

---

# Medische producten: nieuw en nodig!

---

Achtergrondstudies bij de investeringsagenda voor onderzoek naar innovatieve en relevante medische producten





---

# Ten geleide

---

Bij de voorbereiding van het advies Medische producten: nieuw en nodig! Een investeringsagenda voor onderzoek naar innovatieve en relevante medische producten heeft de commissie drie achtergrondstudies laten uitvoeren. Omdat deze studies interessant zijn voor een breder lezerspubliek, zijn ze gebundeld in deze uitgave.

De meest omvangrijke achtergrondstudie betreft de raadpleging van patiënten en zorgverleners en is uitgevoerd door het Athena Instituut. Volgens een gevalideerde methode van focusgroepen en aanvullende interviews, heeft het Athena Instituut de behoeften van veel patiënten en zorgverleners boven tafel weten te krijgen. Deze bijdrage heeft de basis gevormd voor de inhoudelijke onderzoeksagenda.

Ten behoeve van de complexe vraag over de legitimering van publieke investeringen in onderzoek naar medische producten, heeft de commissie een studie laten uitvoeren door het Rathenau Instituut. Dit instituut heeft gekeken naar de publieke geldstromen voor gezondheidsonderzoek in Nederland en naar de output van dit veld (kwantitatief) in vergelijking met de rest van de wereld. Mede op basis daarvan heeft de commissie conclusies kunnen trekken over de kennisbasis die nodig is voor onderzoek naar en ontwikkeling van medische producten.

De derde studie, uitgevoerd door Technopolis BV, betreft een follow-up van een RGO-advies uit 2002, Knarsende Schakels; Technologische innovatie en gezondheidszorg. In dit advies is innovatie in de gezondheidszorg beschouwd aan de hand van zes casus,

---

waarbij vooral gekeken is naar de schakels tussen de trias zorg, wetenschap en industrie. De follow-up studie gaat in op de wijze waarop die schakels zich ontwikkeld hebben sinds 2002: knarsen ze nog altijd, of hebben verbeteringen plaatsgevonden? Deze achtergrondstudie was van belang voor de commissie, omdat eruit blijkt dat, naast investeringen in onderzoek, ook andere maatregelen nodig blijven om innovatie te bevorderen.

Ik hoop dat uw kennismaking met deze drie studies een aangename en leerzame ervaring mag zijn.

A handwritten signature in black ink, appearing to read 'Louise' followed by a stylized flourish.

prof. dr. L.J. Gunning-Schepers  
voorzitter Gezondheidsraad

---

# **Medische producten: nieuw en nodig!**

Achtergrondstudies bij de investeringsagenda voor onderzoek naar innovatieve en relevante medische producten

---

---

aan:

de minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport

de minister van Onderwijs, Cultuur en Wetenschap

de minister van Economische Zaken, Landbouw en Innovatie

---

Nr. A10/10, Den Haag, 18 januari 2011

---

---

De Gezondheidsraad, ingesteld in 1902, is een adviesorgaan met als taak de regering en het parlement ‘voor te lichten over de stand der wetenschap ten aanzien van vraagstukken op het gebied van de volksgezondheid en het gezondheids-(zorg)onderzoek’ (art. 22 Gezondheidswet).

De Gezondheidsraad ontvangt de meeste adviesvragen van de bewindslieden van Volksgezondheid, Welzijn & Sport; Volkshuisvesting, Ruimtelijke Ordening & Milieubeheer; Sociale Zaken & Werkgelegenheid, Landbouw, Natuur & Voedselkwaliteit en Onderwijs, Cultuur & Wetenschap. De raad kan ook op eigen initiatief adviezen uitbrengen, en ontwikkelingen of trends signaleren die van belang zijn voor het overheidsbeleid.

De adviezen van de Gezondheidsraad zijn openbaar en worden als regel opgesteld door multidisciplinaire commissies van – op persoonlijke titel benoemde – Nederlandse en soms buitenlandse deskundigen.



De Gezondheidsraad is lid van het European Science Advisory Network for Health (EuSANH), een Europees netwerk van wetenschappelijke adviesorganen.



*INAHTA*

De Gezondheidsraad is lid van het International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA), een internationaal samenwerkingsverband van organisaties die zich bezig houden met *health technology assessment*.

---

U kunt het advies downloaden van [www.gr.nl](http://www.gr.nl).

---

Deze publicatie kan als volgt worden aangehaald:

Gezondheidsraad. Medische producten: nieuw en nodig! Achtergrondstudies bij de investeringsagenda voor onderzoek naar innovatieve en relevante medische producten. Den Haag: Gezondheidsraad, 2010; publicatienr. A10/10.

---

auteursrecht voorbehouden

---

ISBN: 978-90-5549-820-8

---

---

# Inhoud

---

**Ten geleide**

---

**Onderzoeksagenda Medische Producten  
Behoeften van patienten en zorgverleners**

Athena instituut, Vrije Universiteit Amsterdam

---

**Financiering van en specialisering in medisch onderzoek  
Verkennde studie**

Rathenau instituut

---

***Follow-up van case studies*  
'Knarsende Schakels'(2002)**

Technopolis group

---





---

# Onderzoeksagenda Medische Producten Behoeften van patienten en zorgverleners

---

**Athena instituut, Vrije Universiteit Amsterdam**

Jacqueline Broerse

Janneke Elberse

Lia van der Ham

Janine van de Kraats

Carina Pittens

Tjard de Cock Buning



## Onderzoeksagenda Medische Producten Behoeften van patiënten en zorgverleners



2010  
Jacqueline Broerse  
Janneke Elberse  
Lia van der Ham  
Janine van de Kraats  
Carina Pittens  
Tjard de Cock Buning  
**Athena Instituut**





# **Onderzoeksagenda Medische Producten**

## **Behoeften van patiënten en zorgverleners**

### **Eindrapportage**

In opdracht van de Gezondheidsraad

**Augustus 2010**

Athena Instituut, Vrije Universiteit Amsterdam

Jacqueline Broerse

Janneke Elberse

Lia van der Ham

Janine van de Kraats

Carina Pittens

Tjard de Cock Buning



# Inhoud

<b>1.</b>	<b>Inleiding</b> .....	<b>5</b>
<b>2.</b>	<b>Activiteiten: een overzicht</b> .....	<b>7</b>
2.1	Aanpak .....	7
2.2	Vorbereidingsfase 1 (januari – maart 2010) .....	7
2.3	Consultatiefase (februari – mei 2010).....	9
2.4	Analyse- & integratiefase (half april - mei 2010) .....	14
2.5	Verslaglegging (half mei – half juni 2010).....	15
2.6	Team .....	16
<b>3.</b>	<b>Resultaten patiëntenconsultatie</b> .....	<b>17</b>
3.1	Beschrijving van de resultaten.....	17
3.2	Ziekteoverstijgende onderwerpen.....	21
<b>4.</b>	<b>Resultaten consultatie zorgverleners</b> .....	<b>23</b>
4.1	Beschrijving van de resultaten.....	23
<b>5.</b>	<b>Conclusie en discussie</b> .....	<b>27</b>
5.1	Conclusies .....	27
5.2	Discussie .....	29
5.3	Mogelijkheden voor de toekomst.....	32
<b>Bijlage 1</b>	<b>Tabel overige medische producten</b> .....	<b>35</b>
<b>Bijlage 2</b>	<b>Analyses van de ziektegebieden</b> .....	<b>37</b>
	Ademhalingsproblematiek.....	38
	Angst- en dwangstoornissen.....	40
	Bewegingsapparaat .....	42
	Brandwonden.....	44
	Cardiovasculaire aandoeningen .....	46
	Cerebro Vasculair Accident .....	48
	Dementie .....	50
	Depressie.....	52
	Diabetes.....	54
	Maag- darm- en leveraandoeningen .....	57
	Nierziekten.....	60
	Spierziekten .....	63
	Verstandelijke beperkingen.....	65
	Visuele beperking .....	68
	Zeldzame aandoeningen .....	71
<b>Bijlage 3</b>	<b>Analyses van de zorgverleners</b> .....	<b>73</b>
	Huisartsen.....	74
	Mantelzorgers .....	76
	Medisch specialisten.....	78
	Verpleegkundigen .....	80





# 1. Inleiding

De Raad voor Gezondheidsonderzoek (RGO; onderdeel van de Gezondheidsraad) is door het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS) gevraagd een advies uit te brengen over een dynamische Onderzoeksagenda Medische Producten, waarbij aangegeven wordt

1. Voor welke onderzoeksgebieden stimulering door de overheid legitiem en opportuun is,
2. Waar prioriteit aan moet worden gegeven, en
3. Hoe de overheid onderzoek en innovatie op de aldus te onderscheiden prioritaire onderzoeksgebieden het beste kan stimuleren.

De RGO heeft het Athena Instituut – vanwege de ruime ervaring met het uitvoeren van interactieve beleidsprocessen<sup>1</sup> in de medische sector – gevraagd om ondersteuning te verlenen bij vraag 1, en in beperkte mate vraag 2 van de adviesaanvraag (voor welke gebieden stimulering door de overheid legitiem en opportuun is en aan welke onderzoeksgebieden op het gebied van medische producten prioriteit moet worden gegeven). De RGO commissie heeft tijdens de eerste vergadering besloten deze opgaven voornamelijk vanuit de vraagzijde te willen beantwoorden (maar daarbij het aanbod niet uit het oog te verliezen). Hiervoor worden twee stappen gemaakt. Ten eerste wordt de vraagzijde – de maatschappelijke behoeften aan medische producten – in kaart gebracht en ten tweede gaat de commissie de geïdentificeerde maatschappelijke behoeften prioriteren.

Medische producten kunnen worden onderverdeeld in:

- Geneesmiddelen,
- Biomaterialen (gentherapie, somatische celtherapie en weefselmanipulatieproducten),
- Medische hulpmiddelen (therapeutisch, diagnostisch en ondersteunend).

Dit rapport doet verslag van het onderzoek naar de onderzoeksbehoeften van patiënten en zorgverleners aan medische producten en heeft als doel inzicht te geven in de opzet, resultaten en conclusie. Allereerst wordt een overzicht gegeven van de activiteiten binnen het onderzoek (hoofdstuk 2). In hoofdstuk 3 wordt een samenvatting gegeven van de resultaten van de consultatie van patiënten binnen de verschillende ziektegebieden. Vervolgens gaan we in hoofdstuk 4 in op de resultaten van de consultatie van zorgverleners. Tot slot worden in hoofdstuk 5 de conclusies gepresenteerd en bediscussieerd. In de bijlage van dit rapport vindt de lezer een korte beschrijving van de prioritaire onderzoeksbehoeften aan medische producten van de geconsulteerde patiënten (per ziektegebied) en de geconsulteerde zorgverleners. Daarnaast worden ziektegebied overstijgende thema's, die door patiënten omschreven zijn als relevant maar niet direct gerelateerd zijn aan medische producten, eveneens kort beschreven.

---

<sup>1</sup> Beleidsproces waarin, naast traditionele stakeholders, meerdere relevante stakeholders worden betrokken zoals burgers en patiënten.



## 2. Activiteiten: een overzicht

In dit hoofdstuk gaan we in op de gevolgde onderzoeksmethodologie en bespreken we de vier fasen in het onderzoeksproces.

### 2.1 Aanpak

In het onderzoek wordt een probleemanalyse uitgevoerd en worden onderzoeksbehoeften aan medische producten vanuit het perspectief van stakeholders aan de vraagzijde geïdentificeerd. Parallel aan dit traject worden, door de RGO, stakeholders aan de aanbodzijde bevroegd. In een laatste fase van het project vindt een dialoog plaats tussen de RGO en diverse stakeholders van de vraag- en aanbodzijde. Voor de methodologie van het onderzoek hebben we gebruik gemaakt van de 'Interactive Learning and Action' methodologie zoals ontwikkeld door het Athena Instituut<sup>2</sup>. Deze onderzoeksaanpak omvat een uitgebreide 'needs assessment' fase, waarin onderzoekers met relevante stakeholders op participatieve wijze nagaan welke problemen zij ervaren en wat de wensen zijn voor verbetering van de huidige situatie.

De onderzoeksactiviteiten zijn in dit project in de volgende vier fasen onderverdeeld.

1. *Vorbereiding*: Het identificeren van relevante stakeholders aan de vraagzijde. Het inventariseren en analyseren van reeds bestaande inzichten in relevante en gewenste medische producten vanuit de geïdentificeerde stakeholders. De geïdentificeerde stakeholders zijn benaderd met de vraag of ze mee wilden werken aan het onderzoek. Hierbij zijn methoden als documentenanalyse en interviews toegepast. Daarnaast is een consultatieplan voor de volgende fase opgesteld.
2. *Consultatie*: Inzicht verkrijgen in behoeften aan nieuwe of verbeterde medische producten per stakeholder groep. Hierbij zijn de focusgroep methode en interviews toegepast.
3. *Analyse en integratie*: Op basis van de patiëntenconsultatie zijn drie prioritaire onderzoeksbehoeften per ziektegebied benoemd en is een matrix opgesteld waarin de onderzoeksbehoeften met betrekking tot medische producten van alle ziektegebieden zijn afgezet tegen de doelen die deze producten beogen. Op basis van de consultatie van zorgverleners zijn prioritaire onderzoeksrichtingen geïdentificeerd. Daarnaast zijn de onderzoeksbehoeften van de verschillende ziektegebieden met elkaar en met de verschillende groepen zorgverleners vergeleken. Vervolgens vond overdracht van de resultaten van de vraagzijde plaats aan de RGO. De RGO heeft de resultaten gewogen middels door hen opgestelde criteria. De gevolgde methode, resultaten en analyse zijn vervolgens bediscussieerd met alle stakeholdergroepen van vraag- en aanbodzijde in een dialoogbijeenkomst, georganiseerd door de RGO.
4. *Verslaglegging*.

Totale tijdsduur van het onderzoek bedroeg 5,5 maand (januari tot en met half juni 2010).

### 2.2 Voorbereidingsfase 1 (januari – maart 2010)

Op basis van de door RGO aangeleverde lijst met aandoeningen zijn de relevante stakeholders aan de vraagkant geïdentificeerd. Deze lijst is primair samengesteld op basis van vier criteria: (1) de 'burden of disease'

---

<sup>2</sup> Bunders, J.F.G., Broerse, J.E.W., Keil, F., Pohl, C., Scholz, R.W. and Zweekhorst, M.B.M. (2010). How can transdisciplinary research contribute to knowledge democracy? In: In 't Veld, R.J. (Ed.) *Knowledge Democracy – Consequences for Science, Politics and Media*. Heidelberg: Springer: 125-152.

in Nederland, (2) de zorgkosten van de ziektegebieden in Nederland, (3) de 'expert opinion' van de RGO commissie en (4) de aanwezigheid van een onderzoeksagenda vanuit patiëntenperspectief. In tabel 1.1 staan de ziektegebieden vermeld die in eerste instantie zijn geïdentificeerd.

**Tabel 1.1: Ziektegebieden – onderverdeeld in ziektegebieden met en zonder onderzoeksagenda - die in eerste instantie zijn geïdentificeerd.**

<i>Ziektegebieden zonder onderzoeksagenda</i>	<i>Ziektegebieden met onderzoeksagenda</i>
Cardiovasculair	Ademhalingsproblemen (astma, COPD <sup>3</sup> , weeslongziekten <sup>4</sup> )
Cerebro Vasculair Accident (CVA)	Diabetes
Bewegingsapparaat (reuma en artrose, inclusief ADL-beperkingen <sup>5</sup> )	Nierziekten
Dementie	Spierziekten
Depressie	Brandwonden
Angst- en dwangstoornissen	Verstandelijke beperking
Zeldzame aandoeningen	Dwarslaesie
Maag- darm- leverziekten	
Zintuigstoornissen	
Kanker	

Met patiëntenorganisaties van negen ziektegebieden zonder onderzoeksagenda – cardiovasculaire aandoeningen, bewegingsapparaat (reumatische aandoeningen en artrose), dementie, depressie, CVA, zeldzame aandoeningen, maag- darm- en leveraandoeningen, visuele beperkingen en angst- en dwangstoornissen – is contact opgenomen om na te gaan of zij wilden participeren in het onderzoek. Kanker is onderaan de lijst geplaatst, omdat al veel aandacht is voor onderzoek naar medische producten in dit ziektegebied. Binnen het project was ruimte voor één focusgroep per ziektegebied. Wanneer voor een ziektegebied een tweede focusgroep nodig was, (vanwege bijvoorbeeld een lage opkomst of onvoldoende representativiteit) had dit tot gevolg dat een ander ziektegebied niet kon worden meegenomen. Voor bewegingsapparaat en dementie waren twee focusgroepen noodzakelijk. Om die reden is kanker uiteindelijk niet meegenomen in dit project. Met betrekking tot zintuigstoornissen is ervoor gekozen dit toe te spitsen op visuele beperkingen.

Een aantal patiëntenorganisaties en gezondheidsfondsen hebben reeds uitgebreid de onderzoeksprioriteiten van patiënten in kaart gebracht. Dit betreft de volgende zeven ziektegebieden: ademhalingsproblemen, dwarslaesie, diabetes, nierziekten, spierziekten, brandwonden en verstandelijke beperkingen. Met de patiëntenorganisaties of fondsen van deze ziektegebieden werd contact opgenomen om na te gaan of zij wilden participeren in het onderzoek. De onderzoeksagenda's zijn niet specifiek opgesteld met het oog op onderzoek naar medische producten. Om die reden was het noodzakelijk deze agenda's vanuit dat perspectief tegen het licht te houden.

Daarnaast zijn als andere belangrijke stakeholders aan de vraagzijde diverse groepen zorgverleners geïdentificeerd: verpleegkundigen, huisartsen, medisch specialisten en mantelzorgers. Met belangenverenigingen of vertegenwoordigers van mantelzorgers en verpleegkundigen is contact opgenomen voor een verkennend gesprek om na te gaan in hoeverre ze bereid waren om in het onderzoek te participeren. Met de groepen huisartsen en medisch specialisten is in contact gekomen via het RGO secretariaat.

<sup>3</sup> Chronic Obstructive Pulmonary Disease

<sup>4</sup> Hieronder valt ook Cystic Fibrosis

<sup>5</sup> Beperkingen in de Activiteiten van het Dagelijkse Leven.

### 2.3 Consultatiefase (februari – mei 2010)

Het doel van deze fase was inzicht te verkrijgen in onderzoeksbehoeften aan medische producten per stakeholder groep. Hierbij zijn drie verschillende wegen bewandeld; (1) voor de ziektegebieden met onderzoeksagenda, (2) voor de ziektegebieden zonder onderzoeksagenda en (3) voor de verschillende groepen zorgverleners.

#### *Patiënten(organisaties) in de diverse ziektegebieden met onderzoeksagenda*

Een eerste traject is uitgezet voor de ziektegebieden waarvan reeds onderzoeksagenda's vanuit het perspectief van patiënten beschikbaar waren. Deze onderzoeksagenda's zijn echter niet specifiek opgesteld voor medische producten. Om die reden is voor de verschillende ziektegebieden contact gezocht met patiëntenorganisaties en andere relevante betrokkenen om – na analyse van de onderzoeksagenda op medische producten – onderzoeksbehoeften aan medische producten te verifiëren middels een interview. Als geen concrete medische producten zijn genoemd in de onderzoeksagenda is gezocht naar aangrijpingspunten in de agenda voor mogelijke onderzoeksbehoeften aan medische producten.

Voor het ziektegebied spierziekten is contact opgenomen met de Vereniging Spierziekten Nederland (VSN). De VSN heeft in 2007 in samenwerking met CAPHRI, Universiteit Maastricht, Interuniversitair Steunpunt Neuromusculair Onderzoek (ISNO) en ZonMW een brede onderzoeksagenda opgesteld. Met twee vertegenwoordigers van de VSN heeft een interview plaatsgevonden om inzichten bij hen te verifiëren. Daarnaast is een aanvullend interview gehouden met een onderzoeker, die betrokken was bij het opstellen van de onderzoeksagenda.

Voor het ziektegebied ademhalingsproblematiek is in 2005 door het Astma Fonds een brede onderzoeksagenda opgesteld voor astma en COPD, in samenwerking met ZonMW en het Athena Instituut, VU Amsterdam. Deze onderzoeksagenda is in 2009 geactualiseerd en uitgebreid voor de longaandoeningen longfibrose, pulmonale hypertensie, sarcoïdose en cystic fibrosis. Eerst heeft een verkennend interview plaatsgevonden met drie vertegenwoordigers van het Astma Fonds om de onderzoeksagenda bij hen te verifiëren voor medische producten. Vervolgens zijn vijf aanvullende interviews gehouden met mensen met COPD, astma en longfibrose, een vertegenwoordiger van de Vereniging Pulmonale Hypertensie Nederland en twee vertegenwoordigers van de Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting voor aanvulling en aanscherping van de verkregen inzichten. Vervolgens heeft een tweede gesprek met de vertegenwoordigers van het Astma Fonds plaatsgevonden. Hierin zijn de onderzoeksbehoeften aan medische producten geïdentificeerd op basis van de resultaten.

Door de Nederlandse Brandwonden Stichting is in 2006 een brede onderzoeksagenda opgesteld in samenwerking met het Athena Instituut, VU Amsterdam. De geïdentificeerde onderzoeksbehoeften aan medische producten zijn in een interview geverifieerd met twee vertegenwoordigers, en tevens ervaringsdeskundigen, van de Vereniging voor Mensen met Brandwonden.

Het Diabetes Fonds heeft in 2006 in samenwerking met het Athena Instituut, VU Amsterdam een brede onderzoeksagenda opgesteld. De verkregen inzichten uit deze agenda zijn in een interview voorgelegd aan twee vertegenwoordigers van de Diabetes Vereniging Nederland voor aanvulling en aanscherping.

Voor het ziektegebied verstandelijke beperkingen is in 2006 een brede onderzoeksagenda opgesteld door de Federatie voor Ouderverenigingen en de Landelijke Federatie Belangenverenigingen Onderling Sterk (LFB), in samenwerking met CAPHRI, Universiteit Maastricht en het Athena Instituut, VU Amsterdam. De onderzoeksagenda betreft een sociaal maatschappelijke agenda met weinig concrete onderzoeksbehoeften aan

medische producten. In de agenda is gezocht naar aangrijpingspunten voor onderzoeksbehoeften aan ontwikkeling van medische producten. Deze aangrijpingspunten zijn voorgelegd aan twee vertegenwoordigers, waarvan één ervaringsdeskundige, van de LFB en twee vertegenwoordigers van platform VG (koepelorganisatie voor collectieve belangenbehartiging van mensen met een verstandelijke beperking, hun ouders en vertegenwoordigers) voor verificatie en aanvulling. De Federatie voor Ouderverenigingen is enige tijd geleden opgeheven, waardoor geen interview met hen heeft kunnen plaatsvinden.

In 2007 is door CAPHRI, Universiteit Maastricht in opdracht van de Nier Stichting Nederland en de Nederlandse Vereniging voor Nierpatiënten (NVN) een onderzoeksagenda opgesteld voor nierziekten. In de agenda zijn sociaal maatschappelijke onderzoeksthema's geïdentificeerd vanuit het perspectief van nierpatiënten, met weinig concrete onderzoeksbehoeften aan medische producten. In de onderzoeksagenda is gezocht naar aangrijpingspunten voor onderzoeksbehoeften aan medische producten. Deze zijn in een interview met een onderzoeker die betrokken was bij het opstellen van de onderzoeksagenda aangevuld. Vervolgens zijn de verkregen inzichten geverifieerd in twee interviews: één met een vertegenwoordiger van de NVN en één met een ervaringsdeskundige, die ook betrokken was bij het opstellen van de onderzoeksagenda.

Naar aanleiding van een telefonisch gesprek met de Vereniging Dwarleasie is besloten af te zien van patiëntenconsultatie op dit ziektegebied. Het ziektegebied scoorde niet hoog op de 'burden of disease' en de onderzoeksagenda betrof voornamelijk sociaal wetenschappelijk onderzoek.

#### *Patiënten(organisaties) in de diverse ziektegebieden zonder onderzoeksagenda*

Een tweede traject vond plaats met patiëntenorganisaties van ziektegebieden waarvoor nog geen onderzoeksagenda beschikbaar was. Om de onderzoeksbehoeften van patiënten voor deze ziektegebieden in kaart te brengen, is de *focusgroepmethode* gebruikt. Via focusgroepen (variërend van 6 tot 10 deelnemers<sup>6,7</sup>) kunnen in gemiddeld twee uur tijd persoonlijke en gedeelde ervaringen in de breedte worden geïdentificeerd rondom specifieke onderwerpen. In gesprek met elkaar expliciteren en verhelderen de deelnemers ervaringen, meningen en de achterliggende argumenten en worden deze op validiteit getoetst. De *focusgroepmethode* zorgt voor een goede balans tussen het structureel achterhalen van informatie en het bieden van ruimte voor persoonlijke verhalen. Er is sprake van horizontale communicatie tussen alle betrokkenen. Een nadeel van de methode is de kans op groepsproces werking; vanwege de groepsdynamiek of door dominante deelnemers bestaat de kans dat bepaalde onderwerpen onevenredig aandacht krijgen. Dit kan enigszins worden gecompenseerd middels facilitatie door een ervaren facilitator en/of het organiseren van meerdere focusgroepen.

Voor de consultatie van patiënten voor de ziektegebieden zonder onderzoeksagenda is allereerst contact gezocht met patiëntenorganisaties voor de verschillende ziektegebieden om te bespreken in hoeverre ze bereid waren in dit project te participeren en hun medewerking te verlenen aan de organisatie van een focusgroep. In dit eerste verkennend gesprek is ook inzicht verkregen in het ziektegebied en reeds bestaande onderzoeksbehoeften aan medische producten. Vervolgens zijn focusgroepen georganiseerd voor de diverse ziektegebieden.

In totaal vonden 15 bijeenkomsten plaats met geselecteerde patiëntengroepen van de verschillende ziektegebieden. Hiervan hadden 10 bijeenkomsten de vorm van een focusgroep. Dit was het geval voor de ziektegebieden: cardiovasculaire aandoeningen (1), angst- en dwangstoornissen (2), bewegingsapparaat (2), dementie (1), zeldzame aandoeningen (1), maag- darm- en leveraandoeningen (1), visuele beperking (1) en depressie (1). Vijf bijeenkomsten hadden de vorm van een groepsgesprek. Dit was het geval bij de

---

<sup>6</sup> Morgan, D.L. (1997, 2<sup>nd</sup> edition) *Focus groups as qualitative research*, London, Sage publications.

<sup>7</sup> Bij minder dan 6 deelnemers of wanneer een andere opzet is gekozen, hebben de bijeenkomsten de vorm van een groepsgesprek gekregen.

bijeenkomsten voor de ziektegebieden CVA (2), dementie (1), maag- darm- en leveraandoeningen (1) en bewegingsapparaat (1).

Voor het ziektegebied bewegingsapparaat is contact gezocht met de Reumapatiëntenbond. Via hen is een mailing uitgegaan naar onderzoekspartners en vrijwilligers voor werving voor de focusgroep. De opkomst voor de eerste bijeenkomst (5 deelnemers) was laag door afzeggingen wegens ziekte. Hierdoor had de bijeenkomst de vorm van een groepsgesprek en was de breedte van het ziektegebied bewegingsapparaat niet voldoende vertegenwoordigd. Om die reden is een tweede focusgroep georganiseerd. Hiervoor is opnieuw een mailing uitgegaan naar onderzoekspartners en vrijwilligers van de Reumapatiëntenbond. Daarnaast is contact gezocht met de Poly Artrose Lotgenotenvereniging (PAL) en de Patiëntenvereniging Fibromyalgie (FES) om ook de aandoeningen artrose en fibromyalgie in de focusgroep te representeren. Zij hebben een mailing uit gedaan naar hun (actieve) leden. De tweede focusgroep is uiteindelijk, door de hoge opkomst, gesplitst in twee parallelle focusgroepen (in totaal 11 patiënten en 2 mantelzorgers).

Alzheimer Nederland is benaderd voor het ziektegebied dementie. Op basis van het gesprek met een vertegenwoordiger van Alzheimer Nederland is besloten om voor dementie twee focusgroepen te organiseren, één met mensen met dementie (in de beginfase) en één met mantelzorgers van mensen met dementie (ook in de latere fase). Via de nieuwsbrief van Alzheimer Nederland is een oproep uitgegaan voor deelname aan de focusgroepen. Hierop kwamen echter weinig reacties. Hierna is een mailing verzonden naar de regionale afdelingen van Alzheimer Nederland. Op deze manier is aansluiting gevonden bij een dagbesteding in Nieuwegein (Ontmoetingscentrum voor dementerende ouderen). Bij hen zijn twee parallelle sessies gehouden: één groepsgesprek met mensen met dementie (5 deelnemers) en één focusgroep met mantelzorgers (13 deelnemers).

Voor het ziektegebied cardiovasculaire aandoeningen is in eerste instantie contact gezocht met de Hart en Vaat groep. Zij hebben een oproep voor deelname aan de focusgroep geplaatst op de website. Op deze manier konden echter niet voldoende mensen worden geworven. Vervolgens is contact gezocht met de Hartenjagers, een vereniging voor mensen met een cardiovasculaire aandoening die gezamenlijk sporten. Met leden van deze vereniging heeft een focusgroep (13 deelnemers) plaatsgevonden.

De Angst Dwang en Fobie Stichting (ADF Stichting) is benaderd voor medewerking voor het ziektegebied angst- en dwangstoornissen. Eerst heeft een verkennend gesprek plaatsgevonden met twee vertegenwoordigers van de ADF Stichting. Vanwege aansluiting bij een ander project binnen het Athena Instituut hebben voor angst- en dwangstoornissen twee focusgroepen (een focusgroep met 7 deelnemers, en één met 9 deelnemers) plaatsgevonden. Werving is gebeurd door de ADF Stichting via lotgenotengroepen.

Voor het ziektegebied maag- darm- en leveraandoeningen is in eerste instantie contact gezocht met de Maag Lever Darm Stichting. Deze had geen interesse om mee te werken. Daarna is contact gezocht met de Nederlandse Lever Vereniging (NLV), de Nederlandse Stomavereniging, de Prikkelbaar Darm Syndroom Belangenvereniging (PDS Belangenvereniging), de Crohn en Colitis Ulcerosa Vereniging Nederland (CCUVN) en de Alvleesklier Vereniging voor een verkennend gesprek. De Alvleesklier Vereniging is verder niet betrokken bij het project, omdat via e-mail en telefoon geen contact kon worden gelegd. Vanwege de diversiteit in aandoeningen gaven de verenigingen aan geen mogelijkheid te zien om gezamenlijk aan één focusgroep deel te nemen. Om die reden hebben interviews plaatsgevonden met vertegenwoordigers van de patiëntenorganisaties (bij de PDS Belangenverenigingen en de CCUVN tevens een ervaringsdeskundige) waarin onderzoeksbehoeften aan medische producten zijn geïdentificeerd. Bij de NLV is apart een focusgroep (7 deelnemers) georganiseerd met leden die actief betrokken zijn bij de NLV. Tot slot heeft een reflectiebijeenkomst in de vorm van een groepsgesprek (4 deelnemers) plaatsgevonden waarin de verschillende patiëntenorganisaties vertegenwoordigd waren. Tijdens deze bijeenkomst zijn gezamenlijke prioritaire

onderzoeksbehoeften vastgesteld op basis van de resultaten verkregen via de interviews en de focusgroep van NLV.

Stichting Viziris is benaderd voor het ziektegebied visuele beperking. Werving van mensen voor de focusgroep vond plaats via de twee cliëntenpanels van Viziris waarin mensen met een grote diversiteit aan oogaandoeningen vertegenwoordigd zijn. Het draaiboek van de focusgroep is aangepast aan de visuele beperking van de deelnemers. De verschillende onderdelen in de focusgroep zijn allen mondeling uitgevoerd (niet op schrift). Daarnaast bleek tijdens de focusgroep (8 deelnemers) dat het prioriteren van de geïdentificeerde onderzoeksbehoeften lastig was voor de deelnemers, aangezien de verschillende onderzoeksbehoeften erg heterogeen waren en het voor de deelnemers vanwege de visuele beperking moeilijk was om het overzicht te bewaren. Om die reden heeft het onderzoeksteam achteraf, op basis van de argumenten die de deelnemers tijdens de focusgroep gaven bij de formulering van de onderzoeksbehoeften, zes prioritaire onderzoeksbehoeften geïdentificeerd. Deze zes prioritaire onderzoeksbehoeften zijn per e-mail aan de deelnemers voorgelegd met de vraag welke drie onderzoeksbehoeften zij hiervan het belangrijkste vinden. Naast een focusgroep heeft een aanvullend interview plaatsgevonden met een vertegenwoordiger van de Hoornvlies Patiënten Vereniging om ook hoornvliesaanandoeningen te representeren.

Voor het ziektegebied zeldzame aandoeningen is contact gezocht met de VSOP en Stuurgroep Weesgeneesmiddelen. Vanwege de hoeveelheid en de diversiteit aan zeldzame aandoeningen is besloten om zeldzame aandoeningen mee te nemen, die nog niet zijn vertegenwoordigd in de overige ziektegebieden en waarvan een patiëntenorganisatie bestaat. Stuurgroep Weesgeneesmiddelen heeft contactgegevens van vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties van zeldzame aandoeningen verstrekt. Vervolgens is een mailing uitgegaan naar 16 patiëntenorganisaties. Uiteindelijk hebben 11 vertegenwoordigers<sup>8</sup> deelgenomen aan een focusgroep met diversiteit in zeldzame aandoeningen. Daarnaast heeft een interview plaatsgevonden met een vertegenwoordiger van de zeldzame aandoening Primaire Ciliaire Dyskinesia, omdat zij niet in de gelegenheid was om de focusgroep bij te wonen.

Voor het ziektegebied CVA is contact gezocht met de CVA Vereniging Samen Sterk, afdeling Noord-Holland. Eerst heeft een verkennend gesprek plaatsgevonden met een vertegenwoordiger van de CVA Vereniging. Voor de patiëntenconsultatie kon worden aangesloten bij 'een CVA café', waarbij zowel mantelzorgers als mensen die een CVA hebben gehad, aanwezig waren. Hiervoor is een aangepast draaiboek gebruikt (de bijeenkomst is ingekort tot een uur). Vanwege de hoge opkomst zijn twee parallelsessies (in totaal 43 deelnemers; 21 patiënten en 22 mantelzorgers) gehouden. In beide groepen namen zowel mantelzorgers als mensen die een CVA hebben gehad deel. De input van mantelzorgers is apart genoteerd van de bijdrage van mensen die een CVA hebben gehad.

Platform Depressie is benaderd voor het ziektegebied depressie. Zij zagen af van medewerking aan het project, omdat het Platform Depressie pas recent was opgericht en in deze beginfase van haar bestaan het onderwerp 'medische producten' niet als prioriteit zag. Werving via oproepen op diverse fora en via Aurora in Nijmegen leverde onvoldoende aanmeldingen op. Uiteindelijk heeft met behulp van een hoogleraar van GGZ in Geest in Amsterdam een focusgroep plaatsgevonden, waaraan patiënten van GGZ in Geest hebben deelgenomen (6 deelnemers). De focusgroep heeft na de dialoogbijeenkomst plaatsgevonden.

Voorafgaand aan de focusgroepen zijn door medewerkers van het RGO secretariaat interviews gehouden met twee hoogleraren per ziektegebied. Deze informatie is onder andere gebruikt als input in de focusgroepen. De hoogleraren zijn ook uitgenodigd voor het bijwonen van de focusgroep van het betreffende ziektegebied als

---

<sup>8</sup> Vertegenwoordigers van de zeldzame aandoeningen binjieraandoeningen, Xeroderma Pigmentosa, zeldzame bloedziekten, Erythroepoetische protoporfyrie, stofwisselingsziekten, afweerstoornissen, najjar en Fibrodysplasie Ossificans Progressiva hebben deelgenomen aan de focusgroep.



toehoorder. Op deze manier konden zij beoordelen of het resultaat voldoende representatief is voor het ziektegebied. Aangezien een focusgroep vaak op korte termijn is georganiseerd en de focusgroep vaak buiten kantoor tijden plaatsvond, was alleen voor de ziektegebieden zeldzame aandoeningen en depressie een hoogleraar in staat de focusgroep bij te wonen. Voor het ziektegebied angst- en dwangstoornissen zijn op verzoek van de patiëntenorganisatie de hoogleraren niet uitgenodigd<sup>9</sup>. De focusgroepverslagen zijn na afloop wel toegestuurd naar alle hoogleraren om op basis van het verslag te beoordelen of het resultaat in hun optiek voldoende representatief is voor het ziektegebied.

De focusgroepen hadden een vaste structuur. In eerste instantie zijn de problemen en knelpunten die patiënten ervaren ten gevolge van een aandoening geïnventariseerd. Vervolgens is gevraagd welke medische producten patiënten gebruiken. Vervolgens werd ingegaan op de mate waarin patiënten hier verbetering in willen zien en is gekeken in hoeverre zij de ontwikkeling van nieuwe producten belangrijk vinden. Medische producten die nog niet genoemd zijn, maar wel door de geïnterviewde hoogleraren als veelbelovend worden beschouwd, zijn aan de patiënten voorgelegd en bediscussieerd. Tot slot is de deelnemers gevraagd om de diverse onderwerpen voor onderzoek naar medische producten te prioriteren. Daarbij is doorgevraagd naar redenen waarom het ene onderwerp belangrijker wordt gevonden dan het andere. Elke focusgroep is bijgewoond door een medewerker van de RGO (als toehoorder). Na afloop kregen de deelnemers het verslag van de focusgroep voor commentaar toegestuurd.

#### *Zorgverleners*

Om inzicht te krijgen in onderzoeksbehoeften van zorgverleners aan ontwikkeling van medische producten is contact gezocht met belangenverenigingen of vertegenwoordigers van de verschillende groepen zorgverleners. Vanuit de zorgverleners zijn de volgende groepen betrokken: huisartsen, medisch specialisten, verpleegkundigen en mantelzorgers.

Voor de groep huisartsen is, via het RGO secretariaat, contact opgenomen met een vertegenwoordiger van de afdeling Huisartsgeneeskunde van het AMC Amsterdam. Deze vertegenwoordiger heeft een mailing voor deelname aan een focusgroep verstuurd. Aan de focusgroep hebben 11 huisartsen deelgenomen.

Voor de verpleegkundigen is contact gezocht met de Verpleegkundigen & Verzorgenden Nederland (V&VN). Werving heeft plaatsgevonden via een mailing door de V&VN naar de verschillende afdelingen verpleegkunde binnen de V&VN. Daarnaast zijn enkele verpleegkundigen geworven voor deelname aan de focusgroep via persoonlijke contacten van een medewerker van het Athena Instituut, VU Amsterdam. Er hebben 7 verpleegkundigen deelgenomen aan de focusgroep.

Voor de medisch specialisten heeft het RGO secretariaat via een tussenpersoon het Groene Hart Ziekenhuis (GHZ) in Gouda benaderd. Deze tussenpersoon heeft binnen het GHZ een mailing voor deelname aan de focusgroep uitgedaan. Aan de focusgroep hebben 7 medisch specialisten<sup>10</sup> deelgenomen.

Voor de mantelzorgers is de Landelijke Vereniging voor Mantelzorgers en Vrijwilligerszorg 'Mezzo' in eerste instantie benaderd. Zij hebben een oproep voor deelname aan de focusgroep op de website geplaatst. Hierop zijn geen aanmeldingen gekomen. Daarnaast is een mailing uitgedaan naar de al benaderde patiëntenorganisaties om mantelzorgers te rekruteren. Hierop is één aanmelding gekomen. Er is besloten om voor de consultatie van mantelzorgers een alternatieve route te bewandelen. Voor mantelzorgers voor dementie is een aparte focusgroep georganiseerd met hoge opkomst (13 deelnemers). Tijdens de twee grote parallelle focusgroepen voor CVA waren veel mantelzorgers (ongeveer 20 mantelzorgers) aanwezig en hun input is apart

---

<sup>9</sup> Mensen met een angst- of dwangstoornis zouden zich ongemakkelijk kunnen voelen bij de aanwezigheid van extra toehoorders.

<sup>10</sup> Bij de focusgroep was diversiteit in specialismen: cardiologie, nucleaire geneeskunde, radiologie, intensive care en klinische geriatrie.

genotuleerd. Aan één focusgroep voor bewegingsapparaat hebben twee mantelzorgers deelgenomen. Daarnaast vonden losse interviews met mantelzorgers van de ziektegebieden brandwonden, spierziekten en visuele beperking plaats.

Voor zowel verpleegkundigen als huisartsen hebben medewerkers van het RGO secretariaat een interview gehouden met een hoogleraar. Deze informatie is na afloop van de focusgroep geverifieerd met de onderzoeksbehoeften van zorgverleners.

De focusgroepen met zorgverleners hadden een vaste structuur. In eerste instantie zijn de problemen ten aanzien van (gebrek aan) medische producten vanuit het perspectief van de zorgverlener geïdentificeerd en bediscussieerd. Vervolgens zijn deze problemen onderverdeeld in onderzoeksrichtingen en is gekeken in hoeverre de onderzoeksrichtingen zich verhielden tot de onderzoeksbehoeften genoemd door patiënten vanuit de verschillende ziektegebieden via een reflectie op de ziektegebieden en de geformuleerde doelen bij de patiëntenconsultatie. Tot slot is de rol van medische producten in de dagelijkse zorgpraktijk bediscussieerd. Elke focusgroep is bijgewoond door een medewerker van de RGO (als toehoorder). Na afloop kregen de deelnemers het verslag van de focusgroep voor commentaar toegestuurd. De focusgroepen met de mantelzorgers voor dementie en CVA hadden eenzelfde structuur als de focusgroepen van de patiëntenconsultatie.

## **2.4 Analyse- & integratiefase (half april - mei 2010)**

De focusgroepen en interviews zijn geanalyseerd op onderzoeksbehoeften aan medische producten. Op basis van de analyse van de patiëntenconsultatie zijn per ziektegebied drie prioritaire onderzoeksbehoeften geformuleerd. Naar aanleiding van de analyse van de verschillende groepen zorgverleners zijn prioritaire onderzoeksrichtingen voor de ontwikkeling van medische producten beschreven.

### *Analyse van ziektegebieden met onderzoeksagenda*

Voorafgaand aan de interviews met vertegenwoordigers (en ervaringsdeskundigen) van de ziektegebieden met onderzoeksagenda zijn bestaande onderzoeksagenda's doorlopen op de aanwezigheid van onderzoeksbehoeften aan medische producten. Indien geen concrete onderzoeksbehoeften aan medische producten zijn genoemd in de onderzoeksagenda's is gezocht naar aangrijpingspunten in de agenda voor mogelijke onderzoeksbehoeften aan medische producten. Daarna is gekeken naar de prioriteit die is gegeven aan de geïdentificeerde onderzoeksbehoeften en aangrijpingspunten. Indien nodig zijn onderzoeksbehoeften verder geconcretiseerd met behulp van informatie uit onder andere de interviews met de hoogleraren en eventuele aanvullende interviews met patiënten. Wanneer op deze manier geen drie prioritaire onderzoeksbehoeften konden worden geformuleerd, is nagegaan of belangrijke aangrijpingspunten uit de onderzoeksagenda in de interviews zijn geconcretiseerd naar onderzoeksbehoeften aan medische producten, of is gekeken naar onderzoeksbehoeften die minder hoog geprioriteerd zijn, maar wel in zowel de onderzoeksagenda als de interviews zijn genoemd.

De prioritaire onderzoeksbehoeften zijn bepaald op basis van de argumenten die patiënten gebruikten bij de keuze voor de onderzoeksbehoeften; de criteria die patiënten aangaven om de onderzoeksbehoeften af te wegen.

### *Analyse van ziektegebieden zonder onderzoeksagenda*

In eerste instantie zijn prioritaire onderzoeksbehoeften aan medische producten geïdentificeerd op basis van de resultaten van de focusgroepen. Indien nodig werden de onderzoeksbehoeften verder geconcretiseerd met behulp van informatie uit onder andere de interviews met de hoogleraren en de verkennende interviews met patiëntenorganisaties. Bij de bepaling van de onderzoeksbehoeften speelden de criteria die patiënten gebruikten om de onderzoeksbehoeften af te wegen een rol.

Wanneer geen sprake was van een duidelijke formulering van onderzoeksbehoeften is een andere werkwijze gehanteerd. Allereerst is geïnterviewd welke knelpunten door de deelnemers als meest nadelig worden ervaren. Vervolgens is nagegaan of hiervoor oplossingen zijn aangedragen in allereerst de focusgroep en, wanneer dit niet het geval was, in de interviews met de hoogleraren of in het verkennend gesprek met de patiëntenorganisatie. Er is geïnterviewd of de geïdentificeerde onderzoeksbehoeften aan medische producten aan de criteria (door patiënten genoemd in de focusgroepen) voldeden en de knelpunten oplosten. Daarna is nagegaan welke onderzoeksbehoeften betrekking hebben op concrete medische producten.

#### *Analyse van de groepen zorgverleners*

Op basis van de resultaten van de focusgroepen zijn onderzoeksrichtingen en specifieke onderzoeksbehoeften aan medische producten geïdentificeerd. De onderzoeksbehoeften zijn – indien dit niet al in de focusgroep is gebeurd – door de onderzoekers ondergebracht bij de onderzoeksrichtingen. Hierna is gekeken hoe de verhouding was tussen de verschillende onderzoeksrichtingen en welke criteria de zorgverleners tijdens de focusgroepen hebben gebruikt om de onderzoeksrichtingen af te wegen.

#### *Overstijgende analyse van de patiëntenconsultatie*

Om de uitkomsten van de patiëntenconsultatie overstijgend te analyseren, heeft het onderzoeksteam mogelijke ordeningsprincipes voor de gegenereerde prioritaire onderzoeksbehoeften geïdentificeerd. Hierbij is allereerst gekeken naar de criteria die patiënten hebben gebruikt bij de afweging van de onderzoeksbehoeften. Hieruit is een ordening op basis van de doelen die mensen beogen met de ontwikkeling van medische producten naar voren gekomen. Deze ordening werkt beter dan bijvoorbeeld een ordening op basis van het type medisch product, omdat ordening op basis van doelen dichter bij het patiëntenperspectief blijft. Patiënten hebben het doel – het oplossen van een probleem – concreter voor ogen dan de oplossing – het medische product.

#### *Prioritering*

Begin mei stelde de RGO commissie een concept prioriteitenlijst op van onderwerpen die door middel van de patiëntenconsultatie zijn geïdentificeerd op basis van de door het Athena Instituut aangeleverde conceptrapport en advies voor de prioritering, en op basis van de resultaten van de parallelle raadpleging van stakeholders aan de aanbodzijde. De resultaten van de analyse en de geïdentificeerde prioritaire onderzoeksbehoeften zijn vervolgens bediscussieerd in een dialoogbijeenkomst waarbij vertegenwoordigers van de diverse stakeholdergroepen die geparticipeerd hebben in voorgaande fasen deelnamen. Hierbij ging het niet alleen om stakeholdergroepen van de vraagzijde, maar ook van de aanbodzijde (zoals onderzoekers en industrie) die door het RGO secretariaat in de periode januari-april zijn geconsulteerd. De gevolgde methode, resultaten en analyse van de voorgaande fasen zijn tijdens de dialoogbijeenkomst bediscussieerd. Daarnaast zijn de criteria, op basis waarvan de RGO commissie de lijst met meest relevante en gewenste medische producten gaat prioriteren, gepresenteerd.

De dialoogbijeenkomst is georganiseerd door de RGO en vond plaats op 31 mei 2010. Het Athena Instituut heeft een adviserende rol gehad bij de vormgeving van de dialoogbijeenkomst. Daarnaast hebben medewerkers van het Athena Instituut het proces geobserveerd. De dialoogbijeenkomst is geen onderdeel van deze rapportage. Vanwege de reflectie van de vraagzijde op de gevolgde methode zijn enkele resultaten van de dialoogbijeenkomst in de discussie meegenomen.

## **2.5 Verslaglegging (half mei – half juni 2010)**

Het doel van de fase verslaglegging was het opstellen van een eindrapportage. In deze fase is gerapporteerd over achtergrond, verrichte werkzaamheden, resultaten en conclusies.

## 2.6 Team

Het onderzoek is uitgevoerd door medewerkers van het Athena Instituut, Vrije Universiteit Amsterdam en een masterstudent van de Vrije Universiteit Amsterdam. Het onderzoeksteam bestond uit de in tabel 2.1 beschreven personen.

**Tabel 2.1: Overzicht van het onderzoeksteam.**

<i>Naam</i>	<i>Functie</i>	<i>Taken</i>
Dr. Jacqueline Broerse	UHD, hoofd afd. Wetenschapscomm., Athena Instituut, VU	Projectleiding, facilitatie
Prof. dr. Tjard de Cock Buning	UHD/Hoogleraar, Athena Instituut, VU	Begeleiding, facilitatie
Carina Pittens, MSc	Junior onderzoeker	Onderzoek, organisatie
Janine van de Kraats, MSc	Junior onderzoeker	Onderzoek, organisatie
Janneke Elberse, MSc, MA	AIO	Onderzoek, facilitatie
Lia van der Ham, MSc	AIO	Facilitatie
Marjolein van Wijk	Master student	Onderzoek

Vanuit de RGO waren de volgende medewerkers betrokken bij de uitvoering van het project.

- Dr. Sandy Litjens
- Dr. ir. Veronique Ruiz van Haperen
- Sabine Donk, MSc

### 3. Resultaten patiëntenconsultatie

In dit hoofdstuk worden de resultaten van de patiëntenconsultatie gepresenteerd en kort toegelicht.

#### 3.1 Beschrijving van de resultaten

De resultaten van de patiëntenconsultatie – de drie hoogst geprioriteerde onderzoeksbehoeften op het gebied van medische producten – zijn weergegeven in tabel 3.1. In deze tabel zijn de onderzoeksbehoeften gerangschikt naar de verschillende ziektegebieden (verticale as). Tevens zijn de prioritaire onderzoeksbehoeften aan medische producten gecategoriseerd naar het doel wat ze beogen (horizontale as). De doelen zijn geïdentificeerd op basis van de overstijgende analyse van de resultaten van de focusgroepen. Deze doelen zijn:

- *Zorg op maat*: In deze categorie vallen medische producten die bijdragen aan zorg, zowel therapeutisch als medicamenteus, die is afgestemd op het individu. Hierbij kan gedacht worden aan de afstemming van medicatie op individuele (ziekte) kenmerken.
- *Algemene verbetering therapie*: In deze categorie vallen medische producten die verbeterd of ontwikkeld moeten worden om de medicamenteuze en/of niet-medicamenteuze behandeling te optimaliseren. Hierbij kan gedacht worden aan verbeterde toedieningsvorm van medicatie en de ontwikkeling of verbetering van behandelingen die kunnen bijdragen aan het verminderen van symptomen, bijwerkingen en complicaties.
- *Vertraging van de progressie van de aandoening / genezing*: In deze categorie vallen medische producten die kunnen bijdragen aan vertraging van de progressie of zelfs genezing van de aandoening.
- *Zelfmanagement*: In deze categorie vallen medische producten die bijdragen aan vergroting van zelfcontrole en zelfstandigheid van mensen met een aandoening. Hierbij kan gedacht worden aan hulpmiddelen, waarmee mensen thuis de aandoening beter kunnen reguleren of hulpmiddelen die ondersteuning kunnen bieden.
- *Vroegtijdige en juiste diagnostiek*: In deze categorie vallen medische producten die eerdere en/of juiste diagnostiek beogen.

Daarnaast zijn medische producten geïdentificeerd die buiten de prioritaire onderzoeksbehoeften vallen, maar wel zijn genoemd door de patiënten als belangrijke toekomstige medische producten. Deze producten zijn in de laatste rechter kolom in de tabel weergegeven. Voor een indeling van de overige medische producten per doel wordt verwezen naar bijlage 1. Voor een uitgebreide uitleg van de geprioriteerde onderzoeksbehoeften aan medische producten wordt verwezen naar bijlage 2.

In de focusgroepen hebben patiënten diverse criteria gebruikt bij de afweging van de onderzoeksbehoeften voor hun top 3:

- Het toekomstige medische product dient effectiever en minder belastend te zijn dan het bestaande medisch product
- De ontwikkeling dient de behandeling te vereenvoudigen
- De ontwikkeling dient meer zekerheid te geven over de aandoening (bijvoorbeeld op het gebied van diagnose, ernst en progressie van de aandoening, beperkingen ten gevolge van de aandoening)
- Er moet een balans zijn tussen ontwikkelingen voor de lange termijn (genezing) en ontwikkelingen voor de korte termijn (kwaliteit van het dagelijkse leven).

Tabel 3.1: Geprioriteerde onderzoeksbehoefte aan medische producten van patiënten ingedeeld naar ziektegebieden en doelen die de onderzoeksbehoefte beogen.

