



# NVHP

Nederlandse Vereniging van Hemofilie-Patiënten

## Uitgangspunten voor een betere en betaalbare hemofiliebehandeling

### Doel

Om als NVHP snel en consistent te kunnen reageren op ontwikkelingen in de (hemofilie)zorg moeten we weten wat onze doelen en uitgangspunten zijn. Deze notitie wil de onderbouwing van eigen beleid zijn én de basis voor stellingname in actuele discussies. In die actualiteit speelt de betaalbaarheid van zorg een grote rol. Juist die betaalbaarheid speelt specifiek voor ernstige hemofilie A of B-patiënten. Veel van de uitgangspunten gaan evenzeer over mensen met de milde of matige vorm of over andere (zeer zeldzame) stollingsstoornissen.

### Status



Deze notitie is de beknopte versie van een uitgebreide Position Paper, die op 24 juni door het NVHP-bestuur is vastgesteld, na raadpleging van de leden op 30 mei. Overigens voor zo lang als het duurt, de (hemofilie) zorg is in voortdurende ontwikkeling, dus blijft dit een levend document dat telkens up-to-date gehouden zal worden.

versie 6 juli 2015

Nederlandse Vereniging van Hemofilie-Patiënten (NVHP)

Postbus 1188 | 3860 BD Nijkerk

033-2471049

[www.nvhp.nl](http://www.nvhp.nl) | [nvhp@nvhp.nl](mailto:nvhp@nvhp.nl)

# 1. Kenmerken van hemofilie

## **Bloedingen en gewrichtsschade**

Hemofilie is een aangeboren afwijking in de bloedstolling, waarbij spontane bloedingen optreden, met name in gewrichten en spieren. De oorzaak hiervan is een tekort aan een stollingsfactor in het bloed.

## **Behandeling**

Hemofilie vereist levenslange behandeling. Deze behandeling van hemofilie en aanverwante stoornissen is complex, bestaat uit begeleiding bij het voorkomen en zo nodig behandelen van bloedingen door het gebruik van stollingsfactorconcentraten en de coördinatie van de behandeling bij operaties en trauma's.

De invaliderende gewrichtsbloedingen brengen op termijn, zeker bij de veteranen, grote orthopedische ingrepen met zich mee.

De ontbrekende stollingsfactor kan in het bloed worden geïnjecteerd (via intraveneuze toediening). Dat gebeurt in elk geval bij in- en uitwendige bloedingen door trauma's of medische behandeling (bijvoorbeeld tandarts). Ernstige hemofiliepatiënten krijgen daarnaast een profylactische dosering van een stollingsproduct voorgeschreven, ter voorkoming van bloedingen. De patiënten wordt gevraagd een logboek bij te houden, waarin de toedieningen en bloedingen geadmistreerd worden. De thuisbehandeling is cruciaal voor het voorkomen en snel bestrijden van een bloeding.

## **Afhankelijkheid van stollingsproduct**

De afhankelijkheid van stollingsfactor en van goede behandeling is erg hoog. De risico's bij behandeling van onvoldoende kwaliteit zijn erg groot. De zware ervaringen in het verleden met onder andere hiv/aids en hepatitisbesmettingen, waarvan de gevolgen nu nog gevoeld worden maken dat blijvende waakzaamheid geboden is.

## **Zeldzaam**

In Nederland zijn er ongeveer 1.600 patiënten met hemofilie (ca. 1:10.000), waarvan 80% hemofilie A heeft. De overige patiënten hebben hemofilie B.

In bijna de helft van de gevallen is sprake van een ernstige vorm van hemofilie.

Afgezien van de ziekte van Von Willebrand, waarvan de milde vorm frequent voorkomt, zijn de andere stollingsstoornissen nog veel zeldzamer, soms 1:1.000.000.

