

SYNTHESE

HOE PATIËNTENBEHOEFTE IDENTIFICEREN?



SYNTHESE

HOE PATIËNTENBEHOEFTE IDENTIFICEREN?

CHARLINE MAERTENS DE NOORDHOUT, JENS DETOLLENAERE, CÉLIA PRIMUS-DE JONG, LAURENCE KOHN, BRECHT DEVLEESSCHAUWER,
RANA CHARAFEDDINE, IRINA CLEEMPUT



■ VOORWOORD

Iedereen heeft behoeften: behoefte aan onderdak, voeding, mentale en fysieke gezondheid, enzovoort. In onze westerse wereld zijn de basisbehoeften voor de meeste mensen redelijk goed vervuld. Ook in termen van gezondheid en gezondheidszorg zijn we relatief goed af in vergelijking met ontwikkelingslanden, waar sommige van de voor ons zeer evidente gezondheidsinterventies niet beschikbaar zijn.

Maar ondanks onze relatief comfortabele situatie, zijn er ook bij ons nog steeds onbeantwoorde medische behoeften, ook al zijn ze van een ander allooi. Voor verschillende ernstige aandoeningen, die veel leed berokkenen aan de patiënten en hun omgeving, zijn er nog steeds geen afdoende behandelingen beschikbaar. En zelfs voor aandoeningen waarvoor er wel al behandelingen beschikbaar zijn, kunnen patiënten nog steeds onbeantwoorde medische behoeften ervaren. Dat heeft verschillende redenen.

Ten eerste is er niet altijd voldoende kennis om een probleem op te lossen. De wetenschap evolueert voortdurend, maar kan niet op alles een antwoord bieden. Ten tweede worden de middelen voor onderzoek niet altijd gebruikt voor het ontwikkelen van behandelingen voor de belangrijkste onbeantwoorde behoeften. Naast intellectuele en maatschappelijke belangen, spelen er immers ook commerciële belangen een rol bij de keuze van onderzoek naar nieuwe of betere behandelingen van ziekten met belangrijke onbeantwoorde behoeften. Ten derde hebben we weinig zicht op de onbeantwoorde behoeften van patiënten omdat we er geen informatie over vergaren, althans niet op een gestructureerde, wetenschappelijk valide en in het beleid geïntegreerde manier.

In dit rapport stellen we een methode voor om op een meer systematische manier informatie te verzamelen over de onbeantwoorde behoeften van patiënten, waarbij we enerzijds gebruik maken van bestaande gegevensbronnen en anderzijds voorstellen hoe bijkomende informatie op een wetenschappelijk valide manier kan verzameld worden.

Dit rapport kwam tot stand dankzij een goede samenwerking met patiëntenverenigingen en ziekenfondsen. Heel veel personen hebben bijgedragen tot het eindresultaat. We wensen alle mensen die input hebben gegeven tijdens het onderzoeksproces dan ook van harte te bedanken voor hun bijdrage.

Christophe JANSSENS
Adjunct Algemeen Directeur a.i.

Irina CLEEMPUT
Directeur wetenschappelijk programma a.i.

Marijke EYSEN
Algemeen Directeur a.i.



■ **SYNTHESE**

INHOUDSTAFEL

■	VOORWOORD	1
■	SYNTHESE	2
1.	INLEIDING	5
1.1.	NAAR EEN BEHOEFTEGESTUURD GEZONDHEIDZORGBELEID	5
1.2.	DE PROCEDURE <i>UNMET MEDICAL NEED (ONBEANTWOORDE MEDISCHE BEHOEFTE)</i>	5
1.3.	DE VERSCHILLENDE DIMENSIES VAN HET BEGRIP BEHOEFTE	6
1.4.	DOELSTELLING EN ONDERZOEKSVRAGEN	7
1.5.	METHODOLOGIE	8
2.	METHODEN EN INSTRUMENTEN VOOR DE IDENTIFICATIE VAN PATIËNTENBEHOEFTE	9
2.1.	KWANTITATIEVE METHODEN	9
2.1.1.	Disability-Adjusted Life Year (DALY)	9
2.1.2.	Camberwell Assessment of Need (CAN)	9
2.1.3.	Nottingham Health Needs Assessment (NHNA)	10
2.1.4.	Needs and Provision Complexity Scale (NPCS)	10
2.1.5.	Consumer Assessment of Healthcare Providers and Systems (CAHPS) Health Plan survey	11
2.1.6.	Gemeenschappelijke punten voor alle kwantitatieve methoden	11
2.2.	KWALITATIEVE METHODEN	12
2.3.	GEMENGDE METHODEN	13
2.4.	ANDERE METHODEN	13
2.5.	BESLUIT	13
3.	POTENTIËLE GEGEVENSBRONNEN VOOR DE IDENTIFICATIE VAN AANDOENINGEN MET DE GROOTSTE BEHOEFTE	14



3.1.	GESELECTEERDE DATABANKEN	15
3.1.1.	De Gezondheidsenquête (HIS)	15
3.1.2.	De Belgian Burden of Disease-studie (BeBOD)	15
3.1.3.	De lijst van het Unmet Medical Need programma van het RIZIV	16
3.1.4.	De SHARE enquête (Belgium)	16
3.1.5.	De Global Burden of Disease Studie	17
3.2.	SAMENGESTELDE LIJST	20
4.	DE ONTWIKKELING VAN EEN GENERIEKE VRAGENLIJST VOOR HET VASTSTELLEN VAN PATIËNTENBEHOEFTE	23
4.1.	ONTWIKKELING VAN DE GENERIEKE VRAGENLIJST	23
4.2.	PILOOTSTUDIE	24
4.2.1.	Online enquête	24
4.2.2.	Kwalitatief onderzoek	24
4.3.	LESSEN UIT DE DELPHI-PROCEDURE EN PILOOTSTUDIE	25
4.3.1.	Generieke vragenlijst	25
4.3.2.	Kwalitatief onderzoek: online forum en interviews	26
5.	EEN METHODE OM DE PATIËNTENBEHOEFTE IN BELGIË IN KAART TE BRENGEN	28
5.1.	HOE DE GEGEVENS GEBRUIKEN?	28
5.2.	EEN MODEL IN ZEVEN STAPPEN	28
5.2.1.	Stap 1	30
5.2.2.	Stap 2	30
5.2.3.	Stap 3	30
5.2.4.	Stap 4	30
5.2.5.	Stap 5	31



5.2.6.	Stap 6	31
5.2.7.	Stap 7	32
5.3.	WELKE MIDDELEN ZIJN NODIG OM DEZE AANPAK TE IMPLEMENTEREN?	32
6.	BESLUIT	33
■	AANBEVELINGEN	34
■	REFERENTIES	37



1. INLEIDING

1.1. Naar een behoeftegestuurd gezondheidzorgbeleid

Sinds enkele decennia nemen Europese en Belgische beleidsmakers maatregelen om het gezondheidszorgbeleid meer behoeftegestuurd te maken. Met name in het domein van de geneesmiddelen werden meerdere maatregelen genomen. Op het niveau van de regulatoren werden door het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) programma's opgezet voor gebruik in schrijnende gevallen (compassionate use) evenals medische noodprogramma's.^a Bovendien ontwikkelde het Europees geneesmiddelenagentschap (EMA) procedures voor voorwaardelijke vergunningen voor het in de handel brengen, voor toekenning van een specifiek statuut aan weesgeneesmiddelen en voor speciale regelingen ter ondersteuning van de registratie van farmaceutische producten die gericht zijn op grote onvervulde medische behoeften (PRIME). Daarnaast hebben de agentschappen voor de terugbetaling van geneesmiddelen programma's opgezet voor de vroegtijdige tijdelijke terugbetaling van "veelbelovende" geneesmiddelen voor grote onvervulde medische behoeften. In België is dit de zogenaamde procedure voor "onbeantwoorde medische behoeften" (*Unmet Medical Need*)^b. Deze procedure werd in 2014 ingevoerd door het Rijksinstituut voor ziekte- en invaliditeitsverzekering (RIZIV). De huidige studie komt voort uit een voortgezette reflectie over hoe de procedure voor onvervulde medische behoeften kan worden verbeterd.

^a https://www.fagg.be/nl/MENSELIJK_gebruik/geneesmiddelen/geneesmidelen/onderzoek_ontwikkeling/gebruik_in_schrijnende_gevallen_medische_noodprogrammas

^b <https://www.inami.fgov.be/nl/themas/kost-terugbetaling/door-ziekenfonds/geneesmiddel-gezondheidsproduct/terugbetalen/Paginas/unmet-medical-need.aspx>

1.2. De procedure *Unmet Medical Need* (onbeantwoorde medische behoeften)

De procedure voor "onbeantwoorde medische behoeften" moet ernstig zieke patiënten sneller toegang geven tot veelbelovende innovatieve geneesmiddelen waarvoor nog geen vergunning voor het in de handel brengen (VHB) is verkregen. Hiermee kan voor deze geneesmiddelen een tijdelijke tegemoetkoming worden toegekend, in afwachting van hun officiële vergunning en eventuele definitieve terugbetaling. Deze procedure is echter alleen van toepassing op de ernstige aandoeningen die voorkomen op een lijst die de Algemene Raad van het RIZIV jaarlijks opstelt, op voorstel van de "Commissie voor advies in geval van tijdelijke tegemoetkoming voor het gebruik van een geneesmiddel" (CATT). Deze commissie is eveneens belast met het bepalen van de relatieve prioriteit van de aandoeningen die voorkomen op deze lijst^c.

Om een gezondheidsprobleem aan de lijst toe te voegen, moet een specifieke aanvraag gebeuren. Alleen het RIZIV (meer bepaald het College van artsen-directeuren), de minister(s) van Sociale Zaken en Volksgezondheid of een farmaceutisch bedrijf kan een dergelijke aanvraag doen. Patiënten en patiëntenverenigingen hebben deze mogelijkheid niet. Bijgevolg zijn de meeste aanvragen momenteel afkomstig van farmaceutische bedrijven die klaar zijn om een nieuw geneesmiddel op de markt te brengen, en via deze weg de kans zien om al een tijdelijke tegemoetkoming te bekomen nog voor het verkrijgen van de VHB. De procedure *Unmet Medical Need* wordt dus nog grotendeels **gestuurd door het aanbod** (d.w.z. geneesmiddelen die binnenkort op de markt komen), **en niet door de vraag** (d.w.z. de behoeften van de patiënten). Nochtans was

^c Deze prioriteitsoefening wordt uitgevoerd met behulp van een multi-criteria beslissingsanalyse (MCDA), gebaseerd op eerder werk van het KCE ([Rapport KCE 272](#))



het de oorspronkelijke bedoeling om een systeem op poten te zetten dat zou inspelen op de behoeften van patiënten.

Terug naar het oorspronkelijke project. Een eerste oplossing zou uiteraard zijn om patiënten en zorgverleners te machtigen om ook aanvragen in te dienen, zoals aanbevolen in het [KCE-rapport 272](#). Maar het zou waarschijnlijk nog billijker zijn om een wetenschappelijke instantie te belasten met het verzamelen van gegevens over de behoeften van patiënten met aandoeningen die op de lijst zouden kunnen worden opgenomen, en deze vervolgens te prioriteren. Dit orgaan zou onafhankelijk moeten zijn om te garanderen dat alle aandoeningen in aanmerking kunnen komen voor de lijst en niet alleen deze waarvoor actieve patiëntenverenigingen bestaan. Deze verzameling moet (ten minste gedeeltelijk) op een **gestandaardiseerde** manier gebeuren, zodat gegevens met betrekking tot soms zeer uiteenlopende aandoeningen onderling kunnen worden vergeleken en gerangschikt naar prioriteit.

Als we willen dat ons gezondheidssysteem inderdaad tegemoetkomt aan de onbeantwoorde behoeften van patiënten, dan zou de identificatie van deze behoeften idealiter het uitgangspunt moeten zijn voor *alle* terugbetalingsbeslissingen (voor een geneesmiddel, een technologie, een medisch hulpmiddel, enz.). Dit zou ook meer ruimte laten voor creativiteit en dus voor andere oplossingen dan alleen de producten die de industrie aanbiedt. Stel bijvoorbeeld dat patiënten met hartfalen bij wie een pacemaker werd ingeplant, zich zorgen maken over de goede werking van dit apparaat. De geïdentificeerde behoefte zou dan zijn om deze angst, die hun kwaliteit van leven aantast, te verminderen. De terugbetaling van een telemonitoringsysteem kan een technologische oplossing zijn om aan deze behoefte te voldoen. Ook andere opties zouden in aanmerking kunnen komen, zoals een zeer regelmatige opvolging door de huisarts of psychologische ondersteuning. Als de terugbetalingsbeslissing voor deze oplossingen gebaseerd zou zijn op de behoeften van patiënten, dan zou ze niet alleen rekening kunnen houden met de prijs en de werkzaamheid van de verschillende opties, maar ook met de mate van behoefte (bijv. ernst van het lijden als gevolg van deze angst).

De door het KCE ondernomen denkoefening over patiëntenbehoeften opgestart in het kader van de procedure *Unmet Medical Need*, zou daarom het best worden getransponeerd naar alle besluitvormingsprocessen voor terugbetalingen.

1.3. De verschillende dimensies van het begrip behoefte

Het begrip "onbeantwoorde behoefte" heeft een **individuele dimensie**, gekoppeld aan de patiënt, en een **maatschappelijke dimensie**:

- de **therapeutische behoefte** verwijst naar de behoefte van een individuele patiënt om te kunnen beschikken over een behandeling (of een andere zorgoplossing) die zijn kwaliteit van leven, zijn verwachte levensduur of algemene gezondheid verbetert;
- de **maatschappelijke behoefte** verwijst naar behoeften die te maken hebben met de maatschappij in haar geheel, zoals de behoefte aan een behandeling voor een veelvoorkomend gezondheidsprobleem, of de behoefte aan een minder dure (maar even doeltreffende) behandeling in plaats van een dure bestaande behandeling voor een bepaalde aandoening, om de impact ervan op het gezondheidszorgbudget te reduceren. Als een nieuw geneesmiddel de overheidsuitgaven voor een aandoening aanzienlijk kan verlagen (bijvoorbeeld omdat het een ziekenhuisopname of levenslange invaliditeit voorkomt), komt het tegemoet aan de maatschappelijke behoefte om middelen efficiënter te besteden (hetzelfde resultaat bereiken met minder middelen, of betere resultaten met dezelfde middelen).

Een aandoening kan op de *Unmet Medical Need*-lijst staan vanwege haar individuele of de maatschappelijke impact, of beide. Deze twee dimensies zijn moeilijk samen te voegen tot één concept omdat het twee totaal verschillende invalshoeken zijn. De criteria voor therapeutische behoeften zijn over het algemeen relevant voor de patiënt, terwijl de criteria voor maatschappelijke behoeften misschien minder belangrijk zijn voor individuele patiënten, maar voor de maatschappij een aanzienlijk gewicht kunnen hebben. Daarom heeft het KCE in zijn rapport 272 ook aanbevolen om twee afzonderlijke prioriteitenlijsten op te stellen. Zo kan een nieuwe behandeling in aanmerking komen voor het programma *Unmet Medical*



Need vanwege zijn hoge rangschikking op de lijst van therapeutische behoeften, op de lijst van maatschappelijke behoeften of op beide.