Ziektegebied/ Doelen	Zorg op maat	Algemene verbetering therapie	Vertraging aandoening/ Genezing	Zelfmanagement	Vroegtijdige en juiste diagnostiek	Overige medische producten
<b>Ademhalingsproblematiek</b>	Ontwikkeling van medicamenteuze behandeling op basis van individuele (ziekte) kenmerken ( <i>m.n. leeftijd, progressie &amp; ernst aandoening</i> )	Aangrijpingspunt om vermoeidheid aan te kunnen pakken			Verbetering methodieken voor stellen vroegtijdige en juiste diagnose	Weefselherstel, Verbetering prednison, Thuismeting, Verbetering toedieningsvormen, Verbetering longtransplantatie technieken
<b>Angst- en dwangstoornissen</b>	Ontwikkeling van medicamenteuze behandeling op basis van individuele (ziekte) kenmerken ( <i>m.n. biomarkers &amp; genetica</i> )	Middel dat fluctuaties van geslachtshormonen reguleert		Ontwikkeling van producten voor biofeedback		Verbetering op- en afbouw medicatie, Bijwerkingen van medicatie, Ontwikkeling van Deep Brain Stimulation, Ontwikkeling beeldvormende technieken voor snellere diagnose
<b>Bewegingsapparaat</b>	Van te voren vaststellen welke medicatie het meest effectief is op basis van individuele (ziekte) kenmerken ( <i>m.n. biomarkers, mate aandoening, persoonlijke kenmerken</i> )  Ontwikkeling apparatuur voor bewegingsanalyses (gait analysis)		Kraakbeen- en bot(re)generatie			Aangrijpingspunt voor vermoeidheid, Vroegdiagnostiek voor artrose, Effectieve pijnbestrijding, Hulpmiddelen op maat, Verbeterde ontstekingsremmers
<b>Brandwonden</b>		Ontwikkeling van effectieve jeukproducten  Effectieve preventie en behandeling van infecties bij brandwonden	Weefselregeneratie			Littekenversteving, Verbetering van verbandwisseling, Ergotherapeutische hulpmiddelen, Pigmentaantbreng in de huid, Drukpakken en drukmaskers met meer comfort en werking
<b>Cardiovasculaire aandoeningen</b>	Ontwikkeling van medicamenteuze behandeling op basis van individuele (ziekte) kenmerken ( <i>m.n. persoonlijke kenmerken, ernst aandoening</i> )	Verbetering van statines	Ontwikkeling stamceltherapie ter versterking van de hartspier			Verdere ontwikkeling van stents die medicatie afgeven, Voorkomen maagproblemen door medicatie
<b>Cerebro Vasculair Accident</b>		Ontwikkeling van effectieve zenuwpijnbestrijding  Ontwikkeling van effectieve behandeling direct na een herseninfarct		Ontwikkeling van een medisch product voor thuisvalidatie		Medicatie op basis van individu, Betere orthopedische schoenen, Thuismeter voor bloeddruk en cholesterol
<b>Dementie</b>		Aangrijpingspunten in voeding, die invloed hebben op de aandoening	Medicamenteuze behandeling voor stabilisatie van dementie (dementieremmers)	Ontwikkeling van hulpmiddelen die de gevolgen van vergeetachtigheid verminderen		Telecommunicatie tegen eenzaamheid, Zorg op afstand zoals GPS en domotica.
<b>Depressie</b>		De ontwikkeling van effectievere antidepressiva	De ontwikkeling van neurobiologische technieken voor specifieke hersendelen		Het meten van biomarkers in het bloed voor herkenning en classificatie van depressie	

Ziektegebied/ Doelen	Zorg op maat	Algemene verbetering therapie	Vertraging aandoening/ Geneezing	Zelfmanagement	Vroegtijdige en juiste diagnostiek	Overige medische producten
Maag-darm-lever aandoeningen	Biomarkers ter verbetering van de medicamenteuze behandeling	Werkzame stoffen in voeding die invloed hebben op de aandoening en op de medicatie			Ontwikkeling van minder belastende diagnostische methoden ter vervanging endoscopie	Verbeterde toedieningsvorm, Thuismeter onstekingswaarden, Pijnmedicatie ontwikkeling, Vermindering van intern en externe complicaties stoma, Verbetering van stoma's voor kinderen, Onderzoek naar aangrijpingspunt voor vermoeidheid
Nierziekten		Vermindering van bijwerkingen van antiafstoting medicatie  Dialysevormen met minder complicaties en beperkingen	Ontwikkelen van implanteerbare biologische kunstnier			Thuismeter bloedwaarden, Vermindering bijwerkingen, Vroegdiagnostiek, Compactere en mobielere dialyseapparaat
Spierziekten		Ontwikkeling effectieve pijnbestrijding	Ontwikkeling van genetische reparatie (zoals exonskipping)	(Verdere) ontwikkeling van Brain Computer Interfaces		Vroegdiagnose, Verbeterde ademhalingsondersteuning, Effectiviteit off-label medicatie
Verstandelijke beperkingen	Ontwikkeling van medicamenteuze behandeling op basis van individuele (ziekte) kenmerken ( <i>m.n. aandoeningsspecifiek</i> )			Ontwikkeling van verbeterde communicatie hulpmiddelen	Verbetering vroegdiagnostiek vlak na de geboorte	Domotica, Hersenstimulatie
Visuele beperkingen				Ontwikkeling van leessysteem voor 'dagelijkse' producten  Verbetering navigatiesystemen voor mensen met visuele beperking	Verbetering van methoden voor het stellen van vroegtijdige en juiste diagnostiek	Verbetering software voor websites, Zenuwweefselregeneratie, Verbetering hulpmiddelen, Verbetering toedieningsmechanisme, Filterbrillen
Zeldzame aandoeningen		Ontwikkeling (medicamenteuze) behandelingen die op korte termijn klachten kunnen voorkomen of verminderen	Ontwikkeling genterapie			Opzetten van expertise centra, Uitbreiding neonatale screening, Uitbreiding genetische selectie, Medicatie tegen botgroei bij FOP

### Algemene reflectie op de resultaten

Wat is opgevallen tijdens de focusgroepen, groeps gesprekken en interviews zijn de grote verschillen tussen de deelnemers in kennis van recente wetenschappelijke en technologische ontwikkelingen. Wanneer ze niet bekend zijn met het bestaan van bepaalde opties voor concrete medische producten, zullen patiënten deze ook niet specifiek formuleren, maar eerder in vorm van een "iets" dat een ziektespecifiek probleem kan oplossen (een 'doel' in onze terminologie). Een voorbeeld van een high tech product is het medische product 'ontwikkeling van genetische reparatie (zoals exonskipping)' genoemd door patiënten uit het ziektegebied spierziekten. Deze patiënten hebben gehoord over het toepassen van exonskipping<sup>11</sup> bij de ziekte van Duchenne, en hebben zodoende hoop dat deze technologie ook tot positieve resultaten kan leiden bij verwante spierziekten.

### Specifieke reflectie op de resultaten in relatie tot doelen

De prioritaire onderzoeksbehoeften zijn redelijk evenredig verdeeld over de vijf doelen. Alle patiëntgroepen tezamen hebben echter met name voorkeur voor het doel *algemene verbetering therapie*. Uit tabel 3.1 is af te lezen dat voor de meeste ziektegebieden voornamelijk aandoeningsspecifieke onderzoeksbehoeften zijn geformuleerd. Er zijn echter ook een aantal interessante overeenkomsten waar te nemen tussen de verschillende ziektegebieden.

<sup>11</sup> Methode waarbij een gen weer correct wordt afgelezen. Bij onder andere de spierziekte Duchenne kan het eiwit dystrophine niet worden geproduceerd door een mutatie in een gen. Door een exon (een coderend stuk gen) met behulp van een moleculaire pleister af te plakken, kan het gen goed worden afgelezen en (gedeeltelijk) functionerend dystrophine worden geproduceerd.

Een veel genoemde onderzoeksbehoefte is de ontwikkeling van een medicamenteuze behandeling op basis van individuele (ziekte) kenmerken (*zorg op maat*). Patiënten beogen op deze manier de effectiviteit van de medicatie te vergroten en de hoeveelheid medicatie en de bijwerkingen te verminderen. De accenten van de ontwikkeling van deze medicamenteuze behandeling verschillen echter wel per ziektegebied. Bij het ziektegebied ademhalingsproblematiek is vooral behoefte aan afstemming op kenmerken als leeftijd (met speciale aandacht voor kinderen), progressie, en de ernst en duur van de aandoening. Bij het ziektegebied angst- en dwangstoornissen is vooral behoefte aan een betere afstemming op kenmerken, zoals medicijnwaarden in het bloed, biomarkers en genetica (*personalized medicine*) en het type angst- of dwangstoornis. Bij het ziektegebied cardiovasculaire aandoeningen is behoefte aan een betere afstemming op basis van verwachte bijwerkingen, het aanpassen van doses op persoonlijke kenmerken of ernst en progressie van de aandoening. Bij het ziektegebied verstandelijke beperkingen is vooral behoefte aan afstemming op basis van de specifieke aandoening en situatie.

Voor veel ziektegebieden zijn onderzoeksbehoefte te onderscheiden die zowel bijdragen aan verbetering van de kwaliteit van het dagelijkse leven, zoals bestrijding van de symptomen vermoeidheid, jeuk en pijn en vermindering van bijwerkingen van medicatie en complicaties (*algemene verbetering therapie*), als onderzoeksbehoefte die kunnen leiden tot *vertraging van de progressie van de aandoening* of zelfs *genezing*, zoals genterapie, weefselregeneratie en stamceltherapie. Veel patiënten vestigen hun hoop op een toekomstige genezende behandeling, maar geven aan de andere kant ook prioriteit aan verbetering van de kwaliteit van het huidige dagelijkse leven. Symptomen, zoals pijn en vermoeidheid, en ziektegebied specifieke klachten zorgen voor grote belemmeringen bij het uitvoeren van werkzaamheden en het onderhouden van sociale contacten. Veel van de geconsulteerde patiënten willen aan beide wensen recht doen, waardoor voor veel ziektegebieden onderzoeksbehoefte voor zowel de korte als de lange termijn zijn terug te vinden.

Hoewel de onderzoeksbehoefte met betrekking tot *zelfmanagement* sterk verschillen per ziektegebied, zijn de overeenkomsten terug te vinden in de achterliggende motivatie bij de benoeming van de onderzoeksbehoefte. Patiënten willen graag zelf een positieve invloed uitoefenen op de aandoening en meer controle krijgen over hun eigen leven. Dit is onder andere terug te zien aan de behoefte van mensen met diabetes om pomp en meter voor de regulatie van de bloedglucose te combineren, of aan de behoefte van mensen met dementie aan onderzoek naar de invloed van levensstijl en voeding. Daarnaast geven patiënten aan dat zij veel moeite hebben met de verminderde zelfstandigheid ten gevolge van hun aandoening. Medische producten die bijdragen aan het vergroten van de zelfstandigheid zijn om die reden erg wenselijk. De ontwikkeling van Brain Computer Interfaces kan wellicht voor vergrootte mobiliteit zorgen bij mensen met spierziekten en de ontwikkeling van leessystemen voor 'dagelijkse' producten kan eraan bijdragen dat mensen met een visuele beperking zelfstandig boodschappen kunnen doen of met het openbaar vervoer kunnen reizen.

Bij meerdere ziekgebieden is een onderzoeksbehoefte terug te vinden met betrekking tot de verbetering van *vroegtijdige en juiste diagnose*. Veel mensen geven aan dat het te lang duurde voordat een juiste diagnose was gesteld. Hoe eerder een juiste diagnose kan worden gesteld, hoe eerder begonnen kan worden met een (juiste) behandeling. Hierdoor kunnen wellicht de gevolgen van de aandoening worden verminderd of uitgesteld, of kan zelfs de aandoening worden genezen. De longaandoening COPD is bijvoorbeeld lastig te diagnosticeren. Dit heeft tot gevolg dat veel mensen met COPD jarenlang de verkeerde of geen diagnose hebben. In deze periode kan de longfunctie onnodig verminderen, doordat bijvoorbeeld noodzakelijke veranderingen in levensstijl niet worden gedaan of geen juiste behandeling wordt gegeven. Ook mensen met een angst- of dwangstoornis geven aan dat zij soms zelfs jarenlang geen of verkeerde therapie hebben gevolgd, vanwege een verkeerde diagnose. Daarnaast geven veel patiënten aan dat een diagnose bijdraagt aan acceptatie van de aandoening.



De categorisering van onderzoeksbehoeften die door de patiënten niet geprioriteerd zijn – aangemerkt als ‘overige medische producten’ – naar het doel dat beoogd wordt, verschilt sterk van de prioritaire onderzoeksbehoeften (bijlage 1). Deze ‘overige’ onderzoeksbehoeften hebben voornamelijk betrekking op verbetering van medicatie (zoals vermindering van bijwerkingen en vergroting van effectiviteit) en verbetering van toedieningsvormen van medicatie en symptoombestrijding (*algemene verbetering therapie*). De overige vier doelen bevatten beduidend minder onderzoeksbehoeften. Een verklaring hiervoor kan zijn dat patiënten minder behoeften hebben die betrekking hebben op deze doelen, maar onderzoeksbehoeften met betrekking tot deze doelen wel erg belangrijk vinden en deze daardoor hoger prioriteren.

### **3.2 Ziekteoverstijgende onderwerpen**

Tijdens de verschillende focusgroepen, groepsgesprekken en interviews kwamen vaak ziekteoverstijgende knelpunten naar voren die niet direct gerelateerd zijn aan de ontwikkeling van medische producten.

Vermoeidheid wordt door veel mensen van de verschillende ziektegebieden ervaren als één van de belangrijkste knelpunten ten gevolge van de aandoening. Omdat op korte termijn geen oplossing wordt verwacht op het gebied van medische producten geven mensen aan behoefte te hebben aan *lifestyle training* en coaching. In deze trainingen willen patiënten leren om beter om te gaan met hun beperkingen. Psychosociale ondersteuning zou een belangrijke rol kunnen spelen in deze trainingen. Daarnaast moet in deze training aandacht zijn voor de partner en het gezin.

In veel focusgroepen is gesproken over bijwerkingen die mensen ervaren ten gevolge van medicatiegebruik, hoewel de aard van de bijwerkingen per ziektegebied en per medicatie verschillen. Daarnaast hebben veel deelnemers vervelende ervaringen met ‘het stapelen’ van medicatie – medicatie innemen tegen bijwerkingen van andere medicatie - en de inname van een grote hoeveelheid pillen. Wanneer mensen verschillende medicatie slikken voor verschillende aandoeningen kan het zijn dat een negatieve wisselwerking optreedt tussen de medicatie, of dat de medicatie een negatief effect heeft op de andere aandoening.

Daarnaast is co-morbiditeit als een belangrijk punt naar voren gekomen. Ten eerste omdat wisselwerking tussen medicatie hierbij een rol speelt, maar ook omdat de zorg disciplinair georganiseerd is. Multidisciplinaire samenwerking komt in de beleving van deze patiënten nauwelijks voor. Patiënten geven aan behoefte te hebben aan een zorgcoördinator en meer samenwerking tussen artsen en zorginstellingen. Met behulp van een zorgcoördinator hopen ze eerder de juiste zorg te krijgen, die ook meer is afgestemd op co-morbiditeit.

Een ander veel besproken knelpunt is de communicatie tussen behandelaar en patiënt. Patiënten hebben het idee dat behandelaars te weinig tijd hebben en slecht luisteren naar de verhalen van de patiënt. Hierdoor wordt te weinig rekening gehouden met persoonlijke omstandigheden en voorkeuren. Daarnaast wordt aangegeven dat patiënten vinden dat ze te weinig informatie krijgen over hun aandoening of behandeling. Ze geven aan ‘een assertiviteitstraining nodig te hebben’ om goed te kunnen communiceren met de behandelaars.

In elke focusgroep en groepsgesprek is ook ter sprake gekomen dat zorgverzekeringen niet alle medische producten vergoeden die nu op de markt zijn. Hierdoor hebben mensen hoge kosten voor medicatie of hulpmiddelen. Deelnemers geven aan dat ze wel behoefte hebben aan nieuwe en verbeterde medische producten, maar dat ze verwachten er niet op vooruit te gaan wanneer deze medische producten niet worden vergoed. Voor hulpmiddelen verschilt het per gemeente wat vergoed wordt en in hoeverre hulpmiddelen ‘op maat kunnen worden gemaakt’ voor het individu.

Versillende deelnemers geven aan dat ze hun baan zijn kwijtgeraakt of dat ze geen baan kunnen vinden ten gevolge van de chronische aandoening. De wetgeving biedt geen mogelijkheid om zelfstandig of flexibel te werken op de momenten dat het beter gaat met de patiënt. Dit omdat de uitkering dan wordt stopgezet. Voor mensen betekent dit niet alleen een verlies van inkomsten, maar ook van sociale contacten.

Veel mensen ervaren onbegrip uit de omgeving. Veel aandoeningen zijn op het eerste gezicht niet zichtbaar, terwijl mensen wel belemmerd zijn in hun dagelijkse activiteiten. Daarnaast is weinig kennis over veel ziektegebieden in de samenleving, waardoor patiënten weinig begrip ervaren.

## 4. Resultaten consultatie zorgverleners

In dit hoofdstuk worden de resultaten van de consultatie van de zorgverleners gepresenteerd en kort toegelicht.

### 4.1 Beschrijving van de resultaten

De resultaten van de consultatie van de zorgverleners – geprioriteerde onderzoeksbehoeften op het gebied van medische producten zijn weergegeven in tabel 4.1. De onderzoeksbehoeften zijn in eerste instantie gerangschikt naar geconsulteerde groepen zorgverleners – huisartsen, mantelzorgers, medisch specialisten en verpleegkundigen (horizontale as). Daarnaast zijn de onderzoeksbehoeften gecategoriseerd naar onderzoeksrichtingen die geïdentificeerd zijn op basis van de resultaten van de focusgroepen. Deze onderzoeksrichtingen zijn:

- *Verbetering van informatiesystemen:* Onder deze richting vallen alle ontwikkelingen die gericht zijn op het beter bewaren, toegankelijk maken en uitwisselen van patiënteninformatie,
- *Verbetering van behandeling:* Onder deze richting vallen ontwikkelingen die bijdragen aan een betere behandeling, op het gebied van medicatie, therapie en instrumenten,
- *Preventie en diagnostiek:* Onder deze richting vallen ontwikkelingen die gericht zijn op betere preventie en vroegtijdige en juiste diagnostiek,
- *Zorg voor de patiënt:* Onder deze richting vallen ontwikkelingen die direct gericht zijn op een betere zorg voor de patiënt,
- *Scholing:* Onder deze richting vallen ontwikkelingen die gericht zijn op het vergroten en actualiseren van kennis van zorgverleners.

Voor de uitgebreide resultaten van de consultatie van de zorgverleners wordt verwezen naar bijlage 3.

Zorgverleners gebruikten diverse criteria om het belang van de verschillende onderzoeksbehoeften af te wegen:

- De ontwikkeling dient tijdsbesparing op te leveren,
- De ontwikkeling dient meer ruimte te creëren voor aandacht voor de patiënt
- De ontwikkeling dient bij te dragen aan de vereenvoudiging van de werkzaamheden
- De behandeling van de patiënt dient door de ontwikkeling verbeterd te worden.

De verschillende criteria dienen allen ter verbetering van de kwaliteit van zorgverlening. Om de verschillende onderzoeksbehoeften te kunnen afwegen, is vooral gekeken naar wat de grootste bijdrage kan leveren aan de kwaliteit van zorgverlening. Alle geconsulteerde zorgverleners vinden het belangrijk dat meer tijd beschikbaar komt voor de zorg van de patiënt (behandeling en aandacht voor de patiënt). Tijdsbesparing op bijvoorbeeld administratieve taken wordt om die reden erg belangrijk gevonden. Daarnaast geven meerdere zorgverleners aan dat de ontwikkelingen van producten niet moet resulteren in meer complexe werkzaamheden die meer tijd gaan kosten, maar dat ontwikkelingen juist bijdragen aan een verbetering en vereenvoudiging van de werkzaamheden.

Tabel 4.1: Geprioriteerde onderzoeksbehoeften aan medische producten van zorgverleners ingedeeld naar zorgverlenersgroepen en onderzoeksrichtingen die met de onderzoeksbehoeften worden beoogd.

	Verbetering van informatie-systemen	Verbetering van behandeling	Preventie en diagnostiek	Zorg voor de patient	Scholing
Huisartsen	Verbetering van informatie-systemen tussen zorgverleners Verbetering van informatiestromen tussen huisartsen en patienten	Betere behandeling van veel voorkomende symptomen Vermindering hoeveelheid medicatie	Verbetering (eenvoudiger en sneller) van eerstelijns diagnostiek		
Medisch specialisten	Verbetering van informatiestromen tussen zorgverleners	Verbetering van bestaande behandelingen Ontwikkeling van 'high tech' behandelingen Ontwikkeling nieuwe medicatie (zoals dementieremmers) Vermindering hoeveelheid medicatie	Meer aandacht voor vroegdiagnostiek en preventie		
Verpleegkundigen	Verbetering van informatiestromen tussen zorgverleners			Interactieve communicatie tussen zorgverleners en patienten Interactieve patientenvoorlichting	Verbetering van (na)scholing via e-learning
Mantelzorgers		Verbetering van bestaande behandelingen		Vergroting van zelfstandigheid door de verbetering of ontwikkeling van hulpmiddelen Ontwikkeling van domotica	

#### Reflectie op de resultaten

De verschillende groepen zorgverleners hebben tijdens de focusgroepen behoeften – zowel onderzoeksbehoeften als implementatiebehoeften – geformuleerd die aansluiten bij de werkzaamheden van hun beroep. Vooral in de onderzoeksrichtingen *verbetering van behandeling* en *verbetering van informatiesystemen* zijn door diverse groepen zorgverleners overeenkomstige behoeften genoemd. De behoeften in de diverse onderzoeksrichtingen zijn niet allen gerelateerd aan medische producten. Verschillende zorgverleners geven aan dat naast aandacht voor de ontwikkeling van medische producten ook aandacht moet zijn voor andere vraagstukken, die kunnen bijdragen aan de verbetering van de zorgverlening.

De geconsulteerde professionele zorgverleners<sup>12</sup> geven aan dat *verbetering van informatiesystemen* van groot belang is. Momenteel werken zorginstellingen en huisartsen met verschillende informatiesystemen. De informatie over een patiënt is vaak niet in één systeem opgeslagen en de verschillende systemen zijn vaak niet compatibel met elkaar. Hierdoor zijn zorgverleners tijd kwijt met het opzoeken van informatie en wordt langs elkaar heen gewerkt, omdat niet alle partijen op de hoogte zijn van uitgevoerde handelingen. Medisch specialisten en verpleegkundigen hebben behoefte aan de invoering van een centraal informatiesysteem, zoals het Elektronische Patiënten Dossier (EPD), en huisartsen hebben behoefte aan verbetering van de Huisartsen Informatie Systemen (HIS). Met een goed informatiesysteem is alle informatie over één patiënt op één plek te vinden, waardoor de rapportage verbetert en de zorgoverdracht tussen alle partijen zorgvuldiger en sneller verloopt. Dit zorgt voor tijdsbesparing, waardoor meer tijd beschikbaar komt voor de zorgverlening aan de patiënt.

<sup>12</sup> Onder professionele zorgverleners worden huisartsen, medisch specialisten en verpleegkundigen verstaan. Mantelzorgers worden als een aparte groep beschouwd, aangezien hun hulpverlening op vrijwillige basis plaatsvindt.

Zowel de geconsulteerde huisartsen, medisch specialisten als mantelzorgers vinden het belangrijk dat behandelingen worden verbeterd. Daarnaast vinden vooral huisartsen en medisch specialisten het van belang dat meer aandacht komt voor betere *diagnostiek*. Mantelzorgers vinden het vooral van belang dat bestaande behandelingen worden geoptimaliseerd. Medisch specialisten zien weinig vernieuwing in de traditionele farmacologie, en verwachten meer van onderzoek naar innovatieve behandelingen als stamceltherapie en genterapie. Omdat genezing nu nog weinig mogelijk is, vinden zij het tevens wenselijk dat meer aandacht komt voor primaire en secundaire preventie<sup>13</sup>. Op deze manier kunnen aandoeningen worden voorkomen of patiënten sneller worden behandeld. Huisartsen richten zich vooral op secundaire preventie en op de verbetering van de behandeling van klachten als pijn en incontinentie, omdat deze klachten bij een grote groep mensen voorkomen en hiervoor weinig effectieve middelen beschikbaar zijn. Daarnaast willen de geconsulteerde huisartsen vooral een vereenvoudiging van hun werkzaamheden (bijvoorbeeld medische producten die eenvoudig in gebruik zijn en weinig administratie geven), terwijl de medisch specialisten aangeven de ontwikkeling van innovatieve behandelingen wenselijk te vinden, zoals operatierobots. Daarnaast vinden beide groepen vermindering van de hoeveelheid medicatie belangrijk.

De geconsulteerde mantelzorgers gaven aan vooral behoefte te hebben aan de ontwikkeling van medische producten die de zorg ontlasten. Door meer zorg op afstand mogelijk te maken, zoals de verdere ontwikkeling van domotica, ontstaat meer bewegingsvrijheid voor de mantelzorgers. Verpleegkundigen vinden echter de ontwikkeling van domotica minder wenselijk. Zij zien het gebruik van domotica als het oplossen van het personeelstekort. Daarnaast geven verpleegkundigen in de focusgroep aan dat zij de huidige domotica geen oplossing vinden voor de ervaren problemen. De huidige domotica is te ongevoelig en verpleegkundigen kunnen door domotica nog steeds niet meerdere patiënten tegelijkertijd verzorgen.

Daarnaast geven de verpleegkundigen en medisch specialisten tijdens de focusgroepen aan dat veel problemen in de zorg worden veroorzaakt door een personeelstekort en niet op de eerste plaats door een tekort aan medische producten. Ook geven ze aan dat een betere samenwerking tussen disciplines, ziekenhuizen en zorginstellingen belangrijk is. Hierdoor kan zorg efficiënter worden aangeboden, beter onderzoek worden gedaan en kennis beter worden verspreid (*kennisflow*). De geconsulteerde professionele zorgverleners hebben tevens behoefte aan *evidence-based practice* (EBP) onderbouwing van protocollen en richtlijnen. Momenteel verschillen de richtlijnen tussen zorginstellingen. Wanneer alle zorginstellingen dezelfde EBP richtlijnen gebruiken, zal minder verscheidenheid tussen de behandelingen zijn, de kwaliteit van de behandelingen worden vergroot en een grotere verspreiding van kennis ontstaan. Volgens sommige zorgverleners is er met effectiever samenwerken en verbeterde 'kennisflow' een belangrijkere slag te maken dan met de ontwikkeling van medische producten.

---

<sup>13</sup> Primaire preventie: maatregelen die tot gevolg hebben dat het ontstaan van een ziekte wordt voorkomen. Secundaire preventie: maatregelen die tot gevolg hebben dat de ziekte niet verergert.



## 5. Conclusie en discussie

Het onderzoek beschreven in dit rapport heeft tot doel om de onderzoeksbehoeften van patiënten en zorgverleners op het gebied van medische behoeften in kaart te brengen. Daartoe zijn een groot aantal patiënten, zorgverleners en vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties bevraagd in interviews, focusgroepen en groepsgesprekken. In dit laatste hoofdstuk presenteren we de belangrijkste conclusies van het onderzoek. Daarnaast bediscussiëren we de resultaten en doen we enkele suggesties voor de toekomst.

### 5.1 Conclusies

#### *Onderzoeksthema's patiënten*

De prioritaire onderzoeksbehoeften die geformuleerd zijn door patiënten zijn geordend op basis van vijf doelen: *zelfmanagement, zorg op maat, vertraging van de progressie van de aandoening/genezing, algemene verbetering therapie* en *vroegtijdige en juiste diagnose*. Hoewel in alle categorieën diverse onderzoeksbehoeften zijn geprioriteerd (zie tabel 5.1), hebben patiënten met name voorkeur voor ontwikkelingen die algemene verbetering van de behandeling tot gevolg hebben (zoals behandelingen voor vermindering van symptomen en complicaties). Dit verschil in aantal onderzoeksbehoeften per categorie is nog sterker waarneembaar bij de indeling van onderzoeksbehoeften die niet geprioriteerd, maar wel genoemd zijn door patiënten – overige medische producten. Onderzoeksbehoeften gericht op algemene verbetering therapie zijn niet alleen veelvuldig naar voren gebracht, maar zijn ook meer concreet en specifiek geformuleerd. De medische producten in deze categorie sluiten goed aan bij de ervaringen van patiënten met huidige medische producten. Maar als patiënten onderzoeksbehoeften noemen in de andere categorieën, dan geven ze deze onderwerpen wel vaak een hoge prioriteit; dit geldt vooral voor de categorie *zorg op maat* en *vertraging aandoening/genezing*.

Tabel 5.1: Aantal prioritaire en overige onderzoeksbehoeften per categorie

	Zorg op maat	Algemene verbetering therapie	Vertraging aandoening/genezing	Zelf-management	Vroegtijdige en juiste diagnostiek
Aantal maal in top drie geprioriteerd	7	14	9	8	6
Aantal maal in overige medische producten	3	31	6	17	7

#### *Onderzoeksthema's zorgverleners*

Professionele zorgverleners hebben behoeften geformuleerd die aansluiten bij de werkzaamheden van hun beroep en die een vereenvoudiging en verbetering van de zorgverlening tot gevolg hebben. Ontwikkelingen in de onderzoeksrichtingen *verbetering van behandeling* en *verbetering van informatiesystemen* worden door de geconsulteerde professionele zorgverleners het meest wenselijk gevonden. Daarnaast vinden de geconsulteerde huisartsen en specialisten het van belang dat meer aandacht komt voor betere diagnostiek en preventie.

Mantelzorgers vormen een aparte groep binnen de zorgverleners. Ze staan dicht bij de patiënt en formuleren om die reden voornamelijk onderzoeksbehoeften aan medische producten die direct in het belang zijn van de patiënt die ze verzorgen. Daarnaast hebben ze vooral behoefte aan medische producten die de zorg ontlasten, zoals de ontwikkeling van producten die de zelfstandigheid van patiënten vergroten (*zelfmanagement*) of waarmee ze hun eigen bewegingsvrijheid kunnen vergroten, zoals domotica.

#### *Overeenkomsten en verschillen tussen patiënten en zorgverleners*

De belangrijkste overeenkomsten tussen patiënten en zorgverleners zijn terug te vinden in de onderzoeksbehoeften met betrekking tot verbetering van medicatie, symptoombestrijding (voornamelijk vermoeidheid en pijn), vertraging van de progressie van de aandoening/genezing en diagnostiek. De accenten liggen begrijpelijker wijze per patiëntengroep en beroepsgroep van zorgverleners iets anders, zonder elkaar echter uit te sluiten. Op *lange termijn* verwacht men innovaties in medische producten die de onmogelijkheden van het huidige arsenaal kunnen oplossen. Hier brengen diverse medisch specialisten, hoogleraren en patiënten nieuwe technieken naar voren als genterapie en stamceltherapie voor vervangende weefsels die aangetast zijn door de ziekte. Op de *korte termijn* hebben de voorgestelde medische producten voornamelijk te maken met optimalisaties die aansluiten bij het bestaande arsenaal aan medische instrumenten en interventies en medische producten die gericht zijn op verbetering van de kwaliteit van leven (door bijvoorbeeld vermindering van symptomen).

Een belangrijk verschil tussen de diverse stakeholdergroepen is terug te vinden in de onderzoeksbehoeften met betrekking tot diagnostiek en primaire preventie. Patiënten en huisartsen benoemen onderzoeksbehoeften ten opzichte van verbetering van vroegtijdige en juiste diagnostiek, maar spreken niet over preventie. Medisch specialisten geven in de focusgroep daarentegen aan primaire preventie heel belangrijk te vinden. Volgens hen kan veel winst worden behaald met goede preventie, omdat het een vermindering van prevalentie van ziekten tot gevolg kan hebben. Preventie lijkt voor veel patiënten minder van belang, omdat het niet meer voor hen opgaat. De geconsulteerde huisartsen richtten zich vooral op de directe noden van de patiënt en nauwelijks op primaire preventie.

#### *Belang van ontwikkeling medische producten*

De ontwikkeling van medische producten wordt niet door alle deelnemers belangrijk gevonden. Patiënten en zorgverleners hebben in de focusgroepen, groepsgesprekken en interviews regelmatig aangegeven dat zij zich afvragen of de ontwikkeling van meer medische producten wel wenselijk is. Daarvoor zijn diverse argumenten gegeven. Ten eerste geven diverse deelnemers aan dat minder bureaucratie in de zorg, meer samenwerking tussen professionele zorgverleners en instellingen, en betere communicatie tussen behandelaar en patiënt mogelijk *meer winst* in de zorg oplevert dan de ontwikkeling van nieuwe medische producten. Bijvoorbeeld bij de consultatie van patiënten kwamen veel knelpunten naar voren die niet gerelateerd waren aan medische producten, maar die voor patiënten een grote belemmering vormen, zoals knelpunten rondom coördinatie van de zorg, communicatie tussen patiënt en zorgverlener, de sociale omgeving en werk. Ten tweede brengen mensen met angst- en dwangstoornissen, maar ook huisartsen naar voren dat de focus op medische producten te sterk een voorkeur voor medicamenteuze behandeling impliceert – een discussie die sterk verbonden is aan de geestelijke gezondheidszorg. Tot slot vragen patiënten zich af of de nieuw ontwikkelde medische producten uiteindelijk bij de eindgebruiker terecht zullen komen. Vooral mensen met een spierziekte of een visuele beperking geven aan dat al veel hulpmiddelen ontwikkeld zijn, maar dat deze vanwege problemen met vergoedingen en financiering niet of nauwelijks voor hen beschikbaar zijn.



## 5.2 Discussie

### *Trends in de gezondheidszorg*

Vershillende trends die in de gezondheidszorg breed worden waargenomen, zijn ook terug te vinden in de resultaten van dit project<sup>14,15</sup>:

- *Door vroege diagnostiek naar vroege interventie.* Een breed gedeelde wens is om diagnostische instrumenten te optimaliseren, waardoor vroegere en meer onderscheidende diagnostiek kan plaatsvinden, waarna een breed instrumentarium aan zorg op maat kan worden aangeboden. Huisartsen hebben hierin een voorkeur voor handzame testkits terwijl medisch specialisten behoefte hebben aan high tech analyses.
- *Van standaard naar zorg op maat.* In de consultatie klinkt enerzijds duidelijk de roep naar meer *evidence based* medische producten (diverse patiënten, zorgverleners), en anderzijds het besef dat *evidence based* voor patiëntgroep X niet hoeft te gelden voor patiëntgroep Y. In dit kader pleiten alle geconsulteerde groepen voor een efficiënte benutting van aanwezige kennis, o.a. gefaciliteerd door informatie uitwisselingssystemen zoals EPD (medisch specialisten en verpleegkundigen) en HIS (huisartsen), maar ook door de details in het verhaal van de patiënt serieus te nemen in een uitgebreider patiënt-arts contact (patiënten).
- *Van slachtoffer naar zelfmanager.* Hoewel het evident is dat een patiënt per definitie slachtoffer is van zijn of haar aandoening, is mede door internet, e-health en lotgenotencontact een emancipatoire trend bij patiënten waarneembaar die deze afhankelijkheid wil minimaliseren waar mogelijk. Vanuit andere gronden, betaalbaarheid van de zorg (specialisten) en efficiëntie van de zorgverlening (mantelzorgers, verpleegkundigen en huisartsen), is een parallelle vraag naar gebruiksvriendelijke zorgproducten. Patiënten (en mantelzorgers en huisartsen) vragen in dit verband met name naar medische producten die belemmeringen in het dagelijkse functioneren kunnen verminderen of compenseren en de controle bij de patiënt brengen.

### *Concretisering onderzoeksbehoeften*

De prioritaire onderzoeksbehoeften verschillen onderling in concreetheid. Patiënten zijn goed in staat concrete knelpunten te benoemen, maar zijn minder goed in staat om deze te verbinden aan toekomstige concrete medische producten. Het is ook onrealistisch om dit van hen te verwachten, aangezien zij over het algemeen hiervoor de juiste achtergrond niet bezitten. Voor dit project zijn concrete onderzoeksbehoeften echter wenselijk, aangezien daardoor onderzoek meer specifiek kan worden aangestuurd. Door middel van gesprekken met patiëntenorganisaties en input van hoogleraren is getracht om de concreetheid te vergroten, maar dit is niet in alle gevallen gelukt. Mogelijk is hiervoor een andere aanpak meer geschikt (zie paragraaf 5.3 voor suggesties).

### *Brede toepasbaarheid onderzoeksbehoeften*

De geïdentificeerde onderzoeksbehoeften in dit project zijn geformuleerd voor specifieke ziektegebieden. Naast de specifieke toepasbaarheid van de onderzoeksbehoeften zijn de gevonden resultaten ook breder – voor meerdere ziektegebieden en patiënten – toepasbaar. Dit kan op verschillende niveaus zichtbaar worden gemaakt. Over het algemeen geldt dat op een laag niveau de onderzoeksbehoeften specifiek en concreet zijn, maar minder breed toepasbaar. Op een hoger niveau worden de onderzoeksbehoeften algemener en minder concreet, maar wel breder toepasbaar.

Op laag niveau – het niveau van de individuele onderzoeksbehoeften – kunnen diverse onderzoeksbehoeften worden onderscheiden, waarvoor de toepasbaarheid breder is dan voor het ziektegebied. Ten eerste zijn voor verschillende ziektegebieden overeenkomstige onderzoeksbehoeften waar te nemen. Dit betreffen onder andere de onderzoeksbehoeften op het gebied van *zorg op maat en algemene verbetering therapie*, zoals 'ontwikkeling

<sup>14</sup> TNO (2004) *Onderweg naar overmorgen – trends als bron voor vernieuwing*. Delft, TNO.

<sup>15</sup> SCP (2005) *In het zicht van de toekomst: Sociaal en Cultureel Rapport 2004*. Den Haag, Sociaal en Cultureel Planbureau.

van een medicamenteuze behandeling op basis van individuele (ziekte) kenmerken' en 'ontwikkeling effectieve (zenuw)pijnbestrijding'. Ten tweede is het belangrijk te realiseren dat tussen de verschillende geraadpleegde groepen herkenning en erkenning was van de geformuleerde onderzoeksbehoeften. Dit bleek onder andere uit de dialoogbijeenkomst en diverse informele gesprekken. Een specifieke onderzoeksbehoefte is vaak ook relevant voor andere ziektegebieden, ondanks dat de onderzoeksbehoefte daar niet geprioriteerd is. Zo is de onderzoeksbehoefte 'ontwikkeling effectieve pijnbestrijding', die geprioriteerd is door patiënten met spierziekten, ook genoemd bij verschillende andere ziektegebieden, zoals CVA en maag- darm- en leveraandoeningen. Tevens gaven mensen van verschillende ziektegebieden (zoals maag- darm- en leveraandoeningen, nierziekten en brandwonden) aan dat de onderzoeksbehoefte 'aangrijpingspunt om vermoeidheid aan te kunnen pakken', die geprioriteerd is door mensen met ademhalingsproblematiek, ook voor hen van belang is.

Op hoger niveau – het niveau waarbij ordeningsprincipes worden toegepast – kan brede toepasbaarheid goed worden aangetoond. Zo kan bij een ordening op basis van doelen onder andere worden geconcludeerd dat er breed behoefte is aan de ontwikkeling van innovatieve behandelingen (zoals genterapie en regeneratietechnieken) die kunnen bijdragen aan genezing van de aandoening. Bij de toepassing van andere ordeningsprincipes worden vermoedelijk nieuwe brede toepassingen zichtbaar.

#### *Brede raadpleging*

De opzet van dit project was een brede raadpleging van relevante stakeholdergroepen aan de vraagzijde. Naast zes ziektegebieden *met* bestaande onderzoeksagenda's zijn negen individuele ziektegebieden *zonder* agenda en vier groepen zorgverleners geraadpleegd, met behulp van één of twee focusgroepen/groepsgesprekken en eventueel aangevuld met enkele interviews.. Dit kan de vraag oproepen of de verschillende gebieden voldoende breed in kaart zijn gebracht en de onderzoeksagenda voldoende valide is opgesteld.

Validiteit van data kan op verschillende manieren worden verkregen. Validiteit kan worden verkregen middels raadpleging in de diepte en breedte via meerdere focusgroepen per ziektegebied of per zorgverlenergroep, waardoor verzadiging van informatieverzameling optreedt. Hiervoor zijn echter minimaal drie focusgroepen per ziektegebied/zorgverlenersgroep nodig. Dat was binnen dit project niet realistisch. Validiteit kan ook worden verkregen door middel van triangulatie<sup>16</sup>. Triangulatie heeft in dit project expliciet plaatsgevonden. Voor elk ziektegebied en voor de zorgverlenersgroepen huisartsen en verpleegkundigen zijn verschillende partijen geraadpleegd. Naast iedere focusgroep hebben interviews plaatsgevonden met hoogleraren werkzaam in de betreffende ziektegebieden/onderwerpen en met vertegenwoordigers van de betreffende patiëntenverenigingen. Daarnaast zijn voor enkele ziektegebieden aanvullende interviews met patiënten gehouden, wanneer het ziekte(deel)gebied niet voldoende gerepresenteerd was in de focusgroep. Bovendien is gedurende het project een groot aantal mensen geraadpleegd (169 patiënten en 64 zorgverleners)<sup>17</sup>. Tussen de verschillende geraadpleegde groepen was herkenning en erkenning van de geformuleerde onderzoeksbehoeften. Dit draagt bij aan de validiteit van de onderzoeksagenda's.

Rekrutering van de focusgroepen heeft voor de meeste focusgroepen plaatsgevonden via patiëntenorganisaties. Patiëntenorganisaties zijn gemakkelijk te benaderen, bezitten veel kennis over behoeften die leven bij patiënten en hebben vaak gemakkelijk toegang tot de achterban. Hierdoor kan echter de samenstelling van focusgroepen enigszins gebiased zijn. Patiënten die niet zijn aangesloten bij patiëntenorganisaties zijn op deze manier niet geïnccludeerd in het project. Daarnaast zijn in dit project patiënten die niet in staat zijn te participeren in een focusgroep, zoals ernstig zieke patiënten, niet meegenomen. Door voor enkele ziektegebieden te spreken met mantelzorgers en patiëntvertegenwoordigers is geprobeerd dit te ondervangen (voor onder andere de ziektegebieden spierziekte, ademhalingsproblematiek, nierziekten, dementie en verstandelijke beperkingen).

---

<sup>16</sup> Het gecombineerd gebruiken van methoden en bronnen.

<sup>17</sup> De rol van de mantelzorgers voor de ziektegebieden CVA en dementie was tweeledig; zij spraken zowel voor de patiënt, als vanuit de positie van mantelzorger. Deze groep mantelzorgers zijn zowel bij patiënten als bij mantelzorgers geteld.

Rekrutering via andere wegen – bijvoorbeeld oproepen via fora, in supermarkten of via zorgverleners – of het raadplegen van meer mantelzorgers en patiëntvertegenwoordigers was gezien het korte tijdspad in dit project niet haalbaar.

Voor de zes ziektegebieden met onderzoeksagenda was de patiëntenconsultatie meer valide, doordat de oorspronkelijke onderzoeksagenda's tot stand zijn gekomen via een uitgebreide raadpleging in de diepte en breedte. Hierdoor heeft verzadiging van onderzoeksbehoeften met betrekking tot individuele ziektegebieden plaatsgevonden. De oorspronkelijke raadpleging was in een aantal gevallen aangevuld met een enquête waardoor prioritering van onderzoeksbehoeften onder een grote groep patiënten plaatsvond. In dit project is gebruik gemaakt van deze bestaande onderzoeksagenda's. Vervolgens werden in overleg met een vertegenwoordiger van een patiëntenorganisatie van het betreffende ziektegebied, de onderzoeksbehoeften aan medische producten uit de bestaande onderzoeksagenda geselecteerd, bediscussieerd en eventueel aangescherpt. In enkele gevallen hebben aanvullende interviews plaatsgevonden, wanneer bepaalde deelgebieden niet voldoende werden gerepresenteerd. Deze wijze van raadpleging heeft echter als nadeel dat bestaande onderzoeksagenda's niet specifiek zijn opgesteld voor onderzoeksbehoeften aan medische producten en het is dus mogelijk dat niet alle onderzoeksbehoeften aan medische producten genoemd zijn in de bestaande onderzoeksagenda's. Bijvoorbeeld omdat onderzoeksbehoeften aan medische producten met een lagere prioriteit niet zijn opgenomen in de onderzoeksagenda of omdat onderzoeksbehoeften aan medische producten niet als zodanig zijn geformuleerd. Hierdoor kan toch een minder volledig beeld zijn ontstaan.

#### *Het participatief proces*

Een participatief proces – het betrekken van patiënten en zorgverleners – kan op basis van drie argumenten worden gerechtvaardigd; via *het normatief*, *het politiek* en *het inhoudelijk argument*<sup>18,19</sup>. Het participatief proces toegepast in dit project kan worden beoordeeld door na te gaan in hoeverre is voldaan aan deze drie argumenten.

Het eerste argument voor participatie van patiënten en zorgverleners – *het normatief argument* – heeft betrekking op het recht van patiënten en zorgverleners om mee te praten over onderzoek naar medische producten. Zij zijn namelijk de belanghebbenden en eindgebruikers van medische producten en hebben om die reden het recht om invloed uit te oefenen op beslissingen met betrekking tot onderzoek. Om te beoordelen in hoeverre in dit project voldaan is aan het normatief argument is het van belang te kijken of de meest relevante belanghebbenden aan de vraagzijde in staat zijn geweest om te participeren. Tijdens de dialoogbijeenkomst gaven deelnemers over het algemeen aan tevreden te zijn over de betrokken belanghebbenden, maar werd ook opgemerkt dat het jammer was dat paramedici, zoals fysiotherapeuten, niet betrokken waren. Daarnaast is het van belang te kijken naar het niveau van participatie. Er bestaan verschillende gradaties van participatie<sup>6</sup>. In dit project hebben patiënten en zorgverleners geparticipeerd op consultatieniveau. Patiënten en zorgverleners hebben actief inbreng geleverd, mee gedacht over onderzoeksbehoeften en hebben daarnaast kunnen reflecteren op de bevindingen via de verslagen van de focusgroepen en tijdens de dialoogbijeenkomst. Ze hebben niet geparticipeerd in de besluitvorming en eindanalyse. Op basis hiervan kan worden geconcludeerd dat voor een belangrijk deel aan het normatief argument is voldaan.

Het tweede argument – *het politiek argument* – heeft betrekking op de legitimiteit van het proces en de uitkomst. De legitimiteit van de onderzoeksagenda neemt toe wanneer de onderzoeksagenda de onderzoeksbehoeften van patiënten en zorgverleners herkenbaar weerspiegelt en deelnemers tevreden zijn met de uitkomst en de wijze waarop deze tot stand is gekomen. In dit project zijn de verslagen van de interviews en focusgroepen voorgelegd aan de deelnemers met de vraag of zij zich erin kunnen herkennen. De resultaten zijn hierdoor

---

<sup>18</sup> Abma, T., Broerse, J. (2007) *Zeggenschap in wetenschap. Patiëntenparticipatie in theorie en praktijk*, Uitgeverij LEMMA.

<sup>19</sup> Caron-Flinterman J.F (2005) *A new voice in science, Patient participation in decision-making on biomedical research*. Wohrmann Print Service

transparant verwerkt. In de tussenuitkomst, zoals gepresenteerd door de RGO tijdens de dialoogbijeenkomst, was grote herkenbaarheid bij de patiënten en er was tevredenheid over het tussenproduct. (Aangezien nog niet alle prioritaire onderzoeksbehoeften zijn opgenomen in de tussenuitkomst kan echter de legitimiteit van het eindproduct nog niet worden bepaald.) Tevens hebben veel deelnemers aangegeven dat zij de focusgroepmethode een prettige manier van consultatie vinden. De focusgroep is voor hen een goede manier om ervaringen en wensen met elkaar te identificeren en gezamenlijk prioritaire onderzoeksbehoeften te formuleren<sup>20</sup>. Desgevraagd hebben patiënten en zorgverleners aangegeven dat zij in de toekomst vaker betrokken willen worden bij onderzoeksagenderingsprocessen.

Het derde argument – *het inhoudelijk argument* – heeft betrekking op de inbreng van patiënten en zorgverleners in de onderzoeksagenda, en de meerwaarde van die inbreng. Patiënten en zorgverleners zijn bij het project onderzoeksagenda medische producten betrokken, omdat zij specifieke kennis bezitten – ervaringskennis en praktische kennis – die een aanvulling kan zijn op de kennis van de biomedische wetenschappers, de overheid en de industrie. Deze kennis kan ertoe leiden dat patiënten en zorgverleners onderzoeksbehoeften formuleren, die momenteel niet (voldoende) worden bestudeerd (marktfalen). In dit project hebben zowel patiënten als zorgverleners onderzoeksbehoeften geformuleerd, waar in de biomedische onderzoeksweld geen of weinig aandacht voor is. Zo hebben verschillende groepen aangegeven symptoombestrijding (zoals vermoeidheid, pijn en jeuk) en een medicamenteuze behandeling die beter is afgestemd op het individu belangrijk te vinden. Veel deelnemers van de aanbodzijde (overheid, industrie en hoogleraren) waren tijdens de dialoogbijeenkomst positief verrast over de kennis en bijdrage van patiënten. Zij zien de bijdrage van patiënten in dit proces als een meerwaarde voor de onderzoeksagenda.

### 5.3 Mogelijkheden voor de toekomst

#### *Lessen voor een volgend consultatietraject*

Voor dit project is gekozen voor een uitgebreide 'needs assessment' middels de 'Interactive Learning and Action' methodologie, waarin consultatie van patiënten en zorgverleners heeft plaatsgevonden voor vijftien ziektegebieden in een tijdspad van vijf en een halve maand. Het korte tijdspad kan waarschijnlijk worden aangemerkt als één van de grootste uitdagingen van dit project. De voorbereidingsfase – het opbouwen van een netwerk en de eerste verkennende gesprekken – kostte meer tijd dan verwacht. Niet voor alle ziektegebieden kon gemakkelijk een ingang worden gevonden en we waren afhankelijk van overvolle agenda's van patiëntenorganisaties. Daarnaast verliep de werving van deelnemers voor enkele focusgroepen enigszins moeizaam, waardoor veel focusgroepen pas in de vierde maand konden plaatsvinden. Dit heeft ertoe geleid dat in de laatste maanden onder grote tijdsdruk is gewerkt en de RGO commissie vervolgens weinig tijd had om de resultaten te verwerken voor de dialoogbijeenkomst. Hierdoor was het eindresultaat nog niet bekend tijdens de dialoogbijeenkomst. Indien nogmaals een dergelijke consultatie van de vraagzijde wordt beoogd, is het van belang om of een ruimer tijdspad op te stellen, of het project te vereenvoudigen door bijvoorbeeld minder ziektegebieden te consulteren of minder stakeholdergroepen te betrekken.

#### *Naar een partnerschap*

Zoals eerder opgemerkt, is het voor patiënten vaak moeilijk gebleken om concrete medische producten te formuleren. Het is ook onrealistisch om dit van hen te verwachten, aangezien zij over het algemeen niet over de benodigde achtergrondkennis beschikken. Het ligt voor de hand om hiervoor experts aan de aanbodzijde te bevragen. Echter de kans bestaat dat de aldus 'vertaalde' concrete onderzoeksbehoeften te ver verwijderd raken van het patiëntenperspectief. In eventuele nieuwe trajecten kan dit probleem ondervangen worden door patiënten en experts met elkaar in dialoog te brengen en hen gezamenlijk – als partners – onderzoeksbehoeften

---

<sup>20</sup> Enkele hoogleraren gaven tijdens de dialoogbijeenkomst aan dat zij ook graag via de focusgroepmethode geconsulteerd hadden willen worden, omdat ze in een focusgroep op elkaar kunnen reageren en nieuwe ideeën kunnen genereren.

te laten formuleren. In een dergelijke dialoog kan een deel van de onderzoeksbehoeften verder geconcretiseerd worden met inachtneming van de stand van wetenschap, terwijl het patiëntenperspectief gewaarborgd blijft. Een dergelijke dialoog is echter complex door de verschillen in kennis en status van patiënten en experts en behoeft derhalve facilitatie door een vakkundige moderator.

#### *Naar een dynamische onderzoeksagenda*

Om onderzoeksagenda's actueel en dynamisch te houden zijn vervolgtrajecten van belang. Technologische innovaties volgen elkaar in hoog tempo op en de maatschappij is ook aan verandering onderhevig, waardoor verschuivingen zullen optreden in de onderzoeksbehoeften van patiënten en zorgverleners. Om de actualiteit van onderzoeksagenda's te behouden, is het belangrijk dat stakeholdergroepen van tijd tot tijd opnieuw worden geraadpleegd. Er zijn verschillende mogelijkheden om eventuele vervolgtrajecten vorm te geven. Hierbij kan gedacht worden aan actualisering en/of uitbreiding van de onderzoeksagenda, waarbij de vorm en betrokkenheid van patiënten en zorgverleners kan verschillen.

Actualisering van de onderzoeksagenda kan plaatsvinden via een lichtere inspanning dan het geval was in dit project. Actualisering kan worden vorm gegeven door eerst experts voor de verschillende (ziekte)gebieden na te laten gaan of op hun terrein nieuwe ontwikkelingen hebben plaatsgevonden. Vervolgens kan in een bijeenkomst met patiënten en zorgverleners worden gereflecteerd op de eerder geïdentificeerde onderzoeksbehoeften, prioriteiten en de nieuwe additionele input van experts. Hiervoor hoeven bijvoorbeeld alleen vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties te worden benaderd. Daarna kan bijvoorbeeld een enquête onder patiënten worden uitgezet zodat de prioritaire onderzoeksbehoeften van een grote groep patiënten in kaart worden gebracht<sup>21</sup>. Tot slot kan dan in een dialoog tussen patiënten, zorgverleners en experts gekomen worden tot een geactualiseerde en breed gedragen onderzoeksagenda.

Naast actualisering van de onderzoeksagenda kan ook gekozen worden voor uitbreiding van de onderzoeksagenda met nieuwe stakeholdergroepen, zoals nieuwe groepen zorgverleners of patiënten. Deze uitbreiding kan bijvoorbeeld plaatsvinden in de tweede stap van de actualisering, nadat experts de onderzoeksbehoeften hebben nagelopen en additionele aandachtsgebieden (voor onderzoeksbehoeften en nieuwe stakeholdergroepen) hebben aangegeven. Aangezien hiervoor stakeholdergroepen voor de eerste keer geraadpleegd worden, vereist verbreding van de onderzoeksagenda een iets grotere inspanning door middel van focusgroepen.

Het Astma Fonds heeft in 2009 zowel een actualisering als een verbreding van de onderzoeksagenda uitgevoerd. In 2005 is een eerste brede onderzoeksagenda voor COPD en astma opgesteld. Deze is in 2009 geactualiseerd en uitgebreid met enkele andere longaandoeningen, zoals Cystische Fibrose. De gevolgde methodologie voor de actualisering en de verbreding was eenzelfde als hierboven beschreven en bleek succesvol.

Voor eenvoudige en effectieve vervolgtrajecten is de aanwezigheid van een infrastructuur waar patiënten structureel ingebed zijn in processen van onderzoeksagendering wenselijk. Dit kan bereikt worden door capaciteitsontwikkeling van patiëntenorganisaties. Hierdoor kunnen patiëntenorganisaties zelf brede onderzoeksagenda's opstellen en deze dynamisch en actueel houden. Een bijkomend voordeel is dat patiënten(vertegenwoordigers) dan actief betrokken zijn bij de onderzoeksagendering (vaak als partner of medeonderzoeker), wat het draagvlak van de onderzoeksagenda vergroot. Wanneer de behoeften van patiënten algemeen bekend zijn (bij patiëntenorganisaties en collectebusfondsen), is in de toekomst voor een adviesvraag van de Minister van VWS een minder uitgebreide raadpleging van verschillende stakeholdergroepen nodig. Uit dit project is namelijk gebleken dat het raadplegen van de ziektegebieden met onderzoeksagenda relatief

---

<sup>21</sup> Een dergelijke enquête is echter niet de aangewezen methode als nog niet via focusgroepen/interviews de volle breedte aan onderzoekbehoeften is geïdentificeerd.

eenvoudig was. De bestaande onderzoeksagenda's zijn het resultaat van een uitgebreide raadpleging in de breedte en diepte en bevatten onderzoeksbehoeften voor verschillende gebieden. Een belangrijke randvoorwaarde voor deze strategie is echter dat inzicht bestaat in hoe een dergelijke capaciteitsontwikkeling bij patiëntenorganisaties effectief kan plaatsvinden en dat hiervoor middelen ter beschikking worden gesteld.