## **Multidisciplinaire behandeling**

Het behandelen van de stollingsproblemen zelf vraagt om de specifieke expertise met ondersteuning van een multidisciplinair behandelteam (kinderarts, internist (hematoloog), orthopeed, revalidatiearts, fysiotherapeut, maatschappelijk werker). Nederland telt zeven hemofiliebehandelcentra (HBC's), in de universitaire medische centra van Groningen, Nijmegen, Maastricht, Utrecht Amsterdam, Leiden en Rotterdam. Stollingspatiënten en draagsters zijn ook voor ingrepen vanwege andere aandoeningen (tandheelkundig, chirurgisch, bevalling) aangewezen op een HBC.

## **Kostbaar**

De hemofiliezorg is medisch specialistische zorg. Sinds 2000, toen de hemofiliezorg werd ondergebracht bij de Wet Bijzondere Medische Verrichtingen, worden hemostatica uitsluitend geleverd door de ziekenhuisapotheken van de aangewezen hemofiliebehandelcentra en enkele ziekenhuizen in de regio waarmee zij een overeenkomst hebben. Sinds 2002 vallen zij ook budgettair onder het ziekenhuis. Cijfers over de kosten van hemostatica waren niet gemakkelijk in het publieke domein te verkrijgen. De Nederlandse Zorgautoriteit spreekt in *zijn Onderzoek naar de toegankelijkheid en betaalbaarheid van geneesmiddelen in de medisch specialistische zorg* uit juni 2015 over € 130 miljoen per jaar. Maar ook dat rapport kan geen gemiddeld gebruik per patiënt geven.

## **Grote verschillen in gebruik**

De variatie in gebruik van stollingsfactoren tussen patiënten is heel groot. Sommigen ontvangen profylactische behandeling andere on-demand (alleen bij een bloeding). Tussen

alleen al 'doorsnee' patiënten bestaan grote verschillen, bijvoorbeeld in bloedingsneiging en halfwaardetijd (afbraaksnelheid van het ingespoten product) en bloedingsneiging. Dus ook de aantallen gebruikte producteenheden variëren navenant.

Remmers, grote operaties of trauma's leiden voor een centrum tot (soms langdurig) piekgebruik van stollingsproducten. Landelijk gezien valt de fluctuatie mee. Wel is er een gestage groei van 5 tot 7 % per jaar, aldus prof. dr. Frank Leebeek, mondeling.

## 2. Uitgangspunten voor de NVHP

---

### **Kwaliteit van leven**

*Doel is dat een hemofiliepatiënt zo min mogelijk belemmerd door zijn aandoening volop kan participeren in de samenleving, rekening houdend met reguliere grenzen.*

### **HIN-onderzoeken**

Sinds 1972 heeft vijf keer het wetenschappelijk onderzoek *Hemofilie in Nederland (HIN)* plaatsgevonden. Ze brachten de medische én sociale omstandigheden van mensen met hemofilie in kaart. Bij de start in 1972 waren er geen personen met ernstige hemofilie die ouder waren dan veertig jaar. De levensverwachting is inmiddels bijna normaal. De hemofiliebehandeling is dus bijzonder effectief. En het leven wordt niet alleen verlengd, ook de kwaliteit er van en de maatschappelijke positie van patiënten verbeteren sterk door de profylactische behandeling. Dit alles leidt tot een normaal en inclusief leefpatroon, jongens en mannen gaan studeren en krijgen banen die bij hun opleidingsniveau passen. Illustratief is de vrijwel normale arbeidsparticipatie. De NVHP streeft naar een behandeling zonder bloedingen en gewrichtsschade, met aandacht voor nieuwe ontwikkelingen.

### **Kwaliteit van zorg**

De medische kwaliteit van zorg moet zijn geborgd in de *Behandelrichtlijn*. Uitgangspunt daarbij is: voorkomen van bloedingen en daarmee voorkomen van schade en uitval, primair vanuit het perspectief van de patiënt zelf, gericht op de kwaliteit van leven.

