

Achtergrondstudie **Het pakketprincipe kosteneffectiviteit
achtergrondstudie ten behoeve van
de 'appraisal' fase in pakketbeheer**

Publicatienummer **291**

Uitgave College voor zorgverzekeringen
Postbus 320
1110 AH Diemen
Fax (020) 797 85 00
E-mail info@cvz.nl
Internet www.cvz.nl

Volgnummer 29079523

Afdeling Zorg Advies

Auteurs Prof. dr. J.J. van Busschbach (Erasmus MC) en
dr. G.O. Delwel (CVZ)

Doorkiesnummer Tel. (020) 797 85 44

Bestellingen Extra exemplaren kunt u bestellen via onze website
(www.cvz.nl) of telefonisch bij de servicedesk onder nummer
(020) 797 88 88.

Inhoud:

pag.

1	1. Samenvatting
3	2. Inleiding
6	3. Kosteneffectiviteit
7	4. Het ontbreken van een grenswaarde
7	4.a. Andere argumenten naast kosten per QALY
7	4.b. Uitlokken strategisch gedrag
8	4.c. Het ontbreken van een normatief kader
10	5. Een bandbreedte
11	5.a. Andere criteria
13	6. Loskoppelen van assessment en appraisal
15	7. De beperkte alternatieven voor QALYs
18	8. Wanneer is kosteneffectiviteit relevant?
18	8.a. Kosteneffectiviteit is een hoger orde criterium
19	8.b. Beperkt budget
20	9. Waarom een drempelwaarde van kosteneffectiviteit?
21	10. De hoogte van de drempelwaarde
22	11. De interactie van additionele argumenten met kosteneffectiviteit
23	12. De bandbreedte tussen redelijk en dubieus
25	13. Hoe redelijk is een grenswaarde als iemand daardoor sterft?
26	14. Zijn de redelijke drempelwaarden niet eigenlijk veel te hoog?
29	15. Het domein van kosteneffectiviteit
29	15.a. Cure, care en preventie
30	15.b. Doelmatigheid, kosteneffectiviteit en doeltreffendheid
31	15.c. Verwarring rond noodzakelijkheid
34	16. Additionele criteria
36	17. Criteria die de eis van kosteneffectiviteit milder maken
36	17.a. ziektebelast

38	17.b. Zeldzaamheid van de aandoening (weesgeneesmiddelen)
39	17.c. Informal care
39	17.d. Risico´s volksgezondheid
41	18. Criteria die de eis van kosteneffectiviteit strenger maken
41	18.a. Beperkte overlap met het domein van de gezondheidszorg
41	18.b. Budget impact
42	18.c. Toekomstige medische kosten zijn niet meegenomen
43	18.d. Ongeschiktheid voor verzekering door hoge prevalentie
43	18.e. Ongeschiktheid voor verzekering door grote eigen invloed van de patiënt op dosering behandeling
44	18.f. Onzekerheid over de doeltreffendheid van de interventie
45	19. Criteria die niet zouden moeten meetellen
45	19.a. ´Life-style´ / risicovol gedrag
47	19.b. Leeftijd, geslacht, etniciteit, seksuele geaardheid en sociaal economische status
50	20. Referenties

Bijlage

Lijst met afkortingen

1. Samenvatting

Het College voor zorgverzekeringen (CVZ) heeft een commissie in het leven geroepen die per interventie de uitkomsten van de vier pakketprincipes noodzakelijkheid, effectiviteit kosteneffectiviteit en uitvoerbaarheid weegt ten opzichte van elkaar en andere mogelijke argumenten. Deze 'appraisal commissie', de Adviescommissie Pakket (ACP), moet een gewogen oordeel geven of een interventie in aanmerking komt voor opname in het basispakket van zorgvoorzieningen. In deze achtergrondstudie wordt allereerst ingegaan op de betekenis van kosteneffectiviteit bij 'appraisal' en vervolgens op de weging van dit pakketprincipe ten opzichte van de drie andere pakketprincipes en mogelijke andere argumenten.

Deze achtergrondstudie is niet geschreven als een 'directief manifest' voor de ACP, maar als specifieke uitwerking van het pakketprincipe 'kosteneffectiviteit' vanuit een gezichtspunt van een appraisal commissie zoals de ACP.

De richtlijnen voor farmaco-economisch onderzoek van het CVZ definiëren kosteneffectiviteit als de kosten per voor kwaliteit van leven gecorrigeerd levensjaar, ofwel de kosten per Quality Adjusted Life Year (QALY). Na drie decennia wetenschappelijk onderzoek is gebleken dat QALYs de meest bruikbare en meest valide manier zijn om de kosteneffectiviteit van gezondheidszorg uit te drukken.

Deze kosteneffectiviteit in termen van kosten per QALY worden 'gewogen' met de drie andere pakketprincipes en mogelijke andere argumenten. CVZ heeft in het verleden al voorgesteld om het pakketprincipe 'noodzakelijkheid' te operationaliseren middels het begrip 'ziektelast'. Dit idee is recentelijk bekrachtigd door een advies van het RVZ. Doordat de kosteneffectiviteit wordt gewogen met noodzakelijkheid (ziektelast), definieert CVZ geen harde grens voor de kosten per QALY, maar werkt CVZ met een bandbreedte. Deze band loopt van €10.000 voor een beperkte ziektebelasting tot €80.000 voor een zeer ernstige ziektebelasting. Anders geformuleerd: de

waardering voor de kosteneffectiviteit van een interventie, wordt mede bepaald door de ziektelast. Daarmee wordt de solidariteit met patiënten met een hoge ziektelast vorm gegeven.

Naast noodzakelijkheid wordt de waardering van de kosteneffectiviteit verder nog bepaald door de twee overgebleven pakketprincipes (effectiviteit en uitvoerbaarheid) en een aantal ander argumenten. Effectiviteit laat zich vertalen in de zekerheid dat de interventie daadwerkelijk dat doet wat we er van verwachten. Een hoge effectiviteit staat voor een hoge zekerheid waardoor de kosteneffectiviteit minder zwaar zal wegen. Dat geldt ook voor een goede uitvoerbaarheid. Andere argumenten die een hogere kosteneffectiviteit toelaten zijn zeldzaamheid van de aandoening (weesgeneesmiddelen), een positieve invloed op 'informal care takers' en een afname van de risico's voor anderen (bijvoorbeeld door minder kans op besmetting). Verzwarende argumenten zijn weinig overlap met het domein van de gezondheidszorg, budget impact, ongeschiktheid voor verzekering door hoge prevalentie, ongeschiktheid voor verzekering door grote eigen invloed van de patiënt op de dosering van de behandeling, onzekerheid over de 'doeltreffendheid' van de interventie (de mate waarin de juiste patiënten worden behandeld). Argumenten die doorgaans worden uitgesloten zijn life style / risicovol gedrag argumenten, omdat deze begrippen ook (deels) toepasbaar zijn de meeste doorsnee ziekten en ongevallen. Daarnaast zijn leeftijd, geslacht, etniciteit, seksuele geaardheid en sociaal economische status uitgesloten als waarderingsfactoren voor kosteneffectiviteit.

Dit rapport biedt aan CVZ voor het eerst een vrijwel uitputtende lijst met factoren, waarmee de kosteneffectiviteit van een behandeling gewogen kan worden. Op deze manier kan een appraisal commissie zoals de ACP het kosteneffectiviteitsargument op een genuanceerde manier een rol laten spelen bij besluiten over het al dan niet opnemen van interventies in het basispakket.

2. Inleiding

Aanleiding

Sinds 1 januari 2005 speelt kosteneffectiviteit een rol bij de beoordeling van vergoedingsaanvragen van nieuwe unieke geneesmiddelen in het geneesmiddelenvergoedingssysteem. Het CVZ geeft hiertoe een advies over de therapeutische waarde, de kosten consequenties voor het farmaciebudget, en de onderbouwing van de kosteneffectiviteit (doelmatigheid). In zijn rol als pakketbeheerder heeft het CVZ vier pakketprincipes vastgesteld: noodzakelijkheid, effectiviteit, kosteneffectiviteit en uitvoerbaarheid. Pakketbesluiten worden in de 'assessment' fase getoetst aan deze criteria. Het is belangrijk dat niet alleen een uitspraak over de onderbouwing van de kosteneffectiviteit gegeven wordt, maar dat CVZ de kosteneffectiviteit ook waardeert in zijn advies.

Vragen

Dit rapport 'Het pakketprincipe kosteneffectiviteit ten behoeve van de 'appraisal' fase in pakketbeheer' is een achtergrondstudie waarin twee vragen centraal staan.

- 1) Wat is de waarde van de kosteneffectiviteit, en,
- 2) Wat is de weging van de kosteneffectiviteit ten opzichte van de andere pakketprincipes en andere argumenten die een rol kunnen spelen in de 'appraisal' fase.

Werkwijze

Deze vragen zijn uitgewerkt door Prof.dr. J.J. van Busschbach (psycholoog, hoogleraar ErasmusMC) en dr. G.O. Delwel (adviseur Zorgadvies, CVZ). Inhoudelijke discussie vond plaats binnen CVZ met drs. J. Zwaap (adviseur, secretaris ACP) en dr. A. Boer (RvB en voorzitter ACP). Het concept-stuk is vervolgens twee maal besproken in de Adviescommissie Pakket (oktober en december 2008). Deze achtergrondstudie is een bijlage bij het CVZ rapport 'Pakketbeheer in de praktijk 2' dat op 2 juni 2009 is uitgebracht aan de Minister van VWS.

Achtergrond bij pakketbeheer in de praktijk 2

Het CVZ heeft een commissie in het leven geroepen die per interventie de uitkomsten van de vier pakketprincipes noodzakelijkheid, effectiviteit kosteneffectiviteit en uitvoerbaarheid weegt ten opzichte van elkaar en mogelijke

Advies Commissie Pakket	<p>andere argumenten. Deze ‘appraisal commissie’, genaamd de Advies Commissie Pakket (ACP), moet een gewogen oordeel geven of een interventie in aanmerking komt voor opname in het basispakket van zorgvoorzieningen, en wordt geacht vooral de maatschappelijke aspecten te bekijken. In deze achtergrondstudie wordt allereerst ingegaan op de waardering van de kosteneffectiviteit zelf (wat is een goede kosteneffectiviteit en wat is een slechte) en vervolgens op de weging van dit pakketprincipe ten opzichte van de drie andere pakketprincipes en mogelijke andere argumenten.</p>
Maatschappelijke aspecten	<p>Deze achtergrondstudie is niet bedoeld als een 'directief manifest' voor de ACP, maar als een uitwerking van het pakketprincipe ‘kosteneffectiviteit’, vanuit een gezichtspunt van appraisal. Daarbij moet de commissie verschillende argumenten ten opzichte van elkaar wegen, bijvoorbeeld ‘kosteneffectiviteit’ ten opzichte van ‘ziektelast’. Dit rapport beschrijft hoe in de literatuur geschreven wordt over dergelijke afwegingen en werd in een eerdere fase door de ACP ook wel "een gereedschapst met argumenten en afwegingen" genoemd. Het rapport schrijft niet voor wat de uitkomsten van dergelijke afwegingen zouden moeten zijn: juist die afweging is de raison d'être van een commissie als de ACP. Een uitzondering op deze regel is wanneer bekend is dat bepaalde uitkomsten inconsistent zijn, of wanneer bekend is dat de een bepaalde weging leidt tot onverwachte, ongewenste uitkomsten.</p>
Omgaan met argumenten en afwegingen	<p>Het CVZ hanteert geen grenswaarde voor de kosteneffectiviteit. De kosteneffectiviteit voor veel interventies bevindt zich binnen een bandbreedte waarvan de waarde €40.000/ QALY het middelpunt vormt. In de ‘appraisal’ fase wordt de waardering van de kosteneffectiviteit door verschillende criteria beïnvloedt. Deze criteria kunnen de eis van kosteneffectiviteit milder maken, zoals ziektebelasting en zeldzaamheid van de aandoening, of ze kunnen deze eis strenger maken zoals de onzekerheid over de doeltreffendheid van de interventie. Er zijn ook criteria die geen rol moeten spelen bij de waardering.</p>
Conclusies	

'Toolbox'

De criteria die zijn uitgewerkt in deze achtergrondstudie, de zogenaamde 'toolbox', maken een transparante waardering van de kosteneffectiviteit voor pakketbeslissingen mogelijk.