## Bijlage 1 Tabel overige medische producten

Ziektegebied/ Doelen	Zorg op maat	Algemene verbetering therapie	Vertraging aandoening/genezing	Zelfmanagement	Vroegtijdige en juiste diagnostiek
<b>Ademhalings problematiek</b>		Verbetering prednison met vergroote effectiviteit en minder bijwerkingen  Verbetering toedieningsvormen van inhalators, vernevelaars en infusen	Weefselherstel  Verbetering longtransplantatie technieken	Verbetering NO-meter voor thuismeting	
<b>Angst- en dwangstoornissen</b>		Medicatie met kortere op- en afbouw perioden  Medicatie met minder bijwerkingen  Ontwikkeling van Deep Brain Stimulation			Ontwikkeling beeldvormende technieken voor snellere diagnose
<b>Bewegingsapparaat</b>	Effectieve pijnbestrijding op basis van individuele kenmerken	Aangrijpingspunt om vermoeidheid aan te kunnen pakken  Verbetering van ontstekingsremmers		Aanpassing van hulpmiddelen aan persoonlijke omstandigheden	Verbetering methodieken voor vroegtijdige en juiste diagnose bij artrose (via bijv. biomarkers)
<b>Brandwonden</b>		Verbetering van littekenversteviging (via o.a. vulproducten)  Verbanden, die beter absorberen en waarbij de wisselingen minder pijnlijk zijn  Methoden die pigment kunnen aanbrengen in littekenhuid  Verbetering drukpakken, drukmaskers		Ontwikkeling ergotherapeutische hulpmiddelen	
<b>Cardiovasculaire aandoeningen</b>		Verbetering van stents die medicatie afgeven  Vermindering maagproblemen door medicatie			
<b>Cerebro Vasculair Accident</b>	Ontwikkeling van medicamenteuze behandeling op basis van individuele (ziekte) kenmerken			Verbetering orthopedische schoenen  Ontwikkeling van thuisinstrumenten voor het meten van de bloeddruk en cholesterol	
<b>Dementie</b>				Ontwikkeling van hulpmiddelen voor zorg op afstand (zoals GPS technologie en domotica)  Ontwikkeling van hulpmiddelen tegen eenzaamheid (zoals telecommunicatie, pratende knuffels)	
<b>Depressie</b>					Ontwikkeling van genetische testen
<b>Diabetes</b>		Non-invasieve insuline toediening  Ontwikkeling van medicatie voor aan diabetes gerelateerde neuropathie	Transplantatie van de eilandjes van Langerhans voor herstel insuline productie bij type 1 diabetes	Meetinstrument om een hypoglycemia beter te voorspellen	

Ziektegebied/ Doelen	Zorg op maat	Algemene verbetering therapie	Vertraging aandoening/genezing	Zelfmanagement	Vroegtijdige en juiste diagnostiek
<b>Diabetes</b>		Non-invasieve insuline toediening  Ontwikkeling van medicatie voor aan diabetes gerelateerde neuropathie	Transplantatie van de eilandjes van Langerhans voor herstel insuline productie bij type 1 diabetes	Meetinstrument om een hypoglycemia beter te voorspellen	
<b>Maag-darm-lever aandoeningen</b>		Middel dat de invloed van hormonen op de aandoening reguleert  Verbeterde toedieningsvorm van klysmas, sondevoeding en biologicals voor mensen met de ziekte van Crohn en colitis ulcerosa  Effectieve pijnmedicatie voor mensen met PDS  Ontwikkeling van laxantia met minder bijwerkingen voor mensen met PDS  Aangrijpingspunt om vermoeidheid aan te kunnen pakken bij mensen met een leveraandoening		Ontwikkeling van methoden voor thuismetingen van ontstekingswaarden voor de ziekte crohn en colitis ulcerosa  Ontwikkeling van methoden die minder interne en externe complicaties geven bij stoma's  Verbetering van stomamateriaal voor kinderen	
<b>Nierziekten</b>		Ontwikkeling van medicatie met minder bijwerkingen		Ontwikkeling van methoden voor thuismetingen van bloedwaarden  Ontwikkeling van een mobiel en compacter dialyseapparaat	Ontwikkeling van diagnostische instrumenten waarmee erfelijke en zeldzame nieraandoeningen eerder kunnen worden vastgesteld
<b>Spierziekten</b>		Verbetering PEG katheter  Onderzoek naar de effectiviteit van off-label medicatie		Verbetering van ademhalingsondersteuning (lichtere en kleinere apparatuur)	Verbetering methodieken voor het stellen vroegtijdige en juiste diagnose
<b>Verstandelijke beperkingen</b>		Ontwikkeling van neuromodulatie		Ontwikkeling van domotica	
<b>Visuele beperkingen</b>	Verbetering filterbrillen op basis van individuele kenmerken en wensen	Verbetering toediening oogdruppels bij glaucoom  Verbetering toediening injecties in het oog bij natte maculadegeneratie  Verbetering ergonomie hulpmiddelen	Ontwikkeling van genterapie  Zenuw/oogweefselregeneratie	Verbetering van software voor internet gebruik	
<b>Zeldzame aandoeningen</b>		Ontwikkeling van expertise centra  Medicatie voor afremming botvorming in weke delen voor mensen met FOP			Uitbreiding van neonatale screening voor erfelijke aandoeningen  Uitbreiding van genetische selectie voor erfelijke aandoeningen.



## **Bijlage 2    Analyses van de ziektegebieden**

In deze bijlage zijn de afzonderlijke analyse van de veertien ziektegebieden opgenomen. De analyses hebben eenzelfde opbouw.

- De specifieke aandoeningen binnen het ziektegebied
- De gebruikte methode voor de dataverzameling
- De prioritaire onderzoeksbehoeften naar medische producten
- Overige relevante medische producten. Dit betreffen ontwikkelingen van medische producten die belangrijk worden gevonden door patiënten, maar minder hoog zijn geprioriteerd.
- Voor enkele ziektegebieden zijn ontwikkelingen van de medische producten genoemd, die door patiënten niet relevant worden gevonden.
- Brede onderwerpen. Dit zijn knelpunten en behoeften, die niet direct gerelateerd zijn aan de ontwikkeling van medische producten, maar door patiënten wel belangrijk worden gevonden. Deze brede onderwerpen geven inzicht in de context van medische producten binnen het betreffende ziektegebied.

## Ademhalingsproblematiek

### Ziektegebied

Voor het ziektegebied ademhalingsproblematiek zijn de behoeften van mensen met de longaandoeningen astma, COPD, longfibrose, pulmonale hypertensie, sarcoidose en cystic fibrose in kaart gebracht.

### Methode

1. Bestaande onderzoeksagenda<sup>22</sup> geanalyseerd op onderzoeksonderwerpen met betrekking tot medische producten.
2. Zes aanvullende interviews met mensen met COPD, astma, longfibrose, en vertegenwoordigers van de Vereniging Pulmonale Hypertensie Nederland, de Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting en het Astma Fonds.
3. Integratie van behoeften tot een top 3 met betrekking tot medische producten.

### Prioriteiten

#### ***De ontwikkeling van medicamenteuze behandeling op basis van individuele (ziekte) kenmerken***

Mensen met longaandoeningen gebruiken vaak medicatie, dat verschillende bijwerkingen tot gevolg kan hebben en/of niet altijd even effectief werkt. Dit heeft een negatief effect op de kwaliteit van leven. Mensen met longaandoeningen hebben de behoefte aan een betere afstemming van de medicamenteuze behandeling op individuele kenmerken, zoals leeftijd (met speciale aandacht voor kinderen), geslacht, progressie, genetica (*personalized medicine*) en de mate van de aandoening. Hierdoor kan vermoedelijk de effectiviteit van de medicatie worden vergroot en de hoeveelheid medicatie en de bijwerkingen worden verminderd.

#### ***De verbetering van methodieken voor het stellen van een vroegtijdige en juiste diagnose***

Mensen met longaandoeningen hebben vaak al enkele jaren last van (longgerelateerde) klachten voordat de juiste diagnose wordt gesteld. Soms zijn er geen diagnostische methodes voorhanden, bijvoorbeeld voor jonge kinderen. Mensen met longaandoeningen hebben daarnaast behoefte aan een verbetering van methodieken, waarbij methoden ook eenvoudiger en minder invasief zijn<sup>23</sup>, die bijdragen aan een vroegtijdige en juiste eerste diagnose. Hoe eerder een longaandoening wordt gediagnosticeerd, des te eerder begonnen kan worden met een behandeling.

#### ***Aangrijpingspunt om vermoeidheid aan te kunnen pakken<sup>24</sup>***

De sociale participatie (arbeid, gezin, mobiliteit) van mensen met longaandoeningen wordt vaak belemmerd door vermoeidheid. Vermoeidheid is voor de meeste mensen een direct gevolg van de longaandoening. Daarom is er behoefte aan aangrijpingspunten om de vermoeidheid aan te kunnen pakken. Als vermoeidheid op de lange termijn hierdoor kan worden opgelost of verminderd, kan de kwaliteit van leven voor veel mensen enorm verbeterd worden.

---

<sup>22</sup> Het Astma Fonds heeft in 2005 in samenwerking met ZonMW en het Athena Instituut, VU Amsterdam een brede onderzoeksagenda opgesteld voor astma en COPD, voornamelijk vanuit patiënten perspectief. Deze onderzoeksagenda is in 2009 uitgebreid voor de longaandoeningen longfibrose, pulmonale hypertensie, sarcoidose en cystic fibrose. De onderzoeksagenda's zijn echter niet specifiek opgesteld voor medische producten.

<sup>23</sup> Bijvoorbeeld, een hartkatheterisatie, om de druk in de longader te meten, is nodig om Pulmonale Hypertentie te diagnosticeren. Dit is echter een invasieve, belastende en dure methode. Hierdoor wordt Pulmonale Hypertensie vaak (te) laat gediagnosticeerd.

<sup>24</sup> Uit de focusgroepen met mensen met een lever aandoening en mensen met klachten aan het bewegingsapparaat bleek dat ziektegerelateerde vermoeidheid ook een grote rol bij hen speelt.

### **Overige relevante medische producten**

Naast de beschreven prioriteiten zijn er ook andere onderzoeksbehoeften naar medische producten gesignaleerd. Deze zijn echter minder hoog geprioriteerd.

Daarnaast is er behoefte aan onderzoek naar weefselherstel. Longaandoeningen leiden tot irreversibele schade aan de longen en in de tijd gaat hierdoor de longfunctie achteruit. Via weefselherstel kan de schade omkeerbaar worden gemaakt en zo een verbetering van de longfunctie worden bereikt. Hierdoor zou transplantatie niet meer nodig hoeven te zijn.

Prednison wordt vaak voorgeschreven tegen ontstekingsreacties in de longen. Hoewel de effectiviteit ervan door mensen met longziekten wordt onderschreven, worden de bijwerkingen (zoals groeistoornissen, slecht gebit, botontkalking en concentratiestoornissen) als ernstig ervaren. De ontwikkeling van vernieuwde of andere ontstekingsremmers, die lokaal of op systemisch niveau de ontstekingsreactie effectief kunnen terugdringen met minder bijwerkingen is wenselijk. Het kan bijdragen aan een betere kwaliteit van leven.

Mensen met een longaandoening willen graag controle hebben over hun leven. Zij willen symptomen en klachten gerelateerd aan hun aandoening zelf (eerder) leren herkennen en weten hoe zij hier mee moeten om te gaan. Hierdoor kan winst worden behaald op de gezondheidstoestand. Daarom is er behoefte aan een aangepaste NO-meter, waarmee mensen thuis de ontstekingsreactie in de longen kunnen meten en zo nodig hun medicatie kunnen aanpassen.

Mensen met longaandoeningen geven aan problemen te ervaren met de toedieningsvormen, zoals inhalators, vernevelaars en infusen, van medicatie. Bij inhalators moet bijvoorbeeld krachtig worden geïnhaleerd en is een goede handfunctie vereist. Vernevelaars zijn groot, zwaar en onhandig in gebruik. Mensen met pulmonale hypertensie hebben constant een infuus in hun buik. De naald geeft irritatieplekken en de infuusvloeistof geeft vervelende bijwerkingen. Er is behoefte om de toedieningsvormen te verbeteren.

Een deel van de mensen met longaandoeningen heeft op den duur een longtransplantatie nodig. Men denkt dat het aantal longtransplantaties kan toenemen en afstotingsreacties kunnen worden verminderd als technieken als 'non-heart beating' transplantaties en het opwerken van de longen vooraf aan de transplantatie verbeterd worden.

### **Brede onderwerpen**

Op basis van de onderzoeksagenda en de interviews zijn een aantal belangrijke knelpunten en behoefte gesignaleerd, die niet direct gerelateerd zijn aan de ontwikkeling van medische producten.

Naast de behoefte om vermoeidheid aan te kunnen pakken met een medisch product is er op korte termijn grote behoefte aan training of coaching om te kunnen omgaan met de vermoeidheid en te leren hun energie zo goed mogelijk te verdelen. Hierdoor kan de zelfstandigheid en sociale participatie hopelijk behouden worden.

Co-morbiditeit speelt een grote rol bij mensen met een longaandoening. Vooral oudere mensen hebben vaak, naast een longaandoening, last van andere aandoeningen en klachten zoals allergieën, ADL-beperkingen, hart- en vaatziekten of diabetes. Veel mensen denken dat de verschillende aandoeningen aan elkaar gerelateerd. Daarom zouden ze willen dat er eerder aandacht is voor mogelijke co-morbiditeiten. Door co-morbiditeit zijn de klachten minder goed te behandelen door bijvoorbeeld wisselwerkingen tussen medicatie en wordt de kwaliteit van leven minder. Daarnaast is de zorg minder optimaal als mensen te maken hebben met co-morbiditeit. De verschillende disciplines zijn niet op elkaar afgestemd.

## Angst- en dwangstoornissen

### Ziektegebied

Voor het ziektegebied angst- en dwangstoornissen zijn de behoeften van mensen met de angst- en dwangstoornissen: Gegeneraliseerde Angst Stoornis (GAS), hypochondrie, smetvrees, Obsessieve Compulsieve Stoornis (OCS), dwanggedachten, paniekstoornis en sociale fobie, in kaart gebracht.

### Methode

1. Twee focusgroepen met mensen die een angst- of dwangstoornis hebben.
2. Integratie van behoeften tot een top 3 met betrekking tot toekomstige medische producten.

### Prioriteiten

#### ***De ontwikkeling van medicamenteuze behandeling op basis van individuele (ziekte) kenmerken***

De effectiviteit van de verschillende soorten medicatie en doseringen verschilt sterk per persoon. Daarnaast gebruiken mensen met angst- en dwangstoornissen vaak medicatie, die verschillende bijwerkingen tot gevolg kan hebben, zoals gewichtstoename, overmatig zweten en sufheid. Mensen ervaren de bijwerkingen als een groot probleem. Mensen met angst- en dwangstoornissen hebben behoefte aan een betere afstemming van de medicamenteuze behandeling op individuele kenmerken, zoals medicijnwaarden in het bloed, genetica (*personalized medicine*) en het type angst- of dwangstoornis. Mensen met angst- en dwangstoornissen vinden het vooral belangrijk dat medicatie wordt afgestemd op hun genetisch profiel (*personalized medicine*) en op medicijnwaarden in het bloed. Mogelijk kan de effectiviteit van de medicatie hierdoor worden vergroot en de bijwerkingen worden verminderd. Bovendien zou dit problemen rondom de op- en afbouw van medicatie kunnen verminderen (zie overige relevante medische producten).

#### ***De ontwikkeling van producten voor biofeedback***

Dwanghandelingen en angsten hebben een direct negatief effect op de kwaliteit van leven. Ze geven problemen op verschillende gebieden, zoals het sociale leven, uitvoering van dagelijkse activiteiten en werk. Mensen met een angst- en dwangstoornis hebben behoefte aan de ontwikkeling van producten voor biofeedback, waarmee lichamelijke veranderingen ten gevolge van dwanghandelingen of angsten in kaart kunnen worden gebracht (zoals hartslag, zweetproductie en beweging). Vervolgens kan er een signaal worden afgegeven, waardoor iemand bewust wordt van de dwanghandelingen of spanningen en deze kan doorbreken. Dit draagt bij aan een vermindering van de dwanghandelingen en zorgt ervoor dat mensen meer kunnen ontspannen, en minder angstig zijn.

#### ***Middel dat fluctuaties van geslachtshormonen reguleert***

Hormonale fluctuaties ten gevolge van menstruatie en zwangerschap hebben een negatief effect op de angst- en dwangstoornis. Tijdens menstruatie en zwangerschap ervaren vrouwen een verergering van de klachten. Vrouwen met angst- en dwangstoornissen hebben behoefte aan onderzoek naar de invloed van fluctuaties van geslachtshormonen op de klachten. Op deze manier kan het werkingsmechanisme achter de fluctuaties van geslachtshormonen in kaart worden gebracht, waardoor vervolgens een medische product kan worden ontwikkeld of op kan worden aangepast. Hierdoor worden de klachten verminderd en meer acceptabel.

### Overige relevante medische producten

Naast de beschreven prioriteiten zijn er ook andere onderzoeksbehoeften naar medische producten gesignaleerd.

Veel medicatie voor angst- en dwangstoornissen moet worden op- en afgebouwd. Een grote groep mensen met angst- en dwangstoornissen ervaren veel bijwerkingen ten gevolge hiervan. Daarnaast wisselen veel mensen met angst- en dwangstoornissen gedurende hun behandeling van medicatie, vanwege een gering effect van de

medicatie op de angst- en dwangstoornis. Het opbouwen van medicatie zorgt voor onzekerheid, omdat er wordt gedacht dat de medicatie niet aanslaat of een verkeerde dosering is gegeven. Mensen met angst- en dwangstoornissen vinden medicatie die minder of niet hoeft te worden op- en afgebouwd wenselijk. Hierdoor wordt sneller duidelijk wat de effectiviteit van de medicatie is en kan eenvoudig gewisseld worden bij gering effect.

Ten gevolge van de medicatie voor angst- en dwangstoornissen ervaren veel mensen met angst- en dwangstoornissen bijwerkingen, zoals gewichtstoename, overtollig zweten en sufheid. Deze bijwerkingen hebben een negatief effect op de kwaliteit van leven. De ontwikkeling van verbeterde of andere medicatie, die minder bijwerkingen geven en effectiever zijn, is wenselijk.

Een nieuwe behandeling bij angst- en dwangstoornissen is neuromodulatie via Deep Brain Stimulation (DBS)<sup>25</sup>. Mensen met angst- en dwangstoornissen geven aan verdere ontwikkeling van DBS nuttig te vinden, hoewel zij ook kritisch zijn over deze methode. DBS is ingrijpend, er zitten veel risico's aan verbonden en de werkzaamheid is nog niet bewezen. Verdere ontwikkeling van deze methode zou zich vooral moeten richten op het wegnemen van deze risico's, bijvoorbeeld door de neuromodulatie van buitenaf (niet invasief) toe te passen.

Mensen met angst- en dwangstoornissen hebben behoefte aan de ontwikkeling van beeldvormende technieken, zoals MRI, voor een snellere en betere diagnose. Het duurt vaak lang voordat een passende diagnose wordt gesteld en de juiste behandeling wordt gegeven. Beeldvormende technieken kunnen bijdragen aan een betere diagnose, zodat eerder een goede behandeling kan worden begonnen. Daarnaast kan vergroting van de kennis van artsen voor herkenning van de symptomen bijdragen aan een snellere en betere diagnose.

### **Brede onderwerpen**

Naast behoeften aan de ontwikkeling van medische producten zijn ook een aantal andere belangrijke knelpunten en behoeften gesignaleerd, die niet direct gerelateerd zijn aan de ontwikkeling van medische producten.

Mensen met angst- en dwangstoornissen geven aan dat zij onderwerpen als psychologische interventies, voorlichting, organisatie van de zorg, kennisvergroting van artsen en bejegening van de artsen belangrijker vinden dan medische producten. Volgens hen zou medicatie gezien moeten worden als ondersteuning van psychologische interventies. Verdere ontwikkeling van effectieve psychologische interventies, zoals mindfulness en EMDR, vinden zij erg belangrijk.

Een betere organisatie van de zorg (doorverwijzen naar juiste specialisten) en een vermindering van wachttijden kunnen bijdragen aan een verbetering van de behandeling van angst- en dwangstoornissen. De ontwikkeling van staalkaarten, waar behandelmogelijkheden en locaties op staan aangegeven kan hier ook bij helpen.

Mensen met angst- en dwangstoornissen ervaren veel onbegrip vanuit hun omgeving en dergelijke onderwerpen blijken vaak moeilijk bespreekbaar. Dit wordt mede veroorzaakt doordat mensen niet bekend zijn met angst- en dwangstoornissen. Voorlichtingsmateriaal, in de vorm van boeken of documentaires kan de bekendheid vergroten en zorgen voor meer begrip en acceptatie vanuit de omgeving. Daarnaast zorgt voorlichtingsmateriaal er ook voor dat angst- en dwangstoornissen eerder door mensen zelf wordt herkend en zij eerder hiervoor naar de arts gaan. Ook voor kinderen is dit belangrijk.

---

<sup>25</sup> Deep Brain Stimulation (DBS) is een vorm van neuromodulatie. Via een chirurgische ingreep wordt een elektrode in bepaalde hersengedeelte gebracht. Deze elektrode kan via impulsen de hersengebieden stilleggen.

## **Bewegingsapparaat**

### **Ziektegebied**

Voor het ziektegebied bewegingsapparaat zijn de behoeften van mensen met klachten aan het bewegingsapparaat artrose, de ziekte van Bechterew, fibromyalgie, reumatische artritis en Systemische Lupus Erythematoses (SLE), in kaart gebracht.

### **Methode**

1. Drie focusgroepen met mensen met klachten aan het bewegingsapparaat.
2. Integratie van behoeften tot een top 3 met betrekking tot toekomstige medische producten.

### **Prioriteiten**

#### ***Het van te voren kunnen vaststellen welke medicatie het meest effectief is op basis van individuele (ziekte) kenmerken***

Mensen met klachten aan het bewegingsapparaat gebruiken langdurig medicatie, dat niet altijd even effectief werkt. Vaak worden er verschillende medicijnen geprobeerd om te zien welke het beste aanslaat. Het duurt vaak lang voordat het juiste medicijn en de juiste dosering is bepaald. Daarnaast worden er verschillende (persoonsgebonden) bijwerkingen ervaren. Mensen met klachten aan het bewegingsapparaat hebben de behoefte aan een betere afstemming van de medicamenteuze behandeling op basis van individuele kenmerken. Ze willen graag dat er van te voren wordt gekeken welk medicijn het beste bij hen past, bijvoorbeeld door middel van genetica of biomarkers. Daarnaast vinden ze het belangrijk dat er rekening wordt gehouden met kenmerken als leeftijd, geslacht, mate en progressie van de aandoening. Hierdoor verwachten mensen sneller de juiste medicatie in de juiste dosering te krijgen.

#### ***Kraakbeen- en bot(re)generatie***

Pijnklachten in spieren en gewrichten en vermoeidheid zijn veel voorkomende klachten ten gevolge van gewrichtsbeschadigingen. Daarom hebben mensen met klachten aan het bewegingsapparaat behoefte aan een methode waarbij beschadigde gewrichten mogelijk hersteld kunnen worden, zoals kraakbeen- en bot(re)generatie. Mensen met klachten aan het bewegingsapparaat verwachten dat pijn en vermoeidheidsklachten zullen afnemen en slijtage voorkomen zal worden, wat tot een toename van kwaliteit van leven leidt. Op lange termijn verwachten ze dat deze techniek kan leiden tot genezing van de aandoening.

#### ***De ontwikkeling van apparatuur voor bewegingsanalyses (gait analysis)***

Het verloop van aandoeningen aan het bewegingsapparaat is erg persoonsgebonden. Veel mensen met klachten aan het bewegingsapparaat volgen algemene oefentherapie om de fysieke belastbaarheid op te bouwen en achteruitgang tegen te gaan. Er is behoefte aan de ontwikkeling van apparatuur dat de belastbaarheid van de gewrichten meet en inzichtelijk maakt (gait analysis). Hierdoor kan de oefentherapie beter worden toegepast op het individu. Beweging is van groot belang voor mensen met klachten aan het bewegingsapparaat en deze analyse kan ervoor zorgen dat mensen kunnen blijven bewegen op een veilige manier. Daarnaast kan deze 'bewegingsanalyse' inzicht geven in welke bewegingen zoveel mogelijk voorkomen moeten worden om achteruitgang te voorkomen, en welke bewegingen uitgevoerd kunnen worden zonder effect te hebben op de aandoening.

### **Overige relevante medische producten**

Naast de bovengenoemde prioriteiten zijn er nog andere onderzoeksbehoeften naar medische producten gesignaleerd. Deze zijn echter minder hoog geprioriteerd.

Vermoeidheid en het hebben van weinig energie worden gezien als zeer vervelende symptomen door mensen met klachten aan het bewegingsapparaat. De vermoeidheid is vaak continu aanwezig. Door deze vermoeidheid

en weinig energie moeten mensen met klachten aan het bewegingsapparaat hun activiteiten doseren en leren omgaan met hun grenzen. Mensen met klachten aan het bewegingsapparaat hebben behoefte aan onderzoek naar een aangrijpingspunt om vermoeidheid om de lange termijn te kunnen adresseren.

Mensen met artrose hebben behoefte aan vroege diagnose van artrose. Momenteel zijn er geen biomarkers zoals bloedwaarden bekend waardoor artrose vastgesteld kan worden. Methoden als MRI en röntgenfoto's worden gebruikt om de diagnose vast te stellen, maar misdiagnose en te laat diagnosticeren komen voor. Door juist te diagnosticeren in een vroeg stadium, bijvoorbeeld door middel van biomarkers, kan verdere slijtage van gewrichten voorkomen worden door een goede behandeling.

De huidige pijnbestrijding is niet effectief en veel mensen geven aan dat pijn een grote belemmering is in hun dagelijks leven. Er is behoefte aan effectieve pijnbestrijding toegespitst op persoonlijke klachten en leefomstandigheden.

Er zijn diverse hulpmiddelen voor mensen met klachten aan het bewegingsapparaat. Regelmatig wordt ervaren dat deze hulpmiddelen niet op maat zijn voor de persoon, zijn levenssituatie en specifieke ziektekenmerken. Vaak duurt het lang voordat een passend hulpmiddel is gevonden, of dat bijvoorbeeld een rolstoel na veel aanpassingen 'goed zit'. Mensen met klachten aan het bewegingsapparaat geven aan dat zij behoefte hebben aan hulpmiddelen die aangepast zijn op hun levensstijl en op maat zijn gemaakt aan de persoonsgebonden ziektekenmerken. Met passende hulpmiddelen zijn zij minder beperkt en neemt de zelfstandigheid toe.

Mensen met artrose maken gebruik van ontstekingsremmers die veel bijwerkingen geven. Zij geven aan behoefte te hebben aan ontstekingsremmers die effectief zijn, maar die tegelijkertijd zo min mogelijk bijwerkingen hebben. Natuurlijke ontstekingsremmers zouden hieraan kunnen bijdragen.

### **Brede onderwerpen**

Naast behoeften aan de ontwikkeling van medische producten zijn ook een aantal andere belangrijke knelpunten en behoeften gesignaleerd, die niet direct opgelost kunnen worden door medische producten.

Mensen met klachten aan het bewegingsapparaat hebben moeite met activiteiten in het Algemeen Dagelijks Leven (ADL-beperkingen). Zij worden beperkt in activiteiten met de handen, het uitvoeren van huishoudelijke taken en de persoonlijke verzorging door symptomen als pijn, stijfheid, vermoeidheid en een gebrek aan spierkracht. Dit ervaren zij als belemmerend. Daarnaast leidt dit in sommige gevallen tot onbegrip van de omgeving omdat (in veel gevallen) hun aandoening niet zichtbaar is.

Verschillende mensen geven aan dat zij niet kunnen meer werken ten gevolge van hun aandoening. Ook als zij nog gedeeltelijk kunnen werken, dan lukt dit niet door de beperkte mogelijkheden door wet- en regelgeving. Zij ervaren dat hen de keus niet gelaten te om te werken. Tevens hebben zij daardoor een beperkt inkomen, wat ook als vervelend ervaren wordt.

Mensen met klachten aan het bewegingsapparaat voelen zich vaak in hun vrijheid en in hun sociale participatie beperkt. Door hun beperkingen kunnen zij vaak niet meer sporten, fietsen of culturele en sociale activiteiten ondernemen. De actie radius wordt kleiner omdat zij vaak minder mobiel zijn en geen lange afstanden kunnen lopen. De beperkingen met sporten, lopen en niet meer kunnen werken zorgen ervoor dat sociale contacten verminderen.

## Brandwonden

### Ziektegebied

Voor het ziektegebied brandwonden zijn de behoeften van mensen met brandwonden en mensen met de bacteriële infectie Fasciitis *necroticans*<sup>26</sup> in kaart gebracht.

### Methode

1. Bestaande onderzoeksagenda<sup>27</sup> geanalyseerd op onderzoeksonderwerpen met betrekking tot medische producten.
2. Een aanvullend interview met twee vertegenwoordigers en tevens ervaringsdeskundigen van de Vereniging van Mensen met Brandwonden.
3. Integratie van behoeften tot een top 3 met betrekking tot medische producten.

### Prioriteiten

#### ***De ontwikkeling van effectieve jeukproducten***

Jeuk is een groot probleem bij mensen met brandwonden. Het belemmert mensen in hun dagelijks functioneren, doordat zij zich niet goed kunnen concentreren. Huidige jeukproducten zijn echter slechts effectief voor een beperkte groep. Zodoende is er behoefte aan de ontwikkeling van goede producten tegen jeuk van littekens bij mensen met brandwonden. Als het probleem van jeuk verholpen kan worden, kan dit leiden tot een betere kwaliteit van leven.

#### ***De ontwikkeling van weefselregeneratie***

Er is behoefte aan de (verdere) ontwikkeling van weefselregeneratie. Voor huidtransplantaties wordt er momenteel gebruik gemaakt van eigen niet-aangetaste huid (donorhuid). Bij de donorplekken kunnen complicaties ontstaan, zoals oedeemvorming. Door gebruik te maken van weefselregeneratie is er minder eigen donorhuid nodig. Dit voorkomt complicaties en extra littekens op de donorplekken. Daarnaast is huid verkregen via weefselregeneratie vermoedelijk van betere kwaliteit. Hierdoor kan het genezingsproces worden versneld en een betere littekenvorming ontstaan.

#### ***De ontwikkeling van effectieve preventie en behandeling van infecties bij brandwonden***

Bacteriële infecties vormen de belangrijkste doodsoorzaak bij brandwonden<sup>28</sup>. De infecties zijn vaak moeilijk te bestrijden, omdat de bacteriën vaak niet reageren op gangbare antibiotica. Daarnaast zorgen infecties voor een verergering van de littekenvorming. Er is behoefte aan effectieve preventie en behandeling van infecties bij brandwonden, zodat er minder mensen overlijden ten gevolge van brandwonden en de littekenvorming niet wordt verergert ten gevolge van een infectie.

### Overige relevante medische producten

Naast de beschreven prioriteiten zijn er ook andere onderzoeksbehoeften naar medische producten gesignaleerd. Deze zijn echter minder hoog geprioriteerd.

Als gevolg van de littekens ervaren veel mensen met brandwonden een beperkte bewegingsvrijheid door littekenweefsel. Bij littekens op plaatsen waar de huid moet bewegen, zoals rondom gewrichten, ontstaan vaak verklevingen. Als gevolg hiervan kunnen mensen met brandwonden bijvoorbeeld hun polsen en handen niet goed meer gebruiken of ontstaat scheefstand van de nek. Daarnaast genezen deze littekens niet goed, doordat

<sup>26</sup> Deze mensen krijgen vaak te maken met vergelijkbare problematiek ten aanzien van hun genezingsproces en (blijvende) huiddefecten, als mensen met brandwonden.

<sup>27</sup> De Nederlandse Brandwonden Stichting in 2006 in samenwerking met het Athena Instituut, VU Amsterdam een brede onderzoeksagenda opgesteld voor mensen met brandwonden, voornamelijk vanuit patiënten perspectief. De onderzoeksagenda is niet specifiek opgesteld voor medische producten.

<sup>28</sup> Veel voorkomende bacteriën bij brandwonden zijn de Streptococcus, Staphylococcus aureus en de Pseudomonas aeruginosa.



de wonden steeds opengaan. Mensen met brandwonden hebben behoefte aan verder onderzoek naar littekenverstevinging via bijvoorbeeld vulproducten. Littekenverstevinging maakt het litteken minder kwetsbaar en kan op die manier belastende operaties verminderen.

Een belangrijk knelpunt zijn de pijnlijke verbandwisselingen in het ziekenhuis. Om de pijn te verminderen krijgen mensen van tevoren pijnmedicatie. Daarnaast zijn de verbanden constant vochtig door oedeemvorming. Er is behoefte aan de ontwikkeling van een alternatieve manier van verbandwisselingen die minder pijnlijk zijn of de ontwikkeling van verbanden die beter absorberen.

De beperkte bewegingsvrijheid door littekenweefsel kan ook indirect vergroot worden door ergotherapeutische hulpmiddelen, zoals aangepast bestek. De ontwikkeling hiervan is gewenst. Met behulp van ergotherapeutische hulpmiddelen kan tevens de zelfstandigheid worden vergroot.

Littekenweefsel bevat geen pigment. Voor mensen met een getinte huid wordt dit als een groot knelpunt ervaren. Het littekenweefsel valt bij deze mensen meer op. Deze groep mensen hebben behoefte aan de ontwikkeling van een methode waarbij pigment in de pigmentloze huid kan worden aangebracht, anders dan via cosmetische tatoeages.

Een ander punt is de verbetering van drukpakken, drukmaskers en siliconenpleisters op het gebied van werking, gebruikersgemak en comfort.

### **Brede onderwerpen**

Naast behoeften aan de ontwikkeling van medische producten spelen andere onderwerpen, die niet direct gerelateerd zijn aan de ontwikkeling van medische producten, ook een belangrijke rol bij mensen met brandwonden.

Een erg belangrijk knelpunt bij mensen met brandwonden zijn de psychosociale problemen. Als gevolg van het verbrandingsongeval kunnen emotionele klachten zoals angst, depressie, schuldgevoel, boosheid en (rouw)verwerking ontstaan. Ook schaamte en een veranderd zelfbeeld ten opzichte van voor het verbrandingsongeval kunnen een grote rol spelen. Mensen met brandwonden ervaren vaak problemen rondom sociale contacten. Zij krijgen bijvoorbeeld vervelende reacties uit de omgeving of hebben moeite met intieme relaties.

Veel mensen met brandwonden hebben last van neuropsychologische klachten zoals concentratiestoornissen, vermoeidheid, slaapproblemen en geheugenstoornissen. Deze klachten hebben een grote invloed op de kwaliteit van leven. Ze geven problemen op verschillende gebieden, zoals het sociale leven, uitvoering van dagelijkse activiteiten en werk. Neuropsychologische klachten kunnen optreden als gevolg van het trauma door het ongeluk en/of de kunstmatige coma waarin mensen worden gehouden in de periode direct na het ongeluk. Door een kunstmatige coma kan de melatonine huishouding ernstig verstoord raken. Hierdoor kunnen slaapproblemen ontstaan, die mogelijk levenslang kunnen aanhouden. Mensen met brandwonden hebben behoeften onderzoek die de neuropsychologische klachten kunnen verminderen.

## Cardiovasculaire aandoeningen

### Ziektegebied

Voor het ziektegebied cardiovasculaire aandoeningen zijn de behoeften van mensen geraadpleegd met diversiteit in behandeling (katheterisatie, dotter-, bypass operatie), tijd (kort en lang geleden), leeftijd (variërend van 40 tot 75 jaar), geslacht en mate van aandoening (ernstige hartfalen, weinig klachten en meerdere recidieven).

### Methode

1. Focusgroep met mensen met cardiovasculaire aandoeningen.
2. Integratie van behoeften tot een top 3 met betrekking tot medische producten.

### Prioriteiten

#### ***De ontwikkeling van stamceltherapie ter versterking van de hartspier***

Mensen met een cardiovasculaire aandoening worden geconfronteerd met het feit dat de schade aan hun hart en bloedvaten blijvend is. De behandeling van een cardiovasculaire aandoening is gericht op symptoombestrijding. Veel mensen met een cardiovasculaire aandoening vestigen hun hoop op een toekomstige genezende behandeling. Mensen met cardiovasculaire aandoeningen vinden onderzoek naar stamceltherapie voor de versterking van de hartspier erg belangrijk. Zij hebben hoopgevende berichten hierover gehoord. Zij verwachten dat stamceltherapie tot minder zware ingrepen zal leiden en het hartprobleem zal oplossen.

#### ***De ontwikkeling van medicamenteuze behandeling op basis van individuele (ziekte) kenmerken***

Mensen met een cardiovasculaire aandoening gebruiken langdurig veel medicatie, die verschillende (persoonsgebonden) bijwerkingen tot gevolg hebben, zoals maagproblemen en jeuk. Vooral maagproblemen ervaren zij als erg vervelend. Daarnaast hebben zij het idee dat er door artsen niet wordt gekeken welke medicatie en in welke dosis het meest geschikt is voor hen. Mensen met een cardiovasculaire aandoening hebben de behoefte aan een betere afstemming van de medicamenteuze behandeling op basis van individuele kenmerken, zoals verwachte bijwerkingen, mate en progressie van de aandoening. Daarnaast zou het goed zijn als er van te voren kan worden voorspeld welke medicatie aanslaat op basis van bijvoorbeeld biomarkers. Hierdoor kunnen bijwerkingen worden verminderd (met name de maagproblemen), de effectiviteit worden vergroot en de hoeveelheid medicatie worden verminderd. Daarnaast geeft het mensen met een cardiovasculaire aandoening het idee meer controle op hun leven te hebben.

#### ***De verbetering van statines***

Statines worden door veel mensen met een cardiovasculaire aandoening gebruikt, omdat een verhoogd cholesterol een risicofactor voor de ontwikkeling van een cardiovasculaire aandoening is. Deze medicatie veroorzaakt verschillende bijwerkingen, zoals jeuk en maagproblemen. Daarnaast hebben mensen met een cardiovasculaire aandoening het idee dat statines aan 'iedereen' wordt voorgeschreven, hoewel het niet bij iedereen effect heeft. De ontwikkeling van vernieuwde cholesterolverlagende middelen of de verbetering van statines met minder bijwerkingen en grotere effectiviteit is wenselijk.

### Overige relevante medische producten

Naast de beschreven prioriteiten zijn er ook andere onderzoeksbehoeften naar medische producten gesignaleerd. Deze zijn echter minder hoog geprioriteerd.

Er is behoefte aan de verdere ontwikkeling van stents die medicatie afgeven, zodat zij minder medicatie oraal hoeven in te nemen.

Mensen met cardiovasculaire aandoeningen hebben de behoefte aan de implementatie van de cardiostick<sup>29</sup> in het gezondheidssysteem. Het toepassen van de cardiostick in ziekenhuizen geeft zicht op de gebruikte medicatie en de cardiovasculaire aandoeningen van de betreffende patiënt. De cardiostick geeft mensen met cardiovasculaire aandoeningen meer zekerheid dat zij goed behandeld worden en voorkomt fouten.

### **Medische producten die niet relevant worden gevonden**

In de focusgroep zijn enkele onderzoeksonderwerpen voorgelegd aan de deelnemers, die zijn genoemd door de hoogleraren, waarbij om een reactie is gevraagd. De deelnemers gaven bij enkele onderzoeksonderwerpen aan minder behoefte te hebben aan de ontwikkeling ervan. Zo worden de ontwikkeling van 3D imaging<sup>30</sup> en andere verbeteringen van diagnostiek als minder belangrijk ervaren door mensen met een cardiovasculaire aandoening. Het beter in staat zijn om de bloeddruk te verlagen is een belangrijk punt ter verbetering in de toekomst genoemd door de hoogleraren, maar dit wordt niet door mensen met cardiovasculaire aandoeningen benoemd. Dit geldt tevens voor de verdere ontwikkeling van preventiemiddelen.

### **Brede onderwerpen**

Naast behoeften aan de ontwikkeling van medische producten zijn er ook een aantal andere belangrijke knelpunten en behoeften gesignaleerd, die niet direct gerelateerd zijn aan de ontwikkeling van medische producten.

Mensen met cardiovasculaire aandoeningen geven aan dat zij moeten leren omgaan met hun nieuwe (beperkte) grenzen en de angst voor een recidief. Daarom vinden zij dat er meer aandacht moet komen voor *lifestyle training*, waaronder psychologische begeleiding na een hartinfarct en de betrokkenheid van het gezin in het proces. Zij geven daarnaast aan dat het voor mensen met een cardiovasculaire aandoening belangrijk is assertief en mondig te zijn ten opzichte van specialisten.

Een ander punt waar aandacht voor moet komen, is de vergoeding van medicatie. Ondanks dat cardiologen merkmedicatie voorschrijven, krijgen zij vaak generieke medicatie van de apotheek. Mensen met cardiovasculaire aandoeningen geven aan dat hierdoor problemen ontstaan bij de apotheek.

---

<sup>29</sup> Een creditcard met de functionaliteit van een USB-stick met daarop het cardiovasculair dossier van de patiënt in verschillende talen.

<sup>30</sup> Met 3D-imaging kunnen de vaten tot in detail weergegeven worden, statisch en bewegend.

## Cerebro Vasculair Accident

### Ziektegebied

Voor het ziektegebied Cerebro Vasculair Accident (CVA) zijn mensen geraadpleegd met diversiteit in leeftijd (variërend van 35 tot 75), geslacht, type aandoening (herseninfectie of hersenbloeding), mate van aandoening (lichte CVA met weinig beperkingen, matig tot ernstige CVA met veel beperkingen en meerdere recidieven), lichamelijk en mentale restverschijnselen en tijd (kort en langgeleden).

### Methode

1. Twee bijeenkomsten met mensen die een CVA hebben gehad en mantelzorgers.
2. Drie aanvullende interviews: een vertegenwoordiger van de CVA Vereniging Samen Sterk, twee ervaringsdeskundigen waarvan één ervaringsdeskundige kort geleden (1,5 jaar terug) een CVA heeft gehad en één ervaringsdeskundige die lang geleden (18 jaar geleden) een CVA heeft gehad.
3. Integratie van behoeften tot een top 3 met betrekking tot toekomstige medische producten.

### Prioriteiten

#### ***De ontwikkeling van een effectieve behandeling direct na een herseninfarct***

De behandeling bij een herseninfarct bestaat uit het systemisch toedienen van een thrombolyticum. Thrombolysie is alleen effectief wanneer het in de eerste 4,5 uur na een herseninfarct wordt toegediend en geeft niet bij iedereen resultaat. Naast thrombolysie is er geen behandeling voorhanden voor een herseninfarct. Mensen die een herseninfarct hebben gehad, hebben de behoefte aan de ontwikkeling van een betere (medicamenteuze) behandeling van een herseninfarct direct na het ontstaan, die effectiever is en de schade aan de hersenen zo veel mogelijk beperkt. Hierdoor ontstaat er minder cognitieve en fysieke uitval en wordt de kwaliteit van leven groter.

#### ***De ontwikkeling van een medisch product voor thuisrevalidatie***

Door een CVA ontstaan vaak beperkingen in cognitieve en/of fysieke functies. Hierdoor kunnen mensen minder goed deelnemen aan activiteiten in het dagelijkse leven minder goed uitvoeren. Dit heeft een groot negatief effect op de kwaliteit van leven. Mensen die een CVA hebben gehad denken dat de beperkingen verder kunnen worden verminderd, wanneer naast de revalidatie in het ziekenhuis meer mogelijkheden komen om de aangedane functies te trainen. Ze geven aan behoefte te hebben aan de ontwikkeling van een medisch product voor thuisrevalidatie, die bijdraagt aan zowel de verbetering van cognitieve als fysieke functies. Op deze manier kunnen ze ook naast de revalidatie in het ziekenhuis trainen. Hierdoor hebben mensen die een CVA hebben gehad het idee dat een grotere vooruitgang zal ontstaan in de verbetering van de cognitieve en fysieke functies. Dit zal leiden tot een grotere kwaliteit van leven.

#### ***De ontwikkeling van effectieve zenuwpijnbestrijding***

Ten gevolge van een CVA kan zenuwpijn ontstaan. Het aangedane hersenweefsel kan beschadiging in het zenuwweefsel tot gevolg hebben, waardoor er afwijkende geleiding van pijnprikkels kan ontstaan. Zenuwpijn wordt als zeer vervelend ervaren en heeft een direct negatief effect op de kwaliteit van leven. Zenuwpijn is moeilijk te bestrijden met reguliere medicatie. Er bestaan enkele methoden, die de zenuwpijn tijdelijk kunnen verminderen (zoals het TENS apparaat<sup>31</sup>). Deze methoden zijn echter tijdelijk en niet voor iedereen even effectief. Mensen die een CVA hebben gehad, hebben behoefte aan de ontwikkeling van effectieve zenuwpijnbestrijding. Wanneer zenuwpijn wordt verminderd, wordt de kwaliteit van leven vergroot.

---

<sup>31</sup> Transcutane Elektrische Neuro Stimulatie. Voor pijnbestrijding door middel van zenuwprikkeling met een elektrische stroom.

### **Overige relevante medische producten**

Naast de beschreven prioriteiten zijn er ook andere onderzoeksbehoeften naar medische producten gesignaleerd. Deze zijn echter minder hoog geprioriteerd.

Mensen die een CVA hebben gehad, gebruiken verschillende medicatie die bijwerkingen tot gevolg hebben, zoals maagklachten, misselijkheid en jeuk. Mensen ervaren de bijwerkingen als een groot probleem. Ze hebben het idee dat er niet (goed) wordt gekeken naar de individuele situatie. Mensen die een CVA hebben gehad, hebben de behoefte aan een betere afstemming van de medicamenteuze behandeling op individuele kenmerken, zoals leefstijl, geslacht, kans op bijwerkingen en mate van aandoening. Hierdoor kan vermoedelijk de effectiviteit van de medicatie worden vergroot, een lagere dosering worden voorgeschreven en de bijwerkingen worden verminderd.

Een deel van de mensen die een CVA hebben gehad, hebben behoefte aan de verbetering van orthopedische schoenen, zodat deze beter aansluiten op de voet. De ontwikkeling van een scanner, die de vorm van de voeten beter in kaart kan brengen, kan hierbij helpen. Goede orthopedische schoenen worden belangrijk gevonden, omdat het bijdraagt aan een vergroting van de mobiliteit.

Daarnaast geven mensen aan dat de ontwikkeling van thuismeetinstrumenten wenselijk is, zodat zij eenvoudig en zorgvuldig thuis bijvoorbeeld de bloeddruk en het cholesterol kunnen meten. Het zelf kunnen meten van de bloeddruk en het cholesterol draagt bij aan de geruststelling van mensen (dat de waarden niet te hoog zijn) en bij afwijkende waarden kan sneller actie worden ondernomen.

### **Brede onderwerpen**

Naast behoeften aan de ontwikkeling van medische producten zijn ook een aantal andere belangrijke knelpunten en behoeften gesignaleerd.

Een snelle diagnose en behandeling is cruciaal voor mensen met een CVA. Het is van belang dat mensen de symptomen zelf leren herkennen. Voorlichting is hierbij belangrijk. Daarnaast moeten ook artsen patiënten snel doorverwijzen naar het ziekenhuis.

Veel mensen die een CVA hebben gehad, ervaren onbegrip vanuit de omgeving. Vaak is het uiterlijk niet zichtbaar veranderd, maar zijn er wel onzichtbare gevolgen als een verminderd concentratievermogen en een verminderd korte termijn geheugen. Dit heeft tot gevolg dat de omgeving te hoge verwachtingen heeft van iemand die een CVA heeft gehad. Daarnaast is eigen acceptatie ook belangrijk. Ze moeten leren accepteren dat ze niet alles meer kunnen en beperkingen hebben.

Ook geven veel mensen die een CVA hebben gehad, aan dat zij graag een verbetering zien in de nazorg na de revalidatie. Na de revalidatiefase ontvangen mensen weinig steun meer vanuit de zorg en moeten zij zelf hun eigen weg zien te vinden. Hierdoor raken veel mensen overbelast.

## **Dementie**

### **Ziektegebied**

Voor het ziektegebied dementie zijn de behoeften van mensen met lichte tot matige dementie en van mantelzorgers van mensen met dementie (lichte tot ernstige dementie, verschillende type dementie) in kaart gebracht.

### **Methode**

1. Een focusgroep met mantelzorgers van mensen met dementie.
2. Een bijeenkomst met mensen met dementie.
3. Integratie van behoeften tot een top 3 met betrekking tot toekomstige medische producten.

### **Prioriteiten**

#### ***De ontwikkeling van een medicamenteuze behandeling voor de stabilisatie van dementie (dementieremmers)***

Zowel mantelzorgers als mensen met dementie hebben grote moeite met de gevolgen van dementie. Door de toenemende vergeetachtigheid worden mensen met dementie steeds afhankelijker van hun verzorgers. Hierdoor worden mensen met dementie minder zelfstandig. Ze vragen veel aandacht en moeten 24 uur per dag in de gaten worden gehouden. Dit vraagt veel energie en tijd van mantelzorgers. Door de dementie treedt er vaak een karakterverandering op, waardoor mensen met dementie onder andere agressiever worden. Daarnaast geven mantelzorgers aan dat zij een levenspartner en gesprekspartner kwijtraken. Er is behoefte aan de ontwikkeling van een medicamenteuze behandeling voor de stabilisatie van dementie (dementieremmers), zodat de gevolgen van dementie (karakterveranderingen en vergeetachtigheid) kunnen worden voorkomen. Dit draagt bij aan vergroting van de kwaliteit van leven voor zowel mantelzorgers als mensen met dementie.

#### ***Aangrijpingspunten in voeding, die invloed hebben op de aandoening***

Wetenschappelijke resultaten laten zien dat voeding invloed heeft op de ontwikkeling en progressie van dementie. Mantelzorgers van mensen met dementie geven aan behoefte te hebben aan aangrijpingspunten in voeding (zoals omega 3 en 6 vetzuren, vitamines en foliumzuur), die invloed hebben op dementie met als doel de progressie van dementie te vertragen of zelfs te voorkomen. Hierdoor kunnen misschien karakterveranderingen en de vergeetachtigheid verder worden tegen gegaan en de zelfstandigheid worden behouden.

#### ***De ontwikkeling van hulpmiddelen die de gevolgen van vergeetachtigheid verminderen***

Zowel mensen met dementie als mantelzorgers geven aan dat zij de toenemende vergeetachtigheid als een groot knelpunt ervaren. Hierdoor worden mensen met dementie afhankelijk van anderen, waar zij veel moeite mee hebben (zij zien het als bemoeienis). Daarnaast is dit erg belastend voor mantelzorgers, omdat zij mensen met dementie continu moeten ondersteunen. Er is behoefte aan de ontwikkeling van hulpmiddelen die de gevolgen van vergeetachtigheid verminderen (zodat mensen met dementie bijvoorbeeld kunnen worden herinnerd aan afspraken en medicatie inname). Hierdoor kunnen mensen met dementie leren omgaan met de gevolgen van dementie, ervaren ze minder bemoeienis van anderen en blijft de zelfstandigheid langer behouden.

### **Overige relevante medische producten**

Naast de beschreven prioriteiten zijn er ook andere onderzoeksbehoeften naar medische producten gesignaleerd.

Mensen met dementie geven aan dat zij eenzaamheid als een van de grootste knelpunten zien. Ten gevolge van de dementie raken mensen in een isolement, omdat door de vergeetachtigheid en het verminderde cognitieve

vermogen de sociale contacten verminderen. Er is behoefte aan de vermindering van eenzaamheid via onder andere de ontwikkeling van hulpmiddelen, zoals moderne vormen van telecommunicatie, licht en geluid en pratende knuffelkussens. Ook dagbesteding kan hierbij helpen.

Mantelzorgers van mensen met dementie geven aan dat de ontwikkeling van producten voor hulp of afstand (domotica) wenselijk is. Hierbij kan gedacht worden aan GPS technologie, zodat mensen met dementie snel gevonden kunnen worden als ze zijn weggelopen, en aan sensoren en monitorsystemen ten behoeve van de veiligheid van mensen met dementie (zodat het gas bijvoorbeeld niet wordt aangelaten). Hierdoor kan de bewegingsvrijheid van mantelzorgers worden vergroot en kunnen mensen met dementie langer thuis blijven wonen.

### **Brede onderwerpen**

Naast behoeften aan de ontwikkeling van medische producten zijn ook een aantal andere belangrijke knelpunten en behoeften gesignaleerd, die niet direct gerelateerd zijn aan de ontwikkeling van medische producten.

Mantelzorgers van mensen met dementie geven aan dat door de vergeetachtigheid en karakterveranderingen (met name de agressie) een gelijkwaardige partner is weggefallen. Ze geven aan hun levenspartner en gesprekspartner te missen. Door de vergeetachtigheid wordt de communicatie moeizamer. Mensen met dementie hebben moeite om te begrijpen wat wordt gezegd of vergeten het alweer snel. Mantelzorgers hebben het hier erg moeilijk mee.

Op het gebied van case management kunnen nog veel verbeteringen worden aangebracht. Mantelzorgers van mensen met dementie ervaren veel problemen met de organisatie van de zorg. Ze geven aan dat zij veel zelf moeten uitzoeken en regelen. Er zijn tegenwoordig veel verschillende instanties, waardoor mensen hun weg in het circuit niet goed kennen. Dit kost veel tijd en energie. Ondersteuning via een case manager die informatie, advies en (psychologische) begeleiding biedt, is voor mantelzorgers erg wenselijk.

Mantelzorgers geven aan dat het verloop van dementie voor iedereen anders is. De progressie verschilt van persoon tot persoon en de ene dag is de andere dag niet. Dementie is een grillige ziekte. Er zou meer moeten worden gekeken naar de persoonlijke situatie van mensen (passend bij de mate van aandoening en het individu) en de begeleiding en behandeling hierop aan te passen.

## Depressie

### Ziektegebied

Voor het ziektegebied depressie zijn de behoeften van mensen met een diversiteit in duur van aandoening (chronisch en niet-chronisch), leeftijd (variërend van 30 tot 60 jaar), geslacht en ziektebeeld (depressie en bi-polair) geïdentificeerd.

### Methode

1. Een focusgroep met mensen met een depressie.
2. Integratie van behoeften tot een top 3 met betrekking tot toekomstige medische producten.

### Prioriteiten

#### ***Het meten van biomarkers voor depressie in het bloed***

Mensen met een depressie geven aan dat zij behoefte hebben aan onderzoek naar biomarkers voor depressie in het bloed. Biomarkers kunnen bijdragen aan meer zekerheid bij het stellen van de diagnose en de ernst van een depressie. Door middel van biomarkers kan een depressie ook zichtbaar worden aangetoond. Dit geeft mensen met een depressie meer erkenning. Daarnaast biedt onderzoek naar biomarkers mogelijkheden voor persoonlijke farmacotherapie. Biomarkers kunnen worden gebruikt om medicatie aan te passen op het individu, zodat de werkzaamheid van medicatie kan worden vergroot.