### **Veiligheid van stollingsproducten**

Voor de NVHP heeft productveiligheid absolute prioriteit. De ervaringen met

hiv/aids- en hepatitisbesmettingen leren ons hoe kwetsbaar de veiligheid is.

Veiligheid reikt verder dan officiële labwaarden en andere medische feiten. Er moet ook sprake zijn van vertrouwen in de veiligheid: dus het gevoel van veiligheid.

### **Beschikbaarheid**

De NVHP is voorstander van meerdere gecertificeerde hemofiliebehandel- en expertisecentra. Zeker op het gebied van wetenschappelijk onderzoek is het gunstig als men elkaar ambitieus en scherp houdt. Eén centrum kan te dominant worden.

De hemostaticamarkt is een internationale markt. Nederland is een relatief kleine markt in Europa. Komt marktwerking onder druk, dan ontstaat een aantal problemen: risico op leveringstekorten, gebrek aan keuze en het uitblijven van innovatie.

### **Bereikbaarheid**

Zorg en stollingsproducten moeten niet te ver van huis en tijdig verstrekt worden. De bereikbaarheid van hemofiliebehandelcentra staat onder druk. De geografische spreiding van de zeven centra over het land is ontoereikend. Wie tussen Assen en Arnhem woont, heeft lange aanrijtijden in geval van trauma en moet zelf ver reizen voor behandeling of producten. De ambulancediensten moeten patiënten ook als zij buiten bewustzijn zijn, direct naar een HBC brengen. Denk ook aan de ouders van jonge kinderen die zeker twee of drie keer per week naar het ziekenhuis moeten voor (ITI-)behandelingen. De NVHP ziet een goed gefaciliteerde thuisbehandeling en evenwichtige regionale spreiding van gekwalificeerde hemofiliecentra met 'shared care' constructies met

nabijgelegen ziekenhuizen als de belangrijkste waarborgen voor goede, bereikbare zorg. Over de kosten van de gedeelde behandelingen moeten goede afspraken worden gemaakt.

#### **Gebruiksvriendelijkheid stollingsproducten**

Hemofiliepatiënten zijn afhankelijk van het gebruiksgemak van hun stollingsmiddelen; ze moeten gemakkelijk kunnen worden meegenomen en/of elders kunnen worden verkregen, ook in het buitenland, voor vakantie, op studie- of zakenreis.

#### **Keuzevrijheid**

Vanwege het chronische karakter en de hoge mate van zelfmanagement ter voorkoming van bloedingen is de vertrouwensband tussen patiënt en behandelaar erg belangrijk. Een patiënt moet naar een andere arts kunnen overstappen.

Ook de beschikbaarheid van meerdere stollingsproducten is een groot goed. Er moeten verschillende stollingsproducten beschikbaar zijn die passen bij verschillende situaties en patiënten.

De uitwisselbaarheid van producten staat alleen al op medische gronden niet buiten kijf. Het verzoek om van product te wisselen roept dan ook veel vragen op als: is het nieuwe product net zo goed, krijg ik geen remmer, hoe zijn de bewaarcondities, sluit de verpakkingseenheid aan op mijn dosering?

Leden hebben wel begrip voor het voordeliger centraal inkopen van stollingsproducten, al leidt dat tot inperken van het aantal producten. Maar ze vinden dat sowieso het gebruik van andere middelen niet uitgesloten mag worden en mogelijk moeten zijn, bijvoorbeeld:

- voor iemand die een remmer heeft gehad,
- voor iemand die allergisch heeft gereageerd,

- voor iemand die verhuist en daarom van centrum wisselt.

Er gaan ook stemmen op over het nooit mogen verplichten tot een voorkeursproduct als iemand lang hetzelfde product heeft en hier vertrouwen in stelt.

Tegelijk heeft men geen bezwaar tegen het aanbieden van het voorkeursproduct aan jonge kinderen. Ouders hebben niet de kennis en ervaring om voor het ene of andere middel te kiezen.