3. Kosteneffectiviteit

Kosteneffectiviteit wordt door het CVZ beschouwd als een 'pakketprincipe' dat gebruikt wordt bij het nemen van de beslissing om een behandeling al dan niet op te nemen in het basispakket. Het CVZ heeft al twee decennia ervaring opgedaan met het vaststellen van kosteneffectiviteit in de geneeskunde. Deze ervaring is weerspiegeld in een richtlijn voor farmaco-economisch onderzoek, welke in 1999 werd opgesteld en in 2006 is geactualiseerd (CVZ, 2006). Volgens deze richtlijn moet de kosteneffectiviteit bij voorkeur worden uitgedrukt in de kosten per 'voor kwaliteit van leven gecorrigeerd levensjaar', ofwel QALYs (Quality Adjusted Life Years). De richtlijn van het CVZ beschrijft in detail welke kosten moeten worden meegenomen in de kostenberekeningen. Daarnaast beschrijft de richtlijn voor farmaco-economisch onderzoek hoe de winst in gezondheid met behulp van QALYs moet worden gemeten. Tegenover deze *een*duidelijkheid betreffende het meten van de kosteneffectiviteit, staat nog *on*duidelijkheid over de toepassing ervan als criterium bij het samenstellen van het pakket. De grote vraag is steeds: Waar ligt de grens die een onderscheid maakt tussen een interventie die kosteneffectief is, en een interventie die dat niet is?

Uitgaande van de richtlijn voor farmaco-economisch onderzoek vertaalt zich deze grens in het maximale aantal euro's per QALY dat nog gezien kan worden als een kosteneffectieve besteding van het budget. Bijvoorbeeld: €20.000 per QALY is nog net wel aanvaardbaar, maar €25.000 per QALY is dat niet.

4. Het ontbreken van een grenswaarde

Het expliciet benoemen van een bovengrens aan de kosten per QALY wordt door overheidsorganen doorgaans vermeden. Dat heeft een aantal oorzaken die hieronder kort worden uitgewerkt. Eén daarvan, het bestaan van andere criteria naast kosteneffectiviteit, wordt later uitgebreid uitgewerkt.

4.a. Andere argumenten naast kosten per QALY

Allereerst wordt met het vermijden van het benoemen van een expliciete grens aangegeven dat kosteneffectiviteit niet het enige principe is waarop de samenstelling van het pakket is gebaseerd. Hoewel 'kosten per QALY' al een aantal criteria in zich bergt (overleving, kwaliteit van leven en kosten), is het goed denkbaar dat er nog andere argumenten zijn die gebruikt worden bij het samenstellen van het pakket. Een bekend voorbeeld van zo'n ander criterium is 'ziektelast', ook wel 'noodzakelijkheid' genoemd. Als er naast kosteneffectiviteit ook andere criteria belangrijk zijn, is het beslissingproces niet te optimaliseren door alles af te laten hangen van de kosten per QALY. Er kan in die visie dan ook geen absolute grens zijn voor de kosten per QALY. Welke andere criteria er bestaan, en hoe deze samenhangen met de interpretatie van kosteneffectiviteit, wordt later in dit rapport uitgebreid besproken.

4.b. Uitlokken strategisch gedrag

Een tweede belangrijke reden om terughoudend te zijn in het benoemen van een absolute 'kosten per QALY-grens', is dat dit ongewenst strategische gedrag kan uitlokken van aanbieders van zorg. Bij een harde grens van €20.000 per QALY is het bijvoorbeeld denkbaar dat de prijs van nieuwe medicatie steeds wordt opgedreven tot €19.999 per QALY. Het is daarom goed voorstelbaar dat vertegenwoordigers van de financiers van zorg, zoals het CVZ, zich de onderhandelruimte niet laten ontzeggen.

Bij het aanbieden van interventies net onder de drempel, moet men zich bedenken dat een dergelijke grens een bovengrens is, en niet bijvoorbeeld het 'gemiddelde van alles wat al in het pakket zit'. Alles op de drempel of vlak daaronder behoort al tot de minst kosteneffectieve interventies die nog nèt acceptabel zijn. Het brede huidige pakket bestaat bij de gratie dat het leeuwendeel van de interventies veel goedkoper is per QALY. Het steeds maar invoegen van dure interventies vlak onder de drempel leidt daarom óf tot de maximaal geaccelereerde groei van de kosten van de zorg; óf tot een verdrukking van veel kosteneffectievere oudere interventies door minder kosteneffectieve nieuwe interventies (Claxton et al, 2008).

4.c. Het ontbreken van een normatief kader

Een derde reden voor het ontbreken van een exacte drempelwaarde, is dat het buitengewoon lastig is gebleken om aan het publiek een normprijs te vragen voor de 'kosten per QALY' of zelfs 'kosten per gewonnen levensjaar'. Daar zijn om te beginnen praktische problemen mee. Een 'willingness-to-pay enquête' is bijvoorbeeld wel denkbaar voor vakantiereisjes, auto's en potjes pindakaas, omdat mensen een goed idee hebben wat deze producten voor hen betekenen. Het publiek werkt bovendien dagelijks met prijsafwegingen voor deze producten. Dat geldt niet voor het leeuwendeel van de zorg, met uitzondering wellicht van de tandzorg waar patiënten in Nederland wél zelf kostenafwegingen maken. Het is dan ook moeilijk voor te stellen dat er patiënten zijn die ooit een afweging hebben gemaakt of €20.000 wel de moeite waard is voor een gewonnen levensjaar, laat staan een QALY. Het ontbreekt patiënten en het algemene publiek als het ware aan een 'prijsanker', ofwel een duidelijk normatief kader, waaraan zij de kosten in de zorg kunnen relateren.

Naast dit praktische probleem is het zelfs de vraag of het theoretisch gesproken mogelijk is om een dergelijke uitspraak op een valide manier aan het publiek te onttrekken (Gyrd-

Hansen, 2008). De 'willingness-to-pay' aanpak behoort bij de zogenaamde 'welvaartstheorie', terwijl 'kosten per QALY' of 'kosten per levensjaar' behoren bij de zogenaamde 'extra-welvaartstheorie'. Zo is bijvoorbeeld in de eerste theorie 'willingness-to-pay' nadrukkelijk een functie van inkomen, terwijl in de tweede deze verschillen worden genegeerd omdat we vinden dat basale gezondheidszorg open moet staan voor alle burgers, ongeacht hun inkomen. Er zijn dus niet alleen praktische, maar ook theoretische complicaties die er voor zorgen dat er nog geen geslaagde pogingen zijn geweest om tot een overtuigende grenswaarde voor 'kosten per QALY' te komen op basis van een ondervraging van patiënten of het algemene publiek.

5. Een bandbreedte

Het is dus niet mogelijk om met een duidelijke bovengrens voor de 'kosten per QALY' te komen door 1) de aanwezigheid van andere argumenten dan kosteneffectiviteit, 2) de pogingen om strategisch gedrag van zorgaanbieders te vermijden, en 3) het ontbreken van een normatief kader. Het ontbreken van een duidelijke grens heeft er toe geleid dat doorgaans gewerkt wordt met een 'bandbreedte'. De breedte van deze band wordt doorgaans vastgesteld op basis van eerdere beslissingen. Een vaak genoemd voorbeeld van een dergelijke beslissing in Nederland was de grens van 40.000 gulden per QALY die was afgeleid uit de klinische richtlijn cholesterol verlagende middelen uit 1998 (Casparie, Van Hout, Simoons, 1998). De Raad voor de Volksgezondheid en Zorg (RVZ) stelt in een recente studie dat de bandbreedte loopt van € 10.000 voor een lage ziektelast tot € 80.000 voor een hoge ziektelast (RVZ, 2006). Vooral de bovengrens van deze bandbreedte heeft veel aandacht gekregen in de media. De Raad leidde deze bovengrens af van een aantal observaties, waaronder:

- De jaarlijkse kosten per patiënt voor een verpleeghuis (€60.000)
- Uit internationale onderzoeken bij verschillende interventies (bandbreedte €12.000 tot €73.000)
- De WHO norm 'drie keer het nationale product per hoofd van de bevolking' (€90.000)
- Onderzoek van Devlin & Parkin (2004) van de beslissingen van NICE (National Institute for Health and Clinical Excellence) in Engeland (€79.000)
- Een meta-analyse van schattingen van de waarde van een statistisch leven door Day (1999), gebaseerd op 17 Amerikaanse publicaties, welke leidde tot een waarde van rond de €5.600.00 voor een statistisch leven. Uitgaande van een gemiddelde levensverwachting van 79 jaar, komt dit neer op €71.000 per jaar.

De Raad concludeert uiteindelijk: "... dat de samenleving €80.000 een redelijke grenswaarde voor een QALY vindt."

5.a. Andere criteria

Zoals gezegd kreeg deze bovengrens van € 80.000 veel aandacht in de media. Wat veel minder aandacht kreeg, was dat De Raad nadrukkelijk stelde dat dit bedrag alleen geldt voor patiënten met ziektebeelden met een zeer hoge ziektelast. Dat wil zeggen, deze grens geldt alleen voor ziekten waarbij de patiënt zonder behandeling gelijk zou sterven, of waarbij de patiënt zonder behandeling een heel lage kwaliteit van leven zou krijgen. Was dat niet het geval, dan zou een lager bedrag per QALY gelden als de bovengrens (RVZ, 2006).

De RVZ stelde dus niet een afkappunt voor, maar definieerde de bandbreedte. Deze voorgestelde bandbreedte geeft aan dat de RVZ van mening is dat kosteneffectiviteit niet het allesomvattende criterium is voor de samenstelling van het basispakket. De Raad stelt wel dat het een belangrijk criterium is, maar dat het 'gewogen moet worden met ziektelast'. Dat betekent dat we meer solidair zijn met (in andere woorden; "We zijn bereid om meer geld uit te geven aan...") patiënten met een hoge ziektelast, dan aan patiënten met een lage ziektelast. Nog anders gezegd: patiënten met een lage ziektelast zijn solidair met patiënten met een hoge ziektelast.

Wanneer ziektelast een invloed heeft op de interpretatie van de kosteneffectiviteit van een behandeling, is het denkbaar dat ook andere zaken een rol kunnen spelen. Een veel genoemd voorbeeld hierbij zijn zeldzame ziektebeelden. Doordat de omzet van geneesmiddelen voor deze groep per definitie laag is, is de prijs per patiënt van nieuw ontwikkelde medicatie vaak hoog. De RVZ stelt bijvoorbeeld dat: "[patiënten] *niet de dupe mogen worden van het feit dat de aandoening, ziekte of handicap die zij hebben sporadisch voorkomt...*" (RVZ, 2007, bladzijde 22). Met andere woorden: patiënten met veel voorkomende ziektebeelden zijn solidair met patiënten met zeldzame ziektebeelden. Een hoge ziektelast en zeldzaamheid van de aandoening geven dus aanleiding om te overwegen meer kosten per QALY te accepteren dan anders het geval was geweest.

Het is denkbaar dat naast ziektelast en zeldzaamheid ook nog andere zaken leiden tot een dergelijke overweging. Het CVZ heeft daarom een commissie in het leven geroepen, de ACP, die per interventie steeds de waarde van het pakketprincipe 'kosteneffectiviteit' weegt ten opzichte van de drie andere pakketprincipes (noodzakelijkheid, effectiviteit en uitvoerbaarheid) en mogelijke andere argumenten. Deze commissie stelt dus niet de kosteneffectiviteit vast, maar weegt deze binnen het geheel van argumenten.

