor *fast track* in
 - Zorginstituut en fabrikanten verantwoordelijk voor het naleven van deadlines

Varianten¹

Binnen het toekomstig stelsel zijn verschillende varianten van *fast track* te bedenken

1. Geneesmiddelen in de *fast track* worden eerder beoordeeld
2. Kortere doorlooptijden voor geneesmiddelen in de *fast track*
3. Grotere mate van onzekerheid geaccepteerd voor geneesmiddelen in de *fast track*

Open vragen

Er zijn nog weinig kaders om invulling te geven aan een *fast track* en daarom ook nog veel open vragen:

1. Wat zijn de kansen en risico's van de verschillende varianten?
2. Wie bepaalt of een middel in de *fast track* komt?
3. Hoe kijken jullie naar de definitie van *unmet medical need*? (Wat zijn kansen en risico's van het uitgaan van de beoordeling in het *European Public Assessment Report* (EPAR) van EMA of een nationale definitie hieraan geven?)
4. Wat is het gevolg van een *fast track* op de beoordeling en doorlooptijden van middelen die hier niet voor in aanmerking komen?

1) Denkrichtingen

Overbruggingsvergoeding biedt mogelijkheid patiënten niet te laten wachten op effectieve geneesmiddelen terwijl financiële afspraken gemaakt worden

35

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG



Overbruggingsvergoeding

Patiënten eerder toegang tot bewezen effectieve geneesmiddelen

Categorie geneesmiddelen¹

Geneesmiddelen die voldoen aan de stand van de wetenschap en praktijk

- Waarvan afspraken om het financiële risico af te dekken worden gemaakt

Varianten¹

Binnen het toekomstig stelsel zijn grofweg twee varianten van overbruggingsvergoeding te bedenken

1. Overbruggingsvergoeding met variatie op de hoogte van de vergoeding (vergoeden met terugwerkende kracht is mogelijk)
2. Overbruggingsvergoeding met variatie op de vergoedingsduur

Proces¹

Overbruggingsvergoeding vraagt om commitment van zowel fabrikant als betaler

- **Start:** Vanaf moment dat geneesmiddel voldoet aan SW&P
- **Voorwaarden:** Heldere afspraken over verrekeningsmodel, vergoedingsduur en 'spelregels' als er geen overeenkomst wordt bereikt
- **Rollen en verantwoordelijkheden:** Fabrikanten en betaler streven naar het delen van risico's

Open vragen

Om de route van overbruggingsvergoeding te verkennen hebben we een aantal open vragen

1. Wat zijn de kansen en risico's van de verschillende varianten voor de verschillende partijen?
2. Wat zijn de rollen van de verschillende partijen in dit proces?
3. Vanaf welk moment is overbruggingsvergoeding mogelijk?
4. Wat zijn de afspraken als er geen prijsovereenkomst wordt bereikt?
5. Hoe wordt er gemonitord of geëvalueerd?

1) Denkrichtingen
Toelichting afkorting | SW&P: Stand van de Wetenschap en Praktijk

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

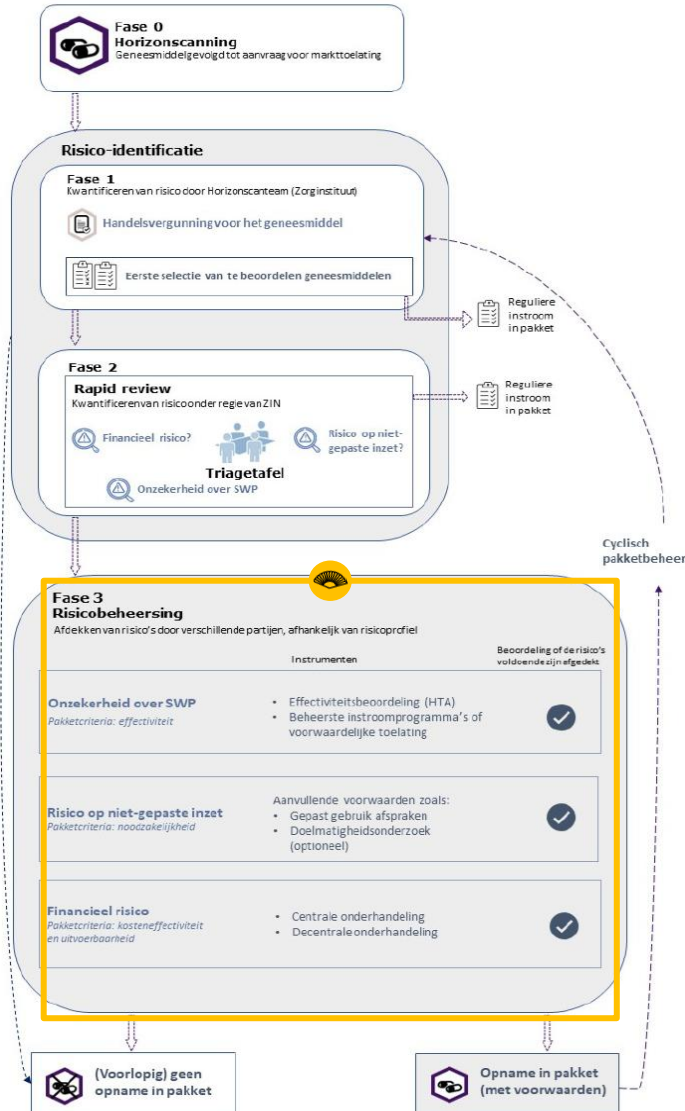
1. Flowchart van nieuwe stelsel - Aansluiting op Europese processen en tijdslijnen
2. Een betrouwbare en bruikbare Horizonscan
3. Routes van versnelde toegang binnen nieuwe stelsel
- 4. Waaier van opties voor risicomitigatie**

