

Besluitvorming bij vergoedingen van geneesmiddelen in Nederland en de Verenigde Staten

Anke Naaborgh

287671

Beleid & Management Gezondheidszorg

Erasmus Universiteit Rotterdam

27 juni 2007

Bachelorscriptie 2006/2007

Begeleider: Elly Stolk

Meelezer: Joshua Cohen

Voorwoord

In het jaar dat ik mijn bachelor Beleid en Management Gezondheidszorg afsluit, heb ik mijn scriptie geschreven over de besluitvorming bij vergoedingen van geneesmiddelen in Nederland en de Verenigde Staten. Ik vond het een hele uitdaging om een jaar lang met dit onderwerp bezig te zijn en ik heb geleerd hoe je zo'n project het beste kan aanpakken.

Ik wil Lieke Gooskens bedanken voor haar input van het hoofdstuk over Nederland. Ook het samenwerken met haar aan het theoretisch kader, de analyse en discussie heb ik als zeer prettig ervaren. Bij het schrijven van deze scriptie heb ik heel nuttig commentaar en tips ontvangen van Joshua Cohen en Elly Stolk. Ik wil hen hiervoor hartelijk bedanken. Hiernaast wil ik Marten Poley bedanken dat hij bij mijn verdediging aanwezig kan zijn.

Samenvatting

Het doel van dit onderzoek is te ontdekken hoe het besluitvormingsproces voor vergoedingen van geneesmiddelen eruit ziet in Nederland en de Verenigde Staten. In dit onderzoek wordt beoordeeld om welke procedures en criteria het gaat en hoe die de vergoeding van geneesmiddelen beïnvloeden. De bedoeling is dat dit onderzoek antwoord geeft op de volgende probleemstelling:

Aan de hand van welke procedures en criteria besluiten Nederland en de Verenigde Staten of de uitgaven voor bepaalde geneesmiddelen wel of niet worden vergoed door de verzekering?

In dit onderzoek wordt gebruik gemaakt van het Hutton model (Hutton 2006). Dit model is een kader om besluitvormingssystemen, die HTA ("Health Technology Assessment" is evaluatie van medische technologie) gebruiken om vergoedingsbeslissingen te nemen, te beschrijven en te classificeren. Zowel Nederland als de Verenigde Staten zijn beschreven aan de hand van de volgende begrippen van Hutton: beleid, beoordeling, besluit en output & implementatie.

In Nederland is CVZ de kernactor, maar blijft de minister van VWS eindverantwoordelijk. De beoordelingscriteria zijn therapeutische waarde en doelmatigheid en deze criteria zijn uitgewerkt in richtlijnen. CVZ voert de beoordeling uit en de beoordelingsresultaten worden vastgelegd in rapporten. De minister van VWS neemt het uiteindelijke besluit, dit besluitvormingsproces is impliciet. Als iemand het niet eens is met een besluit is er geen bezwaarmoment. Het is wel mogelijk om een rechtszaak aan te spannen. Bij vergoeding wordt het medicijn op een positieve lijst geplaatst.

In de Verenigde Staten is CMS eindverantwoordelijk voor het maken van NCD's. Ze kunnen ondersteuning van MedCAC of AHRQ aanvragen. De hoofddoelstelling van Medicare bij vergoedingen is dat technologieën die in aanmerking komen voor vergoeding 'reasonable and necessary' zijn. Zowel de beoordeling als het besluit gaat via CMS. De beoordelingsresultaten komen op de website van CMS te staan. Het besluitvormingsproces is behalve de tijdslijnen en de uitkomsten niet inzichtelijk. De vergoedingsbesluiten worden bindend als ze worden gepubliceerd in het Federal Register. Iemand kan een bezwaar indienen tegen een besluit via het juridisch systeem en via CMS instanties. Herziening en evaluaties zijn niet structureel geregeld.

De analyse richt zich op het vergelijken van het vergoedingsproces van geneesmiddelen in Nederland en de Verenigde Staten. Geconcludeerd kan worden dat de doelen van het systeem in grote lijnen overeen komen maar dat de organisatie van het vergoedingensysteem in beide landen verschilt. Beide landen willen kwalitatief goede gezondheidszorg tegen redelijke kosten. Het beoordelingsproces is in Nederland transparanter dan in de Verenigde Staten; de beoordelingscriteria in Nederland zijn duidelijk en het proces is uitgewerkt in richtlijnen. In de Verenigde Staten zijn de beoordelingscriteria niet expliciet uitgewerkt. Ook de besluitvormingsprocedure is in Nederland transparanter dan in de Verenigde Staten. In Nederland is bekend wat voor soort criteria een rol spelen bij het nemen van het besluit maar niet hoe zwaar de verschillende criteria wegen. In de Verenigde Staten is alleen het tijdspad bekend. In beide landen is de output en implementatie niet gedetailleerd uitgewerkt. Herziening van vergoedingsbesluiten en evaluaties vinden in beide landen plaats, maar zijn niet structureel geregeld.

Een opvallend verschil tussen het vergoedingsproces in Nederland en de Verenigde Staten is dat het proces in Nederland transparanter is, het is inzichtelijk welke criteria er zijn en hoe men tot een besluit komt. Door het strakke en transparante beoordelingsproces in Nederland wordt het door de bevolking geaccepteerd als VWS minder doelmatige geneesmiddelen niet voor vergoeding in aanmerking laat komen. In de Verenigde Staten speelt de legitimiteit van beslissingen een minder grote rol. Het lijkt ons belangrijk om internationaal onderzoek te doen naar de snelheid van het vergoedingsproces. Elk land wil dat geneesmiddelen zo snel mogelijk beschikbaar zijn voor de patiënten, omdat dit de volksgezondheid bevordert. Als er een internationale vergelijking wordt gedaan naar dit onderwerp worden de verschillende tijdperiodes inzichtelijk en kunnen landen van de verschillende procedures leren.

Een beperking van ons onderzoek is dat niet alle informatie is gevonden die nodig is om het vergoedingsproces te beschrijven aan de hand van model van Hutton. Mogelijk bestaat de informatie niet of is deze zo moeilijk toegankelijk dat het voor belanghebbenden lastig is te vinden. Het is van belang te realiseren dat dit niet alleen een tekortkoming, maar ook een resultaat van het onderzoek is. De mate waarin procedures voor besluitvorming inzichtelijk zijn, zijn voor stakeholders van belang om te kunnen participeren in het besluitvormingsproces. Verder is de transparantie belangrijk om te zien hoe en in welke mate de gelijke toegang tot zorg gewaarborgd wordt.

Abstract

The goal of this research is to discover how the decision process of reimbursement on medicine is structured in the Netherlands and the United States. In the research possible procedures and criteria are portrayed and their influence on the decision process is revealed. The following question is central in this research;

Which procedures and criteria do the Netherlands and the United States make use of to decide which medicine will or will not be reimbursed by the insurance?

In this research the Hutton framework will be used. The Hutton framework is developed for describing and classifying decision-making systems using technology assessment to determine the reimbursement of health technologies. The Netherlands and the United States are depicted using the following stages of this framework: policy implementation level, assessment, decision process, output & implementation.

In the Netherlands the CVZ is the most important player in the reimbursement process, but the Ministry of health bears the responsibility. The assessment criteria are therapeutic value and efficiency, and the assessment method is bound by guidelines. CVZ manages the assessment and the results are described in reports. The ministry of health makes the reimbursement decision, this decision process is implicit. If one does not agree with the decision, there is no further appeal procedure. Nevertheless it is possible to go the court. In case of a positive reimbursement decision, the medicine is placed on a positive list.

In the United States the CMS is responsible for the NCD's. They can ask the MedCAC or the AHRQ for support. The goal of Medicare is that technologies that are considered for reimbursement have to be reasonable and necessary. CMS carries out the assessment and makes the reimbursement decision. The assessment results are communicated through their website. The decision process is not transparent, only the timelines and the results are clear. Reimbursement decisions are binding when published in the Federal Register. One can appeal through the juridical system or the CMS organisation. Reappraisal of decisions is possible, there is no structural review.

The goal of this analysis is to compare the reimbursement processes. The goals of the health systems in both countries are health care of high quality and acceptable costs. The establishment of the reimbursement processes is different. The assessment process in the Netherlands is more transparent than in the United States. In the Netherlands the method of

assessment and the way in which evidence is used is bound by fixed guidelines. In the United States the assessment criteria are not explicit. The decision process is also more transparent in the Netherlands than in the United States. In the Netherlands one knows which kind of criteria are important in the decision process, but one does not know how important these are. In the United States we only know the timelines. In both countries the output and implementation isn't fixed through guidelines. Reappraisal and evaluation of reimbursement decisions happen in both countries, but are not structurally regulated.

A striking difference in the comparison of the reimbursement process of the Netherlands and the United States is that the process in the Netherlands is more transparent, it is clear which criteria there are and how a decision is made. By the strict and transparent assessment process in the Netherlands, the population accepts decisions on medicine reimbursed made by the ministry of health. In the United States the legitimacy of decisions is less important. We think it is important to do international research on the speediness of the reimbursement processes. Every country strives to make sure medicine is available as fast as possible for the patients as this promotes the public health. If an international research would be carried out on this subject, countries could learn from each other.

A restriction of the research is that not all the information was available to complete the Hutton framework. There is a possibility that this information doesn't exist or the access to the information is restricted from stakeholders. It is important to realise that this is not only a constraint but also a result of the research. The transparency of the decision processes is important for stakeholders to participate. Transparency is also important to see how the access to care is guaranteed.

Inhoudsopgave

Inleiding.....	8
Theoretisch kader.....	11
1. Nederland.....	15
1.1 De kenmerken van het zorgstelsel.....	15
1.2 Het beleidsniveau.....	16
1.3 De beoordeling.....	17
1.4 De besluitvorming.....	19
1.5 Output en implementatie.....	21
2. Verenigde Staten.....	23
2.1 Zorgstelsel.....	23
2.1.1 Kenmerken zorgstel.....	23
2.1.2 Zorgverzekeringen.....	24
2.1.3 Nationale besluitvorming over vergoedingen.....	25
2.2 Rol van HTA bij vergoedingsbesluiten.....	26
2.2.1 Het beleidsniveau.....	26
2.2.2 De beoordeling.....	27
2.2.3 De besluitvorming.....	28
2.2.4 Output en implementatie.....	29
Analyse.....	31
Discussie.....	35
Literatuurlijst.....	38
Bijlagen.....	44

Inleiding

Het doel van dit onderzoek is te ontdekken hoe het besluitvormingsproces voor vergoedingen van geneesmiddelen eruit ziet in Nederland en de Verenigde Staten. In dit onderzoek wordt beoordeeld om welke procedures en criteria het gaat en hoe die de vergoeding van geneesmiddelen beïnvloeden. De bedoeling is dat dit onderzoek antwoord geeft op de volgende probleemstelling:

Aan de hand van welke procedures en criteria besluiten Nederland en de Verenigde Staten of de uitgaven voor bepaalde geneesmiddelen wel of niet worden vergoed door de verzekering?

Daarbij zijn de volgende onderzoeksvragen van belang:

- Hoe ziet het Nederlandse gezondheidszorgsysteem eruit?
- Hoe ziet het Nederlandse besluitvormingsproces van vergoeding van geneesmiddelen eruit?
- Hoe ziet het gezondheidszorgsysteem er in de Verenigde Staten uit?
- Hoe ziet het besluitvormingsproces van vergoeding van geneesmiddelen eruit in de Verenigde Staten?

De gezondheidszorg is een sector die door de meeste mensen hoog wordt gewaardeerd. Iedereen wil goede zorg. Patiënten denken bij goede zorg vaak aan kwalitatief goede zorg, maar zorg moet ook betaalbaar blijven. In veel landen stijgen de zorgkosten enorm. 'De Organisatie voor Economische Samenwerking en Ontwikkeling (OESO) is een internationale organisatie die zich, vanuit een wetenschappelijke invalshoek, bezighoudt met onderwerpen die voor de economische en sociale ontwikkeling van landen van belang zijn' (Regering Nederland 2006). De OESO vergelijkt voor 30 landen de gezondheidszorgstelsels en de gezondheid van de bevolking. Deze organisatie vraagt aandacht voor de stijgende kosten in de gezondheidszorg, omdat deze de publieke uitgaven onder druk zetten (VWS 2006). 'Er valt niet langer te ontkomen aan het stellen van duidelijke grenzen ten aanzien van welke zorg wel en welke zorg niet uit gemeenschapsgelden betaald moet worden' (RVZ 2006).

De zorgkosten stijgen door vergrijzing, toenemende mondigheid van de burgers en door vooruitgang van de medische wetenschap en technologie (VWS 2001). In Nederland is op deze ontwikkelingen ingesprongen door in 2006 de Zorgverzekeringswet (Zvw) in te voeren. In westerse landen is bovendien de afgelopen decennia sprake van grote welvaartsgroei. Dit heeft bijgedragen aan toenemende individualisering in samenlevingen. Burgers willen meer

vrijheid en ruimte voor hun eigen keuzes. Ook in de gezondheidszorg is er vraag naar meer keuzevrijheid. 'De toegenomen welvaart heeft als gevolg dat beperkingen in de zorg niet langer [als vanzelfsprekend] worden geaccepteerd' (VWS 2001). Burgers stellen daarom hogere eisen aan de zorgaanbieders, zorginstellingen en verzekeraars. De mondigheid van patiënten neemt verder toe en daardoor ook de vraag naar transparantie. Burgers willen duidelijkheid, zodat keuzes, voor bijvoorbeeld bepaalde medicijnen of verzekeraar, weloverwogen gemaakt kunnen worden. Ook de zaken die door de overheid worden geregeld, moeten transparanter worden. Zo moet duidelijk zijn waar de overheid verantwoordelijk voor is en hoe burgers inspraak kunnen hebben en mogelijk in beroep kunnen gaan (Cohen 2007a, persoonlijke communicatie). Als transparantie wordt gerealiseerd, zijn de keuzes van de overheid op landelijk gebied ook beter te volgen.

Voor het overgrote deel wordt de omvang van de uitgaven voor gezondheidszorg bepaald door collectieve beslissingen omtrent verzekeringsdekking (Lapré et al. 2001). Het wel of niet vergoeden van zorg heeft gevolgen voor het zorggebruik, de snelheid waarmee nieuwe interventies worden aangenomen, de kwaliteit van zorg en uiteindelijk de zorguitkomsten (Miller 2006:4). Daarom is het belangrijk de (gevolgen van) procedures en criteria op het gebied van verzekeringsdekking in de gezondheidszorg met elkaar te vergelijken. Bestuurders en beleidsmakers kunnen op deze manier van elkaar leren hoe de stijgende kosten in de gezondheidszorg beperkt kunnen worden.