#### ***De ontwikkeling van effectievere antidepressiva***

De effectiviteit van antidepressiva is niet optimaal. Vaak verstrijkt enige tijd voordat de antidepressiva optimaal werkzaam is, vanwege de gewenning en de opbouwperiode. Daarnaast ondervinden veel mensen bijwerkingen ten gevolge van de medicatie, zoals droge mond, trillen, gewichtstoename en een verminderde libido. Mensen met een depressie hebben behoefte aan de ontwikkeling van effectievere antidepressiva, die sneller en effectiever werkt en minder bijwerkingen geven.

#### ***De verdere ontwikkeling van neurobiologische technieken voor specifieke hersendelen***

Een deel van de mensen met een depressie leidt aan een chronische depressie. Bestaande behandelingen zijn niet toereikend en vaak zijn mensen levenslang afhankelijk van medicatie. Om die reden is de ontwikkeling van een effectieve genezende behandeling wenselijk. Deze groep mensen heeft behoefte aan de ontwikkeling van neurobiologische technieken, waarmee specifiek hersendelen in kaart kunnen worden gebracht die een rol spelen bij depressie en waar vervolgens specifiek op kan worden ingegrepen. Hierbij kan gedacht worden aan de verdere ontwikkeling van neuromodulatie technologieën<sup>32</sup>. Hierbij vinden mensen met een depressie het van belang dat de ontwikkeling zich vooral moet richten op vermindering van de complicaties van de techniek en vergroting van de effectiviteit. Daarnaast geven ze een voorkeur aan non-invasieve technieken.

### Overige relevante medische producten

Naast de beschreven prioriteiten zijn er ook andere onderzoeksbehoeften naar medische producten gesignaleerd.

Mensen met een depressie hebben behoefte aan de ontwikkeling van een genetische test. Met behulp van een genetische test kan worden aangetoond of iemand aanleg heeft om een depressie te ontwikkelen en hoe groot het risico hierop is. Daarnaast kan een genetische test ondersteuning bieden bij de diagnose en classificatie van een depressie. Ook kan een genetische test bijdragen aan de erkenning van depressie. Wanneer een genetische aanleg is aangetoond, kunnen vroegtijdig passende maatregelen worden genomen, zoals

---

<sup>32</sup> Met behulp van neuromodulatie worden neurofysiologische signalen geïnitieerd of beïnvloed om op die manier functie en werking van het zenuwstelsel te veranderen en therapeutische effecten te bereiken. Voorbeelden van neuromodulatie zijn: Transcraniële Magnetische Straling (TMS), Nervus Vages Stimulatie (NVS) en Deep Brain Stimulation (DBS).



aanpassingen in levensstijl of het preventief voorschrijven van medicatie, om een depressie te voorkomen. Een genetische test kan ook een rol spelen bij de overweging van een zwangerschap (het risico in kaart brengen dat kinderen een depressie kunnen ontwikkelen).

### **Medische producten die niet relevant worden gevonden**

In de focusgroep zijn enkele onderzoeksonderwerpen aan de deelnemers voorgelegd, die zijn genoemd door de hoogleraren maar niet door de deelnemers, en is om een reactie hierop gevraagd.

De deelnemers hebben aangegeven dat zij minder behoefte hebben aan de ontwikkeling van e-mental health via zelfhulpprogramma's voor het internet, ter ondersteuning van de therapie. Voor mensen met een depressie is de drempel hoog om thuis achter de computer te gaan zitten; ze kunnen zich daartoe niet aanzetten. Mensen met een depressie denken dat e-mental health wel uitkomst kan bieden bij een beginnende of milde depressie bij jongeren.

### **Brede onderwerpen**

Naast behoeften aan de ontwikkeling van medische producten zijn ook een aantal andere belangrijke knelpunten en behoeften gesignaleerd, die niet direct gerelateerd zijn aan de ontwikkeling van medische producten.

Veel mensen met een depressie geven aan dat zij onzeker en angstig zijn voor de toekomst. Ze zijn bang voor een terugval en dat de klachten chronisch worden. Hierbij hoort het besef dat velen levenslang afhankelijk zijn van medicatie. Het gevecht tegen de depressie is constant en wordt als erg vermoeiend ervaren.

Mensen met een depressie geven aan dat deze aandoening een van de ergste dingen is die een mens kan meemaken; een depressie omvat het hele leven. Door de depressie, maar ook ten gevolge van de medicatie, ervaren veel mensen met een depressie een verminderde levenslust. Ze geven aan dat ze minder externe prikkels ontvangen. Het gevoel is meer afgevlakt. Daarnaast ondervinden mensen met een depressie meer angst en onzekerheid in het dagelijkse leven. Ze durven minder te ondernemen.

Mensen met een depressie vinden het moeilijk om hun aandoening bespreekbaar te maken in de directe omgeving en op het werk. Een deel van de mensen met een depressie ervaart dat alle uitlatingen in het licht van de depressie worden gezet, terwijl dit niet altijd het geval is. Mensen geven aan dat zij hierdoor erg voorzichtig worden met wat ze wel en niet zeggen. Een ander deel geeft aan dat een depressie nog vaak een taboe is, en als een zwakte wordt gezien. Dit ondervinden vooral mensen in een prestatiegericht beroep. Zij overwegen of ze wel of niet de depressie kenbaar maken. Daarnaast geven mensen met een depressie aan dat zij ten gevolge van de depressie onzeker zijn bij het uitvoeren van werkzaamheden.

Door de depressie is een regelmatig leven en veel rust noodzakelijk voor veel mensen. Mensen met een depressie geven aan dat ze minder energie hebben dan voor de depressie en dat ze sneller vermoeid zijn. Dit vormt een belemmering voor verschillende gebieden, zoals werk en het sociale leven.

## Diabetes

### Ziektegebied

Voor het ziektegebied diabetes zijn de behoeften van mensen met type 1 en type 2 diabetes in kaart gebracht.

### Methode

1. Bestaande onderzoeksagenda<sup>33</sup> geanalyseerd op onderzoeksonderwerpen met betrekking tot medische producten.
2. Aanvullend interview met twee vertegenwoordigers van de Diabetes Vereniging Nederland.
3. Integratie van behoeften tot een top 3 met betrekking tot toekomstige medische producten.

### Prioriteiten

#### ***Het herstellen van de opname van insuline door het lichaam (type 2 diabetes)***

Voor type 2 diabetes is vooralsnog geen genezing voorhanden. De behandeling is gericht op symptoombestrijding. Mensen met type 2 diabetes vinden genezing van hun diabetes erg belangrijk. Het herstellen van de insuline opname door het lichaam kan bijdragen van de genezing van type 2 diabetes.

#### ***Het combineren van pomp en meter voor de regulatie van de bloedglucose***

Veel mensen met diabetes hebben moeite met het instellen van de bloedglucose. Door de actieve insuline afgifte beter te laten aansluiten op de bloedwaarden kan een betere regulatie van de bloedglucose worden bereikt. Dit kan worden gerealiseerd door een insuline pomp en een meter die de bloedglucose continu meet te combineren. Op langere termijn kan dit leiden tot een vermindering van complicaties en daardoor vergroting van de kwaliteit van leven. Voorbeelden van dergelijke methoden zijn de kunstmatige pancreas en de implanteerbare pompen. Beide methoden combineren insulinepomp en meter. Deze methoden werken echter niet optimaal en moeten verder worden ontwikkeld<sup>34</sup>.

#### ***Het meten van biomarkers voor de herkenning van complicaties***

Veel mensen met diabetes krijgen op de lange termijn last van complicaties, zoals hartproblemen, retinopathie<sup>35</sup>, nefropathie<sup>36</sup>, microvasculaire problemen (zoals diabetische voet) en neuropathieën<sup>37</sup>. Complicaties zijn een groot probleem bij mensen met diabetes en hebben een direct negatief gevolg op de kwaliteit van leven. Daarnaast zijn mensen met diabetes bang voor het ontwikkelen van complicaties. Om die reden hebben mensen met diabetes behoefte aan het vroegtijdig/voortijdig herkennen van complicaties, via het meten van biomarkers. Hoe eerder complicaties worden herkend, des te eerder kan worden begonnen met een behandeling. Het herkennen van complicaties draagt ook bij aan de vermindering van de angst voor het ontwikkelen van complicaties.

---

<sup>33</sup> Het Diabetes Fonds heeft in 2006 in samenwerking met het Athena Instituut, VU Amsterdam een brede onderzoeksagenda opgesteld voor diabetes. Onderdeel daarvan was een agenda exclusief vanuit het perspectief van patienten. De onderzoeksagenda is niet specifiek opgesteld voor medische producten.

<sup>34</sup> Bijv: Pomp en meter spelen niet op elkaar in. Bij een veranderende bloedglucose wordt niet automatisch de hoeveelheid insuline aangepast. Daarnaast zijn huidige pomp en meters niet implanteerbaar. Het continu bijdragen van een kastje en de toediening via een naald worden vaak als vervelend ervaren.

<sup>35</sup> Aantasting van de haarvaatjes van het netvlies ten gevolge van diabetes met slechtziendheid of blindheid tot gevolg.

<sup>36</sup> Lekkage van eiwitten in de urine door aantasting van de microvaatjes (filtereenheden) in de nier ten gevolge van diabetes met nierfalen tot gevolg.

<sup>37</sup> Stoornis in de functie van het zenuwstelsel ten gevolge van instabiele of te hoge bloedglucose. Neuropathie kan zich uiten in onder andere tintelingen, chronische pijn, branderig gevoel of krachtsverlies.

### **Overige relevante medische producten**

Naast de beschreven prioriteiten zijn er ook andere onderzoeksbehoeften naar medische producten gesignaleerd.

Voor type 1 diabetes is evenals voor type 2 diabetes geen genezende behandeling voorhanden. Mensen met type 1 diabetes hebben behoefte aan herstel van de insuline productie via transplantatie van de eilandjes van Langerhans.

Door een falende insuline productie kan de bloedglucose dusdanig dalen, dat een hypoglycemia (hypo) kan optreden. Hypo's hebben direct een fysieke reactie (zoals trillen en bewustzijnsverlies) tot gevolg, maar kunnen ook cognitieve problemen geven (zoals geheugenproblemen). Mensen met diabetes (voornamelijk type 1 diabetes) geven aan dat ze hypo's steeds slechter voelen aankomen. Hierdoor ontstaat er bij veel mensen angst voor het ontstaan van een hypo. Om een hypo te voorkomen hebben mensen met diabetes behoefte aan een apparaat die tijdig waarschuwt wanneer de bloedglucose daalt. Hierdoor kunnen ze sneller ingrijpen. Er zijn wel al meetapparaten beschikbaar. Deze lopen echter vaak achter in de registratie van de bloedglucose, waardoor een hypo toch nog onverwachts kan ontstaan.

Mensen met diabetes geven aan het prikken en het spuiten als vervelend te ervaren. Door het prikken en het spuiten kunnen irritaties van de huid ontstaan. Daarnaast kan het pijnlijk zijn. Mensen met diabetes geven aan behoefte te hebben aan non-invasieve insuline toediening.

Als gevolg van diabetes kan op de lange termijn verschillende complicaties ontstaan, waaronder neuropathie. Neuropathieën worden als erg vervelend ervaren en zijn moeilijk te behandelen. Om die reden hebben mensen met diabetes behoefte aan de ontwikkeling van specifieke medicatie voor aan diabetes gerelateerde neuropathie.

### **Brede onderwerpen**

Naast behoeften aan de ontwikkeling van medische producten zijn ook een aantal andere belangrijke knelpunten en behoeften gesignaleerd, die niet direct gerelateerd zijn aan de ontwikkeling van medische producten.

Er zijn verschillen in knelpunten en behoeften bij mensen met type 1 en type 2 diabetes gesignaleerd<sup>38</sup>. Mensen met type 1 diabetes vinden het voorkomen en het behandelen van complicaties erg belangrijk. Ook geven mensen met type 1 diabetes aan meer problemen te ervaren rondom een suboptimale instelling van de bloedglucose. Mensen met type 2 diabetes hebben vooral problemen met een vroegtijdige diagnosestelling en het volgen van een gedisciplineerde levensstijl.

Mensen met type 2 diabetes geven aan veel problemen te ervaren rondom de diagnosestelling. De huidige diagnostische methoden zijn toereikend, maar de symptomen worden vaak pas laat herkend door de huisarts. Hierdoor hebben mensen met type 2 diabetes meestal al een tijd diabetes zonder dat ze dit weten. Mensen met type 2 diabetes hebben behoefte aan de vroegtijdige opsporing van diabetes (bijvoorbeeld via jaarlijkse check-up bij de huisarts).

In de Nederlandse wet- en regelgeving is vastgelegd dat generieke medicatie in eerste instantie wordt vergoed voor mensen met diabetes. Generieke medicatie geeft echter meer bijwerkingen, zoals maag- en darmklachten. Mensen met diabetes hebben dan ook de behoefte dat ook de merkmedicatie wordt vergoed.

---

<sup>38</sup> Afhankelijk van de behandeling.

Bij diabetes speelt co-morbiditeit een grote rol. Veel mensen met diabetes hebben vaak, naast diabetes, ook last van andere aandoeningen en klachten zoals ADL-beperkingen<sup>39</sup>, hartfalen, nierfalen of een hoge bloeddruk. Mensen met diabetes kunnen deze klachten ontwikkelen als gevolg van hun diabetes (bijvoorbeeld nierfalen en hartfalen), maar ze kunnen ook los van elkaar ontstaan. Door co-morbiditeit zijn de klachten minder goed te behandelen door bijvoorbeeld wisselwerkingen tussen medicatie en kan zodoende de kwaliteit van leven minder worden. Daarnaast is de zorg minder optimaal als mensen te maken hebben met co-morbiditeit. De verschillende disciplines zijn vaak niet op elkaar afgestemd.

---

<sup>39</sup> Beperkingen in de Activiteiten van het Dagelijkse leven.

## Maag- darm- en leveraandoeningen

### Ziektegebied

Voor het ziektegebied maag- darm- leveraandoeningen zijn de behoeften van mensen met een stoma, mensen met een prikkelbaar darm syndroom (PDS), mensen met Crohn en/of colitis ulcerosa en mensen met leveraandoeningen in kaart gebracht.

### Methode

1. Vier interviews met: vertegenwoordiger en tevens ervaringsdeskundige van de Prikkelbare Darm Syndroom Belangenvereniging en de Crohn en Colitis Ulcerosa Vereniging Nederland, een vertegenwoordiger van de Nederlandse Stomavereniging en een vertegenwoordiger van de Nederlandse Leverpatiënten Vereniging (NLV).
2. Focusgroep met mensen met leveraandoeningen.
3. Reflectiebijeenkomst met de vertegenwoordiger en tevens ervaringsdeskundige van de Prikkelbare Darm Syndroom Belangenvereniging en de Crohn en Colitis Ulcerosa Vereniging Nederland, een vertegenwoordiger van de Nederlandse Stomavereniging en een vertegenwoordiger van de NLV.
4. Integratie van behoeften tot een top 4 met betrekking tot toekomstige medische producten.

### Prioriteiten

#### ***Werkzame stoffen in voeding die invloed hebben op de aandoening en op de medicatie***

Mensen met maag- darm-, en leveraandoeningen ervaren dat voeding invloed heeft op hun klachten. Vette voeding kan pijnklachten veroorzaken en een koolhydatendieet of probiotica kunnen bij de ziekte van Crohn en colitis ulcerosa tot vermindering van klachten leiden. Werkzame stoffen in voeding die van invloed zijn op de aandoening, of op medicatie die gebruikt wordt voor maag- darm- en leveraandoeningen kan bijdragen aan voedingsadviezen of de ontwikkeling van voedings supplementen. Door het toepassen van voedingsadviezen of het gebruik van supplementen voor maag- darm- of leveraandoeningen zullen (pijn)klachten afnemen. Dit heeft een toename van de kwaliteit van leven tot gevolg.

#### ***De ontwikkeling van een minder belastende diagnostische methode ter vervanging van endoscopie***

Het uitvoeren van een endoscopie is erg belastend en pijnlijk voor mensen met maag- darm- en leveraandoeningen. Zij hebben behoefte aan de ontwikkeling van minder invasieve methoden met een vergrootte validiteit ten opzichte van de huidige methoden. Mensen met maag- darm- en leveraandoeningen staan negatief tegenover videocapsules. Met videocapsules kunnen geen biopsies genomen worden (in tegenstelling tot een scopie), er kunnen delen van de darm worden gemist bij het maken van de opname doordat niet in alle richtingen opnamen worden gemaakt en het aantal opnamen per seconde is beperkt. Ook staan zij negatief tegenover de verdere ontwikkeling van de endoscopie. Mensen met maag- darm- en leveraandoeningen geven de voorkeur aan de ontwikkeling van methoden die meer gericht zijn op het identificeren van ontstekingswaarden in de ontlasting en in het bloed of ademhalingsstesten. Minder belastende instrumenten of methoden leiden tot patiëntvriendelijkere diagnostiek.

#### ***De ontwikkeling van biomarkers ter verbetering van de medicamenteuze behandeling***

Mensen met maag- darm- en leveraandoeningen gebruiken veel medicatie. De grote hoeveelheden medicatie die ingenomen moeten worden, de bijwerkingen en de matige effectiviteit van de medicatie hebben een directe negatieve invloed op de kwaliteit van leven. Biomarkers biedt mogelijkheden voor persoonlijke farmacotherapie. Biomarkers kunnen gebruikt worden om reacties, bijwerkingen en hoeveelheden van medicatie aan te passen op het individu met als doel de werkzaamheid van medicatie te vergroten voor mensen met maag, darm en leveraandoeningen.

### **Overige relevante medische producten**

Naast de beschreven prioriteiten zijn er ook andere onderzoeksbehoeften naar medische producten gesignaleerd. Deze zijn echter minder hoog geprioriteerd.

Mensen met maag- darm- en leveraandoeningen ervaren dat hormonen invloed hebben op hun maag- darm- en leveraandoening. Zo lijken verschillende typen progesteron en oestrogeen van invloed te hebben op PDS. Stress lijkt tot meer klachten te leiden bij de ziekte van Crohn en colitis ulcerosa. Mensen met maag- darm- en leveraandoeningen hebben behoefte aan inzicht in de invloed van hormonen op hun aandoening. Op deze manier vervolgens een medicamenteuze behandeling worden ontwikkeld of op worden aangepast.

Mensen met de ziekte van Crohn en colitis ulcerosa hebben behoefte aan een verbeterde toedieningsvorm van medicatie. Dit betreft kleinere hoeveelheden medicatie en minder grote tabletten, alternatieven voor klysma's, sondevoeding en alternatieve toedieningsvormen voor biologicals. Verbeterde toedieningsvormen van medicatie zullen minder belastend zijn voor mensen met de ziekte van Crohn en colitis ulcerosa.

Er is behoefte aan het thuis kunnen bepalen van ontstekingswaarden in bloed en ontlasting bij mensen met de ziekte van Crohn en colitis ulcerosa. Hierdoor kan het verloop van de ziekte beter in kaart worden gebracht. Verslechtering kan bijvoorbeeld sneller worden opgemerkt, waardoor eerder medicamenteuze actie ondernomen kan worden. Tevens kan hierdoor een chirurgische ingreep hopelijk worden voorkomen.

Mensen met PDS hebben regelmatig pijnklachten in hun maag en darmen, maar er is tot op heden geen effectieve pijnmedicatie beschikbaar voor mensen met PDS. Er is behoefte aan de ontwikkeling van specifieke pijnmedicatie voor mensen met PDS. Vanwege obstipatie problemen gebruikt een deel van de mensen met PDS laxeermiddelen. Deze laxeermiddelen geven bijwerkingen als gasvorming en pijnklachten. Mensen met PDS hebben behoefte aan laxantia die minder bijwerkingen geven.

Mensen met een stoma hebben kans op interne en externe complicaties. Een interne complicatie die stomadragers regelmatig ervaren is een parastomale hernia (uitstulping). Veelvoorkomende externe complicaties zijn huidproblemen. Complicaties hebben een directe invloed op de kwaliteit van een stoma en daarmee ook op de kwaliteit van leven. De kans op een complicatie hangt samen met de materialen die worden gebruikt en de techniek die wordt gebruikt bij de aanleg van een stoma. Wetenschappelijke onderbouwing van oorzaken van complicaties en de ontwikkeling van betere of alternatieve producten is gewenst. Daarnaast is er behoefte aan de ontwikkeling van stomamateriaal voor kinderen. Kinderen met een stoma zijn een kleine doelgroep, daarom is dit commercieel niet interessant en is er zodoende minder aandacht voor de ontwikkeling van stomamateriaal voor kinderen. De ontwikkelingen lopen achter en stomamateriaal voor kinderen kan worden verbeterd.

Vermoeidheid is een groot probleem voor mensen met leveraandoeningen. Deze vermoeidheid ontstaat door de verminderde leverfunctie. Onderzoek naar een aangrijpingspunt voor vermoeidheid is een behoefte van mensen met leveraandoeningen om zo vermoeidheid te verminderen in de toekomst. Dit leidt tot een verbeterde kwaliteit van leven.

### **Brede onderwerpen**

Naast behoeften aan de ontwikkeling van medische producten zijn ook een aantal andere belangrijke knelpunten en behoeften gesignaleerd, die niet direct opgelost kunnen worden door innovatieve medische producten.

Er speelt een stuk schaamte bij mensen met maag- darm- en leveraandoeningen, doordat het een ziekte betreft aan het maag-darmkanaal. Veel mensen hebben daardoor moeite om over hun aandoening te spreken met anderen. Doordat maag- darm- en leveraandoeningen (in de meeste gevallen) niet zichtbaar is, leidt dit soms ook tot onbegrip vanuit de omgeving.

Voor mensen met maag- darm- en leveraandoeningen is het belangrijk om een regelmatig en rustig leven te leiden. Ten gevolg van de aandoening zijn veel mensen vermoeid. Daarom is het belangrijk voor hen om hun energie te doseren. Zij moeten goed leren omgaan met hun grenzen, en hierbij kan psychologische begeleiding zinvol zijn.

Mensen met leveraandoeningen ervaren problemen bij de diagnose en een goede behandeling van hun aandoening. Zij hebben behoefte aan specifieke kenniscentra en meer multidisciplinaire samenwerking tussen artsen. Ook mensen met de ziekte van Crohn en colitis ulcerosa geven aan dat er meer maag- darm- en leverspecialisten moeten komen die kennis over de ziekte van crohn en colitis ulcerosa hebben.

## Nierziekten

### Ziektegebied

Voor het ziektegebied nierziekten zijn de behoeften van mensen met een erfelijke of zeldzame nierziekte in kaart gebracht evenals van mensen die op latere leeftijd nierfalen kregen.

### Methode

1. Bestaande onderzoeksagenda<sup>40</sup> geanalyseerd op onderzoeksonderwerpen met betrekking tot medische producten.
2. Drie aanvullende interviews met: vertegenwoordiger van de Nederlandse Vereniging voor Nierpatiënten (NVN), een onderzoeker die betrokken was bij het opstellen van de onderzoeksagenda en een ervaringsdeskundige die tevens betrokken was bij de onderzoeksagenda.
3. Integratie van behoeften tot een top 3 met betrekking tot toekomstige medische producten.

### Prioriteiten

#### ***De ontwikkeling van de implanteerbare biologische kunstnier***

Mensen met een nierziekte vinden de dialyse fase en de fase na de transplantatie erg zwaar. Dialyse geeft verschillende complicaties en beperkingen. Bij een getransplanteerde nier bestaat de kans op afstoting en hiervoor slikken mensen anti-afstotingsmedicatie met ernstige bijwerkingen. Mensen met een nierziekte hebben de behoefte aan de ontwikkeling van een implanteerbare biologische kunstnier<sup>41</sup>. Een kunstnier ondersteunt de nierfunctie continu en kan de dialysefase of een transplantatie uitstellen of zelfs voorkomen. Aangezien mensen met een nierziekte op deze manier minder afhankelijk worden van dialyse zullen zij hierdoor minder beperkingen ervaren (zoals vochtbeperking, tijdsbelasting, dialysekateter en vermoeidheid), waardoor de zelfstandigheid en energie toeneemt. Daarnaast zijn mensen minder afhankelijk van medicatie en ervaren ze hierdoor minder bijwerkingen. Dit draagt bij aan de verbetering van de kwaliteit van leven.

#### ***De ontwikkeling van dialysevormen met minder complicaties en beperkingen***

Veel mensen met een nierziekte zijn afhankelijk van dialyse (buikvliesspoeling<sup>42</sup> of hemodialyse<sup>43</sup>). Dialyse is noodzakelijk voor mensen met een nierziekte om in leven te blijven, maar geeft verschillende complicaties en beperkingen. Bij hemodialyse verslechteren de bloedvaten door de hoge druk die op de bloedvaten staat. Daarnaast kunnen er complicaties optreden met de shunt (in het geval van hemodialyse) en hebben mensen last van een dialysekateter. Bij buikvliesspoelingen is er het steeds terugkerende ontstekingsgevaar van het buikvlies, kunnen er problemen ontstaan met de katheter en door veelvuldige spoelingen kan slijtage van het buikvlies ontstaan waardoor mensen moeten overstappen op hemodialyse. Bij beide dialysevormen ervaren mensen naast de mogelijke complicaties een verminderde zelfstandigheid<sup>44</sup> en vermoeidheid. Daarnaast zijn de vochtbeperking en het dieet als gevolg van de dialyse een groot knelpunt voor mensen met een nierziekte. Mensen met een nierziekte hebben behoefte aan de ontwikkeling van dialysevormen die minder complicaties en beperkingen geven.

---

<sup>40</sup> De onderzoeksagenda is opgesteld in opdracht van de Nier Stichting Nederland en de NVN in 2007 en is uitgevoerd door de Universiteit Maastricht. Het doel van de agenda was het opstellen van sociaal- maatschappelijke onderzoeksthema's vanuit het perspectief van nierpatiënten.

<sup>41</sup> Met een biologische kunstnier worden gezonde niercellen ingezet om opgehoopte schadelijke afvalstoffen ten gevolge van een nieraandoening effectief uit het bloed te verwijderen.

<sup>42</sup> Dialysevorm waarbij patiënten meerdere malen per dag thuis worden behandeld. Het bloed wordt door middel van het eigen buikvlies gezuiverd van vocht en afvalstoffen.

<sup>43</sup> Dialysevorm waarbij patiënten 2 tot 3 keer per week 3-5 uur in het ziekenhuis worden behandeld. Het bloed wordt door middel van een machine gezuiverd van vocht en afvalstoffen.

<sup>44</sup> Bij buikvliesspoelingen wordt vaak een grotere zelfstandigheid ervaren, omdat buikvliesspoelingen thuis kunnen worden uitgevoerd. Voor hemodialyse moet men naar het ziekenhuis.



### ***De vermindering van bijwerkingen van anti-afstotingsmedicatie<sup>45</sup>***

Mensen met een getransplanteerde nier zijn levenslang afhankelijk van anti-afstotingsmedicatie. Deze medicatie geven ernstige bijwerkingen, zoals botontkalking, geheugenproblemen en een vergrootte kans op huidkanker. Deze bijwerkingen hebben een groot negatief effect op de kwaliteit van leven. De ontwikkeling van verbeterde of andere anti-afstotingsmedicatie, die minder bijwerkingen geven en effectiever zijn, is wenselijk. Op deze manier wordt de kans op afstoting van de getransplanteerde nier kleiner en neemt de kwaliteit van leven toe van mensen met een nierziekte.

### **Overige relevante medische producten**

Naast de beschreven prioriteiten zijn er ook andere onderzoeksbehoeften naar medische producten gesignaleerd. Deze zijn echter minder hoog geprioriteerd.

Mensen met een nierziekte geven aan dat zij behoefte hebben aan meetinstrumenten waarmee zij thuis hun bloedwaarden met betrekking tot de nierfunctie kunnen bepalen. Hierdoor kunnen veranderingen in bloedwaarden sneller worden gesignaleerd en bijvoorbeeld medicatie en dieet worden aangepast. Op deze manier kan de predialyse fase worden verlengd, waardoor er pas later hoeft te worden gestart met dialyseren en mensen langer hun zelfstandigheid kunnen behouden.

Naast anti-afstotingsmedicatie gebruiken mensen met nierziekten, bijvoorbeeld tijdens de dialyse periode, ook andere (zware) medicatie. Deze medicatie geven vervelende bijwerkingen, zoals gewichtstoename, haargroei, huidproblemen en staar. Mensen met een nierziekte hebben behoefte aan vermindering van bijwerkingen van medicatie voor nierziekten in het algemeen. Minder bijwerkingen zal bijdragen aan een verbeterde kwaliteit van leven.

Een kleine groep mensen heeft een nierziekte ten gevolge van een zeldzame of erfelijke nierziekten. Voor deze groep mensen is een verbetering van vroegdiagnostiek belangrijk. De aandoening wordt nu vaak niet of in een laat stadium herkend. De ontwikkeling van betere diagnostische instrumenten is wenselijk. Hierdoor kan in een vroeger stadium een behandeling worden gestart en de nierfunctie langer worden behouden.

Een andere behoefte is een mobieler en compacter dialyseapparaat. Dialyse apparatuur is groot en moeilijk te verplaatsen. Daarnaast zijn er grote hoeveelheden spoelvloeistoffen nodig. Dit leidt ertoe dat mensen met een nierziekte, die thuis dialyseren (buikspoelingen en/of hemodialyse), aan huis gebonden zijn. Het belemmert de mensen in hun sociale contacten en in werken. Met compactere dialyse apparatuur en verminderde hoeveelheid spoelvloeistof kunnen mensen met een nierziekte ook buitenshuis dialyseren. Op deze manier kunnen zij een grotere bijdrage leveren aan de maatschappij via werk en kunnen zij beter sociale contacten opbouwen en onderhouden.

### **Brede onderwerpen**

Naast behoeften aan de ontwikkeling van medische producten zijn ook een aantal andere belangrijke knelpunten en behoeften gesignaleerd, die niet direct opgelost kunnen worden door medische producten.

Nieren hebben een grote overcapaciteit. Wanneer de nierfunctie rond de 15-20 procent is, komen mensen in de pre-dialyse fase. Vaak wordt een verminderde nierfunctie pas in deze fase herkend. De hulpmiddelen die worden gebruikt voor het stellen van de diagnose zijn toereikend. Een regelmatige screening van de nierfunctie (voornamelijk bij ouderen) zou kunnen bijdragen aan het eerder herkennen van verminderde nierfunctie.

---

<sup>45</sup> Deze behoefte geldt tevens voor mensen met een getransplanteerde lever of long.

In de dialyse fase moeten mensen met een nierziekte zich houden aan een strikt dieet en vochtinname. De vochtbeperking (soms is de toegestane hoeveelheid vocht maar een halve liter per dag) wordt door mensen met een nierziekte erg zwaar gevonden. De medicatie moet vaak zonder vocht worden ingenomen, maar ook in sociale situaties wordt een vochtbeperking vervelend gevonden. Daarnaast hebben mensen met een nierziekte moeite om zich aan het dieet te houden. Dit wordt nog eens verergerd als mensen naast een nierziekte ook diabetes hebben. De gecombineerde dieetvoorschriften zorgen voor een drastische aanpassen van het voedingspatroon.

Mensen met een nierziekte hebben behoefte aan een betere voorlichting over de verschillende behandelmogelijkheden met betrekking tot dialysevormen en de mogelijkheden voor verlenging van de pre-dialyse fase. Veel mensen geven aan dat zij onvoldoende op de hoogte zijn gesteld van alle mogelijkheden en hierdoor geen gewogen keuze hebben kunnen maken.

## **Spierziekten**

### **Ziektegebied**

Voor dit ziektegebied zijn spierziekten geselecteerd waar nog geen geneeskundige behandeling voorhanden is en die niet het gevolg zijn van een andere aandoening. Bij de selectie is gelet op diversiteit met betrekking tot de mate van progressiviteit, erfelijkheid, type symptomen of aard van de spierziekte, debuutleeftijd en zeldzaamheid. Op basis van deze criteria zijn de volgende spierziekten geselecteerd: Amyotrofische Laterale Sclerose (ALS), Duchenne spierdystrofie, Hereditaire Motorische en Sensorische Neuropathie (HMSN), Myotone Dystrofie (MD), Postpolio Syndroom (PPS) en Spinale Musculaire Atrofie (SMA).

### **Methode**

1. Bestaande onderzoeksagenda<sup>46</sup> geanalyseerd op onderzoeksonderwerpen met betrekking tot medische producten.
2. Twee aanvullende interviews met: vertegenwoordigers van de Vereniging Spierziekten Nederland (VSN) en met een onderzoeker die betrokken was bij het opstellen van de onderzoeksagenda.
3. Integratie van behoeften tot een top 3 met betrekking tot toekomstige medische producten.

### **Prioriteiten**

#### ***De ontwikkeling van effectieve pijnbestrijding***

Veel mensen met spierziekten ervaren verschillende pijnklachten, bijvoorbeeld spierpijn, pijn door spiertrillingen, pijn als gevolg van darmproblemen of pijn door vergroeiingen of stijfheid van gewrichten. Pijn heeft een direct negatief effect op de kwaliteit van leven. Veel pijnstillers hebben een spierverslappende werking en zijn daardoor niet geschikt voor mensen met een spierziekte. Er is daarom behoefte aan de ontwikkeling van effectieve pijnbestrijding, via bijvoorbeeld effectievere pijnmedicatie, medische instrumenten of een betere ergonomie van hulpmiddelen. Een vermindering van pijn zal bijdragen aan een vergroting van de kwaliteit van leven.

#### ***De ontwikkeling van Brain Computer Interfaces***

Vermindering van de mobiliteit heeft directe consequenties op allerlei gebieden, zoals sociale contacten, vervoer, werk en vrije tijdsbesteding. De ontwikkeling van innovatieve hulpmiddelen draagt bij aan vergroting van de zelfstandigheid en mobiliteit. Mensen met spierziekten geven aan behoefte te hebben aan de verdere ontwikkeling van Brain Computer Interfaces<sup>47</sup> (BCI) met daaraan gekoppeld een specifiek hulpmiddel. Door BCI met daaraan gekoppeld bijvoorbeeld een exoskelet kunnen mensen met een spierziekte weer zelf hun spieren gaan gebruiken en weer lopen. Hierdoor worden zij minder afhankelijk van anderen en wordt de kwaliteit van leven beter.

#### ***De ontwikkeling van genetische reparatie (zoals exonskipping)***

Mensen met een spierziekte worden geconfronteerd met het feit dat hun aandoening niet kan worden genezen<sup>48</sup>. De behandeling van spierziekten is gericht op symptoombestrijding. Veel mensen met een spierziekte vestigen hun hoop op een toekomstige genezende behandeling (voor henzelf, maar ook voor de komende generaties). Mensen met een spierziekte vinden onderzoek naar genetische reparatie, zoals exonskipping<sup>49</sup>, erg belangrijk. Onderzoekresultaten geven aanwijzingen dat exonskipping in de toekomst kan bijdragen aan genezing van

---

<sup>46</sup> De Vereniging Spierziekten Nederland heeft in 2007 in samenwerking met ZonMW, de Universiteit Maastricht en Interuniversitair Steunpunt Neuromusculair Onderzoek (ISNO) een brede onderzoeksagenda opgesteld voor spierziekten, voornamelijk vanuit patiënten perspectief. De onderzoeksagenda's zijn niet specifiek opgesteld voor medische producten.

<sup>47</sup> Een directe communicatie tussen de hersenen en een extern apparaat (zoals een exoskelet). Men denkt een beweging en deze wordt door een computer omgezet in besturingssignalen.

<sup>48</sup> Met uitzondering van enkele inflammatoire spierziekten.

<sup>49</sup> Methode waarbij een gen weer correct wordt afgelezen. Bij onder andere de spierziekte duchenne kan het eiwit dystrophine niet worden geproduceerd door een mutatie in een gen. Door een exon (een coderend stuk gen) met behulp van een moleculaire pleister af te plakken, kan het gen goed worden afgelezen en (gedeeltelijk) functionerend dystrophine worden geproduceerd.

enkele spierziekten of de vertraging van de progressie. Exon-skipping geeft veelbelovende resultaten bij de ziekte van Duchenne (doordat ze de progressie vertraagt).

### **Overige relevante medische producten**

Naast de beschreven prioriteiten zijn er ook andere onderzoeksbehoeften naar medische producten gesignaleerd. Deze zijn echter minder hoog geprioriteerd.

Mensen met een spierziekte hebben behoefte aan verbetering van methodieken, waarbij de diagnose in een eerder stadium kan worden gesteld aan de hand van technieken / instrumenten die eenvoudiger en minder belastend zijn. De diagnose wordt nu gesteld op basis van symptomen. Hierdoor is het in sommige gevallen moeilijk het specifieke type spierziekte vast te stellen. Wanneer een diagnose is gesteld kan de behandeling en de activiteiten in het dagelijkse leven worden aangepast, zodat verdere achteruitgang zoveel mogelijk kan worden tegengegaan. Ook draagt een diagnose stelling – erkenning en herkenning – bij aan het gevoel van welzijn.

Een kleine groep mensen met een spierziekte is afhankelijk van ademhalingsondersteuning of moet gebruik maken van een PEGsonde<sup>50</sup>. Er is grote behoefte aan het optimaliseren hiervan. Door toenemende spierzwakte ontstaat bij een groep mensen met een spierziekte ademhalingsproblemen. Deze worden opgevangen via ademhalingsondersteuning. De apparaten zijn echter groot en zwaar. Verbeterde ademhalingsmethoden (zoals lichtere en kleinere apparatuur) kunnen bijdragen aan een toename van mobiliteit en besparing van de spierkracht, zodat de kwaliteit van leven van mensen met een spierziekte wordt vergroot. Bij mensen met een spierziekte zijn de spieren verzwakt en blijft een PEG katheter minder goed op zijn plaats zitten.

Veel spierziekten zijn zeldzame aandoeningen en zodoende is hiervoor weinig tot geen medicatie beschikbaar. Bij enkele spierziekten kan off-label<sup>51</sup> medicatie worden voorgeschreven. Het voorschrijven van off-label medicatie wordt moeizamer, omdat dit steeds minder wordt vergoed door de zorgverzekeraar(s). Er is zodoende behoefte aan onderzoek naar de effectiviteit van deze off-label medicatie specifiek voor spierziekten.

### **Brede onderwerpen**

Voor mensen met spierziekten zijn medische producten, met name de hulpmiddelen ten behoeve van de mobiliteit, van groot belang. Naast behoeften aan de ontwikkeling van medische producten zijn ook een aantal andere belangrijke knelpunten en behoeften gesignaleerd, die niet direct gerelateerd zijn aan de ontwikkeling van medische producten.

Het grootste probleem rondom hulpmiddelen is niet in de eerste plaats de ontwikkeling van deze hulpmiddelen, maar de financiering en vergoeding ervan. Dit is nu per gemeente (anders) geregeld. Mensen krijgen hierdoor niet altijd het optimale hulpmiddel. Daarnaast is het onduidelijke wie de verantwoordelijkheid draagt voor de hulpmiddelen, bijvoorbeeld bij reparaties.

---

<sup>50</sup> Om op een veilige en effectieve manier voldoende voeding en/of medicijnen binnen te krijgen via een sonde in de maag.

<sup>51</sup> Bij off-label gebruik van medicijnen wordt er een medicijn voorgeschreven voor de behandeling van een ziekte of klacht, waarvoor dit medicijn niet geregistreerd is.

## Verstandelijke beperkingen

### Ziektegebied

Voor het ziektegebied verstandelijke beperkingen zijn de onderzoeksbehoeften in kaart gebracht van mensen met een licht verstandelijke beperking, mensen met een matig tot ernstig verstandelijke beperking en mensen met een meervoudige beperking.

### Methode

1. Bestaande onderzoeksagenda<sup>52</sup> geanalyseerd op onderzoeksonderwerpen met betrekking tot medische producten.
2. Twee aanvullende interviews met: vertegenwoordigers van de Landelijke Federatie Belangenverenigingen Onderling Sterk en vertegenwoordigers van Platform VG<sup>53</sup>.
3. Integratie van behoeften tot een top 3 met betrekking tot toekomstige medische producten.

### Prioriteiten

#### ***De verbetering van vroegdiagnostiek vlak na de geboorte***

Veel vormen van een verstandelijke beperking worden veroorzaakt door zeldzame aandoeningen of aandoeningen met specifieke symptomen. Hierdoor wordt een aandoening soms pas laat herkend of in sommige gevallen nooit. Het gevolg is dat veel mensen met een verstandelijke beperking een behandeling krijgen, die niet is toegespitst op de specifieke aandoening. Ook worden zij daardoor niet altijd optimaal gestimuleerd in hun ontwikkeling. Er is behoefte aan de verbetering van vroegdiagnostiek vlak na de geboorte. De ontwikkeling van diagnostische technieken op het gebied van genetische testen speelt hierin een belangrijke rol. Wanneer een diagnose vroegtijdig is gesteld, kan eerder begonnen worden met een juiste behandeling.

#### ***De ontwikkeling van verbeterde communicatie hulpmiddelen***

Veel mensen met een verstandelijke beperking hebben communicatieproblemen, veroorzaakt door bijvoorbeeld autisme, een verminderd spraakvermogen of een laag intelligentiequotiënt. Er bestaan allerlei hulpmiddelen om de communicatie te vergemakkelijken. De hulpmiddelen zijn echter niet voor iedereen toereikend. Er is behoefte aan de ontwikkeling van verbeterde communicatie hulpmiddelen, waarbij een onderscheid kan worden gemaakt tussen hulpmiddelen voor mensen met een licht verstandelijke beperking en mensen met een matig tot ernstige verstandelijke beperking. Mensen met een licht verstandelijke beperking hebben behoefte aan communicatie hulpmiddelen die hen ondersteunen in dagelijkse activiteiten, zoals in het openbaar vervoer of bij de bakker. Voor mensen met een matig tot ernstige verstandelijke beperking is er behoefte aan de ontwikkeling van communicatie hulpmiddelen die hen ondersteunen in de basale communicatie, zoals het aangeven van emoties, het leggen van contact en het reageren op elkaar. Een verbetering van de communicatie zorgt voor een grotere zelfstandigheid. Daarnaast worden gedragsproblemen, ten gevolge van communicatieproblemen, verminderd. De kwaliteit van leven wordt vergroot.

#### ***De ontwikkeling van een medicamenteuze behandeling op basis van individuele kenmerken***

Veel mensen met een verstandelijke beperking gebruiken veel verschillende medicatie om bijvoorbeeld het gedrag te kunnen reguleren, maar ook voor vermindering van andere aandoeninggebonden klachten (bijvoorbeeld mensen met een meervoudige beperking). Er is behoefte aan de ontwikkeling van een medicamenteuze behandeling op basis van individuele kenmerken met speciale aandacht voor de specifieke

---

<sup>52</sup> De Federatie voor Ouderverenigingen en de Landelijke Federatie Belangenverenigingen Onderling Sterk hebben in 2006 een brede onderzoeksagenda opgesteld voor en met mensen met een verstandelijke beperking, voornamelijk vanuit het perspectief van mensen met een verstandelijke beperking en hun verzorgers. De onderzoeksagenda is niet specifiek opgesteld voor medische producten.

<sup>53</sup> Een koepelorganisatie voor collectieve belangenbehartiging van mensen met een verstandelijke beperking, hun ouders en vertegenwoordigers.

aandoening en situatie. Hierdoor wordt de medicatie effectiever, en kan mogelijk de hoeveelheid medicatie en de bijwerkingen worden verminderd.

### **Overige relevante medische producten**

Naast de beschreven prioriteiten zijn er ook andere onderzoeksbehoeften naar medische producten gesignaleerd. Deze zijn echter minder hoog geprioriteerd.

Er is behoefte aan de verdere ontwikkeling van domotica<sup>54</sup> voor mensen met een verstandelijke beperking. Hierbij kan worden gedacht aan camerasystemen, waarmee op afstand mensen met een verstandelijke beperking in de gaten kunnen worden gehouden (bijvoorbeeld wanneer mensen ademhalingsproblemen hebben of vaak weglopen), een 'bedmatje' die een signaal geeft wanneer mensen uit bed stappen of een systeem waarmee op basis van vingerafdrukken bepaalde deuren openen. In de thuissituatie of in instellingen kan het bijdragen aan lastenverlichting van de verzorger.

Voor mensen met een verstandelijke beperking is het belangrijk dat zij optimaal worden gestimuleerd in hun mogelijkheden. Dit kan bereikt worden via de (verdere) ontwikkeling van gedragstherapie, maar ook door bijvoorbeeld hersenstimulatie via elektroden (neuromodulatie).

### **Brede onderwerpen**

Naast behoeften aan de ontwikkeling van medische producten zijn ook een aantal andere belangrijke knelpunten en behoeften gesignaleerd, die niet direct gerelateerd zijn aan de ontwikkeling van medische producten.

Veel medische producten zijn voornamelijk van toepassing voor mensen met een ernstige, meervoudige, verstandelijke beperking. Voor veel mensen met een verstandelijke beperking, voornamelijk mensen met een licht verstandige beperking, zijn knelpunten op andere terreinen belangrijker. Zo worden er veel knelpunten ervaren rondom de thema's wonen, werken, onderwijs en scholing, vrije tijd, vervoer en sociale contacten. Binnen het thema 'wonen' ligt de nadruk op het niet zelf kunnen beslissen over het bijvoorbeeld hebben van huisdieren en het niet goed functioneren in een groep. Voor het thema 'werk' worden problemen ervaren rondom het niet zelf kunnen beslissen en meedenken over passende arbeid. Ook worden knelpunten ervaren die samenhangen met de eisen die het werken in de maatschappij stelt. Het wordt moeilijk gevonden om passend onderwijs te vinden die kinderen op het juiste niveau stimuleert en op het gebied van vervoer worden er knelpunten ervaren rondom het zelfstandig reizen (de invoering van de OV chipkaart is voor mensen met een verstandelijke beperking lastig) en de afhankelijkheid van taxivervoer. Mensen met een verstandelijke beperking geven aan dat zij weinig vrienden hebben en zich vaak eenzaam voelen.

Naast knelpunten rondom specifieke thema's, zoals hierboven besproken, worden door mensen met een verstandelijke beperking en hun verzorgers ook meer basale knelpunten ervaren. Mensen met een verstandelijke beperking zijn bijvoorbeeld afhankelijk van begeleiding. Er is echter een tekort aan goede begeleiding en daarnaast ontstaan er vaak irritaties door betutteling en een niet gelijkwaardige behandeling door de begeleiding. Ook worden er knelpunten ervaren rondom de passendheid van voorzieningen, als woonvorm, vakantie, scholing en zorg. Mensen met een verstandelijke beperking krijgen niet altijd de voorzieningen die het meest geschikt zijn voor hen. Hierdoor hebben zij een minder prettig leven en krijgen zij niet voldoende mogelijkheden voor optimale ontplooiing. Daarnaast geven mensen met een verstandelijke beperking aan dat zij graag zelfstandig willen zijn. Zij vinden bejegening, een gelijkwaardige behandeling en het zelf kunnen beslissen erg belangrijk.

---

<sup>54</sup> Alle apparaten en infrastructuur in en rond woningen, die elektronische informatie gebruiken voor het meten, programmeren en sturen van functies ten behoeve van bewoners en dienstverleners.

Door mensen met een verstandelijke beperking wordt ervaren dat er onvoldoende aandacht is voor hun lichamelijke klachten. Bij meer aandacht voor deze klachten zal dit bijdragen aan de verbetering van het welbevinden van de mensen met een verstandelijke beperking.

## Visuele beperking

### Ziektegebied

Voor het domein visuele beperking zijn de behoeften van mensen die slechtziend zijn, blind zijn of een oogziekte hebben in kaart gebracht. (glaucoom, maculadegeneratie, PXE, centrale blindheid, DEVR, retinitis pigmentosa, Usher syndroom)

### Methode

1. Focusgroep met mensen die slechtziend of blind zijn of een oogziekte hebben.
2. Een aanvullend interview met een vertegenwoordiger van de Hoornvlies Vereniging Nederland.
3. Integratie van behoeften tot een top 3 met betrekking tot toekomstige medische producten.

### Prioriteiten

#### ***De verbetering van methoden voor het stellen van een vroegtijdige en nauwkeurige diagnose***

Mensen met een visuele beperking hebben behoefte aan verbetering van diagnostische methoden zodat de oogaandoening in een eerder stadium kan worden vastgesteld. Wanneer een diagnose is gesteld kan sneller een behandeling worden gestart of kan de oogaandoening nog worden genezen. Daarnaast kan al tijdig worden begonnen met aanpassingen op het werk en in het dagelijkse leven, zodat werk en zelfstandigheid zoveel mogelijk kunnen worden behouden. Voor sommige oogziekten zou het nuttig zijn regelmatig risicogroepen te screenen (bijvoorbeeld in geval van Glaucoom).

#### ***De ontwikkeling van leessystemen voor 'dagelijkse producten'***

Voor mensen met een visuele beperking bestaan verschillende hulpmiddelen, die teksten omzetten in spraak. Deze hulpmiddelen zijn vaak specifiek, zoals het kunnen omzetten van tekst op papier naar spraak. Mensen met een visuele beperking hebben behoefte aan de ontwikkeling van leessystemen die breder inzetbaar zijn. Een hulpmiddel dat teksten, zoals etiketten in een winkel, bijsluiters van medicatie, tekst op de treinkaartjesautomaat, straatnaambordjes etc., kan omzetten in spraak. De toegang van informatie wordt op deze manier verbeterd wat bijdraagt aan vergroting van de zelfstandigheid.

#### ***De verbetering van navigatiesystemen voor mensen met een visuele beperking***

Voor verschillende gebieden, zoals werken, sociale contacten en het uitvoeren van dagelijkse activiteiten, is mobiliteit belangrijk. Hiervoor zijn mensen met een visuele beperking aangewezen op hulpmiddelen, die hen helpen de weg veilig te vinden. Deze hulpmiddelen zijn niet optimaal en mensen zijn vaak afhankelijk van ondersteuning door anderen. Er is behoefte aan de verbetering van huidige navigatiesystemen voor mensen met een visuele beperking, zodat zij minder afhankelijk van anderen worden en de zelfstandigheid wordt vergroot. Daarnaast vinden mensen met een visuele beperking het van belang dat zij vroeg bij de ontwikkeling hiervan worden betrokken, zodat de navigatiesystemen beter zullen aansluiten bij de doelgroep. Bij de ontwikkeling van navigatiesystemen moeten patiënten en private instanties samenwerken.

### Overige relevante medische producten

Naast de beschreven prioriteiten zijn er ook andere onderzoeksbehoeften naar medische producten signaleerd.

Voor enkele oogaandoeningen worden problemen met de toediening van medicatie ervaren. Voor de behandeling van glaucoom en enkele andere oogaandoeningen moet in bepaalde gevallen meerdere malen per dag verschillende oogdruppels worden toegediend. Dit wordt als vervelend ervaren. De oogdruppels geven ook bijwerkingen. Voor de behandeling van natte maculadegeneratie krijgen mensen injecties in het oog. Deze injecties vertragen de progressie. De toediening is niet prettig en de kans op infecties bestaat.



Voor het gebruik van internet zijn verschillende softwareprogramma's beschikbaar, maar deze zijn niet optimaal. Websites zijn constant in ontwikkeling met nieuwe technieken (zoals flashes), waardoor de software achterloopt. Mensen met een visuele beperking hebben de behoefte aan verbetering van de software voor het gebruik van internet. Hierdoor wordt de toegankelijkheid van informatie verbeterd en neemt het zoeken naar informatie minder tijd in beslag. Hierbij kan worden gedacht aan software dat tekst vergroot, omzet in spraak, contrast beter maakt etc.

Voor veel oogaandoeningen is geen genezing mogelijk. De behandeling ervan is voornamelijk gericht op symptoombestrijding. Veel mensen met een visuele beperking vestigen hun hoop op genterapie en zenuwweefselregeneratie omdat ze verwachten dat het kan bijdragen aan een genezende behandeling en daarnaast informatie kan geven over de prognose van de oogaandoening. Veel oogaandoeningen worden veroorzaakt door een beschadiging in het zenuwweefsel. Wanneer deze kan worden hersteld, kan het zicht worden vergroot. Hierdoor kunnen veel knelpunten waar mensen met een visuele beperking mee kampen, worden verholpen.

Het merendeel van mensen met een visuele beperking maakt gebruik van hulpmiddelen als taststokken en geleide beugels (voor geleide honden). Als een gevolg van het gebruik van deze hulpmiddelen is men altijd één hand kwijt. Dit wordt als vervelend ervaren. Daarnaast geven mensen met een visuele beperking aan dat zij behoefte hebben aan verbetering van de ergonomie van deze hulpmiddelen. Door geleidebeugels en taststokken loopt men gedurende lange tijd met één arm naar beneden, waardoor fysieke klachten kunnen ontstaan (pijn in schouders en armen).

Een kleine groep mensen die slechtziend is, maakt gebruik van filterbrillen. Elk persoon heeft een andere bril nodig; sommigen hebben een gele bril nodig, anderen een donkere. Er is behoefte aan de verbetering van filterbrillen, waarbij wordt gelet op de individuele situatie en esthetiek.

### **Brede onderwerpen**

Naast behoeften aan de ontwikkeling van medische producten zijn er ook een aantal andere belangrijke knelpunten en behoeften gesignaleerd, die niet direct gerelateerd zijn aan de ontwikkeling van medische producten.

Behoud van zelfstandigheid is erg belangrijk voor mensen met een visuele beperking. Zij willen graag blijven werken en blijven participeren in de maatschappij. Dit kost de mensen veel energie. Bij veel handelingen moet worden nagedacht en dagelijkse handelingen, zoals reizen en huishoudelijke taken kosten veel tijd. Hierdoor overbelasten mensen met een visuele beperking zich constant. De ontwikkeling van hulpmiddelen kan bijdragen aan de vergroting van de zelfstandigheid en besparing van energie. Maar vooral ondersteuning via werk, een huishoudelijke hulp en begrip van de omgeving zijn hiervoor belangrijk. Wanneer mensen met een visuele beperking samenwonen met een ziende partner krijgen zij geen huishoudelijke hulp meer. Hierdoor moet een partner veel taken overnemen, wat resulteert in een onevenredige belasting van de partner.

Mensen met een visuele beperking hebben de behoefte aan een neutrale overzichtsbank van hulpmiddelen en een neutraal advies van hulpmiddelen. Een dergelijk overzicht bestaat momenteel niet. Mensen zijn afhankelijk van contracten die verzekeringen en gemeenten hebben gesloten en moeten zelf veel uitzoeken. Daarnaast hebben ze behoefte aan ondersteuning bij het gebruik van hulpmiddelen. Het gebruiken van hulpmiddelen vergt veel energie. Wanneer je hierin niet goed wordt begeleid, worden hulpmiddelen niet optimaal gebruikt. Ook is het van belang dat er wordt gekeken naar de specifieke situatie van personen (hulpmiddelen op maat).

Mensen met een visuele beperking geven aan dat zij graag vroegtijdig betrokken willen zijn bij de ontwikkeling van hulpmiddelen. Op deze manier kunnen zij inspraak geven en wordt er meer rekeninggehouden met de eindgebruiker.

