

**Verslag Bijeenkomst CBG - Patiënt en Consument op donderdag  
23 juni 2022**

Tijdstip 15:00 – 17:00 uur

**1. Opening**

Waarnemend voorzitter, mevrouw Deneer, opent de vergadering en heet de aanwezigen welkom. Er volgt een voorstelronde.

**2. Vaststellen van de agenda**

De agenda wordt ongewijzigd vastgesteld.

**3. Mededelingen**

Collegedag 2022

De jaarlijkse Collegedag wordt dit jaar op 28 september 2022 gehouden in De Fabrique in Maarssen. Passend binnen het thema "medicijnen binnen handbereik" zal er aandacht zijn voor toegang tot medicijnen voor patiënten, innovatie, efficiënt beoordelen, goed gebruik van medicijnen, gender en wat te doen bij tekorten. Vertegenwoordigers van patiëntorganisaties worden bij deze van harte uitgenodigd. Een save the date zal worden nagestuurd.

Regulatory Science Netwerk Nederland

Het Regulatory Science Netwerk Nederland, onder meer bestaande uit het CBG, academici, patiëntvertegenwoordigers en firma's, houdt op 5 september 2022 zijn jaarlijkse bijeenkomst. Speerpunt hierbij dit jaar is hoe patiëntvoorkeuren zo goed mogelijk mee te nemen zijn in het ontwikkelprogramma van een nieuw geneesmiddel. Vanuit de organisatie is gevraagd of er patiëntvertegenwoordigers zijn die op deze dag bij dit onderwerp een inbreng zouden willen hebben. Hier zal nog een mail over gestuurd worden. De inschrijving voor deze bijeenkomst is inmiddels geopend.

Dierproeven

Eerder is gepeild of er behoefte was aan het bespreken van het onderwerp dierproeven in een komende vergadering Patiënt en Consument. Hier bleek onvoldoende draagvlak voor te bestaan. Als alternatief zou een overzicht van enkele ontwikkelingen op dit vlak met interessante links toegestuurd worden. Inmiddels heeft dhr. Bongers contact gehad met een expert van het CBG op dit gebied. Binnenkort zullen links toegestuurd worden met informatie over de ontwikkelingen rondom proefdieronderzoek in Europa/wereldwijd, in begrijpelijke taal beschreven.

**4. Verslag bijeenkomst d.d. 24 maart 2022**

*Bijlage - Conceptverslag CBG - Patiënt en Consument 24 maart 2022*

Er is een aantal wijzigingen voorgesteld per mail. Met inachtneming van deze opmerkingen wordt het verslag goedgekeurd.

**5. Patiëntparticipatie in wetenschappelijk onderzoek bij het CBG - een verkennend gesprek met twee promovendi**

In de vorige bijeenkomst is het wetenschapsbeleid van het CBG van 2020 tot 2024 gepresenteerd. Hierbij zijn de acht thema's aan bod gekomen waarop de komende jaren gefocust gaat worden bij het onderzoek dat wordt gedaan. Patiëntparticipatie is hierin geen apart thema, maar dient juist in alle onderzoeken die van start zullen gaan een plek

te krijgen. Per onderzoek wordt de meerwaarde en manier van participatie bepaald. Dit is mede afhankelijk van het type onderzoek. Naar aanleiding van eerdere suggesties hierover nog eens samen te brainstormen, worden nu twee startende promotietrajecten besproken. Het doel is informatie op te halen over hoe en waar patiënten(organisaties) een meerwaarde zouden kunnen hebben bij onderzoek, zelfs bij onderzoek waar niet direct een rol voor patiënten weggelegd lijkt te zijn.