In Nederland is het doel van het geneesmiddelenbeleid het bevorderen van veilige en betaalbare farmaceutische hulp voor iedereen. De kernpunten van dit beleid zijn kwaliteit, toegankelijkheid en beheersen van de kosten. Geneesmiddelen moeten eerst beoordeeld worden om op de markt te mogen komen en ten tweede om in aanmerking te komen voor vergoeding in het kader van sociale ziektekostenverzekering (CVZ 2000). Dit onderzoek draait om de tweede beoordelingsprocedure. De uitgaven op het gebied van geneesmiddelen stijgen door meer gebruik (o.a. door vergrijzing) en door de prijs van geneesmiddelen (Bos et al. 2004). Geneesmiddelen kunnen effectief zijn, maar de meeste zijn niet kostenbesparend. Door de stijgende kosten is het van belang om te onderzoeken hoe de besluitvorming rondom vergoeding plaatsvindt en hoe het mogelijk verbeterd kan worden (Cohen 2007a, persoonlijke communicatie).

Dit onderzoek richt zich op een vergelijking van het besluitvormingsproces voor vergoedingen van geneesmiddelen. Er wordt een vergelijking gemaakt tussen Nederland en de Verenigde Staten. Bij dit vergelijkingsonderzoek ligt de nadruk niet op de procedures en criteria in één land, maar wordt er vanuit verschillende perspectieven (landen) naar de

besluitvorming gekeken. Ik heb voor Nederland gekozen, omdat ik graag wil weten hoe de besluitvorming rondom de vergoeding van geneesmiddelen verloopt in mijn eigen land. Vanuit maatschappelijk perspectief is het interessant om te kijken naar Nederland, omdat er hervormingen plaats vinden in het zorgstelsel. Er is een toename van marktwerking op de zorgverzekeringsmarkt waar te nemen. De Verenigde Staten heeft hier al ruime ervaringen mee. Daarnaast heb ik voor de Verenigde Staten gekozen, omdat dit een groot en machtig land is. De Verenigde Staten heeft een grote invloed op de geneesmiddelenmarkt, want meer dan de helft van de farmaceutische industrie wordt door dit land vertegenwoordigd (Cohen & Stolk 2007, persoonlijke communicatie). Ik ben benieuwd hoe ze daar besluitvorming rond geneesmiddelen regelen. Hiernaast heb ik de mogelijkheid voor een Amerikaanse meezezer/begeleider. Hierdoor zal ik op een efficiënte manier aan belangrijke informatie kunnen komen. Dit is van belang, omdat dit een vrij groot onderzoek is voor een bachelorscriptie.

De inwoners van de Verenigde Staten willen zo min mogelijk bemoeienis van de overheid, daarom hebben ze weinig centraal geregeld. Dit is ook het geval voor de gezondheidszorg (Cohen 2006, persoonlijke communicatie). Voor de Verenigde Staten betrek ik Medicare in mijn onderzoek. Medicare is een zorgverzekering programma dat wordt beheerd door de overheid van de Verenigde Staten. Mensen die voor vergoeding in aanmerking komen moeten 65 jaar of ouder zijn of arbeidsongeschikt zijn. Er zijn twee verschillende beleidsniveaus voor vergoeding bij Medicare. Er bestaat een lokaal en een nationaal niveau; ik zal mij op het laatst genoemde richten. De nationale besluitvorming over vergoedingen wordt ook wel NCD genoemd. NCD staat voor “national coverage determinations” (CMS 2006). Door het onderzoek te richten op de NCD en op de Nederlandse regels is een gelijkwaardige vergelijking mogelijk over criteria en procedures in Nederland en de Verenigde Staten.

Om de procedures en criteria te beschrijven die een rol spelen bij de besluitvorming over de vergoeding van geneesmiddelen wordt het model van Hutton toegepast. Eerst wordt in het theoretisch kader het model van Hutton uitgelegd. Hierna volgen twee hoofdstukken waar de procedures en criteria van het vergoedingsproces over geneesmiddelen in Nederland en de Verenigde Staten afzonderlijk worden beschreven. Het model van Hutton ga ik vervolgens empirisch gebruiken om in de analyse het besluitvormingsproces van geneesmiddelen in deze landen met elkaar te vergelijken. Aan het eind volgt de discussie.

Theoretisch kader

Dit onderzoek draait om de vergelijking van besluitvorming bij vergoeding van geneesmiddelen in Nederland en de Verenigde Staten. Eerst zal het conceptueel model naar voren komen. Ik heb gekozen om het model van Hutton te gebruiken, omdat het in mijn ogen het enige model is dat zo uitgebreid alle aspecten van het besluitvormingsproces meeneemt. Hiernaast is het zo als andere onderzoekers dit model ook gebruiken vergelijkingen makkelijker te controleren en te reproduceren zijn. Mijn bijdrage is dat ik besluitvorming rond vergoeding van geneesmiddelen ga toetsen aan de hand van het model van Hutton.

Conceptueel model

In dit onderzoek wordt gebruik gemaakt van het Hutton model (Hutton 2006). Dit model is een kader om besluitvormingssystemen, die HTA ("Health Technology Assessment" is evaluatie van medische technologie) gebruiken om vergoedingsbeslissingen te nemen, beschrijven en classificeren. Aan de hand van het Hutton model worden criteria en procedures voor de vergoeding van geneesmiddelen in de Verenigde Staten en Nederland onderzocht.

Het Hutton model is gebaseerd op een kader met twee niveaus: het beleidsimplementatie niveau en het (individuele) technologie besluit niveau. Het eerst genoemde niveau gaat over het vaststellen van "fourth hurdle" systemen als een beleidsinstrument van de overheid, de beleidsdoelstellingen van het systeem, de wettelijke status, de relatie met de rest van het gezondheidssysteem, met andere publieke sectoren en andere "stakeholders", zoals industrie en patiëntengroepen.

Fourth hurdle systeem is een naam die gebruikt wordt voor de evaluatieprocedure die landen gebruiken wanneer zij besluiten over vergoeding van een medisch product. Een geneesmiddel mag op de markt als het bewezen veilig en effectief is. Daarmee wordt het nog niet automatisch vergoed. Het 'fourth hurdle' systeem treedt in werking wanneer additionele evaluaties (e.g. over kosten-effectiviteit) uitgevoerd worden om dergelijke beslissingen te onderbouwen (Stolk 2006, persoonlijke communicatie).

Het (individuele) technologie besluit niveau richt zich op het proces waarbij individuele technologie wordt aangepakt door het systeem, zoals evaluatie processen, hoe besluiten worden gemaakt en hoe ze worden geïmplementeerd (Hutton 2006).

Onder het beleidsimplementatie niveau valt de organisatie en het bestuur van het vergoedingssysteem als onderdeel van het gezondheidszorgsysteem. Er zijn vier zeer belangrijke factoren die de positie van het vergoedingssysteem binnen het gehele gezondheidszorgsysteem weergeven:

- *De organisatie.* Vaak zijn er speciale instituties en commissies die delen van het gezondheidszorgsysteem moeten regelen. Hoe wordt het systeem bestuurd? Hoe wordt het systeem betaald en gebudgetteerd? Hoe is het systeem georganiseerd?
- *De doelen.* Het vergoedingssysteem is een deel van het bredere besluitvormingssysteem in de gezondheidszorg. Daarom zal het vergoedingssysteem algemene beleidsuitgangspunten reflecteren. Onder dit element vallen de doelen van het gezondheidssysteem zoals kostenbeheersing en gezondheidsverbetering en bredere politieke doelen zoals sociale gelijkheid en industriële ontwikkeling.
- *Implementatie.* Wie implementeert de beslissingen? Vaak valt de implementatie binnen de controle van het ministerie van gezondheid of verzekeringsmaatschappij. Implementeren zij het zelf, of geven zij opdrachten aan andere gezondheidszorgorganisaties?
- *Accountability.* Zijn er eisen dat een afgevaardigde van belangengroepen in de organisatie moeten? Zijn er verschillende niveaus waarop beslissingen over vergoedingen worden gemaakt?

In een matrix ziet dit er als volgt uit:

Figuur 1: Elementen van een fourth hurdle systeem: beleidsimplementatie niveau (Hutton 2006)

Organisatie	Doelen	Implementatie	Accountability
Relatie tot het Ministerie van Gezondheidszorg; Aantal betrokken Zorgorganisaties.	Bredere politieke doelen vb. sociaal, industrieel; doelen van zorgsystemen, Vb. kosten beheersing,	direct door het ministerie van gezondheidszorg; afhankelijk van andere organisaties in de zorg.	leidinggevend; politiek; wettelijk, vb. verplichtingen tot overleg.

Als het beleidsimplementatie niveau is geanalyseerd, is het mogelijk om het proces dat wordt gebruikt bij de beoordeling van individuele technologieën te analyseren. Hierbij worden drie fases onderscheiden:

- de beoordeling van het bewijs;
- het besluitvormingsproces;
- de resultaten en de implementatie;

Systemen verschillen in de instituties die verantwoordelijk zijn voor verschillende fases en in de gedetailleerde invulling en transparantie van het proces. Om de verschillen tussen de systemen te verduidelijken voor Nederland en de Verenigde Staten kunnen de karakteristieken van elk systeem en de instituties die verantwoordelijk zijn voor de uitvoering van elke fase worden geïdentificeerd. Naast de drie fases in het beleidsimplementatie niveau onderscheidt Hutton de volgende vier kenmerken:

- grondwet en bestuur;
- methoden en processen;
- gebruik van bewijs;
- transparantie en verantwoordelijkheid.

Met de drie fases en de vier onderliggende kenmerken kan een matrix worden gevormd waarmee men de beschikbare informatie kan codificeren voor Nederland en de Verenigde Staten. Deze matrix van het technologisch niveau ziet er als volgt uit:

Figuur 2: Elementen van een Fourth Hurdle systeem: technologisch niveau (Hutton 2006)

	Beoordeling (1)	Besluitvorming (2)	Output en implementatie (3)
1. grondwet en bestuur	consultatie en invloed van stakeholders	wie maakt de beslissing?	Aantrekken en afwijken
2. methoden en processen	methodologie	besluitvormingsproces	implementatie en communicatie
3. gebruik van bewijs	wetenschappelijk bewijs voor beoordeling	wetenschappelijk en toegevoegde invloeden bij besluiten	monitoren en herwaardering
4. transparantie en verantwoordelijkheid	presentatie en communicatie van de beoordelings resultaten	inhoud en documentatie van de beslissing	bewijs van impact op het besluit

De informatie die nodig is om elke cel in te vullen, is geïdentificeerd en geformuleerd als een set vragen. Ook voor de vier kenmerken van het beleid implementatie niveau zijn sets van vragen geformuleerd. De vragen staan in bijlage 2. Aan de hand van deze vragen zal ik de criteria en procedures onderzoeken die Nederland en de Verenigde Staten gebruiken voor het bepalen van de vergoeding van geneesmiddelen. Dit houdt in dat beide matrices worden ingevuld voor zowel Nederland als de Verenigde Staten.

Niet alle informatie is beschikbaar om de matrix compleet in te vullen. In het artikel van Hutton (2006) zijn veel besluitvormingsprocedures van landen onderzocht. Hierbij is gekeken hoeveel informatie beschikbaar was en dit is uitgedrukt in percentages. Gemiddeld genomen was de helft van de noodzakelijke informatie beschikbaar. Het is mogelijk dat er wel veel informatie aanwezig is, maar dat het systeem zo ontransparant is, dat ik niet alles kan vinden. Het is ook mogelijk dat het model van Hutton minder toepasbaar is dan verwacht door grenzen aan het model zelf.

1. Nederland

Dit hoofdstuk is geschreven door Lieke Gooskens.

In dit hoofdstuk zal het model van Hutton worden toegepast om de procedure voor vergoeding van geneesmiddelen in Nederland te beschrijven. Eerst zullen de kenmerken van het zorgstelsel worden besproken, zodat de context waarin de HTA wordt toegepast helder is. Vervolgens zullen het beleidsniveau, de beoordeling, de besluitvorming en de output&implementatie worden beschreven.

1.1 De kenmerken van het zorgstelsel

één van de kenmerken van de Nederlandse gezondheidszorg is de afhankelijkheid tussen de overheid, de verzekeraars en de zorgaanbieders. De overheid heeft de wettelijke verantwoordelijkheid voor de toegankelijkheid, de effectiviteit en de kwaliteit van de gezondheidszorg. Voor de realisatie van deze doelen is zij echter afhankelijk van de verzekeraars en de zorgaanbieders. De zorgaanbieders zijn voor hun financiering afhankelijk van de verzekeraars, en de verzekeraars zijn voor de kwaliteit van de zorg afhankelijk van de zorgaanbieders (Stolk, Rutten 2005).

Een ander kenmerk van het zorgstelsel is het verzekeringssysteem. Het huidige verzekeringssysteem bestaat uit drie compartimenten. Het eerste compartiment is voor de langdurige, onverzekerbare zorg zoals chronische ziektes, psychiatrische ziekenhuiszorg, langdurige verpleeghuisopnames en de zorg voor geestelijk en lichamelijk gehandicapten. Dit wordt geregeld in de Algemene Wet Bijzondere Ziektekosten (AWBZ). Ongeveer 40 procent van de Nederlandse uitgaven aan de gezondheidszorg wordt uitgegeven via de AWBZ. Het tweede compartiment is de zorgverzekeringwet. Deze zorgverzekering is verplicht en heeft een wettelijk vastgesteld basispakket. In dit basispakket vallen onder andere de geneesmiddelen. Verder bestaat dit basispakket uit de geneeskundige zorg, ziekenhuisverblijf, tandheelkundige zorg tot 18 jaar, hulpmiddelen, kraamzorg, ziekenhuisvervoer en paramedische zorg. Het derde compartiment bestaat uit de aanvullende verzekering. Deze verzekering is niet verplicht. In deze verzekering kan men zich verzekeren voor alle zorg die niet in de eerste twee compartimenten wordt gedekt. Door de komst van de Zorgverzekeringwet 1 januari 2006 is de inrichting van het tweede compartiment veranderd. Er is gereguleerde marktwerking ingevoerd. Zorgaanbieders en verzekeraars moeten op prijs en kwaliteit concurreren binnen het wettelijk vastgesteld kader van de overheid. Centrale elementen in de hervormingen zijn de transitie van een aanbodgericht naar een vraaggestuurd systeem en het bevorderen van de doelmatigheid (VWS 2007).