VIG zoekt graag met andere partijen naar waaier van opties om passende afspraken te maken om risico's te mitigeren

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Aanleiding en doel

- **Aanleiding** | Onder andere in de Kamerbrief van april 2024 is geschreven dat verschillende type risico's beheerst kunnen worden met verschillende maatregelen
- Het Zorginstituut heeft in oktober 2024 een 'Handreiking Opstellen afspraken over gepast gebruik' gepubliceerd, waarin zij situaties omschrijft waarbij risico's bestaan voor niet-gepast gebruik en welke afspraken er dan mogelijk zijn
- De NZa, ACM en het Zorginstituut werken in het programma Maatschappelijk Aanvaardbare Uitgaven Geneesmiddelen (MAUG) toe naar een kader voor maatschappelijk aanvaardbare prijzen voor geneesmiddelen en maatregelen om de concurrentie van geneesmiddelen onderling te regelen
- **Doel** van risicobeheersing is om risico's zo goed mogelijk af te dekken en eerlijk te verdelen over partijen
- VIG zoekt graag met andere partijen naar een waaier van opties om **passende afspraken** te maken om gezamenlijk risico's te mitigeren
- Vragen om te verkennen in open dialoog:
 - Wat vinden andere veldpartijen van de gevolgen van de type risico's: wel / geen pakketcriterium? (zie blz. 38)
 - Wat vinden andere veldpartijen van de risicomitigatie-opties per type risico? (zie blz. 39)



Denkrichting risico's en pakketcriteria | Wat vinden andere veldpartijen van de gevolgen van de type risico's: wel / geen pakketcriterium?

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Onzekerheid over relatieve effectiviteit

Onzekerheid of effectiviteit van interventie in dagelijkse praktijk overeenkomt met effectiviteit uit klinische studie

- P: onzekerheid over effectiviteit voor (deel van) patiënten
- I: onzekerheid over dosering, frequentie van toediening en/of combinatie met andere behandeling
- C: comparator in trial niet hetzelfde als in Nederlandse PICO
- O: onzekerheid over *outcome*

Financiële risico's

- Budgetimpact of macrokostenbeslag te groot of te onzeker
- Kosten per patiënt te hoog of te onzeker
- Kosteneffectiviteit onvoldoende of te onzeker

Risico's op niet-gepast gebruik

Situaties beschreven door Zorginstituut, waarbij risico's voor niet-gepast gebruik¹:

- Effectiviteit en doelmatigheid hangt nauw samen met juiste indicatiestelling en toepassing
- Effectiviteit en doelmatigheid hangt nauw samen met vaardigheden, ervaring en organisatie van zorg
- Onzekerheid over passende inzet in de praktijk

Pakketcriteria

Bestaan van risico kan betekenen: geen toegang tot verzekerde pakket of toegang onder voorwaarde dat risico wordt gemitigeerd

Geen pakketcriterium

Mitigeren risico's op niet-gepast gebruik is onderdeel van beoordelingstraject

Denkrichting mitigatie | Wat vinden andere veldpartijen van de risicomitigatie-opties per type risico?



Risicomitigatie-opties bij onzekerheid over relatieve effectiviteit

- Vergoeden van geneesmiddelen onder voorwaarde van dataverzameling (doorontwikkeling voorwaardelijke toelating, *post registration study, registry* of dataverzamelingsplan maken met Zorginstituut en beroepsgroep)
- Afspreken van *pay for performance* (definiëren van respons / non-respons en vervolgens onderzoeken, duidelijke start-stop-criteria)
- Accepteren van surrogaatuitkomsten (onder voorwaarde van verder onderzoek) als correlatie tussen surrogaatuitkomst en einduitkomst binnen ziektebeeld is vastgesteld

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG



Risicomitigatie-opties bij financiële risico's

Afspreken van ...:

- korting (in geval van onvoldoende kosteneffectiviteit: korting tot een acceptabele kosteneffectiviteit)
- trapsgewijze korting omhoog of omlaag (volumestaffel)
- abonnementsmodel voor eenmalige, kostbare interventies
- verschillende prijzen o.b.v. indicatie (afpraak aan voorkant over prijs per indicatie)
- tijdelijke korting om tot acceptabele kosteneffectiviteit te komen (Opnieuw kosteneffectiviteitsanalyse uitvoeren op basis van nieuwe data op langere termijn. Als ICER² in praktijk gunstiger blijkt, dan minder korting geven)



Risicomitigatie-opties bij risico's op niet-gepast gebruik

Uit Handreiking van Zorginstituut¹

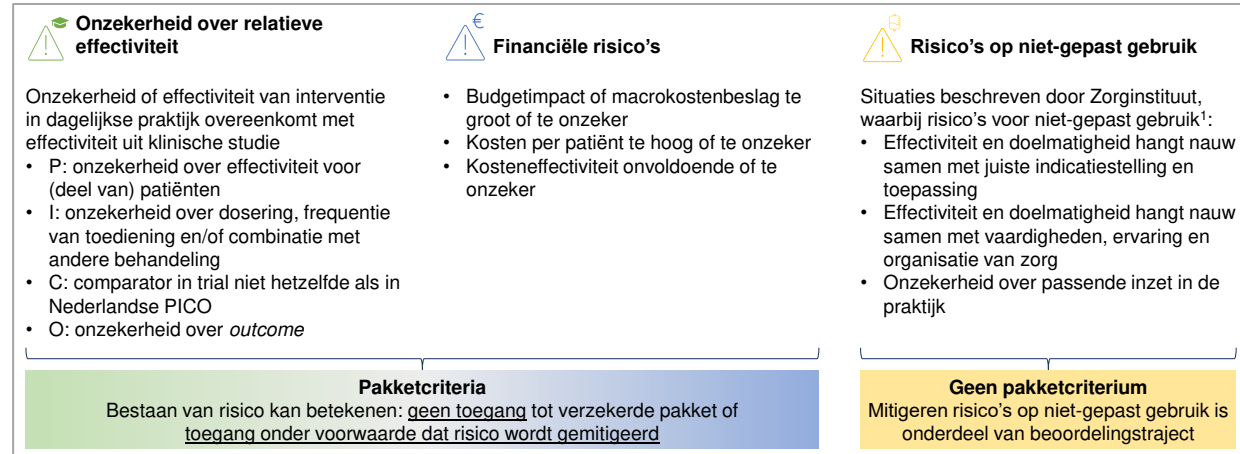
| Situatie | Afspraak over |
|---|--|
| Effectiviteit en doelmatigheid hangt nauw samen met juiste indicatiestelling en toepassing. | Inhoud van zorg <ul style="list-style-type: none"> - Indicatiecriteria - Centrale indicatiestelling - Wijze van uitvoering van een behandeling of dosering. - Beoordelen behandelresultaat - Stopcriteria - Ontwikkelen van informatie voor samen beslissen |
| Effectiviteit en doelmatigheid hangt nauw samen met vaardigheden, ervaring en organisatie van zorg. | Organisatie van zorg <ul style="list-style-type: none"> - Kwaliteitscriteria behandelaars en behandelcentra - Concentratie van zorg - Opzetten van een scholingsprogramma - Spillagereductie |
| Onzekerheid over passende inzet in de praktijk. | Kennis en inzicht <ul style="list-style-type: none"> - Onderzoek naar de effectiviteit en veiligheid van de behandeling in de praktijk - Doelmatigheidsonderzoek |

1) Handreiking Opstellen afspraken over gepast gebruik, Zorginstituut Nederland, 23 oktober 2024
 Toelichting afkorting | ICER: Incremental Cost Effectiveness Ratio

Open vragen | Welke perspectieven zijn er op het wel of niet gebruiken van een type risico als pakketcriterium? Welke mitigatie-opties hebben de voorkeur?

TER BESPREKING IN OPEN DIALOOG

Open vragen



Open vragen aan andere veldpartijen:

- Wat vinden jullie van de gevolgen van een type risico?
 - Hoe verschilt een risico op niet-gepast gebruik van de andere risico's (weging, timing)?
- Wat vinden andere veldpartijen van de risicomitigatie-opties voor het mitigeren van onzekerheid over relatieve effectiviteit en financiële risico's?
 - Welke risicomitigatie-opties zouden de voorkeur hebben? En waarom?
 - Welke risicomitigatie-opties hebben absoluut niet de voorkeur? En waarom?
- Hoe kunnen de voorkeuren voor de verschillende mitigatie-opties veranderen als de resultaten van project MAUG bekend worden?
 - Hoe kunnen we daar samen op anticiperen?