Loes den Otter geeft een presentatie over haar promotietraject, gericht op refractaire epilepsie. Het overkoepelende doel van het onderzoek is te kijken of het mogelijk is om de effectiviteits- en veiligheidsgegevens die verkregen zijn uit specifieke epilepsiestudies, met name bij therapieresistente epilepsie, te generaliseren naar andere epilepsiesettingen/ patiëntpopulaties. De opgestelde onderzoeksvragen van het traject worden besproken. Aangezien de beantwoording van de vragen vooral berust op statistische analyses met betrekking tot data uit klinische studies is het de vraag hoe en waar de patiënt kan aansluiten bij een dergelijk onderzoek, waarvan de vragen meer regulatorisch van aard zijn. Enkele vragen die hierbij spelen zijn:

- Welk klinisch eindpunt is voor de patiënt het meest relevant?
- Wat vindt de patiënt belangrijk aan de veiligheid van een medicijn voor epilepsie?
- Wat is de motivatie voor een patiënt om te stoppen/niet door te gaan met een bepaald medicijn?

De volgende aandachtspunten komen in de daaropvolgende discussie naar voren:

- In het algemeen wordt aangegeven dat patiëntparticipatie in diverse fases van onderzoek van belang is, maar dat het relevant is hier zo snel mogelijk mee te beginnen. Er moet niet onderschat worden hoeveel professionaliteit er aanwezig is bij de patiëntorganisaties. Het zijn veelal mensen met een jarenlange ervaring. "Artsen weten hoe het werkt, maar patiënten weten hoe het voelt."
- In het kader van dit specifieke promotietraject wordt aangeraden contact op te nemen met de Epilepsievereniging. Hieraan is een wetenschapper verbonden, Laura M'Rabet, die mogelijk benaderd kan worden.
- Niet alleen bij onderzoek, maar ook bij richtlijnontwikkeling is het van belang patiënten te betrekken. Hierop wordt aangegeven dat inmiddels is overgestapt op modulaire richtlijnvoorziening, waarin patiëntorganisaties zeker een plek hebben. Ze worden hier reeds voor benaderd.
- Het komt nogal eens voor dat in studies statistische significantie verward wordt met klinische relevantie (voor de patiënt). De oproep wordt derhalve gedaan om klinische relevantie en minimal important difference altijd mee te nemen bij dit soort onderzoek. Dit wordt beaamd door mevrouw Den Otter: een statistisch significant verschil hoeft zeker niet klinisch relevant te zijn.
- Bij epilepsieonderzoek is het eindpunt "hoeveelheid aanvallen" vrij hard. Gevraagd naar "zachtere" eindpunten die ook relevant kunnen zijn voor de patiënt, worden vooral de ervaren bijwerkingen van een medicijn en de kwaliteit van leven genoemd.
- Als betrokken patiënt is het een kunst om de ervaringen van een groep te representeren en ziekte-overstijgend te denken. Er zijn patiëntorganisaties die hun kandidaten daar middels gesprekken op selecteren. Er worden daarnaast cursussen op dit vlak aangeboden door PGOsupport.
- Er bestaat al een soort participatieladder met betrekking tot patiëntparticipatie. In het ideale geval zit de patiënt als één van de disciplines in een multidisciplinair team aan tafel: clinicus - statisticus - methodoloog - patiënt.

Tineke van den Hoorn is copromotor van een meer technisch promotietraject, gericht op de werkzaamheid en veiligheid van genmodificatie. Het doel is kennis te genereren op het gebied van therapeutische genmodificatie. Momenteel wordt dat vooral ontwikkeld voor bij oncologische of monogenetische aandoeningen. Het gaat om het identificeren van factoren die de effectiviteit en veiligheid van geneesmiddelen waarbij genetische modificatie optreedt, zouden kunnen beïnvloeden en om het kunnen inschatten van een eventueel veiligheidsrisico dat te maken heeft met transformatie naar een tumorigene cel. Dit naast

het verzamelen van informatie over de relatie tussen genetische modificatie en tumorontwikkelingen. Deze gegevens en kennis helpen CBG-beoordelaars bij het beter inschatten van risico's en het beter kunnen afwegen van de risico's tegen de voordelen. In een presentatie wordt het promotietraject op technisch vlak verder toegelicht. Met betrekking tot patiëntparticipatie in deze specifieke, vrij technische studie zijn de volgende vragen gerezen:

- Welke patiëntorganisatie zou kunnen meedenken?
- Is de technische aard van dit project passend voor participatie van patiënten?
- Is een (half)jaarlijkse update van dit project gewenst (geïnformeerd worden)?
- Kunnen patiëntorganisaties meedenken met de waardering van de risico's ten opzichte van de voordelen?