6. Loskoppelen van assessment en appraisal

Met het loskoppelen van het meten van de pakketprincipes en het wegen ervan ten opzichte van elkaar volgt het CVZ een internationale trend om de 'assessment fase' los te koppelen van de 'appraisal fase' (RVZ, 2007; Technology Appraisal Committee, zie daarvoor: www.NICE.org.uk; Dear et al, 2007). Kenmerkend is dat de appraisal fase, in tegenstelling tot de assessment fase, niet gekenmerkt wordt door strikte methodologische richtlijnen. Zo werkt de RVZ in haar advies over een appraisal fase eigenlijk alleen de interactie tussen ziektelast en kosteneffectiviteit uit (RVZ, 2006, 2007). Bij de andere argumenten zoals de hiervoor besproken zeldzaamheid van de aandoening, blijft de toelichting van de RVZ beperkt tot een paar alinea's (RVZ, 2007, blz. 22). Ook is het aantal argumenten dat naar voren wordt geschoven beperkt. Argumenten die volgens de Raad mogen meespelen bij het beoordelen van de kosteneffectiviteit zijn:

- Ziektelast
- Eigen verantwoording,
- Maatschappelijke neveneffecten,
- De tijdelijkheid van de interventies
- Zeldzaamheid

De Raad sluit ook een paar criteria expliciet uit:

- Leeftijd
- Geslacht
- Etniciteit
- Seksuele geaardheid
- Sociaal economische status
- Geografie
- Life style en (risicovol) gedrag

Voor deze uitgesloten criteria geldt volgens de Raad dat zij wèl mogen worden meegenomen bij het beoordelen van de effectiviteit van de interventie. Een interventie mag dus effectiever zijn bij vrouwen dan bij mannen en dat kan en mag leiden tot een andere beslissing voor mannen dan voor vrouwen. Deze redenering wordt later in het stuk nog verder

uitgewerkt.

In dit rapport proberen we het aantal argumenten te vergroten en verder uit te werken, zodat de appraisal commissie (ACP) van het CVZ een lijst heeft van de meest voor de hand liggende argumenten om de kosteneffectiviteit te wegen naast de andere pakketprincipes (noodzakelijkheid, effectiviteit en uitvoerbaarheid).

7. De beperkte alternatieven voor QALYs

QALYs zijn een poging om te komen tot een alomvattende maat voor gezondheid. Het is ook mogelijk een beperktere visie van gezondheid te gebruiken, bijvoorbeeld levensjaren of bloeddruk. De kosteneffectiviteitsratio wordt dan niet 'kosten per QALY', maar beperkt zich dan tot 'kosten per gewonnen levensjaar', of 'kosten per millimeter verlaagde kwikdruk'.

In de richtlijn voor farmaco-economisch onderzoek wordt de bovenstaande manier om uitdrukking te geven aan de kosteneffectiviteit toegestaan, maar er is een preferentie voor kosten per QALYs. Daarvoor zijn twee belangrijke argumenten.

Ten eerste bemoeilijkt een beperkte visie op de effecten van gezondheidszorg vergelijkingen tussen interventies. Hoe vergelijk je bijvoorbeeld de 'kosten per levensjaar' met de 'kosten van een millimeter verlaagde kwikdruk'? Doordat dergelijke vergelijkingen eigenlijk onmogelijk zijn, is het ook lastig om tot een waardeoordeel over de prijs per effect te komen. Is het bijvoorbeeld de moeite waard om per jaar, per patiënt €1.000 te betalen voor een millimeter verlaagde bloeddruk? Met andere woorden, de cruciale discussie over wat een aanvaardbare prijs is voor gezondheid wordt niet vermeden, maar juist gecompliceerd omdat de aanvaardbare prijs steeds per effect moet worden vastgesteld.

Een tweede argument voor het gebruik van QALYs als uitkomstmaat in plaats van een focus op één effect, is dat met de laatste aanpak belangrijke effecten kunnen worden gemist. Het bekendste voorbeeld daarvan is de focus op gewonnen levensjaren in de oncologie: dat veronachtzaamt dat er ook belangrijke effecten op kwaliteit van leven kunnen zijn.

Kosteneffectiviteit in beperktere vorm kan zinvol zijn wanneer men alleen binnen één behandelgebied kijkt. Wanneer men bijvoorbeeld twee bloeddrukverlagers bekijkt die verder weinig verschillen, dan kan de kostprijs per millimeter verlaagde bloeddruk voldoende zijn. Typisch is dat bij een dergelijke

vergelijking de vertegenwoordigers van de duurdere interventie meestal een claim naar voren schuiven dat hun interventie betere eigenschappen heeft naast het verlagen van de bloeddruk, bijvoorbeeld minder bijwerkingen. Men zegt dan eigenlijk dat je verder moet kijken dan alleen het hoofdeffect. In dat geval moet men op zoek naar een bredere effectmaat waarin ook de bijeffecten vertegenwoordigd zijn en is het gebruik van QALYs onvermijdelijk.

Ondanks het bovenstaande, is men in Duitsland toch bezig om te zoeken naar manieren om, buiten QALYs om, te werken met beperkte kosteneffectiviteitanalyses. Het IQWiG (Institute for Quality and Efficiency in Health Care) in Duitsland stelt voor om gebruik te maken van een 'beperkte kosteneffectiviteitsratio'. Om te bepalen wat de maximale kostprijs per effect mag zijn, wordt voorgesteld te kijken naar de huidige kostprijs per effect, dus de kostprijs per effect zoals die nu in de praktijk voorkomt. Bijvoorbeeld, met de huidige medicatie kan de bloeddruk met gemiddeld 3 millimeter kwikdruk verlaagd worden voor €1.500. Dat is dus €500 per millimeter. In dat geval mag een volgende millimeter verlaging door een nieuw medicijn maximaal €500 per patiënt kosten. Dus een nieuw medicijn dat de bloeddruk met 5 millimeter verlaagt, mag maximaal €2.500 kosten. De logica van deze redenering wordt op meerdere punten fel bestreden.

Ten eerste is het onduidelijk of de volgende centimeter kwikdruk een goede besteding is geweest van de €500, omdat het onduidelijk is wat die millimeter nu precies doet voor de gezondheid, bijvoorbeeld in termen van overleving en kwaliteit van leven. Met andere woorden; "wat heb je er als patiënt aan?" Dit is hetzelfde argument als hierboven al is genoemd: het probleem rond de interpretatie van de maat "kosten per QALY". Dit probleem wordt door het gebruik van beperkte kosteneffectiviteitsanalyses niet opgeheven, maar eerder versplintert tot een groot aantal nieuwe interpretatie problemen per specifieke effectiviteitsmaat. Het mag zo zijn dat het 'millimeters kwikdruk' een bekendere maat is dan

'QALYs', maar er is geen enkele wetenschappelijke of normatieve (ethische) onderbouwing van het begrip 'kostprijs per millimeter kwikdruk', terwijl 'kostprijs per QALY' zich al drie decennia lang heeft bewezen als een bruikbaar begrip in het ethiek-debat rond de kosteneffectiviteit van de gezondheidszorg.

Een tweede veelgehoord argument tegen het gebruik van beperkte kosteneffectiviteitsanalyses is dat het er van uit gaat dat de huidige behandelpraktijk 'optimaal' is. Immers, de kosteneffectiviteit van de huidige praktijk bepaald de kostprijs per effect, bijvoorbeeld die €500 per millimeter kwikdruk. In zorggebieden waar het geld in het verleden met gemak werd uitgegeven, bestendigen deze 'historische kosteneffectiviteitsratios' dat dit ook in de toekomst het geval zal zijn. In gebieden die in het verleden minder bedeed waren, zijn de kosteneffectiviteitsratio's scherper en blijft de hand op de knip. Het is een typisch geval van "de rijken worden rijker en armen worden armer".

De inconsistenties in de waardering van de kosteneffectiviteitsratio's en de inherente handhaving van de status quo maakt dat de ontwikkelingen in Duitsland vanuit de wetenschap sceptisch bekeken worden (Krauth et al., 2008; Jönsson, 2008).

8. Wanneer is kosteneffectiviteit relevant?

8.a. Kosteneffectiviteit is een hoger orde criterium

Het meten van de kosteneffectiviteit in termen van 'kosten per QALY' is niet altijd relevant, omdat kosteneffectiviteit een criterium is dat is samengesteld uit andere criteria (kosten, overleving, kwaliteit van leven), die op zichzelf al informatief genoeg kunnen zijn. Met andere woorden, kosteneffectiviteit is een hoger ordeningscriterium. Voor nieuwe geneesmiddelen geldt dan ook dat het CVZ het pakketprincipe kosteneffectiviteit alleen beoordeelt wanneer er sprake is van een situatie dat:

- het geneesmiddel niet onderling vervangbaar is;
- het geneesmiddel een therapeutische meerwaarde heeft;
- het geneesmiddel meerkosten met zich mee brengt.

Dus kosteneffectiviteit wordt alleen dan belangrijk wanneer het nieuwe medicijn meer effecten heeft en meer kost dan het oude alternatief. In die gevallen zal de onderbouwing van de kosteneffectiviteitsanalyse worden beoordeeld door de Commissie Farmaceutische Hulp (CFH). Deze commissie beoordeelt in principe niet of de kosteneffectiviteit hoog of laag is, maar alleen of deze valide is vastgesteld. Daartoe hanteert de CFH de al eerder genoemde richtlijnen zoals die zijn vastgelegd in de Richtlijnen voor Farmaco-Economisch onderzoek (CVZ, 2006). In die richtlijn staat dat de doelmatigheid moet worden geschat in termen van een kosteneffectiviteitsanalyse, waarbij de kosten de maatschappelijke kosten vertegenwoordigen en waarbij de effecten worden uitgedrukt in Quality Adjusted Life Years (QALYs).

Een kosteneffectiviteitanalyse is dus pas relevant als er al een aantal andere stappen in de beoordeling zijn geweest. Bij het wegen van het pakketprincipe 'kosteneffectiviteit' kan de appraisal commissie er dus gevoeglijk van uit gaan dat er

sprake is van:

- een uniek geneesmiddel (het geneesmiddel is niet onderling vervangbaar);
- er is sprake van een statistisch significant en klinisch relevante effect (het geneesmiddel heeft een therapeutische meerwaarde)
- er moet geld vrijgemaakt worden om het middel toe te passen (er is sprake van substantiële meerkosten)
- de kosteneffectiviteitanalyse voldoet aan de CVZ richtlijn.

8.b. Beperkt budget

De beoordeling van de kosteneffectiviteit van een behandeling is alleen zinvol wanneer er sprake is van een beperkt budget. Wanneer er geen beperkingen zouden zijn aan het budget dan is een kosteneffectiviteitsanalyse verspilde moeite en zou een effectstudie volstaan. In welke mate het gezondheidszorgbudget beperkt is, is onduidelijk. Dat de groei van het budget wordt beperkt door talloze beleidsmaatregelen is evident. Dat neemt niet weg dat het budget tot nu toe steeds is gestegen, ook in relatieve zin. Een beperkt budget is dus niet een hard feit. Daarmee zal een belangrijk deel van de interpretatie van kosteneffectiviteitsanalyses door de appraisal commissie worden bepaald door de mate waarin zij zelf uitgaat van een beperkt budget. Ziet de commissie het budget als beperkt, dan zal kosteneffectiviteit een prominentere rol kunnen spelen dan wanneer de commissie van mening is dat groei van het budget nog mogelijk is. In dat laatste geval zullen andere argumenten dan kosteneffectiviteit de overhand hebben.

9. Waarom een drempelwaarde van kosteneffectiviteit?

Uitgaande van een gelimiteerd budget zou de appraisal commissie er eigenlijk vanuit moeten gaan dat een toewijzing van middelen aan een nieuwe behandeling altijd gepaard gaat met het onttrekken van middelen aan een andere behandeling die al in het pakket zit. Bij een beperkt budget betekent iets opnemen in het pakket immers ook dat we afscheid moeten nemen van een andere vergoeding. Om deze afweging goed te maken zou de commissie eigenlijk niet alleen willen weten wat de kosteneffectiviteit is van de nieuwe behandeling, maar ook wat de kosteneffectiviteit is van de behandeling die nu niet meer gefinancierd kan worden. De appraisal commissie zou dus het liefst twee kosteneffectiviteitsanalyses willen hebben:

- 1) een kosteneffectiviteitsanalyse van de nieuwe behandeling;
- en
- 2) een kosteneffectiviteitsanalyse van de behandeling die uit het pakket moet worden gestoten (Buxton, 2007).