Deze studie vloeit voort uit twee vragen die door twee verschillende instanties -onafhankelijk van elkaar- werden ingediend bij het KCE, maar zeer gelijkaardig waren. De Vlaamse koepel van patiëntenorganisaties, het **Vlaams Patiëntenplatform (VPP)**, vroeg om (i) de mogelijkheid te onderzoeken om andere stakeholders voorstellen te laten indienen voor de lijst van onbeantwoorde medische behoeften en (ii) een **wetenschappelijk onderbouwde methode te ontwikkelen waarmee de werkelijke onbeantwoorde medische behoeften van patiënten kunnen worden geïdentificeerd**, zodat deze als wetenschappelijk onderbouwde informatie kunnen worden gebruikt bij de uitvoering van de *Unmet Medical Need* procedure. Het **Observatorium voor chronische ziekten** van het RIZIV vroeg om te onderzoeken hoe de behoeften van patiënten op een haalbare en wetenschappelijk verantwoorde manier kunnen worden vastgesteld en gebruikt in een breder kader, buiten de *Unmet Medical Need* procedure (bv. in de context van geïntegreerde zorg voor chronisch zieken).

Aanvankelijk richtte de studie zich daarom alleen op het meten van de therapeutische, patiëntenbehoeften, m.a.w. de behoefte aan een (betere) behandeling of zorg vanuit het perspectief van de individuele patiënten. Het adviescomité dat werd samengesteld voor deze studie (zie 1.5) vroeg vervolgens om het begrip "patiëntenbehoefte" uit te breiden naar andere, meer algemene maar nog steeds gezondheidsgerelateerde behoeften van individuele patiënten, zoals de behoefte aan informatie, ondersteuning, enz. Bijgevolg zullen we verder in dit document de algemene term "patiëntenbehoeften" hanteren.

1.4. Doelstelling en onderzoeksvragen

De doelstelling van dit project is de ontwikkeling van een concreet haalbare, wetenschappelijk onderbouwde methode voor de **identificatie van de patiëntenbehoeften** om te evolueren naar een meer behoeftegedreven gezondheidszorgsysteem. De toepassing van deze methode zou moeten leiden tot wetenschappelijk onderbouwde informatie die een zinvolle bijdrage kan leveren aan de **processen waarbij gezondheidsinterventies worden beoordeeld op hun (meer)waarde, zoals bijvoorbeeld bij Health Technology Assessment (HTA), beslissingsprocessen met betrekking tot de VHB en terugbetalingsbeslissingen van het RIZIV**. De informatie moet besluitvormers toelaten te beoordelen (1) of een nieuwe behandeling beantwoordt aan een reële patiëntenbehoefte en (2) in welke mate ze ook aan deze behoefte voldoet (of eerder gericht is op andere uitkomsten die misschien minder belangrijk zijn voor patiënten, maar op basis waarvan bedrijven claimen dat hun product een therapeutische meerwaarde heeft).

Bovendien moet de voorgestelde methode toelaten om **een lijst van patiëntenbehoeften** op te stellen, zodat producenten of wetenschappers (uit de industrie en academische wereld) hun inspanningen kunnen richten op die aandoeningen waarvoor de patiëntenbehoeften het hoogst zijn. Het uiteindelijke doel is een **meer behoeftegestuurd zorgsysteem te creëren**. Ook andere stakeholders, zoals patiëntenorganisaties, ziekenfondsen en zorgaanbieders, kunnen baat hebben bij gedetailleerde informatie over de belangrijkste behoeften van patiënten om hun activiteiten te ontwikkelen, vorm te geven of te verbeteren.

De methode moet:

- voldoende **generiek** zijn zodat ze kan worden toegepast op een breed scala van types, stadia en ernst van gezondheidsaandoeningen en op de gehele bevolking met al haar diversiteit;
- stoelen op instrumenten en benaderingen die op basis van **wetenschappelijk bewijs** garanderen dat verschillende patiëntenpopulaties op dezelfde objectieve manier zullen worden behandeld;
- **praktisch haalbaar** zijn ;



- kunnen worden geïntegreerd in een **structurele aanpak** voor de identificatie van de patiëntenbehoeften;
- **implementeerbaar** zijn mits een redelijke investering van middelen, zodat de toepassing ervan maximaal wordt bevorderd.

Om deze doelstellingen te bereiken, zijn vier onderzoeksvragen geformuleerd:

1. Wat zijn de in de literatuur beschreven methoden om patiëntenbehoeften te identificeren en welke gevalideerde instrumenten worden in de praktijk gebruikt (in België of in andere landen)?
2. Wat zijn de bestaande, beschikbare gegevensbronnen om aandoeningen te prioriteren met het oog op de identificatie van patiëntbehoeften?
3. Welke methode zou, op basis van de resultaten van onderzoeksvragen 1 en 2, kunnen worden ontwikkeld om de patiëntenbehoeften in België in kaart te brengen?
4. Welke personele middelen, kwalificaties en tijd zijn er nodig om de behoeften van de verschillende patiëntenpopulaties op een systematische manier te kunnen identificeren?

1.5. Methodologie

Deze studie werd in verschillende fasen uitgevoerd:

- Er werd een pragmatisch literatuuroverzicht (inclusief grijze literatuur) uitgevoerd om de verschillende benaderingen (kwalitatief, kwantitatief en gemengd) voor het meten van patiëntenbehoeften, alsook de gebruikte instrumenten en de in aanmerking genomen dimensies, te identificeren.
- Er werd een overzicht gemaakt van bestaande gegevensbronnen die ofwel rechtstreeks kunnen worden gebruikt om patiëntenbehoeften te identificeren, ofwel om aandoeningen te identificeren waar de behoeften mogelijk hoog zijn.

- Op basis van de elementen uit het literatuuronderzoek werd een generieke vragenlijst opgesteld, bedoeld om patiëntenbehoeften te meten en als uitgangspunt te dienen voor een diepgaande kwalitatieve beoordeling van de patiëntenbehoeften bij specifieke aandoeningen. Deze vragenlijst werd voorgelegd aan een Delphi-panel met patiëntvertegenwoordigers dat beoordeelde of de vragen relevant en duidelijk waren.
- Er vond een pilootstudie plaats om het gebruik van de generieke vragenlijst bij een specifieke patiëntenpopulatie (patiënten met langdurige COVID) te testen, gevolgd door een kwalitatief onderzoek (online forum en diepte-interviews) om de naar voren geschoven behoeften uit te diepen. De generieke vragenlijst werd vervolgens verbeterd aan de hand van lessen die werden getrokken uit de pilootstudie.
- We onderzochten de voor- en nadelen van de twee kwalitatieve benaderingen die werden gebruikt tijdens de pilootstudie en het nut om beide te combineren in een onderzoek naar de patiëntenbehoeften.

Een adviescomité begeleidde het onderzoeksteam gedurende het hele project. Dit comité was samengesteld uit vertegenwoordigers van patiënten en zorggebruikers (de Nederlandstalige koepelorganisatie van patiëntenverenigingen VPP, de Franstalige koepelorganisatie *Ligue des Usagers des Services de Santé* (LUSS), de koepelorganisatie van patiëntenverenigingen voor zeldzame ziekten RaDiOrg en de ziekenfondsen), het Observatorium voor chronische ziekten (dat deel uitmaakt van het RIZIV) en onderzoekers met ervaring in onderzoek naar patiëntenbehoeften. Het comité werd regelmatig geraadpleegd over alle aspecten van het project (“ingebedde raadpleging”).



2. METHODEN EN INSTRUMENTEN VOOR DE IDENTIFICATIE VAN PATIËNTENBEHOEFTE

Om methoden te identificeren voor het meten van gezondheidsgerelateerde behoeften van patiënten werd een pragmatische literatuurstudie uitgevoerd. Zowel de zoekstrategie als de details van het literatuuronderzoek zijn te vinden in het Engelstalige wetenschappelijke rapport. We vermelden hier alleen de belangrijkste punten.

2.1. Kwantitatieve methoden

De meeste weerhouden publicaties beschrijven kwantitatieve benaderingen om de patiëntenbehoeften te meten voor een brede waaier van aandoeningen. In totaal vonden we 30 instrumenten, die uitvoerig worden beschreven in hoofdstuk 5 van het wetenschappelijk rapport (hun psychometrische eigenschappen qua inhoudsvaliditeit, opbouw en betrouwbaarheid van interne consistentie zijn te raadplegen in bijlage 1.2.). Deze instrumenten hebben gediend voor de ontwikkeling van de generieke vragenlijst en het implementatiemodel. We geven hieronder een aantal voorbeelden van courant gebruikte instrumenten.

2.1.1. Disability-Adjusted Life Year (DALY)

De DALY is een maat die vaak wordt gebruikt om de ernst van een aandoening (en bij uitbreiding de therapeutische behoeften) te beoordelen. Het is een samenvattende maatstaf voor het effect (of de last) van een gezondheidsprobleem op de bevolking of het individu, uitgedrukt als het aantal levensjaren in goede gezondheid dat verloren gaat ten gevolge van ziekte of vroegtijdig overlijden. DALY's worden berekend als de som van verloren levensjaren door vroegtijdige sterfte (*Years of Life Lost* – YLL) en jaren geleefd met een gezondheidsprobleem (*Years Lived with Disability of Years Lost due to Disability* – YLD).

De DALY's die worden gebruikt voor de schatting van patiëntenbehoeften zijn meestal afkomstig uit de *Global Burden of Disease* (GBD) studie, die wordt gecoördineerd door het *Institute for Health Metrics and Evaluation* (IHME) van de Universiteit van Washington.¹ De GBD (2017) bevatte 38 miljard schattingen voor 359 aandoeningen en traumata en 84 risicofactoren in 195 landen en regio's.

Voorbeeld van het gebruik van DALY's in Nederland

Van Lier et al. berekenden de geschatte ziektelast in Nederland van 32 infectieziekten gedurende de periode 2007-2011.² Ziekten die in de studie werden opgenomen, waren seksueel overdraagbare infecties (bijv. chlamydia, gonorroe, hepatitis B), door vaccinatie te voorkomen ziekten (bijv. difterie, mazelen, rubella, invasieve meningokokkeninfectie, tetanus), voedsel-gerelateerde aandoeningen (bijv. campylobacteriose, hepatitis A, salmonellose, toxoplasmose) en luchtwegaandoeningen (bijv. griep, legionellose, tuberculose).

De DALY-aanpak in deze studie legt de nadruk op alle gezondheidsuitkomsten die kunnen worden toegeschreven aan één van deze specifieke pathogenen en houdt rekening met de mogelijke gevolgen op lange termijn. Het verbetert de inschatting van (toekomstige) gezondheidsvoordelen van infectiepreventie.

2.1.2. Camberwell Assessment of Need (CAN)

De CAN is een groep van vragenlijsten die in 1994 door het King's College in Londen werden ontwikkeld.³ De vragenlijsten worden gebruikt om de noden te identificeren van personen met een ernstig of langdurig geestelijk gezondheidsprobleem (bijv. CANE (*CAN for the Elderly*) voor ouderen). Er zijn ook varianten ontwikkeld voor andere populaties over de hele wereld. De behoeften worden gemeten in 22 CAN-domeinen (elk domein bevat verschillende items): huisvesting, voeding, thuiszorg, persoonlijke verzorging, dagelijkse activiteiten, lichamelijke gezondheid, psychotische symptomen, informatie over de ziekte en de behandeling, psychische nood, persoonlijke veiligheid, veiligheid voor anderen, alcohol, drugs, gezelschap,



intieme relaties, seksuele expressie, kinderopvang, basisopleiding, telefoon, vervoer, geld en financiële voordelen. Elk item wordt beoordeeld op een schaal met drie punten.

Voorbeeld van het gebruik van de CANE in Duitsland

Stein et al. gebruikten het CANE-beoordelingsinstrument om beantwoorde/onbeantwoorde behoeften en hun verband met depressie bij ouderen in Duitsland te onderzoeken.⁴ Ze deden dit met behulp van gestructureerde telefonische interviews bij een steekproef van 845 respondenten van 75 jaar of ouder die geen begripsproblemen of dementie hadden.

De resultaten van dit onderzoek gaven aan dat de meeste onbeantwoorde behoeften zich bevonden in de CANE-domeinen met betrekking tot geheugen, lichamelijke gezondheid, mobiliteit, zicht/gehoor/communicatie en continentie.

2.1.3. Nottingham Health Needs Assessment (NHNA)

De NHNA-vragenlijst is speciaal ontwikkeld voor de beoordeling van de gezondheidsbehoeften van hartpatiënten.^{5, 6} De vragen hebben betrekking op demografische gegevens, werkgelegenheid, mobiliteit en vervoer, toegang tot lokale gezondheidsvoorzieningen, behoeften en bezorgdheden op het vlak van informatie, beschikbaarheid van zorgverleners, huidige gezondheidszorg, huisvesting, opleiding, hobby's en sociale voorzieningen. De lijst omvat 49 items verdeeld over vijf domeinen: fysieke behoeften (8 items), tevredenheid (11 items), informatiebehoeften (7 items), maatschappelijke behoeften (12 items) en bezorgdheden (8 items). Deze items kunnen worden beoordeeld op een schaal met vijf punten.

^d De EQ-5D-3L is een generieke vragenlijst voor het meten van gezondheidsgerelateerde levenskwaliteit in vijf dimensies: mobiliteit, zelfzorg,

2.1.4. Needs and Provision Complexity Scale (NPCS)

Het NPCS-instrument meet onbeantwoorde medische behoeften bij patiënten met langdurige neurologische aandoeningen en bestaat uit twee delen.^{7, 8} Het eerste deel ("needs") is gericht op de behoeften inzake gezondheidszorg en ondersteunende diensten, en het tweede deel ("gets") beoordeelt de mate waarin de dienstverlening aan deze behoeften beantwoordt. In de oorspronkelijke versie waren beide delen bedoeld om te worden ingevuld door zorgverleners, maar later werd een versie van de NPCS-gets ontwikkeld voor rapportage door patiënten. De NPCS kan op bevolkingsniveau worden gebruikt om hiaten in de gezondheidszorg op te sporen, maar ook op individueel patiëntniveau om de evolutie in behoeften en geleverde prestaties te bewaken.