Er is hoe dan ook veel behoefte aan informatie over de verschillende producten en eventuele bijwerkingen en remmerkans. De NVHP blijft het productoverzicht dus jaarlijks updaten.

#### **Doelmatigheid**

Bij doelmatigheid gaat het om de effectiviteit van een behandeling in relatie tot de efficiency (kosten). Effectiviteit wordt vaak benaderd als 'klinische' effectiviteit, dus goede uitkomsten van de behandeling. Het is een belangrijke pijler voor de kwaliteit van de zorg. De profylactische behandeling behoort daartoe ondanks de hoge kosten van frequente toediening van stollingsmiddelen.

#### **Zeer zeldzame stollingsstoornissen**

Voor mensen met zeer zeldzame stollingsstoornissen (sommige plaatjesziektes tellen slechts één patiënt in het land) speelt de productveiligheid bloed van bloedproducten en plasma in versterkte mate, voor hen bestaan meestal geen recombinantproducten.

Wat betreft de beschikbaarheid is het belangrijk dat zij soms onbeperkt gebruik kunnen maken van grensoverschrijdende zorg.

## **3. Kansen en bedreigingen**

#### **WBMV**

De minister van VWS heeft de Gezondheidsraad op 6 maart 2013 gevraagd

om het kwaliteitssysteem voor hemofiliezorg te beoordelen en advies uit te brengen met oog op eventuele uitstroom van de

hemofiliezorg uit artikel 8 van de Wet Bijzondere Medische Verrichtingen (WBMV). Artikel 8 van de WBMV voorziet tot voor kort in de ex post-verrekening van de kosten van hemostatica uit het risicovereveningsfonds, waardoor zorgverzekeraars geen risico liepen. Feitelijk was die regeling al in 2014 niet meer in werking. De zorgverzekeraars zijn risicodragend geworden.

In reactie op het advies van de Gezondheidsraad, dat op 21 april 2015 verscheen, schrijft de NVHP aan de minister:

- Uitstromen uit de Wbmv is prematuur, eerst dient te worden voorzien in kwaliteitsborging,
- op de kleine Nederlandse (en Belgische) markt is de patiënt het meer gebaat bij een samenwerkingsmodel dan in een concurrentiemodel,
- erkenning en versterking van de positie van de patiëntenorganisatie.

De NVHP heeft het standpunt dat de bescherming die de WBMV nu nog biedt voor een afgebakende periode van drie jaar gehandhaafd dient te blijven.

### **Certificeringsprocessen**

De hemofiliezorg heeft zichzelf onderworpen aan een driejaarlijkse certificering volgens Europese kwaliteitsnormen. Die gaan over de organisatie van de zorg, o.a. over een minimum aantal patiënten per jaar, het multidisciplinaire team, overdrachtsafspraken en 24-uurs bereikbaarheid van een stollingsarts. De certificering verlangt ook een patiënttevredenheidsonderzoek. Principieel heeft de NVHP graag een stem bij de opzet hiervan en bij de opvolging van de resultaten. Op initiatief van het ministerie van VWS worden deze dagen voor alle zeldzame aandoeningen bepaalde expertisecentra aangewezen. Mocht dit consequenties voor de huidige zeven HBC's geven, dan zal de NVHP wijzen op de uitgangspunten wat betreft beschikbaarheid en bereikbaarheid.

### **Behandelrichtlijn**

De Behandelrichtlijn protocollert de werkwijze van behandelaars. Er wordt gewerkt aan herziening van de jongste versie uit 2009. De NVHP is hierbij graag betrokken

om het patiëntenperspectief in te brengen. De NVHP vindt dat de herziene Richtlijn in het Register van het Kwaliteitsinstituut moet kunnen worden opgenomen.