Deze laatste analyse zal de commissie echter zelden of nooit voor handen hebben. Dat komt onder andere omdat het aantal behandelingen in het basispakket zo groot is, dat nauwelijks is vast te stellen waar precies het budget wordt weggehaald. En al zou er een aantal kandidaten bekend zijn, dan moeten ook nog de kosteneffectiviteitgegevens van die kandidaten, op het moment van appraisal van de nieuwe kandidaat bekend zijn. In de praktijk wordt daarom gewerkt met een vooraf bepaalde drempelwaarde van kosteneffectiviteit of de bovengenoemde bandbreedte.

10. De hoogte van de drempelwaarde

De drempelwaarde of bandbreedte voor kosteneffectiviteit wordt doorgaans vastgesteld op basis van behandelingen die al zijn opgenomen in het pakket. Meestal wordt daarbij gekeken naar de hoogste kosten per QALY die in het pakket voorkomen. Uitgaande van een beperkt budget brengt dit bijna onvermijdelijk met zich mee dat interventies met een betere kosteneffectiviteit uit het pakket gestoten moeten worden. Daarmee wordt het paard achter de wagen gespannen, want het basispakket als geheel levert nu minder gezondheid op dan voor de opname van de nieuwe behandeling. Met andere woorden: opname van de nieuwe behandeling veroorzaakt leed, in plaats dat zij het leed vermindert. Dat is één van de redenen dat de meeste overheidsinstanties die zich in verschillende landen bezighouden met kosteneffectiviteit, een strengere kosteneffectiviteitsdrempel communiceren dan de hoogste waarden die zijn terug te vinden in het nationale pakket. De hoogste, nog net aanvaardbare waarden van kosteneffectiviteit worden dan gereserveerd voor interventies waarvoor extra argumenten aanwezig zijn, zoals interventies voor patiënten met een hoge ziektelast. In dit rapport worden ook de andere argumenten opgesomd die gerelateerd zijn aan een geaccepteerde slechtere kosteneffectiviteit.

De manier waarop NICE over haar drempelwaarden communiceert, illustreert het bovenstaande. NICE stelt dat onder de £20.000 per QALY een behandeling kosteneffectief is en dus vergoed moet worden. Ligt de kosteneffectiviteit tussen de £20.000 en de £30.000, dan moeten er additionele argumenten zijn wil NICE positief adviseren. Boven de £30.000 hangt alles af van die additionele argumenten, want de kosteneffectiviteit wordt gezien als laag (House of Commons, 2007; NICE, 2003; Culyer et al, 2007). Devlin (2004) vonden evenwel dat NICE interventies toelaat tot £55.000. Blijkbaar communiceert NICE een strengere drempelwaarde dan ze in de praktijk gebruikt. In overeenstemming met het betoog in de vorige alinea is er blijkbaar ruimte voor additionele argumenten die een hogere kostprijs per QALY toestaan.

11. De interactie van additionele argumenten met kosteneffectiviteit

Betreffende de kosteneffectiviteit is de hamvraag voor de appraisal commissie ACP: 'Wat zijn dan precies die additionele argumenten en hoe verhouden die argumenten zich tot de drempelwaarden van de kosteneffectiviteit?'

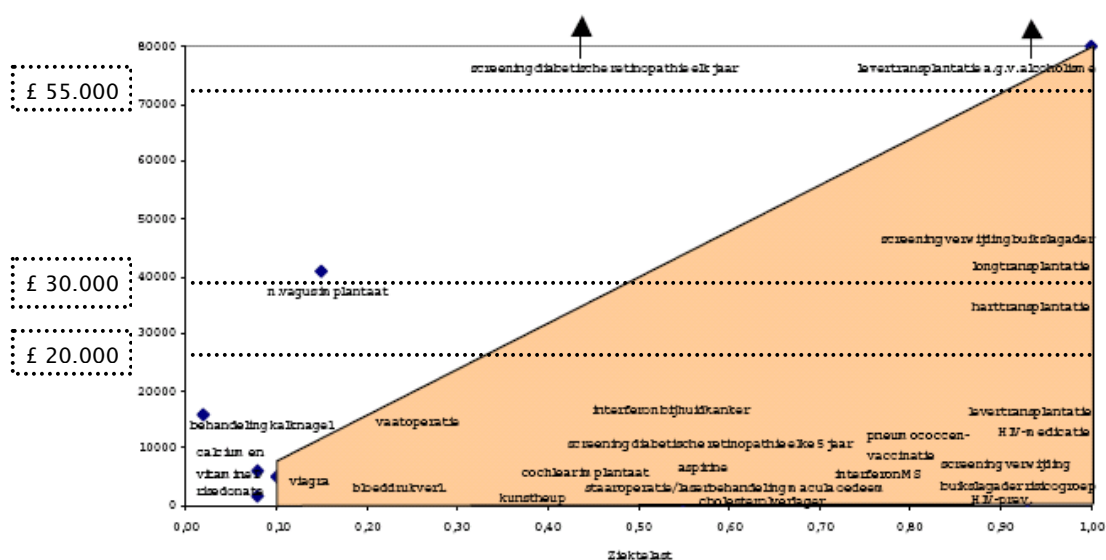
Het meest uitgewerkte antwoord op deze vraag komt uit Nederland. In het al eerder genoemde rapport Zinnige en Duurzame Zorg, heeft de RVZ in 2006 uitgewerkt hoe omgegaan kan worden met het criterium ziektelast in relatie tot de drempelwaarden. Mede op basis van eerder onderzoek van het CVZ stelde de RVZ dat er een consensus bestaat in de maatschappij dat patiënten met een lichte ziektelast solidair moesten zijn met patiënten met een hoge ziektelast. In dat geval is het te rechtvaardigen dat een nieuwe behandeling met hoge kosten per QALY een behandeling met lage kosten per QALY verdringt in het pakket, indien de nieuwe behandeling zich richt op patiënten met een hoge ziektelast en de andere behandeling patiënten betrof met een lage ziektelast. Dit kan vertaald worden in de acceptatie van hoge kosten per QALY voor patiënten met een hoge ziektelast en een strengere beoordeling van behandelingen voor patiënten met een lage ziektelast. Het Scottish Medicines Consortium (SMC) werkt op een vergelijkbare manier: er is geen vastgestelde drempel, maar additionele argumenten worden steeds belangrijker wanneer de kostprijs per QALY stijgt (Cairns, 2006).

12. De bandbreedte tussen redelijk en dubieus

Voor patiënten met een maximale ziektelast bepaalde de RVZ een drempel van €80.000 per QALY. Voor de laagste categorie ziektelast was die drempel teruggebracht naar €10.000. De bovengrens van €80.000 komt overeen met de hoogste drempelwaarden die NICE in de praktijk gebruikt: £55.000 (het Britse pond is daarna sterk in waarde gedaald). Het midden van de bandbreedte komt overeen met de bandbreedte van £20.000 tot £30.000 die NICE communiceert. Dat geldt ook voor het SMC (Dear et al, 2007). Het ligt dan ook voor de hand om €40.0000 per QALY als richtlijn te hanteren om de grens aan te geven waar een redelijke kosteneffectiviteit ophoudt en een dubieuze kosteneffectiviteit begint. Het een en ander is in de onderstaande RVZ figuur geïllustreerd. Te zien is dat het RVZ model werkt met een interactie tussen kosteneffectiviteit (kosten per QALY) en ziektelast, terwijl NICE werkt met bandbreedten. Ook is te zien dat het de kosteneffectiviteit van het leeuwendeel van de interventies binnen de gestelde grenzen valt.

Dit gezegd hebbende: is daarmee het werk van de ACP wat betreft kosteneffectiviteit grotendeels geregeld? Dat is niet het geval. De €40.000 is het middelpunt van een bandbreedte waarmee de commissie waarschijnlijk zal gaan werken. Waar precies de grenzen van de band liggen is niet bekend. Sterker nog: het is niet onwaarschijnlijk dat deze grenzen onder invloed staan van externe ontwikkelingen. Verhogingen of bezuinigingen op het totale budget zijn bijvoorbeeld cruciaal, omdat deze de essentiële aanname van een gefixeerd budget bepalen. Vandaar dat verschillende auteurs appraisal commissies, zoals de ACP, hebben beschreven als commissies die niet zozeer een drempelwaarde handhaven, als wel dat deze commissies de drempelwaarde zoeken (Buxton, 2007, Cuyler et al, 2007)

Figuur 1. Kosten per QALY naar ernst van de aandoening



Bron: RVZ, 2006

Overigens licht de vorm van de curve nog niet vast. Er zijn evenwel nog maar weinig uitspraken en onderzoek over verloop rond het midden. Het ligt voor de hand om een monotoon stijgende functie te veronderstellen, en in dat geval is een lineair verband doorgaans een krachtige voorspeller. Dat is ook wat het RVZ rapport presenteert. Het is denkbaar dat over een paar jaar, aan de hand van de beslissingen van de ACP, er een schets gemaakt kan worden van de curve.

13. Hoe redelijk is een grenswaarde als iemand daardoor sterft?

Is de genoemde grenswaarde van €40.000 een maatschappelijk 'hard afkappunt'? Wordt hier bedoeld: tot hier en niet verder? Dat is niet waarschijnlijk. Het is niet goed denkbaar dat de maatschappij het acceptabel zou vinden wanneer een patiënt een behandeling in een levensbedreigende situatie zou worden ontzegd, puur omdat deze behandeling duurder is dan bijvoorbeeld €40.000 per QALY. De crux van deze observatie zit in de bijzin "een levensbedreigende situatie". De waarde van een levensjaar of een QALY is niet voor iedereen gelijk: als bijvoorbeeld de patiënt nog maar weinig levensjaren te gaan heeft (de levensbedreigende situatie) dan zijn we bereid om dieper in de buidel te tasten. Anders gezegd: als de 'noodzaak' om te behandelen hoger is, zijn we bereid om meer te betalen. Noodzakelijkheid wordt daarom ook vaak vertaald als een relatief groot verlies in levensjaren en/of kwaliteit van leven, met andere woorden: een grote ziektelast. Dat is precies waarop het CVZ in 2001 uitkwam en de RVZ in 2006 (CVZ, 2001, RVZ, 2006).

Dat we in duidelijk herkenbare acute levensbedreigende situaties bereid zijn ver te gaan, verklaart ook waarom de RVZ €80.000 als de hoogste drempelwaarde een bedrag kiest. Het verklaart ook dat in verschillende studies waarin geprobeerd wordt de waarde van een leven te schatten, vaak waarden worden gevonden die uitstijgen boven de €100.000 per QALY (Hirth, 2000). In die gevallen gaat het steeds om een acute doodsverwachting, ofwel een zeer grote ziektelast. Er is dus alle reden om 'huis-tuin-en-keuken' geneeskunde te onderscheiden van pogingen om acuut groot leed te vermijden. Met andere woorden: de te vermijden ziektelast is een belangrijk issue bij de waardering van interventies.

14. Zijn de redelijke drempelwaarden niet eigenlijk veel te hoog?

Vooraf vanuit de patiënten en de farmaceutische industrie is vaak het geluid te horen dat het Engelse NICE te streng is in haar beoordeling van de kosteneffectiviteit van nieuwe interventies. Met andere woorden: de drempel van ongeveer zo'n €40.000 per QALY die NICE hanteert is onrechtvaardig. Het lag de afgelopen jaren dus in de lijn der verwachting dat de drempelwaarde uiteindelijk verhoogd zou worden. Verrassender wijze blijkt dit niet het geval. Een recente ontwikkeling in deze discussie is namelijk dat de lokale uitvoeringsorganen van de NHS, de zogenaamde Primary Care Trust (PCT's) stellen dat NICE juist te soepel is. De PCT's moeten de aanbevelingen van NICE waarmaken binnen de gegeven budgettaire kaders. Deze vertegenwoordigers uit de praktijk stellen dat door het toelaten van dure nieuwe interventies de gewone, maar heel effectieve hulp in de knel komt (House of Commons, 2007; Martin, Rice, Smith, 2007; NICE 2007; Buxton, 2007). Zij stellen dat NICE de drempelwaarden meer in overeenstemming moet brengen met de praktijk, omdat anders alledaagse effectieve behandelingen uit het pakket worden gedrukt, door dure, veel minder effectieve nieuwe ontwikkelingen. Het een en ander heeft aanleiding gegeven tot een nieuwe draai in de discussies rond de hoogte van de drempel (Towse, Raftey, 2009). Het House of Commons heeft daarom onderzoek geïnitieerd om te kijken of de drempelwaarde van NICE niet naar beneden toe moet worden bijgesteld, meer in de richting van de dagelijkse praktijk (House of Commons, 2007, page 6).