Voorbeeld van het gebruik van NPCS in Noorwegen

In 2017 werd de gezondheidsgerelateerde kwaliteit van leven van patiënten met de ziekte van Huntington beoordeeld met behulp van de EQ-5D-3L-vragenlijst, waarna ook de onbeantwoorde behoeften inzake gezondheidszorg en sociale ondersteuning werden gemeten met behulp van de NPCS.^{d7} De resultaten toonden een piek in onbeantwoorde behoeften in stadium III van de ziekte, terwijl de patiënten in stadium I en II minder behoeften hadden en de patiënten in stadium IV en V meer maar stabiele behoeften hadden, doch minder in vergelijking met die van stadium III. Er werd ook een negatief verband gevonden tussen het aantal onbeantwoorde behoeften, en gezondheidsgerelateerde kwaliteit van leven.

dagelijkse activiteiten, pijn/ongemak en angst/depressie. Elke dimensie heeft drie niveaus van ernst: geen problemen, enige problemen, ernstige problemen.⁹



2.1.5. *Consumer Assessment of Healthcare Providers and Systems (CAHPS) Health Plan survey*

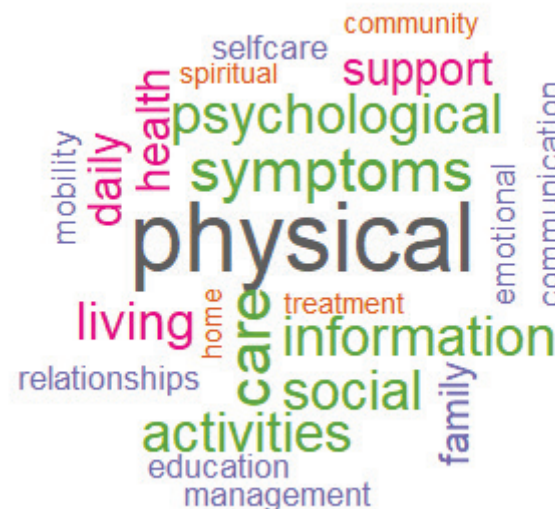
De CAHPS-enquête (VS) is een beoordeling van de commerciële en Medicaid-zorgprogramma's door de begunstigden ervan.¹⁰ Er zijn twee enquêtes voor volwassenen (één voor de commerciële programma's en één voor Medicaid) en twee enquêtes voor kinderen. De enquête bestaat uit vier delen: de benodigde zorg krijgen, snel zorg krijgen, de kwaliteit van de communicatie met artsen en informatie over het zorgprogramma en de dienstverlening aan cliënten. De respondenten kunnen deze items beoordelen op een schaal met vier punten.

De CAHPS vraagt de respondenten ook om een beoordeling van hun zorgervaringen van de afgelopen 6 maanden met hun persoonlijke arts, de specialist die ze het vaakst hebben gezien, de zorg ontvangen van alle artsen en andere zorgverleners, en hun gezondheidsprogramma in het algemeen. De ervaringen worden gescoord op een schaal van 0 tot 10.

2.1.6. *Gemeenschappelijke punten voor alle kwantitatieve methoden*

De meeste kwantitatieve methoden zijn bedoeld om de patiëntenbehoeften in specifieke patiëntengroepen te meten (bijv. patiënten met kanker, psychische problemen, enz.); het is daarom moeilijk om ze te veralgemenen. Toch zien we dat bepaalde domeinen aan bod komen in meerdere methoden. We deden daarom een beroep op de wordcloud-methode om de meest genoemde domeinen te visualiseren. In Figuur 1 zien we de domeinen die in minstens drie methoden voorkwamen.

Figuur 1 – Visualisatie van de meest frequent genoemde domeinen in de kwantitatieve methoden voor het meten van patiëntenbehoeften



Opmerking: De grootte en de kleur van de woorden zijn proportioneel aan de frequentie van hun voorkomen in de kwantitatieve instrumenten.

De volgende hoofddimensies werden geïdentificeerd:

- Fysieke dimensie: deze heeft betrekking op de fysieke behoeften en de vraag naar verlichting van fysieke symptomen (bijv. pijn);
- Psychologische dimensie: deze heeft betrekking op de behoefte aan psychologische ondersteuning voor de emotionele problemen die verband houden met de gezondheidstoestand;
- Autonomie-dimensie: deze heeft betrekking op de behoeften van het dagelijkse leven en de mogelijkheid om voor zichzelf te zorgen;



- Sociale dimensie: deze heeft betrekking op de behoefte aan sociale interacties met de gemeenschap of familie en het aangaan van relaties. Deze dimensie omvat ook de behoefte aan gepaste informatie en de mogelijkheid om te communiceren;
- Toegankelijkheidsdimensie: deze heeft betrekking op de behoefte aan vervoer om toegang te krijgen tot zorg of activiteiten, op wachtlijsten, op financiële toegankelijkheid;
- Spirituele dimensie: deze heeft betrekking op spirituele vragen in verband met de (diagnose van de) aandoening, zoals zingeving, morele contexten of religieuze overtuigingen.

Deze dimensies overlappen met de behoeften van chronische patiënten die in eerder KCE-onderzoek^e zijn vastgesteld.^{11, 12} Sommige dimensies die hierboven niet zijn vermeld, kunnen echter relevant zijn voor bepaalde patiëntengroepen of bepaalde soorten aandoeningen. Zo kan een dimensie huisvesting bijzonder relevant zijn bij de beoordeling van de behoeften van patiënten met bepaalde fysieke beperkingen.

2.2. Kwalitatieve methoden

We vonden slechts vier publicaties waarin de patiëntenbehoeften worden gemeten met behulp van kwalitatieve technieken. Drie daarvan maken gebruik van individuele diepte-interviews met patiënten of mantelzorgers; één ervan bekrachtigt de resultaten van de individuele interviews met groepsgesprekken (nominale groepen). De vierde studie beschrijft een methode die de behoeften van patiënten uit etnische minderheden meet via focusgroepen.

Voorbeeld van het gebruik van individuele interviews in de VS

Schroedl et al.¹³ voerden semigestructureerde individuele diepte-interviews met 20 patiënten die voor acute exacerbatie van chronische obstructieve longziekte (COPD) waren opgenomen in een medisch centrum in Chicago. De interviewgids werd ontwikkeld in samenwerking met twee pneumologen en een klinisch psycholoog met expertise in kwalitatief onderzoek:

Gespreksdomein 1: ervaringen met leven met een longziekte

Kunt u me vertellen wat er met uw longen aan de hand is?

Kunt u me vertellen hoe een typische dag er voor u uit ziet, met uw longziekte?

Gespreksdomein 2: symptomen

Welke soorten symptomen vindt u het meest hinderlijk?

Wat doet u om u beter te voelen?

Gespreksdomein 3: sociaal leven en relaties

Verhindert uw longziekte u om de dingen te doen die u graag doet? Op welke manier?

Gespreksdomein 4: levenseinde

Hebt u het gevoel dat uw artsen u alle informatie hebben gegeven die u nodig hebt om uw ziekte te begrijpen?

Uit de kwalitatieve analyse kwamen 6 hoofdthema's naar voren:

- Inzicht in de ziekte: de meeste deelnemers kenden hun diagnose goed en onderkenden de verergering van hun symptomen in de loop

^e KCE Rapport 115 <https://kce.fgov.be/nl/publication/report/organisatie-van-palliatieve-zorg-in-belgi%C3%AB> ; KCE Rapport 190 : <https://kce.fgov.be/nl/publication/report/position-paper-organisatie-van-zorg-voor-chronisch-zieken-in-belgi%C3%AB>



van de tijd. Slechts de helft van de deelnemers begreep de ernst en de prognose van zijn of haar ziekte.

- Symptomen: kortademigheid was algemeen en ernstig.
- Lichamelijke beperkingen: de ziekte verhinderde de deelname aan activiteiten.
- Emotionele ontreddeering: symptomen van depressie en/of angst waren aanwezig bij de meeste deelnemers.
- Sociaal isolement: de meeste deelnemers ondervonden sociale beperkingen en voelden zich aan huis gekluisterd.
- Bezorgdheid over de toekomst: de helft van de deelnemers uitte bezorgdheid over zijn of haar toekomst.

2.3. Gemengde methoden

In zes studies maakten de onderzoekers gebruik van een triangulatie tussen kwantitatieve, kwalitatieve analyses en/of systematische literatuuronderzoek in verschillende combinaties. De combinatie van verschillende methoden biedt de mogelijkheid om de behoeften van patiënten vanuit verschillende perspectieven te onderzoeken en bepaalde facetten van deze behoeften eventueel diepgaander te exploreren.

2.4. Andere methoden

Ook twee andere, zeer interessante benaderingen werden onderzocht, maar niet geselecteerd omdat ze beoordeeld werden als te zwaar in termen van vereiste personele en financiële middelen om routinematig te kunnen worden toegepast. Het gaat om de *James Lind Alliance Priority Setting Partnerships* en de participatieve benadering van het *Vlaams Patiëntenplatform* (VPP) – zie paragraaf 5.2.5.2 in het [wetenschappelijk rapport](#).

2.5. Besluit

De gemengde aanpak, waarin kwantitatieve (enquêtes) en kwalitatieve (interviews, focusgroepen, enz.) technieken worden gecombineerd en ondersteund door een voorafgaand onderzoek van de wetenschappelijke literatuur, lijkt ons de meest omvattende en veelbelovende benadering om een volledig inzicht te krijgen in de werkelijke behoeften van patiënten. Hiermee kunnen meerdere gezondheidsgerelateerde dimensies die het leven van patiënten beïnvloeden, worden bevraagd. Daarom maakten we gebruik van deze aanpak om onze methodologie te ontwikkelen (zie hoofdstuk 5).



3. POTENTIËLE GEGEVENSBRONNEN VOOR DE IDENTIFICATIE VAN AANDOENINGEN MET DE GROOTSTE BEHOEFTE

In dit hoofdstuk trachten we de vraag te beantwoorden of het mogelijk zou zijn om op basis van de beschikbare gegevens in bestaande databanken een eerste ruwe selectie te maken van aandoeningen die gepaard gaan met grote patiëntenbehoeften. We bekeken verschillende nationale en internationale gegevensbronnen^f en hebben ons daarbij vooral gericht op de bronnen met kwantitatieve indicatoren voor gezondheidsgelateerde kwaliteit van leven (*Health-Related Quality of Life* - HRQoL) of bronnen die HRQoL combineerden met overlevingskansen, ziekteduur en/of met prevalentie. Deze indicatoren geven immers een goed beeld van de ernst van een ziekte of beperking.

Met indicatoren voor kwaliteit van leven bedoelen wij ofwel indicatoren voor de kwaliteit van leven als dusdanig (bijv. EQ-5D-5L^g), ofwel een "samenvattende maatstaf voor de gezondheid van de bevolking" (*summary measure of population health* – SMPH) met een HRQoL-component (bijv. *Quality-Adjusted Life Years* – QALY; *Disability-Adjusted Life Years* – DALY, zie sectie 2.1.1; *Years Lived with Disability* – YLD – zie Kader 1). SMPH's zijn indicatoren van ziektelast die verschillende gezondheidsgelateerde dimensies combineren (mortaliteit en morbiditeit, al dan niet gecombineerd met ziekteduur en/of prevalentie). Hoe deze verschillende scores worden berekend en geïnterpreteerd, wordt toegelicht in het wetenschappelijk rapport.

^f Een voorwaarde was dat deze databanken systematisch worden geactualiseerd en bedoeld zijn om te blijven bestaan.

^g EQ-5D-5L is een instrument voor het meten van gezondheidsgelateerde levenskwaliteit aan de hand van vijf dimensies: mobiliteit, zelfzorg, dagelijkse activiteiten, pijn/ongemak, en angst/depressie (5D). Voor elke dimensie zijn er vijf gradaties van ernst (5L).

Kader 1 – QALY – DALY – YLD

QALY's (*Quality-adjusted life years*) of voor kwaliteit gecorrigeerde levensjaren: maat voor de ziektelast die in één maateenheid de impact van een gezondheidsprobleem (of van een ingreep) op de overleving (gemeten in levensjaren) en op de ervaren kwaliteit van leven combineert. QALY's worden vaak gebruikt in economische studies om de kosteneffectiviteit van gezondheidsinterventies te beoordelen. Eén QALY staat gelijk aan één jaar in perfecte gezondheid.

De berekening van het aantal verloren QALY's op bevolkingsniveau als gevolg van een gezondheidsprobleem wordt sterk bepaald door de prevalentie van dat gezondheidsprobleem. Een hoge prevalentie is echter niet noodzakelijk een goede indicator van therapeutische behoeften. Een classificatie volgens verloren QALY's op bevolkingsniveau zal dus heel andere resultaten geven dan een classificatie volgens het aantal verloren QALY's per patiënt, of volgens het verlies van gezondheidsgelateerde levenskwaliteit. Zo zullen minder frequente ziekten, zoals maculadegeneratie of de ziekte van Parkinson, vrij laag worden gerangschikt op basis van het totale aantal verloren QALY's, terwijl hun impact op de kwaliteit van leven van de patiënten (en dus mogelijk op hun niveau van onbeantwoorde patiëntenbehoeften) zeer groot is.

DALY's (*Disability-Adjusted Life Years*) of levensjaren gecorrigeerd voor gezondheidsproblemen: DALY's worden berekend door de door vroegtijdige sterfte verloren levensjaren (*Years of Life Lost* - YLL) op te tellen bij de levensjaren verloren door de ziekte (*Years Lived with Disability* - YLD) (zie ook sectie 2.1.1).



YLD (Years Lived with Disability) of levensjaren geleefd met een gezondheidsprobleem: YLD's worden berekend door de prevalentie van een gezondheidsprobleem te vermenigvuldigen met het gewicht voor het verlies aan levenskwaliteit veroorzaakt door dat gezondheidsprobleem (*Disability Weight* - DW). Een gewicht van 0 staat gelijk aan een perfecte gezondheid en een gewicht van 1 staat gelijk aan de dood.

3.1. Geselecteerde databanken

Uiteindelijk selecteerden we **vier gegevensbronnen/nationale initiatieven** (*Health Interview Survey* (HIS), *Belgian Burden Of Disease study*, *RIZIV Unmet Medical Needs list*, SHARE) en **een internationale gegevensbron** (*Global Burden of Disease study*). De belangrijkste voor- en nadelen van deze vijf gegevensbronnen worden samengevat in Tabel 1.

3.1.1. De Gezondheidsenquête (HIS)

De gezondheidsenquête (*Health Interview Survey* - HIS) bestaat sinds 1997 en wordt elke 4 tot 5 jaar door Sciensano herhaald. De enquête gebeurt via face-to-face interviews en een zelf in te vullen vragenlijst op papier voor meer gevoelige onderwerpen. De belangrijkste doelstellingen zijn het beoordelen van de gezondheidstoestand van de bevolking en het identificeren van belangrijke aandoeningen, alsook de determinanten en gedragingen die daarop een invloed kunnen hebben.

De HIS omvat acht hoofddomeinen (gezondheid en kwaliteit van leven, levensstijl, kennis en praktijken inzake preventie, geestelijke gezondheid en welzijn, gebruik van gezondheidsdiensten, gezondheid en maatschappij, en tandgezondheid). De meeste resultaten zijn vrij beschikbaar via verschillende publicaties en rapporten verzameld op een website en via een interactief online analyseinstrument ^h.

Sinds 2013 omvat de HIS een onderdeel gewijd aan de gezondheidsgerelateerde kwaliteit van leven (HRQoL), in de vorm van de

EQ-5D-5L-vragenlijst⁹ met vijf dimensies (5D): mobiliteit, zelfzorg, dagelijkse activiteiten, pijn/ongemak en angst/depressie, en vijf ernstniveaus per dimensie (5L). De verkregen scores kunnen worden gebruikt voor de berekening van QALY's.