De gezondheidszorg in Nederland kost in totaal 44 biljoen euro. Van het BNP wordt 9,2% aan de gezondheidszorg uitgegeven. Ongeveer 63% van de gezondheidszorg wordt gefinancierd uit publieke fondsen (OECD 2006). De financiering van de Nederlandse gezondheidszorg wordt gekenmerkt door de inkomens- en risicosolidariteit. De AWBZ wordt betaald uit inkomensafhankelijke premies. In het tweede compartiment betaalt iedereen vanaf 18 jaar een nominale premie aan de zorgverzekeraar en daarnaast een inkomensafhankelijke bijdrage aan de overheid.

De toelating van geneesmiddelen tot de markt is wettelijk geregeld in de Wet op de Geneesmiddelen (WOG). Het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG) houdt zich bezig met het toelatingsbeleid. Bij de beoordeling van een registratieaanvraag maakt het College een afweging tussen farmaceutische kwaliteit van grondstoffen en eindproduct, werkzaamheid en veiligheid. Het CBG bepaalt vervolgens of voor het geneesmiddel een recept nodig is (receptgeneesmiddel) of dat het vrij verkrijgbaar kan zijn bij apotheek of drogist (zelfzorggeneesmiddel). Eventuele vergoeding kan worden aangevraagd nadat het geneesmiddel tot de markt is toegelaten. De procedure voor de aanvraag van vergoeding zal worden beschreven in dit hoofdstuk. De aanspraak op vergoeding is landelijk geregeld en alleen geneesmiddelen die op de positieve lijst staan worden vergoed (Busch 2004).

1.2 Het beleidsniveau

Indien een fabrikant een geneesmiddel heeft waarvan hij wil dat het voor vergoeding in aanmerking komt, dient hij zijn aanvraag in bij de minister van Volksgezondheid Welzijn en Sport (VWS). Daarbij levert de fabrikant een compleet dossier in met alle gegevens die nodig zijn voor de beoordeling. De eisen aan het dossier worden opgesteld door het College Van Zorgverzekeringen (CVZ). Het CVZ is een zelfstandig bestuursorgaan op het gebied van de sociale ziektekostenverzekeringen. Zij heeft een onafhankelijke positie tussen de beleidsbepalende (politiek en ministers) en de uitvoerende partijen (zorgverzekeraars en zorgaanbieders). De minister van VWS vraagt advies aan het CVZ over de eventuele vergoeding van het geneesmiddel. In het CVZ voert de Commissie Farmaceutische Hulp (CFH) de feitelijke toetsing uit. Vervolgens stelt het CVZ het beleidsadvies op en brengt dat uit aan de minister. De minister van VWS besluit ten slotte om het nieuwe middel wel of niet te vergoeden. CVZ heeft een belangrijke rol, maar de minister van VWS is eindverantwoordelijk voor het vergoedingsproces (VWS, CVZ 2004).

De kernpunten van het Nederlandse geneesmiddelenbeleid zijn het bevorderen van de kwaliteit, het garanderen van de toegankelijkheid en het beheersen van de kosten van geneesmiddelen. Om de kwaliteit van de geneesmiddelen te garanderen zijn er strenge

eisen waar het geneesmiddel aan moet voldoen voordat het op de markt mag worden gebracht. Om de toegankelijkheid van de geneesmiddelen te garanderen wordt het grootste deel van de geneesmiddelen vergoed in de basisverzekering. De kosten van de geneesmiddelen worden beheerst door onder andere de aanwezigheid van het geneesmiddelenvergoedingssysteem (Busch 2004). Tevens is in sommige gevallen het aanleveren van een farmaco-economische evaluatie verplicht om zo goed alle kosten af te kunnen wegen; direct en indirect, medisch en niet-medisch (VWS, CVZ 2004).

De vergoeding van geneesmiddelen is geregeld in de Regeling Farmaceutische Hulp 1996. Geneesmiddelen worden in Nederland vergoed als ze zijn opgenomen op een positieve lijst. De eerste lijst, lijst 1a, bestaat uit clusters vergelijkbare geneesmiddelen die tot een bepaald maximum vergoed worden. Deze vergoedingslimiet is de gemiddelde prijs van de geneesmiddelen in de betreffende cluster. Indien de prijs van het geneesmiddel hoger is dan de limiet, dan moet het verschil door de patiënt betaald worden. Op de tweede lijst, lijst 1b, staan de unieke geneesmiddelen die volledig worden vergoed. Deze twee lijsten vormen samen het geneesmiddelenvergoedingssysteem (GVS) (CVZ 2006). Tevens bestaat de mogelijkheid om nadere voorwaarden te verbinden aan de aanspraak op een geneesmiddel. Dit is geregeld in Bijlage 2 van de Regeling farmaceutische hulp 1996. In de praktijk beoordeelt de CFH ongeveer 80% van de aanvragen voor opname in het GVS als onderling vervangbaar en zijn er heel weinig geneesmiddelen waarvoor de verzekerde moet bijbetalen (CVZ 2006).

1.3 De beoordeling

In de vorige paragraaf is het beleidsniveau beschreven. Nu zal het proces worden beschreven wat doorlopen wordt indien een geneesmiddel voor vergoeding in aanmerking komt. Als het dossier wordt ingeleverd, zorgt CVZ dat er mensen zijn die er verstand van hebben, zoals apothekers, gezondheidseconomen en patiënten. De registratiehouder en andere belanghebbende organisaties hebben op verschillende momenten inspraak. Zij kunnen onder andere commentaar leveren op het concept-beoordelingsrapport. Na bespreking van het commentaar stelt de CFH het definitieve rapport vast. Dit rapport wordt ter kennisgeving weer aan de fabrikant en andere belanghebbenden gestuurd. Belanghebbende partijen kunnen ook reageren op de concept-aanbiedingsbrief waarin de beleidsmatige aspecten van het al dan niet te vergoeden geneesmiddel worden besproken. De voorzitter van de CFH kan besluiten de partijen de mogelijkheid te geven hun commentaar mondeling toe te lichten. Na de eventuele hoorzitting wordt het definitieve advies vast gesteld en naar de minister, de registratiehouder en andere gehoorde organisaties gestuurd. Vanaf dit moment is het CVZ-standpunt openbaar (VWS, CVZ 2004).

De criteria voor de beoordeling zijn de effectiviteit en de kosteneffectiviteit. De effectiviteit wordt gemeten door de onderlinge vervangbaarheid. Geneesmiddelen zijn onderling vervangbaar indien er geen klinisch relevante verschillen tussen de geneesmiddelen zijn en de geneesmiddelen zijn bestemd voor dezelfde aandoening, voor patiënten met dezelfde leeftijd en een vergelijkbare toedieningsvorm hebben. De onderlinge vervangbaarheid wordt beoordeeld aan de hand van de primaire data die door de fabrikant is aangeleverd. In het geval dat het geneesmiddel niet onderling vervangbaar is, zijn er meer data vereist dan indien het geneesmiddel wel onderling vervangbaar is. Als geneesmiddelen onderling vervangbaar zijn, dan wordt de standaarddosis bepaald en worden ze op lijst 1a in het GVS geplaatst. Indien geneesmiddelen niet onderling vervangbaar zijn, dan geeft de commissie een oordeel over de therapeutische waarde, de onderbouwing van de doelmatigheid en de kostenconsequenties bij opname in het pakket. De CFH gaat tevens in op de argumenten van de registratiehouder voor de plaats in het GVS. Indien het geneesmiddel niet onderling vervangbaar is doorloopt de aanvraag ook het bestuurlijke traject. Hierbij staat de beleidsbrief aan de minister van VWS centraal. In deze brief worden de beleidsmatige aspecten van het al dan niet te vergoeden geneesmiddel beschreven. Door aandacht te besteden aan de beleidsmatige aspecten wordt uitdrukking gegeven aan de verantwoordelijkheid van de minister voor het ontwikkelen en bewaken van de publieke randvoorwaarden van het verzekeringsstelsel (VWS, CVZ 2004).

Om de beoordeling transparant en universeel te laten verlopen zijn er verschillende richtlijnen opgesteld. De beoordelingscriteria voor de therapeutische waarde zijn uitgewerkt in het document 'CFH-criteria voor beoordeling therapeutische waarde'. De therapeutische waarde wordt beoordeeld door middel van de criteria; werkzaamheid, effectiviteit, bijwerkingen, ervaring, toepasbaarheid en gebruiksgemak. De systematiek die gebruikt wordt om de therapeutische waarde te bepalen staat beschreven in 'beoordelingscriteria CFH' in het Farmacotherapeutisch Kompas. Het oordeel over de therapeutische waarde wordt onderbouwd met verwijzingen naar de literatuur en vastgelegd in het Farmacotherapeutisch rapport (VWS, CVZ 2004).

De therapeutische waarde van een geneesmiddel is groter dan de therapeutische waarde van andere in het pakket opgenomen behandelingsmogelijkheden indien het geneesmiddel voldoet aan één van de volgende eisen:

- het geneesmiddel is het enige beschikbare geneesmiddel voor een bepaalde aandoening;
- het geneesmiddel is voor de meeste patiënten effectiever of veiliger dan andere

behandelingsmogelijkheden

- het geneesmiddel is voor een specifieke categorie patiënten effectiever of veiliger dan de andere behandelingsmogelijkheden.

De grootte van de patiëntengroep en de ernst (acuut, subacuut, chronisch of levensbedreigend) van de te behandelen aandoening spelen ook een belangrijke rol bij het vast stellen van een eventuele therapeutische meerwaarde (CVZ 2006).

Voor het bepalen van de therapeutische waarde van een nieuw geneesmiddel is de vergelijking met de standaardtherapie of gebruikelijke behandeling zeer belangrijk. De gouden standaard om geneesmiddelen te vergelijken is een gerandomiseerd, dubbelblind onderzoek. De standaardbehandeling is de behandeling die in de dagelijkse praktijk wordt gezien als de eerste keus behandeling en waarvan de effectiviteit bewezen is. Bij de nog niet bewezen effectiviteit of onvoldoende ervaring kan men spreken over de gebruikelijke behandeling. Er is sprake van een gebruikelijke behandeling wanneer deze bij een substantieel aantal patiënten met de betreffende indicatie wordt toegepast in de praktijk (VWS, CVZ 2004).

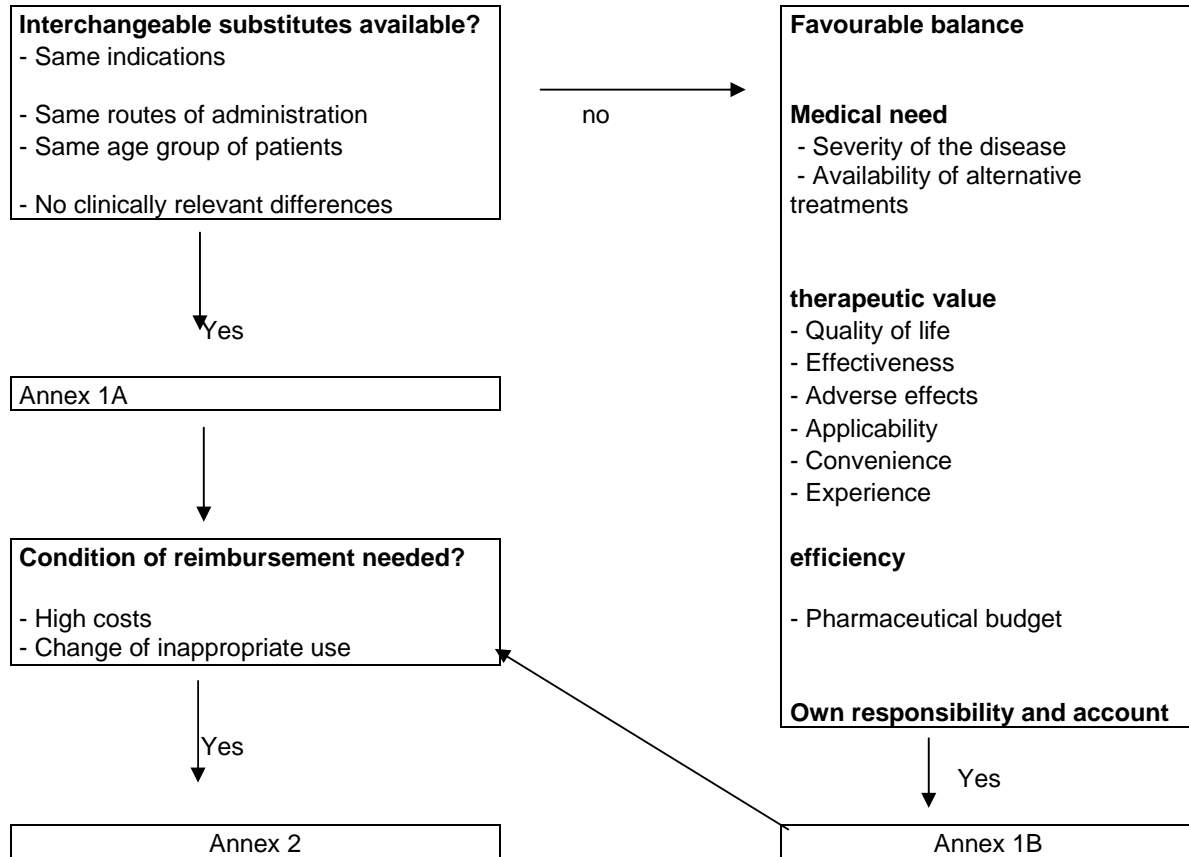
Het oordeel over de onderbouwing van de doelmatigheid wordt vastgelegd in het farmaco-economisch rapport. Dit rapport bevat een kritische bespreking van de door de registratiehouders uitgevoerde farmaco-economische evaluatie. Er wordt beoordeeld of het onderzoek is uitgevoerd in overeenstemming met de richtlijnen en er wordt stil gestaan bij feiten en onzekerheden die voor het besluit van de minister relevant zijn. Tevens wordt er een kostenconsequentieraming opgesteld. Hierbij worden de kostenconsequenties van opname van een geneesmiddel in het GVS voor de patiënt, het farmaciebudget, het gezondheidszorgbudget en de Nederlandse samenleving geschat. De beoordelingsresultaten van de therapeutische waarde, de onderbouwing van de doelmatigheid en de kostenconsequenties bij opname in het pakket worden vastgelegd in een rapport. Na de uitgave van het definitieve rapport is het standpunt van de CVZ openbaar en kan iedereen het rapport inzien (VWS, CVZ 2004).