De volgende feedback wordt in dit kader opgehaald:

- Over het algemeen wordt ervaren dat het lastiger is om patiëntvertegenwoordigers te vinden die betrokken willen zijn bij vrij technisch onderzoek. Het valt daarnaast op dat het voor onderzoekers lastig kan zijn om de studie in voor patiënten begrijpelijke taal toe te lichten, terwijl dat van groot belang is om patiënten te laten aanhaken.
- Ook in het kader van meer technisch onderzoek is men van mening dat wanneer in het begin al meegedacht kan worden over onder meer relevante eindpunten, de meerwaarde van patiëntparticipatie uiteindelijk het grootst is.
- Bij een recent gestart groot project omtrent CAR-T-behandeling is bij de aanvraag bedongen dat er een patiënt advisory board wordt ingesteld. Zo wordt de patiëntengroep direct vanaf de start meegenomen in de gehele ontwikkeling. De hierbij opgedane informatie kan vervolgens weer met de achterban worden gedeeld.
- Juist bij het afzetten van risico's tegen voordelen kunnen patiënten een grote rol spelen, bijvoorbeeld middels focusgroepgesprekken. De afweging met betrekking tot te accepteren veiligheidsrisico's is echter wel persoonlijk en ziekte-afhankelijk.
- In het kader van dit specifieke onderwerp wordt gedacht aan het Patiëntplatform Genen Celtherapie, dat door de NFK, Hematon, de VSOP, Spierziekten Nederland en de Patiëntfederatie is opgezet om meer duidelijkheid te scheppen ten aanzien van deze vernieuwende technologieën. Patiëntorganisaties willen meer betrokken worden bij deze ingewikkelde materie. Hier wil het platform een rol in spelen.
- <https://imi-paradigm.eu/en> <https://participatiekompas.nl/kickstart-voor-onderzoekers> worden als waardevolle sites benoemd.

Tot slot wordt gevraagd hoe nog startende promotietrajecten het beste bij de patiëntorganisaties onder de aandacht kunnen worden gebracht. De vraag is of dat in een vergadering Patiënt en Consument zou kunnen gebeuren of dat er een groep patiëntvertegenwoordigers is die zich hier buiten de vergadering om actiever mee bezig zou willen houden. Er wordt nog geopperd dit met EUPATI-fellows te bespreken (actiepunt Bongers).

## **6. Geneesmiddelttekorten - hoe kunnen we de samenwerking tussen CBG en patiëntverenigingen bij tekorten versterken?**

In een vorige vergadering is besproken dat het goed zou zijn het onderwerp geneesmiddelttekorten opnieuw in een vergadering Patiënt en Consument te bespreken. Kim Noteboom geeft om die reden nu een presentatie over de laatste ontwikkelingen rondom dit onderwerp.

Sinds 2017 kent Nederland het meldpunt Geneesmiddelttekorten, dat het CBG coördineert samen met IGJ. Firma's moeten hier melding maken van verwachte leveringsproblemen van geneesmiddelen. Het meldpunt analyseert dit en probeert z.s.m. tot een oplossing te komen. Er staat inmiddels een mooie infrastructuur (KNMP, groothandelaren, specialisten). Een andere relevante ontwikkeling is het aanleggen van een veiligheidsvoorraad. In de Geneesmiddelenwet staat dat fabrikanten voldoende voorraad moeten aanhouden, maar "voldoende voorraad" is een ruim begrip. Dit zal

gekwantificeerd gaan worden. Hiermee kunnen in Nederland in het vervolg kortdurende tekorten (één tot enkele maanden) worden opgevangen.