Wat betreft de profylactische behandeling streeft de NVHP naar minder bloedingen en betere uitkomsten op de langere termijn.. Uiteraard moeten ook de langerwerkende producten, waarvan het eerste nog dit jaar op de markt komt, een plek krijgen in de Richtlijn. De Richtlijn moet de basis zijn voor:

- medisch handelen,
- zorginkoop door ziekenhuizen en zorgverzekeraars (bijvoorbeeld de noodzaak van diversiteit, c.q. de uitwisselbaarheid van producten) én
- voor handhaving door de Inspectie van de gezondheidszorg.

### **Technologie, nieuwe producten en arrangementen**

Bij de introductie van nieuwe producten zet de NVHP in op vergoeding vanuit het Basispakket. Competitief prijzen van nieuwe producten draagt daaraan bij.

### **Hemofilierregister**

Er wordt gewerkt aan een landelijk Hemofilierregister. Dat zal in de toekomst accurate geanonimiseerde cijfers bieden over ontwikkelingen in het gebruik van de stollingsfactoren. Alleen al de exacte informatie over aantallen patiënten per hemofiliebehandelcentrum zijn nu niet bekend. Het hemofilierregister moet de basis worden voor informatie voor behandelaren, verzekeraars en patiëntenorganisatie. De NHVP wil nadrukkelijk betrokken zijn bij de beheer van het register.

### **Houdbaarheid van het zorgstelsel**

Deze notitie is geschreven tegen de achtergrond van het zogeheten Hoofdlijnenakkoord dat VWS-minister Schippers sloot met o.a. de zorgverleners. Daarin gaat het over het betaalbaar houden van het hele zorgstelsel. Niet alleen is de hemofiliebehandeling duur, bij de hemofilie stijgt het gebruik van stollingsfactoren meer dan het

hoofdpijnenakkoord aangeeft. Het is echter een logisch gevolg van demografische situatie. Door de sterk verbeterde behandeling en de toegenomen levensverwachting is er een volumetoename van het aantal eenheden stollingsproduct met ongeveer 5-7% per jaar. Het oud(er) worden van de eerste overlevers, (onze veteranen) brengt hoe dan ook volumegroei met zich mee, zij blijven niet alleen langer leven, maar krijgen dus ook de normale ouderdomskwalen, met toename in het aantal chirurgische ingrepen tot gevolg. Daarnaast worden mensen zwaarder, waardoor per patiënt meer factorproduct nodig is.

Daarom zijn we waakzaam. Zeker in de setting waar zorgverzekeraars winnen aan invloed en kwaliteit van zorg en leven in de waagschaal worden gesteld om kostenreductie te bereiken.

De zeven centra kopen afzonderlijk de hemostatica in. De kostprijs in Nederland ligt

aanzienlijk hoger dan in een aantal andere Europese landen. In het kader van de betaalbaarheid van het zorgstelsel en behoud van het solidariteitsprincipe is het verstandig te zoeken naar vormen van prijszonderhandelingen en centrale inkoop, zodat door volumevorming gunstiger prijsafspraken met leveranciers gemaakt kunnen worden.

### **Kosteneffectiviteit en doelmatigheid van de behandeling**

Om de schaarse middelen zo goed mogelijk te verdelen bestaat de wens de kosteneffectiviteit van interventies te bepalen, ten einde dit mee te nemen bij de beslissing om de behandeling te vergoeden uit het basispakket van de zorgverzekering. De NVHP werkt door deelname aan het landelijk register aan verbetering van de kwaliteit van de behandeling, en ook aan het inzichtelijk maken van de baten en kosten.

## **4. Verankering van rol patiënt als derde marktpartij**

### **Eigen verantwoordelijkheid**

Het NVHP-bestuur ervaart een verantwoordelijkheid om met de leden in gesprek te gaan over gepast gebruik en goede inrichting van de hemofiliezorg (welke besparingen zijn mogelijk en waar liggen grenzen?) en het kostenbewustzijn te vergroten. In die zin zijn wij bereid mee te denken met behandelaren en verzekeraars over mogelijkheden tot kostenbesparingen. Juist om de toekomstige behandeling te borgen en verbeteringen mogelijk te maken.