1.4 De besluitvorming

De minister van VWS besluit een geneesmiddel wel of niet te plaatsen in het GVS, en eventueel onder welke voorwaarden. Het besluitvormingsproces is impliciet en kan afwijken van het advies van CVZ (Stolk 2007 persoonlijke communicatie). Het besluitvormingsproces is weergegeven in figuur 3. Eerst wordt beoordeeld of een geneesmiddel onderling vervangbaar is. Een geneesmiddel is onderling vervangbaar indien het geen therapeutische meerwaarde heeft. De beoordeling van de therapeutische waarde is beschreven in het

beoordelingsproces. Indien een geneesmiddel onderling vervangbaar is en er geen aanleiding is om het geneesmiddel onder bepaalde voorwaarden te vergoeden wordt het geneesmiddel geclusterd in lijst 1a. Indien het geneesmiddel wel een therapeutische meerwaarde heeft, dan zijn er een aantal criteria die VWS meeweegt bij het nemen van een besluit zoals medische noodzaak, budget impact en eigen rekening en verantwoording. Als de balans positief is er is geen aanleiding is om nadere voorwaarden aan de vergoeding te verbinden, wordt het geneesmiddel op lijst 1b geplaatst en geheel vergoed. Criteria om geneesmiddelen onder nadere voorwaarden te vergoeden zijn bijvoorbeeld hoge kosten, grote kans op onjuist gebruik of de noodzaak van specifieke expertise om de juiste patiëntselectie te verzekeren (Oostenbruggen e.a. 2005).

Figuur 3: Drug reimbursement decision- making process in The Netherlands prior to the use of pharmaeconomic evaluation (Oostenbruggen e.a. 2005).



Binnen 90 dagen na de ontvangst van een geldige aanvraag neemt de minister een beslissing. Het moment waarop de 90 dagen gaan tellen is de schriftelijke bevestiging van ontvangst van een verzoek door de minister. Dit termijn kan langer zijn als aanvullende informatie noodzakelijk is. Indien het dossier incompleet is, stelt VWS de aanvrager hiervan binnen een week na ontvangst op de hoogte, voorzien van een toelichting welke aanvullende gegevens nodig zijn. De minister deelt het besluit schriftelijk aan de registratiehouder mee. Daarbij worden het oordeel van het CVZ, de motivering van de beslissing en de openstaande rechtsmiddelen vermeldt. De wijzigingen in het GVS staan maandelijks gepubliceerd in de Staatscourant samen met andere wijzigingen waarvoor geen toetsing door het CVZ nodig was. De wijzigingen gaan in op de eerste dag van de maand (VWS, CVZ 2004).

1.5 Output en implementatie

In het proces van de geneesmiddelenvergoeding is geen bezwaar moment. Indien men het niet eens is met het besluit van de minister, dan kan je wel een rechtszaak aanspannen. Als de minister besluit dat een geneesmiddel opgenomen mag worden in het geneesmiddelenvergoedingssysteem, dan wordt het medicijn op de lijst geplaatst. De artsen schrijven de geneesmiddelen voor. VWS probeert daarom het voorschrijfgedrag van artsen te beïnvloeden. VWS stimuleert bijvoorbeeld het Farmaco Therapeutisch Overleg. Het Farmaco Therapeutisch Overleg houdt in dat huisartsen en apothekers op regionaal niveau afspraken maken met als doel het voorschrijven te rationaliseren. Tevens geeft het VWS subsidies voor de implementatie van het elektronisch voorschrijfsysteem bij huisartsen. Dit moet ook bijdrage aan het doelmatig voorschrijven (Busch 2004). Het CBO houdt zich ook bezig met het bevorderen van het gebruik van nieuwe geneesmiddelen. Het CBO is een kwaliteitsinstituut voor de gezondheidszorg. Een van de kerntaken van het CBO is dat het zich inzet voor de toepassing van nieuwe kennis en methodieken in de praktijk.

Geneesmiddelen worden na toelating op de markt bewaakt, ongewenste bijwerkingen en onverwachte wisselwerkingen tussen medicijnen worden geregistreerd. De monitoring en eventuele herwaardering is echter niet structureel geregeld. In Nederland is het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG) verantwoordelijk voor de coördinatie van de geneesmiddelenbewaking. De dagelijkse uitvoering is in handen van de Stichting Registratie Evaluatie Bijwerkingen (LAREB). Bij het CVS en de Raad voor Gezondheids Onderzoek worden signalen verzameld over ondoelmatige toepassing van geneesmiddelen en wordt er verder onderzoek verricht naar toepassing van geneesmiddelen in de praktijk (Busch 2004). Een verzoek tot herbeoordeling van een besluit betreffende een vergoedingaanvraag kan de registratiehouder alleen indienen als er informatie is over nieuw gebleken feiten of

veranderde omstandigheden. De procedure tot herbeoordeling verloopt hetzelfde aan de procedure bij een reguliere vergoedingsaanvraag (VWS, CVZ 2004).

2. Verenigde Staten

2.1 Zorgstelsel

2.1.1 Kenmerken zorgstelsel

Dit hoofdstuk beschrijft het gezondheidszorgsysteem van de Verenigde Staten en het besluitvormingsproces van vergoedingen van geneesmiddelen in dit land. De belangrijkste kenmerken van het gezondheidszorgsysteem zullen hier worden beschreven. De Verenigde Staten heeft meer dan 300 miljoen inwoners. De Verenigde Staten van Amerika bestaat sinds 1776 en heeft nu 50 staten. Het is een federatie met een overkoepelend centraal gezag. De 50 staten hebben omvangrijke autonomie met ieder hun eigen verantwoordelijkheden, regels en wetten. De zorgverzekeringsmarkt in de Verenigde Staten is behoorlijk gesegmenteerd. Het grootste deel van de zorgverzekeringsmarkt is particulier geregeld.

In 2005 betaalden de inwoners uit de Verenigde Staten gemiddeld 6697 dollar per persoon aan de gezondheidszorg. In totaal liep het bedrag op tot bijna 2 triljoen dollar. Het hoge totaalbedrag was toen 16 % van het Bruto Nationaal Product (BNP) (Combs 2007), dit is het hoogste percentage van alle landen die OESO onderzoekt. De gemiddelde hoogte van zorgkosten van die landen was namelijk 8,9% van het BNP (OECD 2006a). Aan geneesmiddelen werd in 2004 12,3% van de totale zorgkosten van de Verenigde Staten uitgegeven (OECD 2007). Boven aan het prioriteitenlijstje van secretaris Leavitts van de Department of Health and Human Services (HHS) staat 'value driven health care'. Op deze manier wil hij de hoge kosten in de zorg beperken. Naast de prioriteit bij kosten is gezondheidsverbeteringen erg belangrijk, dit moet bereikt worden door bijvoorbeeld meer preventieve zorg (HHS 2007a).

In veel landen wordt het merendeel van de gezondheidszorg collectief gefinancierd. De financiering van zorg wordt in de Verenigde Staten geregeld via zowel particuliere als publieke verzekeraars. De particuliere verzekeraars nemen een groot deel van de totale zorgkosten voor hun rekening (37%) (OECD 2006b). In de Verenigde Staten wordt maar 45% van alle zorguitgaven gefinancierd door de overheid. De publieke financiering van de gezondheidszorg verloopt via Medicare en Medicaid en andere overheidsprogramma's (Miller 2006:3). De laatste jaren neemt de particuliere financiering af, terwijl de publieke financiering toeneemt (CMS 2007a). Het overige deel van de zorguitgaven wordt gefinancierd via eigen betalingen. Voor de meeste Amerikanen die jonger zijn dan 65 jaar is

hun zorgverzekering geregeld via hun werkgever (63%). De werkgevers sluiten contracten met zorgverzekeraars. 17% van de Amerikanen jonger dan 65 jaar is helemaal niet verzekerd tegen ziektekosten (Goldman & McGlynn 2005).

2.1.2 Zorgverzekeringen

In de jaren '70 bedacht Ellwood een nieuw verzekeringsconcept: managed care organizations (MCO's) (Oliver 2004:727). Bij MCO's worden grenzen aan het vergoeden gesteld. Voor die tijd was er sprake van een openeindfinanciering, maar die is er nu nauwelijks meer. Bij de MCO's wordt vooraf een budget met een bepaald plafond vastgesteld voor een geneesmiddel of behandeling, dit betekent dat men niet meer te maken heeft met grote overschrijdingen achteraf. De artsen ervaren nu een prikkel tot efficiënter werken (Stolk & Cohen 2007, persoonlijke communicatie). Vanaf begin jaren '80 mogen MCO's gecontracteerd worden in het Medicare programma (Oliver 2004:723). Begin jaren '90 breidde het aantal MCO's explosief uit. De traditionele gezondheidszorg die bijna alles achteraf vergoedde is door MCO's aangrijpend veranderd: 'managed care' is de norm geworden bij het verzekeren van zorg (Lapré et al. 2001:111).

Een voorbeeld van MCO's zijn de Health Maintenance Organizations (HMO). 'Het verschaffen van medische hulp gaat hier samen met het volledig financieel verantwoordelijk zijn voor het 'gezond houden' van de verzekerde' (Lapré et al. 2001:106). In de zorgverzekeringsmarkt van de Verenigde Staten is er bij de HMO's geen duidelijke scheiding meer tussen verzekering, financiering en verlening van zorg. HMO's sluiten met zowel de overheid, particulieren instellingen en individuen contracten af (Langwell 1990:71). Er bestaat een uitgebreid verstrekkingenpakket waar de nadruk ligt op preventieve en poliklinische zorg. De HMO-artsen zijn financieel medeverantwoordelijk voor de geleverde zorg en er is veel aandacht voor nascholing en intercollegiale toetsing (van Kleef 2006, persoonlijke communicatie). Door deze kenmerken van HMO kunnen de kosten van de zorg worden beperkt. De kostenontwikkeling was in de Verenigde Staten mogelijk nog veel extremer geweest als de HMO's niet waren ingevoerd.

Medicare is het belangrijkste zorgverzekeringprogramma van de overheid. Mensen die voor Medicare in aanmerking komen moeten 65 jaar of ouder zijn, arbeidsongeschikt zijn of lijden aan 'End-Stage Renal Disease' (CMS 2007b). Van de bevolking die 65 jaar of ouder is, is 95% verzekerd bij Medicare (Hoffman et al. 2006). Er zijn twee verschillende beleidsniveaus voor vergoedingen bij Medicare: lokaal en nationaal. Het onderscheid tussen lokaal en nationaal is terug te vinden in het oorspronkelijke Medicare programma waar zo min mogelijk invloed van de overheid wordt na gestreefd (Miller 2006).

2.1.3 Nationaal besluitvorming over vergoedingen

De nationale besluitvorming over vergoedingen wordt ook wel NCD genoemd. NCD staat voor national coverage determinations (CMS 2006). Dit zijn vergoedingsbesluiten over bepaalde voorzieningen, procedures en technologieën (CMS 2007c) die bindend zijn voor alle 'contractors' en landelijk gelden (Medpac 2003). Er worden per jaar ongeveer 18 tot 24 nationale vergoedingsbesluiten gemaakt (Miller 2006:13). Als CMS niet kiest voor een nationaal vergoedingsproces verloopt een vergoedingenbesluit via de lokale weg (Burke 2003). De meerderheid van de beslissingen met betrekking tot de gezondheidszorg en vergoedingen van Medicare wordt op lokaal niveau genomen (CMS 2006). Als technologieën bijzonder controversieel zijn, of er veel variatie bestaat (regionale verschillen) met betrekking tot voorschrijfpatronen, of als technologieën een aanzienlijk grote budget impact hebben, worden ze niet lokaal, maar nationaal besloten (Straube 2005). Door het onderzoek te richten op de NCD en op de Nederlandse regels is een gelijkwaardige vergelijking mogelijk over criteria en procedures in Nederland en de Verenigde Staten.

De Medicare verzekerden betalen premies en ook relatief hoge bijbetalingen bij gebruik van zorg. Bij Medicare kunnen mensen zich verzekeren voor Part A ziekenhuiszorg, Part B vooral poliklinische zorg, Part C Medicare advantage plans (dit is een combinatie van Part A en B) en/of Part D Prescription Drug Coverage. Bij Part D wordt de extramurale geneesmiddelen zorg door particuliere organisaties uitgevoerd (HHS 2007b). Het aandeel van Medicare is de afgelopen jaren iets toegenomen. Door de Medicare Prescription Drug, Improvement, and Modernization Act van 2003 (MMA) is het Medicare programma in 2006 uitgebreid met Medicare Prescription Drug Benefit. Medicare verzekerden hebben nu toegang tot de private verzekeraars die de Medicare Prescription Drug Benefit aanbieden. De Medicare verzekerden kunnen zo een verzekering kiezen die het beste aansluit bij hun behoeften (Kaiser Family Foundation 2006).

2.2 Rol van HTA bij vergoedingsbesluiten

Ik ga nu het model van Hutton gebruiken om het fourth hurdle systeem van de Verenigde Staten te omschrijven. De volgende onderwerpen zullen aan bod komen: beleid, beoordeling, besluit en als laatste output en implementatie.

2.2.1 Het beleidsniveau

Verschillende organisaties zijn belangrijk bij de vergoeding van geneesmiddelen in de Verenigde Staten. Op federaal niveau is er voor de gezondheidszorg de Department of Health and Human Services (HHS). Een zelfstandige instantie die onder HHS valt is het Center for Medicare & Medicaid Services (CMS). Medicare en Medicaid werden in 1965 opgericht door de Medicare law. Het Medicare programma valt onder de Social Security Act (Smith & Henderson 2006). Mensen die 65 jaar of ouder zijn, arbeidsongeschikt zijn of lijden aan 'End-Stage Renal Disease' hebben recht op Medicare (Hoffman et al. 2006). CMS heeft zelf medische experts, de interne Coverage and Analysis Group (Gillick 2004) en vraagt incidenteel een health technology assessment (HTA) aan bij de Agency for Healthcare Research and Quality (AHRQ) (Neumann 2005:244). CMS richtte hiernaast het Medicare Evidence Development Coverage Advisory Committee (MedCAC) op. MedCAC geeft CMS advies over het bewijs bij NCD's die extra kennis vragen (GAO 2003). Het uiteindelijk besluit voor vergoedingen wordt door CMS genomen.