Op Europees gebied wordt de basiswetgeving voor geneesmiddelen aangepast. Daar komt ook het onderwerp geneesmiddelentekorten aan bod, inclusief veiligheidsvoorraad. Er is daarnaast sprake van een uitbreiding van het mandaat van de EMA met een rol bij major events en public health emergencies. Zoals geleerd is gedurende de COVID-pandemie is het van groot belang vraag en aanbod op elkaar af te stemmen. Omdat dit een intensief en tijdrovend proces is, zal dit niet voor alle geneesmiddelen gebeuren, maar wel voor die medicijnen die een rol spelen bij een ingrijpende gebeurtenis of een crisis die de volksgezondheid raakt. De MSSG (Medication Shortages Steering Group) en Medicines SPOC WP zijn betrokken bij het opstellen van een lijst met deze kritische geneesmiddelen. Ook wordt informatie uitgewisseld over tekorten met andere lidstaten en worden gecoördineerde acties uitgezet als tekorten in meerdere lidstaten spelen. Het CBG is daarnaast vertegenwoordigd in de Joint Taskforce on Availability of Authorised Medicines, een Europese werkgroep waarin met betrekking tot tekorten richtlijnen en werkafspraken worden gemaakt. Volgende week wordt een richtsnoer uitgebracht, ook voor patiënten(organisaties), waarin wordt bekeken hoe tekorten kunnen worden voorkomen en hoe hier het beste mee kan worden omgegaan. Samenwerking met patiëntorganisaties op EU-niveau staat nog in de kinderschoenen.

Mevrouw Besselink geeft aan dat een patiënt vaak pas bij de apotheek te horen krijgt dat een medicijn niet leverbaar is. Er moet dan terugkoppeling komen naar de voorschrijver en er moet een vervangend middel worden gezocht. Dit is onwenselijk. Bovendien gaat dit vervangende middel af van het eigen risico van de patiënt, ook als het leidt tot hinderlijke bijwerkingen of een verminderde werkzaamheid, waardoor wederom naar een alternatief moet worden gezocht. Dit leidt tot veel onvrede bij patiënten.

Op de website [Farmanco.knmp.nl](http://Farmanco.knmp.nl) kunnen fabrikanten een tekort melden. Dit is niet toegankelijk voor patiënten zelf.

De stakeholders in geval van geneesmiddelentekorten zijn divers (de KNMP/de apotheek, het CBG, de farmaceut en de voorschrijvend arts/medisch specialist). De vraag is waar patiëntorganisaties kunnen aanhaken om de positie van de patiënt te versterken. Welke behoefte is er vanuit de patiëntorganisaties op het gebied van geneesmiddelentekorten?

In de hierop volgende discussie komen de volgende aandachtspunten naar voren:

- Zelden wordt aangegeven wat de oorzaak van de leveringsproblemen is. Er ligt bij de patiëntorganisaties wel een behoefte dit te weten, mede om een inschatting te kunnen maken van de ernst (gaat het om een tekort aan verpakkingsmateriaal of zit er een potentieel gevaarlijke stof in het medicament?) en de duur van het tekort.
- Hierop wordt gemeld dat de rol van onder meer het CBG en IGJ is alleen in te grijpen bij tekorten waarbij wisselen een probleem gaat zijn of ingrijpen vanuit de overheid nodig is. Hierbij wordt wel altijd geprobeerd een oorzaak van het tekort aan te geven. Er zijn daarnaast veel tekorten die opgevangen kunnen worden door een geneesmiddel van een andere firma mee te geven. Hier communiceert het CBG niet over.
- Er is een behoefte aan onafhankelijke informatie over alternatieven.
- Wat vooral tot onvrede leidt is het feit dat men pas bij de apotheek erachter komt dat er tekorten spelen. Dit zou idealiter al moeten oppoppen op het moment dat de arts het medicament voorschrijft. De arts weet echter niet precies welk medicament de patiënt bij de apotheek krijgt. Hij schrijft op ATC-code voor. Switches binnen de ATC-code krijgt hij niet te zien. Wanneer tekorten in de spreekkamer al duidelijk zijn, kan beter worden nagedacht over alternatieven. Er wordt nog gesproken over het FTTO, het reguliere overleg tussen apothekers en artsen in een bepaalde regio, maar zo'n overleg vindt te weinig frequent plaats om in de informatie-uitwisseling omtrent tekorten een rol te kunnen spelen. Het gebeurt een enkele keer, maar niet structureel.
- Vanuit de Patiëntenfederatie wordt aangegeven dat de lijst met betrekking tot geneesmiddelentekorten op Farmanco groot is, maar dat bij de meeste medicamenten veel alternatieven geboden worden. Het ene tekort is het andere niet. Daar moet rekening mee worden gehouden in de communicatie. Soms wordt een tekort breed uitgemeten

in de pers, terwijl er weinig reden voor onrust is. Er is echter zeker ook een groep patiënten die wel last heeft van tekorten, bijvoorbeeld de groep die een minder geschikt vervangend middel geleverd krijgt, leidend tot bijwerkingen en extra kosten, of de groep voor wie tijdelijk geen alternatief voorhanden is. Voor deze groep zouden de zaken beter georganiseerd moeten worden.

- Er wordt geopperd een website of telefoonnummer in het leven te roepen waar ervaringen kunnen worden gedeeld en waar mensen met vragen over medicijntekorten terecht kunnen.
- Gevraagd wordt of er enkele vertegenwoordigers zijn die in een aparte groep verder zou willen brainstormen over mogelijkheden om patiëntverenigingen, het CBG, mogelijk ook IGJ of de KNMP hierin samen te laten optrekken. Hierbij wordt echter in het kader van verwachtingsmanagement direct aangegeven dat de rol van het CBG hierin klein is. Het CBG heeft een wettelijke rol om voorziene tekorten te administreren. Geprobeerd wordt zoveel mogelijk andere partijen hierbij te betrekken, maar het CBG is geen landelijk coördinatiepunt met betrekking tot de communicatie rondom tekorten. Dit dient in ogenschouw te worden genomen.
- Momenteel wordt door onder meer de leden van de werkgroep Geneesmiddelentekorten een routekaart geüpdatet, waarbij er ook aandacht zal zijn voor de communicatie. Binnenkort vindt de eerste vergadering plaats. Eventuele input van de patiëntvertegenwoordigers zou daar nog in meegenomen kunnen worden.

#### **7. Kennismaking met Paula Loekemeijer, directeur van het CBG**

Nadat een kennismaking eerder enkele malen is uitgesteld, stelt Paula Loekemeijer zich in deze vergadering voor als directeur van het aCBG en secretaris van het College sinds 1 mei 2021. Binnen het agentschap zijn momenteel allerlei organisatorische ontwikkelingen gaande, gericht op met name de (financiële) degelijkheid van de organisatie. Daarnaast heeft de COVID-pandemie geleid tot een fors werkdruk, waarbij er met man en macht is gewerkt aan het op korte termijn beoordelen van geneesmiddelen en COVID-vaccins. De aandacht die het (a)CBG aan de inbreng van patiënten wilde besteden, zowel wat betreft de kwaliteit van besluitvorming, maar ook ter verduidelijking van het werk van het (a)CBG, is minder geweest dan eerder beoogd, maar dit zal weer meer op de voorgrond komen te staan de komende periode.

#### **8. Rondvraag**

De volgende vergadering vindt plaats op 3 november 2022.

#### **9. Sluiting**

De waarnemend voorzitter bedankt de aanwezigen en sluit de bijeenkomst.