Geconstateerd kan worden dat de kosten van de hemofilie-behandeling en met name van de hemostatica niet transparant zijn en dat er weinig prikkels zijn om te komen tot kostenbesparingen. Internationaal lijkt de prijs van hemostatica in Nederland vrij hoog te liggen (EHC, Haemophilia Paper).

Wij willen meer zicht krijgen op

- besparingsmogelijkheden bij leveranciers zonder dat de prikkel tot innovatie voor toekomstige behandelmethoden wegvalt.
- contracten over hemofiliebehandeling met ziekenhuizen.

- De NVHP staat een gezamenlijke strategie van zorgverzekeraars, zorgaanbieders/ behandelaren en de patiëntenorganisatie voor. Op dit moment levert de marktwerking vooral een inkoopproces op dat niet transparant is.

De NVHP voert het gesprek met haar achterban over het beheersbaar houden van de kosten van de hemofiliebehandeling.

Ook leden hebben zich gewetensvol getoond en vertellen bewust om te gaan met hun stollingsproduct. Zij ervaren verschillen tussen behandelcentra: sommige vragen nauwkeurige verantwoording, andere geven rustig stollingsproducten uit zonder monitoring. Kostenbeheersing met bewaking van goede uitkomsten (onder andere het aantal bloedingen) is een gezamenlijke taak van patiënt én behandelaar. Als het Hemofilieregister er is, is het aan te raden om een goed (elektronische) logboek bij het houden voor goede monitoring. Het gesprek over leefstijl en gepast gebruik van stollingsfactoren hoort in de spreekkamer gevoerd te worden.

### **Rol en positie patiënt(enorganisatie)**

De patiëntenorganisatie is vanouds belangenbehartiger voor haar leden. Ze richt zich primair op het verbeteren van de kwaliteit van zorg en de kwaliteit van leven. De patiëntenorganisatie vertegenwoordigt daarmee de zorgvrager. Ze richt zich tot de zorgverlener c.q. de organisatie van de zorgverleners. Voor de NVHP is dat de Nederlandse Vereniging van Hemofilie Behandelaars (NVHB).

Met de introductie van de marktwerking zijn de zorgverzekeraars in de rol gekomen van zorginkopers. De zorgverzekeraars vertegenwoordigen evenwel niet direct de patiënten of zorgvragers maar verzekerden (potentiële zorgvragers) waarvan een groot aantal geen zorg nodig heeft maar vooral belang heeft bij lage zorgkosten c.q. lage premies. De markt wordt nu bepaald door zorginkopers en zorgverleners; de echte zorgvragers lijken buitenspel te staan.

In de driehoek Patiënt – Zorgverlener – Zorgverzekeraar dient de positie en invloed van de patiënt bij wet verankerd te worden. Tot nu toe hebben de behandelaars vanuit hun betrokken houding een bijdrage van de NVHP gevraagd bij de ontwikkeling van de certificeringscriteria en aan het patiënttevredenheidsonderzoek. Maar bij de inkoopprocessen door HBC's en zorgverzekeraars, waarbij vooral zorgverzekeraars en ziekenhuisinkopers met elkaar in de slag gaan, schuift de behandelaar naar achteren en heeft de patiënt formeel geen inspraak. Informeel neemt de NVHP wel een signalerende en bevragende positie in, onder meer in samenwerking met de NVHB, richting VWS. Hetzelfde gebrek aan medezeggenschap bij inkoopprocessen speelt bij veel meer aandoeningen. De NVHP werkt dan ook al samen met andere patiëntenorganisaties om de formele positie van derde partij wettelijk verankerd te krijgen, zij richten zich daarbij op de rijksoverheid, die de kaders voor de gezondheidszorg bepaalt.