De hoofdcriteria van Medicare bij vergoedingen is dat technologieën die in aanmerking komen voor vergoeding 'reasonable' en 'necessary' moeten zijn. In Section 1862 (a) (1) (A) van de Social Security Act is dit wettelijk vastgelegd (Brechtner 2005). Er zijn geen specifieke regels of wetten over wat redelijk en noodzakelijk inhoudt, maar deze begrippen worden per technologie geïnterpreteerd (HHS 2003). Medicijnen moet veilig, werkzaam zijn en klinische voordelen opleveren (Neumann 2005:244). Er komen ook geen richtlijnen voor het vergoedingsproces, omdat het CMS vindt dat er teveel tegenstrijdige belangen zijn bij de vergoedingscriteria (Gillick 2004:2202). Het bewijs dat gebruikt wordt bij evaluatie zijn technology assessments van TEC (Technology Evaluation Center van de Blue Cross and Blue Shield Association) en AHRQ, actuele medische en wetenschappelijke informatie, gegevens van de Food and Drug Administration (FDA) over veiligheid en werkzaamheid en informatie ontleend aan klinische onderzoeken (CMS 2007c).

Het uitvoeren van het fourth hurdle systeem gebeurt door het CMS. Het HHS staat hier wel boven, maar voert de implementatie niet uit. CMS maakt de NCD's zelf en geeft MedCAC de opdracht bij ingewikkelde zaken te ondersteunen (GAO 2003).

CMS is bezig met het zo expliciet en open mogelijk maken van het nationale vergoedingsproces. De eerste stap voor vergroting van de "accountability" werd in 1999 gezet door het zelfopgelegde tijdsraam van 90 dagen voor het maken van een decision

memorandum (Leavitt 2006). Met de MMA van 2003 wordt openheid en verbetering van het besluitvormingsproces bij vergoedingen verder doorgezet (Neumann 2005:251). De verantwoording van de vergoedingen bij Medicare gebeurt via een jaarlijks rapport. In dit rapport staat een lijst met national coverage determinations die in het afgelopen jaar zijn gemaakt. Er staat ook bij hoe meer informatie verkregen kan worden over deze determinations (CMS 2007d). Hiernaast moet MedCAC zijn aanbevelingen op papier uitleggen aan CMS. De redenering van MedCAC wordt zo expliciet en open waardoor de interne en externe accountability ook weer toeneemt. Als iemand het niet eens is met een NCD kan er in beroep worden gegaan bij de Health and Human Services Departmental Appeals Board. Er kan in beroep worden gegaan tegen het besluit van de Board bij een Federale rechtbank (CMS 2007e).

2.2.2 De beoordeling

De beoordeling van technologieën die mogelijk in aanmerking komen voor NCD's wordt gedaan via CMS eigen onderzoek of er wordt ondersteuning gevraagd aan AHRQ of MedCAC. MedCAC heeft ongeveer 100 leden. Deze leden geven ondersteuning bij de keuze wel of niet vergoeden van technologieën (Miller 2006:14). De meeste leden (88) mogen stemmen en zijn geselecteerd op hun kennis over de gezondheidszorg. De 12 overige leden zijn representatief voor consumenten en industrieën en hebben geen stemrecht (ibid.). Het algemene publiek kan commentaar leveren voor, tijdens en na het deze overleggen van MedCAC (Garber 2001).

Het beoordelingsproces start bij een formele aanvraag (Medpac 2003). Iedereen kan een aanvraag voor NCD doen (Miller 2006:15). Er zijn twee paden: pad 1 en pad 2. Pad 1 is voor iedereen open en dit pad verloopt niet zo streng qua tijdsplanning. Pad 2 is alleen toegankelijk voor "aggrieved parties": verzekerden bij Medicare die bijvoorbeeld een bepaald geneesmiddel nodig hebben, maar nu niet vergoed krijgen. Bij dit tweede pad moet het CMS binnen 90 dagen een besluit nemen. Bij een verwijzing naar het MedCAC, neemt het CMS binnen 60 dagen na het advies van MedCAC een besluit. Echter, bij aanvragen die worden doorverwezen naar MedCAC is het totale tijdsbestek gemiddeld 8 maanden langer voor er een besluit is gemaakt dan bij niet-MedCAC besluiten (Neumann 2005). CMS besluit op een case-by-case basis welke onderwerpen worden doorverwezen naar MedCAC, naar AHRQ of naar beiden (GAO 2003).

Belanghebbenden hebben de mogelijkheid voor participatie bij het evidence-based process bij NCD's (CMS 2007f). De beoordeling gaat aan de hand van het beschikbare bewijs. Hoewel het CMS ernaar streeft om de beoordeling van vergoedingsaanvragen te doen aan de hand van evidence-based medicine, heeft CMS nog geen richtlijnen gepubliceerd over hoe zij gebruik maken van wetenschappelijk bewijs bij de beoordeling van

vergoedingsbesluiten (GAO 2003). In de praktijk worden experimentele studies met controle groepen, die nadruk leggen op objectieve meetbare uitkomsten, als belangrijkste bewijs gezien. Er wordt ook gekeken naar de mening van experts en klinische case studies, maar dit wordt als minder sterke bewijs gezien (Tunis & Kang 2001). In de praktijk blijkt dus dat beoordelingen van vergoedingsaanvragen niet geheel op basis van evidence-based medicine mogelijk is. Het niveau van de gebruikte bewijs is namelijk vaak niet hoog genoeg. Hiernaast zijn er weinig of geen gegevens beschikbaar van randomized controlled trails (Neumann 2005:250). Bij elke NCD wordt een technology assessment gedaan, dit is een multidisciplinaire beleidsanalyse. Er wordt naar technologieën gekeken vanuit medisch, sociaal, ethisch en economisch perspectief. Technology assessments ondersteunen de NCD's en focussen vooral op veiligheid en werkzaamheid van technologieën. De technology assessment rapporten betreffen evaluaties over het nut van medische interventies. Deze rapporten zijn onder andere gebaseerd op een systematische literatuurstudie (GAO 2003). In de Verenigde Staten is het niet gebruikelijk dat CMS kostenoverwegingen maakt in het besluitvormingsproces bij vergoedingen. Het is zelfs formeel wettelijk niet toegestaan (Cohen 2007b, persoonlijke communicatie). Uitzondering zijn technologieën die voor een grote populatie gebruikt gaan worden (die mogelijk een grote beslag op het budget hebben). Deze technologieën worden bijzonder zorgvuldig bekeken (Neumann 2005:251). Overigens is er in de Verenigde Staten wel steeds meer discussie over het meenemen van de kosten bij de beoordeling van de vergoedingsbesluiten, omdat de kosten van de gezondheidszorg daar in absolute en relatieve zin erg hoog zijn.

De resultaten van de beoordeling komen op de website van CMS te staan in de Medicare Coverage Database. Bij de National Coverage Analyse staat per behandeling de contactpersoon, documenten en de geschiedenis van de overweging. Onder het kopje documenten staat afhankelijk van de behandeling één of alle van de volgende zaken: een tracking sheet, de technology assessment, MedCAC bijeenkomsten, view public comments, decision memoranda en de NCD (CMS 2007c). MedCAC wordt maar bij ongeveer één op de zes NCD's betrokken. Hierdoor is bij de overige NCD's voor het publiek niet duidelijk hoe CMS bewijs evalueert tot het moment dat CMS een decision memorandum publiceert (GAO 2003).

2.2.3 De besluitvorming

De beslissingen over NCD vergoedingen worden niet gemaakt door een ministerie van gezondheid, maar door CMS. Het MedCAC geeft geen advies over het wel of niet vergoeden. Zij bespreken medische literatuur, technische beoordelingen en informatie over klinische effectiviteit en geven advies aan CMS over de toereikendheid van het bewijs (GAO

2003). Het CMS is verantwoordelijk voor het maken van een NCD door middel van de Coverage and Analysis Group van de Office of Clinical Standards and Quality (CMS 2007g).

Het besluitvormingsproces is behalve de tijdslijnen en de uitkomsten niet erg inzichtelijk. Een vergoedingsvoorstel dat helemaal intern bij CMS plaats vindt, kan binnen 90 dagen worden vastgesteld (Smith & Henderson 2006). Bij aanvragen voor NCD's die geen externe technology assessment krijgen of niet via MedCAC lopen, geldt een termijn van 6 maanden. Als technologieën wel een externe technology assessment krijgen en/of via de MedCAC verlopen, moet het besluit binnen 9 maanden na de aanvraag worden genomen. Na deze periode zal het voorgestelde besluit op de website van CMS worden gezet voor commentaar van het publiek. Deze periode duurt 30 dagen. Nadat het publiek kans heeft om commentaar te leveren, valt het uiteindelijke besluit binnen 60 dagen (CMS 2007d). Welke precieze afwegingen CMS uiteindelijk maakt bij het nemen van een besluit is niet duidelijk. Er zijn drie mogelijk uitkomsten bij het uiteindelijke besluit: onvoorwaardelijke vergoeding, vergoeding met voorwaarde of geen vergoeding (Neumann 2005:247). Indien het gaat om een verzoek voor herziening is het ook mogelijk dat er geen verandering in de vergoeding plaats vindt (CMS 2007h).

Het is niet duidelijk of er een mogelijkheid is om nog bewijs te introduceren tijdens de besluitvormingsperiode. Een uiteindelijk voorstel voor een NCD wordt aangekondigd in het decision memoranda. Na het decision memoranda kunnen mensen reageren op het besluit. Er kan commentaar komen van bijvoorbeeld nationale professionele organisaties, universiteiten, (huis)artsen, patiënten organisaties en andere individuen. Met sommige groepen wordt in discussie gegaan (CMS 2007i).

Sinds 1999 staan alle vergoedingsbesluiten en onderliggende documentatie op de website van Medicare (Miller 2006:14). Hier staan onder andere de implementatie datum, vergoedingsonderwerp, beschrijving en indicaties en limieten van vergoedingen en mogelijke herzieningen. Er staat bij of het bewijs voldoende of adequaat is om tot besluit 'reasonable en necessary' te komen. Er staan (samenvattingen van) bewijsstukken op de website. Op de website is ook te vinden of MedCAC bij het besluit betrokken is (CMS 2007h).

NCD's worden pas bindend als ze zijn gepubliceerd in het Federal Register als programma instructie of CMS regels. Implementatie van een NCD gaat niet direct. Eerst moet er nog een code vastgesteld worden voor een NCD en wordt het betalingsniveau bepaald. Het Center for Health Plans and Providers is verantwoordelijk voor de instructies voor het coderen en betalen (Smith et al. 2001). Na het decision memorandum heeft het CMS 180 tot 270 dagen de tijd om het besluit ook daadwerkelijk te implementeren. CMS heeft zichzelf dit tijdsraam opgelegd (Medpac 2003). Bij verwijzing van CMS naar MedCAC of naar een HTA kan de tijd tot implementatie nog langer duren (Burke 2003).

2.2.4 Output en implementatie

Het is mogelijk om tegen een NCD in beroep te gaan. Dit kan zowel via CMS als via het juridische systeem (Cohen 2007c, persoonlijke communicatie). Mensen die in beroep gaan tegen een Social Security besluit, krijgen een brief van Social Security met daarin hun rechten met betrekking tot het in beroep gaan (Medicare 2007). Er worden rechtszittingen gehouden (HHS 2005).

De implementatie en communicatie van de uiteindelijke NCD verloopt via CMS. Medicare contractors zijn verplicht om een NCD te volgen. De NCD zal gepubliceerd worden in de Medicare National Coverage Determinations Manual.

NCD's die in gebruik zijn, kunnen op elk moment worden herzien. Er bestaat geen systematische herziening. Het CMS zal naar zo'n voorstel voor herziening gaan kijken als er nieuwe onderzoeken, literatuur of studies naar voren komen. Het herzien kan ook gebeuren als er argumenten zijn voor het verkeerd interpreteren van het toen gebruikte bewijs. De besluitvormingsprocedure start dan opnieuw (Burke 2003).

Er is in de Verenigde Staten geen structurele evaluatie om te onderzoeken of de doelen van het systeem worden bereikt.

Analyse

Deze analyse richt zich op het vergelijken van het vergoedingsproces van geneesmiddelen in Nederland en de Verenigde Staten. De procedures en criteria hierover zijn beschreven in hoofdstuk één en twee. De landenbeschrijvingen zijn samengevat in onderstaande tabel. Naast de tabellen zullen overeenkomsten en verschillen tussen de landen over het beleid, de beoordeling, de besluitvorming en de implementatie in het vergoedingsproces worden geanalyseerd.

In het beleidsniveau onderscheidt Hutton organisatie, doelen, implementatie en accountability. De organisatie van het vergoedingensysteem is in de landen verschillend opgebouwd. In Nederland is CVZ de belangrijkste speler in het vergoedingsproces, omdat zij de beoordeling uitvoert en advies geeft aan de minister van VWS. De verantwoordelijkheid voor het slagen van het vergoedingsproces ligt bij de minister. Dit is anders in de Verenigde Staten waar CMS de belangrijkste speler is. Zij doen zowel de beoordeling als de besluitvorming. CMS valt onder HHS, maar is een zelfstandige organisatie. De doelen van het geneesmiddelenvergoedingensysteem komen in grote lijnen met elkaar overeen. Beide landen streven bijvoorbeeld naar een kwalitatief goede gezondheidszorg tegen redelijke kosten. In Nederland is dit, in tegenstelling tot de VS, zwaarder aangezet en geoperationaliseerd in criteria.