## Zeldzame aandoeningen

### Ziektegebied

Voor het ziektegebied zeldzame aandoeningen zijn de behoeften van mensen geraadpleegd met diverse zeldzame aandoeningen: zeldzame bloedziekten, zeldzame stofwisselingsziekten, zeldzame bijnierziekten, zeldzame afweerstoornissen, Najjar, Xeroderma pigmentosum, Erythropoetische protoporfyrie (EPP), Primaire Ciliaire Dysskinesia (PCD) en Fibrodysplasia Ossificans Progressiva (FOP).

### Methode

1. Focusgroep met vertegenwoordigers en/of ervaringsdeskundigen van zeldzame aandoeningen.
2. Interview met een vertegenwoordiger van de stichting PCD Belangengroep.
3. Integratie van behoeften tot een top 3 met betrekking tot medische producten.

### Prioriteiten

#### ***De ontwikkeling van gentherapie***

Mensen met een zeldzame aandoening zijn in veel gevallen ongeneeslijk ziek. Hoewel gentherapie voor veel zeldzame aandoeningen nog in de kinderschoenen staat, of nog ontwikkeld moet worden biedt gentherapie perspectief voor mensen met een zeldzame aandoening. Het perspectief op gentherapie wordt mede onderbouwd omdat er in veel gevallen sprake is van een monogenetische aandoening, wat de mogelijkheden voor gentherapie vergroot. Door de ontwikkeling van gentherapie kunnen de gevolgen van een zeldzame aandoening preventief behandeld worden. Ook kan vermindering of zelfs genezing, zoals bij de aandoening SCID<sup>55</sup>, van de zeldzame aandoening optreden. De deelnemers hebben hoge verwachtingen van deze ontwikkelingen.

#### ***De ontwikkeling van (medicamenteuze) behandelingen die op korte termijn klachten kunnen voorkomen of verminderen***

Gentherapie wordt gezien als een lange termijn ontwikkeling. Maar om op korte termijn de kwaliteit van leven van mensen met een zeldzame aandoening te verbeteren, is er behoefte aan de ontwikkeling van verschillende medische producten die klachten kunnen voorkomen of verminderen. Gezien de diversiteit in zeldzame aandoeningen is er in veel gevallen behoefte aan een specifieke medisch product. Mensen met de zeldzame aandoening EPP krijgen pijnklachten als hun huid wordt blootgesteld aan zonlicht. Door de ontwikkeling van een crème die deze mensen beschermt tegen de zon kunnen zij preventief worden behandeld tegen pijnklachten door de zon. Tevens hebben deze mensen behoefte aan de ontwikkeling van een effectief middel tegen pijn als zij aan de zon zijn blootgesteld. Deze producten zullen bijdragen aan een vergroting van de kwaliteit van leven. Een andere behoefte van mensen met een zeldzame bloedziekte is de ontwikkeling van medicamenteuze thuisbehandeling in plaats van medicamenteuze behandeling in het ziekenhuis. Hierdoor worden mensen zelfstandiger. Mensen met de zeldzame aandoening Najjar hebben behoefte aan verbetering van intensieve lichttherapie, omdat de huidige behandeling erg ingrijpend voor hen is. Een verbetering van de intensieve lichttherapie leidt tot een vergrote kwaliteit van leven.

#### **Overige relevante medische producten**

Naast de beschreven prioriteiten zijn er ook andere onderzoeksbehoeften naar medische producten gesignaleerd. Deze zijn echter minder hoog geprioriteerd.

Mensen met zeldzame aandoeningen ervaren dat de kennis over hun zeldzame aandoening verspreid is over diverse artsen en centra. Hierdoor duurt het lang voordat er een diagnose gesteld is en zij op een juiste wijze behandeld worden door de juiste arts. Mensen met een zeldzame aandoening zien expertise centra als medisch

---

<sup>55</sup> Severe Combined Immune Deficiency syndrome, dit is de verzamelnaam voor een heterogene groep erfelijke, aangeboren afwijkingen van het immuunsysteem.

product omdat er sprake is van één locatie waar kennis geconcentreerd is en waar mensen naar toe kunnen om gediagnosticeerd en behandeld te worden. Met de ontwikkeling van expertise centra concentreren patiënten met dezelfde zeldzame aandoening zich op een plaats. Hierdoor kunnen gespecialiseerde artsen op den duur kennis ontwikkelen en zo het natuurlijke beloop en de progressie van de aandoening in kaart brengen. Doordat de kennis zich om de aandoening heen centreert ontstaat er zicht op aangrijpingspunten voor de ontwikkeling van diagnostiek en therapie. Met deze kennis zullen internationale samenwerkingsverbanden ontstaan, wat tot bundeling van kennis leidt. Op deze wijze kunnen mensen met een zeldzame aandoening in de toekomst beter gediagnosticeerd en behandeld worden.

Voor mensen met de zeldzame aandoening FOP is er behoefte aan medicatie die botvorming in de weke delen afremt. Met de ontwikkeling van deze medicatie kan verstijving van het lichaam worden tegengegaan en neemt de kwaliteit van leven toe.

Tevens is er behoefte aan de uitbreiding van de neonatale screening<sup>56</sup> op aangeboren zeldzame aandoeningen. Hierdoor kunnen mensen met een aangeboren zeldzame aandoening vroegtijdiger worden opgespoord. Door de uitbreiding van Pre-implantatie Genetische Diagnostiek (PGD)<sup>57</sup> op erfelijke zeldzame aandoeningen kunnen ouders voorkomen dat hun kindje wordt geboren met een erfelijke zeldzame aandoening.

### **Brede onderwerpen**

Voor veel mensen met een zeldzame aandoening bestaat geen effectieve behandeling. Gezien de zeldzame aard van de aandoeningen zijn er zodoende vaak geen medische producten beschikbaar en lopen mensen met zeldzame aandoeningen vaak tegen bredere problemen aan.

Door de onbekendheid van de aandoening duurt het vaak lange tijd voordat een diagnose gesteld kan worden. Voor mensen met een zeldzame aandoening is het belangrijk dat artsen multidisciplinair samenwerken en hun kennis doorgeven aan elkaar, maar in veel gevallen gebeurt dit niet of veel te weinig. Ook ervaren mensen met zeldzame aandoeningen door de onbekendheid van hun aandoening communicatieproblemen met zorgverleners.

Door de lage prevalentie ervaren mensen met een zeldzame aandoening dat zij geen prioriteit zijn voor de overheid. Zij zien dit onder andere terug in een gebrek aan wet- en regelgeving voor zeldzame aandoeningen. In de maatschappij zijn verminderde sociale acceptatie en onbegrip obstakels voor mensen met zeldzame aandoeningen. Mensen met zeldzame aandoeningen hebben regelmatig met vergoedings- en registratieproblemen van hulpmiddelen en medicatie te maken bij verzekeraars en gemeenten.

Mensen met een zeldzame aandoening bevinden zich in een uitzonderlijke situatie. Zij moeten op geheel eigen wijze leren omgaan met grenzen waar zij tegenaan lopen in het dagelijks leven. Psychologische begeleiding en het gezin en/ of de partner kunnen hier een grote rol in spelen.

---

<sup>56</sup> Neonatale screening (de hielprik) betreft screening op behandelbare aandoeningen bij pasgeborenen, die standaard wordt aangeboden.

<sup>57</sup> Bij Pre-implantatie Genetische Diagnostiek (PGD) wordt gebruik gemaakt van In Vitro Fertilisatie (IVF) om, op verzoek van ouders met een sterk verhoogde kans op een genetische aandoening bij het kind, de embryo's voor terugplaatsing te testen op het desbetreffende genetisch defect en deze aangedane embryo's vervolgens niet terug te plaatsen.

## **Bijlage 3    Analyses van de zorgverleners**

In deze bijlage zijn de afzonderlijke analyses voor de vier groepen zorgverleners opgenomen. De analyses hebben eenzelfde opbouw.

- De methode van dataverzameling
- De prioritaire richtingen waarin onderzoek naar medische producten dient plaats te vinden volgens de zorgverleners
- Brede onderwerpen. Zij beschrijven overeenkomstige behoeften en knelpunten die zorgverleners ervaren, die niet gerelateerd zijn aan medische producten. Deze brede onderwerpen bieden context aan de behoeften aan medische producten.

## Huisartsen

### Methode

1. Focusgroep met huisartsen
2. Analyse van de resultaten

### Resultaten

Uit de resultaten van de focusgroep blijkt dat huisartsen prioriteit geven aan onderzoeksbehoeften met betrekking tot medische producten in de richting van toediening van medicatie, verbetering van behandeling van symptomen, verbetering van informatiestromen en verbetering van snelle diagnostiek. Huisartsen hebben vooral behoefte aan medische producten, die het werk vergemakkelijken en verbeteren waardoor er meer tijd vrij komt die kan worden besteed aan de patiënt.

#### ***Toediening van medicatie***

Huisartsen geven aan dat door een toename van chronische problemen er steeds meer patiënten komen die veel verschillende medicatie gebruiken. Er is behoefte aan een betere toedieningsvorm van medicatie, zodat patiënten minder medicatie hoeven te gebruiken. Hierbij kan gedacht worden aan de combinatie van meerdere medicatie in één pil.

#### ***Verbetering van behandeling van symptomen als pijn en incontinentie***

Huisartsen geven aan dat zij behoefte hebben aan de verbetering van de behandeling van symptomen als pijn en incontinentie, omdat deze symptomen een groot probleem zijn en hiervoor weinig effectieve middelen beschikbaar zijn. Er is veel pijnmedicatie beschikbaar, maar deze medicatie is voor veel patiënten niet voldoende effectief. Bij de ontwikkeling van effectieve pijnbestrijding in de toekomst is aandacht voor niet-medicamenteuze pijnbestrijding wenselijk. Dit is wenselijk omdat verschillende medicatie, waaronder pijnmedicatie, elkaar kunnen beïnvloeden en omdat mensen niet nog meer medicatie willen slikken. Voor incontinentie zijn, naast absorberende materialen, weinig middelen beschikbaar en de ontwikkeling van een middel voor incontinentie is dan ook gewenst.

#### ***Verbetering van informatiesystemen***

Huisartsen geven aan dat zij behoefte hebben aan verbetering van de Huisartsen Informatie Systemen (HIS). De software van huidige informatiesystemen loopt achter en veel systemen zijn niet met elkaar compatibel, waardoor informatie tussen praktijken niet kan worden uitgewisseld. Een goed systeem verbetert het werk van huisartsen en zal tijd besparen, waardoor huisartsen meer tijd krijgen voor de patiënt zelf. Daarnaast wordt ook de ontwikkeling van informatiesystemen voor de uitwisseling van informatie tussen huisartsen en patiënten belangrijk gevonden (telemedicine). Op deze manier kunnen bijvoorbeeld thuismetingen direct worden doorgestuurd naar de huisarts.

#### ***Verbetering van eerstelijns diagnostiek***

Huisartsen hebben behoefte aan producten die kunnen bijdragen aan een snelle en eenvoudige diagnostiek in de eerstelijns zorg, zoals de ontwikkeling van een mobiel röntgenapparaat, de ontwikkeling van producten voor thuismetingen of de ontwikkeling van een echo apparaat met beeldherkenning. Hierdoor kan sneller een juiste diagnose worden gesteld, kan een patiënt sneller worden doorverwezen of kan worden voorkomen dat een patiënt onnodig naar het ziekenhuis gaat. Dit zorgt voor een ontlasting van de eerste hulp en poliklinieken.

#### **Brede onderwerpen**

De benadering van huisartsen is voornamelijk gericht op symptomen, in plaats van aandoeningen. Veel patiënten hebben meerdere aandoeningen. Het is belangrijk om een patiënt in zijn geheel met al de aanwezige symptomen te benaderen. Ook past een grote groep patiënten niet in één ziektegebied. Dit zijn mensen met

Somatisch Onverklaarbare Lichamelijke Klachten (SOLK). Veel patiënten die bij huisartsen komen vallen in deze categorie. Daarnaast zijn veel voorkomende symptomen, zoals pijn, een verstoorde bloedglucose en incontinentie, voor meerdere ziektegebieden van toepassing. Om deze redenen vinden huisartsen de ontwikkeling van medische producten gericht op een betere behandeling van symptomen belangrijk. Een vermindering van deze veelkomende symptomen draagt bij aan een verbetering van de kwaliteit van leven van een grote groep patiënten.

De ontwikkeling van medische producten voor de verbetering van de eerste lijnszorg wordt door huisartsen erg belangrijk gevonden. Dit kan worden bereikt via snelle en eenvoudige diagnostiek, waardoor ziekenhuizen worden ontlast en er uiteindelijk een kostenbesparing in de zorg ontstaat. Maar ook de verbetering van informatiesystemen draagt bij aan een verbetering van de eerste lijnszorg, omdat goede informatiesystemen ervoor zorgen dat huisartsen meer tijd en aandacht hebben voor de patiënt. Huisartsen hebben geen behoefte aan geavanceerde medische producten. Ze hebben behoefte aan medische producten, die het werk vergemakkelijken en verbeteren. Ze willen niet dat er teveel wordt gemeten. Huisartsen hebben ten doel om aandoeningen uit te sluiten, niet aan te tonen.

## **Mantelzorgers**

### **Ziektegebied**

Voor het perspectief van mantelzorgers zijn de behoeften van mantelzorgers voor de ziektegebieden visuele beperking, brandwonden, Cerebro Vasculair Accident (CVA), dementie, verstandelijke beperkingen, aandoeningen aan het bewegingsapparaat, spierziekten en zeldzame aandoeningen in kaart gebracht.

### **Methode**

1. Drie interviews met mantelzorgers voor het ziektegebied brandwonden, spierziekten en visuele beperkingen, een interview met vertegenwoordigers van Platform VG waarin ook het perspectief van de mantelzorg is meegenomen, een focusgroep met mantelzorgers van het ziektegebied dementie, focusgroepen voor de ziektegebieden aandoeningen aan het bewegingsapparaat en zeldzame aandoeningen waar ook mantelzorgers aan deelnamen, en twee bijeenkomsten voor het ziektegebied CVA waar ook meerdere mantelzorgers aan deelnamen.
2. Integratie van behoeften en knelpunten

### **Resultaten**

Opvallend is dat uit de verschillende interviews en bijeenkomsten blijkt dat mantelzorgers vooral nadenken in het belang van de patiënt (hun naaste). De onderzoeksbehoeften met betrekking tot medische producten die worden aangegeven zijn vooral voor de patiënten van mantelzorgers van belang. Deze resultaten zijn daarom opgenomen in de analyses van de verschillende ziektegebieden. Mantelzorgers geven aan zelf behoefte te hebben aan de ontwikkeling van medische producten op het gebied van vergroting van zelfstandigheid van de patiënt en zorg op afstand. De meeste knelpunten die worden ervaren, kunnen niet worden opgelost door een specifiek medisch product. Mantelzorgers hebben vooral behoefte aan ondersteuning bij de zorg voor de patiënt.

#### ***Vergroting van de zelfstandigheid***

Door de ontwikkeling van medische producten die de zelfstandigheid van de patiënt vergroot worden patiënten minder afhankelijk van mantelzorgers. Hierbij kan gedacht worden aan vergroting van de mobiliteit of de ontwikkeling van hulpmiddelen die gebruiksvriendelijker zijn. Op deze manier is er minder ondersteuning van mantelzorgers nodig en kunnen patiënten zelfstandig handelingen uitvoeren. Hierdoor worden mantelzorgers minder belast en houden ze meer tijd voor zichzelf over.

#### ***De ontwikkeling van domotica***

Door meer zorg op afstand mogelijk te maken, zoals door de verdere ontwikkeling van domotica, ontstaat er meer bewegingsvrijheid voor de mantelzorgers. GPS-technologieën, monitorapparaten en sensoren kunnen ervoor zorgen dat mantelzorgers de patiënt in de gaten kunnen houden op afstand. Hierdoor kan de patiënt bijvoorbeeld zelfstandig een stuk wandelen, terwijl de mantelzorger op afstand in de gaten kan houden hoe het met de patiënt gaat. Dit vergroot de veiligheid van de patiënt en zorgt voor geruststelling, meer eigen tijd en grotere bewegingsvrijheid van de mantelzorger.

#### **Brede onderwerpen**

Daarnaast blijkt dat mantelzorgers vooral overeenkomstige behoeften en knelpunten ervaren, die niet gerelateerd zijn aan medische producten. Een groot deel van deze punten lijkt onafhankelijk van een specifieke aandoening te zijn. Deze punten zullen hieronder kort worden toegelicht.

#### ***Erkenning***

Veel mantelzorgers geven aan dat zij zich onderkend voelen, zowel maatschappelijk als financieel. Ze hebben het idee dat de belasting van de zorg voor een patiënt wordt onderschat. Ze ervaren hierdoor veel onbegrip van



de omgeving. Mantelzorgers geven aan dat zij behoefte hebben aan meer erkenning voor hun rol in de verzorging via bijvoorbeeld een financiële vergoeding of compensatiemogelijkheden op werkgebied.

### ***Belasting***

De zorg voor een patiënt wordt erg belastend gevonden. Mantelzorgers geven aan dat de zorg veel tijd (de zorg gaat 24 uur per dag door) en energie kost. Naast de zorg zijn mantelzorgers ook veel tijd kwijt met de administratie en het regelen van diensten en producten voor de patiënt. Een deel van de mantelzorgers geeft aan dat zij hierdoor overbelast en oververmoeid raken.

Veel mantelzorgers geven aan dat zij graag de patiënt willen verzorgen, maar dat zij dit ook lastig vinden te combineren met het persoonlijke leven en werk. Een deel van de mantelzorgers geeft aan minder te zijn gaan werken, omdat ze de zorg anders niet kunnen combineren. Daarnaast houden mantelzorgers minder tijd voor zichzelf over, wat een vermindering van sociale contacten tot gevolg kan hebben en minder ruimte voor een eigen leven.

Betere ondersteuning via een case manager, dagopvang of thuishulp kan bijdragen aan een verminderde belasting van de mantelzorger. Momenteel is de regelgeving in Nederland echter zo geregeld dat wanneer de partner in staat is de zorg op zich te nemen, de patiënt minder zorgbudget krijgt. Hierdoor kan minder zorg, als een thuishulp, worden ingekocht.

### ***Rol van partner***

Een deel van de mantelzorgers geeft aan dat zij zich geen gelijkwaardige partner meer voelen, omdat door de zorg de verhoudingen binnen een relatie verschuiven. Bij de aandoeningen dementie en CVA wordt dit probleem extra ervaren, vanwege onder andere karakterveranderingen, vergeetachtigheid en concentratieproblemen ten gevolge van de aandoening. Mantelzorgers geven aan hun levenspartner en gesprekspartner te missen.

### ***Vervoer***

Veel aandoeningen hebben een beperking van de mobiliteit tot gevolg (als gevolg van bijvoorbeeld een visuele beperking, een verstandelijke beperking of een beperking aan het bewegingsapparaat). Hierdoor zijn veel mensen met een beperking afhankelijk van speciaal vervoer en aanpassingen in de omgeving. Veel openbare ruimten zijn niet voorzien van de juiste aanpassingen voor mensen met een beperking. Bij diverse aandoeningen is de patiënt niet zelfstandig mobiel en moeten mantelzorgers daarom mee reizen. Patiënten, en daardoor ook de mantelzorgers, zijn afhankelijk van het rijschema van taxivervoer, waardoor veel tijd verloren gaat aan wachten en omrijden. Ook het Openbaar Vervoer is niet goed ingesteld voor mensen met een beperking. Mantelzorgers geven aan dat zij zich beperkt voelen in het ondernemen van activiteiten met de patiënt, omdat veel plekken niet toegankelijk zijn.

### ***Organisatie van de zorg***

Mantelzorgers ervaren veel problemen met de organisatie van de zorg. Ze geven aan problemen te hebben rondom het aanvragen van producten en diensten in de zorg en de vergoedingen ervan. Ze moeten veel zelf uitzoeken en regelen en hebben het gevoel hierin niet te worden ondersteund. Hieraan zijn mantelzorgers veel tijd kwijt. Daarnaast verschilt de Wet Maatschappelijke Ondersteuning (WMO) per gemeente, waardoor producten en diensten bij de ene gemeente kosteloos te verkrijgen zijn, terwijl deze bij andere gemeenten niet worden vergoed. Mantelzorgers geven aan dat zij behoefte hebben aan betere ondersteuning via bijvoorbeeld een case-manager. Een case-manager kan helpen bij het regelen van aanvragen, informatie en advies geven.

Naast het aanvragen van producten en diensten in de zorg geven mantelzorgers ook aan dat zij het gevoel hebben dat zij en hun naaste heen en weer te worden gestuurd tussen artsen. Dit is vooral van toepassing voor multidisciplinaire aandoeningen. Daarnaast ervaren zij dat ze moeten opkomen voor de rechten van patiënten.

## **Medisch specialisten**

### **Methode**

1. Focusgroep met medisch specialisten
2. Analyse van de resultaten

### **Resultaten**

Uit de focusgroep blijkt dat medisch specialisten mogelijkheden zien voor de verdere ontwikkeling van medische producten op het gebied van verbeterde behandeling, medicatie, preventie, 'high tech' en informatiestromen. Daarnaast geven ze aan dat ze meer belang hechten aan betere samenwerking en doelmatigheidsonderzoek / effectiviteitonderzoek op het gebied van medische producten.

### ***Verbetering behandeling***

Hoewel er in de laatste jaren veel vooruitgang is geboekt in de kwaliteit van behandelingen is de verwachting dat behandelingen zich nog verder kunnen ontwikkelen. Op het gebied van MRI kan door een vergroting van het contrast de kwaliteit omhoog. Bij CT-scans is het van belang dat er onderzoek wordt gedaan naar mogelijkheden voor stralingsreductie. Stents kunnen verder ontwikkeld worden, zodat ze kunnen worden toegepast op nu nog 'moeilijke' plaatsen. Daarnaast zou er meer aandacht moeten komen voor fysiologisch stofwisselingsonderzoek, zodat men in de toekomst vroegtijdig een aandoening kan diagnosticeren op basis van metabole veranderingen.

### ***Ontwikkeling medicatie***

Er wordt aangegeven dat er behoefte is aan de ontwikkeling van dementieremmers. In de nabije toekomst zal de prevalentie van dementie toenemen, omdat mensen steeds ouder worden. Het ontwikkelen van dementieremmers kan veel leed voorkomen en hopelijk de druk op de zorg doen afnemen. Daarnaast is het wenselijk dat het aantal pillen dat wordt geslikt door mensen omlaag kan en dat er betere informatie wordt gegeven over de werking van medicatie. Een ander belangrijk punt is therapietrouw; de medisch specialisten geven aan dat mensen zich beter moeten houden aan medicatie inname, omdat anders de behandeling niet of nauwelijks zin heeft. Hiervoor is vooral gedragsverandering en eigen verantwoordelijkheid van belang.

### ***'High Tech'***

De verwachting is dat biomarkers verder ontwikkeld zullen worden, wat kan bijdragen aan betere diagnose en behandeling. Gentherapie en stamceltherapie worden ook gezien als mogelijke ontwikkelingen in de toekomst. De medisch specialisten zijn er echter niet van overtuigd dat deze ontwikkelingen tot genezing zullen leiden.

### ***Preventie***

Er moet meer aandacht komen voor preventie en vroegdiagnostiek. In de nabije toekomst zal het aantal mensen met bijvoorbeeld diabetes, overgewicht en hart- en vaatproblemen sterk toenemen. 'Patiënten' zelf spelen hierin een grote rol door gezonder te gaan leven: meer beweging en gezonde voeding. Maar gedragverandering is erg moeilijk. De ontwikkeling van effectieve programma's voor gedragsverandering en het verder ontwikkelen van de mogelijkheden voor vroeg risico diagnose door middel van bijvoorbeeld markers is van belang om het aantal toekomstige patiënten effectief terug te dringen.

### ***Verbetering informatiestromen***

Binnen het ziekenhuis is er behoefte aan een betere informatievoorziening, bijvoorbeeld door middel van ICT. Nu moet een medische specialist zijn informatie uit verschillende systemen halen, aangezien alle informatie van een patiënt niet centraal is opgeslagen. Dit kost tijd en komt niet ten goede van de zorg. Een ICT systeem waarin alle gegevens van een patiënt te vinden zijn, zou ideaal voor medisch specialisten zijn.

## **Brede onderwerpen**

### ***Doelmatigheidsonderzoek***

Er wordt besproken of er wel behoefte is aan de ontwikkeling van meer medische producten. Er bestaat al veel, waarvan veel nog niet geïmplementeerd of aanwezig is. Daarnaast zullen meer medische producten waarschijnlijk leiden tot meer gebruik hiervan, terwijl dit niet altijd zal leiden tot betere zorg of snellere diagnose. Ter illustratie wordt er verteld dat er vroeger naar de patiënt gekeken werd; nu wordt er gekeken naar de beelden die geproduceerd worden door de apparatuur. Beelden van scans leiden soms tot acties die niet noodzakelijk zijn. Lichamelijk onderzoek komt steeds minder voor.

Het gebruik van apparatuur is nu vaak lokaal bepaald, afhankelijk van de aanwezigheid van bepaalde apparatuur. Er is meer behoefte aan betere richtlijnen en protocollen die beschrijven wanneer en in welke volgorde er bijvoorbeeld diagnostische apparatuur ingezet dient te worden. Dit moet meer *Evidenced Based* onderbouwd worden. Tevens is er behoefte aan meer *Evidence Based* werkmethodes en onderwijs. Effectiviteitonderzoek en doelmatigheidsonderzoek voor bijvoorbeeld PET-scans en MRI zijn van groot belang. *Technology assesment* bij nieuwe technologieën is ook essentieel.

### ***Samenwerking***

Er wordt veel gesproken over betere samenwerking tussen disciplines, ziekenhuizen en niet-academische en academische ziekenhuizen. Hierdoor kan er efficiëntere zorg worden geboden, beter kennis worden doorgegeven en beter onderzoek worden gedaan. Daarnaast moet er ruimte komen voor medisch specialisten om te excelleren in een bepaalde discipline. Volgens sommigen is effectiever samenwerken en *kennisflow* nu van groter belang dan het verder ontwikkelen van medische producten.

Om 'grote aandoeningen' op te lossen, zoals dementie of diabetes moet er vooral internationaal worden samengewerkt op het gebied van onderzoek. Nu is elk land teveel bezig met 'zijn eigen onderzoek' waardoor veel dingen dubbel worden gedaan en de 'grote aandoeningen' momenteel nog steeds niet zijn opgelost.

### ***Personeelstekort***

De medisch specialisten verwachten dat het probleem niet zal liggen bij 'een tekort aan ontwikkeling van medische producten' maar bij het personeelstekort. Er is behoefte aan meer zorg en minder computers. Maar er is te weinig personeel om dit op te vangen en dit zal alleen maar erger worden.

## **Verpleegkundigen**

### **Ziektegebied**

Voor het perspectief van de verpleegkundigen zijn de behoeften van verpleegkundigen op de gebieden incontinentie, geriatrie, psycho-geriatrie, reuma, cardiologie, maag-darm-lever, wijkverpleging en psychiatrie in kaart gebracht.

### **Methode**

1. Focusgroep met verpleegkundigen
2. Analyse van de resultaten

### **Resultaten**

Uit de resultaten van de focusgroep blijkt dat verpleegkundigen prioriteit geven aan onderzoeksbehoeften met betrekking tot medische producten in de richting van verbetering van informatiesystemen, verbetering van (na)scholing van verpleegkundigen en de ontwikkeling van interactieve zorg. Daarnaast geven ze aan dat er behoefte is aan betere samenwerking tussen en binnen zorginstellingen en dat ze graag ontwikkelingen willen zien die bijdragen aan meer tijd voor de patiënt.

#### ***Verbetering van informatiesystemen***

Verpleegkundigen geven aan dat de verbetering van informatiesystemen van groot belang is. Momenteel werken zorginstellingen, zoals ziekenhuizen, de thuiszorg en zelfs afdelingen binnen zorginstellingen, met verschillende informatiesystemen. De informatie over een patiënt is vaak niet in één systeem opgeslagen. Hierdoor zijn verpleegkundigen tijd kwijt met het opzoeken van informatie en wordt er langs elkaar heen gewerkt, omdat niet alle partijen op de hoogte zijn van uitgevoerde handelingen. Verpleegkundigen hebben de behoefte aan de invoering van een centraal informatiesysteem, zoals het Elektronische Patiënten Dossier (EPD), zodat alle informatie over één patiënt op één plek te vinden is. Hierdoor kan rapportage verbeterd worden en verloopt de zorgoverdracht tussen alle partijen zorgvuldiger en sneller. Dit zorgt voor tijdsbesparing, waardoor er meer tijd beschikbaar komt voor de zorg van de patiënt.

Daarnaast geven verpleegkundigen aan dat ze ook behoefte hebben aan de ontwikkeling van protocollen die *Evidence Based Practice* (EBP) zijn en in een digitale database terug te vinden zijn. Momenteel verschilt het per zorginstelling welk protocol wordt aangehouden. Wanneer alle zorginstellingen dezelfde EBP protocollen gebruiken, zal er minder verscheidenheid tussen de behandelingen zijn. Verpleegkundigen benadrukken dat op deze manier ook verspreiding van kennis ontstaat.

#### ***Verbetering van (na)scholing***

(Na)scholing van verpleegkundigen wordt erg belangrijk gevonden. Hierdoor blijft de kennis op niveau en wordt de kennis geactualiseerd met nieuwe medische inzichten. Daarnaast kunnen uitzonderlijke situaties, zoals specifieke operaties die nauwelijks voorkomen, geoefend worden. Verpleegkundigen geven de voorkeur aan scholing in een digitale en interactieve leeromgeving (via *e-learning*). Hierdoor kunnen verpleegkundigen zelf bepalen waar en wanneer ze (na)scholing volgen. Daarnaast verwachten ze dat de kwaliteit van scholing hierdoor toeneemt.

#### ***De ontwikkeling van interactieve zorg***

Verpleegkundigen geven aan dat zij de ontwikkeling van interactieve zorg belangrijk vinden. Voorbeelden hiervan zijn zorg op afstand en interactieve patiëntenvoorlichting. Door communicatie via een webcam of fora kunnen patiënten vragen en problemen voorleggen aan verpleegkundigen. Op deze manier hoeven patiënten niet naar het ziekenhuis en worden zij sneller en beter geholpen. Interactieve informatiezuilen in ziekenhuizen, waarop bijvoorbeeld aandoeningen, operaties en behandelingen worden uitgelegd, kunnen bijdragen aan betere

patiëntenvoorlichting op maat. Met behulp van beelden, spraak en tekst wordt zorgvuldige en goede voorlichting gegeven. Vormen van interactieve zorg zorgen voor tijdswinst, voor zowel patiënten als verpleegkundigen.

Verdere ontwikkeling van domotica binnen zorginstellingen wordt niet altijd als positief ervaren. Het gebruik van domotica wordt gezien als het oplossen van het personeelstekort en komt de zorg van de patiënt niet ten goede. Juist persoonlijke aandacht voor de patiënt is erg belangrijk en deze wordt door middel van domotica verder verminderd. Daarnaast geven verpleegkundigen aan dat zij de huidige domotica geen oplossing vinden voor de ervaren problemen. De domotica is te ongevoelig en verpleegkundigen kunnen door domotica nog steeds niet meerdere patiënten tegelijkertijd verzorgen.

### **Brede onderwerpen**

Verpleegkundigen geven aan dat de belangrijkste behoefte is dat er meer beschikbare tijd komt voor de echte zorg van de patiënt. Persoonlijke aandacht wordt belangrijk gevonden, omdat dit de kwaliteit van de zorg en het genezingsproces ten goede komt. Verpleegkundigen geven ook aan voor dit beroep gekozen te hebben omdat ze voor mensen willen zorgen, terwijl in de praktijk er veel andere taken zijn waardoor er weinig tijd overblijft voor zorg. Verpleegkundigen geven aan dat de grootste tijdsbesparing kan worden behaald door verbetering van informatiesystemen en verder ontwikkeling van interactieve zorg.

Onderzoeksbehoeften met betrekking tot medische producten, die dienen voor de verbetering van de praktijkwerkzaamheden, worden belangrijk gevonden door verpleegkundigen maar minder van belang dan bovengenoemde punten. Er wordt verwacht dat als er meer tijd overblijft voor zorg, de knelpunten in de praktijkwerkzaamheden beter te overzien zijn en daardoor als minder relevant worden ervaren.

Betere samenwerking tussen alle betrokken partijen wordt als een van de belangrijkste punten aangegeven. Hierin worden echter nog veel problemen ervaren. In de zorginstelling zelf wordt te weinig samengewerkt tussen verschillende disciplines. Daarbij is de afbakening van wat welke specialisme doet onduidelijk, waardoor de zorg niet altijd goed is afgestemd. De samenwerking van ziekenhuizen met andere zorginstellingen kan ook verbeterd worden. De informatie overdracht van ziekenhuis naar thuiszorg en tussen de wijkverpleegkundige en de huisarts is niet optimaal.



---

# Financiering van en specialisering in medisch onderzoek

Verkennde studie

---

**Rathenau instituut**

Barend van der Meulen  
Edwin Horlings





# Financiering van en specialisering in medisch onderzoek

## Verkennde studie

Juni 2010

Barend van der Meulen en Edwin Horlings



# Financiering van en specialisering in medisch onderzoek

Verkenkende studie

Barend van der Meulen en Edwin Horlings

**Bestuur van het Rathenau Instituut**

drs. W.G. van Velzen (voorzitter)

mw. prof.dr. C.D. Dijkstra

mw. dr. A. Esmeijer

prof.dr. H.W. Lintsen

mw. prof.dr. H. Maassen van den Brink

mw. prof.mr. J.E.J. Prins

prof.dr. H.A.A. Verbon

prof.dr. A. Zuurmond

mr.drs. J. Staman (secretaris)

Financiering van en specialisering in medisch onderzoek

Barend van der Meulen en Edwin Horlings

Rathenau Instituut  
Anna van Saksenlaan 51  
Postadres:  
Postbus 95366  
2509 CJ Den Haag  
Telefoon: 070-342 15 42  
Telefax: 070-363 34 88  
E-mail: [info@rathenau.nl](mailto:info@rathenau.nl)  
Website: [www.rathenau.nl](http://www.rathenau.nl)  
Uitgever: Rathenau Instituut

Bij voorkeur citeren als:

Barend van der Meulen/Edwin Horlings, Financiering van en specialisering in medisch onderzoek –  
Verkennde studie. Den Haag, Rathenau Instituut SciSA rapport ...

© Rathenau Instituut 2010

Verveelvoudigen en/of openbaarmaking van (delen van) dit werk voor creatieve, persoonlijke of educatieve doeleinden is toegestaan, mits kopieën niet gemaakt of gebruikt worden voor commerciële doeleinden en onder voorwaarde dat de kopieën de volledige bovenstaande referentie bevatten. In alle andere gevallen mag niets uit deze uitgave worden verveelvoudigd en/of openbaar gemaakt door middel van druk, fotokopie of op welke wijze dan ook, zonder voorafgaande schriftelijke toestemming.

# Inhoudsopgave

Inleiding .....	6
1 Vijfendertig jaar overheids-financiering van medisch onderzoek.....	7
2 Output: specialisatie en relatieve sterktes in onderzoeksoutput.....	11
2.3 Relatieve sterktes in het medisch onderzoek .....	13
2.3 Specialisatie in het medisch onderzoek.....	16
3 Discussie en conclusies .....	23
Bijlage 1 Financiering van onderzoek: korte toelichting op keuzes. ....	24
Bijlage 2 Basisdata medische output .....	26
2.1 Basisdata per onderzoeksgebied in het medische domein, 1993-2008 .....	26
2.2 Ranking van het aandeel van onderzoeksgebieden in de totale medische output van Nederland, 1993-2008 .....	28
2.3 Ranking van de RSCA van medische onderzoeksgebieden, 1993-2008.....	30

# Inleiding

Het ministerie van VWS heeft de RGO gevraagd om te adviseren over een onderzoeksagenda medische producten. Een belangrijke subvraag daarin gaat over de legitimering van overheidsfinanciering daarvoor. Kort gezegd: leidt de financiering van medisch onderzoek tot verbetering van de volksgezondheid en zorg, waarmee overheidsfinanciering gelegitimeerd kan worden. Een interessante vraag. Een interessante vraag. Recent werd naar aanleiding van de dertig jarige verjaardag van de ontdekking van het gendefect voor taaislijmziekte door de ontdekker gesteld dat de wetenschap meer aan de ziekte heeft gehad, dan de ziekte aan de wetenschap. De aanzienlijke gezondheidswinst die in de afgelopen jaren is geboekt bij CF patiënten (zowel in termen van kwaliteit van leven als levensduur) is niet te danken aan therapieën op basis van de genetische kennis, maar door verbetering van de zorg voor deze patiënten.

De RGO heeft het Rathenau Instituut / afdeling Science System Assessment gevraagd:

- Een overzicht te maken van de financiering van medisch onderzoek en de mate van sturing;
- Een overzicht te maken van de wetenschappelijke opbrengsten voor de verschillende medische onderzoeks gebieden.

In deze verkennende studie wordt een analyse gemaakt van de overheidsfinanciering voor medisch onderzoek. Deze analyse is gebaseerd op een eerdere studie naar dertig jaar publieke onderzoeksfinanciering in Nederland en een aanvullende analyse voor de jaren 2005-2009. Daarnaast worden resultaten gepresenteerd van een studie naar de specialisatie van Nederland, waarin het mogelijk is om verschillende deelgebieden van het medisch onderzoek te onderscheiden.



# 1 Vijfendertig jaar overheidsfinanciering van medisch onderzoek

De overheid financiert onderzoek om vier redenen:

1. Vanuit haar verantwoordelijkheid voor fundamenteel wetenschappelijk onderzoek als publiek goed. Een voorbeeld hiervan is de financiering voor instituten voor fundamenteel wetenschappelijk onderzoek en voor internationale wetenschappelijke programma's.
2. Vanuit haar verantwoordelijkheid voor wetenschappelijk onderwijs, gevoed door wetenschappelijk onderzoek. Vanuit deze verantwoordelijkheid ontvangen universiteiten in hun lumpsum een bijdrage bestemd wetenschappelijk onderzoek ("de eerste geldstroom").
3. Vanuit haar verantwoordelijkheid voor publieke doelen als milieu, gezondheid, veiligheid, en ter ondersteuning van daarbij behorende partijen. Dit blijkt onder meer uit de financiering van TNO, KNMI, GTIs, voor doelgerichte onderzoeksprogramma's en de innovatiegericht onderzoek.
4. Ter ondersteuning van het eigen beleid, waarvoor sommige ministeries eigen onderzoeksinstituten hebben zoals het RIVM en het WODC, en contractonderzoek financieren.

De doelen sluiten elkaar niet uit, en vaak dragen uitgaven gelegitimeerd vanuit een van de verantwoordelijkheden bij aan andere doelen. In relatie tot het medisch onderzoek en de gezondheidszorg komen we alle vier de redenen tegen. "Volksgezondheid" en een "goed functionerend zorgstelsel" liggen voor de hand als algemene publieke doelen. Maar als afgeleide hiervan kunnen "goed medisch onderzoek", "onderzoek naar veel voorkomende aandoeningen", "onderzoek naar ziekte met een zware ziektelast" ook als publieke doelen worden geformuleerd. Voor een goede academische opleiding van medici is goed medisch onderzoek in de breedte nodig.

In een rapport over dertig jaar onderzoeksfinanciering hebben we zeven financieringsvormen onderscheiden, exclusief financiering van internationaal onderzoek en Europese financiering. (Tabel 1) De financieringsvormen verschillen in of het gaat om projectfinanciering en basisfinanciering, of de financiering doelgericht is of vrij van oormerking, en de omvang van de financiering. (Zie tabel 1) De financieringsvormen verschillen ook in de mate waarin de overheid een koppeling kan maken met publieke doelen. Het creëren van onderzoekscapaciteit vereist langdurige financiering, meestal in de vorm van basisfinanciering, waarbij wel globale afspraken gemaakt kunnen worden over de besteding. Het versterken van competitie tussen onderzoekers om kwaliteit te verhogen, of om ze te prikkelen het onderzoek op bepaalde thema's te richten vereist een projectvorm, en kleinschaliger financiering. Consortia zijn een recente financieringsvorm, waarbij onderzoeksinstellingen zich organiseren rond een bepaald thema en groot bedrag krijgen voor een beperkte periode.

	Financieringsvorm	Aard	Missie	Omvang
1	Contractonderzoek	Project	Doelgericht	Kleinschalig
2	Open competitie	Project	Vrij	Kleinschalig
3	Thematische competitie	Project	Doelgericht	Kleinschalig
4	Consortia	Project	Doelgericht	Grootschalig
5	Doelgerichte basisfinanciering	Basis	Doelgericht	Grootschalig
6	Infrastructuur en apparatuur	Basis	Doelgericht	Divers
7	Vrije basisfinanciering	Basis	Vrij	Grootschalig

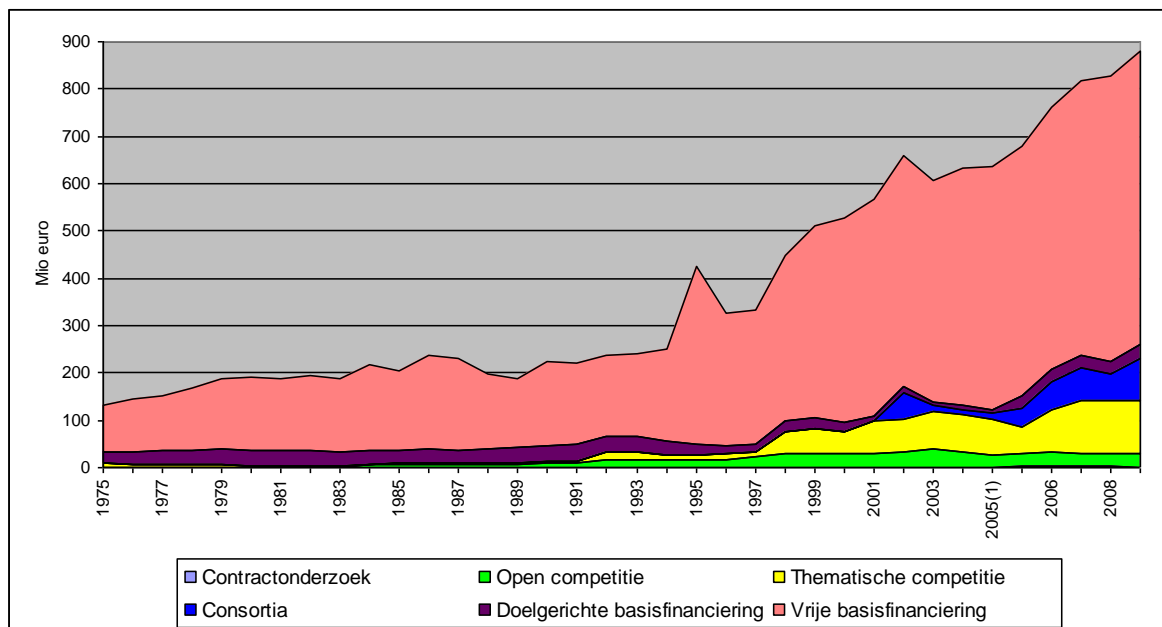
Tabel 1 Financieringsvormen wetenschappelijk onderzoek

In 2007 heeft het Rathenau Instituut een studie gepubliceerd over 30 jaar publieke financiering van onderzoek, op basis van een analyse van de TOF cijfers (Totale Onderzoeks Financiering) over 1975 tot 2005.<sup>1</sup> De TOF cijfers worden elk jaar door het ministerie van OCW gepubliceerd en geven de totale uitgaven voor onderzoek van alle ministeries. Voor deze verkennende notitie zijn de uitgaven voor medisch onderzoek door OCW en de uitgaven van VWS gericht op gezondheidszorg eruit gelicht. Voor de periode 2005-2009 zijn ook de TOF cijfers voor deze jaren gebruikt. Deze TOF cijfers zijn minder gedetailleerd dan de eerdere TOF cijfers, maar daarin wordt wel beter aangesloten bij bovenstaande onderverdeling. In deze cijfers zijn verder de uitgaven voor BSIK, FES en andere grotere programma's opgenomen zoals opgenomen in het WTI 2010 rapport.<sup>2</sup> Voor de uitlichting van het medisch onderzoek zijn keuzes gemaakt, bijvoorbeeld over het aandeel medisch onderzoek in de universitaire financiering. Een toelichting op de verwerking van de gegevens en de gemaakte gegevens wordt gegeven in appendix 1.

Figuur 1 geeft de resultaten van de analyses. Voor het jaar 2005 worden twee resultaten gegeven. Die op basis van de database van de publicatie 30 jaar onderzoeksfinanciering -2005(1)-, en die van de analyse van TOF cijfers voor 2005-2009 - 2005(2).

Figuur 2 geeft ook de resultaten van de ontwikkeling van verschillende financieringsvormen, maar als percentage van het BBP.

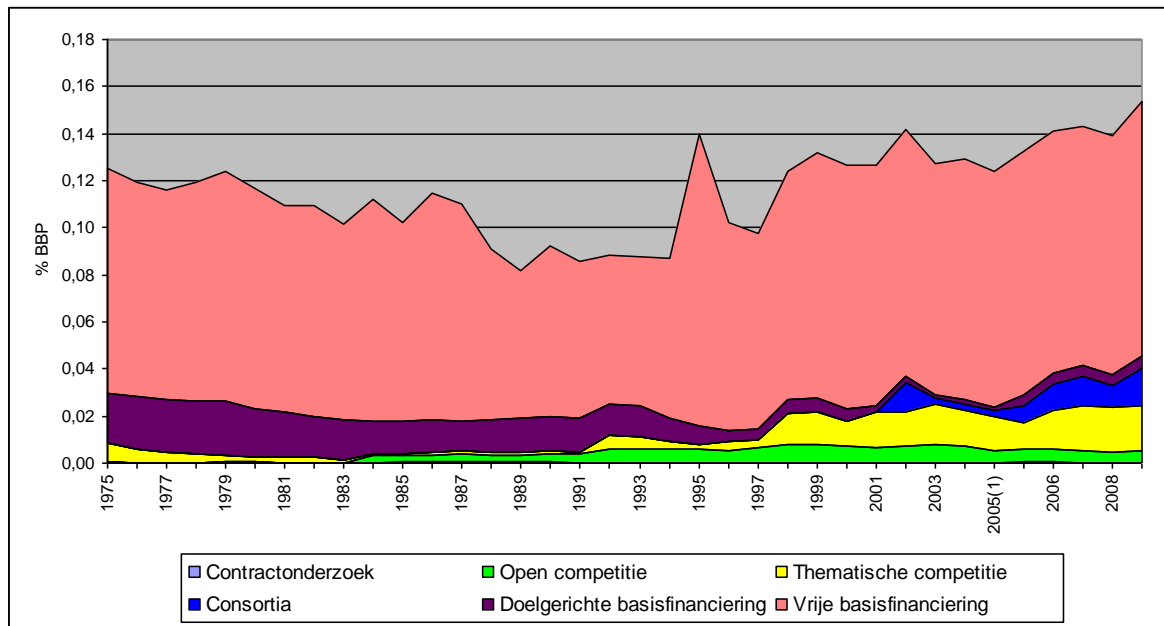
Het meeste overheidsgeld voor medisch onderzoek wordt gealloceerd via de lumpsum voor de universiteiten. De ontwikkeling van dit budget laat een opmerkelijke stijging zien vanaf 1995, als het bedrag voor de Academische Ziekenhuizen toegevoegd wordt aan het budget van OCW. Wellicht moet het bedrag hierop gecorrigeerd worden. Voor de periode 2005(2)-2009 is een schatting gemaakt van de toewijzing van het budget voor medische wetenschappen, op basis van de toewijzing in de TOF voor 2005(1). In de periode 2006-2009 wordt in de TOF cijfers geen onderscheid meer gemaakt naar wetenschapsgebied voor wat betreft de universitaire eerste geldstroom.



Figuur 1 Financieringsvormen voor medisch onderzoek 1975-2009 in Mio Euro

<sup>1</sup> Versleijen et al. 2007, Dertig jaar publieke onderzoeksfinanciering in Nederland 1975-2005, Rathenau Instituut, Den Haag.

<sup>2</sup> Nederlands Observatorium van Wetenschap en Technologie, 2010, Wetenschaps en Technologiëndicatoren 2010, Den Haag; Ministerie van Onderwijs, Cultuur en Wetenschappen.

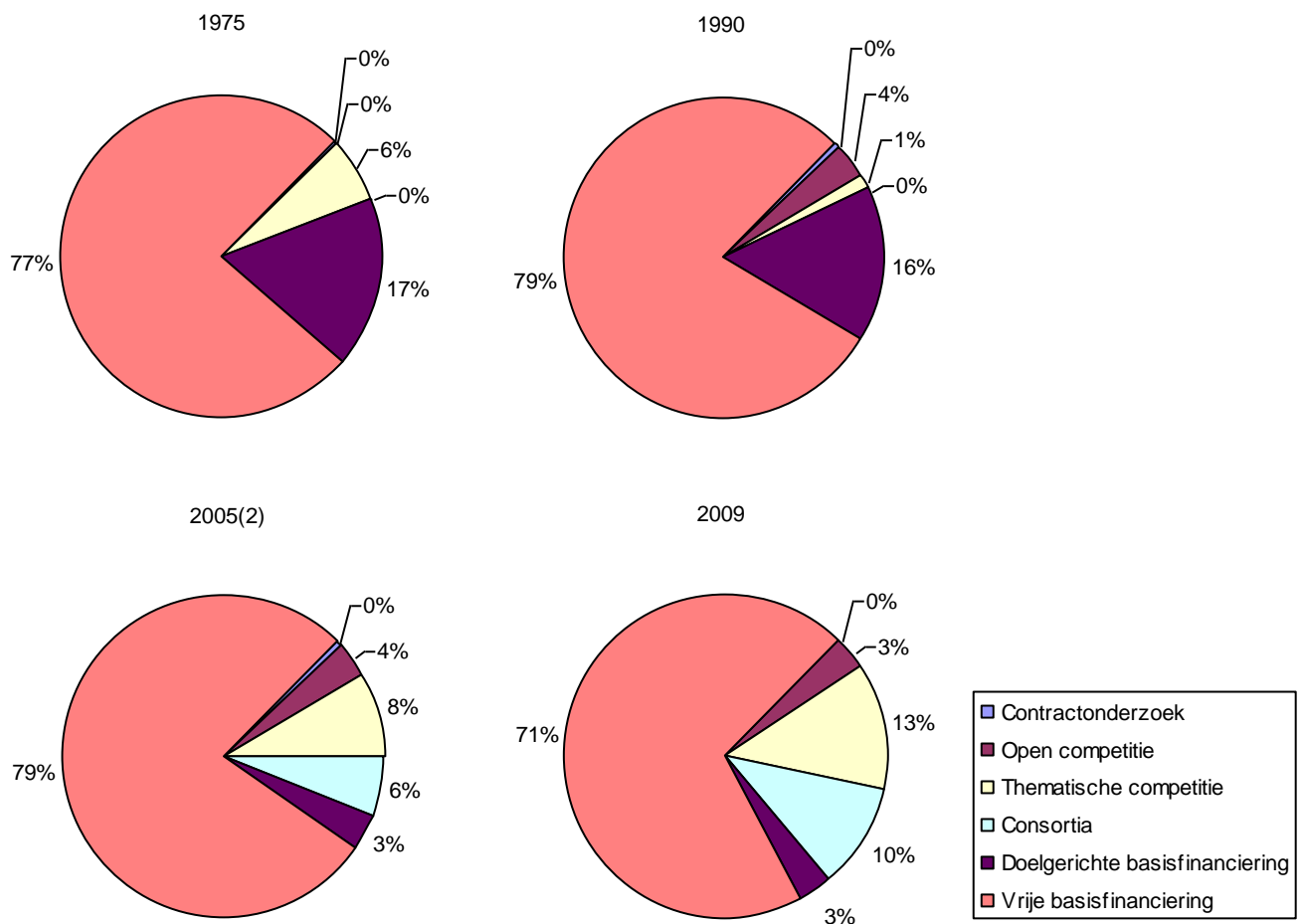


Figuur 2 Financieringsvormen voor medisch onderzoek 1975-2009 als percentage BBP

De piek in 2002 is een gevolg van uitgaven voor het Genomics regieorgaan die in dat jaar geboekt zijn (en waarschijnlijk in de jaren daarna geleidelijk zijn uitgegeven). Voor de periode 2005-2009 zijn de cijfers voor de consortiafinanciering gebaseerd op de jaarlijkse FES/BSIK uitgaven. Op basis van het aandeel in toewijzingen voor het gebied Health and Life Sciences in de periode 2004-2008 is het aandeel medisch onderzoek in de FES/BSIK uitgaven geschat op 30%. Deze vorm van financiering neemt in de afgelopen tien jaar flink toe, met de daarbij behorende mogelijkheid om te sturen op een aantal specifieke onderzoeksgebieden en zwaartepunten.

Opvallende is dat er nauwelijks sprake is van contractonderzoek. Voor wat betreft de thematische sturing gebeurt deze in eerdere jaren vooral via doelgerichte basisfinanciering en in latere jaren vooral via thematische competitie. Deze laatste stijgt in 1992 vooral door een programma voor aidsonderzoek en eind jaren negentig neemt deze weer flink toe, via het budget voor "projecten, experimenten en onderzoek". De doelgerichte basisfinanciering (voor RIVM en TNO) neemt in de loop van de jaren af. Het lijkt er op dat het budget voor deze organisaties onder andere begrotingsartikelen is verdwenen.

Figuur 3 geeft de relatieve omvang van de verschillende financieringsvormen, voor 1975, 1990, 2005 en 2009. In 1975 zijn er drie financieringsvormen: vrije basisfinanciering, doelgerichte basisfinanciering en thematische competitie. In 1990 is de open competitie gegroeid naar 4% en de thematische competitie relatief afgenomen. In 2005 is er weer sprake van een toename van de thematische competitie, ten koste van de doelgerichte basisfinanciering. In 2009 is de vrije basisfinanciering relatief gedaald tot 71%. Daarnaast wordt het geld vooral gealloceerd via thematische competities (waarin ZonMw een belangrijke rol speelt) en de thematische consortia.



Figuur 3 Omvang van de verschillende financieringsvormen voor 1975, 1990, 2005 en 2009

Het algemene beeld dat hier uit naar voren komt is dat het medisch onderzoek, voor zover door de overheid gefinancierd, lange tijd vrijwel niet gestuurd werd en onderzoeksorganisaties een grote mate van bestedingsvrijheid hebben. Er zijn twee manieren van sturing op het intermediaire niveau. Eén via thematische competitie, waar ZonMw voor verantwoordelijk is. De omvang hiervan is gegroeid tot ongeveer 12-13% van de totale financiering. En één via de consortia, welke een eigen uitvoeringssystematiek kennen en waarbij de mate van sturing afhangt van de organisatie en het functioneren van het consortium. De omvang hiervan is toegenomen tot 10% van de totale financiering. Gezien de sterke ontwikkeling in universitair medische centra richting prioriteitsstelling, zwaartepuntvorming en onderlinge afstemming, is binnen de onderzoeksorganisaties de sturing ook toegenomen.

## 2 Output: specialisatie en relatieve sterktes in onderzoeksoutput

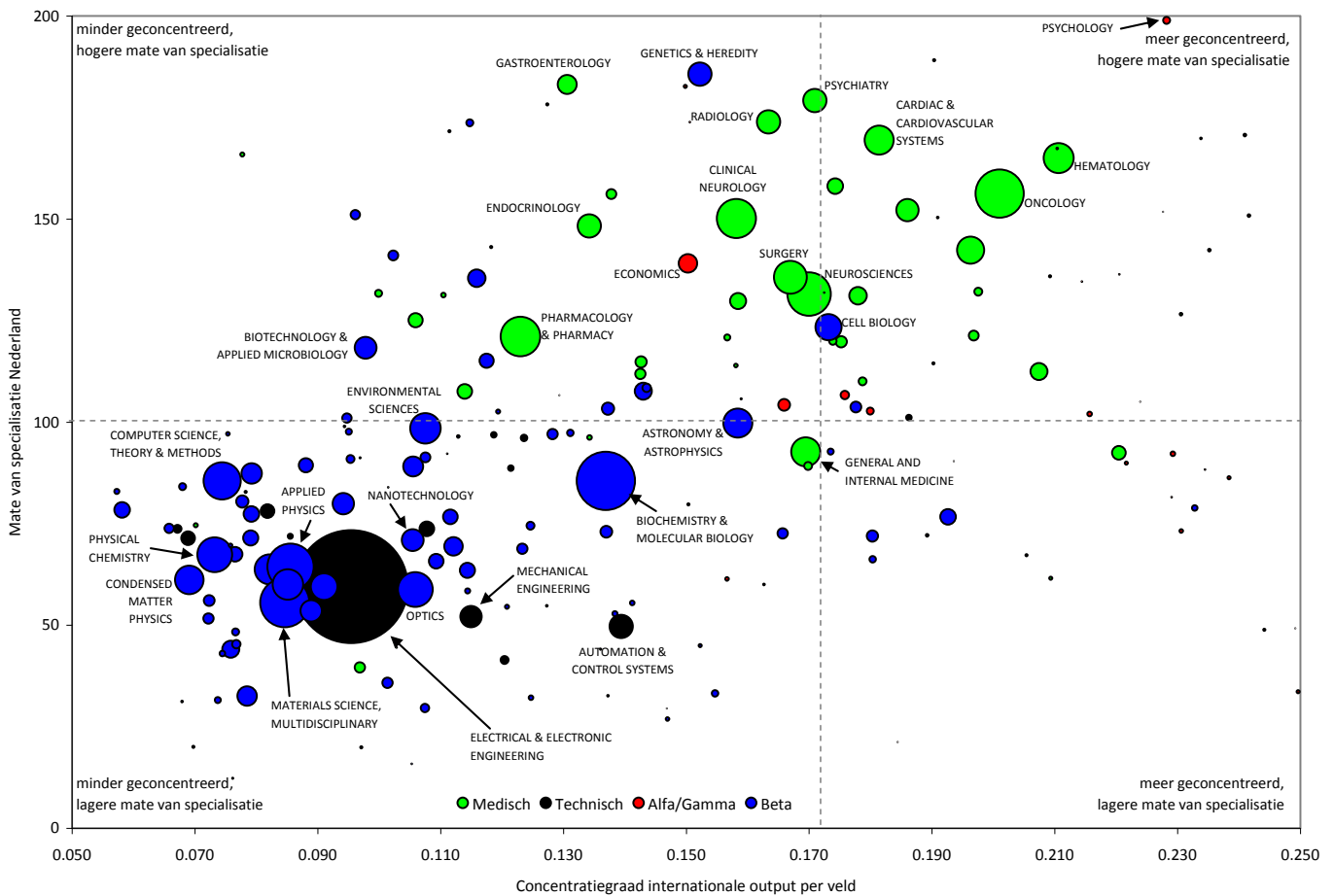
Het is lastig om de financiering van onderzoek onder te verdelen naar verschillende gebieden binnen de medische wetenschap. Daarvoor zouden bestedingsgegevens van de onderzoeksorganisaties uitgesplitst moeten worden. Voor de wetenschappelijke output kan dit wel, omdat deze meestal in gespecialiseerde tijdschriften verschijnt. Door de gehele Nederlandse onderzoeksoutput onder te verdelen naar gebieden ontstaat er een idee waar de relatieve sterktes liggen in het Nederlands onderzoek: dat wil zeggen in welke gebieden meer en in welke gebieden minder gepubliceerd wordt. Dit beeld kan in internationaal perspectief geplaatst worden, door:

- deze verdeling te vergelijken met andere landen, en een relatieve specialisatiegraad te berekenen;
- te kijken naar de grote van de gebieden in termen van totale output en te zien of de Nederlandse specialisaties ook internationaal groot zijn;
- te kijken in welke mate het onderzoek verspreid is over veel landen (overal een specialiteit) of zich concentreert in een beperkt aantal landen.

Figuur 4 geeft het resultaat van een dergelijke analyse, ontleend aan een recente publicatie over de effecten van het streven naar “focus en massa” in het wetenschapsbeleid en het innovatiebeleid. Het laat zien dat Nederland sterk gespecialiseerd is in klinisch-medische wetenschappen, gezondheidswetenschappen en de biomedische wetenschappen. De klinisch-medische wetenschappen vormen een grote output categorie: in 2008 was hierin meer dan 28% van de Nederlandse wetenschappelijke output te vinden.

De mate van specialisatie op de y-as is berekend als de revealed comparative advantage (RCA). De meest gebruikte index is die van Balassa (1965). De Balassa Index wordt berekend door het aandeel van een ‘subject area’ of discipline in de wetenschappelijke output van een land te delen door het aandeel van die ‘subject area’ of discipline in totale wereldoutput. Als de index hoger is dan 100, is een land sterker gespecialiseerd in dat product dan de rest van de wereld en heeft het ogenschijnlijk een comparatief voordeel. In formule, de RCA is gelijk aan het aandeel van specialisatie  $i$  in de totale output  $Y$  van land  $n$  gedeeld door het aandeel van specialisatie  $i$  in de totale output  $Y$  van de hele wereld  $w$ .

$$RCA = \frac{Y_i^n / Y^n}{Y_i^w / Y^w} \times 100$$



Figuur 4 Specialisatie van de Nederlandse wetenschap in internationaal perspectief.

Toelichting: De omvang van de cirkel wordt bepaald door de wereldwijde hoeveelheid output in een veld. Een specialisatiegraad van meer dan 100 wil zeggen dat Nederland meer dan het wereldgemiddelde is gespecialiseerd in een veld. De concentratiegraad geeft een indicatie van de mate van concurrentie in een veld: hoge concentratiegraad=weinig landen actief, lage concentratiegraad=veel landen actief

De x-as geeft de concentratie graad berekend als Herfindahl-Hirschman Index (HHI) De HHI wordt gebruikt als maatstaf voor de mate van concurrentie in markten. Als een paar grote bedrijven de markt beheersen is de HHI hoog; als veel kleine bedrijven elk een bescheiden marktaandeel hebben is de HHI laag. Mutatis mutandis geldt dit voor de concentratiegraad van velden. In formule, als we N landen hebben die onderzoek doen in een veld en het aandeel in de output van land i is  $s_i$ , dan is de HHI index:

$$H = \sum_{i=1}^N s_i^2$$

De locatie op de x-as van een gebied is dus het resultaat van investeringsbeslissingen van veel verschillende landen, en niet een direct gevolg van keuzes van één land.

## 2.3 Relatieve sterktes in het medisch onderzoek

De Raad voor Gezondheidsonderzoek (RGO) heeft het Rathenau Instituut gevraagd om de resultaten van het onderzoek naar de effecten van het beleid van meer gedetailleerd uit te werken voor de medische onderzoeksgebieden. We kijken naar de ontwikkeling van de medische onderzoeksgebieden vanuit twee perspectieven, namelijk ontwikkelingen binnen Nederland en veranderingen in de positie van het Nederlandse onderzoek in de wereld.

De data zijn onttrokken aan de Web of Science (WoS) van Thomson Reuters. Deze database geeft een goede dekking van publicaties in medische onderzoeksgebieden. Voor ieder land hebben we eerst de totale set van wetenschappelijke publicaties gezocht en vervolgens de analysefunctie van het WoS gebruikt om de verdeling van deze publicaties over de verschillende onderzoeksgebieden ('subject areas') te vinden. De dataset omvat de wetenschappelijke output van 205 landen, verdeeld over 246 onderzoeksgebieden in drie peiljaren, namelijk 1993, 2000 en 2008.<sup>3</sup>

Allereerst hebben we de relatieve groei van de diverse onderzoeksgebieden onderzocht voor de periode 1992-2000 en voor de periode 2000-2008. De medische onderzoeksgebieden zijn verdeeld langs twee dimensies: (1) de ontwikkeling van hun relatieve aandeel in deze periodes en (2) de omvang van het gebied aan het einde van de periode. Tabellen 2 en 3 geven de resultaten.

De focus van het medische onderzoek ligt in 2008 bij *Oncology*, *Clinical Neurology*, *Neurosciences* en *Hematology*. Het gebied *Cardiac & Cardiovascular Systems* is nog altijd relatief groot, maar is stabiel geworden. *Psychiatry* wordt steeds groter en zal over enkele jaren tot de grootste velden in het bovenste kwadrant gaan horen. *Rheumatology* is veranderd van een klein, dalend gebied in een middelgroot, groeiend gebied. Tenslotte valt op dat *Immunology* en *Peripheral Vascular Disease* –twee grote onderzoeksgebieden–in aandeel achteruitgaan zijn.

<sup>3</sup> Publicatie geschreven door twee (of meer) auteurs uit verschillende landen worden voor beide landen geteld als één publicatie. Een publicatie die onder twee (of meer) onderzoeksgebieden is geclassificeerd (bijvoorbeeld, in Allergy en in Immunology) is in ieder onderzoeksgebied als één publicatie geteld. De som van de publicaties per onderzoeksgebied is dus hoger dan de eigenlijke totale wetenschappelijke output van een land.

	Groei	Stabiel	Relatieve krimp
<b>Groot &gt;5%</b>	cardiac & cardiovascular systems (6.2)	oncology (5.7) neurosciences (5.6) hematology (5.5)	
<b>Midden</b>	peripheral vascular disease (4.4) clinical neurology (4.3) gastroenterology & hepatology (3.9) psychiatry (3.6) infectious diseases (2.4)  public, environmental &	radiology, nuclear medicine & medical imaging (3.4) endocrinology & metabolism (3.3) pediatrics (2.3) obstetrics & gynecology (2.1) urology & nephrology (2.0) respiratory system (1.5) occupational health (2.9)  Pathology	immunology (4.6) surgery (4.3) pharmacology & pharmacy (4.2) medicine, general & internal (3.3) medicine, research & experimental (2.1) physiology (1.6) toxicology (1.5) dentistry, oral surgery & medicine (1.4) ophthalmology (1.3) (1.6)
<b>Klein &lt;1.3%</b>	rehabilitation (1.2) health care sciences & services (1.1) critical care medicine (0.9) geriatrics & gerontology (0.6) gerontology (0.3) substance abuse (0.2) medical ethics (0.1)  health policy neuro- nursing	nutrition & dietetics (1.3) transplantation (1.2) orthopedics (0.9) sport sciences (0.9) anesthesiology (0.7) allergy (0.6) tropical medicine (0.5) parasitology (0.4) chemistry, medicinal (0.4) emergency medicine (0.1) integrative & complementary medicine (0.0) & services (0.4) imaging (0.1) (0.2)  otorhinolaryng- andology	rheumatology (1.1) dermatology (1.0) anatomy & morphology (0.2)           ology (0.7) (0.0)

Opmerkingen: De ontwikkeling van het relatieve aandeel werd stapsgewijs beoordeeld, namelijk aan de hand van het aandeel in 2000 en het gemiddelde aandeel in 1997-2000, 1992-2000 en 1982-2000. Rheumatology onderging relatieve krimp in 1992-2000 na een aantal jaren van relatieve groei. Integrative & Complementary Medicine is stabiel op de lange termijn stabiel, maar tijdens 1992-2000 was sprake van relatieve daling gevolgd door een stijging naar het niveau van 1992. Urology & Nephrology bleef op de lange termijn min of meer op hetzelfde niveau, maar in 1992-1995 was sprake van relatieve stijging en in 1995-2000 van relatieve krimp.

Tabel 2. Veranderingen in relatieve aandelen in de Nederlandse wetenschappelijke output in medische en gezondheidswetenschappen naar omvang van de gebieden, 1992-2000



	Groei	Stabiel	Relatieve krimp
<b>Groot &gt;5%</b>	oncology (6.4) clinical neurology (5.7)	neurosciences (5.6) hematology (5.5)	
<b>Midden</b>	psychiatry (4.1) endocrinology & metabolism (3.6) rheumatology (2.3) obstetrics & gynecology (2.2) health care sciences & services (1.6) transplantation (1.4) rehabilitation (1.3)	cardiac & cardiovascular systems (4.9) pharmacology & pharmacy (4.5) surgery (4.3) public, environmental & occupational health (3.1) gastroenterology & hepatology (2.7) pediatrics (2.0) urology & nephrology (2.0) medicine, research & experimental (1.8) infectious diseases (1.8) physiology (1.5) nutrition & dietetics (1.4) respiratory system (1.3) pathology (1.3)	immunology (4.3) peripheral vascular disease (3.6) radiology, nuclear medicine & medical imaging (3.1) medicine, general & internal (2.7) toxicology (1.3)
<b>Klein &lt;1.3%</b>	orthopedics (1.1) health policy & services (1.0) allergy (0.7) neuroimaging (0.4) nursing (0.4) emergency medicine (0.2) integrative & complementary medicine (0.1) andrology (0.1)	dermatology (1.2) critical care medicine (0.9) geriatrics & gerontology (0.6) gerontology (0.6) anesthesiology (0.6) chemistry, medicinal (0.4) tropical medicine (0.4) parasitology (0.4) substance abuse (0.2) anatomy & morphology (0.1) medical ethics (0.1) sport sciences (1.0)	ophthalmology (0.7) otorhinolaryngology (0.5)

Opmerkingen: De ontwikkeling van het relatieve aandeel werd stapsgewijs beoordeeld, namelijk aan de hand van het aandeel in 2008 en het gemiddelde aandeel in 2005-2008, 2002-2008 en 1990-2008. Immunology en General and Internal Medicine daalde relatief op de lange termijn, maar in de laatste paar jaar was sprake van relatieve groei. Rheumatology volgde een omgekeerd patroon, met relatieve groei sinds 2000 maar relatieve krimp in de laatste jaren. Pathology daalt relatief op de lange termijn, maar beleefde in het begin van de jaren 2000 een korte opleving. Geriatrics & Gerontology is lange tijd relatief gegroeid, maar onderging in de laatste jaren relatieve krimp.

Tabel 3. Veranderingen in relatieve aandelen in de Nederlandse wetenschappelijke output in medische en gezondheidswetenschappen naar omvang van de gebieden, 2000-2008

In tabel 4 zijn de grootste medische onderzoeksgebieden op een rij gezet. Het gezamenlijk aandeel in de totale medische output bedraagt ongeveer 58%. Vooral opvallend zijn de opkomst van *Clinical Neurology*, *Psychiatry* en *Neurosciences*, en de relatieve daling van *Immunology* en *Peripheral Vascular Disease*.

Onderzoeksgebied	1993	2000	2008
Oncology	3	2	1
Clinical Neurology	11	8	2
Neurosciences	7	3	3
Hematology	1	4	4
Cardiac & Cardiovascular Systems	6	1	5
Pharmacology & Pharmacy	4	9	6
Immunology	2	5	7
Surgery	8	7	8
Psychiatry	23	11	9
Endocrinology & Metabolism	10	14	10
Peripheral Vascular Disease	5	6	11
Gastroenterology & Hepatology	13	10	14
Medicine, General & Internal	9	13	15

Opmerking: Elf onderzoeksgebieden kwamen in tenminste een jaar voor in de top 11.

De gebieden die in de andere jaren in de top 11 voorkwamen zijn aan de tabel toegevoegd.

Tabel 4. Onderzoeksgebieden met het grootste aandeel in de Nederlandse medische output, 1993-2008

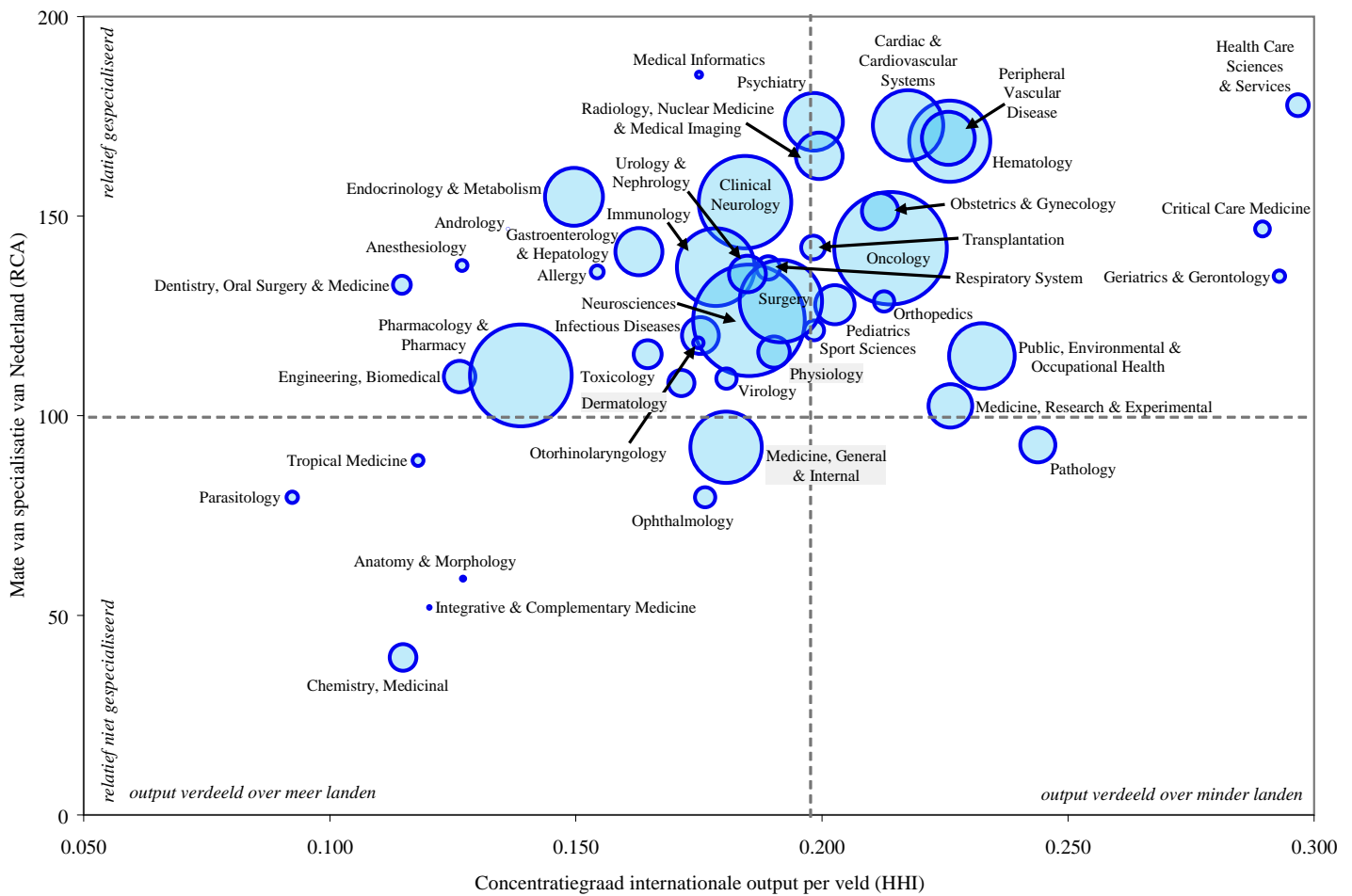
## 2.3 Specialisatie in het medisch onderzoek

De mate van specialisatie in een onderzoeksgebied wordt berekend aan de hand van het concept van *revealed comparative advantage* dat wordt gebruikt in onderzoek naar nationale specialisatiepatronen in de internationale handel. Revealed comparative advantage (RCA) wordt berekend door het aandeel van een onderzoeksgebied in de totale wetenschappelijke output van een land te delen door het aandeel van dat gebied in de totale wetenschappelijke output van de hele wereld (Balassa 1965). Als de index groter is dan 1, is het land relatief gespecialiseerd in het onderzoeksgebied; bij een index kleiner dan 1 is het land er relatief niet in gespecialiseerd. In formule:

$$RCA_i^c = \frac{\left( \frac{Y_i^c}{\sum Y^c} \right)}{\left( \frac{Y_i^w}{\sum Y^w} \right)}$$

waar  $Y$  staat voor output,  $c$  voor het land en  $w$  voor de wereld,  $i$  geeft het onderzoeksgebied aan, en  $RCA_i^c$  is het revealed comparative advantage van land  $c$  in onderzoeksgebied  $i$ . De RCA zegt alleen iets over de verdeling van output over gebieden, dus over kwantiteit en niet over kwaliteit.

Figuur 5 geeft een uitsnede van figuur 4. Hierin zijn alleen de medische onderzoeksgebieden opgenomen en is van ieder gebied de benaming toegevoegd.



Figuur 5. Specialisatiegraad, mate van concentratie in het veld en omvang van de wereldwijde output, 2008

Toelichting: De omvang van de cirkel geeft de omvang van de wereldwijde output aan

Een probleem bij de interpretatie van de RCA is dat de index niet symmetrisch is. De index kan nooit lager zijn dan nul (wanneer een land geen output produceert in een veld), maar kan zeer hoge waarden bereiken (wanneer vrijwel alle output van een land in een enkel gebied is geconcentreerd dat internationaal zeer klein is). Om die asymmetrie op te lossen, hebben we in deze notitie de RCA genormaliseerd naar waarden tussen +1 en -1 om te komen tot een Revealed Symmetric Comparative Advantage of RSCA (Laursen 2000):

$$RSCA_i^c = \frac{RCA_i^c - 1}{RCA_i^c + 1} \quad (5)$$

Tabel 5 presenteert de mate van specialisatie van de grootste onderzoeksgebieden die in tabellen 1 en 2 werden geïdentificeerd. Hieruit kunnen we opmaken dat Nederland sinds 1993 vooral sterker gespecialiseerd is geworden in *Clinical Neurology*, *Neurosciences*, *Psychiatry*, *Cardiac & Cardiovascular Systems*, *Pharmacology & Pharmacy*, *Endocrinology & Metabolism* en *Gastroenterology & Hepatology*.

	1993	2000	2008
Oncology	0.18	0.19	0.19
Clinical Neurology	0.08	0.15	0.23
Neurosciences	-0.07	0.02	0.12
Hematology	0.26	0.18	0.27
Cardiac & Cardiovascular Systems	0.18	0.23	0.28
Pharmacology & Pharmacy	-0.01	0.01	0.07
Immunology	0.14	0.07	0.17
Surgery	0.04	0.05	0.14
Psychiatry	-0.13	0.19	0.29
Endocrinology & Metabolism	0.09	0.11	0.23
Peripheral Vascular Disease	0.27	0.23	0.27
Gastroenterology & Hepatology	0.05	0.13	0.19
Medicine, General & Internal	-0.16	-0.09	-0.02

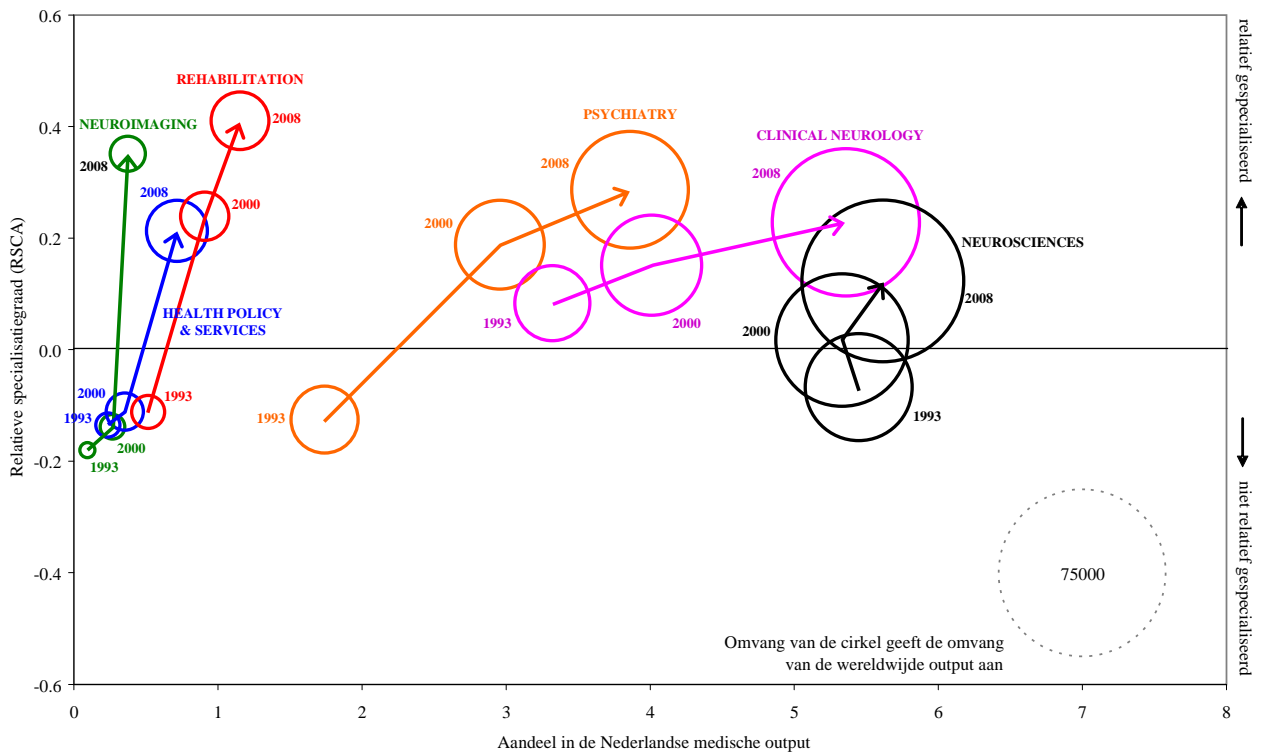
Tabel 5. Mate van specialisatie (RSCA) van de grootste onderzoeksgebieden, 1993-2008

In tabel 6 staan de onderzoeksgebieden met de hoogste specialisatiegraad, maar die een kleiner aandeel hadden dan de grote velden in tabel 4. Het aandeel van deze kleinere velden in de output van medisch onderzoek stijgt voortdurend: van bijna 10% in 1993 naar meer dan 14% in 2008. Het meest gespecialiseerde veld Het meest opvallende veld is *Rheumatology*: het aandeel in de medische output gaat van 1.5% naar 2.3% en vooral in de laatste jaren is het de sterkste specialisatie. Een opvallende ontwikkeling zien we bij *Neuroimaging* en *Rehabilitation*: van velden waarin Nederland niet gespecialiseerd was, hebben deze zich in relatieve korte tijd ontwikkeld tot specialisatiegebieden – zelfs binnen het medische domein. Ook *Health Policy & Services*, *Andrology* en *Critical Care Medicine* hebben zich ontwikkeld tot specialisatiegebieden.

Onderzoeksgebied	1993	2000	2008
Rheumatology	0.23	0.38	0.43
Rehabilitation	-0.11	0.24	0.41
Neuroimaging	-0.18	-0.14	0.35
Health Care Sciences & Services	0.27	0.20	0.30
Radiology, Nuclear Medicine & Medical Imaging	0.06	0.18	0.26
Obstetrics & Gynecology	0.13	0.22	0.22
Nutrition & Dietetics	0.23	0.09	0.22
Health Policy & Services	-0.14	-0.11	0.21
Andrology	-0.11	-0.21	0.21
Critical Care Medicine	-0.06	0.11	0.21

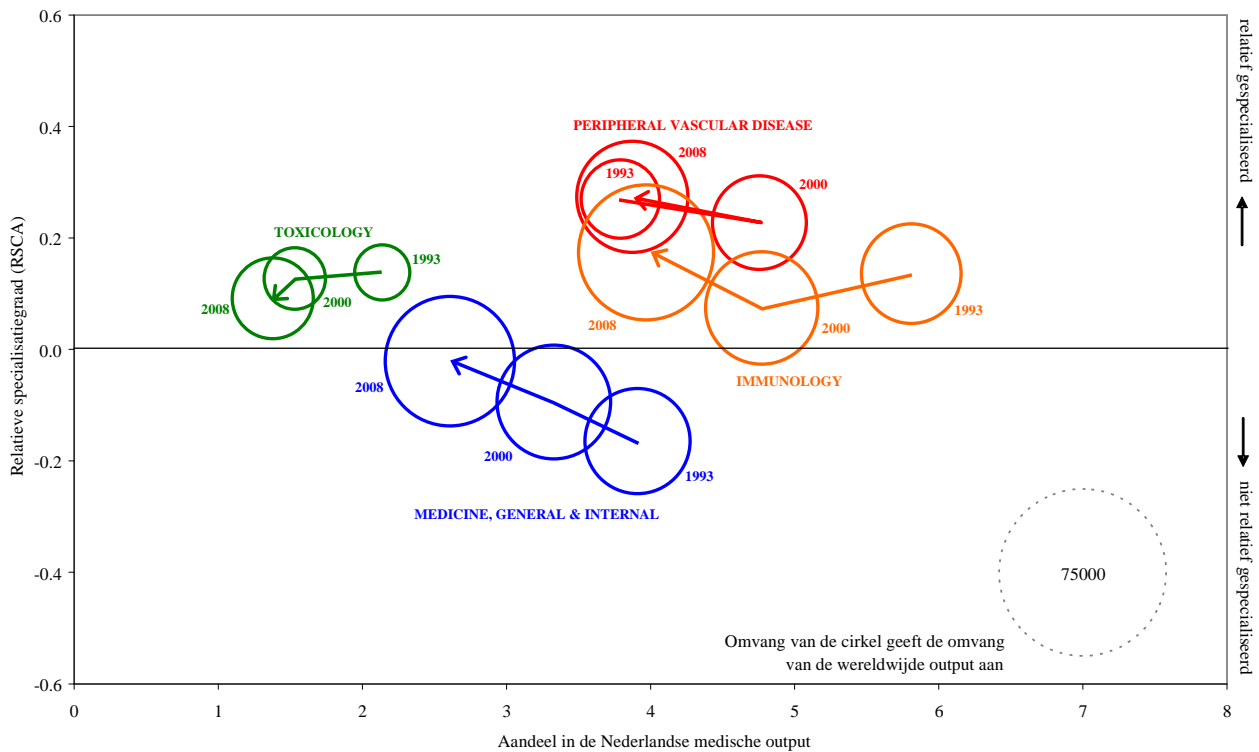
Tabel 6. Kleine en middelgrote velden met de hoogste specialisatiegraad

Tabel 5 en 6 geven de specialisatiegraad. Voor de meest opvallende onderzoeksgebieden hebben we de ontwikkeling van de specialisatiegraad gecombineerd met het aandeel in Nederlandse output en de omvang van de wereldoutput. Figuur 6, 7 en 8 geven respectievelijk de ontwikkeling van velden waarin Nederland sterk gespecialiseerd is, velden waarvan het Nederlandse aandeel krimpt en die relatief krimpen, en van een aantal kleine groeiende velden en een aantal grote velden. De figuren geven de mate van specialisatie (RSCA op de Y-as), het procentueel aandeel van het veld in de Nederlandse medische output (X-as) en de omvang van de wereldoutput (omvang van de cirkel).



Figuur 6. Ontwikkeling van grote en kleinere velden waarin Nederland meer gespecialiseerd raakt

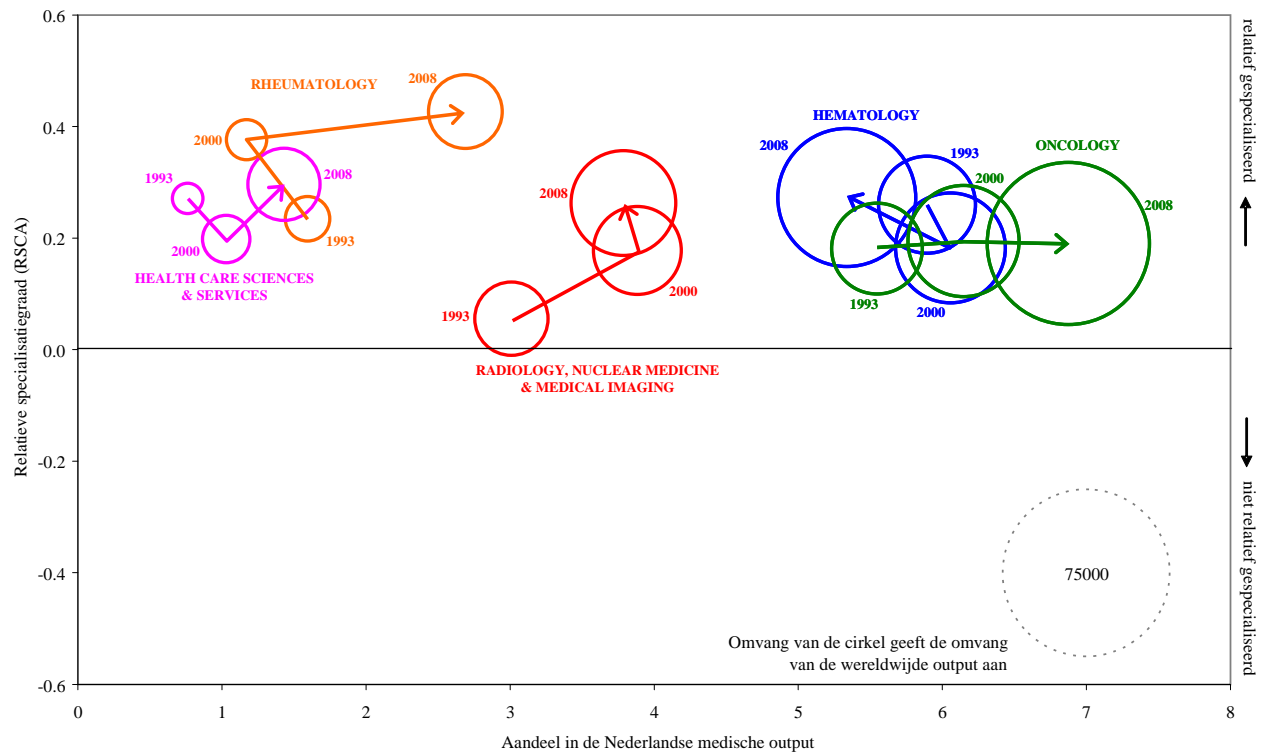
Figuur 6 geeft de velden weer waarin Nederland sterk gespecialiseerd is geworden in de afgelopen 10-15 jaar. Van deze velden zijn Neuroimaging, Rehabilitation en Health Policy & Services nog relatief klein. Hun aandeel in de wereldoutput groeit snel. Dit is een ontwikkeling die specifiek is voor Nederland; als andere landen in deze gebieden even actief waren, zou de RSCA veel minder of zelfs niet toenemen. De velden aan de rechterzijde, Psychiatrie, Clinical Neurology en Neuroscience, zijn groot of middelgroot en groeien relatief ten opzichte van andere velden. De combinatie van een snelle groei van het aandeel in de Nederlandse output en een stijgend aandeel in de wereldoutput (zoals te zien aan de stijging van de specialisatiegraad, RSCA) laat zien dat ook dit een specifiek Nederlandse ontwikkeling is. Nederland is in deze velden meer actief dan andere landen.



Figuur 7. Ontwikkeling van vier velden waarvan het Nederlands aandeel daalt.

Een aantal velden laat een dalend Nederlands aandeel zien. (Figuur 7) Het gaat om *Toxicology*, *General & Internal Medicine*, *Immunology* en *Peripheral Vascular Disease*. Met uitzondering van *Toxicology*, neemt de mate waarin Nederland hierin is gespecialiseerd nog wel toe na 2000, dat wil zeggen dat de gebieden ten opzichte van andere wetenschapsgebieden in Nederland (inclusief niet-medisch) nog wel toeneemt.

Figuur 8 toont een aantal opvallende onderzoeksgebieden. *Oncology* is een groot gebied, waarvan de totale wereldoutput sterk is toegenomen in de periode 1993-2008. Dit geldt ook in Nederland, waar het aandeel van *Oncology* in de Nederlandse output in de medische wetenschappen sterk is gestegen. *Hematology* is internationaal ook een groeiend gebied, waarvan de relatieve specialisatiegraad en het relatieve aandeel fluctueert. Merk op dat het gebied *Cardiac en Cardiovascular Systems* een zelfde positie heeft als *Oncology* en *Hematology*, maar niet opgenomen is in de figuur. *Radiology* is in Nederland een middelgroot gebied, waarvan het relatieve aandeel ligt daalt, maar de relatieve specialisatiegraad toegenomen is in de afgelopen 15 jaar. De specialisatiegraad voor *Rheumatology* is opvallend hoog en in de periode 2000-2008 is het aandeel in de wereldoutput sterk toegenomen. Van *Health Care Sciences & Services*, tenslotte, daalde de relatieve specialisatie aanvankelijk, maar deze is daarna weer toegenomen, bij een toename van het aandeel in de Nederlands medische output.

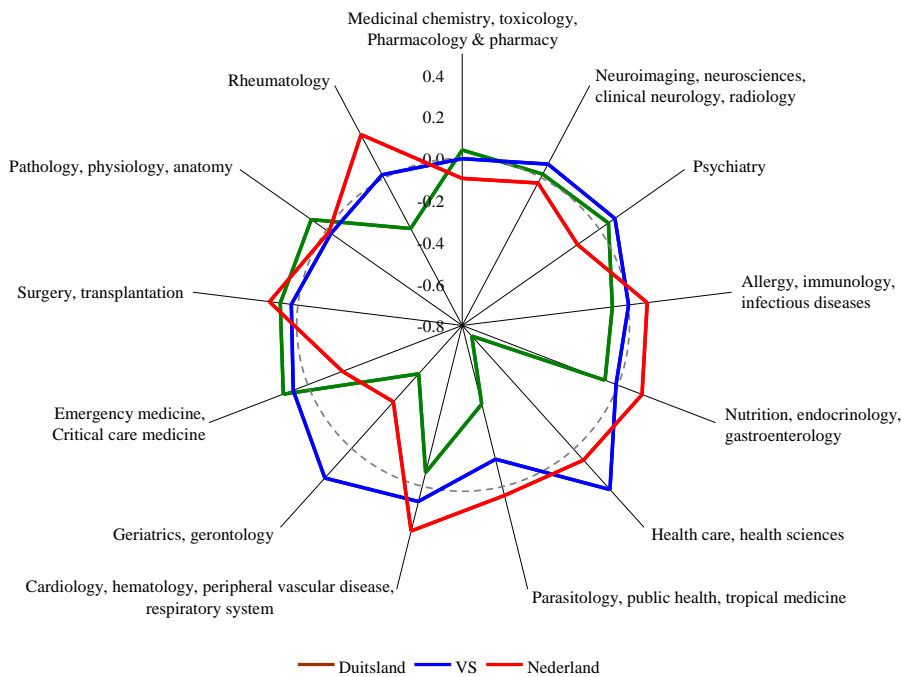


Figuur 8. Ontwikkeling van grote velden en kleine, groeiende velden. Het gebied Cardiac en Cardiovascular Systems is niet weergegeven. Dit gebied overlapt met Hematology en Oncology.

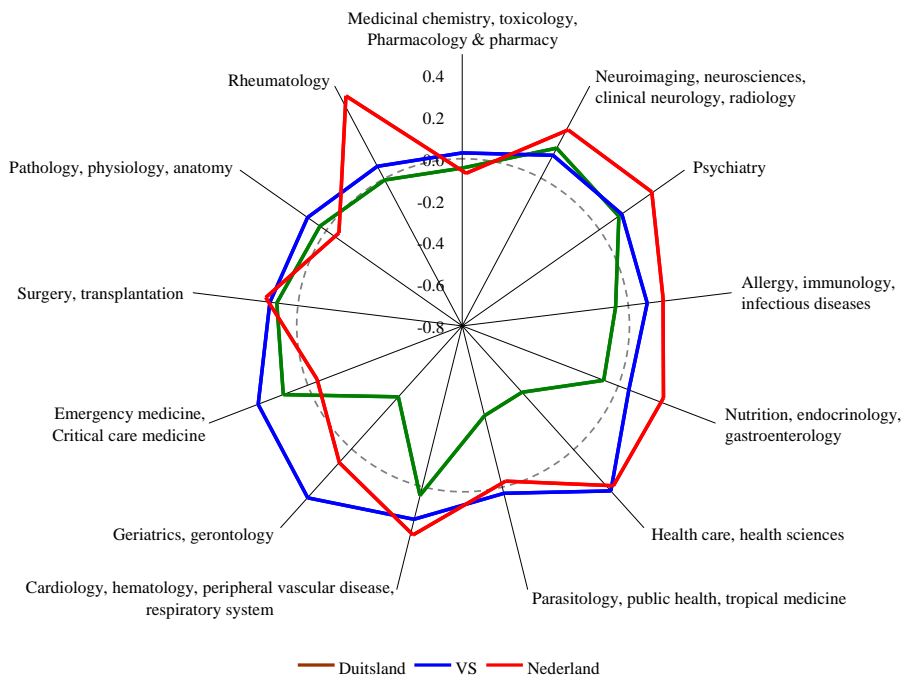
In het voorgaande hebben we het medische onderzoeksportfolio van Nederland vergeleken met dat van de hele wereld. Onderzoek naar internationale specialisatiepatronen in de wetenschap laat echter zien dat de wereld is verdeeld in een aantal clusters van landen ('convergence clubs') die ieder een specifieke specialisatiepatroon hebben.<sup>4</sup> Nederland is deel van een cluster van Westerse, geïndustrialiseerde landen, met een specialisatiepatroon waarin het medische onderzoek domineert. Wanneer we spreken over internationale concurrentie in het medische onderzoek (bijvoorbeeld, in het bepalen van strategie en prioriteiten), dan hebben we het vooral over deze groep landen en niet over de hele wereld.

In figuren 9 en 10 vergelijken we het medisch-wetenschappelijke specialisatiepatroon van Nederland met dat van de Verenigde Staten en Duitsland. Voor de goede orde, het gaat hier om de mate waarin een onderzoeksgebied is gespecialiseerd ten opzichte van alle andere wetenschappelijke gebieden, niet alleen de medische. In 1993 had Nederland een ander specialisatiepatroon dan de Verenigde Staten en een sterkere medische specialisatiegraad dan Duitsland. De VS was duidelijk sterker gespecialiseerd in gerontologie en gezondheidswetenschappen, Nederland in cardiologie, reumatologie, immunologie, endocrinologie en gastroenterologie. Vijftien jaar later is de algehele mate van specialisatie in medische onderzoeksgebieden in alle drie de landen toegenomen. In Nederland is deze toename sterker zichtbaar, met name in neurowetenschappen, psychiatrie en reumatologie. In gerontologie en psychiatrie is de Nederlandse positie veranderd van niet in wel gespecialiseerd.

<sup>4</sup> Edwin Horlings and Peter van den Besselaar, "Convergence, specialisation and the globalisation of science: Growth and structure of worldwide scientific output, 1993-2008", Paper for the 35th 4S Annual Meeting, August 25 – 29, 2010, Komaba I Campus, University of Tokyo.



Figuur 9. Specialisatiegraad (RSCA) van geselecteerde medische onderzoeksgebieden in Nederland, Duitsland en de Verenigde Staten, 1993



Figuur 10. Specialisatiegraad (RSCA) van geselecteerde medische onderzoeksgebieden in Nederland, Duitsland en de Verenigde Staten, 2008



### 3 Discussie en conclusies

Uit de resultaten van de studie naar focus en massa in het medisch onderzoek kan wel geconcludeerd worden dat het medisch onderzoek in Nederland in internationaal perspectief een “focus en massa” gebied is en er binnen het medisch onderzoek er ook een aantal zwaartepunten zijn te herkennen. In drie internationaal omvangrijke gebieden, *Oncologie*, *Hematologie*, en *Cardio en cardiovasculaire systemen*, heeft Nederland een relatieve voorsprong, en dit zijn - opmerkelijk genoeg - ook gebieden waarvan de wereldoutput relatief gezien geconcentreerd is. Daarnaast zijn er kleinere en middelgrote gebieden zichtbaar waarin Nederland een zwaartepunt is. Dit geldt met name voor *Reumatologie*, *Revalidatie*, *Neuro-imaging* en *Gezondheidszorgonderzoek*.

Een studie naar de financiering van medisch onderzoek en de mate van specialisatie, leidt al snel tot de vraag of er een relatie is te leggen tussen deze twee. Is het specialisatiepatroon een gevolg van de wijze waarop het onderzoek gefinancierd wordt? Op basis van de resultaten in deze studie is deze vraag niet te beantwoorden.

In 2009 werd 71% van de publieke financiering van onderzoek toegewezen als vrije institutionele financiering, of in universitaire termen, de eerste geldstroom. In principe staat het de instellingen, de acht universitaire medische centra en enkele onderzoeksinstituten, vrij deze onderzoeksgelden te besteden. In de afgelopen jaren zijn er in deze instellingen steeds meer zwaartepunten ontstaan, die richting geven aan het onderzoek, en aan waarschijnlijk ook aan de verdeling van de institutionele financiering. In deze verkennende studie is dit niet onderzocht.

Voor de overheid zijn er twee financieringsvormen waarlangs eventueel gestuurd zou kunnen worden. Ten eerste is dat de thematische competitie. Deze bedroeg in 2009 13% van het totaal. Ten tweede zijn dat de consortia, die als belangrijk doel hebben om focus en massa te creëren in het onderzoekslandschap. In 2009 werd 10% van de publieke financiering voor medisch onderzoek via deze consortia toegewezen. Voor beide financieringsvormen geldt dat de middelen gericht toegewezen mag worden, en in principe zou men kunnen verwachten dat er een relatie zou moeten zijn tussen prioriteiten in deze gerichte vormen van financiering en de ontwikkeling van onderzoeksvelden.

Wat betreft de financiering is het van belang om er op te wijzen dat er geen financieringsdata zijn gegeven over de private non-profit fondsen, die in sommige medische gebieden vrij omvangrijk zijn. Het gaat om de onderzoeksgelden van bijvoorbeeld de Hartstichting, het Koningin Wilhelmina Fonds, de Nierstichting, het Beatrixfonds, het Astmafonds etc. Ook zijn de bijdragen van de (farmaceutische) industrie niet opgenomen. Ook voor deze financiering geldt dat zij invloed kunnen hebben op de ontwikkeling van bepaalde onderzoeksgebieden.

# Bijlage 1 Financiering van onderzoek: korte toelichting op keuzes.

Voor de analyse van de financiering 1975-2005 is gebruik gemaakt van de database 30 jaar overheidsfinanciering. Deze is gebaseerd op de TOF cijfers. De TOF cijfers geven het bedrag dat de overheid uitgeeft bestemd voor onderzoek. Een deel van dit bedrag wordt gealloceerd als lumpsum of via programma's en competities. In beide gevallen kan het daadwerkelijke bedrag anders zijn, vanwege beleid van de instelling die de lumpsum ontvangt of door overheadkosten voor het organiseren van programma's en competities.

Van de generieke database zijn de volgende gegevens gebruikt voor de analyse:

1. Gegevens van het ministerie van VWS (dan wel de voorgangers met de verantwoordelijkheid voor Volksgezondheid), uitgezonderd onderzoeksuitgaven voor welzijn en sport gerelateerde onderwerpen. Ook niet opgenomen zijn onderzoeksuitgaven voor geestelijke gezondheidszorg, voor onderzoek naar het gezondheidsstelsel (Nederlands Huisartsen instituut) en voor verslavingsonderzoek (NcGV/Trimbos), en de bijdrage aan WOTRO (de stichting voor ontwikkelingshulp gerelateerd onderzoek). Wel zijn opgenomen onderzoeksuitgaven voor: thuisverpleging en thuiszorg, projecten, experimenten en onderzoek, medische ethiek, gezondheidsbevordering/preventie, kwaliteitsverbetering.
2. Overheidsbijdrage aan TNO van VWS, waar in vroegere jaren Milieuhygiëne inbegrepen was (tot 1982), en nu Welzijn en Sport. Een indicatie voor de omvang van het Milieuhygiëne deel is de daling van de bijdrage in 1983 van 13M Dfl. De jaren 1975-1982 zijn voor een evenredig deel gecorrigeerd. De bijdragen aan TNO voor Welzijn en Sport aan TNO worden verwaarloosbaar geacht.
3. Gegevens van OCW voor zover daarin gespecificeerd is wat de bijdrage is voor medisch onderzoek. Van 1975 tot 1989 en van 1995 tot 2000 werd de lumpsum voor universiteiten uitgesplitst naar gebieden waaronder geneeskunde. In 1989 was 21,6% van de totale bijdrage bestemd voor geneeskundig onderzoek. Op basis van dit percentage is de bijdrage voor de periode 1990-1994 berekend. In 2000 was 30% van het totale bedrag bestemd voor geneeskunde. Voor 2001-2005 is de bijdrage aan geneeskunde berekend op basis van dit percentage. In 1995 is er een stijging omdat het bedrag voor Academische Ziekenhuizen overgeheveld wordt naar de begroting van OCW. Overigens is deze stijging niet terug te vinden als daling in de bijdrage van VWS, wat suggereert dat het bij VWS niet als onderzoek werd geteld. Bijdrage aan investeringen en infrastructuur van 1975-1979 is opgenomen in algemene bijdrage voor universitair geneeskundig onderzoek.
4. Bijdrage aan/van NWO voor medisch onderzoek. (volgens TOF cijfers) en aan de KNAW instituten.

Niet opgenomen zijn onderzoeksuitgaven voor tandheelkunde, als deze zijn gespecificeerd.

Naast het ministerie van OCW, financiert ook het ministerie van EZ onderzoek in de breedte, gerelateerd aan innovatie. Een uitsplitsing hiervan naar middelen voor medisch onderzoek is niet mogelijk in de TOF cijfers.

Voor de periode 2005-2009 is een update gebruikt van de TOF database. In aanvulling op de bovenstaande selectie is voor deze periode ook een schatting gemaakt van de uitgaven uit de zgn. FES

gelden. Onderzoeksuitgaven vanuit het Fonds Economische Structuurversterking. Op basis van de uitgaven uit dit Fonds over een aantal jaren is het percentage voor medisch onderzoek geschat op 30% van de FES uitgaven.

## Bijlage 2 Basisdata medische output

### 2.1 Basisdata per onderzoeksgebied in het medische domein, 1993-2008

Classificatie	Onderzoeksgebied	Aandeel in totale output			RSCA			Aandeel in wereldoutput		
		1993	2000	2008	1993	2000	2008	1993	2000	2008
3.1	Anatomy & Morphology	0.19	0.09	0.05	0.19	0.04	-0.24	2.90	1.91	0.99
3.1	Chemistry, Medicinal	0.15	0.16	0.20	-0.41	-0.36	-0.42	0.81	0.82	0.66
3.1	Immunology	2.32	1.78	2.00	0.14	0.07	0.17	2.58	2.04	2.30
3.1	Medicine, Research & Experimental	1.13	0.80	0.84	-0.04	0.01	0.03	1.80	1.80	1.72
3.1	Neuroimaging	0.03	0.06	0.20	-0.18	-0.14	0.35	1.36	1.33	3.37
3.1	Neurosciences	1.76	2.20	2.58	-0.07	0.02	0.12	1.71	1.82	2.07
3.1	Pathology	0.57	0.62	0.61	-0.15	0.08	-0.02	1.45	2.05	1.55
3.1	Pharmacology & Pharmacy	1.98	1.62	2.09	-0.01	0.01	0.07	1.90	1.79	1.85
3.1	Physiology	0.72	0.62	0.69	-0.10	-0.12	0.09	1.60	1.40	1.94
3.1		0.71	0.59	0.61	0.14	0.13	0.09	2.59	2.28	1.94
3.2	Allergy	0.18	0.23	0.34	0.09	0.06	0.17	2.36	1.97	2.28
3.2	Andrology	0.02	0.02	0.03	-0.11	-0.21	0.21	1.59	1.16	2.46
3.2	Anesthesiology	0.25	0.26	0.30	-0.29	-0.19	0.18	1.07	1.19	2.31
3.2	Cardiac & Cardiovascular Systems	1.80	2.43	2.29	0.18	0.23	0.28	2.82	2.84	2.90
3.2	Clinical Neurology	1.19	1.66	2.66	0.08	0.15	0.23	2.32	2.39	2.57
3.2	Critical Care Medicine	0.12	0.34	0.42	-0.06	0.11	0.21	1.72	2.20	2.46
3.2	Dentistry, Oral Surgery & Medicine	0.57	0.55	0.45	0.32	-0.05	0.16	3.80	1.60	2.23
3.2	Dermatology	0.53	0.40	0.54	0.10	0.06	0.06	2.40	1.98	1.82
3.2	Emergency Medicine	0.04	0.03	0.09	-0.31	-0.59	-0.28	1.04	0.45	0.92
3.2	Endocrinology & Metabolism	1.25	1.28	1.68	0.09	0.11	0.23	2.33	2.21	2.60
3.2	Gastroenterology & Hepatology	1.11	1.52	1.25	0.05	0.13	0.19	2.18	2.28	2.37
3.2	Geriatrics & Gerontology	0.11	0.22	0.30	-0.21	0.02	0.17	1.29	1.83	2.27
3.2	Gerontology	0.04	0.14	0.27	-0.41	-0.12	0.05	0.82	1.38	1.78
3.2	Hematology	2.84	2.12	2.56	0.26	0.18	0.27	3.34	2.55	2.83
3.2	Integrative & Complementary Medicine	0.02	0.01	0.03	0.01	-0.48	-0.30	1.98	0.62	0.87
3.2	Medicine, General & Internal	1.41	1.30	1.24	-0.16	-0.09	-0.02	1.41	1.46	1.55
3.2	Obstetrics & Gynecology	0.79	0.81	1.04	0.13	0.22	0.22	2.55	2.76	2.54
3.2	Oncology	2.11	2.22	2.98	0.18	0.19	0.19	2.83	2.61	2.38
3.2	Ophthalmology	0.61	0.51	0.31	-0.09	-0.15	-0.10	1.64	1.31	1.33
3.2	Orthopedics	0.28	0.35	0.50	-0.07	0.05	0.14	1.69	1.93	2.16
3.2	Otorhinolaryngology	0.30	0.26	0.24	0.05	0.01	0.10	2.15	1.80	1.99
3.2	Pediatrics	0.78	0.88	0.95	0.02	0.03	0.14	2.06	1.88	2.15
3.2	Peripheral Vascular Disease	1.89	1.70	1.68	0.27	0.23	0.27	3.41	2.80	2.84
3.2	Psychiatry	0.62	1.39	1.89	-0.13	0.19	0.29	1.52	2.58	2.92
3.2	Radiology, Nuclear Medicine & Medical Imaging	1.06	1.34	1.45	0.06	0.18	0.26	2.19	2.52	2.77
3.2	Respiratory System	0.98	0.59	0.61	0.14	0.14	0.17	2.62	2.34	2.30

Classificatie	Onderzoeksgebied	Aandeel in totale output			RSCA			Aandeel in wereldoutput		
		1993	2000	2008	1993	2000	2008	1993	2000	2008
3.2	Rheumatology	0.57	0.44	1.04	0.23	0.38	0.43	3.16	3.89	4.03
3.2	Surgery	1.65	1.67	1.99	0.04	0.05	0.14	2.14	1.97	2.16
3.2	Transplantation	0.46	0.48	0.63	0.22	0.17	0.19	3.06	2.49	2.39
3.2	Urology & Nephrology	0.82	0.76	0.94	0.19	0.19	0.17	2.90	2.61	2.27
3.3.1	Health Care Sciences & Services	0.29	0.41	0.74	0.27	0.20	0.30	3.42	2.63	2.98
3.3.1	Health Policy & Services	0.08	0.14	0.45	-0.14	-0.11	0.21	1.49	1.41	2.49
3.3.2	Nursing	0.11	0.09	0.17	-0.04	-0.26	-0.22	1.81	1.04	1.04
3.3.2	Nutrition & Dietetics	0.61	0.50	0.64	0.23	0.09	0.22	3.15	2.13	2.54
3.3.3	Infectious Diseases	0.67	0.94	0.84	0.05	0.14	0.11	2.18	2.33	2.02
3.3.3	Parasitology	0.17	0.17	0.17	-0.05	-0.01	-0.10	1.79	1.71	1.34
3.3.3	Public, Environmental & Occupational Health	1.03	1.14	1.42	0.05	0.10	0.09	2.15	2.15	1.93
3.3.3	Tropical Medicine	0.20	0.19	0.19	0.12	0.25	-0.04	2.49	2.93	1.49
3.3.4	Sport Sciences	0.25	0.34	0.46	0.02	0.00	0.12	2.04	1.75	2.06
3.3.5	Medical Ethics	0.02	0.04	0.04	0.24	0.32	0.07	3.17	3.40	1.85
3.3.5	Rehabilitation	0.16	0.47	0.62	-0.11	0.24	0.41	1.57	2.87	3.87
3.3.5	Substance Abuse	0.04	0.09	0.08	-0.51	-0.17	-0.35	0.63	1.24	0.78

## 2.2 Ranking van het aandeel van onderzoeksgebieden in de totale medische output van Nederland, 1993-2008

Onderzoeksgebied	1993		2000		2008
Hematology	7.55	Cardiac & Cardiovascular Systems	6.24	Oncology	6.44
Immunology	6.18	Oncology	5.70	Clinical Neurology	5.74
Oncology	5.62	Neurosciences	5.64	Neurosciences	5.57
Pharmacology & Pharmacy	5.26	Hematology	5.45	Hematology	5.53
Peripheral Vascular Disease	5.03	Immunology	4.57	Cardiac & Cardiovascular Systems	4.94
Cardiac & Cardiovascular Systems	4.79	Peripheral Vascular Disease	4.36	Pharmacology & Pharmacy	4.52
Neurosciences	4.69	Surgery	4.28	Immunology	4.31
Surgery	4.38	Clinical Neurology	4.26	Surgery	4.29
Medicine, General & Internal	3.76	Pharmacology & Pharmacy	4.15	Psychiatry	4.07
Endocrinology & Metabolism	3.32	Gastroenterology & Hepatology	3.91	Endocrinology & Metabolism	3.63
Clinical Neurology	3.15	Psychiatry	3.58	Peripheral Vascular Disease	3.62
Medicine, Research & Experimental	3.00	Radiology, Nuclear Medicine & Medical Imaging	3.45	Radiology, Nuclear Medicine & Medical Imaging	3.13
Gastroenterology & Hepatology	2.94	Medicine, General & Internal	3.33	Public, Environmental & Occupational Health	3.06
Radiology, Nuclear Medicine & Medical Imaging	2.83	Endocrinology & Metabolism	3.30	Gastroenterology & Hepatology	2.69
Public, Environmental & Occupational Health	2.75	Public, Environmental & Occupational Health	2.92	Medicine, General & Internal	2.66
Respiratory System	2.61	Infectious Diseases	2.40	Rheumatology	2.25
Urology & Nephrology	2.17	Pediatrics	2.26	Obstetrics & Gynecology	2.25
Obstetrics & Gynecology	2.10	Obstetrics & Gynecology	2.09	Urology & Nephrology	2.02
Pediatrics	2.07	Medicine, Research & Experimental	2.06	Pediatrics	2.02
Physiology	1.91	Urology & Nephrology	1.95	Infectious Diseases	1.81
Toxicology	1.90	Pathology	1.59	Medicine, Research & Experimental	1.81
Infectious Diseases	1.79	Physiology	1.58	Health Care Sciences & Services	1.58
Psychiatry	1.65	Toxicology	1.53	Physiology	1.48
Nutrition & Dietetics	1.62	Respiratory System	1.51	Nutrition & Dietetics	1.39
Ophthalmology	1.62	Dentistry, Oral Surgery & Medicine	1.42	Transplantation	1.37
Dentistry, Oral Surgery & Medicine	1.51	Ophthalmology	1.31	Rehabilitation	1.33
Rheumatology	1.51	Nutrition & Dietetics	1.28	Respiratory System	1.33
Pathology	1.51	Transplantation	1.24	Toxicology	1.32
Dermatology	1.40	Rehabilitation	1.20	Pathology	1.31
Transplantation	1.22	Rheumatology	1.12	Dermatology	1.17
Otorhinolaryngology	0.81	Health Care Sciences & Services	1.05	Orthopedics	1.07
Health Care Sciences & Services	0.77	Dermatology	1.04	Dentistry, Oral Surgery & Medicine	0.97
Orthopedics	0.76	Orthopedics	0.91	Health Policy & Services	0.96

<b>Onderzoeksgebied</b>	<b>1993</b>		<b>2000</b>		<b>2008</b>
Anesthesiology	0.68	Critical Care Medicine	0.88	Sport Sciences	0.96
Sport Sciences	0.66	Sport Sciences	0.86	Critical Care Medicine	0.90
Tropical Medicine	0.53	Otorhinolaryngology	0.66	Allergy	0.74
Anatomy & Morphology	0.50	Anesthesiology	0.66	Ophthalmology	0.66
Allergy	0.48	Allergy	0.58	Anesthesiology	0.65
Parasitology	0.46	Geriatrics & Gerontology	0.56	Geriatrics & Gerontology	0.64
Rehabilitation	0.42	Tropical Medicine	0.50	Gerontology	0.59
Chemistry, Medicinal	0.41	Parasitology	0.45	Otorhinolaryngology	0.52
Critical Care Medicine	0.31	Chemistry, Medicinal	0.40	Neuroimaging	0.43
Geriatrics & Gerontology	0.29	Health Policy & Services	0.35	Chemistry, Medicinal	0.43
Nursing	0.28	Gerontology	0.35	Tropical Medicine	0.42
Health Policy & Services	0.21	Anatomy & Morphology	0.24	Parasitology	0.38
Emergency Medicine	0.12	Nursing	0.23	Nursing	0.36
Gerontology	0.12	Substance Abuse	0.22	Emergency Medicine	0.19
Substance Abuse	0.10	Neuroimaging	0.14	Substance Abuse	0.18
Neuroimaging	0.08	Medical Ethics	0.09	Anatomy & Morphology	0.11
Medical Ethics	0.06	Emergency Medicine	0.07	Medical Ethics	0.10
Andrology	0.04	Andrology	0.04	Integrative & Complementary Medicine	0.06
Integrative & Complementary Medicine	0.04	Integrative & Complementary Medicine	0.03	Andrology	0.06

### 2.3 Ranking van de RSCA van medische onderzoeksgebieden, 1993-2008

	1993		2000		2008
Dentistry, Oral Surgery & Medicine	0.32	Rheumatology	0.38	Rheumatology	0.43
Health Care Sciences & Services	0.27	Medical Ethics	0.32	Rehabilitation	0.41
Peripheral Vascular Disease	0.27	Tropical Medicine	0.25	Neuroimaging	0.35
Hematology	0.26	Rehabilitation	0.24	Health Care Sciences & Services	0.30
Medical Ethics	0.24	Cardiac & Cardiovascular Systems	0.23	Psychiatry	0.29
Rheumatology	0.23	Peripheral Vascular Disease	0.23	Cardiac & Cardiovascular Systems	0.28
Nutrition & Dietetics	0.23	Obstetrics & Gynecology	0.22	Peripheral Vascular Disease	0.27
Transplantation	0.22	Health Care Sciences & Services	0.20	Hematology	0.27
Urology & Nephrology	0.19	Oncology	0.19	Radiology, Nuclear Medicine & Medical Imaging	0.26
Anatomy & Morphology	0.19	Urology & Nephrology	0.19	Endocrinology & Metabolism	0.23
Oncology	0.18	Psychiatry	0.19	Clinical Neurology	0.23
Cardiac & Cardiovascular Systems	0.18	Hematology	0.18	Obstetrics & Gynecology	0.22
Respiratory System	0.14	Radiology, Nuclear Medicine & Medical Imaging	0.18	Nutrition & Dietetics	0.22
Toxicology	0.14	Transplantation	0.17	Health Policy & Services	0.21
Immunology	0.14	Clinical Neurology	0.15	Andrology	0.21
Obstetrics & Gynecology	0.13	Respiratory System	0.14	Critical Care Medicine	0.21
Tropical Medicine	0.12	Infectious Diseases	0.14	Transplantation	0.19
Dermatology	0.10	Gastroenterology & Hepatology	0.13	Oncology	0.19
Allergy	0.09	Toxicology	0.13	Gastroenterology & Hepatology	0.19
Endocrinology & Metabolism	0.09	Endocrinology & Metabolism	0.11	Anesthesiology	0.18
Clinical Neurology	0.08	Critical Care Medicine	0.11	Respiratory System	0.17
Radiology, Nuclear Medicine & Medical Imaging	0.06	Public, Environmental & Occupational Health	0.10	Immunology	0.17
Gastroenterology & Hepatology	0.05	Nutrition & Dietetics	0.09	Allergy	0.17
Infectious Diseases	0.05	Pathology	0.08	Urology & Nephrology	0.17
Public, Environmental & Occupational Health	0.05	Immunology	0.07	Geriatrics & Gerontology	0.17
Otorhinolaryngology	0.05	Dermatology	0.06	Dentistry, Oral Surgery & Medicine	0.16
Surgery	0.04	Allergy	0.06	Surgery	0.14
Pediatrics	0.02	Surgery	0.05	Orthopedics	0.14
Sport Sciences	0.02	Orthopedics	0.05	Pediatrics	0.14
Integrative & Complementary Medicine	0.01	Anatomy & Morphology	0.04	Neurosciences	0.12
Pharmacology & Pharmacy	-0.01	Pediatrics	0.03	Sport Sciences	0.12
Nursing	-0.04	Geriatrics & Gerontology	0.02	Infectious Diseases	0.11



	1993		2000		2008
Medicine, Research & Experimental	-0.04	Neurosciences	0.02	Otorhinolaryngology	0.10
Parasitology	-0.05	Medicine, Research & Experimental	0.01	Toxicology	0.09
Critical Care Medicine	-0.06	Otorhinolaryngology	0.01	Physiology	0.09
Neurosciences	-0.07	Pharmacology & Pharmacy	0.01	Public, Environmental & Occupational Health	0.09
Orthopedics	-0.07	Sport Sciences	0.00	Medical Ethics	0.07
Ophthalmology	-0.09	Parasitology	-0.01	Pharmacology & Pharmacy	0.07
Physiology	-0.10	Dentistry, Oral Surgery & Medicine	-0.05	Dermatology	0.06
Andrology	-0.11	Medicine, General & Internal	-0.09	Gerontology	0.05
Rehabilitation	-0.11	Health Policy & Services	-0.11	Medicine, Research & Experimental	0.03
Psychiatry	-0.13	Physiology	-0.12	Pathology	-0.02
Health Policy & Services	-0.14	Gerontology	-0.12	Medicine, General & Internal	-0.02
Pathology	-0.15	Neuroimaging	-0.14	Tropical Medicine	-0.04
Medicine, General & Internal	-0.16	Ophthalmology	-0.15	Parasitology	-0.10
Neuroimaging	-0.18	Substance Abuse	-0.17	Ophthalmology	-0.10
Geriatrics & Gerontology	-0.21	Anesthesiology	-0.19	Nursing	-0.22
Anesthesiology	-0.29	Andrology	-0.21	Anatomy & Morphology	-0.24
Emergency Medicine	-0.31	Nursing	-0.26	Emergency Medicine	-0.28
Gerontology	-0.41	Chemistry, Medicinal	-0.36	Integrative & Complementary Medicine	-0.30
Chemistry, Medicinal	-0.41	Integrative & Complementary Medicine	-0.48	Substance Abuse	-0.35
Substance Abuse	-0.51	Emergency Medicine	-0.59	Chemistry, Medicinal	-0.42

**Wie was Rathenau?**

Het Rathenau Instituut is genoemd naar professor dr. G.W. Rathenau (1911-1989). Rathenau was achtereenvolgens hoogleraar experimentele natuurkunde in Amsterdam, directeur van het natuurkundig laboratorium van Philips in Eindhoven en lid van de Wetenschappelijke Raad voor het Regeringsbeleid. Hij kreeg landelijke bekendheid als voorzitter van de commissie die in 1978 de maatschappelijke gevolgen van de opkomst van micro-elektronica moest onderzoeken. Een van de aanbevelingen in het rapport was de wens te komen tot een systematische bestudering van de maatschappelijke betekenis van technologie. De activiteiten van Rathenau hebben ertoe bijgedragen dat in 1986 de Nederlandse Organisatie voor Technologisch Aspectenonderzoek (NOTA) werd opgericht. NOTA is op 2 juni 1994 omgedoopt in Rathenau Instituut.

---

# ***Follow-up van case studies*** **'Knarsende Schakels'(2002)**

---

## **Technopolis group**

Ingeborg Meijer (projectleiders)

Bastian Mostert

Sara Vermeulen



*1 december 2009*

---

# **Follow-up van case studies 'Knarsende Schakels' (2002)**

**Technologische innovatie in de gezondheidszorg**



## Follow-up van case studies 'Knarsende Schakels' (2002)

Technopolis Group The Netherlands, december 2009

Ingeborg Meijer (projectleider)

Bastian Mostert

Sara Vermeulen

## Inhoudsopgave

Inleiding	1
1. Casuïstiek	3
2. Casussen binnen de biotech/farmasector	5
2.1 Gebruik van Annexine A5 als radiofarmacon voor diagnostiek van apoptose	5
2.2 De ontwikkeling van $\alpha$ -glucosidase voor de ziekte van Pompe	7
2.3 De ontwikkeling van Factor IX-concentraat voor de behandeling van Hemofilie B	10
3. Casussen op het gebied van medische technologie	13
3.1 De ontwikkeling van een MRI-compatibele couveuse	13
3.2 De ontwikkeling van de PUCA-pomp	14
3.3 De ontwikkeling van de Handmaster	16
4. Conclusies	19
4.1 Biotech/farmasector	19
4.2 Medische technologie	19
4.3 Synthese	20
4.4 Vragen uit de offerte	23
Appendix A Geïnterviewden	27
A.1. Biotech/farma	27
A.2. Medische technologie	27

## Overzicht van figuren

Figuur 1 Het model van Rogers inclusief status van de casussen in 2002	4
Figuur 2 Het model van Rogers inclusief status van de casussen in 2009	21
Figuur 3 Toepassingsgebied en betrokken landen per casus	22
Figuur 4 Rol van financiering, vergoedingsbeslissing en patiënten per casus	22





## Inleiding

De Raad voor Gezondheidsonderzoek (RGO) heeft op 5 juni 2009 een adviesaanvraag ontvangen van het Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport met het verzoek te adviseren over een Onderzoeksagenda Medische Producten. Onder medische producten worden verstaan (1) geneesmiddelen, (2) medische hulpmiddelen en (3) biomaterialen. Het uitgangspunt voor het advies zijn de maatschappelijke opgaven van VWS<sup>1</sup>: langer leven met een goede kwaliteit van zorg die betaalbaar is, die patiëntgericht is en waarvoor voldoende handen aan het bed bestaan. De basis voor deze onderzoeksagenda is de identificatie van stagnerende innovatie van maatschappelijk gewenste medische producten, terwijl de ontwikkeling ervan zou bijdragen aan maatschappelijke doelen vanuit het perspectief van de volksgezondheid en gezondheidszorg. Voor deze producten ziet de overheid het als haar taak innovatie te stimuleren, waarbij de vraag vervolgens is hoe deze stimulans vorm moet krijgen. De adviesaanvraag van VWS is het beste te zien als een verzoek invulling te geven aan het bevorderen van een effectieve interactie tussen partijen in het krachtenveld tussen aanbodgedreven ('push') en vraaggedreven ('pull') innovatieprocessen binnen de life sciences in Nederland. Alleen wanneer er een goede balans bestaat tussen deze 'push' en 'pull' benadering kan de samenleving actief inspelen op nieuwe technisch-wetenschappelijke ontwikkelingen en deze ook daadwerkelijk vanuit het maatschappelijk belang stimuleren.

Om te komen tot een breed gedragen Onderzoeksagenda Medische Producten waarin prioritaire gebieden worden aangegeven waarvan stimulering door de overheid legitiem is, heeft de RGO een startnotitie opgesteld. In deze startnotitie is de achtergrond van het advies geschetst en een overzicht gegeven van de verschillende deelopdrachten die het advies omvat.

Zo is in 2002 door de RGO een advies, met de titel "Knarsende Schakels", uitgebracht over technologische innovatie in de gezondheidszorg. In het advies is beschreven welke actoren betrokken zijn bij innovatieprocessen in de gezondheidszorg en welke remmende en stimulerende factoren hierbinnen een rol spelen. Om de praktijk van innovatie te illustreren is een zestal casussen in het advies opgenomen. Het gaat hierbij om voorbeelden waarbij publiek gefinancierd onderzoek betrokken is om zo de (veelal knarsende) schakels tussen 'zorg, wetenschap en industrie' te inventariseren.

Technopolis Group is door de RGO gevraagd een quick scan uit te voeren en na te gaan wat er sinds het advies uit 2002 met de ontwikkelingen/producten, die in de zes casussen beschreven zijn, is gebeurd. Deze 'update' van de casussen zal gebruikt worden als input voor het advies aangaande de Onderzoeksagenda Medische Producten. Deze hernieuwde inventarisatie en analyse van de oude knarsende schakels geven aanwijzingen voor de huidige stand van innovatie in de gezondheidszorg, mogelijke verbeteringen ten opzichte van 2002, en geeft dus mede antwoord op de vraag van VWS of een vraaggedreven innovatieproces mogelijk is en wat daar dan voor nodig is.

Dit rapport presenteert de update van de zes casussen. Het volgende hoofdstuk geeft een kort overzicht van de verschillende casussen en de fase van ontwikkeling waarin de desbetreffende producten zich in 2002 bevonden. Hierna zal iedere casus apart worden behandeld. Het rapport wordt afgesloten met de belangrijkste conclusies die kunnen worden gebruikt als input voor het onderhavige RGO-advies. Hier zal teruggegrepen worden op de vragen zoals die zijn opgenomen in de offerte:

---

<sup>1</sup> Ministerie van VWS (2009). Maatschappelijke Opgaven Volksgezondheid en Gezondheidszorg. Update anno 2009 met prioritaire thema's voor de kennis- en innovatieagenda voor de gezondheidssector.

1. Is het product op de markt gekomen en wat zijn de economische revenuen geweest (geld, patenten, licenties, verkopen)?
2. Heeft het product een bijdrage geleverd aan de kwaliteit van zorg en de volksgezondheid, en is daar ook onderzoek naar gedaan (aan welke uitkomstmaten wordt dat afgemeten)?
3. Wat zijn de academische revenuen van de ontwikkeling (bijvoorbeeld onderzoeksmodel) en waaruit blijkt dit (bijvoorbeeld nieuwe projecten)?
4. Zijn er in het verdere traject na 2002 nog meer knarsende schakels ervaren?
5. Als het product geen verdere toepassing heeft gevonden wat is daarvan de oorzaak?
6. Wat zou men anders hebben gedaan met de huidige kennis? Met andere woorden, welke acties helpen en voor welke knelpunten?
7. Zijn er verbeteringen gekomen in het proces van innovatieve ontwikkeling? Met andere woorden, zijn de knarsende schakels wat geolied?

## 1. Casuïstiek

In het advies uit 2002 heeft de RGO ervoor gekozen concrete voorbeelden te gebruiken om het begrip van problemen rondom technologische innovatie te vergroten. Zoals gezegd, is daarom een zestal casussen uitgekozen met voorbeelden van innovatietrajecten met publiek gefinancierd onderzoek, om de schakels tussen wetenschap, industrie en zorg te kunnen inventariseren. Het gaat om drie casussen voor zowel de biotech/farmasector als de medische technologie. Aan de hand van het innovatiemodel van Rogers<sup>2</sup>, dat het innovatieproces min of meer lineair voorstelt, zijn per sector een casus ‘vroeg’, ‘midden’ en ‘laat’ in het gehele traject van onderzoek en ontwikkeling gekozen.

Het betreft de volgende casussen:

- Biotech/farmasector
  - Gebruik van Annexine A5 als radiofarmacon voor diagnostiek van apoptose (fase: vroege praktische ontwikkeling)
  - Ontwikkeling van  $\alpha$ -glucosidase voor de behandeling van de ziekte van Pompe (fase: late praktische ontwikkeling)
  - Ontwikkeling van factor IX voor behandeling van Hemofilie B (fase: gevolgen van implementatie in de zorg)
- Medische technologie
  - Ontwikkeling van een MRI-compatibele couveuse (fase: fundamenteel onderzoek)
  - Ontwikkeling van de PUCA-pomp (left ventricular assist device; cardiologisch hulpmiddel) (fase: praktische ontwikkeling)
  - Ontwikkeling van de Handmaster (een verstevigde hand-orthese (fase: verspreiding en acceptatie)

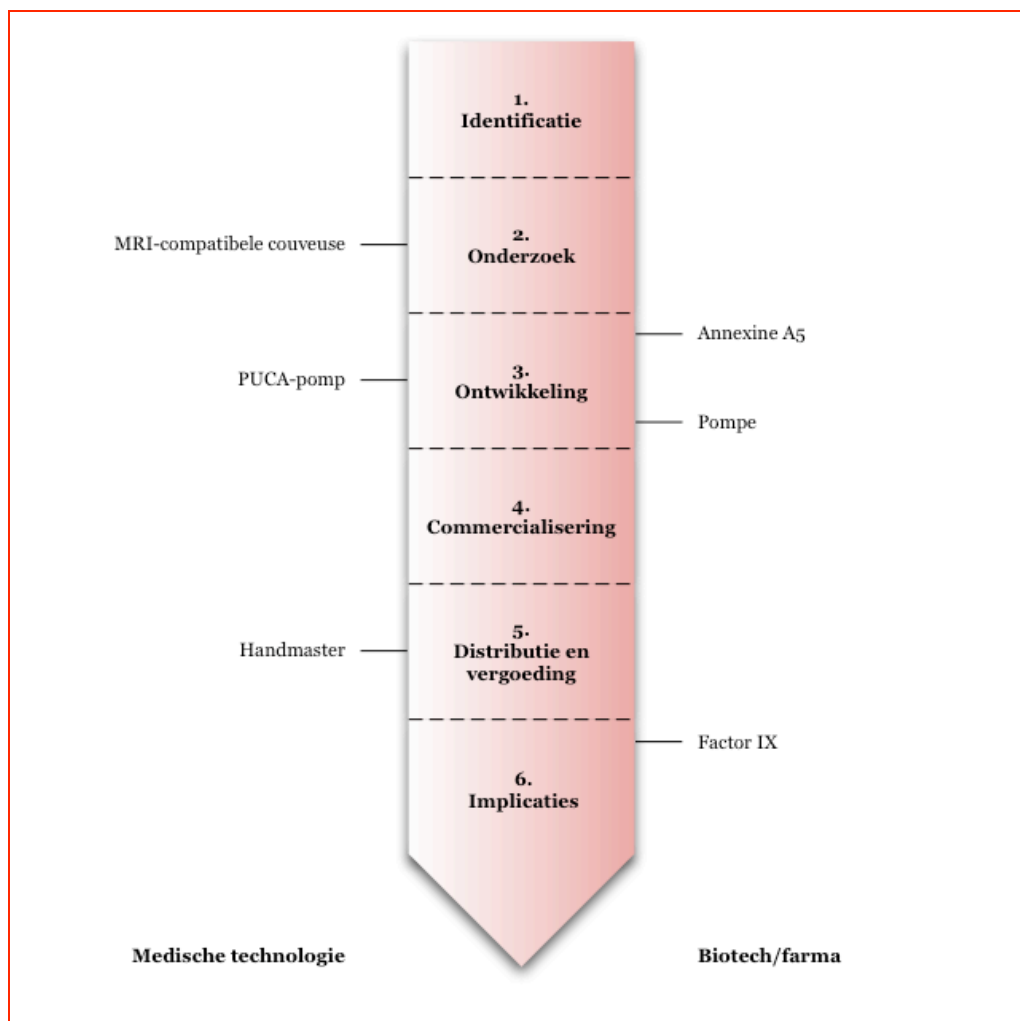
In de figuur op de volgende pagina is een overzicht gegeven van het model van Rogers met hierin de status van de casussen anno 2002. Na de bespreking van de huidige stand van zaken betreffende de casussen zal eenzelfde overzicht gepresenteerd worden met daarin de huidige status (in 2009).

Om een update te kunnen geven van de casussen zijn enkele interviews gehouden met betrokkenen binnen de betreffende casussen. Appendix A geeft een overzicht van de geïnterviewden. In de interviews is gevraagd naar de mening van de betrokkenen over de factoren en actoren die van belang zijn geweest in de ontwikkeling van het product. Hierbij ligt de nadruk op de periode vanaf 2002. In een aantal gevallen echter, bleek de toen geschetste situatie ook nu nog van toepassing. Voor de overzichtelijkheid tellen de casusbeschrijvingen 2 à 3 pagina's. Deze beschrijvingen zijn opgenomen in de volgende twee hoofdstukken.

---

<sup>2</sup> Beschreven in het boek “Diffusion of Innovations” door E.M. Rogers in 1964. Hierin worden 6 fasen onderscheiden die plaatsvinden binnen innovatieprocessen, namelijk: (1) identificatie van het probleem (de vraag), (2) onderzoek, (3) ontwikkeling, (4) commercialisering, (5) distributie en vergoeding en (6) implicaties.

Figuur 1 Het model van Rogers inclusief status van de casussen in 2002



Bron: RGO – 'Knarsende Schakels' (2002).

## 2. Casussen binnen de biotech/farmasector

### 2.1 Gebruik van Annexine A5 als radiofarmacon voor diagnostiek van apoptose

Annexine A5 is een eiwit dat zich aan negatief geladen biologische membranen kan binden, met name membranen die het fosfolipide fosfatidylserine bevatten. Deze membranen zijn onder normale omstandigheden opgebouwd uit een dubbele laag fosfolipiden, waarbij de laag die naar de binnenkant van de cel (het cytosol) gericht is negatief geladen is en de laag die gekeerd is naar het externe milieu geen lading bevat (neutraal). Echter wanneer cellen overgaan tot geprogrammeerde celdood (apoptose) worden de negatief geladen fosfolipiden tot expressie gebracht aan de buitenzijde van de celwand. Deze negatieve lading op het buitenste celoppervlak zorgt ervoor dat fagocyten de dode cel opruimen (de expressie van fosfatidylserine kan als het ware beschouwd worden als een signaal van 'eet me op'). Annexine A5 wordt in laboratoria gebruikt om apoptose aan te tonen door het eiwit te koppelen aan een fluorescerende groep of een radioactief isotoop (label).

#### *Tot aan 2002*

Het eiwit is in 1987 aan de Universiteit van Maastricht (afdeling Biochemie) ontdekt en vervolgens gekloneerd aan het Ernst Boehringer Instituut in Wenen. In eerste instantie is het eiwit onderzocht op de rol die het speelt in het proces van bloedstolling (hematopoietische cellijnen), maar als snel bleken mogelijke andere toepassingen van Annexine A5. Sinds 1994 is het patent, dat al ruim voor het *proof of principle* is aangevraagd, wereldwijd geldig. Het *proof of principle* werd enkele jaren na de patentaanvraag aangetoond (de binding van Annexine A5 aan fosfatidylserine in ieder celtype) in samenwerking met het Academisch Ziekenhuis Rotterdam. Dit onderzoek is volledig gefinancierd uit de eerste geldstroom, omdat het onderzoek te risicovol werd ingeschat om in aanmerking te komen voor NWO-beurzen.

Een mogelijke toepassing van Annexine A5 die destijds werd gezien was om het te gebruiken als radiofarmacon voor in-vivo diagnostiek van apoptose in patiënten. Vooral voor cardiologie (hartaanval), oncologie (aanslaan van de therapie), neurologie, cardiovasculaire chirurgie (vaststellen van instabiele plaques) en oogheelkunde (glaucoom) werden (mogelijke) diagnostische toepassingen verondersteld. Voor de realisatie van een dergelijk radiofarmacon was gezuiverd Annexine A5 en een brug naar radioactief Technetium (dat als radioactief isotoop gebruikt werd) nodig. Deze brug inclusief het label werd geleverd door de firma Mallinckrodt. Na eerste succesvolle studies bleek al snel extra geld nodig te zijn voor doorontwikkeling van Annexine A5 als diagnosticum. Hiervoor is het gehele ontwikkelingsproces (inclusief de patentaanvraag en de samenwerking met Mallinckrodt) overgenomen door het bedrijf Nexins. Na drie jaar is de samenwerking met Mallinckrodt opgezegd (door veranderingen als gevolg van verschillende overnames). Om een dreigende patentinbreuk af te kunnen wentelen is een samenwerking aangegaan met het Amerikaanse bedrijf Theseus Imaging (later overgenomen door North American Scientific). Aangezien Theseus Imaging de beschikking had over een door de FDA goedgekeurde brug (fenothiate) is de verdere ontwikkeling in de Verenigde Staten voorgezet. Omdat ook de productie van Annexine A5 in de VS plaatsvond is de gehele productie en kwaliteitsborging eind jaren '90 van de vorige eeuw uit Nederland verdwenen.

Onderzoekers van de Universiteit van Maastricht hebben zich, middels een beurs van het Stimuleringsprogramma Innovatief Geneesmiddelenonderzoek en Ondernemerschap in Nederland (STIGON), gericht op onderzoek naar varianten van Annexine A5 om een groter toepassingsterrein mogelijk te maken.

### *Huidige stand van zaken*

Sinds 2002 heeft het onderzoek naar de mogelijke toepassingen van Annexine A5 en de werking van apoptose niet stilgestaan. Dit onderzoeksgebied speelt nog altijd een belangrijke rol binnen de vakgroep Biochemie van Universiteit van Maastricht. Beoogd wordt om fundamenteel onderzoek, waar de focus ligt, zo goed mogelijk te vertalen naar klinische toepassing (translationeel onderzoek).

Op dit moment wordt Annexine A5 gelabeld met radioactief Technetium vooral gebruikt als onderzoeksdiagnosticum (om de status van apoptose met betrekking tot verschillende ziektebeelden vast te kunnen stellen) en als uitleesparameter (om de efficiëntie van een therapie bij de behandeling van kanker te kunnen bepalen). Het staat vast dat apoptische cellen een wezenlijke rol spelen bij het ontstaan van ziekten, onder andere cardiovasculaire ziekten (bijvoorbeeld hartinfarcten, aderverkalking en de afstoting van het hart na transplantatie), kanker/auto-immuunziekten en inflammatoire ziekten.

Het onderzoek aan de Universiteit van Maastricht is nog altijd met name gericht op de diagnostische toepassing van Annexine A5. Er heeft een aantal innovaties in het product plaatsgevonden waaruit nieuwe varianten van annexine zijn voortgekomen die beter te gebruiken zijn als diagnostisch middel. Op dit moment worden samen met een bedrijf producten voor de onderzoeksmarkt geproduceerd en gedistribueerd. Het betreft hier met name in-vitro en preklinische toepassing. De stap naar daadwerkelijke klinische toepassing is erg lastig te maken, omdat men te kampen heeft met financieringsproblemen. Vooral de productie onder *Good Manufacturing Practice* (GMP) condities vormen hier het grootste probleem. Voor het opzetten van een dergelijk productiesysteem is tussen de €500.000 en €1.000.000 nodig. Er wordt momenteel overleg gevoerd met een aantal partijen, maar tot op heden heeft dit nog niet tot resultaten geleid. Ook is geprobeerd om middels subsidies van STIGON (eind 2005 afgelopen) en STW de stap richting klinische fase van de ontwikkeling te maken, maar dit is eveneens niet gelukt als gevolg van onvoldoende financiële middelen. Ondanks deze financiële tegenslagen is het onderzoek allesbehalve stil blijven staan. Er zijn duidelijke kansen voor de klinische toepassing van Annexine A5.

Waar in 2002 de gehele productie en kwaliteitscontrole van Annexine A5 uit Nederland verdwenen was en plaatsvond in de Verenigde Staten is dit proces op dit moment weer 'terug' in Nederland. In 2002 was Theseus Imaging (als onderdeel van North American Scientific) verantwoordelijk voor de productie van het radio-actief gelabelde Annexine A5. Dit bedrijf heeft echter in 2004 de activiteiten gestaakt, waardoor de productie is overgenomen door het Nederlandse Nexins, dat eerder een samenwerkingsverband was aangegaan met dit Amerikaanse bedrijf. Nexins is later veranderd in MosaMedix Health Care, een bedrijf dat zich richt op ontwikkeling van Annexine A5 voor de preklinische en (uiteindelijk) klinische markt.

### *De toekomst*

De toekomst van Annexine A5 is breder dan enkel de toepassing als diagnosticum. Door de eigenschap van het eiwit om te binden aan fosfatidylserine kan het mogelijk ook gebruikt worden om geneesmiddelen op de juiste plaats in het lichaam te af te geven. Bijvoorbeeld door een geneesmiddel te binden aan Annexine, in plaats van een fluorescent of radioactief label. Het therapeutisch middel dat hierbij ontstaat kan vervolgens op die plaats in het lichaam worden afgegeven waar het nodig is. Hierbij wordt een nieuwe weg ingeslagen in de keten van persoonlijke medicatie ('personalized medicine'). Aangezien Annexine A5 momenteel een van de weinige voorbeelden is van een succesvol radiofarmacon wordt het door verschillende kennisinstellingen en bedrijven als Philips, GE en Siemens (grote spelers op het gebied van 'personal health care') beschouwd als een veelbelovend concept in de behandeling van cardiovasculaire ziekten en kanker.

Deze verschuiving van diagnostische richting therapeutische toepassing van Annexine A5 kan uiteindelijk resulteren in een combinatie procedure waarin zowel diagnose als therapie plaatsvindt. Door middel van het aantonen van apoptose middels beeldvormingstechnologie waarbij gebruik gemaakt wordt van radioactief gelabeld Annexine A5 kunnen patiënten geselecteerd worden die in aanmerking komen voor Annexine A5 therapie. Deze duale toepassing van Annexine A5 kan in de toekomst een belangrijke rol spelen in de behandeling van kanker en cardiovasculaire ziekten.

#### *Kortom*

- De gehele ontwikkeling van Annexine A5 vindt, na een kortstondige uitstap naar de Verenigde Staten, weer plaats in Nederland (aan kennisinstellingen en bij bedrijven).
- Het verkrijgen van voldoende financiële middelen om de stap richting klinische studies (GMP productie) te kunnen maken is nog altijd een grote barrière.
- Ondanks financiële tegenslagen is het onderzoek naar toepassingsmogelijkheden van Annexine A5 niet tot stilstand gekomen.
- Er vindt een verschuiving plaats in het gebruik van Annexine A5 als diagnosticum naar toepassing als therapie ('personalized medicine').
- Door gecombineerde toepassing van Annexine A5 in diagnose en therapie kan het een belangrijke rol spelen bij de behandeling van kanker en cardiovasculaire ziekten.

## 2.2 De ontwikkeling van $\alpha$ -glucosidase voor de ziekte van Pompe

De ziekte van Pompe is een zeldzame, erfelijke en vaak dodelijke aandoening die voornamelijk de spieren treft. De ziekte komt voor bij 1 op de 40.000 geboren kinderen, waardoor het valt in de categorie van weesziekten ('orphan diseases' of het vaker gebruikte 'rare diseases') en wordt veroorzaakt door een deficiëntie van het enzym  $\alpha$ -glucosidase waardoor glycogeen niet wordt afgebroken en er stapeling optreedt van de stof in lichaamscellen. De ziekte wordt hierdoor ook wel glycogeenstapelingsziekte type 2 of zure-maltasedeficiëntie genoemd. Door deze stapeling van glycogeen in de spieren neemt de spierfunctie af en raken uiteindelijk alle spiercellen beschadigd. Als gevolg hiervan valt de ziekte niet alleen in de categorie van de stapelingsziekten maar ook in die van de spierziekten. De ziekte komt voor in veel varianten (er zijn meer dan 70 mutaties in het  $\alpha$ -glucosidasegen geïdentificeerd die symptomen van de ziekte van Pompe veroorzaken) waarvan de vroeg optredende ernstige ('early onset' of infantiele) vorm en een minder progressieve ('late onset') vorm het bekendste zijn. De ziekte is over het algemeen ernstiger naarmate zij eerder in de kindertijd optreedt. Bij de 'early onset' variant is er sprake van een totale deficiëntie van  $\alpha$ -glucosidase, terwijl de 'late onset' variant het gevolg is van gedeeltelijke deficiëntie van het enzym. De 'late onset' variant van de ziekte kan zich al in de kindertijd voordoen maar ook pas op volwassen leeftijd. Kenmerkend is vooral een spierzwakte van de bekken-, bovenbeen- en rompspieren. Tevens kunnen ademhalingsproblemen optreden.

#### *Tot aan 2002*

Het gen voor  $\alpha$ -glucosidase is ontdekt, gekloneerd en verder onderzocht op mutaties aan de Erasmus Universiteit in de periode 1986 tot 1990. Met het gekloneerde gen zijn de onderzoekers op zoek gegaan naar een bedrijf om het enzym voor therapie te produceren. Het biotechnologie bedrijf Pharming bleek geïnteresseerd en heeft samen met drie universitaire uitvinders een basispatent aangevraagd. Voor productie van het

enzym is een faciliteit opgezet in Geel (België) waarbij transgene konijnen zijn gebruikt. In 1996 is van de FDA een Orphan Drug Designation (ODD) verkregen. Dit is de eerste stap in de ontwikkeling van een weesgeneesmiddel en heeft een aantal voordelen voor producenten, zoals het komen te vervallen van registratiekosten, belastingaftrek voor onderzoeks- en ontwikkelingskosten en een zeven jaar durende marktexclusiviteit. Het uiteindelijk indienen van het registratiedossier zorgde voor een tweetal problemen. Ten eerste bleek er twee keer meer product nodig dan aanvankelijk gedacht. Gezien het feit dat de productie met konijnen plaatsvond, verliep opschaling moeizaam. Ten tweede bleken er meer patiënten nodig te zijn in de klinische studie, door aanpassing van de regels door de FDA. Door deze tegenslagen werd door Pharming gezocht naar een partner met meer financiële middelen. Dit heeft geresulteerd in een joint venture met het Amerikaanse bedrijf Genzyme. Daarnaast heeft de joint-venture het bedrijf Synpac Pharmaceuticals overgenomen. Door de overnames is, onder andere vanwege de opschalingmogelijkheden en de bekendheid bij de FDA, overgeschakeld van transgene konijnen op productie middels Chinese Hamster Ovary (CHO)-cellen. Hiermee werd de rol van Pharming als ontwikkelaar van het product nagenoeg tot nul gereduceerd. De overgang op een ander productiesysteem zorgde ervoor dat er opnieuw een Orphan Drug status aangevraagd moest worden en er dus vertraging optrad in de ontwikkeling. Deze status is door de FDA en de EMEA respectievelijk in augustus 1998 and februari 2001 verleend.

#### *Huidige stand van zaken*

Vanaf 2002 zijn er grote vooruitgangen geboekt met de ontwikkeling en registratie van  $\alpha$ -glucosidase door Genzyme, wat uiteindelijk heeft geresulteerd in de registratie van het product Myozyme in maart 2006 in zowel Amerika als de Europese Unie. Hiermee is het de eerste en enige (enzym)therapie voor behandeling van de ziekte van Pompe. In Nederland is het aantal Pompe-patiënten nog altijd groeiende, omdat patiënten die in de loop der jaren 'verloren' zijn gegaan in het systeem en dus niet meer als Pompe-patiënt bekend stonden, nu wel mogelijkheden voor behandeling zien. Op dit moment worden er in het Pompe Center, het expertisecentrum op het gebied van de ziekte van Pompe dat onderdeel uitmaakt van het Erasmus Medisch Centrum, 90 patiënten (waarvan 73 volwassenen) behandeld. Myozyme wordt elke twee weken gedurende een dag(deel) intraveneus per infuus toegebracht, deze behandeling moet het gehele leven plaatsvinden. In totaal zijn er in Nederland 130 à 140 mensen bekend met de ziekte van Pompe.

Alhoewel de registratie van het middel tot aanzienlijke verbeteringen voor de patiënten heeft geleid, zijn er enkele problemen opgetreden in de opschaling en daarmee in de beschikbaarheid van het product. Het middel werd in eerste instantie geproduceerd in door de FDA goedgekeurde, reactorvaten van 150 à 160 liter. Doordat klinische studies onder patiënten aantoonden dat er per kilogram lichaamsgewicht meer enzym toegediend diende te worden dan aanvankelijk werd verondersteld (het enzym bleek minder stabiel en werd sneller afgebroken), heeft Genzyme besloten de productie in Geel (België) op te schalen naar vaten van 2.000 liter en later zelfs 4.000 liter. Hiervoor was een nieuwe registratie bij de FDA en EMEA vereist. Het enzym dat geproduceerd werd in de grotere vaten bleek een net iets andere samenstelling in suikerketens te hebben en potentieel meer immunogeen te zijn dan het product in het goedgekeurde kleine reactorvat. Volgens de FDA betekende dit dat het om een ander product gaat, waar Genzyme geen rekening mee had gehouden. De goedkeuring van dit 'nieuwe' product heeft dus langer op zich laten wachten dan de bedoeling was, met als resultaat dat er begin dit jaar, als gevolg van een sterk gestegen vraag, een periode van 3 maanden een tekort is geweest aan het middel Myozyme. Het gevolg hiervan was dat volwassen patiënten op rantsoen zijn gezet (ze kregen het middel om de vier weken toegediend, in plaats van het gebruikelijke infuus elke twee weken) en kinderen voorrang kregen bij levering. Dankzij het initiatief en betrokkenheid van de Vereniging Spierziekten Nederland (VSN) lag dit 'noodscenario' (gedragen door medisch adviseurs, patiëntenorganisaties, de EMEA en de industrie) gelukkig al klaar.



Alhoewel door Genzyme werd aangegeven dat deze halvering van de therapie voor volwassenen geen schadelijke gevolgen zou hebben, bleek uit een studie van de International Pompe Association (IPA) het missen van de therapie een enorme impact te hebben op de beleving van de patiënten.

Uiteindelijk is de productie in het 4.000 liter vat door de EMEA goedgekeurd en in gebruik genomen in Geel. Dit reactorvat zorgt echter niet alleen voor de productie van Myozyme, maar wordt ook gebruikt voor de productie van Fabrazyme (ter behandeling van de ziekte van Fabry) en Cerezyme (ziekte van Gaucher). (De laatste twee betreft eveneens enzymtherapieën). Wanneer er echter een besmetting in bioreactoren optreedt, hetgeen dit jaar eveneens het geval was, betekent dit dat alle drie de producten niet geproduceerd kunnen worden.

Naast de problematiek omtrent de beschikbaarheid van het middel is de afgelopen jaren veel te doen geweest op het vlak van de vergoeding ervan. In eerste instantie was de minister van VWS van mening dat dergelijke dure geneesmiddelen via de academische component van Universitaire Medische Centra (UMC's) bekostigd zouden dienen te worden. Dit is het deel van het budget dat bestemd is voor onderzoek, ontwikkeling, innovatie en extreem specialistische zorg. De UMC's antwoordden hierop dat ze dergelijke behandelingen niet uit de academische component konden betalen, omdat dit ten koste zou gaan van andere patiënten. Een petitie opgesteld door de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen en een onderzoek naar vragen uit de Tweede Kamer hebben ertoe geleid dat deze dure weesgeneesmiddelen in een speciale subsidieregeling zijn opgenomen. In 2006 is een nieuwe Beleidsregel Weesgeneesmiddelen gekomen die gericht is op de vergoeding van weesgeneesmiddelen. Deze beleidsregel geldt uitsluitend voor UMC's en deze komen hiervoor in aanmerking als de totale kosten van het weesgeneesmiddel op prognosebasis 5% of meer uitmaakt van de gemiddelde geneesmiddelenkosten van de academische ziekenhuizen. Indien dit het geval is wordt 100% (in eerste instantie 95%, maar na bezwaren van de UMC's verhoogd tot 100%) van de kosten van het weesgeneesmiddel vergoed. Myozyme was het eerste weesgeneesmiddel dat meteen op deze beleidsregel is gekomen en staat expliciet genoemd als voorbeeldziekte. De kosten voor behandeling met dit middel bedragen voor volwassenen ongeveer €300.000 per jaar (afhankelijk van het lichaamsgewicht). Producten worden eerst gedurende een periode van drie of vier jaar tijdelijk op de lijst van de Beleidsregel Weesgeneesmiddelen geplaatst. Aan het College voor Zorgverzekeringen (CVZ) moeten na die tijd gegevens kunnen worden overlegd over de doelmatigheid en effectiviteit van de therapie. Binnen het programma Doelmatigheidsonderzoek naar dure en weesgeneesmiddelen van ZonMw kunnen aanvragen voor subsidie worden ingediend om dit kosteneffectiviteitsonderzoek uit te voeren. Aan het Erasmus Medisch Centrum wordt momenteel gewerkt aan de uitvoering van dit onderzoek, dat gefinancierd wordt door dit programma en dat in oktober 2008 kon worden gestart. Het is echter belangrijk om het natuurlijk verloop van de ziekte te weten om te kunnen beoordelen wat het effect is van de therapie. Het gaat om een chronische ziekte, dus zal een periode van drie jaar tekort zijn om de echte effecten in te zien. In 2011 moet echter al wel een rapport beschikbaar zijn dat de basis vormt voor de definitieve vergoedingsbeslissing van Myozyme. Het blijft voor onderzoekers, behandelaars en niet in de laatste plaats voor de patiënten een onzekere periode.

Nu het middel Myozyme enkele jaren op de markt beschikbaar is, breekt een nieuwe fase in het onderzoek plaats. Translationeel onderzoek stopt niet bij het naar de markt brengen van een therapie. Niet bij iedere patiënt slaat de behandeling namelijk even goed aan (bijvoorbeeld door de vorming van antilichamen). Vragen als "wat is de optimale dosering per kilogram lichaamsgewicht?" en "hoe is het gesteld met de spierregistratie en het herstel?" blijven continu aan de orde. Ook nieuwe symptomen van de ziekten dienen zich aan nu kinderen niet in het eerste jaar overlijden. Om tot oplossingen te komen blijft basaal wetenschappelijk onderzoek naar weesziekten essentieel.

De afgelopen jaren hebben zeldzame ziekten aan aandacht gewonnen. Zo heeft het Erasmus Medisch Centrum samen met de International Pompe Association (IPA) een onderzoek uitgevoerd onder patiënten om de effecten van de behandeling goed te kunnen beoordelen. Binnen de Europese Unie is veel aandacht voor zeldzame aandoeningen (zowel als apart aandachtsgebied binnen het Directoraat-Generaal voor Gezondheids- en Consumentenbescherming als via projecten in de Kaderprogramma's). In Nederland is er bij de verschillende UMC's veel interesse in deelname aan projecten op het gebied van zeldzame aandoeningen.

#### *De toekomst*

Naast de huidige therapie voor behandeling van de ziekte van Pompe (enzymtherapie) wordt er momenteel uitgebreid onderzoek verricht naar andersoortige therapieën. Vooral gentherapie wordt gezien als een potentieel alternatief voor de huidige therapie, maar er vindt ook onderzoek plaats naar chaperonetherapie (chaperones zijn eiwitten die een rol spelen in het ontvouwen van andere eiwitten). Verschillende bedrijven zien in dat er een markt is voor dit soort therapieën; er is een enorme spin-off in onderzoek en ontwikkeling.

#### *Kortom*

- Aangezien Myozyme slechts op één locatie wordt geproduceerd in bioreactoren gebruikmakend van Chinese Hamster Ovary-cellen is beschikbaarheid in de toekomst mogelijk opnieuw een probleem. Besmetting van het productiesysteem leidt onherroepelijk tot een productiestop (eveneens voor de middelen Fabrazyme en Cerezyme).
- Er is slechts 1 therapie beschikbaar voor behandeling van de ziekte van Pompe. Er is dus geen alternatief voorhanden indien het middel niet beschikbaar is (zie voorgaande punt) of niet goed aanslaat bij de patiënt.
- Gedurende het gehele proces heeft het Erasmus Medisch Centrum een sleutelrol vervuld. Zonder deze inspanningen van het EMC was het middel niet op de markt gekomen.
- De definitieve vergoedingsbeslissing van het CVZ na de drie-vier-jarige tijdelijke plaatsing op de Beleidsregel Weesgeneesmiddelen met betrekking tot Myozyme zorgt voor onzekerheid bij onderzoekers, behandelaars en zeker patiënten.

### **2.3 De ontwikkeling van Factor IX-concentraat voor de behandeling van Hemofilie B**

Hemofilie is een erfelijke stoornis in de bloedstolling die veroorzaakt wordt door afwijkingen in de genen die verantwoordelijk zijn voor stollingsfactoren VIII (Hemofilie A) en IX (Hemofilie B). Hemofilie komt voor bij 1 op de 10.000 mannen (aangezien het een aandoening betreft op het X-chromosoom), waarbij Hemofilie A het meest voorkomt (6 op de 7 patiënten). Nederland telt ongeveer 1.600 Hemofiliepatiënten, waarvan ongeveer 230 met Hemofilie B. Dit zijn echter schattingen, er bestaat geen nationaal registratiesysteem. Niet iedere patiënt heeft een ernstige vorm. Door het toedienen van stollingsfactor IX normaliseert de bloedstolling bij deze patiënten. Stollingsfactoren kunnen profylactisch worden toegediend om enerzijds bloedingen te voorkomen en anderzijds bloedingen die ondanks alles toch optreden te stoppen.

#### *Tot aan 2002*

Al geruime tijd zijn stollingsfactoren bereid uit gezuiverd menselijk bloedplasma als therapie voor Hemofilie B-patiënten beschikbaar. Waar besmetting met

infectieziekten als Hiv en Hepatitis C vroeger een belangrijk gevaar vormde dat gepaard ging met de toediening van bloedproducten, is dit in de jaren '90 van de vorige eeuw door nieuwe virusinactivatietechnieken tot een minimum gereduceerd. In 1992 is Sanquin begonnen met de ontwikkeling van een eigen hooggezuiverd plasma factor IX-preparaat door middel van een unieke monoklonale antistof. Dit paste binnen de missie van Sanquin om de Nederlandse markt te voorzien van bloedproducten afkomstig van vrijwillige niet-betaalde donors. De registratie van het preparaat verliep via de Committee of Proprietary Medicinal Products (CPMP) van de European Medicines Agency (EMA) vanwege het biotechnologische karakter en bleek een leerzaam en tijdrovend proces. Vanwege de aandacht voor productveiligheid en klinische effectiviteit diende het product bij een groter aantal patiënten getest te worden, dit was niet gebruikelijk bij producten bereid uit bloed. Tevens had de CPMP weinig ervaring met het beoordelen van een combinatie van een biotech- en bloedproduct. In 2001 werd de registratie succesvol afgerond. Met de komst van recombinant factor IX, waar Sanquin in de jaren '80 ook onderzoek naar verricht heeft, werd de patiënt voor de keuze gesteld. Dit resulteerde omstreeks 2002 in Nederland in een 60% gebruik van het plasma-preparaat en 40% recombinantproduct. Risico's voor onbekende infecties en stabiliteit van het recombinantproduct waren de belangrijkste redenen voor het grote percentage plasmagebruikers. Hiernaast speelde het vertrouwen in Sanquin een belangrijke rol in het vasthouden aan het plasma-preparaat.

#### *Huidige stand van zaken*

De verhouding tussen gebruik van plasma factor IX en recombinant factor IX is sinds 2002 steeds meer verschoven richting recombinant: op dit moment wordt geschat dat door 40% van de Hemofilie B-patiënten het plasmaproduct wordt gebruikt, terwijl 60% gebruik maakt van het recombinantproduct. Deze cijfers werden in 2002 zorgvuldig door het ministerie van VWS bijgehouden (middels het ministerieel plan bloedvoorziening), momenteel gebeurt dat niet meer. De toename in het aantal patiënten dat recombinantproduct gebruikt is toe te schrijven aan nieuwe patiënten. Wanneer Hemofilie B bij iemand wordt gediagnosticeerd vormt recombinant factor IX de eerste behandelingsoptie, omdat het risico voor infectie bij plasmaproducten blijft bestaan (ook al is dit bijna tot nul gereduceerd door verregaande veiligheidstesten). De productie van plasma factor IX is sinds 2002 constant gebleven, omdat patiënten liever niet van therapie willen wisselen en de voorkeur voor een Nederlands product is blijven bestaan. Hier komt bij dat Sanquin een goede reputatie bezit waar het gaat om de veiligheid (in vergelijking met andere landen telt Nederland weinig virusinfecties als gevolg van vrijwillige niet-betaalde donors) en betrouwbaarheid van de producten. Het deel dat niet in Nederland gebruikt wordt - er is namelijk bij Sanquin meer plasma beschikbaar om factor IX te produceren dan in Nederland nodig is - wordt als overschotproduct in andere landen gebruikt. Tevens wordt de overcapaciteit in het productieproces benut om het bloedplasma uit andere landen door Sanquin te laten fractioneren. Gezien de missie van Sanquin blijft de Nederlandse markt het uitgangspunt, er mag geen winst gemaakt worden op export van de producten, omdat in Nederland gewerkt wordt met vrijwillige niet-betaalde donors.

In Nederland is Sanquin op dit moment de enige producent van plasma factor IX. Voorheen waren ook CSL-Behring (Mononine), Baxter (Immunine) en Eurocept/Octapharma (Nanotiv) op de markt met een plasmavariant. In 1997 heeft het bedrijf Wyeth toestemming verkregen het eerste recombinant factor IX-product (Benefix) op de Europese markt te brengen. De kosten van beide typen producten verschillen niet veel van elkaar, het recombinant is net wat duurder (€0,99 per eenheid) dan het plasmaproduct (tussen €0,74 en €0,84 per eenheid). Behandeling kost per patiënt ongeveer €100.000 per jaar, maar is afhankelijk van de ernst van de ziekte en het verschil tussen profylactische en 'on demand' behandeling. Dit is minder dan bijvoorbeeld factor VIII (€150.000), omdat de halfwaardetijd van dit eiwit korter is dan het factor IX eiwit. Vanwege post-translationele modificaties van het eiwit is

recombinant factor IX zeer lastig te maken. Een groot gedeelte van het product is na productie niet identiek aan het gewenste eiwit en dient gezuiverd te worden. Aangezien de prijs mede afhankelijk is van de hoeveelheid productiemedium dat gebruikt wordt blijft de prijs hoog. Zoals ook uit de casus rondom de ziekte van Pompe blijkt speelt kosteneffectiviteitsonderzoek een steeds belangrijkere rol bij weesgeneesmiddelen.

Het duale karakter van Sanquin, namelijk zowel een publieke functie (verzorgen van de bloedvoorziening in Nederland) als een private functie (productie en verkoop van plasmaproducten waaronder factor IX), staat nog altijd onder druk en vormt soms een belemmering voor de schaal waarop gewerkt kan worden. Afgelopen jaar werd in een krantenartikel gesuggereerd dat Sanquin Nederlands donorbloed gebruikt zou hebben voor geneesmiddelen in de Verenigde Staten. Dit bleek onjuist, er werd namelijk Amerikaans bloed gebruikt dat in Nederland door Sanquin gefractioneerd is waarna het als product teruggeleverd is aan de Amerikaanse markt. Hieruit blijkt dat het lastig is voor Sanquin om op een commerciële markt actief te zijn terwijl ook een publieke taak wordt vervuld. Op dit moment is Sanquin bezig met de ontwikkeling van recombinant factor IX, maar het gaat hier heel zorgvuldig mee om. Wanneer geen partner gevonden wordt om het product te commercialiseren zal de ontwikkeling gestaakt worden. Sanquin richt zich alleen op het inbrengen van kennis en wil zich niet op de markt begeven met een recombinantproduct.

#### *De toekomst*

De discussie omtrent kosteneffectiviteit van de huidige behandeling van Hemofilie B middels plasma of recombinant factor IX producten, biedt mogelijkheden voor de ontwikkeling van nieuwe therapieën, bijvoorbeeld genterapie. Het bedrijf Amsterdam Molecular Therapeutics (AMT) verwacht over niet al te lange tijd de eerste klinische studies uit te zetten gebruikmakend van genterapie. Deze studies zullen in verband met problemen op het gebied van wet- en regelgeving (zie hiervoor) niet in Nederland plaatsvinden.

Tevens wordt er momenteel gewerkt aan het veranderen van het factor IX eiwit met als doel de halfwaardetijd te verlengen. Hierdoor blijft het eiwit langer in het lichaam actief en zal het minder frequent toegediend hoeven te worden. Deze aanpassing zal leiden tot een verdergaande verschuiving van het gebruik van plasma factor IX naar recombinant factor IX.

Verwacht wordt dat nieuwe bedrijven niet snel zullen toetreden op de markt voor recombinant factor IX, gezien de beperkte marktomvang. Wanneer bedrijven overwegen zich op de markt van recombinant producten te begeven is factor VIII eerder een optie dan factor IX.

#### *Kortom*

- Er is slechts één producent van recombinant factor IX, waardoor het een kwetsbaar systeem is als er zich problemen voordoen in de beschikbaarheid van het product.
- De aanwezigheid van twee verschillende therapieën (plasma en recombinant) zorgt voor keuzevrijheid bij patiënten en dient als mogelijke back-up bij problemen omtrent beschikbaarheid van één van beide producten.
- De duale (publiek-private) positie van Sanquin staat nog altijd onder druk. Hierdoor is het voor Sanquin niet mogelijk om zelfstandig een recombinant factor IX product op de markt te brengen terwijl het wel de kennis en kunde bezit.
- Nieuwe producenten zullen zich in eerste instantie richten op totaal nieuwe therapieën. Wanneer ze overwegen de markt met recombinant producten te betreden zullen ze zich allereerst richten op factor VIII en pas later op factor IX.

### 3. Casussen op het gebied van medische technologie

#### 3.1 De ontwikkeling van een MRI-compatibele couveuse

Een MRI-compatibele couveuse biedt de mogelijkheid om in een gecontroleerde en beschermde omgeving (de couveuse) onderzoek te doen naar hersenschade van prematuur geboren baby's, als gevolg van zuurstoftekort voor, tijdens of na de geboorte. Goede MRI (*magnetic resonance imaging*) beeldvorming levert informatie op die superieur en aanvullend is aan echografie en dit kan bepalend zijn voor het beleid en de afweging tussen doorgaan of stoppen met de behandeling van het pasgeboren kind. Het gegeven dat MRI-onderzoek bij pasgeborenen voorheen belemmerde, was dat de bestaande couveuses vanwege maatvoering en materiaal niet in een MRI-scanner konden worden geplaatst. Niet alleen werd het elektrisch systeem van de couveuse ontregeld door het magnetisch veld van de MRI, maar omgekeerd werd ook de beeldvorming van de MRI aangetast door metalen onderdelen van de couveuse.

##### *Tot aan 2002*

De technische vraag van het Kinderziekenhuis Erasmus MC-Sophia om een MRI-compatibele couveuse te ontwikkelen is via contacten met afdeling Biomedische Fysica en Technologie als afstudeerproject ondergebracht bij de TU Delft (afdeling industrieel ontwerpen). Deze afstudeeropdracht is in 2000 afgerond met een ontwerpvoorstel door Els van Vlaanderen, en was gebaseerd op een prototype dat Dräger reeds tot stand had gebracht. Het ontwerpvoorstel biedt -deels *hi-tech*- oplossingen voor een aantal tekortkomingen in het prototype, maar aangezien er gebruik is gemaakt van bestaande technologieën uit andere sectoren was het een probleem om patent aan te vragen op het ontwerp. Hoewel het ontwerpvoorstel nog niet productierijp was, bleek de techniek wel haalbaar om een MRI-compatibele couveuse te produceren. Er zijn vervolgens bouwtekeningen gemaakt, maar er is geen nieuw prototype gekomen. De financiering hiervan vormde het voornaamste probleem, maar daarnaast was er ook CE goedkeuring nodig. Nemoto Medical Europe BV, een klein Nederlands bedrijf gespecialiseerd in MRI compatibele apparatuur, had belangstelling een prototype te gaan bouwen van het nieuwe ontwerp. Nemoto zou de trekker worden van dit project. Er was een businessplan, maar de financiën en mogelijkheden om samen te werken met andere partners waren onvoldoende. Er was circa 0,2 miljoen euro nodig voor het ontwikkelen van een prototype en het uitvoeren van een klinische evaluatie. Financiering was in deze casus een belangrijke belemmering. Behalve door financiële belemmeringen is de ontwikkeling vertraagd doordat Nemoto een klein bedrijf is met beperkte capaciteit. Kleine bedrijven zijn door hun schaal gewend om eerder keuzes te maken en Nemoto gaf op dat moment prioriteit aan andere projecten. Dräger, een concern dat internationaal opereert, heeft hierop interesse getoond in het produceren van het prototype, maar verwachtte een te kleine omzet door de kleine marktomvang.

##### *Huidige stand van zaken*

Korte tijd na het stilvallen van de Nederlandse ontwikkeling, werd er een prototype gebouwd door Lammers Medical, een Duits bedrijf gevestigd in Lübeck. De directeur van dit bedrijf, Torsten Lönneker-Lammers, was vóór de oprichting ervan in 2001, werkzaam voor Dräger. De MRI-compatibele couveuse zou echter volgens hem niet in de product-portfolio van Dräger hebben gepast. Hoewel de hardware van de MRI compatibele couveuse van Lammers Medical Technology grote overeenkomsten vertoont met het ontwerp van de TU Delft, is er ook gebruik gemaakt van andere

technische oplossingen. Al op 12 april 2001 heeft de directeur van Lammers Medical Technology een aanvraag voor een patent op de MRI-compatibele couveuse gefiled in Amerika. Vervolgens is op 5 mei 2005 een tweede versie van de patent aanvraag ingediend, die op 9 oktober 2007 is gehonoreerd. Lammers Medical Technology heeft CE goedkeuring gekregen voor haar MRI-compatibele couveuse en deze is op de markt gekomen in 2003. De eerste installatie wereldwijd heeft plaatsgevonden in Los Angeles, USA. In 2004 volgde de eerste Europese installatie in Rotterdam, waar de MRI-compatible couveuse vandaag de dag naar alle tevredenheid wordt gebruikt. Klinische evaluaties geven aan dat de MRI-compatibele couveuse een aanzienlijke bijdrage heeft geleverd aan de kwaliteit van zorg als het gaat om diagnostiek bij hersenschade van prematuren. Inmiddels is een lijst met veertien publicaties beschikbaar waarin over onderzoek met de MRI-compatibele couveuse wordt gerapporteerd.

#### *Toekomst*

Gezien het aantal afnemers is er mondiaal duidelijk een markt voor de MRI-compatibele couveuse en die zal naar verwachting alleen maar toenemen.

#### *Kortom*

- Voor het Nederlandse ontwerp zijn geen patenten aangevraagd, omdat er gebruik is gemaakt van bestaande technologieën uit andere sectoren.
- Financiering voor de ontwikkeling van een MRI-compatibele couveuse vormde een belemmering; de mogelijkheid om buiten Nederland financiering te realiseren is een belangrijke factor in de uiteindelijke ontwikkeling
- Activiteiten om een MRI-compatibele couveuse te ontwikkelen hebben zich verplaatst van Nederland naar het buitenland.
- Het idee voor een MRI-compatibele couveuse was gebaseerd op een belangrijke medische behoefte.

### 3.2 De ontwikkeling van de PUCA-pomp

Hartfalen is één van de belangrijkste doodsoorzaken in de westerse samenleving. Een harttransplantatie, vaak het laatste redmiddel, is beperkt mogelijk door een structureel tekort aan donorharten. Een oplossing voor dit probleem wordt sinds enige decennia gezocht in de ontwikkeling van pompsystemen die het hart tijdelijk kunnen ondersteunen. De Pulsatiele Catheter (PUCA)-pomp is een *Left Ventricular Assist Device* (LAVD), een bloedpomp die via de aorta in het hart kan worden gebracht. Het wordt gebruikt bij patiënten met een acuut hartinfarct of ter ondersteuning van patiënten die niet van de hart-long machine losgekoppeld kunnen worden. De PUCA-pomp is een verbetering c.q. aanvulling op de veel gebruikte Intra Aortic Balloon Pumps (IABPs) die nu ingezet worden als ondersteuning bij hartfalen. Wereldwijd worden er jaarlijks 200.000 IABPs verkocht; de PUCA-pomp zou voor 10-20% van de IABP ondersteunde patiënten een oplossing kunnen bieden.

#### *Tot aan 2002*

Het basisprincipe van de PUCA-pomp werd al in 1966 beschreven door Hans Zwart in het proefschrift "Closed chest left ventricular by-pass" en was gebaseerd op toepassing

van de PUCA-pomp bij honden<sup>3</sup>. In 1989 heeft EZ 0,4 miljoen beschikbaar gesteld aan het toenmalige Biomedische Technologie Centrum (BMTC) in Groningen (daarna deel van de Disciplinegroep Biomaterialen van de Faculteit in Medische Wetenschappen van de RUG) om een onderzoek te starten naar hart ondersteunende bloedpompen. In 1990 werd bij dezelfde groep in Groningen een nieuwe variant op het principe van de hartpomp bedacht en in april 1992 werd het onderzoek naar de PUCA-pomp onderdeel van het EUREKA project 68211 "Trans Arterial Blood Pumps". Dit project werd financieel gedragen door de Nederlandse overheid, de Nederlandse Hartstichting, Duitsland en Zwitserland. Tussen 1990 en 1992 werden in de laboratoria van de Vrije Universiteit Berlijn de eerste prototypes van de tweekleppige PUCA-pomp gemaakt. Er volgde een Amerikaans prototype, vervaardigd van een dikwandige veneuze canule, die separate in- en uitstroomklepjes bevatte, en een pneumatisch aangedreven single-port membraan pomp. De eerste dunwandige polyurethaan PUCA-pomp catheters werden vanaf 1995 tot 1997 gemaakt. Tot 1998 werden in de prototypes van de PUCA pomp separate in- en uitstroomkleppen gemonteerd (PUCA I) om het bloed vanuit het linker ventrikel naar de membraanpomp-, en vanuit de membraanpomp naar de aorta te leiden. Sinds 1998 wordt er door de Sectie Artificial Organs de éénkleps versie van de PUCA-pomp (PUCA II) geproduceerd, welke een geminiaturiseerde in-en uitstroomklep heeft ingebouwd. Omdat een pulserende katheterpomp al in 1972 gepatenteerd bleek, is er een patent aangevraagd op deze speciale klep. Vervolgens moest er voor verdere ontwikkeling van de PUCA-pomp een klinische studie worden uitgevoerd. De onderzoekers van BMTC zijn er van uitgegaan dat het product wel verkocht zou worden aan een van de industriële partners van het EUREKA project. Toen geen van de deelnemers bereid bleek om de pomp op de markt te brengen, hebben de onderzoekers van BMTC besloten om zelf het bedrijf Intra-Vasc B.V. te starten. Het zoeken naar financiering is hierdoor (te) laat op gang gekomen.

#### *Huidige stand van zaken*

In 2002 werden het ontwerp en prototype overgenomen van de ontwikkelaar en is het patent naar Intra-vasc gegaan. Uiteindelijk is er een goede kwaliteit pompen tot stand gekomen. De veiligheid van de PUCA pomp is inmiddels eveneens aangetoond door middel van een klinische studie. Hiertoe is er een aanvraag ingediend bij de medisch-ethische commissie van het UMC Radboud in Nijmegen, die werd gehonoreerd. De veiligheid voldoet dan ook aan CE- en ISO-normen.

Verder is er een uitbreiding gekomen in de toepassing van de PUCA-pomp, namelijk bij een hartoperatie zonder hart-long machine. Met deze methode zijn er veertien patiënten succesvol behandeld.

Ondertussen zat Intra-Vasc aan het einde van haar financiering en werd er gezocht naar nieuwe investeerders. Daarnaast hebben de aandeelhouders van Intra-vasc een directeurswisseling doorgezet: zij zochten een meer commerciële directeur. Op zoek naar nieuwe investeerders zijn er gesprekken gevoerd met Syncardia, een Amerikaans bedrijf dat zich richt op kunstharten en dat de activiteiten van Intra-Vasc zou kunnen overnemen. Nog voor er sprake was van overname trok Syncardia zich terug, waardoor Intra-Vasc onvoldoende financiering had en vervolgens in 2005 failliet is gegaan.

In 2005/2006 is het bestuur van Intra-vasc benaderd door een Israëliische investeerder die de activiteiten van Intra-vasc wilde overnemen om een doorstart te maken. Zodoende is het in Amsterdam gevestigde bedrijf PulseCath B.V., opgericht met dezelfde commerciële directeur. Met een investering van 3 miljoen euro is

---

<sup>3</sup> Zie ook Development of the PUCA Pump - A trans-Arterial Ventricular Assist Device, D. Hihaylov, proefschrift RUG 2000

geprobeerd de pomp weer op de markt te brengen en dat is gelukt. De PUCA-pomp is echter nog niet winstgevend.

#### *De toekomst*

De afzetmarkt van de PUCA-Pomp in Europa wordt geschat op 5000 tot 10.000 producten per jaar. Het streven van PulseCath B.V. is om de prijs van de PUCA-pomp nog fors te verlagen, en daarmee zou de afzetmarkt flink kunnen groeien. De verwachting is dat het bedrijf over een jaar of drie verkocht wordt aan een grotere buitenlandse speler waardoor de kennis en productie van de PUCA-pomp uit Nederland verdwijnt.

#### *Kortom*

- Het belang van het tijdig voorbereiden van de klinische fase van medisch technologische producten wordt onderschat;
- Commercialisering van een product in de medische technologie vereist een hoeveelheid financiering die ondanks de beperkte omvang ervan moeilijk te realiseren is.
- Nederlandse medisch technologische bedrijven zijn te klein om dergelijke investeringen op te brengen.
- Externe investeerders vinden het risico om nieuwe medisch-technologische producten te financieren vaak te groot.

### 3.3 De ontwikkeling van de Handmaster

Om patiënten hun functie in hand en onderarm terug te laten krijgen na neurologisch letsel als gevolg van CVA (of beroerte), heeft het bedrijf NESS de Handmaster ontwikkeld. Dit is een verstevigde hand-orthese, of kunststof spalk met 5 geïntegreerde elektroden die elektrische pulsjes afgeven, bedoeld om de zenuwen te stimuleren in de aangedane hand en onderarm. De Handmaster maakt functionele elektrostimulatie in de thuissituatie mogelijk, met als doel het gebruik van de hand verder te revalideren, functieherstel te bewerkstelligen en complicaties die kunnen optreden door het niet-gebruiken van de hand, zoals spasticiteit en oedeem, te verminderen.

NESS is ontstaan vanuit het Israëliësch revalidatiecentrum Beth Lewenstein, waar de Handmaster door een multidisciplinair team (revalidatiearts, fysiotherapeut, ergotherapeut, patiënt en biomedical engineer) is ontwikkeld. Volgens NESS levert de Handmaster vergroting op van de kwaliteit van leven en zelfredzaamheid van patiënten, al zijn medische voordelen zoals een mogelijk verminderd gebruik van pijnstillers of antidepressiva of een verminderd beroep op thuiszorg nog niet evident.

De Handmaster is niet alleen gepatenteerd maar ook CE-gecertificeerd en er is een ISO 9000 normering verleend. De introductie van de Handmaster op de Nederlandse markt is grondig voorbereid en was zowel zorgvuldig, als ongebruikelijk in de revalidatiesector.

#### *Tot 2002*

Als eerste zijn patiënten (in samenwerking met de patiëntenvereniging) en beroeps-beoefenaren (revalidatieartsen, neurologen, fysiotherapeuten en ergotherapeuten) breed geïnformeerd over de Handmaster. Door enkele partijen is deze introductie echter ervaren als een wat agressieve marketingmethode, waardoor met name bij verschillende zorgverzekeraars en artsen weerstand is ontstaan. Zij vinden het rechtstreeks benaderen van patiënten via een patiëntenvereniging niet wenselijk. Ook



zijn er in de revalidatiecentra presentaties gehouden met mogelijkheden tot een proefbehandeling van vier weken, inclusief evaluatie en nazorg.

De introductie van de Handmaster, als eerste voorziening in dit segment, is langzamer verlopen dan NESS had voorzien. Toch adviseerde de Commissie van Beroepszaken van het College voor Zorgverzekeringen (CvZ) al in 1999 de Handmaster van NESS aan te merken als een bekrachtigde orthese, waarmee de Handmaster binnen het verstrekkingenpakket van de regeling Hulpmiddelen valt en dus vergoed kan worden. Deze uitspraak werd niet algemeen erkend want er zijn door individuele zorgverzekeraars vele argumenten gezocht om vergoeding zo lang mogelijk uit te stellen: de Handmaster staat niet in de regeling Hulpmiddelen, het is geen orthese, de gebruikerscriteria zijn niet duidelijk. Kortom, de neiging tot afwijzen is groot als het nut (functieverbetering en/of klachtenvermindering) van een middel niet bewezen is of als de prijs/prestatie verhouding als onredelijk wordt beschouwd.

#### *Huidige stand van zaken*

Er is in de afgelopen jaren veel discussie geweest over de primaire doelstelling en de effectiviteit van de Handmaster, waarbij het belang van de patiënt niet perse op de eerste plaats stond. In 2003 overwoog de Staatssecretaris van VWS de Handmaster uit te zonderen van de aanspraak op orthesen, omdat deze verstrekking experimentele trekken vertoonde, en ook de effectiviteit nog niet bewezen werd geacht. Het CvZ heeft daarop het voorlopige standpunt ingenomen de Handmaster niet voor vergoeding uit te zonderen, in afwachting van de resultaten van nader (doelmatigheid)onderzoek door NESS.

NESS heeft het CvZ meerdere malen verzocht om aan te geven welke onderzoeksinformatie benodigd was om de effectiviteit van de Handmaster aan te tonen. Daartoe moesten patiënten een onderzoeksprotocol doorlopen wat ook heeft plaatsgevonden. Echter, als er in de loop van een individueel onderzoek gegevens ontbraken (omdat de patiënt vanwege teveel pijn niet aan een meting kon voldoen), had dit gevolgen voor de volledigheid van het formulier. Onvolledige formulieren werden door het CvZ niet geaccepteerd, hetgeen een ongewenste bias in het onderzoek heeft gecreëerd.

Een ander onderzoek, geleid door het Revalidatiecentrum Tolbrug/Jeroen Bosch Ziekenhuis in 's-Hertogenbosch en het Rudolf Magnus Instituut van Neurowetenschappen, Universitair Medisch Centrum, toont aan dat de Handmaster bij 75% van de patiënten na gemiddeld 2,7 jaar nog steeds in gebruik is. Dit is een heel hoog percentage wat daarmee indirect de doelmatigheid van de Handmaster aantoont. Hoewel het CvZ een positieve vergoedingsbeslissing heeft voorgesteld aan het bestuur, heeft het bestuur anders beslist.

Dit betekent dat de Handmaster niet behoort tot de te verzekeren prestatie 'hulpmiddelenzorg'. Voor een uniforme beoordeling van alle hulpmiddelen met elektrostimulatie (ES) adviseert het CvZ de minister om nu ES-hulpmiddelen expliciet uit te sluiten van de te verzekeren prestatie 'spalk-, redressie- of correctieapparatuur'. Hiermee neemt CvZ vast een voorschot op vergoeding van alle andere toekomstige ES-apparatuur.

Na de uitspraak van CvZ zijn de revalidatie artsen die opdracht hadden kregen om advies te geven, in hoger beroep gegaan, omdat in hun visie de resultaten van de opdracht zijn verdraaid. Dit hoger beroep is echter afgewezen. Volgens NESS is het CvZ er van het begin af aan op uitgeweest vergoeding van de Handmaster tegen te houden; anderzijds kan men zich afvragen of de discussie even heftig zou zijn geweest bij een lagere prijs van het apparaat.

Op dit moment wordt de Handmaster dus nauwelijks, alleen heel incidenteel, vergoed. De Handmaster is tegenwoordig op de markt onder een nieuwe naam: de NESS H200. Dit product wordt uitsluitend particulier verkocht. Niet via thuiszorginstellingen, maar wel via orthopedische instrumentmakers. In 2002 had NESS Nederland, een dochteronderneming met tweeëntwintig personen, slechts één product op de markt,

namelijk de Handmaster. Op 1 jan 2008 is NESS overgenomen door het Amerikaanse bedrijf Bioness en tegenwoordig werken er 300 werknemers op het Nederlandse kantoor. De omzet van de Handmaster/H200 is sterk afgenomen en bedraagt nog slechts 20% van de omzet in 2002. Het gaat hier echter wel om een product van €4500,- en dat is voor veel patiënten een heel hoog bedrag. De producten van Bioness zijn voor een bepaalde groep patiënten, die beperkt zijn in hun functioneren door de gevolgen van CVA of MS. Deze groep patiënten valt, vaak mede door hun ziekte, voornamelijk in de lagere inkomsten groepen. Voor mensen die half-zijdig verlamd zijn, en gebruik willen maken van zowel de Handmaster als een been-orthese (Legmaster), lopen de kosten zelfs op tot 10.000 euro.

In 2002 was NESS nog voornamelijk gericht op Nederlandse markt, en het wilde Nederland als testland gebruiken omdat de revalidatie hier naar hun overtuiging op een relatief hoog niveau stond. De overtuiging was om via Nederland de opstap te kunnen maken naar de rest van Europa, maar dit is niet juist gebleken. Nederland staat op gebied van revalidatie onderzoek weliswaar op een hoog niveau, maar dit geldt niet altijd waar het de koppeling van het onderzoek met de markt betreft.

De afzetmarkt in Nederland is ook flink teruggelopen, waardoor BioNESS zich genoodzaakt ziet zich te richten op andere landen zoals Engeland en Duitsland. Hier hebben fondsen en onderzoeksinstellingen zoals de NHS (National Health Service), de HDA (Huntington's Disease Association) en de NMA (National Medical Association) aangegeven bij te dragen aan de financiering, wat aangeeft dat er toch duidelijk een markt is voor dit product. De Handmaster wordt nog steeds toegepast bij de behandeling van neurologisch letsel als gevolg van een beroerte, dwarslaesie of trauma's die ook op eva afdeling behandeld worden. Ondanks de moeizame ontwikkelingen is inmiddels ook een Legmaster ontwikkeld, die hetzelfde beoogt voor revalidatie van benen na neurologische incidenten.

De NESS H200 levert een bijdrage aan de kwaliteit van leven bij revalidatie, ondanks dat het CvZ het product onvoldoende bewezen acht in effectiviteit. De situatie rondom de Handmaster is een voorbeeld van een gepolariseerde en slepende discussie over vergoedingsaanspraken die nog altijd niet is bedaard. En het is de vraag of de doelmatigheidsdiscussie hier niet zijn doel voorbij is geschoten waarbij patiënten het kind van de rekening zijn.

#### *Kortom*

- Het doelmatigheidscriterium wordt aangewend om vergoeding van de Handmaster af te wijzen, zonder dat het belang van de patiënt hierin wordt meegenomen.
- Hierdoor is een controverse ontstaan tussen het CVZ, verzekeraars en NESS.
- De hoge kosten van de Handmaster en de classificering bij de hulpmiddelen hebben ertoe bijgedragen dat de Handmaster op de Nederlandse markt nauwelijks voet aan de grond heeft gekregen.
- In het buitenland ondervindt de Handmaster deze problemen niet.

## 4. Conclusies

Dit hoofdstuk gaat in op de belangrijkste conclusies van de zes beschreven casussen. Allereerst worden de algemene bevindingen per sector (biotech/farmasector en medische technologie) aangegeven, waarna een synthese wordt gepresenteerd.

### 4.1 Biotech/farmasector

Wat de casussen binnen de biotech/farmasector betreft vertonen de ontwikkeling van het middel Myozyme voor behandeling van de ziekte van Pompe en factor IX bij Hemofilie B de nodige overeenkomsten. Bij beide ontwikkelingen gaat het om een product voor de behandeling van een zeldzame aandoening, waardoor de ontwikkelingskosten en de kosten voor het uiteindelijke product erg hoog zijn in vergelijking met 'normale' medicijnen.

Omdat het weesziekten betreft zijn er slechts weinig (of in het geval van de ziekte van Pompe zelfs geen) andere therapieën op de markt aanwezig. Hierdoor is de beschikbaarheid van de producten kwetsbaar.

Wat ook een gemeenschappelijke factor is in beide ontwikkelingen is de betrokkenheid van patiënten(organisaties). Patiënten met weesziekten spelen vrijwel altijd een grote rol in ontwikkelingen en 'lobby' richting overheidsinstanties met betrekking tot vergoedingsbeslissingen. Dit verloopt vaak in nauwe samenwerking met behandelcentra van de desbetreffende aandoeningen.

Op het gebied van weesziekten interpreteren de Nederlandse overheidsorganisaties de Europese regels vaak strikter waardoor nieuwe ontwikkelingen (zoals gentherapie of producten uit transgene dieren), met name klinische studies, eerder in het buitenland zullen worden uitgevoerd. Op het gebied van wet- en regelgeving is sinds 2002 weinig vooruitgang geboekt, mede door terughoudendheid van het Ministerie van VWS en de Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (CCMO) met betrekking tot innovatief geneesmiddelenonderzoek.

Wanneer alle casussen uit de biotech/farmasector in ogenschouw worden genomen, kan gesteld worden dat dergelijk innovatief onderzoek vaak vanuit de eerste geldstroom gefinancierd wordt. In tijden dat er aanzienlijk gekort wordt op de eerste geldstroom (mede door overheveling van €100 miljoen naar de tweede geldstroom) komt innovatief onderzoek onder druk te staan. Onderzoek naar zeldzame aandoeningen en uiteindelijk de zorg voor patiënten met zo'n aandoening kan hierdoor worden bedreigd.

### 4.2 Medische technologie

Een overeenkomstige belemmering, die in alle drie de casussen binnen de sector medische technologie een rol van betekenis speelt, is de moeilijkheid financiering te krijgen voor de productie van een nieuw product. Ondernemers op gebied van medische technologie zijn vaak kleine bedrijven die niet de capaciteit hebben om grote investeringen te doen. Daarbij vinden externe investeerders het risico om nieuwe producten te financieren vaak te groot.

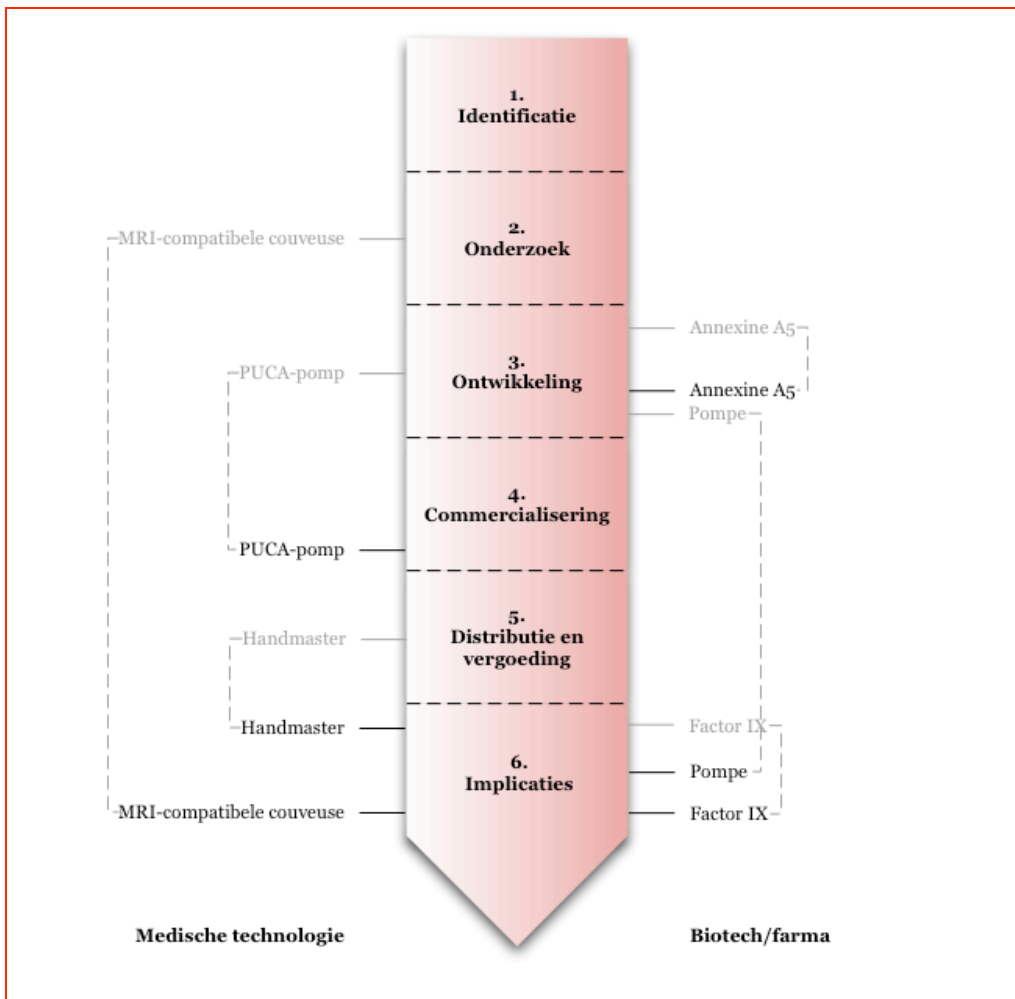
In Nederland lijkt de schakel tussen kennis en commercialisering niet altijd soepel te verlopen, waardoor sommige producenten hun toevlucht nemen naar het buitenland of producten niet de kans krijgen die ze wellicht waard zijn.

Een ‘medisch technologisch platform’ zou een manier kunnen zijn om nieuwe ontwikkelingen op dit gebied te stimuleren en te ondersteunen. Voor producten die voorzien in een urgente behoefte is het relatief makkelijker om investeerders te vinden, aangezien het financiële risico kleiner is. Dit betekent echter niet dat het niet rendabel is om te investeren in producten waarnaar de vraag minder ‘zichtbaar’ is. Juist wanneer er betere methodes ontwikkeld worden om kwaliteit van zorg te evalueren, kan er ook beter in kaart worden gebracht welke investeringen in medische technologie kwaliteit leveren die zichzelf op termijn terug betalen.

### 4.3 Synthese

Deze paragraaf geeft een overzicht van de belangrijkste resultaten uit de casussen als geheel. In Figuur 2 wordt aangegeven hoe de ontwikkelingen zijn verlopen ten opzichte van de status in 2002 (ten tijde van het RGO-advies). Hierbij valt op dat vooral de ontwikkeling van zowel de MRI-compatibele couveuse als de behandeling van de ziekte van Pompe middels Myozyme de grootste progressie heeft geboekt. Dit heeft mogelijk te maken met het feit dat beide producten een belangrijke rol hebben bij vraagstukken rond leven en dood: De beslissing om premature baby’s als dan niet in leven te houden, of de kans op leven met Myozyme. In die zin is vraagsturing dwingender naarmate de potentiële ontwikkeling met leven en dood te maken heeft. In retrospectief kan men derhalve veronderstellen dat dit een belangrijke factor is geweest in het tempo van beide ontwikkelingen.

Figuur 2 Het model van Rogers inclusief status van de casussen in 2009



Bron: Technopolis Group (2009), in grijs is de status van de casus in 2002 weergegeven.

Onderstaande tabel (Figuur 3) geeft voor iedere casus aan waar de kennisontwikkeling en commercialisering anno 2002 plaatsvond en op dit moment plaatsvindt. Van alle casussen, met uitzondering van de MRI-compatibele couveuse, vindt nog altijd kennisontwikkeling in Nederland plaats. Voor de biotech/famasector betreft het met name universiteiten en universitair medische centra. De huidige ontwikkelingen voor de drie medisch technologische casussen vinden vooral plaats binnen de industrie.

Ook voor de commercialisering van ontwikkelingen is deze vergelijking gemaakt. Waar in 2002 5 ontwikkelingen zich richtten op commercialisering met behulp van Nederlandse partijen is dit momenteel nog maar bij drie ontwikkelingen het geval. Opvallend is dat de commercialisering van Annexine A5 in 2002 in de Verenigde Staten plaatsvond, maar sinds een aantal jaren weer is teruggekeerd in Nederland, waar ook nog altijd veel kennisontwikkeling rondom dit product plaatsvindt. Op het gebied van medische technologie is Duitsland een belangrijke speler. Zowel de commercialisering van de MRI-compatibele couveuse als de Handmaster is gedeeltelijk of volledig naar Duitsland verschoven.

Opvallend is verder dat de ontwikkeling en commercialisering van Factor IX gedurende de gehele periode in Nederland is gebleven. Sanquin is altijd een betrouwbare partner geweest met betrekking tot de beschikbaarheid en veiligheid van het product.

Figuur 3 Toepassingsgebied en betrokken landen per casus

	Casus	Toepassing	Kenniss (wetenschap)		Commercialisering (industrie)	
			2002	2009	2002	2009
Biotech/ farmasector	Annexine A5	Diagnostiek	NL	NL	VS	NL
	Pompe	Therapie	NL	NL	NL	VS/BE
	Factor IX	Therapie	NL	NL	NL	NL
Medische technologie	MRI-compatibele couveuse	Diagnostiek	NL	-	NL	DE
	PUCA-pomp	Therapie	NL	NL	IS/NL	NL
	Handmaster	Therapie/ care	IS	NL	NL	UK/DE/NL

Wanneer gekeken wordt naar de rol die financiering van kennisontwikkeling (met name aan universiteiten), financiering van commercialisering (bij bedrijven), een vergoedingsbeslissing en patiënten hebben gespeeld in de ontwikkeling van de zes producten valt op dat er vooral belemmeringen worden waargenomen gedurende de commercialiseringfase (zie Figuur 4). Het is derhalve niet verwonderlijk dat een groot deel van de producten niet door Nederlandse partners worden vercommercialiseerd.

De invloed van patiënten is uitsluitend groot in de Pompe en Factor IX casussen, en dus bij de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen. Mede door de invloed van patiënten wordt het middel Myozyme uiteindelijk vergoed, terwijl misschien wel door gebrek aan invloed van patiënten de vergoedingsbeslissing rondom de Handmaster negatief is uitgevallen. Op de ontwikkeling van de andere twee medisch technologische producten is de invloed van patiënten gering, wat niet verwonderlijk is gezien de aard en toepassing van het product. Hier echter is m.n. de ontwikkeling van de MRI-compatibele couveuse door een zorgvraag geïnitieerd.

Ook in deze tabel valt de Factor IX casus op; er zijn geen belemmeringen gesignaleerd in de financiering of vergoedingsbeslissing. Dit heeft vooral te maken met het publiek-private karakter van Sanquin en de vergoedingshistorie van Hemofilie B.

Figuur 4 Rol van financiering, vergoedingsbeslissing en patiënten per casus

	Casus	Financiering van kennis	Financiering van commercialisering	Vergoedingsbeslissing	Invloed patiënt
Biotech/ farmasector	Annexine A5	X	X		Geen
	Pompe		X	X	Groot
	Factor IX				Groot
Medische technologie	MRI-compatibele couveuse		X		Geen
	PUCA-pomp		X		Geen
	Handmaster		X	X	Geen

X = gesignaleerde belemmering.

#### 4.4 Vragen uit de offerte

In deze paragraaf zal ingegaan worden op de beantwoording van de vragen zoals opgenomen in de offerte. Deze vragen zullen worden beantwoord vanuit de zes casusbeschrijvingen. Het betreft de volgende vragen:

1. Is het product op de markt gekomen en wat zijn de economische revenuen geweest (geld, patenten, licenties, verkopen)?

Voor de drie casussen uit de biotech/farmasector bevindt alleen Annexine A5 zich nog in de ontwikkelingsfase (zie Figuur 2), de overige twee casussen hebben geleid tot concrete producten voor respectievelijk behandeling van de ziekte van Pompe (het product Myozyme van Genzyme) en Hemofilie B (het plasma factor IX van Sanquin). Er is geen inzicht verkregen in de omzet die deze twee producten genereren, echter is wel bekend dat behandeling met Myozyme (afhankelijk van de ernst van de ziekte en eigenschappen van de patiënt) jaarlijks ongeveer €300.000 per patiënt bedraagt. Rekeninghoudend met de 90 Pompe-patiënten die op dit moment in het Erasmus Medisch Centrum behandeld worden (zie paragraaf 2.2), komt dit neer op jaarlijkse (geschatte) behandelingskosten van ongeveer €25 miljoen<sup>4</sup>. Voor plasma factor IX bedragen de jaarlijkse kosten €100.000 per patiënt. Uitgaande van 230 Hemofilie B-patiënten (zie paragraaf 2.3) waarvan 40% plasma factor IX gebruikt bedragen de jaarlijkse behandelingskosten met dit product ongeveer €9 miljoen<sup>5</sup>.

Voor de drie casussen uit de medische technologiesector geldt dat alle drie de producten inmiddels op de markt zijn gebracht, zij het overwegend in het buitenland. De MRI compatibele couveuse is in Duitsland verder ontwikkeld en heeft in dat opzicht geen economische revenuen voor de Nederlandse markt opgebracht. Lammers Medical Technology werd helaas niet bereid gevonden informatie te verstrekken over de grootte van de afzetmarkt en de omzet. De PUCA-pomp is wel in Nederland op de markt gebracht, maar is nog niet winstgevend. Er zijn wel inkomsten, maar de uitgaven voor verdere ontwikkeling gaan eveneens door. Verwacht wordt dat de PUCA-pomp vanaf 2010 wel winst zal opleveren. De afzetmarkt van de PUCA-pomp binnen Europa wordt geschat op 5000 tot 10.000 producten per jaar. Wat de Handmaster/H200 betreft bedraagt de omzet nog 20% van de omzet in 2002. De afzetmarkt in Nederland draait nu op een laag niveau waardoor Bioness zich is gaan oriënteren op andere landen zoals Engeland en Duitsland.

2. Heeft het product een bijdrage geleverd aan de kwaliteit van zorg en de volksgezondheid, en is daar ook onderzoek naar gedaan (aan welke uitkomstmaten wordt dat afgemeten)?

Aangezien Annexine A5 zich nog in de ontwikkelingsfase bevindt is het lastig aan te geven wat de bijdrage is die het kan leveren aan de kwaliteit van zorg en de volksgezondheid. Wel wordt verwacht dat het middel kan dienen voor gelijktijdige diagnose en behandeling van aandoeningen waarbij sprake is van apoptose. Er wordt veel verwacht van Annexine A5 met betrekking tot 'personalized medicines'. Wat Myozyme voor behandeling van de ziekte van Pompe betreft kan gesteld worden dat er een enorme verbetering van de zorg is opgetreden, omdat dit de enige behandelingsoptie is en Pompe-patiënten zonder het middel ofwel in een vroegtijdig stadium (als kind) kwamen te overlijden ofwel te maken kregen met toenemende invaliditeit als gevolg van stoornissen in de spieren. Momenteel wordt er in het EMC gewerkt aan een Erasmus effectiviteitonderzoek om de doelmatigheid en effectiviteit

---

<sup>4</sup> Bij de berekening is uitgegaan van 73 volwassen patiënten en 19 kinderen (zie paragraaf 2.2). Voor de volwassen patiënten zijn de jaarlijkse kosten gesteld op €300.000, voor de kinderen is dit lager en gesteld op €200.000. De berekening ziet er als volgt uit:  $73 \times €300.000 + 19 \times €200.000 = €25.300.000$ .

<sup>5</sup> De berekening ziet er als volgt uit:  $230 \times 40\% \times €100.000 = €9.200.000$ .

van de therapie aan te geven. Behandeling van Hemofilie B middels plasma factor IX is al geruime tijd mogelijk en is naast recombinant factor IX een van de twee mogelijke behandelingsopties. Voor Hemofilie B-patiënten is het essentieel dat er voldoende aanbod is van factor IX om bloedingen te voorkomen (profylactisch gebruik) dan wel te stoppen ('on demand' gebruik). Doordat er twee opties op de markt beschikbaar zijn, is het systeem minder kwetsbaar.

De MRI compatibele couveuse heeft een belangrijk bijdrage geleverd aan de kwaliteit van zorg, om de eenvoudige reden dat MRI onderzoek naar hersenschade bij pasgeborene voorheen wegens technische redenen niet goed mogelijk was en de mogelijkheid van MRI scans klinisch van groot belang zijn omdat deze groep patiënten vaak complexe en meervoudige problemen heeft vanwege vroeggeboorte en een afwijkende ontwikkeling. Er zijn verschillende klinische studies gedaan naar het functioneren en de veiligheid van de MRI compatibele couveuse en het gebruik wordt over het algemeen zeer positief beoordeeld. De PUCA-pomp heeft eveneens de fase van klinische studies doorlopen waarbij de pomp zowel op dieren is getest, als bij patiënten tijdens open hart operaties. De klinische data laten zien dat PUCA-pomp veilig en relatief makkelijk te positioneren is. Hulpmiddelen die het hart ondersteunen variëren van relatief eenvoudige *Intra-Aortic Balloon Pump* (IABP) tot de medium en lange termijn *Left Ventricle Assist Device* (LVAD). Vergeleken met de LVAD's, is de PulseCath methode van de PUCA-pomp minder ingrijpend omdat de hartspier minder zwaar belast wordt en de opening in de aorta die gemaakt moet worden voor plaatsing veel kleiner is dan bij het plaatsen van de LVAD. Ook de Handmaster is aan klinische studie onderworpen. Uit dit onderzoek is gebleken dat het gebruikerspercentage voor de lange termijn (na gemiddeld 2,7 jaar) 75% is. Dit percentage is ongecorrigeerd voor overlijden (en late) weigering door zorgverzekeraars. Hiermee is er een duidelijk bewijs van doelmatigheid, aangezien het lange termijn gebruik aanwijzingen geeft voor effectiviteit. Toch was dit voor CVZ niet voldoende om de Handmaster te vergoeden op basis van de zorgverzekeringswet.

3. Wat zijn de academische revenuen van de ontwikkeling (bijvoorbeeld onderzoeksmodel) en waaruit blijkt dit (bijvoorbeeld nieuwe projecten)?

De ontwikkeling van Annexine A5 bevindt zich nog altijd in een academische omgeving en er worden nog altijd nieuwe mogelijkheden van het eiwit onderzocht. Door de sterke positie van de Universiteit van Maastricht op het gebied van Annexine A5 ontwikkeling is er een significante kennisbasis opgebouwd (voornamelijk gefinancierd uit de eerste geldstroom) wat in de toekomst kan leiden tot daadwerkelijke marktintroductie van een gecombineerd diagnosticum en therapeutisch middel. In de Pompe-casus is het duidelijk dat ook hier zeer veel expertise in Nederland gelokaliseerd is, binnen het Erasmus Medisch Centrum. Al sinds de ontdekking van de aandoening wordt er op uitgebreide schaal onderzoek verricht naar de achtergrond en mogelijke behandelingsopties van de aandoening. De uiteindelijke ontwikkeling en marktintroductie van Myozyme heeft niet plaats kunnen vinden zonder inspanningen van het EMC. Hetzelfde geldt, hetzij in wat mindere mate, voor de positie van Sanquin met betrekking tot plasma factor IX. Door de jarenlange expertise van Sanquin met bloed en bloedproducten is het een betrouwbare partij geworden wat heeft kunnen leiden tot de ontwikkeling van plasma factor IX.

De ontwikkeling van de MRI compatibele couveuse is na het Nederlandse prototype doorontwikkeld in Duitsland, waarmee ook de kennis over dit product naar het buitenland is gegaan. De PUCA-pomp is volledig tot stand gekomen met Nederlandse expertise, maar het is niet ondenkbaar dat PulseCath B.V. over een aantal jaar verkocht wordt aan een buitenlandse speler waardoor dan ook de kennis verdwijnt uit Nederland. Hetzelfde geldt eigenlijk ook voor de Ness Handmaster. Over het algemeen heeft kennis binnen de medische technologie sector in Nederland een hoog niveau, maar omdat mogelijkheden voor financiering beperkt is, en daarmee de schakel naar de markt niet soepel verloopt, zoeken veel kleine bedrijfjes voor innovatieve medisch-technologische producten hun heil in het buitenland.



4. Zijn er in het verdere traject na 2002 nog meer knarsende schakels ervaren?

De belangrijkste knarsende schakel rondom de ontwikkeling van Annexine A5 is nog altijd het gebrek aan voldoende financiële middelen om de stap richting klinische studies te kunnen maken. Nagenoeg de gehele ontwikkeling van het eiwit is bekostigd uit de eerste geldstroom. Ook voor de andere twee casussen geldt dat innovatief onderzoek naar geneesmiddelen en behandelingen veelal gefinancierd wordt uit de eerste geldstroom. De overheveling van de €100 miljoen van de eerste naar de tweede geldstroom (NWO) zorgt voor een druk op langjarig innovatief onderzoek. Een andere knarsende schakel die optreedt rondom de behandeling van zeldzame aandoeningen is het feit dat de vergoedingsbeslissing van het CVZ na de tijdelijke plaatsing op de Beleidsregel Weesgeneesmiddelen (zoals voor Myozyme het geval is) voor onzekerheid zorgt. Het is nog altijd niet duidelijk wat er na deze periode gebeurt. Ook de kwetsbaarheid van het systeem speelt rondom Myozyme een belangrijke rol. Aangezien Myozyme de enige behandelingsoptie is voor de ziekte van Pompe hebben problemen in de beschikbaarheid van het product een enorme impact (zoals eerder dit jaar het geval bleek). Een laatste knarsende schakel die de laatste jaren verergerd is, is de te strikte naleving van de Europese wetgeving door Nederlandse instanties (het Ministerie van VWS en de CCMO) inzake het uitvoeren van klinische studies in Nederland. De huidige situatie nodigt bedrijven niet uit hun (innovatieve) klinische studies in Nederland uit te zetten.

Voor de sector medische technologie is een gebrek aan overbruggende kennis tussen de medische wereld en de markt een groot struikelblok. Het belang voor de ontwikkeling van zowel de MRI compatibele couveuse als de PUCA-pomp werd door een medisch specialist aan de kaak gesteld. Artsen en onderzoekers in de geneeskunde kennen meestal echter niet de weg van hun eigen specialisme naar de markt en hebben weinig ervaring met het ondernemerschap. Het is niet ondenkbaar dat kennis van het patentrecht bij had kunnen dragen om het Nederlandse prototype van de MRI compatibele couveuse op de markt te brengen. Ook een gebrek aan financiële middelen vormt een probleem voor de sector medische technologie. Kleine bedrijfjes die worden opgestart om een nieuw medisch-technologisch product te lanceren hebben zelf vaak zeer beperkte middelen en het is moeilijk om investeerders te vinden. De knarsende schakel die ook geldt voor de geneesmiddelensector, namelijk de vergoedingsbeslissing van CVZ, is voor de Ness Handmaster bepalend en vooral beperkend geweest voor verdere ontwikkeling op de markt. Hoewel de doelmatigheid van het product bewezen was, heeft CVZ toch de keuze gemaakt om de Ness Handmaster niet te vergoeden op basis van de zorgverzekeringswet en aangezien het hier gaat om een relatief duur product zijn particulieren dikwijls niet in staat om zelf de kosten te dragen.

5. Als het product geen verdere toepassing heeft gevonden wat is daarvan de oorzaak?

Wat de drie casussen in de biotech/farmasector betreft is er op dit moment geen sprake dat een product geen verdere toepassing heeft gevonden. Myozyme en plasma factor IX zijn op de markt en naar de toepassing (als gecombineerd diagnosticum en therapeutisch middel) van Annexine A5 wordt nog onderzoek gedaan, waarbij sprake is van een zich uitbreidende indicatie.

Ook de drie medisch technologische ontwikkelingen hebben allen een toepassing gevonden en worden daadwerkelijk in de praktijk gebruikt. De kennis van de Handmaster in het bijzonder en elektrostimulatie in het algemeen heeft verder geleid tot een uitbreiding van de behandelingsmogelijkheden nu er ook een Legmaster op de markt is gekomen. Ook voor de PUCA-pomp is er uitbreiding van de medische behandelindicatie, hetgeen aangeeft dat de onderliggende kennis inspeelt op een medische vraag cq. behoefte.

6. Wat zou men anders hebben gedaan met de huidige kennis? Met andere woorden welke acties helpen en voor welke knelpunten?

Voor de ontwikkelingen in de biotech/farmasector geldt dat het lastig is aan te geven wat anders gedaan zou zijn met kennis van nu. Het waren alledrie compleet nieuwe (innovatieve) ontwikkelingsprocessen waar je stapje voor stapje voortgang boekt. In die zin waren ook de vergoedingsperikelen van de afgelopen jaren nieuw. Een knelpunt waarvoor in de toekomst een oplossing zou moeten komen is het garanderen van de beschikbaarheid wanneer met kwetsbare biologische productiesystemen wordt gewerkt. 'Generieke biologicals' vormen daarop maar deels een antwoord.

Voor de ontwikkelingen in de medische technologiesector geldt dat er behoefte is aan investeerders en aan een expertise netwerk om innovatieve producten sneller op de markt te kunnen brengen. Als er binnen Nederland niets verandert wat betreft het investeringsklimaat, bestaat er de sterke neiging van ondernemers op gebied van medisch-technologische producten om naar mogelijkheden in het buitenland te zoeken. Ook wordt er aangegeven dat er met de huidige kennis geen beroep was gedaan op vergoedingssystemen en dat er in retrospectief beter gekozen had kunnen worden om zaken te doen buiten de Nederlandse overheid om.

7. Zijn er verbeteringen gekomen in het proces van innovatieve ontwikkeling? Met andere woorden, zijn de knarsende schakels wat geolied?

Twee belangrijke aspecten van innovatieve ontwikkelingen die reeds in voorgaande vragen behandeld zijn, zorgen ervoor dat de schakels nog altijd stroef zijn. Het gaat hier om de situatie rondom wet- en regelgeving betreffende het uitvoeren van klinische studies binnen Nederland en de financiering van innovatief onderzoek vanuit tweede en derde geldstroom. Het gebrek aan overbruggende kennis is voor de sector medische technologie, naast de bovengenoemde punten, een schakel die nog niet verbeterd is.

## Appendix A Geïnterviewden

### A.1. Biotech/farma

Naam	Organisatie	Casus
Dhr. J. Bakker	Vereniging Spierziekten Nederland (VSN) – Pompe werkgroep	Pompe
Mw. R. Broekgaarden	Vereniging Spierziekten Nederland (VSN) & International Pompe Association (IPA)	Pompe
Mw. M. Degenaar	Nederlandse Vereniging van Hemofilie-Patiënten (NVHP)	Factor IX
Dhr. Prof. K. Mertens	Stichting Sanquin Bloedvoorziening – Divisie Plasmaproducten	Factor IX
Dhr. Prof. C. Reutelingsperger	Cardiovascular Research Institute Maastricht (CARIM) – Universiteit van Maastricht	Annexine A5
Mw. Prof. A. Van der Ploeg	Pompe Center – Erasmus Medisch Centrum	Pompe
Dhr. C. Smit	Nederlandse Vereniging van Hemofilie-Patiënten (NVHP) – Oud-voorzitter	Factor IX
Mw. Dr. S. Van Weely	Stuurgroep Weesgeneesmiddelen	Pompe & Factor IX

### A.2. Medische technologie

Naam	Organisatie	Casus
Dhr. Drs. M. Lequin	Erasmus Medisch Centrum	MRI-compatibele couveuse
Dhr. T. Lönneker-Lammers	Lammers Medical TechnologyTechnology	MRI-compatibele couveuse
Dhr. Dr. ir. J. van Loon	PulseCath B.V.	PUCA-pomp
Dhr. Prof. G. Rakhorst	Universitair Medisch Centrum Groningen	PUCA-pomp
Mw. L. Visser	College voor Zorgverzekeringen (CvZ)	Handmaster
Dhr. C. Zuiderwijk	BioNess	Handmaster
Mw. T. Veenis	Medisch Centrum Haaglanden	Handmaster

Technopolis Group The Netherlands  
Herengracht 141  
1015 BH Amsterdam  
The Netherlands  
T +31 20 535 2244  
F +31 20 428 9656  
E [info.nl@technopolis-group.com](mailto:info.nl@technopolis-group.com)  
[www.technopolis-group.com](http://www.technopolis-group.com)