De laatste gegevensverzameling van de HIS vond plaats in 2018 en werd uitgevoerd bij 11 611 deelnemers ouder dan 15 jaar die representatief zijn voor de Belgische bevolking.¹⁴ In deze laatste editie werd het verlies van HRQoL vooral toegeschreven aan hart- en vaatziekten, leeftijdsgebonden problemen en geestelijke aandoeningen. Het verlies van QALY's hield voornamelijk verband met gezondheidsproblemen als gevolg van een sedentaire levensstijl: lagerugklachten, artrose, nekpijn, depressie en arteriële hypertensie. De eerste twee kolommen in Tabel 1

tonen duidelijk de verschillen tussen de rangschikking van aandoeningen (in afnemende volgorde van belangrijkheid) volgens het verlies van QALY's op populatieniveau of volgens het verlies aan HRQoL op patiëntniveau.

3.1.2. De Belgian Burden of Disease-studie (BeBOD)

In 2016 lanceerde Sciensano de Belgische nationale ziektelaststudie (*Belgian Burden of Disease* - BeBOD) met het oog op het bepalen van een kader voor de kwantificering van de ziektelast in België. De resultaten van de ziektelast van kanker in 2018 zijn nu beschikbaar.^{15, 16}

Er zijn twee types SMPH berekend om de ziektelast van kanker te schatten: het aantal jaren geleefd met een beperking (YLD) en het aantal YLD's per geval. De prevalentieschattingen zijn uitsluitend gebaseerd op incidentiegegevens van het Belgisch Kankerregister (*Belgian Cancer Registry* - BCR), dat alle geregistreerde kankers in België bevat. De parameters voor de levenskwaliteit die in de BeBOD-schattingen worden gebruikt, zijn afkomstig uit de literatuur.

In 2018 resulteerden alle kankers samen in 68 806 YLD's bij de Belgische bevolking, waarbij prostaatkanker, maligne huidtumoren, borstkanker, colorectale kanker en blaaskanker de lijst aanvoerden (zie sectie 6.1.4

^h <https://hisia.wiv-isp.be/SitePages/Home.aspx>



(Tabel 10) in het [wetenschappelijk rapport](#)ⁱ. Deze resultaten zijn vooral te verklaren door de hoge prevalentie van deze kankers in België. Als we kijken naar de impact van kanker per patiënt (d.w.z. op basis van het aantal YLD's per geval) ziet de rangschikking er heel anders uit. Dan staat mesotheliom op de eerste plaats (zie Tabel 2). Deze relatief zeldzame kanker heeft dan ook een grote impact op de levenskwaliteit van patiënten.

De resultaten met betrekking tot de ziektelast van kanker kunnen grondiger worden nagetrokken via een interactief platform^j.

3.1.3. De lijst van het *Unmet Medical Need* programma van het RIZIV

De procedure *Unmet Medical Need* van het RIZIV, die in 2016 in voege trad, is bedoeld voor geneesmiddelen waarvoor nog geen vergunning voor het in de handel brengen is verleend, maar die een antwoord zijn op een majeure onbeantwoorde medische behoefte. De procedure voorziet in een tijdelijke financiële tegemoetkoming voor deze geneesmiddelen, op voorwaarde dat de aandoening die ze behandelen wel degelijk voorkomt op de lijst van onbeantwoorde medische behoeften die het RIZIV elk jaar opstelt (zie sectie 1.2). In 2021 stonden er 75 aandoeningen op de *Unmet Medical Need*-lijst van het RIZIV, waarbij aan COVID-19, glioblastoom en amyotrofe laterale sclerose de hoogste scores werden toegekend (maw de meeste onbeantwoorde medische behoeften) (zie Tabel 2). De helft van de aandoeningen op de lijst waren kankers (53,3%).

3.1.4. De SHARE enquête (Belgium)

SHARE (*Survey of Health, Ageing and Retirement in Europe*) is een bevraging met interviews die het grootste deel van de Europese Unie bestrijkt, waaronder België, en een grote verscheidenheid aan informatie bevat: gezondheidsvariabelen, fysieke maten en biomerkers, psychologische variabelen, economische variabelen en sociale-steun-variabelen, alsook informatie op sociale media. De doelpopulatie van SHARE bestaat uit alle personen van 50 jaar en ouder op het moment van de steekproef en hun eventuele partner.

De maatstaf voor kwaliteit van leven die in SHARE wordt gebruikt, is de CASP-12 (*Control Autonomy Self-completion Pleasure*, 12 items), die speciaal is ontwikkeld voor oudere personen. Het is een zelf in te vullen vragenlijst met vier dimensies: autonomie, controle, zelfrealisatie en plezier.^{17, 18} Aan de respondenten wordt gevraagd om op een schaal met vier punten, gaande van "nooit" tot "vaak", aan te geven hoe vaak zij bepaalde gevoelens en situaties ervaren. De verkregen scores worden vervolgens ingedeeld in vier niveaus van kwaliteit van leven: zeer hoog, hoog, matig of laag.

Tot op heden heeft SHARE 8 gegevensverzamelingen uitgevoerd (2004, 2007, 2009, 2011, 2013, 2015, 2017 en 2020 (gericht op COVID-19)). In 2024 zijn 3 extra verzamelingen gepland. In 2017 werden 4 902 patiënten opgenomen in de SHARE-studie voor België. De gemiddelde leeftijd bedroeg 67,5 jaar en 55,7% was een vrouw. De drie aandoeningen die de grootste impact hebben op levenskwaliteit zijn kanker, hypercholesterolemie en hypertensie (zie Tabel 2).

ⁱ Op 8 november 2021 werden de ramingen van de ziektelast van kanker in België voor 2018 door Sciensano geactualiseerd. Volgens deze nieuwe ramingen van de YLD staan prostaatkanker, borstkanker, colorectale kanker,

kwaadaardige huidtumoren en kanker van de luchtpijp/bronchus/long bovenaan de lijst.

^j <https://burden.sciensano.be/shiny/cancer/>



3.1.5. De Global Burden of Disease Studie

De *Global Burden of Disease* (GBD)-studies startten in het begin van de jaren '90 van vorige eeuw. Ze bieden een groot aantal vergelijkende resultaten over de impact van verschillende aandoeningen, letsels en risicofactoren op de gezondheid van de bevolking.¹⁹

We verzamelden de schattingen van de *Global Burden of Disease* 2017 voor België, en richtten ons daarbij op de YLD- en DALY-maten. Er waren voordat jaar schattingen beschikbaar voor België voor 293 aandoeningen. Als we kijken naar het aantal YLD's per geval, dan staan 'andere' neurologische aandoeningen (met name *andere dan* de ziekte van Alzheimer/dementie, de ziekte van Parkinson, epilepsie, multiple sclerose, amyotrofe laterale sclerose (ALS) en andere motorneuronziekten, migraine en spanningshoofdpijn), schizofrenie, ultrasistente tuberculose geassocieerd met HIV/AIDS, bovenaan de lijst (zie Tabel 2).

Kader 2 – Het Bijzonder Solidariteitsfonds (BSF)

In België kunnen goedgekeurde geneesmiddelen enkel worden terugbetaald als ze een vergunning hebben gekregen voor het in de handel brengen (VHB) van het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) of door het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG), *en* alleen voor de indicaties waarvoor ze deze vergunning hebben gekregen. Er zijn echter uitzonderingen, hetzij via de eerder genoemde *Unmet Medical Need* procedure, hetzij via het Bijzonder Solidariteitsfonds (BSF). In beide programma's beslist een commissie over een eventuele terugbetaling, met name per patiëntencohort in het *Unmet Medical Need* programma en op individuele basis in het BSF-programma.

Het BSF is bevoegd om terugbetalingsaanvragen te behandelen buiten de toegestane indicaties. De aanvraag is ontvankelijk als ze aan volgende criteria voldoet: zeldzame ziekte, bedreiging van vitale functies, ontbreken van een terugbetaald therapeutisch alternatief en wetenschappelijk bewijs van werkzaamheid/meerwaarde. Er komt geen indicator voor kwaliteit van leven bij kijken.

Aangezien sommige ziekten uiterst zeldzaam zijn, kregen we om redenen van bescherming van persoonsgegevens geen toegang tot de exacte indicaties van vergoede geneesmiddelen. Maar uit de globale analyse van de cijfers blijkt dat veel van deze middelen worden gebruikt voor de behandeling van kankers of neurodegeneratieve ziekten. Het is daarom moeilijk om deze gegevens te gebruiken om patiënten te identificeren met aanzienlijke onbeantwoorde medische behoeften. Dit is betreurenswaardig omdat deze gegevensbron een duidelijke potentiële waarde heeft voor de analyse van therapeutische behoeften.



Tabel 1 – Gegevensbronnen geselecteerd voor dit onderzoek, voor- en nadelen

Bron	Belangrijkste voordelen	Belangrijkste nadelen
De Gezondheidsenquête (HIS)	• Representatief voor de Belgische bevolking • Grote steekproef • Omvat HRQoL-schattingen voor 38 verschillende aandoeningen	• Zelfgerapporteerde gegevens • Beperkt aantal beoordeelde (veelvoorkomende) aandoeningen; uitsluiting van zeldzame aandoeningen • Uitsluiting van de bevolking onder de 15 jaar bij vragen over de frequentie van gezondheidsproblemen
De Belgian Burden of Disease-studie (BeBOD)	• Omvat YLD-schattingen • Gebruik van incidentiegegevens uit het Belgisch Kankerregister	• Alleen gegevens met betrekking tot kanker, er zijn voorlopig geen schattingen van YLD voor andere aandoeningen
Het Unmet Medical Need programma van het RIZIV	• Lijst met 75 beoordeelde aandoeningen • Toekenning van scores volgens onder andere de impact op de levenskwaliteit van de patiënten	• Toekenning van scores door experts
SHARE	• Omvat een HRQoL-indicator (CASP-12)	• Zelfgerapporteerde gegevens • Beperkt tot mensen boven de 50 jaar
De Global Burden of Disease studie	• SMPH beschikbaar voor een brede waaier van aandoeningen • Mogelijkheid tot vergelijkingen tussen landen	• Schattingen grotendeels gebaseerd op gegevens uit andere landen



Tabel 2 illustreert de verschillen in rangschikking volgens de gekozen parameter om het verlies van levenskwaliteit te meten.

Tabel 2 – Top 5 van aandoeningen gerangschikt in functie van de ziektelast, per gegevensbron

HIS 2018 verlies van QALY (populatie-niveau)	HIS 2018 verlies van HRQoL (individueel niveau)	BeBOD 2018 YLD per geval	RIZIV Unmet Needs list 2021	Medical	SHARE 2017 CASP-12	GBD 2017 YLD per geval
Lage rugaandoening	Myocardinfarct	Mesothelioom	COVID-19		Kanker	Andere neurologische aandoeningen*
Osteoartritis	Beroerte (of gevolgen ervan)	Kanker van onbekende oorsprong	Nieuw-gediagnosticeerd glioblastoom		Hypercholesterolemie	Schizofrenie
Nekaandoening	Ernstige neerslachtigheid of depressie	Prostaatkanker	Amyotrofische Laterale Sclerose		Hoge bloeddruk of hypertensie	HIV/AIDS - extensief resistente (XDR) tuberculose
Hoog cholesterolniveau in het bloed	Urine incontinentie	Blaaskanker	Acute graft versus hostziekte (aGVHZ)		Andere breuken	HIV/AIDS - multidrug- resistente (MDR) (maar niet extensief resistente) tuberculose
Ernstige neerslachtigheid of depressie	Vernauwing van de bloedvaten in de buik of het been	Kanker van de urine-wegen, niet gespecificeerd	Lokaal gevorderd of metastatisch cholangiocarcinoom met een fibroblast- groeifactorreceptor 2 (FGFR2) fusie of herschikking		Osteoartritis/ andere vormen van reuma	HIV/AIDS – Geneesmiddelgevoelige tuberculose

* Neurologische aandoeningen buiten Alzheimer en andere vormen van dementie, Parkinson, epilepsie, multiple sclerose, motorneuron ziekte (ALS), migraine, en spanningshoofdpijn



3.2. Samengestelde lijst

Op basis van de resultaten en de informatie uit de vijf geselecteerde gegevensbronnen hebben wij een lijst opgesteld van aandoeningen waarvoor de ziektelast het grootst zijn, en die bijgevolg mogelijk gepaard gaan met de grootste patiëntenbehoeften.

Door de specifieke kenmerken van elke gegevensbron was het onmogelijk om ze rechtstreeks met elkaar te vergelijken. Daarnaast selecteerden we voor een aantal van deze bronnen meerdere classificatiemogelijkheden (bijvoorbeeld voor HIS de rangschikking op basis van het verlies aan QALY's, en de rangschikking volgens het verlies aan gezondheidsgelateerde levenskwaliteit). Zoals hierboven vermeld, worden indicatoren zoals QALY's, YLD en DALY's immers sterk beïnvloed door de prevalentie van de desbetreffende aandoeningen wanneer ze op bevolkingsniveau worden gebruikt. Ze kunnen daarom nuttig zijn om de zorgbehoeften op bevolkingsniveau te beoordelen, maar niet om de individuele behoeften van patiënten te evalueren. Maar maten zoals verlies van gezondheidsgelateerde levenskwaliteit, aantal YLD/QALY/DALY *per geval*, de 'subjectieve' scores van SHARE en de *Unmet Medical Needs*-lijst van het RIZIV, zijn vooral gericht op deze individuele behoeften. Om die reden zijn beide soorten maten relevant voor de beleidsmaker.

We maakten daarom de arbitraire keuze om uit elke gegevensbron de 20 hoogst gerangschikte aandoeningen (16 voor de SHARE-studie) te selecteren. Dat leverde in totaal 176 aandoeningen op. Na het verwijderen van de dubbels en van de te vaag gedefinieerde aandoeningen (bijvoorbeeld 'andere cardiovasculaire aandoeningen') bleven er 99 aandoeningen over, die in alfabetische volgorde worden vermeld in Tabel 3. Gezien de wijze waarop de verschillende databases werden samengesteld is er ook een grote variatie in het niveau van detail in de beschrijving van de ziektebeelden. Kankers nemen de grootste plaats in (37 op 99 aandoeningen), gevolgd door 9 neurologische aandoeningen, 8 acute ziekte toestanden en 6 psychiatrische aandoeningen.