De observatie van de Engelse lokale partijen dat de drempel van €40.000 per QALY alles behalve 'gewoon' is, komt overeen met de observatie in Nederland van Meerding et al. (2007) dat in het huidige pakket veel kosteneffectievere interventies zitten dan de drempelwaarde van €40.000 (zie tabel 1).

Bijvoorbeeld: Bij infectieziekten en hart- en vaatziekten liggen de kosten van de interventies per QALY tussen de €2.000 tot

€5.000. Bij oncologische interventies zijn de kosten met €16.000 tot €18.000 per gewonnen QALY aanzienlijk hoger, maar dit is ver onder de RVZ grens van €80.000 die voor deze groep met een hoge ziektelast als maximum zou gelden. Dergelijke cijfers komen ook uit Engeland, waarbij in de oncologie een kostprijs van £19,100 per QALY gevonden werd en £12,000 bij hart- en vaatziekten (House of Commons, 2007, page 60).

Tabel 1. Kosten per QALY voor reeds in het pakket aanwezige interventies. Meering et al (2007).

Ziektebeelden	€ / QALY
<i>Infectieziekten met antibiotica als belangrijkste interventie</i>	
Maagdarminfecties	2,771
Tuberculose	71
Pneumonie	6,049
Sepsis	11,164
<i>Infectieziekten met vaccinatie als belangrijkste interventie</i>	
Meningitis	-1,015
Meningokokken	4,208
Difterie	257
Kinkhoest	442
Polio	-22,268
Mazelen	991
<i>Kanker</i>	
Longkanker	18,618
Colorectumkanker	10,893
Borstkanker	2,387
Prostaatkanker	30,095
Testiskanker	692
Non-Hodgkin	6,980
Hodgkin	1,077
<i>Hart- en vaatziekten</i>	
Coronaire hartziekten	3,531
Beroerten	-3,428

Een aantal interventies, bijvoorbeeld bij polio, kent een negatieve kostprijs per QALY. Dat komt omdat deze interventies meer besparingen opleveren dan er kosten aan verbonden zijn.

In de praktijk kunnen individuele behandelingen, of zelfs subgroepen van behandelingen, veel duurder uitpakken dan de gemiddelde waarden van tabel 1. Toch geven deze gemiddelde prijzen aan dat alles boven de €40.000 per QALY moet worden gerekend tot de categorie met een relatief slechte kosteneffectiviteit.

Een slechte kosteneffectiviteit is alleen te verantwoorden wanneer er belangrijke andere argumenten zouden bestaan die pleiten voor vergoeding, zoals het CVZ en de RVZ dat eerder hebben uitgewerkt met ziektelast.

15. Het domein van kosteneffectiviteit

15.a. Cure, care en preventie

Het gebruik van kosteneffectiviteitsanalyses komt vooral veel voor in de cure en is daar dan ook het sterkst ontwikkeld. Daarnaast worden kosteneffectiviteitsanalyses veel toegepast in de preventie. Een verschil tussen cure en preventie is dat de eis van kosteneffectiviteit in preventie doorgaans strenger is. Er zijn een aantal factoren aan te wijzen die dit verklaren.

Ten eerste betreft het bij preventie per definitie een patiënt in de toekomst, en we weten dat zaken in de toekomst een minder hoog gewicht hebben dan zaken in het heden. In de tweede plaats is bij preventie per definitie de patiënt nog niet kenbaar. Anders dan bij patiënten van vlees en bloed, roepen deze statistische slachtoffers in de toekomst niet gelijk solidariteit op, hetgeen zich vertaald in een lager prioriteit. Ook is het voorstelbaar dat men bij preventie de onzekerheid over de berekeningen hoger inschat dan bij cure. De strengere interpretatie van de kosteneffectiviteit van preventie is wederom een illustratie dat er argumenten zijn die de interpretatie van kosteneffectiviteit beïnvloeden.

Aan het nut van het gebruik van standaard kosteneffectiviteitsanalyses in de care wordt vaak betwijfeld omdat de onderzoeksvragen zich vaak niet laten vertalen naar kosten per QALY analyses. Het is bijvoorbeeld lastig zich voor te stellen hoe 'meer privacy' of 'een betere bezoekenregeling' zich vertaald in zoiets generieks als een QALY. Het ligt voor de hand om voor dit soort comfort en kwaliteit parameters, andere meetinstrumenten te ontwikkelen.

Er worden op dit moment een aantal nieuwe concepten en meetinstrumenten ontwikkeld om de effectiviteit van care beter in kaart te brengen. Een veelbelovend voorbeeld hiervan is een uitwerking van Flynn et al (2008), die een link leggen tussen QALYs and de capabilities approach van Sen (Verkerk, Busschbach, Karssing, 2001) door discreet choice

experimenten. Het is nog de vraag waar deze ontwikkeling eindigt. Het is zelfs denkbaar dat uiteindelijk toch weer terug gekomen wordt op een 'pure QALY'. Dat is mogelijk wanneer het alternatief van care maar scherp genoeg wordt neergezet. Bijvoorbeeld, wanneer het verpleeghuis niet zou bestaan, zou niet alleen de kwaliteit van leven van die patiënten lager zijn, maar het is ook goed denkbaar dat de sterfte zou toenemen. Als dat zo is, dan is de QALY een sensitieve maat voor care. Dat is waarschijnlijk ook de reden dat het RVZ haar norm van €80.000 per QALY mede heeft gebaseerd op de kostprijs van een jaar in een verpleeghuis (RVZ, 2006, blz. 87). Het is te verwachten dat de discussie rond het gebruik van de QALY, of enige andere maat van effectiviteit in de care nog wel even zal duren.

15.b. Doelmatigheid, kosteneffectiviteit en doeltreffendheid

Een verwarrende zaak is dat de begrippen doelmatigheid, kosteneffectiviteit en doeltreffendheid vaak door elkaar gebruikt worden, maar dat daar eigenlijk andere zaken mee bedoeld worden. Dat geldt met name voor het gebruik van doelmatigheid en kosteneffectiviteit. In de wetenschap zijn de begrippen doelmatigheid en kosteneffectiviteit synoniem, maar dat is niet altijd het geval in het beleid en de politiek. In het beleid wordt het begrip doelmatigheid vooral gebruikt om aan te geven dat de nieuwe interventie:

- Gelijke effecten kent, maar minder kost
- Betere effecten kent, maar minder kost
- Betere effecten kent, maar evenveel kost

De situatie 'betere effecten, meer kosten' valt daarbuiten. Binnen het begrip kosteneffectiviteit zijn alle vier de bovenstaande situaties wèl te vatten, en juist 'beter effecten, meer kosten' levert de meeste discussie op. Eigenlijk zijn de drie eerder genoemde situaties 'open deuren': niemand zal bijvoorbeeld tegen het vergoeden zijn van een interventie die even goed is, maar minder kost. Het begrip doelmatigheid gedefinieerd als de drie bovengenoemde situaties, voegt dan

ook eigenlijk niks toe aan wat we toch al zouden doen. Het verdient daarom aanbeveling om voortaan het begrip kosteneffectiviteit te hanteren in plaats van het incomplete begrip doelmatigheid.

Doeltreffendheid is een begrip om aan te geven hoe goed het medicijn in de praktijk bij de beoogde doelgroep terechtkomt en wordt ook wel 'gepast gebruik' genoemd. Het geeft het verschil aan tussen het wetenschappelijk onderzoek en de klinische praktijk, ofwel het verschil tussen werkzaamheid (efficacy) en effectiviteit in de praktijk. Omdat kosteneffectiviteitsanalyses zich op de praktijksituatie richten ('echte kosten' en 'echte effecten'), zal de mate van doeltreffendheid vaak een onderdeel van de kosteneffectiviteitsanalyse zijn. Zie ook de paragraaf over 'Onzekerheid over de doeltreffendheid van de interventie'

15.c. Verwarring rond noodzakelijkheid

De vier pakketprincipes van het CVZ grijpen terug op de vier criteria van de trechter van Dunning, waar het begrip 'noodzakelijkheid' er één van was. Noodzakelijkheid werd bij de introductie door Dunning gedefinieerd als de situatie waarin:

- 1) de aandoening tot voortijdige sterfte leidt, of
- 2) indien de aandoening de normale deelname aan de samenleving belemmert of onmogelijk maakt.

Vooraf het gebruik van het begrip 'normale deelname aan de samenleving' leverde veel problemen op. Het criterium noodzakelijkheid heeft zich daarom in de loop van de tijd ontwikkeld tot het begrip ziektelast, omdat dit beter is vast te stellen dan 'normale deelname aan de samenleving' (CVZ, 2001).

Na deze verscherping van de definitie van noodzakelijkheid, is recentelijk op het CVZ voorgesteld de definitie van noodzakelijkheid weer te vervagen:

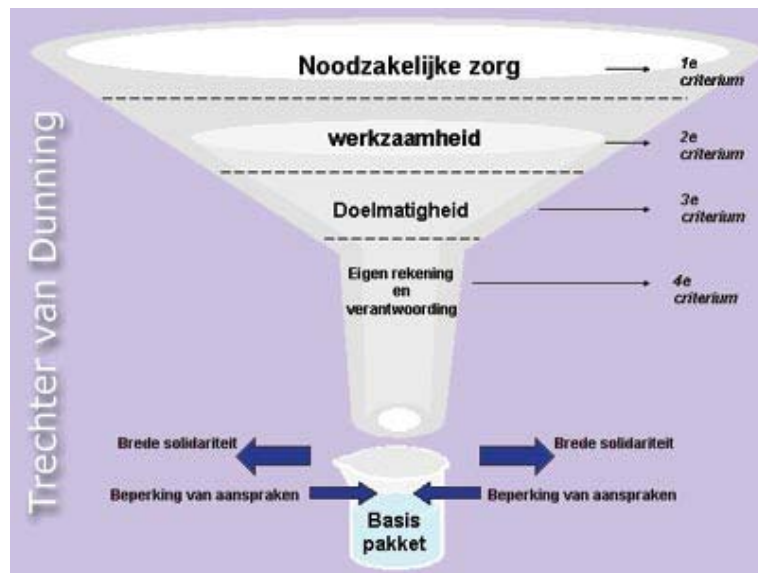
"Rechtvaardigt de ziekte of benodigde zorg een claim op

solidariteit, gegeven de culturele context." (CVZ, 2006). Volgens het CVZ (2006) bestaat noodzakelijkheid naast 'ziektelast' en 'zorgbehoefte' ook uit voor 'eigenrekeningoverwegingen' (CVZ 2006, blz. 36).

Daarmee is het 4^e criterium van Dunning, 'eigenrekening en verantwoording', vermengt met het eerste criterium 'noodzakelijkheid'. Er zijn een aantal redenen om deze vermenging van het eerste en het vierde criterium van Dunning met de nodige aarzelingen te ontvangen.

1. Ten eerste is noodzakelijkheid nu niet meer eenduidig, maar alleen multidimensioneel te beoordelen: ziektebelasting, zorgbehoefte en niet-voor-eigen-rekening.
2. Ten tweede is de uitspraak "*Rechtvaardigt de ziekte of benodigde zorg een claim op solidariteit....*", een beschrijving van de uitkomsten van een overweging, en geen criterium.
3. Ten derde zijn we door de toevoeging "*gegeven de culturele context*" weer terug bij het begrip 'normaal', een begrip dat juist zo weinig vruchtvol was gebleken in de trechter van Dunning.
4. Ten vierde wordt niet uitgewerkt waar het begrip 'zorgbehoefte' voor staat.