Het beoordelingsproces rondom het vergoeden van geneesmiddelen verschilt in Nederland en de Verenigde Staten. In Nederland dient de fabrikant actief op zoek te gaan naar data met betrekking tot kosten en kosteneffectiviteit. Het beoordelingsproces en de –criteria zijn uitgewerkt in richtlijnen, zodat het beoordelingsproces in Nederland transparant en consistent verloopt. Indien er onvoldoende informatie is wordt de beoordelingsprocedure stop gezet. De kosteneffectiviteit is in Nederland een belangrijk beoordelingscriteria, dit in tegenstelling tot de Verenigde Staten waar kosteneffectiviteit alleen indirect een rol speelt. CMS verzamelt zelf de beschikbare informatie voor de beoordeling. Zij kunnen dit uitbesteden aan AHRQ of MedCAC. De beoordelingscriteria zijn in de Verenigde Staten niet expliciet uitgewerkt. Het beoordelingsproces in Nederland en Verenigde Staten heeft ook een aantal overeenkomsten. Zo hebben stakeholders in beide landen de mogelijkheid om tijdens het beoordelingsproces commentaar te leveren. Een andere overeenkomst is dat de uiteindelijke beoordelingsresultaten en achterliggende overwegingen in beide landen openbaar zijn. Verder is in beide landen het tijdspad van de beoordelingsprocedure helder. Ook is in beide landen de output en implementatie niet gedetailleerd uitgewerkt.

De besluitvormingsprocedure is in Nederland transparanter dan in de Verenigde Staten. In Nederland wordt het besluit over vergoeding van een geneesmiddel genomen door de minister van VWS. Het besluit van de minister kan afwijken van het advies van CVZ. Het is bekend wat voor soort criteria een rol spelen bij het nemen van het besluit maar niet hoe zwaar de verschillende criteria wegen. De periode voor besluitvorming is duidelijk: in Nederland wordt binnen drie maanden na de aanvraag een besluit genomen. Indien blijkt dat er nog aanvullende gegevens van de registratiehouder nodig zijn, staat de procedure stil totdat de gevraagde gegevens zijn ontvangen. In de Staatscourant verschijnt één keer per maand een overzicht met besluiten. De besluiten gaan direct van kracht. In de Verenigde Staten wordt het vergoedingsbesluit door CMS genomen. Dit besluitvormingsproces is impliciet. De tijdsperiode van een vergoedingsbesluit dat geheel binnen CMS plaats vindt, is maximaal 90 dagen. Via andere wegen kan het oplopen tot een jaar of langer. Een vergoedingsbesluit in de Verenigde Staten is bindend zodra het wordt gepubliceerd in het Federal Register. Na een positief vergoedingsbesluit duurt het vaak nog 180-270 dagen tot de vergoeding via Medicare in werking treedt.

In Nederland is het niet mogelijk bezwaar aan te tekenen. Als iemand het niet eens is met het besluit is het wel mogelijk om een rechtszaak aan te spannen. Hoewel de arts uiteindelijk bepaalt welke geneesmiddelen hij aan de patiënt voorschrijft, worden de geneesmiddelen pas vergoed indien ze op de positieve lijst zijn geplaatst. Het monitoren en herwaarderen van vergoedingen van geneesmiddelen is niet structureel geregeld. Ook vinden er geen structurele evaluaties plaats. In de Verenigde Staten is wel mogelijk om bezwaar in te dienen. Dit kan zowel via het juridische systeem als via CMS instanties. Net als in Nederland zijn de herziening van vergoedingen en de evaluaties niet structureel geregeld.

Figuur 4: Model van Hutton ingevuld voor Nederland

	Beleidsniveau	Beoordeling	Besluitvorming	Implementatie
Nederland	<ul style="list-style-type: none"> - CVZ is kernactor in het systeem, zij geeft advies aan de minister op basis van data die door de fabrikant moet worden aangeleverd. - De doelen van het geneesmiddelenbeleid zijn veilige en doelmatige zorg. - Geneesmiddelen worden bij vergoeding op een positieve lijst geplaatst. - De minister van VWS blijft eindverantwoordelijke. 	<ul style="list-style-type: none"> - Belangengroepen kunnen op verschillende momenten in de procedure commentaar indienen. - De beoordelingscriteria zijn de therapeutische waarde en doelmatigheid. Deze criteria zijn uitgewerkt in richtlijnen zodat de procedure universeel verloopt. - Als bewijs voor de therapeutische waarde is een gerandomiseerd, dubbelblind onderzoek gewenst. Bij een claim voor plaatsing op lijst 1b is een farmaco-economische evaluatie verplicht. Ook literatuuronderzoek speelt een belangrijke rol. - De beoordelingsresultaten en de onderbouwing daarvan worden vast gelegd in rapporten zodat transparant is hoe de commissie tot haar oordeel is gekomen. 	<ul style="list-style-type: none"> - De minister van VWS besluit binnen 90 dagen na de ontvangst van een geldige aanvraag op welke lijst een geneesmiddel wordt geplaatst. De lijst bepaald de vorm van vergoeding. - Het besluitvormingsproces is niet transparant. De beslissing kan afwijken van het advies van CVZ op basis van aanwezigheid van medische noodzaak, eigen rekening en verantwoording en budgetimpact. - De minister deelt het besluit schriftelijk aan de registratiehouder mee. - Wijzigingen in het GVS worden maandelijks gepubliceerd in de Staatscourant. Wijzigingen gaan in op de eerste dag van de maand. 	<ul style="list-style-type: none"> - Er is geen bezwaar moment. Er kan wel een rechtszaak worden aangespannen tegen een besluit van de minister. - Monitoren en reappraisal is niet structureel geregeld. - Er is geen structurele evaluatie.

Figuur 5: Model van Hutton ingevuld voor de Verenigde Staten

	Beleidsniveau	Beoordeling	Besluitvorming	Implementatie
Verenigde Staten	<ul style="list-style-type: none"> - CMS is kernactor in het systeem, zij maken besluiten over NCD's. Ze krijgen ondersteuning van MedCAC of AHRQ. - De hoofddoelstelling van Medicare bij vergoedingen is dat technologieën die aanmerking komen voor vergoeding 'reasonable and necessary' moeten zijn. - Het uitvoeren van het fourth hurdle systeem gebeurt door het CMS. - Met de MMA van 2003 wordt openheid en verbetering van besluitvormingsproces bij vergoedingen verder doorgezet. <p>Hiernaast moet MedCAC zijn aanbevelingen op papier uitleggen aan CMS. De redenering van MedCAC wordt zo expliciet en open waardoor de interne en externe accountability toeneemt.</p>	<ul style="list-style-type: none"> - Beoordeling van technologieën wordt door CMS gedaan of door AHRQ of MedCAC. Het algemene publiek kan commentaar leveren voor, tijdens en na de overleggen van MedCAC. - De beoordelingscriteria zijn reasonable and necessary. - Bij de beoordeling van vergoeding van een geneesmiddel wordt gebruik gemaakt klinische evidence en van achtergrondinformatie. - De resultaten en de overweging van de beoordeling komen op de website van CMS te staan in de Medicare Coverage Database. 	<ul style="list-style-type: none"> - CMS maakt de beslissing - Het besluitvormingsproces is behalve de tijdslijnen en de uitkomsten niet inzichtelijk. - Een voorstel voor een NCD wordt aangekondigd in het decision memoranda. Hierna kunnen mensen reageren op het besluit. - Vergoedingsbesluit wordt bindend als het is gepubliceerd in het Federal Register. - Na een positief vergoedingsbesluit duurt het vaak nog 180-270 dagen tot vergoeding via Medicare in werking treedt. 	<ul style="list-style-type: none"> - Bezwaar indienen kan via juridisch systeem en via CMS instanties. - De implementatie en communicatie van de uiteindelijke NCD verloopt via CMS - Herziening kan op elk moment. Er is geen systematisch herziening. - Het CMS zal na een voorstel voor herziening evalueren of er nieuwe onderzoeken, literatuur of studies naar voren komen

Discussie

Het doel van dit onderzoek is te ontdekken hoe het besluitvormingsproces voor vergoedingen van geneesmiddelen eruit ziet in Nederland en de Verenigde Staten. In het onderzoek wordt beschreven welke procedures en criteria bij dit vergoedingsproces een rol spelen. Om het doel te bereiken is voor beide landen het nationale vergoedingsproces onderzocht aan de hand van het model van Hutton. In Nederland bestaat er alleen een nationaal vergoedingsproces. In de Verenigde Staten zijn de meeste vergoedingsbesluiten lokaal, maar we kijken naar het nationale vergoedingsproces van Medicare: NCD's. Het doel van het geneesmiddelenbeleid is in zowel Nederland als de Verenigde Staten kwalitatief goede en doelmatige zorg. De uitwerking van deze doelen verschilt in beide landen. In Nederland is dit vergoedingsproces gedetailleerder uitgewerkt dan in de Verenigde Staten. Bovendien worden er in Nederland strengere eisen aan de te verzamelen data gesteld. In Nederland wordt de data die nodig is voor het maken van de beoordeling aangeleverd door de fabrikant en CVZ voert de beoordeling uit. De beoordelingscriteria zijn effectiviteit en kosteneffectiviteit. De minister van VWS maakt de beslissing over vergoedingen van geneesmiddelen. In de Verenigde Staten verzamelt CMS de data zelf of besteedt het uit. Zowel de beoordeling als het uiteindelijke besluit is in handen van CMS. Criteria voor de beoordeling van een vergoedingsaanvraag zijn 'reasonable' en 'necessary'.

Een verschil in het vergoedingsproces in Nederland en de Verenigde Staten is dat het proces in Nederland transparanter is, omdat het inzichtelijk is welke criteria er zijn en hoe men tot een besluit komt. De minister baseert zijn besluit op basis van gedetailleerde rapporten van het CVZ en kan een aantal andere overwegingen maken. In Nederland zijn er verder strenge eisen gesteld aan de stukken die de fabrikant aan CVZ moet leveren. De fabrikant moet de vereiste data aanleveren, anders wordt het beoordelingsproces stil gezet. In de Verenigde Staten heeft CMS een passievere houding, ze beoordelen het geneesmiddel op basis van de beschikbare data. Het strakke beoordelingsproces in Nederland reflecteert een streven naar transparantie om de legitimiteit van beslissingen te onderbouwen. In de Verenigde Staten is transparantie blijkbaar minder belangrijk. Een mogelijke verklaring is dat de legitimiteit van beslissingen een minder grote rol speelt. Een gevolg hier van kan zijn dat door de minder sterke onderbouwing van de besluiten CMS minder sturingskracht heeft. Mogelijk wijst CMS daarom minder vergoedingsaanvragen af. Deze hypothese wordt ondersteund door het feit dat in de Verenigde Staten 16% van het BNP naar de gezondheidszorg gaat en in Nederland slechts 9%. Of dit te maken heeft met het verschil in de omvang van het collectief gefinancierde pakket is in het kader van deze studie niet onderzocht.

Een andere mogelijke verklaring waarom de legitimiteit van de vergoedingsbesluiten een minder grote rol speelt in de Verenigde Staten is de beleidsmatige rol van het pakket. In Nederland hebben alle burgers recht op basiszorg. Iedereen is verplicht zich te verzekeren voor een breed basispakket en deze zorg is universeel geregeld. In de Verenigde Staten bestaat er alleen een vangnet voor de allerarmsten en gehandicapten. Door middel van een overheidsprogramma, zoals Medicare, wordt er een minimum aan zorg voor deze mensen gegarandeerd. De vergoedingsbesluiten gelden in Nederland voor de gehele bevolking en daarom staan deze beslissingen mogelijk meer in de belangstelling dan in de Verenigde Staten. Omdat de vergoedingsbesluiten feitelijk op iedere burger van toepassing zijn is het belangrijk dat VWS de onderbouwing duidelijk aan de bevolking kan uitleggen en verantwoorden. Hiernaast speelt in Nederland solidariteit een belangrijke rol. Rijken en gezonden hechten waarde aan de gezondheid van de allerarmsten en gehandicapten, mede omdat zij aan de zorg van minder bedeelden meebetalen. In de Verenigde Staten staat het individu vaker centraal en is het solidariteitsgevoel minder aanwezig.

Om de procedures en criteria van het vergoedingsproces te beschrijven is het model van Hutton toegepast. Een beperking van ons onderzoek is dat niet alle informatie is gevonden, die nodig is om het vergoedingsproces te beschrijven en analyseren aan de hand van model van Hutton. Het is hierdoor niet mogelijk om van beide landen een volledig beeld van het vergoedingsproces weer te geven. De hiaten in ons onderzoek kunnen verschillende oorzaken hebben: mogelijk bestaat de informatie niet of is deze zo moeilijk toegankelijk dat het voor belanghebbenden lastig is te vinden. Het is van belang te realiseren dat dit niet alleen een tekortkoming, maar ook een resultaat van het onderzoek is. De mate waarin procedures voor besluitvorming inzichtelijk zijn, zijn voor stakeholders van belang om te kunnen participeren in het besluitvormingsproces en om de juiste keuzes te maken in het aanbieden van dossiers en informatie. Verder is de transparantie belangrijk om te zien hoe en in welke mate de gelijke toegang tot zorg gewaarborgd wordt.

Uit ons onderzoek blijkt dat de snelste weg tot een vergoedingsbesluit in beide landen 90 dagen is. Er bestaat een grote kans dat de geneesmiddelen zowel in Nederland als de Verenigde Staten later voor de patiënten beschikbaar zijn dan wordt aangegeven door de verantwoordelijke instanties. CVZ overschrijdt vaak de termijn die er voor staat en CMS maakt vaak gebruik van andere instituten waardoor de procedure ook meer tijd kost. Als het langer duurt voordat geneesmiddelen in aanmerking komen voor vergoeding, dan duurt het ook langer voordat deze geneesmiddelen beschikbaar zijn voor de patiënten. Het lijkt ons belangrijk om internationaal onderzoek te doen naar de snelheid van het vergoedingsproces. Elk land wil dat geneesmiddelen zo snel mogelijk beschikbaar zijn voor de patiënten, omdat

dit de volksgezondheid bevordert. Als er een internationale vergelijking wordt gedaan naar dit onderwerp worden de verschillende tijdperiodes inzichtelijk en kunnen landen van de verschillende procedures leren.

In Nederland en de Verenigde Staten verloopt het vergoedingsproces aan de hand van verschillende procedures en criteria. In Nederland is het vergoedingsproces specifiek gericht op geneesmiddelen, terwijl in de Verenigde Staten bij NCD's wordt gekeken naar de vergoeding van technologieën. Het vergoedingsproces is in Nederland transparanter door bijvoorbeeld het gebruik van het doelmatigheids criterium. Door de afwezigheid van zo'n criterium is er in de Verenigde Staten meer ruimte voor afwijkingen van besluiten als het gaat over doelmatige zorg. De legitimiteit bij het maken van besluiten speelt in de Verenigde Staten een minder grote rol. Beide landen gebruiken veel informatie om een gefundeerde beslissing te kunnen nemen. De beoordeling is in beide landen inzichtelijk, maar het besluitvormingsproces en de output en implementatie is beide landen minder transparant.