Tabel 3 – Lijst van 99 aandoeningen met mogelijk onbeantwoorde behoeften, in alfabetische volgorde

Aandoeningen
(Acute lymfoblastische) leukemie
≥3e lijnsbehandeling van HER2-positief gemetastaseerde borstkanker (HER2+ mBC) na falen op trastuzumab emtansine (T-DM1)
Aandoening van de dikke of dunne darm
Acute graft versus hostziekte (aGVHZ)
Allergie
Amyloïde lichte keten (AL) amyloïdose
Amyotrofische Laterale Sclerose (ALS)
Angststoornissen
Appendicitis
Artrose
Asthma
Baarmoederhalskanker
Baarmoederkanker
Baarmoederkanker (niet anders gespecificeerd)
Beroerte (of gevolgen ervan)
Bipolaire stoornis
Blaaskanker
Borstkanker
Cataract
Chronische bronchitis, COPD of emfyseem
Chronische cystitis
Chronische nierziekte
Chronische vermoeidheid gedurende minstens 3 maanden in de laatste 12 maanden
Colon- en rectumkanker
Corona Virus Disease 2019 (COVID-19)
Diabetes
Diabetische retinopathie
Duchenne spierdystrofie
Edentulisme en ernstig tandverlies
Eerstelijnsbehandeling van gemetastaseerde niet-kleincellige longkanker (Non Small Cell Lung Cancer, NSCLC) met hoge, lage of zonder expressie van PD-L1



Epilepsie
Ernstige hartziekte (behalve myocardiaal)
Ernstige neerslachtigheid of depressie
extensief resistente (XDR) tuberculose
Gemetastaseerd uveaal melanoom
Hemolytische anemie en andere vormen van neonatale icterus
Hersentumor en tumoren van het centraal zenuwstelsel
Heupfractuur of femurfractuur
HIV/AIDS - extensief resistente (XDR) tuberculose
HIV/AIDS - multidrug-resistente (MDR) (maar niet extensief resistente) tuberculose
HIV/AIDS - therapie gevoelige tuberculose
Hoge bloeddruk
Hypercholesterolemie
Hypofarynxkanker
Infecties van de lage luchtwegen
Intestinale vasculaire aandoeningen
Intracerebrale bloeding
Ischemisch hartlijden
Ischemische beroerte
Kanker van de vrouwelijke genitalia (niet anders gespecificeerd)
Kanker van het urinestelsel (niet anders gespecificeerd)
Larynxkanker
Leeftijdsgebonden gehoorverlies of andere oorzaak van gehoorverlies
Leverkanker en intrahepatische galwegkanker
Lip- en mondholtekanker
Lip-, mondholte- en farynxkanker (niet anders gespecificeerd)
Lokaal gevorderd of metastatisch cholangiocarcinoom met een fibroblast-groefactorreceptor 2 (FGFR2) fusie of herschikking
Lokaal gevorderde of gemetastaseerde neurotrofine tyrosine receptor kinase (NTRK) genfusie gerelateerde vaste tumoren in volwassen en pediatrische patiënten
Maagkanker
Maagzweer
Macula degeneratie
Maligne huidtumoren
Maligne melanoom van de huid

Maligne pleuraal mesotheliom (L2)
Migraine
Multidrug- resistente (MDR) (maar niet extensief resistente) tuberculose
Multiple sclerose (MS)
Myelodysplastische syndromen
Myocardinfarct
Neonatale sepsis of andere neonatale infectie
Neurale buisdefecten
Neuronale ceroidlipofuscinose type 2
Nierstenen
Nieuw gediagnosticeerd glioblastoom
Obstructie bij de bevalling en uterusruptuur
Opioid gebruik stoornis
Osteoporose
Ovariumkanker
Pancreaskanker (BRCA + of niet)
Paralytische ileus en intestinale obstructie
Peritoneale en retroperitoneale tumoren
Prostaatkanker
Psoriasis
Recidiverend en/of gemetastaseerd plaveiselcelkanker van het hoofd-halsgebied (SCCHN) met progressie of na platinum bevattende chemotherapie
Recurrent glioblastoma
Reumatoïde arthritis
Schildklierkanker
Schizofrenie
Sinus pyriformiskanker
Slokdarmkanker
Trachea-, bronchus- en longkanker
Ureterkanker
Urine incontinentie
Vernauwing van de bekken- en/of buikslagader
Vroegtijdig en selectieve wondverzorging diepe brandwonden bij kinderen
Zelfmoord (niet door middel van een vuurwapen)
Ziekte van Alzheimer of andere vorm van dementie
Ziekte van Parkinson
Zure sfingomyelinasedeficiëntie



Een belangrijke bevinding aan het einde van dit deel van de studie is dat slechts weinig nationale gegevensbronnen indicatoren voor kwaliteit van leven bevatten. De bronnen die dat wel doen, gebruiken heterogene indicatoren. Daardoor kan de impact van de verschillende aandoeningen moeilijk worden vergeleken. Het belang van dit soort indicatoren moet nochtans niet meer worden aangetoond: het zijn krachtige instrumenten om gezondheidsprioriteiten te bepalen. Ondanks enkele onlangs genomen nationale initiatieven (bijv. de BeBOD-studie), loopt België achter op andere Europese landen waar dit type indicatoren al goed is ingeburgerd (bijv. in Nederland). Het KCE heeft reeds aanbevolen om het gebruik van PROMs^k en PREMs^l op te nemen in het kwaliteitszorgbeleid in België^m. Sommige lopende projecten, zoals het PaRIS-project van de OESO, kunnen eveneens helpen om de integratie van PROMs en PREMs in bestaande databanken te bevorderen.

Een interessante bevinding van de analyse van de databanken is dat aandoeningen waarvan gekend is dat er weinig (effectieve) behandelingen beschikbaar zijn - en waarvoor dus een grote therapeutische behoefte bestaat - vaak hoog op de lijst van mogelijk onvervulde behoeften staan die uit de databanken wordt afgeleid. Dit impliceert dat in afwachting van de ontwikkeling van dergelijke behandelingen de "andere" behoeften van patiënten, bv. de niet-therapeutische behoeften, belangrijker worden om patiëntgerichte en kwalitatief hoogwaardige patiëntenzorg te garanderen. Dit onderstreept het belang om patiënten naar deze behoeften te vragen (door middel van een enquête en/of kwalitatief onderzoek), naast het vaststellen van de therapeutische behoeften op basis van bestaande gegevensbanken.

Een andere belangrijke opmerking is dat binnen eenzelfde pathologie de noden tussen individuele patiënten sterk kunnen verschillen.

^k PROMs (*patient-reported outcome measures*) zijn instrumenten om door-de-patiënt-gerapporteerde gezondheidsuitkomsten te meten; zij meten hoe de patiënt zijn gezondheid beoordeelt.

^l PREMs (*patient-reported experience measures*) zijn instrumenten om door-de-patiënt-gerapporteerde ervaringen te meten; zij peilen naar de ervaringen van de patiënt met het zorgproces.

^m Zie rapport KCE 303: <https://kce.fgov.be/nl/het-gebruik-van-pati%C3%ABnt-uitkomsten-en-ervaringen-promsprems-voor-klinische-en-beleidsdoeleinden>



4. DE ONTWIKKELING VAN EEN GENERIEKE VRAGENLIJST VOOR HET VASTSTELLEN VAN PATIËNTENBEHOEFTE

In dit hoofdstuk beschrijven we de ontwikkeling van een generieke vragenlijst om patiëntenbehoeften te identificeren. Deze vragenlijst moet worden beschouwd als een canvas voor de ontwikkeling van een aandoening-specifieke vragenlijst.

Een tussentijdse versie van de generieke vragenlijst werd in een pilootstudie getest bij patiënten met langdurige COVID (zie sectie 4.2.). De gedetailleerde informatie met betrekking tot de ontwikkeling van de generieke vragenlijst en de pilootstudie zijn terug te vinden in hoofdstukken 7 en 8 van het wetenschappelijk rapport.

4.1. Ontwikkeling van de generieke vragenlijst

Op basis van de relevante elementen uit het literatuuronderzoek werd een eerste versie van de generieke vragenlijst opgesteld. Deze eerste versie omvatte zeven dimensies (zie hoofdstuk 7 van het [wetenschappelijk rapport](#)). Tijdens een Delphi-procedure in twee rondes beoordeelden patiëntvertegenwoordigers (van LUSS, VPP, RaDiOrg, ziekenfondsen, het Observatorium voor chronische ziekten en afzonderlijke patiëntenverenigingen) of de vragenlijst relevant, duidelijk en volledig was.

Op basis van de feedback van het Delphi panel werden enkele dimensies en items van de vragenlijst aangepast (vereenvoudiging van sommige formuleringen, toevoeging van voorbeelden om het begrijpelijker te maken, enz.) en andere samengevoegd. De tweede versie van de vragenlijst omvatte de volgende 12 secties:

1. **Vertrouwelijkheid van gegevens en geïnformeerde toestemming:** juridische informatie + verklaring van geïnformeerde toestemming.

2. **Algemene informatie:** demografische kenmerken van de respondenten met betrekking tot geslacht, leeftijd en opleidingsniveau, alsook de status van de respondent (patiënt of proxy).
3. **Uw algemene gezondheidstoestand:** beoordeling door de respondenten van hun gezondheidstoestand vóór het optreden van hun gezondheidsprobleem en nu. Deze beoordeling is gebaseerd op de vijf dimensies van de EQ-5D-5L en een visueel analoge schaal.
4. **Andere aandoeningen:** vermelding van eventuele comorbiditeiten.
5. **Symptomen (lichamelijk en psychisch) die verband houden met de bestudeerde aandoening:** lijst van 44 symptomen met de mogelijkheid om er toe te voegen.
6. **Gezondheidszorggebruik:** geraadpleegde zorgverleners en mate van tevredenheid over elk van hen.
7. **Behandelingen en zorg voor de bestudeerde aandoening:** open veld om de verschillende gekregen behandelingen te vermelden en de mate van tevredenheid per behandeling aan te duiden.
8. **Ongemak van de behandeling:** vragen over de zwaarte van de behandeling(en), met een open veld voor ervaren bijwerkingen.
9. **Toegankelijkheid van de zorg:** niet-gekregen zorgen en redenen waarom.
10. **Toegankelijkheid van informatie over de bestudeerde aandoening:** mate van tevredenheid over de ontvangen informatie in verband met de aandoening.
11. **Financiële gevolgen:** financiële gevolgen naar aanleiding van de bestudeerde aandoening, met een open veld om deze eventuele gevolgen te beschrijven.
12. **Ondersteunend netwerk:** hulpbehoeften bij activiteiten van het dagelijkse leven en relationele behoeften.



Na afloop van de pilootstudie (zie 4.2) werden de punten 7 en 8 en de punten 6 en 9 samengevoegd. De resultaten van de Delphi-procedure en de tussentijdse versies van de vragenlijst worden in detail beschreven in hoofdstuk 7 van het wetenschappelijk rapport.

4.2. Pilootstudie

Om na te gaan of onze methodologie geschikt is om de patiëntenbehoeften in reële situaties te identificeren, wilden we een pilootstudie uitvoeren bij een specifieke patiëntenpopulatie. De keuze viel op personen met langdurige COVID, aangezien het KCE op dat moment al een studieaanvraag had gekregen over dit onderwerp. De potentiële populatie was ook groot genoeg om de generieke vragenlijst verder te verfijnen en om kwalitatieve benaderingen voor een meer diepgaande studie van de patiëntenbehoeften toe te passen (i.c. een online forum en diepte-interviews).

4.2.1. Online enquête

Voor het specifieke thema van langdurige COVID-19 werd aan de generieke vragenlijst een paragraaf toegevoegd over de acute episode van COVID-19: hoe en door wie is de diagnose gesteld? Was er een ziekenhuisopname? (Op welke afdeling? Hoelang?). Zoals voorzien werden sommige vragen aangepast aan de specifieke kenmerken van het gezondheidsprobleem “langdurige COVID”.

De rekrutering van deelnemers gebeurde via verschillende communicatiekanalen (KCE-website, e-mailing, patiëntenverenigingen, groepen voor patiënten met langdurige COVID op sociale media en algemene media). Ook de koepelorganisaties van patiëntenverenigingen (LUSS en VPP) en de ziekenfondsen hebben de oproep verspreid. Op 27 januari 2021 werd de vragenlijst online gezet via LimeSurvey en op 14 februari 2021 werd hij afgesloten.

In totaal werden 1 320 ingevulde vragenlijsten geselecteerd voor analyse. De meeste respondenten (74,8%) waren vrouwen. Het aandeel hoogopgeleiden was relatief groot (55,9%) en 82% had betaald werk vóór zijn of haar acute COVID-19-episode.

4.2.2. Kwalitatief onderzoek

Aan het einde van de vragenlijst werd aan de deelnemers gevraagd of ze bereid waren deel te nemen aan één van de twee onderdelen van het kwalitatieve onderzoek (slechts één keuze mogelijk). In totaal waren 167 deelnemers (12,7%) van de enquête bereid om deel te nemen aan het forum, van wie er 101 daadwerkelijk deelnamen. De meeste deelnemers waren vrouwen (77,3%) en hadden een hoog opleidingsniveau (40,3%). Daarnaast vonden er 33 diepte-interviews plaats; ook hier waren de meeste deelnemers vrouwen (20 van de 33).

De bijkomende informatie over de deelnemers aan de verschillende fasen van deze pilootstudie en de analyse van de respons met betrekking tot langdurige COVID zijn te lezen in het KCE Rapport 344 over langdurige COVIDⁿ.²⁰

ⁿ KCE Rapport 344 : <https://kce.fgov.be/nl/behoeften-en-opvolging-van-pati%C3%ABnten-met-langdurige-covid>



4.3. Lessen uit de Delphi-procedure en pilootstudie

4.3.1. Generieke vragenlijst

Na de Delphi-procedure en de pilootstudie konden we enkele interessante besluiten trekken aangaande het gebruik van de generieke vragenlijst.

- **Er moet voldoende informatie over de bestudeerde aandoening worden verzameld vooraleer een specifieke vragenlijst kan worden opgesteld.**

Voldoende kennis hebben over de bestudeerde aandoening, alsook over de symptomen en behandelingen ervan, is nodig om een vragenlijst te kunnen samenstellen die peilt naar de behoeften van patiënten met een bepaald gezondheidsprobleem. Deze informatie kan worden gevonden via literatuuronderzoek en/of gesprekken met de betrokken patiënten (idealiter via een patiëntenvereniging omdat men dan voordeel kan halen uit de collectieve kennis over de ervaringen van patiënten) en/of zorgprofessionals met expertise in het desbetreffende probleem.

- **De mogelijkheid om de vragenlijst te laten invullen door een proxy in naam van de patiënt, moet worden geboden**

Sommige populaties of aandoeningen kunnen niet worden bestudeerd als niet wordt voorzien in de mogelijkheid dat de vragenlijst door een proxy wordt ingevuld. Daarom dient deze mogelijkheid geboden te worden in de vragenlijst en moeten duidelijke instructies worden gegeven over hoe de enquête moet worden ingevuld in dat geval. De instructies kunnen bijvoorbeeld als volgt worden geformuleerd: *“De persoon die u vertegenwoordigt is op dit moment niet in staat om een weloverwogen beslissing te nemen om deel te nemen aan dit onderzoek. Door dit vakje aan te kruisen, neemt u deel aan dit onderzoek op basis van zijn of haar waarschijnlijke bereidheid om deel te nemen. Gelieve alle vragen te beantwoorden alsof u de persoon zelf bent. Bij de meeste vragen kan u aangeven ‘ik weet het niet’ als u niet weet hoe de persoon zou antwoorden”.*

Specifiek voor kinderen en minderjarigen dient bovendien volgende instructie gegeven te worden: *“Door dit vakje aan te kruisen, bevestigt u dat u handelt in overeenstemming met de vermoedelijke wil van de andere*

ouder van de minderjarige die u vertegenwoordigt. U verbindt zich ertoe de andere ouder zo snel mogelijk te informeren over uw deelname in naam van die minderjarige.”

Met deze instructies beogen wij mogelijke zwakke punten van het gebruik van antwoorden door een proxy te reduceren. Wij zijn ons ervan bewust dat deze zwakke punten niet volledig kunnen worden weggewerkt, maar achten het belangrijker dat alle aandoeningen en patiëntenpopulaties kunnen worden bestudeerd dan dat volledig onbevooroordeelde antwoorden worden verkregen.