Figuur 2. Trechter van Dunning



Het verdient daarom aanbeveling om kritisch naar het voorstel te kijken. Waarschijnlijk is het beter om een deel van de 'criteria' die in het voorstel onder de noemer 'noodzakelijkheid' zijn geplaatst te verplaatsen naar 'uitvoerbaarheid'. Bij uitvoerbaarheid kunnen dan ook typische verzekeringszaken worden gewogen, zoals de voorspelbaarheid van de kosten voor de patiënt, de invloed van het gedrag van de patiënt op de kosten en de mogelijkheden om zelf de kosten te dragen. Een goed voorbeeld hiervan is de bril. Een bril is uiterst noodzakelijk want het gebrek aan een bril geeft een hoge ziektebelasting. Toch is een bril ongeschikt om te verzekeren in een sociaal verzekeringspakket. Dit komt onder andere omdat mensen dan niet meer zuinig op hun bril zullen zijn (de eigen verantwoording wordt dan niet meer bekrachtigd). Verzekeren is ook niet echt nodig want de kosten van een nieuwe bril zijn doorgaans goed te betalen. Het verdient daarom aanbeveling bij een verdere verfijning van het begrip noodzakelijkheid te overwegen om 'eigenrekeningoverwegingen' over te hevelen naar het vierde criterium 'uitvoerbaarheid'.

16. Additionele criteria

Het is denkbaar dat er naast het RVZ criterium 'ziektelast' nog meer criteria zijn die net als ziektebelasting invloed zouden moeten hebben op de beoordeling van de kosteneffectiviteit van een behandeling. Voorbeelden zijn zeldzaamheid van de behandeling, budgetimpact en behandelingen die niet valide gemeten worden door QALY-analyses. Helaas zijn geen van deze additionele criteria zo uitgewerkt als de RVZ dat gedaan heeft voor het criterium ziektebelasting. Hieronder worden een groot aantal van deze additionele criteria opgesomd. Voor de meeste criteria geldt dat ze de drempelwaarden verhogen, dat wil zeggen dat de behandelingen waar de criteria betrekking op hebben, eerder kosteneffectief zijn. Voor sommige criteria geldt het omgekeerde; wanneer deze criteria gelden zou de kosteneffectiviteit juist kritischer moeten worden beoordeeld. Er zijn ook criteria die vaak genoemd worden, maar waarbij het erg dubieus is of ze zouden moeten meetellen. Het zelf schuld hebben aan de aandoening, zoals bij roken en ski ongelukken, is daar een voorbeeld van. In tabel 2 worden deze criteria opgesomd. In het vervolg van dit document worden deze criteria beschreven.

Tabel 2. Criteria die een rol spelen bij het waarden van de kosteneffectiviteit.

Criteria die de interpretatie van kosteneffectiviteit beïnvloeden	Maken eis van kosteneffectiviteit milder	Maken eis van kosteneffectiviteit strenger	Zouden niet moeten meetellen
<ul style="list-style-type: none"> • Hoge ziektelast • Zeldzaamheid • Veel Informal care • Risico's volksgezondheid 			
<ul style="list-style-type: none"> • Weinig overlap met domein van de gezondheidszorg • Hoge budget impact • Toekomstige medische kosten zijn niet meegenomen • Ongeschiktheid voor verzekering door hoge prevalentie • Ongeschiktheid voor verzekering door grote eigen invloed van de patiënt op dosering behandeling patiënt bij toepassing • Onzekerheid over de doeltreffendheid van de interventie 			
<ul style="list-style-type: none"> • Life style / risicovol gedrag • Leeftijd, geslacht, etniciteit, seksuele geaardheid en sociaal economische status 			

17. Criteria die de eis van kosteneffectiviteit milder maken

17.a. ziektelast

Het is niet voor niets dat de RVZ begonnen is met het uitwerken van het criterium ziektelast als moderator voor kosteneffectiviteit: ziektelast figureert al jaren in verschillende gedaantes in de literatuur als het belangrijkste verdeelprincipe naast effectiviteit en kosteneffectiviteit. In de economische literatuur is dit het 'equity debate', het uitwisselen van argumenten hoe ziektelast verweven kan worden met efficiëntieargumenten. In Nederland heeft deze discussie in het beleid een vergelijkbare debat rond de Trechter van Dunning, waarin het criterium 'noodzakelijkheid' verwijst naar ziektelast.

Het is van belang zich te realiseren dat het ziektelast criterium twee kanten uitwerkt: aandoeningen met een grote ziektelast komen eerder in aanmerking voor vergoeding, maar dat moet wel betekenen dat aandoeningen met een geringe ziektelast alleen vergoed worden wanneer ze een heel goede kosteneffectiviteitsratio hebben. Het geeft goed aan dat de RVZ ervan doordrongen is dat de hoge kosten voor behandelingen met een hoge ziektelast ergens van betaald moeten worden. Het geeft ook aan dat hoe vrijgevinger de appraisal commissie ACP is voor ziekten met een hoge ziektelast, hoe meer ze behandelingen moet gaan weigeren met een goede kosteneffectiviteit voor een andere doelgroep.

De RVZ stelt bij haar operationalisatie van het begrip ziektelast voor om behandelingen voor ziekten met een ziektelast van 10% helemaal niet meer te vergoeden. Je kunt je inderdaad afvragen of er bij een lage ziektelast wel sprake is van een ziekte en dus of de behandeling wel valt onder het domein van de gezondheidszorg (zie beneden). Aan de andere kant lijkt een drempel van 10% wel erg hoog.

Ziektelast is door de RVZ gedefinieerd middels 'proportional shortfall', een begrip geïntroduceerd door André Ament van de

universiteit Maastricht dat verder is uitgewerkt in het proefschrift van Elly Stolk (2005). Proportional shortfall houdt rekening met leeftijd en de duur van de aandoening en is een compromis tussen meer radicale definities van ziektelast, zoals 'the rule of rescue' en 'fair innings'. De definiëring en waardering van noodzakelijkheid ten behoeve van de appraisal door de ACP zal binnenkort verder worden uitgewerkt door het CVZ.

Ziektelast wordt ook vaak door patiënten en leken naar voren gebracht als een belangrijk argument, naast kosteneffectiviteit. Een mooi voorbeeld is te vinden in de verslagen van de Citizen Council van NICE. Deze Citizen Council heeft uitvoerig gedebatteerd of, en hoe, ziektelast moet worden gewogen ten opzichte van kosteneffectiviteit. Zo is in januari 2008 de Citizen Council van NICE twee en een halve dag bijeen geweest om te praten over het onderwerp: *Should NICE and its advisory bodies take into account the severity of a disease when making decisions? If yes, should the advisory committees: 1) take severity "into consideration" alongside the cost and clinical effectiveness evidence; 2) or should severity be included in the calculation of the QALY?* (NICE, 2008 Page 4)

Merk op dat de eerst subvraag precies de vraagstelling is van het huidige rapport, daar waar het ziektelast betreft. De tweede vraagstelling gaat over de operationalisatie van de eerste vraagstelling. De conclusies van de Citizen Council voor de eerste subvraag waren als volgt:

The Citizens' Council concluded, by 24 to 2, that NICE and its advisory bodies should indeed take the severity of a disease into account when making decisions. Among the 24 of us who took this view there was unanimity that rather than do so by including severity in the calculation of the QALY, it should be taken "into consideration" alongside the cost and clinical effectiveness evidence"

We are not calling for the questionnaire [hier wordt de EuroQoL EQ-5D bedoeld] or the QALY to be abandoned; rather we are suggesting that, in the light of experience so far, it is

time they were subjected to a thoughtful and penetrating review. (NICE 2008, page 4)

Het is van belang er op te wijzen dat ondanks haar kritische houding, de Citizen Council van NICE het QALY paradigma niet verwerpt, maar oproept to het wegen van ziektelast naast kosteneffectiviteit. Dat is in lijn met de rapporten van CVZ over de jaren heen, het RVZ rapport en past typisch bij een appraisal commissie zoals de ACP.

17.b. Zeldzaamheid van de aandoening (weesgeneesmiddelen)

In haar rapport Rechtvaardige en Duurzame zorg pleit de RVZ er al voor om naast ziektelast ook te kijken naar de grootte van de patiëntgroep. Wanneer deze klein is, zal de omzet van geneesmiddelen voor deze groep laag zijn. Dat betekent dat farmaceuten moeilijk hun ontwikkelingskosten kunnen terugverdienen. Dat zou gemakkelijker gaan indien de prijs per patiënt van nieuw ontwikkelde medicatie hoger mag zijn. De RVZ verwoordt dat als: deze patiënten mogen *“niet de dupe mogen worden van het feit dat de aandoening, ziekte of handicap die zij hebben sporadisch voorkomt”*. (RVZ, 2007, bladzijde, 22). Zeldzaamheid van de aandoening geeft volgens de RVZ dus aanleiding om te overwegen om de kosteneffectiviteitsdrempel minder streng te maken.

De gedachte van de RVZ wordt breed gedragen. Er is zelfs door CVZ een aparte beoordelingsprocedure ontworpen om hieraan tegemoet te komen. Hoewel deze beoordelingsprocedure nog niet volledig in werking is, lijkt de procedure uit te komen op het toelaten van interventies met veel hogere kosten per QALY dan de door de RVZ genoemde bovengrens van € 80.000. Deze denkwijze is niet zonder kritiek. Tegenstanders wijzen er op, dat er tot nu niemand is geweest die een sluitende theoretische onderbouwing heeft kunnen geven van deze gedachtegang. Dit maakt het lastig om vol te houden dat het bevoorrechten van weesgeneesmiddelen 'ethisch' verantwoord is (McCabe, Claxton, Tsuchiya, 2005).

Dat een dergelijke sluitende onderbouwing ontbreekt, wordt duidelijk wanneer we naar de consequenties kijken: hoe is het te rechtvaardigen om mensen met een huis-tuin-en-keuken ziekte een behandeling te ontzeggen, terwijl we wel de beurs trekken voor patiënten met een exotische ziekte (onder verder gelijke omstandigheden....)?

Ondanks de bovengenoemde kritiek lijkt er een breed draagvlak te zijn om de kosteneffectiviteit van zeldzame ziektes milder te beoordelen. Wellicht komt dat omdat weesgeneesmiddelen vaak worden toegepast in situaties waarin ook andere faveure argumenten aanwezig zijn, zoals een hoge ziektelast, herkenbare slachtoffers bij onthouding van zorg en een lage budget impact. De combinatie van een breed maatschappelijk draagvlak, het ontbreken van een sluitend theoretisch kader en de aanwezigheid/koppeling met andere faveure argumenten, maakt de beoordeling van weesgeneesmiddelen een belangrijke uitdaging voor de ACP.

17.c. Informal care

In de Richtlijnen voor farmaco-economisch onderzoek van het CVZ staat dat kosteneffectiviteitsanalyses zich moeten beperken tot de effecten van de behandeling bij de patiënt. Dat betekent dat 'care giver effecten' niet zijn meegenomen. Het kan van belang zijn deze toch te wegen bij de beoordeling van ziektebeelden zoals Alzheimer, borderline persoonlijkheidsstoornissen en gehandicapte kinderen. Wanneer er sprake is van duidelijke 'care giver effecten', kunnen als het ware de effecten worden vergroot door ook deze 'patiënten' bij de kosteneffectiviteitsratio te betrekken.

17.d. Risico's volksgezondheid

Hieronder zal gepleit worden dat veel voorkomende ziektebeelden met relatief goedkope interventies niet verzekerd hoeven te worden. Voorbeelden zijn bijvoorbeeld pijnstillers en de pil bij volwassenen. Er zijn uitzonderingen op

deze regel. Wanneer een patiënt bij een verwaarlozing van zijn ziekte een gevaar kan gaan vormen voor zichzelf of de omgeving, kan het wegnemen van financiële obstakels wèl zinvol zijn. Voorbeelden zijn inenting, zuigelingenverzorging, anticonceptiepillen bij minderjarigen, verslavingszorg etc. In die gevallen wil je als het ware de drempel zo laag mogelijk maken, omdat de gevolgen ernstiger zijn dan de patiënt kan bevroeden. In sommige kosteneffectiviteitsanalyses wordt deze denkwijze al toegepast door de extra kosten en effecten in de omgeving van de patiënt mee te nemen in de analyses. In die gevallen is een extra waardering voor de effecten overbodig want alle effecten zitten al in de analyse. Het kan echter ook zo zijn dat de kosteneffectiviteitsanalyse zich heeft beperkt tot alleen de effecten bij de patiënt. In dat geval is een extra weging van de kosten en effecten buiten de patiënt op zijn plaats.

18. Criteria die de eis van kosteneffectiviteit strenger maken

18.a. Beperkte overlap met het domein van de gezondheidszorg

Met behulp van QALY-analyses kunnen vrijwel alle behandelingen in de gezondheidszorg worden beoordeeld op hun kosteneffectiviteit. Deze redenering is niet zonder meer om te draaien: het is niet zo dat alle behandelingen die beoordeeld kunnen worden door QALY-analyses ook vallen onder het domein van de gezondheidszorg. Zo is het denkbaar dat cosmetische chirurgie een prima kosteneffectiviteitsratio kent. Dat zelfde zou gezegd kunnen worden van scholing (dyslexie) en opvoedhulp. Maar dat wil nog niet zeggen dat deze drie behandelingen ook duidelijk in het domein van de gezondheidszorg passen. Voor cosmetische zorg geldt dat dit wordt gezien als geneeskunde welke gebruikt wordt om juist boven de natuurlijke gemiddelde grens uit te komen, terwijl de geneeskunde zich zou moeten focussen op de patiënten onder de norm. Dit is door Stolk, Brouwer en Busschbach (2005) uitgewerkt als het principe van 'pleasure seeking' versus 'pain avoidance' rond de discussie over de vergoeding van Viagra. Er ligt hier ook een relatie met ziektelast: een ziektelast bestaat pas als je onder de normaalwaarden komt, en daarom is er geen ruimte in een sociaal verzekeringspakket voor geneeskunde die patiënten tot boven de norm brengt.

18.b. Budget impact

Vaak wordt gesteld dat de grootte van het benodigde budget geen issue mag zijn bij vergoedingsdiscussie (RVZ, 2007, blz. 23). Budget impact staat dan ook nadrukkelijk niet bij de vier pakketprincipes: noodzakelijkheid, effectiviteit kosteneffectiviteit en uitvoerbaarheid. Het is maar de vraag of budget impact niet informeel bij vergoedingsdiscussies wordt betrokken. In positieve zin geldt dat bijvoorbeeld voor de mildheid die er bestaat over het vergoeden van zeldzame

interventies (zie boven). Dat budget impact een overweging van belang is, blijkt wel uit het feit dat in vrijwel alle landen vergoedingsaanvragen altijd gepaard moeten gaan met een schatting van het benodigde budget. Budget impact lijkt vooral een rol te spelen wanneer de onzekerheid over het gebruik en de (kosten-)effectiviteit toenemen. Je zou als het ware kunnen zeggen dat een hoog budget onzekerheid uitvergroot: een vergissing met een klein budget is een klein probleem, een vergissing met een groot budget een groot probleem. In die zin is het rationeel om restrictiever te zijn bij een hoog budget. De belangstelling om de rationale van het budget impact argument verder uit te werken is aan het groeien (Cohen, Stolk, Niezen, 2008). Het is te verwachten dat in de nabije toekomst een betere beschrijving van dit argument beschikbaar komt.

18.c. Toekomstige medische kosten zijn niet meegenomen

Er is op dit moment een discussie aan de gang hoe toekomstige medische kosten van patiënten moeten worden meegenomen in kosteneffectiviteitsanalyses. In de Richtlijnen voor farmaco-economisch onderzoek wordt gesteld: "Medische kosten die niet gerelateerd zijn aan de behandeling van de aandoening mogen niet meegenomen worden in de evaluatie." (CVZ, 2006). Dus sterft een genezen kankerpatiënt drie jaar later aan een hartkwaal, dan mogen de kosten van die hartkwaal niet worden meegenomen in de analyse. Sterft de patiënt aan het terugkomen van de kanker, dan moet dat wel. Het rationele achter deze werkwijze is dat anders levensverlengde behandelingen 'duur' worden door niet gerelateerde ziektebeelden. De laatste tijd gaan er echter stemmen op om toch alle toekomstige zorgkosten mee te nemen. Dat speelt bijvoorbeeld bij antirook campagnes: in tegenstelling tot wat velen verwachten, zullen de kosten in de zorg hierdoor juist stijgen omdat ex-rokers ouder worden en dus meer zorg gaan gebruiken. De kosteneffectiviteit blijft in dit geval overigens gunstig, want er worden ook een hoop extra QALYs gewonnen, waardoor de kostprijs per QALY

gunstig blijft. De discussie hoe toekomstig zorg moeten worden meegeteld is nog niet beslecht. Tot die tijd verdient het de aanbeveling om te kijken of dergelijk kosten relevant kunnen zijn, en of ze zijn meegenomen in de analyses. Zijn ze niet meegenomen, dan moet de kosteneffectiviteitsratio strenger worden beoordeeld, dan wanneer ze wel zijn meegenomen.

18.d. Ongeschiktheid voor verzekering door hoge prevalentie

Interventies voor ziektebeelden met een hoge prevalentie en lage kosten, zoals pijnstillers voor normaal gebruik, pleisters etc. zijn niet echt geschikt om te verzekeren, omdat iedereen er op een reguliere basis mee geconfronteerd wordt en omdat (vrijwel) iedereen de kosten kan dragen. Een verzekering maakt dat deze dagelijkse boodschappen nodeloos duur worden: we sluiten ook geen 'broodverzekering' af. Anders gezegd: We verzekeren ons om gevrijwaard te worden van 'catastrofale kosten' en interventies voor ziektebeelden met een zeer hoge prevalentie en lage kosten vertegenwoordigen geen 'catastrofale kosten'. Een mooi voorbeeld is tandartszorg. De alledaagelijkse tandartszorg is alleen vrijwillig verzekerd, maar bij gebitschade door ongevallen wordt de tandartszorg wel vergoed. Dus alledaagse zorg wordt niet verzekerd, maar de zorg na een catastrofale gebeurtenis wel. Het bovenstaande wordt ook wel eens samengevat onder de titel 'eigen verantwoordelijkheid', net als het volgende criterium.

18.e. Ongeschiktheid voor verzekering door grote eigen invloed van de patiënt op dosering behandeling

Verzekeringen werken alleen bij tussenkomst van onafhankelijke schade-experts, in het geval van gezondheid de dokter. Wanneer de begunstigde zelf de schade-expert wordt, neemt de efficiëntie verzekering af door het ontbreken van

prikkels tot efficiëntie en toename oneigenlijk gebruik (misbruik). Zie de analogie van het inefficiënt zijn van een reisverzekering voor verlies van persoonlijke eigendommen. Voor middelen waarbij de eigen invloed van de patiënt op dosering van de behandeling groot is, zoals bij het gebruik van slaapmiddelen, de bril, tandartszorg en voorbehoedsmiddelen ligt een verzekering daarom niet voor de hand. Dat geldt ook voor de vergoeding van interventies waarbij de therapietrouw laag is, zoals bij zelfhulp bij stoppen met roken (Zyban) en afvallen. Dit criterium wordt ook wel 'eigen verantwoordelijkheid criterium' genoemd.

18.f. Onzekerheid over de doeltreffendheid van de interventie

Doeltreffendheid gaat over de mate waarin de juiste patiënten behandeld worden. Wanneer er grote onzekerheid bestaat over voorschrijven van de interventie buiten vastgestelde diagnose (een lage doeltreffendheid), behoort de kosteneffectiviteit extra kritische te worden bekeken. In die gevallen zullen de kosten namelijk snel oplopen en de effecten dalen. Dit geldt vooral wanneer de budget impact vooraf toch al hoog wordt ingeschat. Een voorbeeld waar dit nadrukkelijk speelt is bij dure interventies bij zeldzame ziekten. Wanneer deze dure interventies niet alleen worden ingezet bij de zeldzame ziekten nemen de kosten snel toe en verslechtert de (kosten-)effectiviteit. Dat is een belangrijke reden dat bij de voorwaardelijke vergoeding van weesgeneesmiddelen het in de tijd volgen van de doeltreffendheid zo'n belangrijke rol speelt.

19. Criteria die niet zouden moeten meetellen

19.a. 'Life-style' / risicovol gedrag

De definiëring van het begrip "life style" kent een moeizame geschiedenis in de literatuur. De term wordt doorgaans losjes gebruikt, meestal in een vorm van een negatieve connotatie in vergoedingsdiscussies. Voorbeelden waar het begrip life style naar kan verwijzen zijn: luxe geneeskunde, risico vol gedrag (skiën, onveilige sex, roken), excentrieke preferenties (geslachtsveranderingen, plastische chirurgie, extreme sporten). In dit rapport wordt de definitie Gilbert (1999) aangehouden. Hij ordent een aantal van de manieren waarop mensen de term 'lifestyle drug' gebruiken:

- 1) Een medicijn voor een probleem dat niet echt een gezondheidsprobleem is. In dit verband wordt ook gesproken over een medicijn dat je meer dan normaal gezond maakt. Viagra wordt hier vaak als voorbeeld genoemd, maar men kan ook denken aan cosmetica om huidveroudering tegen te gaan. Het op deze manier gebruiken van de term life style valt al onder de criteria 'ziektelast' en het afgrenzen van het domein van de gezondheidszorg (zie aldaar).
- 2) Verwijzingen naar interventies die ingezet kunnen worden bij problemen die (gedeeltelijk) vallen onder eigen verantwoordelijkheid, zoals vetzucht, maagzuur, ADHD en roken.

Het is een verleidelijke gedachte om te denken dat de schaarste in de zorg er bij gebaat zou zijn als we ophouden met het vergoeden van interventies die worden ingezet na een ongeluk of een ziekte die te wijten is aan het gedrag van de patiënt zelf. Als voorbeeld wordt vaak roken genoemd en skiongelukken. Een praktische complicatie bij deze redenering is dat er vele gezondheidskwalen zijn aan te wijzen waar op zijn minst een deel van de kwaal een relatie heeft met het eigen gedrag. Dat geldt voor skiongelukken, maar ook voor

het vallen van keukentrapjes en diabetes. Het ontbreken van een duidelijke scheidslijn tussen risicovol gedrag en dagelijkse ongevallen en kwalen is in het debat steeds een uiterst kwetsbaar deel van de argumentatie gebleken. Voorstanders van het life style en risicovol gedrag argument wordt bijvoorbeeld voorgehouden dat consequent doorvoeren van deze redenering betekent dat je bij ongevallen alleen voor vergoeding in aanmerking komt als je bent geduwd. Vanwege deze complicaties is de vaak geuite gedachtegang van life style en risicovol gedrag nooit uitgevoerd.

Het life style en risicovol gedrag argument speelt wel tijdens de behandeling. Wanneer de patiënt onvoldoende meewerkt aan de behandeling, kan de behandeling worden gestaakt. Een bekend voorbeeld is dat er geen levertransplantaties worden gedaan bij patiënten die nog verslaafd zijn aan alcohol. Maar zelfs in dat geval kan men nog stellen dat het niet zozeer een 'life style' argument is, maar dat het gebrek aan een behandelings-effect beslissend is. Het life style argument wordt nog zwakker wanneer we kijken naar de richtlijnen Multidisciplinaire Richtlijn Cardiovasculair Risicomanagement (2006). Roken moet volgens deze richtlijn weliswaar ontmoedigd worden, maar ondertussen krijgen rokers *eerder* medicatie voorgeschreven dan niet-rokers: het omgekeerde van wat bedoeld wordt met het life style argument. Dus zelfs tijdens een behandeling, is het life style criterium niet het krachtige argument gebleken waar vaak op gerekend wordt.

De discussie over life style kan profiteren van de ontwikkelingen rond het begrip capabilities, Het begrip 'capabilities' referent naar de mogelijkheden die iemand heeft, ongeacht of hij of zij er gebruik van maakt (Verkerk, Busschbach, Karssing, 2001). Vaak worden 'maatschappelijke garanties' voor capabilities geboden die gekoppeld zijn aan karakteristieken van de gebruiker: bijvoorbeeld de mogelijkheid voor hoger onderwijs tot een bepaalde leeftijd. Ouderen mogen doorstuderen, maar moeten meer bijbetalen. In dat licht is Viagra (een discussie waarbij het begrip life style veelvuldig is genoemd) bij jonge diabetespatiënten iets anders

dan Viagra bij ouderen. Een ander begrip dat behulpzaam kan zijn bij de interpretatie van life style is 'fair innings': gezondheid wordt door de maatschappij gegarandeerd tot een hoogte wat een 'gebruikelijk gezondheid' is (Stolk, van Donselaar, Brouwer, Busschbach, 2004)

19.b. Leeftijd, geslacht, etniciteit, seksuele geaardheid en sociaal economische status

Er is een brede consensus dat leeftijd, geslacht, etniciteit, seksuele geaardheid en sociaal economische status niet primair gebruikt mogen worden om aanspraken op zorg te reguleren. Kosteneffectiviteitsanalyses komen uit een traditie waarbij deze factoren nauwlettend buiten de deur worden gehouden. Dit laat zich vertalen in het credo:

"A QALY is a QALY, no matter who gets it" (Alan Wiliams, 2001)

Een uitzondering hierop vormen die situaties waarin op basis van wetenschappelijk onderzoek is vast komen te staan dat de werkzaamheid van een interventie als gevolg van een van deze kenmerken groter of kleiner is dan die van andere groepen binnen dat kenmerk en dat de verschillen niet door andere factoren kunnen worden verklaard (RVZ, 2007, blz. 19). Dit wordt door de RVZ geïllustreerd met het voorbeeld:

In 2005 registreerde de Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA) BiDil als middel tegen hartfalen bij negroïde patiënten, nadat onderzoek had uitgewezen dat het aantal doden onder deze patiënten met hartfalen met 43% en het aantal ziekenhuisopnamen met 39% gedaald was als gevolg van het gebruik van dit middel. Bij andere etnische groepen heeft dit middel weinig effect. Het middel wordt daarom alleen vergoed wanneer het aan negroïde patiënten wordt voorgeschreven. (RVZ, 2007, blz. 19-20).

Nu betreft het voorbeeld van de RVZ een uitkomst waarbij er voor de benadeelde groep weinig tot geen voordeel te halen viel. Het is maar de vraag of deze redenering nog stand houdt wanneer deze voordelen nog wel, zij het beperkt blijven bestaan. Een bekend voorbeeld zijn oudere patiënten. Bij

oudere patiënten mag verwacht worden dat de uitkomsten van interventies over het algemeen minder goed zijn, al was het maar omdat de oudere patiënt minder levensjaren te gaan heeft. Toch roept het expliciet noemen van leeftijd als criterium veel beroering op. Een voorbeeld is de discussie eind jaren 80 over het stellen van een leeftijdsgrens van 55 jaar bij harttransplantaties. Door zo'n leeftijdsgrens kan men de schaarse donorharten toewijzen aan patiënten die er het langst mee kunnen leven. Schuyt (1990) voorspelde een heftige discussie en die kwam er ook. Uiteindelijk verdween leeftijd als expliciet criterium uit beeld, hoewel onderzoek had uitgewezen dat een hoge leeftijd een duidelijke risicofactor is (Simoons en Weimar, 1990).

Het harttransplantatievoorbeeld illustreert dat wanneer leeftijd expliciet wordt gebruikt, het ongeschikt is als criterium. Wanneer leeftijd ingebed zit in andere medische factoren, wordt leeftijd wel geïnterpreteerd op de manier zoals RVZ hierboven aangeeft. Dit wordt geïllustreerd door de cholesterolrichtlijn, waarbij ouderen worden uitgesloten en waarvoor mannen en vrouwen verschillende criteria gebruikt worden op basis van effectiviteitscriteria.

"De werkgroep beval aan geen statinen voor te schrijven bij mannen boven de 70 en vrouwen boven de 75 jaar. Dit mag niet worden opgevat als leeftijdsdiscriminatie." (Casparie, Van Hout, Simoons, 1998; blz. 2076)

Het is dus goed mogelijk dat leeftijd, geslacht etc. meespeelt bij de effectiviteit van een interventie en dat dit tot aanvaardbare verschillen leidt in behandeling. Wanneer er geen relatie is met (kosten-)effectiviteit, lijkt het gebruik van deze criteria niet in lijn te lopen met het egalitaire karakter van een sociaal ziektekostenverzekeringsstelsel. Het een en ander wordt ook inzichtelijk ondersteund door Citizen Council van NICE:

There is much debate over whether, or how, age should be taken into account when allocating healthcare resources. The Citizens Council decided that health should not be valued more highly in some age groups than in others and that social roles

at different ages should not affect decisions about cost effectiveness. They said, though, that where age is an indicator of benefit or risk, it can be taken into account. (NICE, 2007).

20. Referenties

Buxton, M. Looking for willingness-to-pay (WTP) threshold for a QALY – does it make sense? A practical view. *ISPOR Connections* 2007;13:9-11

Cairns J. Providing guidance to the NHS: The Scottish Medicines Consortium and the National Institute for Clinical Excellence compared. *Health Policy*. 2006 Apr;76(2):134-43

Casparie AF, Van Hout BA, Simoons ML. Richtlijnen en kosten. *Nederlands Tijdschrift voor de Geneeskunde* 1998;142:2075-77

Claxton K, Briggs A, Buxton MJ, Culyer AJ, McCabe C, Walker S, Sculpher MJ. Value based pricing for NHS drugs: an opportunity not to be missed? *BMJ*. 2008 Feb;336(7638):251-4

Cohen JP, Stolk E, Niezen M. Role of budget impact in drug reimbursement decisions. *J Health Polit Policy Law*. 2008 Apr;33(2):225-47.

Culyer AJ, McCabe C, Briggs A, Claxton K, Buxton M, Akehurst R, et al. Searching for a threshold, not setting one: the role of the National Institute for Health and Clinical Excellence. *J Health Serv Res Pol* 2007;12:56-8

CVZ. College voor Zorgverzekeringen. Toenders WGM. Breedte Geneesmiddelenpakket. Uitwerking criteria noodzakelijkheid, eigen rekening en verantwoording en lifestyle. Publicatienummer 01/05, 27 april 2001, College voor Zorgverzekeringen, Amstelveen.

CVZ. College voor Zorgverzekeringen. Rapport pakketbeheer in de praktijk. Mastenbroek, C, G., Van der Meer, FM, Zwaap, J, Rikken, F, Polman, P. Diemen: College voor Zorgverzekeringen, 2006.

CVZ. College voor Zorgverzekeringen. Richtlijnen voor farmaco-economisch onderzoek, geactualiseerde versie. Geldig vanaf 1 april 2006. Volgnummer 25001605. College voor zorgverzekeringen, Diemen Maart 2006

Day B. A meta-analysis of wage-risk estimates of the value of statistical life. Centre for Social and Economic Research on the Global Environment. London: University College London, 1999.

Dear, J, O'Dowd, C, Timoney, A, Paterson, KR, Walker, A, J., WD. Scottish Medicines Consortium: an Overview of Rapid New Drug Assessment in Scotland. *Scottish Medical Journal* 2007;52:20-26.

Devlin, Parkin. Does NICE have a cost-effectiveness threshold and what other factors influence its decisions? A binary choice analysis. *Health Econ* 2004;13(5): 437-52

Flynn TN, Louviere JJ, Marley AA, Coast J, Peters TJ. Rescaling quality of life values from discrete choice experiments for use as QALYs: a cautionary tale. *Popul Health Metr.* 2008 Oct 22;6(1):6.

Gyrd-Hansen, D. Looking for willingness-to-pay (WTP) threshold for a QALY – Does it make sense? A critical view. *ISPOR Connections*, 2007 Aug;13(4):5-8
Gilbert D. Lifestyle drugs: Who will pay? Scrip report. London: PJB Publications; 1999.

Hirth RA, Chernew ME, Miller E, Fendrick AM, Weissert WG. Willingness to pay for a quality-adjusted life year: in search of a standard. *Med Decis Making.* 2000 Jul-Sep;20(3):332-42.

House of Commons, HC. National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE). First Report of Session 2007–08. 2007.

Jönsson B. IQWiG: an opportunity lost? *Eur J Health Econ.* 2008 Aug;9(3):205-7.

Krauth C, John J, Aidelsburger P, Brüggengjürgen B, Hansmeier T, Hessel F, Kohlmann T, Moock J, Rothgang H, Schweikert B, Seitz R, Wasem J. AG Methoden der gesundheitsökonomischen Evaluation. Comments by the Working Group for Methods of Economic Evaluation in Health Care (AG MEG) to IQWiG's Draft Guidelines "Methods for Assessment of the Relation of Benefits to Costs in the German Statutory Health Care System" [Article in German] *Gesundheitswesen.* 2008 Jun;70(6):e1-16.

Martin S, Rice N, Smith PC. The link between health care spending and health outcomes: evidence from English programme budgeting data. University of York: Centre for Health Economics, 2007. (Research Paper 24.)

McCabe C, Claxton K, Tsuchiya A. "Orphan drugs and the NHS: should we value rarity?" *BMJ* 331(7523): 1016-9.

Meerding WJ, Polder JJ, Hollander AEM de, Mackenbach JP. Hoe gezond zijn de zorguitgaven?. Zorg voor euro's - 6. De kosten en opbrengsten van gezondheidszorg bij infectieziekten, kankers en hart- en vaatziekten. Zorg voor Euro's - 6. RIVM Rapport 270091002. ISBN: 978-90-6960-174-8, 2007

Multidisciplinaire richtlijn Cardiovasculair risicomanagement 2006. Kwaliteitsinstituut voor de Gezondheidszorg CBO en Nederlands Huisartsen Genootschap. ISBN-10: 90-8523-131-0. www.cbo.nl

NICE: National Institute for Health and Clinical Excellence. Guide to the Methods of Technology Appraisal. London: NICE, 2003

NICE, 2007. Social value judgements. Principles for the development of nice guidance. Second draft: National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE), 2007 November
2007. <http://www.nice.org.uk/media/998/50/SVJ2ForPublicConsultation.pdf>

NICE, 2008. Report on NICE Citizens Council meeting Quality Adjusted Life Years (QALYs) and the severity of illness 31 January - 2 February 2008. 16 July 2008. <http://www.nice.org.uk/media/2C3/31/CCReportOnQALYsAndSeverity.pdf>.

Raad voor de Volksgezondheid en Zorg. Zinnige en duurzame zorg. Raad voor de Volksgezondheid en Zorg, Den Haag. 2006

Raad voor de Volksgezondheid en Zorg. Rechtvaardige en duurzame zorg. Publicatienummer 07/04. ISBN-13: 978-90-5732-183-2, Raad voor de Volksgezondheid en Zorg, Den Haag. 2007

Schuyt, C. J. M. (1990). "Tragische keuze." *Volkskrant (Open Forum)* 14/2/1990

Simoons, ML, Weimar W. (1990). Indicatiestelling en selectie bij harttransplantatie. *Bulletin Nedelandse Transplantatie Vereniging*, 1, nr. 3, december 1990

Stolk EA. Equity and Efficiency in Health Care Priority Setting: how to Get the Balance Right? Doctoral thesis, Erasmus University Rotterdam, 2005

Stolk EA, Brouwer WDF, Busschbach JJV. Rationalising rationing: economic and other considerations in the debate about funding of Viagra. *Health Policy* 2002;59:53-63

Stolk EA, van Donselaar G, Brouwer WB, Busschbach JJ. Reconciliation of economic concerns and health policy : illustration of an equity adjustment procedure using proportional shortfall. *Pharmacoeconomics*. 2004;22(17):1097-107.

Towse A, Raftey J. Should NICE's threshold range for cost per QALY be raised? Yes / No *BMJ*. 2009;338:268-9.

Verkerk MA, Busschbach JJV, Karssing ED. Health-related quality of life research and the capability approach of Amartya Sen. *Quality of life Research* 2001;10:49-55

Williams, A. The 'fair innings argument' deserves a fairer hearing! Comments by Alan Williams on Nord and Johannesson. *Health Econ* 2001;10:583-585.

BIJLAGE

Lijst met afkortingen

ACP	Adviescommissie Pakket
CFH	Commissie Farmaceutische Hulp
CVZ	College voor zorgverzekeringen
FDA	Food and Drug Administration
IQWiG	Institute for Quality and Efficiency in Health Care
NICE	National Institute for Health and Clinical Excellence
PCT	Primary Care Trust
QALY	Quality adjusted life year/ voor kwaliteit van leven gecorrigeerd levensjaar
RvB	Raad van Bestuur
RVZ	Raad voor de Volksgezondheid en Zorg
SMC	Scottish Medicines Consortium
VWS	Volksgezondheid, Welzijn en Sport
WHO	World Health Organisation/ Wereldgezondheidsraad