Literatuurlijst

Bos, F, R. R. Douven & E. Mot. 2004. *Vier toekomstscenario's voor overheid en zorg*. CPB Document No. 72

Burke, R.L. 2003. *New Process for seeking Medicare national coverage determinations* [Internet]. PPSV, 16-10-2003 [aangehaald op 04-04-2007]. Bereikbaar op <http://www.ppsv.com/news-publications-25.html>

Busch, M.C.M. 2004. 'Wat is de inhoud van het geneesmiddelenbeleid?' In: *Volksgesondheid Toekomst Verkenning, Nationaal Kompas Volksgezondheid* [Internet]. RIVM, 16-11-2004 [aangehaald op: 3-4-2007]. Bereikbaar op: http://www.rivm.nl/vtv/object_document/o2396n20626.html

(CMS) 2006. *Overview* [Internet]. CMS, 2006 [aangehaald 18-06-2007]. Bereikbaar op <http://www.cms.hhs.gov/CoverageGenInfo/>

(CMS) 2007a. *NHE summary including share of GDP CY 1960-2005* [Internet]. CMS, 2005 [aangehaald op 14-06-2007]. Bereikbaar op http://www.cms.hhs.gov/NationalHealthExpendData/02_NationalHealthAccountsHistorical.asp#TopOfPage

(CMS) 2007b. *Overview* [Internet]. CMS, 14-12-2005 [aangehaald op 13-06-2007]. Bereikbaar op <http://www.cms.hhs.gov/MedicareGenInfo/>

(CMS) 2007c. *Glossary* [Internet]. CMS, [aangehaald op 15-05-2007]. Bereikbaar op <http://www.cms.hhs.gov/apps/glossary/default.asp?Letter=N&Language=English>

(CMS) 2007d. *Medicare coverage determinations process* [Internet]. CMS, 09-02-2007 [aangehaald op 22-04-2007]. Bereikbaar op http://www.cms.hhs.gov/DeterminationProcess/01_Overview.asp#TopOfPage

(CMS) 2007e. *CMS proposes appeals process for Medicare coverage decisions* [Internet]. CMS, 14-05-2007 [aangehaald op 01-06-2007]. Bereikbaar op <http://www.cms.hhs.gov/apps/media/press/release.asp?Counter=481>

(CMS) 2007f. *Medicare Coverage Determination Process Overview* [Internet]. Centers for Medicare & Medicaid Services, 09-02-2007 [aangehaald op 23-03-2007]. Bereikbaar op <http://www.cms.hhs.gov/DeterminationProcess/>

(CMS) 2007g. *Post coverage analysis* [Internet]. CMS, 09-02-2007 [aangehaald op 26-03-2007]. Bereikbaar op http://www.cms.hhs.gov/DeterminationProcess/03_PCA.asp#TopOfPage

(CMS) 2007h. *Medicare coverage database indexes* [Internet]. CMS, 27-04-2007 [aangehaald op 26-03-2007 & 16-05-2007]. Bereikbaar op http://www.cms.hhs.gov/mcd/ncpc_view_document.asp?id=8III

(CMS) 2007i. *Medicare coverage database. View decision memo* [Internet]. CMS, 05-01-2007 [aangehaald op 26-03-2007]. Bereikbaar op <http://www.cms.hhs.gov/mcd/results.asp?show=all&t=200761575513>

Combs, S. 2007. *Weighing the Costs* [Internet]. Window on State Government, 23-03-2007 [aangehaald 28-03-2007]. Bereikbaar op <http://www.window.state.tx.us/specialrpt/obesitycost/05weighingcosts.html>

(College voor zorgverzekeringen) 2000. *Procedure aanvraag vergoeding geneesmiddelen*. Amstelveen: CVZ.

(College voor zorgverzekeringen) 2006. *Een zorgvuldige afweging*. Diemen

(Department of health and human services). 2003. *Federal Register* [aangehaald op 26-03-2007] bereikbaar op <http://a257.g.akamaitech.net/7/257/2422/14mar20010800/edocket.access.gpo.gov/2003/pdf/03-24361.pdf>

(Department of health and human services). 2005. Titel 42 Public Health. Chapter IV CMS, DHHS. Part 426. Bereikbaar op http://www.access.gpo.gov/nara/cfr/waisidx_06/42cfr426_06.html

(Department of Health and Human Services). 2007a. *Secretary Mike Leavitt: HHS Priorities* [Internet]. Department of Health and Human Services, 18-04-2007 [aangehaald 26-02-2007]. Bereikbaar op <http://www.os.dhhs.gov/secretary/priorities/>

(Department of Health and Human Services). 2007b. *National Medicare Handbook*. Baltimore: CMS

Garber, A.M. 2001. 'Evidence-based coverage policy. Insurers can borrow from research into medical effectiveness to help them allocate medical resources wisely'. *Health Affairs* 20 (5):62-82.

Gillick, M. 2004. 'Medicare coverage for technology innovations – Time for new criteria?'. *The New England Journal of Medicine* 350;21:2199-2203

Goldman, D.P. & E.A. McGlynn. 2005. *U.S. Health Care Facts about cost, access, and quality* [Internet]. RAND corporation [aangehaald 19-03-2007]. Bereikbaar op http://www.rand.org/pubs/corporate_pubs/2005/RAND_CP484.1.pdf

Hofman, E.D. et al. 2006. *BRIEF SUMMARIES of MEDICARE & MEDICAID Title XVIII and Title XIX of The Social Security Act*. Baltimore: CMS

Hutton, J. 2006. 'Framework for describing and classifying decision-making systems using technology assessment to determine the reimbursement of health technologies (fourth hurdle systems)'. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 22 (1):10-18.

Kaiser Family Foundation. 2006. *An in-depth examination of formularies and other features of Medicare drug plans* [Internet]. Kaiser Family Foundation, 11-04-2006 [aangehaald op 22-06-2007]. Bereikbaar op <http://www.kff.org/medicare/7489.cfm>

Langwell, K.M. 1990. 'Structure and performance of health maintenance organizations: a review'. *Health Care Financing Review* 12(1):71-78.

Lapr , R. & F. Rutten & E. Schut. 2001. *Algemene economie van de gezondheidszorg*. Maarssen: Elsevier gezondheidszorg. [1999]

Leavitt, M.O. 2006 *Reports on Congress on national coverage determinations for fiscal year 2004*. Washington DC

Medicare. 2007. *What if people don't agree with Social Security's decision?* [Internet]. Medicare, 29-09-2006 [aangehaald 01-06-2007]. Bereikbaar op

http://questions.medicare.gov/cgi-bin/medicare.cfg/php/enduser/std_adp.php?p_faqid=1856&p_created=1159541770&p_sid=xVQCQOAi&p_lva=&p_sp=cF9zcmNoPTEmcF9zb3J0X2J5PSZwX2dyaWRzb3J0PSZwX3Jvd19jbnQ9MzcwJnBfcHJvZHM9JnBfY2F0cz0mcF9wdj0mcF9jdj0mcF9wYWdlPTU

Medpac. 2003. *Report to the congress: Medicare Payment Policy*.

Miller, W. 2006. 'Value-based coverage policy in the United States and the United Kingdom: Different Paths to a common goal'. *National Health Policy Forum* Background Paper 29 november 2006

(Ministerie van VWS) 2001. *Zorg met toekomst* [Internet]. Ministerie van VWS, 29-08-2001 [aangehaald 25-02-2007]. Bereikbaar op http://www.minvws.nl/kamerstukken/zzoude_directies/gzb/zorg_met_toekomst.asp

(Ministerie van VWS) 2004. College voor zorgverzekeringen. *Procedure aanvraag vergoeding geneesmiddelen*.

(Ministerie van VWS) 2006. *OESO indicatoren 2006* [Internet]. Ministerie van VWS, 26-06-2006 [aangehaald op 18-10-2006]. Bereikbaar op <http://www.minvws.nl/persberichten/meva/2006/cijfers-oecd.asp>

(Ministerie van VWS) 2007. *Veranderingen in de zorg 2007* [Internet]. Ministerie van VWS [aangehaald op: 20-3-2007]. Bereikbaar op: <http://www.minvws.nl/dossiers/veranderingen-in-de-zorg-2006>.

Neumann, P.J. et al. 2005. 'Medicare's National Coverage Decisions, 1999-2003: Quality Of Evidence And Review Times'. *Health Affairs* 24 (1):243-254.

(OECD) 2006a. *OECD Health Data 2006. How does the Netherlands compare* [Internet]. OECD, 2006 [aangehaald op 10-11-2006]. Bereikbaar op <http://www.oecd.org/dataoecd/30/34/36959553.pdf>

(OECD) 2006b. *OECD Health Data 2006. How does the United States compare* [Internet]. OECD, 2006 [aangehaald op 10-11-2006]. Bereikbaar op <http://www.oecd.org/dataoecd/29/52/36960035.pdf>

(OECD) 2007. OECD in Figures 2006-2007-Health spending and resources [Internet]. OECD, 06-02-2007 [aangehaald op 14-06-2007]. Bereikbaar op <http://ocde.p4.siteinternet.com/publications/doifiles/012006061T02.xls>

Oliver, T.R. 2004. 'Policy Entrepreneurship in the Social Transformation of American Medicine: The Rise of Manged Care and Managed Competition'. *Journal of Health Politics, Policy and Law* 29(4-5):701-734.

Oostenbruggen M.F. R.B. Jansen K. Mur H. Kooijman. 2005. 'Penny and Pound Wise'. *Pharmacoeconomics* 23(3): 219-226.

Persoonlijke communicatie. 2005. Hoorcollege van Ross Brechner op 29-07-2005: An introduction to Medicare Coverage. Bereikbaar op <http://grants.nih.gov/grants/funding/SBIRConf2005/BrechnerR.ppt>

Persoonlijke communicatie. 2006. Gesprek met Joshua Cohen op 26-10-2006 over Verenigde Staten.

Persoonlijke communicatie. 2006. E-mail van Elly Stolk op 28-11-2006 over fourth hurdle systemen.

Persoonlijke communicatie. 2006. Hoorcollege van het vak Zorgstelsel en Zorgverzekeringen gegeven op 11-12-2006 door Richard van Kleef: Eigen betalingen en polissen met voorkeuraanbieders.

Persoonlijke communicatie. 2007a. E-mail van Joshua Cohen op 06-05-2007 over inleiding.

Persoonlijke communicatie. 2007b. E-mail van Joshua Cohen op 20-06-2007.

Persoonlijke communicatie. 2007c. Gesprek met Joshua Cohen over implementatie en output.

Persoonlijke communicatie. 2007. Gesprek met Joshua Cohen en Elly stolk op 11-05-2007 over inleiding en landestuk Verenigde Staten.

Persoonlijke communicatie. 2007. Lieke Gooskens gesprek met Elly Stolk over voortgang bachelorscriptie op 15-5-2007.

Raad voor de Volksgezondheid en Zorg 2006. *Zinnige en duurzame zorg* [Internet]. RVZ, 2006 [aangehaald op 18-10-2006]. Bereikbaar op http://www.rvz.net/data/download/advies_Zinnige_zorg.pdf

(Regering Nederland) 2006. *OESO* [Internet]. Regering.nl, 2006 [aangehaald op 18-10-2006]. Bereikbaar op http://www.regering.nl/trefwoordenregister/42_10911.jsp

Smith, J.J. & J.A. Henderson. 2006. *Bringing new medical technology to market: understanding CMS Coverage and payment determinations* [Internet]. CIMIT, [aangehaald 04-04-2007]. Bereikbaar op http://www.cimit.org/cms_coverage.pdf

Smith, J.J., Maida T.R. & J.A. Agraz. 2001. 'Medicare Coverage for New Medical Technology. The Basics of Health Care Financing Administration Policy'. *American Journal of Roentgenology* 2001 176:313-316.

Stolk E.A. & F.F.H. Rutten. 2005. *The health basket in the Netherlands*. Rotterdam: Erasmus MC.

Straube, B.M. 2005. 'How changes in the Medicare coverage process have facilitated the spread of new technologie'. *Health Affairs* Web exclusive 23-06-2005:314-316.

Tunis, S.R. & J.L. Kang. 2001. 'Improvements in Medicare coverage of new technology'. *Health Affairs* 20(5):83-85

(United States General Accounting Office) 2003. *Divided Authority for Policies on Coverage of Procedures and Devices Results in Inequities* [Internet]. General Accounting Office, april 2003 [aangehaald 19-03-2007]. Bereikbaar op <http://www.gao.gov/new.items/d03175.pdf>

Bijlagen

Bijlage 1: Afkortingenlijst.

AHRQ	Agency for Healthcare Research and Quality
AWBZ	Algemene Wet Bijzondere Ziektekosten
BNP	Bruto Nationaal Product
CBG	College ter Beoordeling van Geneesmiddelen
CBO	Centraal Begeleidings Orgaan
CFH	Commissie Farmaceutische Hulp
CMS	Center for Medicare & Medicaid Services
CVZ	College Van Zorgverzekeringen
FDA	Food and Drug Administration
GAO	General Accounting Office
GVS	geneesmiddelenvergoedingssysteem
HHS	Department of Health and Human Services
HMO	Health Maintenance Organizations
HTA	Health Technology Assessment
LAREB	Stichting Registratie Evaluatie Bijwerkingen
MedCAC	Medicare Evidence Development Coverage Advisory Committee
MCO	Managed Care Organization
MMA	Medicare Prescription Drug, Improvement, and Modernization Act
NCD	National Coverage Determinations
OECD	Organisation for Economic Co-operation and Development
OESO	Organisatie voor Economische Samenwerking en Ontwikkeling
RVZ	Raad voor de Volksgezondheid en Zorg
TEC	Technology Evaluation Center
VWS	Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport
WOG	Wet op de Geneesmiddelen
Zvw	Zorgverzekeringswet

Bijlage 2: de vragen uit het model van Hutton.