- **De generieke vragenlijst moet worden aangepast aan elk onderzocht gezondheidsprobleem**

De generieke vragenlijst is niet bedoeld om als dusdanig te worden gebruikt; hij moet dienen als basisstramien voor het opstellen van een specifieke vragenlijst voor elk onderzocht gezondheidsprobleem. Hij moet dus **altijd** worden aangepast. Enkele voorbeelden van noodzakelijke aanpassingen:

- De vraag naar de gezondheidstoestand van de patiënt voor en na het ontstaan van het probleem is meestal niet relevant voor aangeboren aandoeningen.
- De vraag naar de gekregen behandeling(en) en de tevredenheid over deze behandeling(en) kan worden aangevuld met een vraag naar de behoeften en verwachtingen van patiënten die momenteel, om welke reden dan ook, geen behandeling krijgen. Zo zou men kunnen vragen wat voor soort behandeling ze zouden wensen (bijvoorbeeld pijnmedicatie, revalidatiesessies, enz.).
- Alle vragen met betrekking tot het bestudeerde gezondheidsprobleem moeten worden aangepast aan dat probleem. In veel gevallen volstaat het om "uw aandoening" in de generieke formulering te vervangen door de naam van de aandoening of het gezondheidsprobleem.
- **Het format van de vragenlijst moet worden aangepast aan de patiëntenpopulatie**

Het voor de vragenlijst gekozen format is eveneens een belangrijk element, omdat het de deelname van patiënten aan de enquête bepaalt en aanleiding



kan geven tot een selectiebias. Als de vragenlijst bijvoorbeeld online wordt aangeboden (zoals in onze pilootstudie), loopt men het risico dat de populaties met een geen of moeilijke toegang tot het internet, door keuze/levensstijl of vanwege hun precare situatie, niet worden bereikt. De leeftijd is daarbij een belangrijke factor.

- **Het bestaan van de enquête moet ruim worden bekendgemaakt**

Vaak wordt aangenomen dat het moeilijker is om de doelgroep te bereiken als er geen patiëntenvereniging is. Uit ervaring weten we echter dat we de patiënten kunnen bereiken door meerdere communicatiemiddelen in te zetten bij de rekrutering van deelnemers (persconferentie, sociale media zoals Facebook, contact met koepelorganisaties van patiëntenverenigingen). Onze ervaring is waarschijnlijk vertekend door het feit dat het onderwerp van langdurige COVID heel wat media-aandacht kreeg. Maar zelfs al vragen minder frequente aandoeningen extra inspanningen, toch menen we dat een beroep doen op koepelorganisaties van patiëntenverenigingen, ziekenfondsen en zorgaanbieders een efficiënte oplossing blijft.

- **De vragen moeten duidelijk en ondubbelzinnig zijn**

Uit de Delphi-procedure bleken sommige vragen onvoldoende duidelijk geformuleerd of voor interpretatie vatbaar. Daarom werd een aantal aanvankelijk open vragen (bijvoorbeeld het bestaan van comorbiditeiten) vervangen door een niet-limitatieve lijst van antwoordopties (met de mogelijkheid om één of meerdere antwoorden te kiezen).

- **De antwoordopties moeten makkelijk bruikbaar zijn voor de onderzoekers**

De antwoordopties in de vragenlijst moeten zodanig worden gekozen dat zij analyseerbaar zijn door de onderzoekers, zonder subjectieve interpretatie door deze onderzoekers. Dat kan aan de hand van een **niet-limitatieve lijst van antwoordopties**. Deze werkwijze biedt meerdere voordelen, waaronder het gebruiksgemak voor de patiënt (die zelf geen moeilijke termen hoeft te noteren) en het analysegemak voor de onderzoekers. Wel opgelet want een te lange vragenlijst kan respondenten ontmoedigen en ervoor zorgen dat ze afhaken.

Hoewel **open velden** vaak nuttig zijn om informatie te verzamelen waaraan de onderzoekers niet hebben gedacht, bevelen wij aan om het aantal open velden zoveel mogelijk te beperken. Open velden bemoeilijken immers de analyse (noodzaak tot hercodering, wat een risico inhoudt van misinterpretatie door degene die hercodeert). Wij zijn van mening dat de het aanbieden van de antwoordoptie "andere" volstaat om aan te geven dat sommige andere punten verder moeten worden onderzocht in het kwalitatieve deel. De belangrijkste problemen bij de open velden in de pilootstudie waren te beknopte antwoorden zodat ze niet op een valide manier konden worden geïnterpreteerd, of net te gedetailleerde antwoorden die soms te maken hadden met de daaropvolgende vragen.

De uitdaging is dan ook om het juiste evenwicht te vinden tussen het aanbieden van vooraf gedefinieerde antwoordopties en de respondenten voldoende ruimte laten voor hun inbreng.

4.3.2. *Kwalitatief onderzoek: online forum en interviews*

Onze evaluatie toonde dat online forums en interviews gepaste technieken zijn om de preciese patiëntenbehoeften nog beter te identificeren. Elke techniek heeft echter zijn beperkingen, vereisten, voor- en nadelen, die variëren naargelang de betrokken populatie, het onderzochte gezondheidsprobleem en de middelen toegekend aan het onderzoek. Een forum is bijvoorbeeld interessant om de interactie tussen de deelnemers te bevorderen, maar zal niet succesvol zijn voor onderwerpen waarbij er al een zekere consensus is omdat er in dat geval weinig controverse zal zijn tussen de deelnemers en bijgevolg minder rijke discussies die een meerwaarde betekenen ten opzichte van de online enquête.

Na de ervaringen met onze pilootstudie komen we tot volgende besluiten:

- Via een online forum kan veel informatie over patiëntenbehoeften worden geïdentificeerd;
- De meeste deelnemers aan het forum waardeerden deze aanpak;
- De via het forum en de individuele interviews geïdentificeerde behoeften waren grotendeels dezelfde. Daarentegen verschilden de



kenmerken van de informatie bekomen via de twee technieken van gegevensverzameling:

- de interviews leverden een volledig verhaal op, met meer contextgebonden antwoorden, maar slechts voor de helft van de behoeften,
- het forum genereerde een grotere diversiteit aan informatie met betrekking tot behoeften en meer suggesties om de situatie van patiënten te verbeteren. Dit komt waarschijnlijk door het hogere aantal respondenten. Door het gebrek aan interactie tijdens het forum en het feit dat de respondenten niet altijd reageerden op de vragen van de moderator, konden jammer genoeg niet alle ideeën worden verhelderd;
- Inzake het gebruik van een online forum werden enkele aandachtspunten naar voren geschoven:
 - Om frustratie bij de patiënten te voorkomen, is het belangrijk om van bij het begin de doelstellingen en de manier waarop het forum zal verlopen duidelijk te formuleren;
 - De vaardigheden van de moderators en hun affiniteit met de methode zijn belangrijk (moderatie, bemiddeling, kwalitatief onderzoek). Voor medische aspecten is een minimale kennis van het gezondheidsprobleem wenselijk; zoniet, moet ervoor worden gezorgd dat de moderator iemand met deze kennis kan raadplegen. Voeling met schriftelijke communicatie is noodzakelijk;
 - Bij de keuze van het platform voor het forum moet rekening worden gehouden met de gebruiksvriendelijkheid en de interactieve mogelijkheden;
 - Eventuele problemen of bezorgdheden moeten idealiter snel worden besproken tussen de moderators en het onderzoeksteam;
 - Voor de gegevensverzameling moet een periode van ongeveer 3 weken worden voorzien, met een voorafgaande communicatie over de planning van de publicatie van nieuwe onderwerpen;
 - Het lijkt aangewezen om deelnemers te vragen om ten minste elke 3 dagen in te loggen;
 - De moderatie vereist 2 tot 3 uur per dag verdeeld over meerdere korte periodes doorheen de dag;
- In het geval van langdurige COVID trok de uitnodiging tot deelname aan een kwalitatief onderzoeksproject, na invullen van een online enquête, relatief beter opgeleide en/of zwaarder getroffen patiënten aan. Wat de deelname aan de verschillende technieken voor datacollectie betreft, leek het forum eerder mensen aan te trekken die minder door de ziekte waren getroffen dan de individuele interviews.

We kunnen besluiten dat onze pilootstudie ons geruststelt dat de aanpak met een generieke vragenlijst aangepast aan de onderzochte aandoening (op basis van een literatuuroverzicht en input van patiënten), gevolgd door een kwalitatief onderzoek bij een beperkte steekproef van de deelnemers aan de enquête, de beste manier is om de behoeften van patiënten met een bepaalde aandoening met voldoende nuance te capteren. Het volgende hoofdstuk gaat dieper in op een gestructureerd implementatiemodel dat stoelt op deze aanpak.



5. EEN METHODE OM DE PATIËNTENBEHOEFTE IN BELGIË IN KAART TE BRENGEN

Het is onrealistisch om van individuele patiënten, burgers of gezondheidsprofessionals te verwachten dat ze diepgaand kwantitatief en kwalitatief onderzoek doen naar de patiëntenbehoeften met als doel een *evidence-based* lijst op te stellen van geïdentificeerde behoeften. Het lijkt beter om deze verantwoordelijkheid toe te vertrouwen aan een wetenschappelijke instantie die over de nodige vaardigheden beschikt om studies op te zetten en uit te voeren (of te coördineren) die voor een dergelijke gegevensverzameling noodzakelijk zijn. Er zijn twee scenario's mogelijk: een nieuwe instantie oprichten of een bestaande instantie of organisatie hiervoor mandateren. De in dit hoofdstuk voorgestelde aanpak staat los van het scenario dat uiteindelijk wordt gekozen. We zullen daarom gewoon spreken van "de verantwoordelijke instantie".

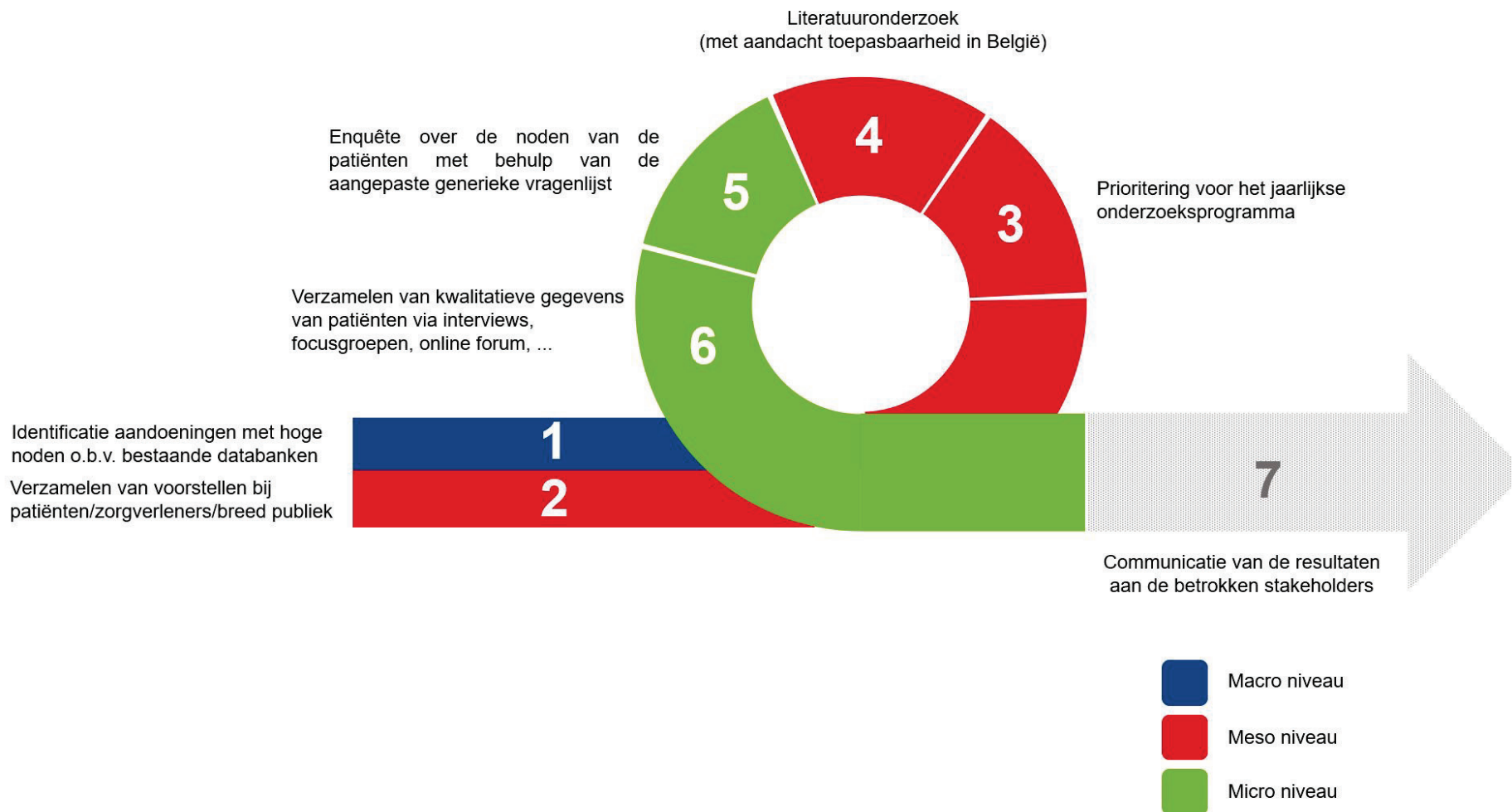
5.1. Hoe de gegevens gebruiken?

Het hoofddoel van de verantwoordelijke instantie zal zijn om gedetailleerde gegevens te verzamelen over de behoeften van patiënten met betrekking tot verschillende aandoeningen, om deze vervolgens beschikbaar te stellen aan stakeholders die ze nodig hebben om hun missie uit te voeren. Het is niet mogelijk om een volledig overzicht te geven van alle potentiële stakeholders en hoe zij deze informatie in de praktijk kunnen gebruiken, maar we belichten hieronder graag enkele concrete voorbeelden:

- Het RIZIV zou deze informatie in zijn *Unmet Medical Need* programma kunnen integreren, maar ook meer algemeen in alle terugbetalingsbeslissingen voor medische producten en diensten;
- De onderzoekers, de industrie en de instanties die het onderzoek financieren kunnen dit soort informatie gebruiken voor de gerichte ontwikkeling van nieuwe interventies of behandelingen die tegemoetkomen aan de belangrijkste behoeften van de patiënten;
- Zorgverleners kunnen deze informatie in hun dagelijkse praktijk gebruiken om zaken te bespreken waaraan ze misschien niet onmiddellijk denken;
- Ziekenfondsen en patiëntenverenigingen kunnen de informatie over de patiëntenbehoeften gebruiken in hun voorlichting en educatie van patiënten en/of het publiek, en in hun communicatie met de verantwoordelijken voor het gezondheidsbeleid. Zo gaven patiënten in de pilotstudie over langdurende COVID-19 aan dat het gebrek aan informatie over hun gezondheidstoestand voor hen een groot probleem was. Zij hadden het gevoel dat hun gezondheidsprobleem niet werd erkend en dat zij zich herhaaldelijk moesten verantwoorden voor hun aandoening.

5.2. Een model in zeven stappen

Voor het vaststellen van de patiëntenbehoeften stellen we een globaal model met 7 stappen voor, verdeeld over 3 niveaus.

**Figuur 2 – Model voor het identificeren van patiëntenbehoeften in België**



5.2.1. Stap 1

De eerste stap is het **identificeren van aandoeningen** waarvoor een doorgedreven gegevensverzameling nodig is om de preciese patiëntenbehoeften te identificeren. Deze stap is noodzakelijk omdat de middelen voor het uitvoeren van patiëntenbehoeften-studies uiteraard beperkt zijn. De selectie zou tenminste gedeeltelijk gebaseerd moeten zijn op **gegevens uit Belgische bronnen**, zoals de Gezondheidsenquête (HIS), de *Unmet medical needs*-lijst van het RIZIV, de *Belgian Burden of Disease database* en SHARE, alsook de schattingen voor België van de *Global Burden of Disease*-studie. Ondanks de beperkingen van elk van deze databanken kunnen ze een eerste ruwe indicatie geven van de (groepen van) aandoeningen met een grote impact op de gezondheidsgelateerde kwaliteit van leven (zie hoofdstuk 3). Tijdens deze stap mag men niet alleen focussen op populatie-indicatoren, die vaak sterk worden bepaald door de prevalentie van het desbetreffende gezondheidsprobleem, maar moet men een evenwicht vinden tussen aandoeningen met een grote individuele impact en aandoeningen met een grote impact op bevolkingsniveau. Het Bijzonder Solidariteitsfonds van het RIZIV, het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) en het Europees Geneesmiddelenagentschap (EMA) moeten ook betrokken worden bij de prioritering van de ziektegroepen, aangezien zij over belangrijke informatie en expertise beschikken over de on vervulde medische behoeften van patiënten. In de toekomst zal bij deze stap ook rekening moeten worden gehouden met andere relevante databanken, die momenteel worden ontwikkeld.

5.2.2. Stap 2

In stap 2 worden **patiënten of patiëntenverenigingen, zorgverleners en het brede publiek uitgenodigd om voorstellen in te dienen** van aandoeningen die volgens hen in aanmerking moeten worden genomen. Voorstellen mogen ook betrekking hebben op een specifiek symptoom dat bij verschillende onderliggende aandoeningen kan voorkomen (bv. hemiplegie (halfzijdige verlamming)), waardoor het toepassingsgebied wordt uitgebreid van een zuiver ziektegerichte aanpak tot een aandoening-gerichte aanpak.

Het belang van deze stap ligt in het wegwerken van de beperkingen van de in stap 1 bestudeerde databanken, d.w.z. de heterogeniteit van de gebruikte indicatoren voor kwaliteit van leven en de heterogeniteit qua nauwkeurigheid in het bepalen van de aandoeningen. Er kunnen voorstellen worden ingediend voor de in stap 1 gedefinieerde aandoeningen of voor andere aandoeningen. Deze laatste mogelijkheid moet worden opengelaten, vooral voor zeldzame aandoeningen, nieuwe aandoeningen, of aandoeningen waarvoor geen patiëntenverenigingen bestaan.

5.2.3. Stap 3

Stap 3 omvat de **selectie van specifieke aandoeningen** voor het **jaarprogramma van de verantwoordelijke instantie**. De selectie zou gebaseerd moeten zijn op een eerste *long list* samengesteld op basis van de resultaten van stap 1 en 2, via een selectieprocedure gebaseerd op expliciete criteria en ethische overwegingen (bijvoorbeeld om patiënten met minder vaak voorkomende aandoeningen niet te benadelen).

De verantwoordelijke instantie zou een procedure moeten ontwikkelen voor de selectie van aandoeningen voor het jaarprogramma, met vermelding van de selectiecriteria en de methoden voor het beoordelen en rangschikken van de voorstellen. Deze procedure zou elk jaar moeten worden herhaald, waarbij de onderwerpen die het ene jaar niet zijn geselecteerd, het volgende jaar opnieuw kunnen worden overwogen.

5.2.4. Stap 4

In stap 4 gebeurt voor elke geselecteerde aandoening **een literatuuronderzoek**, teneinde (1) bestaande wetenschappelijke gegevens met betrekking tot patiëntenbehoeften en ziektelast te identificeren, (2) informatie te verzamelen over de beschikbare behandelingen en hun werkzaamheid, en (3) wijzigingen voor te bereiden die in de generieke vragenlijst moeten worden doorgevoerd (zie stap 5). Om weloverwogen keuzes te kunnen maken, is het zowel voor de onderzoekers als voor de besluitvormers immers essentieel om voldoende en correct geïnformeerd te zijn over de aandoening, de behandelingen of de managementstrategieën ervan, alsook over de hiaten in het wetenschappelijke bewijs hierover. Deze informatie is bovendien cruciaal om de behoeften van de patiënten te



begrijpen en te interpreteren. Er moet echter rekening worden gehouden met de relevantie van de verzamelde informatie voor de Belgische context (beschikbaarheid van bepaalde behandelingen, verschillende zorgstandaarden, enz.)

Ook in deze fase zouden bepaalde Belgische initiatieven nuttige informatie kunnen opleveren. Bijvoorbeeld het PaRIS-project (OESO) over PROMs en PREMs van chronische patiënten aangaande de zorg die ze in de eerste lijn ontvangen (resultaten voor België verwacht tegen eind 2022) of het project van het *Vlaams Patiëntenplatform* (VPP) met betrekking tot de innovatiebehoeften voor chronische patiënten.^{21 2172}

De verantwoordelijke instantie zal een procesnota moeten opstellen voor het raadplegen van literatuurdatabanken (welke te raadplegen, hoe de verzamelde wetenschappelijke informatie samen te vatten, hoe deze om te zetten in aanpassingen van de generieke vragenlijst in stap 5).

5.2.5. Stap 5

Stap 5 omvat **de verzameling van gegevens bij Belgische patiënten** (of bij proxies indien patiënten zich niet zelf kunnen uitdrukken) via een enquête. In deze studie stelden we voor dit soort gegevensverzameling een **generieke vragenlijst** op. Deze vragenlijst moet worden beschouwd als een canvas dat op basis van het literatuuronderzoek in stap 4 en de gesprekken met patiënten en zorgverleners moet worden aangepast aan het specifieke onderzochte gezondheidsprobleem. Zo kan rekening worden gehouden met bepaalde specifieke behoeften die niet in de generieke vragenlijst zijn opgenomen. Specifieke vragen over deze behoeften kunnen aan de vragenlijst worden toegevoegd. We bevelen echter aan om niet te veel vragen toe te voegen of de formulering van vragen aan te passen om de validiteit en haalbaarheid van de bevraging niet in het gedrang te brengen. Het doel van deze benadering is om een gelijkaardige vragenlijst te gebruiken bij verschillende aandoeningen en populaties, om ervoor te zorgen dat verschillende patiëntenpopulaties op een gelijkaardige manier worden benaderd en om de bias die door onderzoekers zou kunnen

geïntroduceerd worden bij het bevragen van patiëntenbehoeften te minimaliseren. Indien meer diepgaande informatie nodig is -bijv. om de bevindingen van de patiëntenbehoeftestudie beter te kunnen vertalen naar concrete (beleids)maatregelen of acties- moet dit opgenomen worden in het kwalitatieve luik van het onderzoek. Ook de keuze van de methode voor het invullen van de vragenlijst (online, op papier, zelf ingevuld of met de hulp van een derde) moet goed worden overwogen, onder andere om de volledige doelgroep te bereiken (met inbegrip van patiënten met een lage digitale geletterdheid, en patiënten die geen zorg krijgen).

De verantwoordelijke instantie zal een procesnota moeten opstellen die onder andere bepaalt hoe de generieke vragenlijst moet worden aangepast aan de patiëntenpopulatie (wie moet de vragenlijst beoordelen, hoe worden de patiënten bij deze stap betrokken, is een pre-test en pilootstudie nodig, met hoeveel personen, enz.), hoe patiënten moeten worden gerekruteerd (met de hulp van alle relevante actoren in het studiedomein, inclusief de sociale sector en de sector van het verenigingsleven), hoe de gegevens moeten worden verzameld, enz.

5.2.6. Stap 6

In stap 6 worden **de in de enquête geïdentificeerde behoeften verder uitgediept** aan de hand van **kwalitatieve onderzoekstechnieken** (individuele interviews, focusgroepen, online forum, ...). De keuze van de techniek wordt aangepast aan de patiëntenpopulatie, hun voorkeuren en mogelijkheden. Het kan nuttig zijn om zorgverleners en mantelzorgers bij deze stap te betrekken, vooral als zij zelf te maken hebben met aanzienlijke behoeften vanwege de toestand van een patiënt of als de patiënt zich slechts in beperkte mate kan uiten.

De verantwoordelijke instantie zal een procesnota moeten opstellen voor het kwalitatief onderzoek (keuze van techniek, methoden voor het betrekken van patiënten en/of zorgverleners, enz.). De procesnota voor het betrekken van patiënten van het KCE kan als inspiratiebron dienen.^o

^o <https://kce.fgov.be/nl/procesnota-voor-het-betrekken-van-pati%C3%ABnten-bij-kce-projecten>



5.2.7. Stap 7

In stap 7 worden **de resultaten aan de stakeholders voorgelegd**, het is aan hen om deze daarna te gebruiken. Met de betrokken stakeholders bedoelen we hier de gezondheidsautoriteiten, het RIZIV, de ziekenfondsen, de patiëntenverenigingen, de zorgverstrekkers, de organisaties die het onderzoek financieren, de farmaceutische industrie en de industrie van medische hulpmiddelen, enz. Sommige organisaties die actief zijn binnen de gefedereerde entiteiten zouden de resultaten ook kunnen gebruiken om hun beleid en activiteiten te verbeteren.

Voor een adequaat gebruik van de gegevens in het kader van terugbetalingsbeslissingen door het RIZIV, is het noodzakelijk dat indicatoren van patiëntenbehoeften worden opgenomen in het terugbetalingsaanvraagdossier voor gezondheidsinterventies, alsook bewijs van het effect van de interventie op deze indicatoren. Dit vereist de systematisch verzameling van gegevens met betrekking tot patiëntenbehoeftenindicatoren, ook in klinische studies.

De verantwoordelijke instantie zal een procesnota moeten opstellen voor de communicatie van de resultaten van de studies naar diverse stakeholders. Hierbij kan de rol van specifieke stakeholders bij de verspreiding van de resultaten beschreven worden.

5.3. Welke middelen zijn nodig om deze aanpak te implementeren?

Uit het pilootproject hebben we geleerd dat volgende personen idealiter bij de uitvoering van het onderzoek naar patiëntenbehoeften worden betrokken:

- experts in **kwantitatief onderzoek** (met name een data-analist) voor het analyseren van de gegevens uit bestaande databanken en van de antwoorden op de enquêtes bij patiënten;
- experts in **kwalitatief onderzoek** (interviewtechnieken, mondelinge moderatie (focusgroepen) en schriftelijke moderatie (online forums)) en experts in sociologisch onderzoek voor de interpretatie en contextualisatie van kwalitatieve onderzoeksgegevens;

- medische, paramedische en volksgezondheids-experts, om te helpen bij het interpreteren van de resultaten van de database-analyses, de antwoorden in de open velden in de enquête en het literatuuronderzoek en om bij te dragen aan de aanpassing van de generieke vragenlijst;
- experts in wetenschappelijk literatuuronderzoek;
- een communicatie-expert belast met een brede verspreiding van de enquête bij alle potentiële deelnemers en het (actief) communiceren van de resultaten aan de stakeholders;
- ondersteunend personeel voor de organisatie van de enquête (inclusief informatica-gerelateerde aspecten), het versturen van de uitnodigingen (en reminders), het contact met de betrokkenen bij de interviews/focusgroepen;
- financiële middelen voor bijvoorbeeld kleine attenties voor deelnemers, licenties voor online tools, eventuele uitbestedingen.

Voor het algemene beheer van de verantwoordelijke instantie moet een programmabeheerder worden aangesteld die het jaarprogramma organiseert en inplant, en ook verantwoordelijk is voor het lanceren van de oproep tot het indienen van voorstellen. Daarnaast is het ook belangrijk om doorheen het hele proces patiënten en/of hun vertegenwoordigers te betrekken, alsook zorgverleners en eventueel andere belanghebbenden. Dit vergt tijd en middelen, zowel vanwege de verantwoordelijke instantie als vanwege de betrokken belanghebbenden.



6. BESLUIT

Deze studie stelt een methode voor om de behoeften van patiënten met een potentieel hoge ziektelast te identificeren. Door deze methode te implementeren zouden de gezondheidszorg en het gezondheidsbeleid meer behoefte- of vraaggericht kunnen werken. Op federaal niveau bestaan al verschillende initiatieven in die richting, zoals de compassionate use en medical need programma's van het FAGG, het programma *Unmet Medical Need* van het RIZIV, het Bijzonder Solidariteitsfonds (zie Kader 2) of het Observatorium voor chronische ziekten. Deze initiatieven beschikken echter niet altijd over de nodige wetenschappelijk onderbouwde gegevens om hun mogelijkheden ten volle te benutten. Met ons voorstel hopen wij bij te dragen tot een meer wetenschappelijk onderbouwde behoeftegestuurde besluitvorming in België. Door de reële behoeften van patiënten te integreren in de evaluaties voor terugbetalingen, kunnen het RIZIV en de minister van Volksgezondheid de efficiëntie van de gezondheidszorg verbeteren, want precies waar de behoeften het grootst zijn is de potentiële winst in gezondheid of in kwaliteit van leven van de patiënten het grootst.

Patiëntgerichtheid is een kernwaarde van het Belgische gezondheidszorgsysteem; door het een meer solide wetenschappelijke basis te geven, kan het alleen maar aan kwaliteit winnen. Hiervan kunnen we een impact verwachten op verschillende maatschappelijke niveaus: daling van de ziektelast van de bevolking, daling van de kosten (gerelateerd aan zorg, vervangingsinkomen, enz.) en van de druk op de sociale zekerheid, betere (her)integratie op de arbeidsmarkt, verminderde last voor mantelzorgers, enz. We zijn er bovendien van overtuigd dat de identificatie van de patiëntenbehoeften, zoals wij voorstellen, niet alleen het FAGG en het RIZIV maar ook vele andere stakeholders ten goede zal komen, zowel op beleidsniveau en operationeel niveau als op nationaal en internationaal niveau.

We denken daarbij aan het Europees Geneesmiddelenagentschap, dat het PRIME-programma heeft opgezet om de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen voor onbeantwoorde medische behoeften te stimuleren door bedrijven meer ondersteuning te bieden bij de aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen, en door de beoordeling van nieuwe producten die tegemoet komen aan hoge patiëntenbehoeften te versnellen. In deze context heeft een wetenschappelijk onderbouwde beoordeling van onbeantwoorde patiëntenbehoeften, zoals voorgesteld in deze studie, absoluut haar plaats. Samenwerking met andere landen kan worden overwogen om een groter aantal aandoeningen bij een groter aantal patiënten te kunnen onderzoeken, hetgeen een enorme impact zou kunnen hebben, vooral voor zeldzame ziekten.