QUESTION LIST FOR DESCRIPTORS

J Hutton et al IJTAHC 2006

(a) Policy Level

Establishment

- 1 What is the legal basis for the establishment of the 4th hurdle system?
- 2 How is the system governed?
- 3 *Who runs the organisations involved?*
- 4 *To whom are they accountable and how?*
- 5 *Who is overseeing the system?*
- 6 *Who do they ultimately report to?*
- 7 *Who appoints Board members and how?*
- 8 *Can the mission(s) of the organisation(s) involved be modified? By whom and how?*
- 3 How is the system funded and budgeted?
- 9 *Who defends and gets the budgets for the organisation(s), and how?*
- 10 *Do external considerations such as budget influence decision-making?*
- 11 *What is the scale of the system's activities based on both budget and stated plans?*
- 12 *How many decisions?*
- 4 How is the system organised?
- 13 *Which organisations comprise the fourth hurdle system?*
- 14 *How big are they and what resources are available to them?*
- 15 *What are the links between the different bodies that constitute the overall system (see also at §2.4.1 the question regarding role repartition between local / regional and central)?*
- 16 *What kind of independence or dependence is there between the parts of the systems, and with the government (ministries)?*
- 17 *Which organisation(s) do the technology assessments?*
- 18 *Which organisation(s) or part of organizations (e.g. committees), makes decisions*
- 19 *Who makes the final decisions?*
- 20 *Which organisation(s) implements technology assessment decisions?*
- 5 Are there separate 4th hurdle systems to assess pharmaceutical and non-pharmaceutical technologies (e.g. devices).
- 21 *If so what are the links between these systems?*
- 22 *Are there separate budgets or is there coordination of decisions?*
- 23 *What does the organization and governance of the system reveal, implicitly or explicitly, about the purpose of the system?*

Objectives

- 6 What technologies are within the scope of the (separate or combined) system?
 - *Is the scope determined as part of the legal basis of the system (q.v. §2.2.1) or on a different basis, and is there flexibility in establishing the scope?*
 - *What is the scope, for example: only medicines or all health technologies; only new technologies or all currently marketed technologies; all technologies in a particular category (e.g. all new medicines) or a*

- subset of technologies prioritised for consideration? (For prioritisation, see at §2.2.3.) (There may be other categories)*
- *At what stage(s) of their life cycle are technologies evaluated e.g. at launch only, at fixed intervals, or when perceived as a “problem”?*
- 7 Does the (separate or combined) system have explicitly stated objectives?
- *What are the overall objectives?*
 - *How are the objectives established: in legislation, by government directive or regulation, by a specific regulatory body?*
 - *Are the objectives public and are they understandable by a lay audience?*
 - *Is the system limited to making reimbursement/funding decisions or does it also provide guidance on implementation/utilisation?*
 - *What evidence is used to set priorities within the system’s overall objectives?*
- 8 Are the publicly stated objectives the objectives followed in reality?
- *What can we learn about the real objectives from the system’s actual activities?*
- 9 What evidence is used to select specific technologies for appraisal and re-appraisal?
- 24 *What process is followed to do this?*
- 25 *Is this process based on publicly–stated selection criteria?*
- 26 *What criteria and evidence are used to set priorities for selection?*
- 27 *Is the selection rationale subject to public scrutiny?*
- 10 Who makes selection decisions?
- 28 *What is the scope for other stakeholders to input to it?*
- 29 *How are other parties consulted?*

Implementation

Who is responsible for the implementation of decisions? This may be the direct responsibility of the Health Ministry, the Health Insurance Organisations or individual providers such as hospitals or specialist clinics.

Are decisions mandatory or is there scope for local variation at regional or hospital level?

Accountability

- 11 To what extent is the impact of the 4th hurdle system assessed against its purpose and objectives?
- *Is the system held to account for the impact of its assessments?*
 - *Is there a formal system for monitoring the impact of assessments to improve the 4th hurdle’s performance at having an impact?*
 - *Is impact assessment internal to the 4th hurdle system (i.e. self-assessment) or it undertaken by an external body (e.g. Parliamentary Committee, auditor)?*
- 12 How is the performance of the 4th hurdle system assessed and held accountable for performance and overall impact?
- 30 *How is the performance measured?*
- 31 *Does performance assessment promote learning and performance improvement?*
- 32 *Does performance measurement distinguish between intended outcomes (such as producing assessments or guidance) and unintended consequences (such as impact on R&D or product availability)?*
- 33 *Is the performance assessment on-going, or periodic (e.g. annual)?*
- 34 *What counts as evidence that the system is working?*
- 35 *Is performance assessment internal to the 4th hurdle system (i.e. self-assessment) or is it undertaken by an external body (e.g. Parliamentary Committee, auditor)?*
- 36 *What are the consequences of the reviews for the future actions of the system?*

(b) Individual Technology Decision Level

Assessment

12.1 Consultation

- 13 Do stakeholders have the right to participate in the assessment process?
 - 37 *Is the public represented?*
 - 38 *What groups are or have been involved?*
 - 39 *How are they identified or selected?*
- 14 What is the nature of stakeholder involvement?
 - 40 *Does the process deliberately seek certain kinds of involvement from particular stakeholders?*
 - 41 *Are stakeholders only consulted, or are they involved in determining the conclusions of the assessment?*
 - 42 *Do all stakeholders have the right to submit evidence?*

14.1 Methods

- 15 What is the assessment process?
 - 43 *What is the timetable of the assessment process and are deadlines mandated?*
 - 44 *Who does the actual assessment? Is it subcontracted or is it done internally?*
 - 45 *How is internal work assessed for quality and validity?*
 - 46 *Where does the data about the assessed technology come from [1] sponsors of a technology only, [2] 3rd party / independent literature, [3] other sources, or a combination of these?*
- 16 How is the specific body constituted that conducts assessments?
 - 47 *What expertise does it have (e.g. clinical expertise, economics)?*
 - 48 *Is this expertise contracted from an independent organisation or a committee of individuals?*
 - 49 *How are independent organisations contracted and their work monitored?*
 - 50 *Where do committee members come from (industry, academe, government, public)?*
 - 51 *What degree of independence of members is required, relative to their employing organisation (e.g. university, industry, government, consultant, etc.)?*
 - 52 *Are public officials included (appointed, selected/recruited, or seconded)?*
 - 53 *How are individuals recruited (advertisements, selection panel, ministerial appointment)*
 - 54 *What forms of compensation are used (daily fees, salary, expenses only)?*
- 17 Is the methodology determined on a case-by-case basis, or common to all assessments?
 - 55 *Is the methodology documented and published?*
 - 56 *Is methodology driven by current standards of scientific practice such as transparency, external peer accountability and replicability?*
 - 57 *Is the full range of methods used appropriately?*
 - 58 *Are there guidelines for undertaking the assessment, such as [1] guidelines for documenting the assessment; [2] guidelines for submitting evidence for the assessment?*
 - 59 *Do all parties to the assessment follow the same guidelines including the 4th Hurdle body or Committee responsible for the conclusions?*
 - 60 *Is the assessment of the evidence peer reviewed or is there consultation with stakeholders?*
- 18 Does the methodology take account of uncertainty in the evidence?
- 19 How is uncertainty in the evidence provided and in the conclusions of the assessment presented by the assessment body to the 4th hurdle system decision-makers?

19.1 Use of Evidence

- 20 What types of evidence are considered during assessment and how?

- 61 *Is there a formal statement of method that provides guidance on the types of evidence and their use? What does it say?*
- 62 *Does it distinguish evidence that is required (i.e. need to know) from what is desirable (i.e. nice to know)?*
- 63 *Is there a publicly stated rationale to justify the type of evidence taken into account?*
- 64 *Is there a hierarchy of standards for evidence?*
- 21 **What standards of evidence are considered for assessments?**
- 65 *Are these standards “absolute” and applied in a systematic way regardless of context or “relative” applied with controlled flexibility according to the context or requirements of each technology?*
- 66 *Are the standards applied uniformly regardless of the provider of the evidence (evidence coming from the Industry, from other stakeholders or gathered by the fourth hurdle body itself)?*
- 67 *Are the standards used in agreement with generally accepted standards elsewhere in other fourth hurdle bodies? Or are they aligned with the standards accepted by independent observers, such as academics?*

21.1 Presentation of Results

- 22 **How are the results of assessments presented and communicated?**
- 68 *How does the decision making body receive an assessment report: [1] all the information in detailed report format, or [2] a summary?*
- 69 *How are assessment conclusions presented: [1] in a synthesised format, e.g. as a cost/ QALY ratio (which can be compared with a pre-established cost-effectiveness threshold); [2] a disaggregated way, e.g. in the form of a balance sheet of separate clinical, economic and social impacts, (to which the decision-makers may apply their own weighting)?*
- 70 *Does the decision-making body have the opportunity to question the assessment body on the report?*
- 71 *Does the recommendation inform about the level of reliability of the results, e.g. by showing the data sources for key variables and the uncertainty surrounding the estimates?*
- 23 **How is other information relevant to specific assessments communicated?**
- 24 **Is other information from stakeholders presented directly to the decision-makers or processed through an independent review?**

Decision

2.1 Who Makes the Decision

- 25 **What organization has final responsibility for decisions?**
- 72 *Who makes the decision, the 4th Hurdle agency, the Health Ministry or another body?*
- 73 *Is there a separate committee or authority for this purpose?*
- 74 *Where a separate body is involved, what is its role: to approve the recommendations of the assessment report or to bring additional information to bear and to exercise judgement?*
- 75 *Who are the members of the separate body and how are they selected e.g. to represent interest groups or for their technical knowledge?*
- 76 *Can regional authorities alter the decision locally or influence its implementation? (See §2.5.2 for discussion of implementation)*
- 77 *Do regional authorities base decisions on their own local assessment or do they utilise information from the national process?*

2.2 Decision Process

- 26 **Is the decision-making process documented and transparent?**
- 78 *What is the process for taking decisions (e.g. how many meetings are required, use of experts, presentations)?*
- 79 *Is the process transparent and open to the public or interested stakeholders?*
- 80 *Does the process involve deterministic (using an algorithm or formula) or discretionary methods?*
- 81 *How does the decision-making body form its decision (e.g. is consensus required or is a vote taken, and can any individual party exercise a veto)?*

- 27 What does a “decision” look like?
- 82 *Can the recommendation for reimbursement or utilisation differ from the content of the product licence; e.g. by restricting the scope of the indications and/or the target population?*
- 83 *Is there room for manoeuvre in the decision making process so as to take uncertainty into account, e.g. by granting provisional, or conditional decisions, or requesting further data before making definitive decisions, etc?*
- 84 *Is there a timetable for review specified in the decision?*

2.3 Evidence and Other Influences

- 28 What is the evidence base for decision-making?
- 85 *Is the evidence contained completely within the assessment report or can additional information be provided at the decision-making stage?*
- 86 *If additional evidence can be introduced at the decision-making stage, by whom and for what reasons?*
- 87 *How is this extra evidence for decision-making collected; in what way is it similar to or different from evidence for an assessment?*
- 29 What sort of opportunities do stakeholders have to influence the decision-making body?
- 88 *Can stakeholders such as the medical professions, industry and patients directly seek to influence the decision-making body?*
- 89 *Which stakeholder groups can attend decision-making meetings?*
- 90 *Can they present, answer questions or just observe?*

2.4 Documentation of decision

- 30 Are decisions placed in the public domain?
- 91 *What information is made public: [1] the rationale for each decision [2] the whole decision, [3] an extract [4] information that a decision has been made but not the details.*
- 92 *Does the format in which decisions are published provide sufficient information to allow decisions to be reviewed in light of the objectives of the system?*
- 93 *Does the published decision include access to the evidence on which the decision was made or on how the decision was arrived at (e.g. votes or comments of decision makers)?*
- 94 *Is there any form of “mapping” that allows the basis for decisions to be traced back to both the evidence as well as the decision-makers (through, for example, recorded votes)?*
- 31 Is there a notice period, public debate or a consultation process with stakeholders between the decision being made and it being implemented or enforced?

Outputs and Implementation

3.1 Appeal and dissent

- 32 Is there is a formal appeal mechanism?
- 95 *What appeal rights do stakeholders have?*
- 96 *If there is no appeal mechanism: is there recourse to express disagreement, (e.g. access to the courts)?*
- 97 *Is there a separate, external, appeal body, or are appeals made to the body that took the original decision?*
- 33 What appeal options are available
- 98 *Do the options include: judicial review, formal or informal discussion, or other methods?*
- 99 *Are there any restrictions on who can appeal, and on what grounds: for example, are appeals permitted on procedural or substantive grounds, or both?*
- 100 *Can the sponsor of a technology appeal a decision, and can funders and other stakeholders do so?*
- 101 *Are there any guidelines, or restrictions, on grounds for appeal?*
- 34 How does the appeal process actually work?
- 102 *Who is involved, what processes are involved, is there a timetable, mandated deadlines, etc.*
- 103 *Are hearings arranged or is the appeal conducted solely by exchange of correspondence?*
- 104 *What happens in respect of the original decision while the appeal is pending? Is the original decision implemented, or is it delayed pending the outcome of the appeal?*

3.2 Implementation

- 35 What support mechanisms are there to ensure the implementation of decisions in the real world?
- 105 *What mechanisms are in place to ensure that changes take place within the health system organizations to reflect or implement the decision?*
- 106 *Is there a system to help, support, or enforce the implementation (e.g. communication efforts, training, prescription surveillance, and sanctions)?*
- 107 *How is implementation tracked; does it include impact assessment?*
- 36 Are there other policies or regulatory practices within the health system that compete with, or act as a barrier to implementation of decisions?
- 108 *Is there a way to ensure good coordination for implementation within the health care system?*
- 109 *Is there a way to reconcile adoption of new technology with short-term objectives, such as cost containment, and administrative rigidities, such as silo budgeting?*

109.3 Reappraisal

- 37 Is there a system for identifying when to review decisions and reappraise technologies?
- 110 *On what factors is a reappraisal based?*
- 111 *How is this system organised?*
- 38 What triggers a reappraisal?
- 112 *Does reappraisal involving a particular product / technology occur when there are changes in the technology?*
- 113 *Does reappraisal involve a broader review of a technology in the context of competing technologies?*

113.3 Evidence of Impact

- 39 Is there a review of the implementation and impact of decisions?
- 114 *What counts as evidence that the decisions have had an impact?*
- 115 *Is such a review triggered by a specific event (e.g. new evidence, a clinical event, publicity, a complaint, an appeal, etc.) or is it a routine part of the process?*
- 40 What consequences may stem from an assessment of the impact of a decision?
- 116 *Do consequences depend on the type of impact (e.g. positive, negative, mixed)?*
- 117 *What is the timetable for acting on an impact assessment in order to review the decision; is the process mandated in any way?*