■ AANBEVELINGEN^p

Op evidence-gebaseerde, behoeftegestuurde besluitvorming in de gezondheidszorg houdt rekening met de behoeften van patiënten bij terugbetalingsbeslissingen, O&O-activiteiten, (para)medisch onderzoek, behandelingen, voorlichtingscampagnes, enz. Het komt zowel de kwaliteit als de efficiëntie van de gezondheidszorg ten goede: hoe meer de nadruk ligt op de belangrijkste behoeften van patiënten, hoe groter de potentiële winst voor de gezondheid of levenskwaliteit van de patiënten en dus hoe beter de resultaten voor een gegeven hoeveelheid middelen. De patiënt centraal stellen is ook een belangrijke waarde in het Belgische gezondheidszorgsysteem en wordt beschouwd als een onderdeel van een kwalitatief hoogstaande gezondheidszorg.

Om op-evidence-gebaseerde, behoeftegestuurde besluitvorming te bevorderen bevelen wij aan:

AANBEVELING 1:

Aan de minister van Volksgezondheid en Sociale Zaken

- 1.1 Aanmoedigen en bevorderen van een gezondheidsbeleid dat gebaseerd is op de behoeften van patiënten die door middel van wetenschappelijke benaderingen zijn geïdentificeerd.
- 1.2 Een mandaat te geven aan een bestaande wetenschappelijke en onafhankelijke organisatie om een programma op te zetten voor het identificeren van patiëtnoden en mogelijke internationale samenwerking voor deze activiteit te exploreren.
- 1.3 De werkwijze zoals voorgesteld in dit rapport te ondersteunen bij het mandateren van deze organisatie en de nodige financiële middelen hiervoor te voorzien, rekening houdend met de vereiste competenties voor het uitvoeren van patiëntenbehoeften-studies.

AANBEVELING 2:

Aan de federale overheidsdienst volksgezondheid, veiligheid van de voedselketen en leefmilieu

^p The KCE has sole responsibility for the recommendations.



2.1 Beleidsprioriteiten in het domein van “patiëntenthema’s” te baseren op resultaten van patiëntenbehoeften-studies.

AANBEVELING 3:

Aan het Europees Geneesmiddelenagentschap (EMA) en het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG)

3.1 De resultaten van patiëntenbehoeften-studies gebruiken bij de evaluatie van geneesmiddelen waarvoor versnelde markttoegang wordt gevraagd.

AANBEVELING 4:

Aan de organen binnen het RIZIV betrokken bij de evaluatie van de terugbetaling van behandelingen of andere gezondheidszorginterventies

4.1 Rekening te houden met de resultaten van patiëntenbehoeften-studies bij de evaluatie en beoordeling van de wenselijkheid van terugbetaling van behandelingen of andere gezondheidsinterventies. Het tegemoetkomen aan belangrijke patiëntennoden en wetenschappelijk onderbouwing hiervan moet een voorwaarde zijn voor terugbetaling.

AANBEVELING 5:

Aan de organen binnen het RIZIV betrokken bij het Unmet Medical Need Programma (Algemene Raad, Commissie voor advies in geval van tijdelijke tegemoetkoming voor het gebruik van een geneesmiddel (CATT), College van artsen-directeurs)

5.1 De resultaten van patiëntenbehoeften-studies te gebruiken bij de evaluatie en ranking van voorstellen voor aandoeningen voor de lijst van onbeantwoorde medische behoeften, naast de informatie verstrekt door de medische experts en de bedrijven.

5.2 Informatie over de belangrijkste patiëntenbehoeften en de verwachte impact van de voorgestelde behandeling op deze behoeften te gebruiken bij de beoordeling van cohorte-aanvragen vanwege bedrijven die een tijdelijke tegemoetkoming wensen voor een product in het kader van het Unmet Medical Need programma.

**AANBEVELING 6:**

Aan de vertegenwoordigers van patiënten, het Observatorium voor chronische ziekten en de ziekenfondsen

- 6.1 Actief mee te werken aan de patiëntenbehoeften-studies door voorstellen in te dienen bij de verantwoordelijke organisatie en deze initiatieven bekendheid te geven bij patiënten, inclusief patiënten die niet door patiëntenorganisaties worden vertegenwoordigd.
- 6.2 Ondersteuning te bieden aan de patiëntenbehoeftestudies via de procedures van stakeholder involvement.
- 6.3 Gebruik te maken van de resultaten van de patiëntenbehoeften-studies bij het bepalen van de prioriteiten van activiteiten gericht naar specifieke patiëntengroepen en eventueel andere stakeholders.

AANBEVELING 7:

Aan zorgverleners

- 7.1 De resultaten van patiëntenbehoeften-studies te gebruiken in hun dagelijkse praktijk om de kwaliteit van zorg en patiëntenervaringen te verbeteren.

AANBEVELING 8:

Aan wetenschappers, financierders van onderzoek en de industrie

- 8.1 Onderzoek naar en ontwikkeling van nieuwe gezondheidsinterventies af te stemmen op de voornaamste behoeften van patiënten.

AANBEVELING 9:

Aan Sciensano, het kankerregister en andere eigenaars van gezondheidsgegevens

- 9.1 Initiatieven voor het verzamelen van gegevens over de ziektelast op nationaal en individueel niveau te ondersteunen en te bevorderen, waarbij ziektelast wordt gemeten aan de hand van epidemiologische indicatoren die zowel prevalentie, mortaliteit, morbiditeit, duur als effect op de levenskwaliteit van aandoeningen, ziekten of risicofactoren omvatten.



■ REFERENTIES

1. Institute for Health Metrics and Evaluation (IHME). Global Burden of Disease Study. In. Washington.
2. van Lier A, McDonald SA, Bouwknegt M, group EPI, Kretzschmar ME, Havelaar AH, et al. Disease Burden of 32 Infectious Diseases in the Netherlands, 2007-2011. PLoS ONE [Electronic Resource]. 2016;11(4):e0153106.
3. Slade M, Thornicroft G, Loftus L, Phelan M, Wykes T. Adult Camberwell Assessment of Need (CAN). Royal College of Psychiatrists; 1999.
4. Stein J, Liegert P, Dorow M, König HH, Riedel-Heller SG. Unmet health care needs in old age and their association with depression - results of a population-representative survey. Journal of Affective Disorders. 2019;245:998-1006.
5. Asadi-Lari M, Packman C, Gray D. Unmet health needs in patients with coronary heart disease: implications and potential for improvement in caring services. Health and Quality of Life Outcomes. 2003;1(1):26.
6. Asadi-Lari M, Packman C, Gray D. Psychometric properties of a new health needs analysis tool designed for cardiac patients. Public Health. 2005;119(7):590-98.
7. van Walsem MR, Howe EI, Ruud GA, Frich JC, Andelic N. Health-related quality of life and unmet healthcare needs in Huntington's disease. Health & Quality of Life Outcomes. 2017;15(1):6.
8. Aragón Aragón MJ, Chalkly M, Goddard M. Defining and measuring unmet need to guide healthcare funding: identifying and filling the gap. York: University of York; 2017.
9. EuroQol. EQ-5D. The Netherlands; 2020.
10. Agency for Healthcare Research and Quality. CAHPS Health Plan Survey: methodology. Rockville: Agency for Healthcare Research and Quality; 2019.



11. Keirse E, Benguin C, Desmet M, Deveugele M, Menten J, Simoens S, et al. Organisation of palliative care in Belgium. Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE); 2009. KCE Report 115C
12. Paulus D, Van den Heede K, Mertens R. Position paper: organisation of care for chronic patients in Belgium. Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE); 2012. 190C
13. Schroedl CJ, Yount SE, Szmuiłowicz E, Hutchison PJ, Rosenberg SR, Kalhan R. A qualitative study of unmet healthcare needs in chronic obstructive pulmonary disease. A potential role for specialist palliative care? *Annals of the American Thoracic Society*. 2014;11(9):1433-8.
14. Sciensano. Health Interview Survey [Web page]. Brussels, Belgium; 2018 [cited 10 April 2020]. Available from: <https://his.wiv-isp.be/SitePages/Home.aspx>
15. Devleesschauwer B. Country Report: the Belgian National Burden of Disease Study 2020. *European Journal of Public Health*. 2018;28(suppl_4):cky213. 830.
16. Gorasso V, Silversmit G, Arbyn M, Cornez A, De Pauw R, De Smedt D, et al. The non-fatal burden of cancer in Belgium, 2004–2018. 2021.
17. Hyde M, Wiggins RD, Higgs P, Blane DB. A measure of quality of life in early old age: the theory, development and properties of a needs satisfaction model (CASP-19). *Aging & mental health*. 2003;7(3):186-94.
18. Wiggins RD, Netuveli G, Hyde M, Higgs P, Blane D. The evaluation of a self-enumerated scale of quality of life (CASP-19) in the context of research on ageing: A combination of exploratory and confirmatory approaches. *Social Indicators Research*. 2008;89(1):61-77.
19. Murray CJ, Lopez AD, Organization WH. The global burden of disease: a comprehensive assessment of mortality and disability from diseases, injuries, and risk factors in 1990 and projected to 2020: summary. World Health Organization; 1996.
20. Castanares-Zapatero D, Kohn L, Dauvrin M, Detollenaere J, Maertens de Noordhout C, Primus C, et al. Long COVID: Pathophysiology – epidemiology and patient needs. Health Services Research (HSR). Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE); 2021. KCE Reports (344) Available from: https://kce.fgov.be/sites/default/files/atoms/files/KCE_344_Long_COVID_scientific_report.pdf
21. Becher K, Rohden C, Vandenbroeck P, Van den Hende W. Een patiëntgedreven innovatie-agenda. Vlaams Patiëntenplatform; 2014.



COLOFON

Titel:	Hoe patiëntenbehoeften identificeren? – Synthese
Auteurs:	Charline Maertens de Noordhout (KCE), Jens Detollenaere (KCE), Célia Primus-de Jong (KCE), Laurence Kohn (KCE), Brecht Devleesschauwer (Sciensano), Rana Charafeddine (Sciensano), Irina Cleemput (KCE)
Project facilitator:	Nathalie Swartenbroekx (KCE)
Project coördinator en senior supervisor:	Irina Cleemput (KCE)
Redactie synthese:	Karin Rondia (KCE)
Reviewers:	Diego Castanares (KCE), Marijke Eyssen (KCE), Mélanie Lefèvre (KCE)
Adviescomité:	Ann Ceuppens (Onafhankelijke Ziekenfondsen), Sabine Corachan (LUSS - Ligue des Usagers des Services de Santé), Françoise De Wolf (Solidaris), Siska Germonpré (Socialistische Mutualiteit), Wies Kestens (Onafhankelijke Ziekenfondsen), Anneleen Lintermans (VPP - Vlaams Patiëntenplatform), Murielle Lona (ML - OZ – Mutualités Libres - Onafhankelijke Ziekenfondsen), Karen Mullié (Observatorium Chronische Ziekten), Betty Ryckaert (Observatorium Chronische Ziekten), Katlijn Sanctorum (RaDiOrg – Rare Diseases organisation Belgium), Else Tambuyzer (VPP), Marijke Van Duynslaeger (Socialistische Mutualiteit), Anne Van Meerbeeck (VPP), Lisa Van Wilder (UGent), Rebekka Verniest (CM), Ilse Weeghmans (VPP)
Stakeholders:	Michael Berntgen (EMA – European Medicines Agency), Robrecht De Schreye (Sciensano), Charles Denonne (FAGG – AFMPS - Federaal agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten – Agence fédérale des médicaments et des produits de santé), Stefanie Devos (BeMedTec), Martine Dewitte (RIZIV – INAMI - Rijksinstituut voor ziekte- en invaliditeitsverzekering – Institut national d'assurance maladie-invalidité), Wim Penninckx (FAGG), Sander Roosens (RIZIV – INAMI), Maelle Van De Walle (Sciensano), René Westhovens (RIZIV – INAMI), Harun Yaras (SPF Santé Publique – FOD Volksgezondheid),
Externe validatoren:	Pauline Boeckxstaens (UGent), Juanita Haagsma (Erasmus Universiteit Rotterdam, Nederland), Olivier Schmitz (UCL - Université catholique de Louvain)
Dankwoord:	Jef Adriaenssens (KCE), Finaba Berete (Sciensano), Jan Bogaerts (EORTC), Nicolas Bouckaert (KCE), Cécile Camberlin (KCE), Carl Devos (KCE), Stephan Devriese (KCE), Martine Dewitte (RIZIV – INAMI), Kris Doggen (Sciensano), Dimitri Mortelmans (University of Antwerp), Caroline Obyn (KCE), Johan Van der Heyden (Sciensano), Carine Van de Voorde (KCE), Amélie Van Vyve (Sciensano), Leen Verleye (KCE), alle mensen die hebben bijgedragen aan het KCE project over langdurige COVID en daardoor aan de pilootstudie voor dit project.



Gemelde belangen:

“Alle experts en stakeholders die geraadpleegd werden voor dit rapport, werden geselecteerd omwille van hun betrokkenheid bij het onderwerp van deze studie. Daarom hebben zij per definitie mogelijks een zekere graad van belangenconflict”

Layout:

Ine Verhulst

Disclaimer:

- **De externe experts werden geraadpleegd over een (preliminaire) versie van het wetenschappelijke rapport. Hun opmerkingen werden tijdens vergaderingen besproken. Zij zijn geen coauteur van het wetenschappelijke rapport en gingen niet noodzakelijk akkoord met de inhoud ervan.**
- **Vervolgens werd een (finale) versie aan de validatoren voorgelegd. De validatie van het rapport volgt uit een consensus of een meerderheidsstem tussen de validatoren. Zij zijn geen coauteur van het wetenschappelijke rapport en gingen niet noodzakelijk alle drie akkoord met de inhoud ervan.**
- **Tot slot werd dit rapport unaniem goedgekeurd door de Raad van Bestuur (zie <http://kce.fgov.be/nl/content/de-raad-van-bestuur>).**
- **Alleen het KCE is verantwoordelijk voor de eventuele resterende vergissingen of onvolledigheden alsook voor de aanbevelingen aan de overheid.**

Publicatiedatum:

13 januari 2022

Domein:

Health Services Research (HSR)

MeSH:

Needs assessment, Research Design, Surveys and Questionnaires, Qualitative Research

NLM classificatie:

W84.3

Taal:

Nederlands

Formaat:

Adobe® PDF™ (A4)

Wettelijk depot:

D/2021/10.273/48

ISSN:

2466-6432

Copyright:

De KCE-rapporten worden gepubliceerd onder de Licentie Creative Commons « by/nc/nd » <http://kce.fgov.be/nl/content/de-copyrights-van-de-kce-publicaties>.





Hoe refereren naar dit document?

Maertens De Noordhout C, Detollenaere J, Primus-De Jong C, Kohn L, Devleesschauwer B, Charafeddine R, Cleemput I. Hoe patiëntenbehoeften identificeren? – Synthese. Health Services Research (HSR). Brussel: Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg (KCE). 2021. KCE Reports 348As. D/2021/10.273/48.

Dit document is beschikbaar op de website van het Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg.