

KCE-RAPPORT 377As

SYNTHESE

NEED: EVALUATIE VAN ONVERVULDE GEZONDHEIDSGERELATEERDE BEHOEFTE VAN PATIËNTEN EN SAMENLEVING



SYNTHESE

NEED: EVALUATIE VAN ONVERVULDE GEZONDHEIDSGERELATEERDE BEHOEFTEN VAN PATIËNTEN EN SAMENLEVING

CHARLINE MAERTENS DE NOORDHOUT, MURIEL LEVY, RANI CLAERMAN, MATS DE JAEGER, ROBBY DE PAUW, LAURENCE KOHN, CLAUDIA SCHÖNBORN, IRINA CLEEMPUT



■ VOORWOORD

“A Europe that cares, prepares and protects”. Met deze slogan luidde België het voorzitterschap in van de Raad van de Europese Unie in januari 2024. Ons land zet cruciale thema's op de agenda, waaronder de nood aan voldoende gezondheidswerkers, preventie, noodprogramma's, strategieën om antimicrobiële resistentie en geneesmiddelen tekorten aan te pakken, enz. Het is slechts een greep uit de ambities van België om het gezondheidsbeleid op Europees niveau te verbeteren.

“A Europe that cares” is ook een Europa dat prioriteit geeft aan de belangrijkste onervulde gezondheidsgerelateerde behoeften, dat zich engageert om deze behoeften te identificeren, meten en evalueren, en dat op basis van deze kennis ageert. Gezondheidsinnovatie en -beleid gedreven door prioritaire patiënten- en maatschappelijke behoeften staan daarom hoog op de agenda van het Belgisch voorzitterschap.

KCE en Sciensano hebben de handen in elkaar geslagen om een kader (het “NEED-evaluatiekader” genaamd) te ontwikkelen. Het bevat 23 criteria voor het evalueren van onervulde patiënten- en maatschappelijke behoeften en is bedoeld om op Europees niveau te worden gebruikt. De ambities zijn hoog: we willen een onafhankelijke Europese onderzoeksinfrastructuur opzetten om onderzoek naar onervulde behoeften te coördineren. In dit kader willen we een databank creëren met wetenschappelijke gegevens over de onervulde behoeften van zeer veel verschillende aandoeningen. Deze data willen we publiek beschikbaar stellen, zodat iedereen kan inspelen op de belangrijkste noden van patiënten en de maatschappij.

Maar liefst 16 verschillende lidstaten hebben hun expliciete steun aan het initiatief gegeven, dat nu ook tijdelijk financiële ondersteuning krijgt van het Belgische Federaal Wetenschapsbeleid (BELSPO). Het enthousiasme is groot en de verwachtingen liggen hoog. Maar koken kost geld, en dus zal de toekomst van het initiatief erg afhangen van de beschikbaarheid van middelen om voor zoveel mogelijk aandoeningen diepgaand wetenschappelijk onderzoek te doen. Aan dynamiek binnen het onderzoeksteam zal het alleszins niet liggen. Zij strijden dagelijks met een ongekende motivatie voor de realisatie van de wetenschappelijke database die bruikbaar en nuttig zal zijn voor diverse belanghebbenden in de gezondheidszorg, en dan in de eerste plaats voor de patiënt. Wij bedanken ook Marijke Eyssen, Algemeen directeur a.i. van het KCE van 01/2020 tot 02/2024, voor haar steun aan het project.

In 2023 vierden we het 20-jarig bestaan van het KCE, in 2024 is het de beurt aan de geboorte van NEED. We wensen dit initiatief een mooie toekomst toe.

Christophe JANSSENS
Adjunct algemeen directeur

Irina CLEEMPUT
Programmadirecteur a.i.

Ann VAN DEN BRUEL
Algemeen directeur



■ **SYNTHESE**

INHOUDSTAFEL

■	VOORWOORD	1
■	SYNTHESE	2
1.	INLEIDING	4
1.1.	CONTEXT.....	4
1.1.1.	Een systeem dat sterk wordt gestuurd door het aanbod	4
1.1.2.	Naar een zorgsysteem dat is afgestemd op de behoeften	5
1.1.3.	NEED: een radicaal andere aanpak	6
1.2.	DOELSTELLINGEN, ONDERZOEKSVRAGEN EN METHODOLOGIE	7
2.	DEFINITIES	7
2.1.1.	Van onvervulde medische behoeften.....	7
2.1.2.	... naar onvervulde gezondheidsgerelateerde behoeften	8
2.1.3.	De kloof tussen vraag en aanbod	8
3.	HET NEED-EVALUATIEKADER	9
3.1.	EEN KORTE TERUGBLIK	9
3.2.	HET NEED-EVALUATIEKADER	9
3.2.1.	Dimensies.....	10
3.2.2.	Domeinen	10
3.2.3.	Criteria	11
3.2.4.	Indicatoren.....	12
3.3.	VAN THEORIE NAAR PRAKTIJK.....	13
3.4.	STERKE EN ZWAKKE PUNTEN VAN HET MODEL	13
3.4.1.	Een innovatief project.....	13



3.4.2.	Bepaalde ziekten en behoeften dreigen door de mazen van het net te glippen.....	14
3.4.3.	Rekruteringsproblemen	14
3.4.4.	Gegevens die (nog) niet bestaan	14
4.	HET NEED-EVALUATIEKADER EN ZELDZAME ZIEKTEN.....	15
4.1.	ZELDZAME ZIEKTEN EN WEESGENEESMIDDELEN.....	15
4.1.1.	Specifieke uitdagingen	15
4.1.2.	Eendracht maakt macht	15
4.2.	TOEPASBAARHEID VAN HET NEED-KADER OP ZELDZAME ZIEKTEN	16
4.2.1.	Onderzoeksvragen en methodologie	16
4.2.2.	Een definitie die sterk wordt beïnvloed door de wetgeving rond weesgeneesmiddelen	16
4.2.3.	Identificeren van onvervulde behoeften bij zeldzame ziekten: talrijke uitdagingen	17
4.2.4.	Specifieke criteria en indicatoren voor zeldzame ziekten	18
4.2.5.	Is het implementatiemodel geschikt voor zeldzame ziekten?.....	21
5.	CONCLUSIE	22
■	AANBEVELINGEN	24
■	BIJLAGE	27



1. INLEIDING^a

1.1. Context

1.1.1. Een systeem dat sterk wordt gestuurd door het aanbod

De gezondheidszorg evolueert voortdurend: elke week of zelfs elke dag dient er zich een nieuwe invalshoek, een meer gerichte behandeling of een meer gepaste aanpak aan. De mogelijkheden die vandaag bestaan om mensen met gezondheidsproblemen te begeleiden, verzorgen en ondersteunen, waren enkele decennia geleden nog ondenkbaar. Steeds meer aandoeningen kunnen steeds beter behandeld worden. Anderzijds moeten we ook erkennen dat er, ondanks dit steeds groter wordende zorgaanbod, **nog altijd veel onvervulde behoeften bestaan**, zowel voor patiënten als voor de samenleving (zie Tekstkader 1). Een van de voornaamste redenen is dat dit steeds toenemende aanbod van gezondheidsinterventies ongelijk verdeeld is: investeringen en ontwikkelingen gebeuren vooral in domeinen die financieel interessant zijn.

Tekstkader 1 – Onvervulde behoeften

Een typisch voorbeeld van een **onvervulde gezondheidsgelateerde behoefte** is een aandoening waarvoor er geen behandeling bestaat. Het begrip heeft echter ook betrekking op vele andere situaties. Zo kan een behandeling wel voorhanden zijn, maar veel nadelen hebben (bijwerkingen, ongemak of pijn bij de toediening, kosten, enz.), na verloop van tijd minder effectief worden (resistentie tegen antibiotica) of onvoldoende invaliditeit of verlies van autonomie voorkomen.

Gezondheidsgelateerde behoeften hebben bovendien niet enkel betrekking op het al dan niet beschikbaar zijn van een **doeltreffende behandeling**. Naast de patiënt kunnen deze ook de gehele samenleving treffen. Gezondheidsgelateerde behoeften hebben ook betrekking op aspecten zoals preventie, diagnose, zorgcoördinatie of -organisatie, informatie voor patiënten, praktische of financiële ondersteuning, om er maar een paar te noemen.

In hoofdstuk 2 gaan we dieper in op het concept onvervulde behoeften.

Het is een utopie om te hopen dat ooit alle behoeften in de gezondheidszorg vervuld zullen zijn. Toch kunnen sommige lacunes vermeden worden, en zijn ze meestal het gevolg van specifieke kenmerken van het systeem, en dan vooral van het feit dat het zorgaanbod vaak onvoldoende wordt afgestemd op de werkelijke behoeften.

Het huidige **innovatiesysteem** is nog steeds sterk gericht op de belangen van commerciële spelers. Hun aanbod richt zich echter op de meest winstgevende gezondheidsproblemen: studies hebben bijvoorbeeld aangetoond dat innovaties in het domein van de geneesmiddelen vaak meer

^a Algemene opmerking: alle bronnen voor deze synthese vindt u in de wetenschappelijke rapporten: "Needs examination, evaluation and dissemination (NEED): assessment framework" (Rapport KCE 377C1) en "Needs examination, evaluation and dissemination (NEED): applicability to rare diseases" (Rapport KCE 377C4).



worden gestuurd door het potentieel aantal gebruikers dan door de ziektelast van patiënten. Innovatie is dus veel meer gericht op de ontwikkeling van producten met een hoge winstgevendheid (vooral geneesmiddelen), terwijl er veel minder aandacht gaat naar andere benaderingen (bv. primaire preventie, verbetering van de kwaliteit/organisatie van de zorg, niet-medicamenteuze behandelingen, goedkeuring van bestaande geneesmiddelen voor nieuwe indicaties, enz.)

De **overheid** tracht innovatie aan te moedigen (bijv. via steun voor onderzoek en versnelde terugbetaling) voor domeinen waar deze beperkt is, maar dit zijn vaak slechts eenmalige maatregelen die niet volstaan om de situatie fundamenteel te veranderen. Bovendien is het voor ontwikkelaars niet zo moeilijk om te beweren dat hun nieuwe product aan een onvervulde behoefte beantwoordt, zelfs al is het individuele en maatschappelijke belang van die behoefte beperkt (bv. een effectievere behandeling voor virale rhinitis). Momenteel bestaat er immers geen methode om het relatieve belang van de verschillende behoeften te beoordelen. De grote uitdaging is daarom om zich te concentreren op de belangrijkste onvervulde behoeften.

Het huidige systeem en de procedures zijn bovendien vooral reactief en dus aanbod-gestuurd: het zijn de producenten die vandaag kiezen welke producten zij voorleggen aan de overheid om te worden beoordeeld, vergund en uiteindelijk terugbetaald. Deze producten zijn echter niet altijd degenen die patiënten en de samenleving daadwerkelijk het meest nodig hebben.

Ter illustratie: een nieuwe kankerbehandeling verbetert de overleving licht, maar heeft een grote negatieve impact op de levenskwaliteit van de patiënt. Zelfs als deze behandeling het leven aantoonbaar verlengt in vergelijking met de bestaande therapieën, kunnen we ons afvragen of ze echt in een onvervulde behoefte voorziet.

1.1.2. Naar een zorgsysteem dat is afgestemd op de behoeften

Er is dus een echte paradigmaverschuiving nodig, zowel in België als in de meeste landen wereldwijd: in plaats van passief te wachten op (niet altijd optimale) oplossingen, moeten we een **globale denkoefening houden over de prioritaire zorgbehoeften van patiënten en de samenleving**. Op deze manier kunnen de onderzoeks- en innovatiestrategieën er proactief op worden afgestemd. Tijdens de hele ontwikkeling van een zorginterventie is rekening houden met deze behoeften essentieel, al van in het begin, bij de voorbereidende reflectie.

Op Belgisch en internationaal niveau werden er al een aantal initiatieven genomen om de verschuiving naar een meer behoeftegericht systeem te ondersteunen. Ook het Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg (KCE) voert al enkele jaren onderzoek uit naar de behoeften van patiënten en samenleving. Het KCE wijdde al twee onderzoeksprojecten aan dit thema, die we kort bespreken in hoofdstuk 3. De huidige studie is een vervolg op deze projecten.

Voor een proactieve, op behoeften gebaseerde aanpak moeten we **de ziekten of gezondheidsproblemen met grote behoeften** die het huidige zorgsysteem (nog steeds) niet vervult, **kunnen identificeren**. Vervolgens moeten we een lijst van deze behoeften opstellen om hun belang te beoordelen. Alleen op deze manier kunnen we op een gestructureerde en wetenschappelijk onderbouwde manier prioriteiten stellen en komen tot een systeem dat minder wordt aangestuurd door de markt, maar meer collectief wordt aangestuurd, in het belang van iedereen.



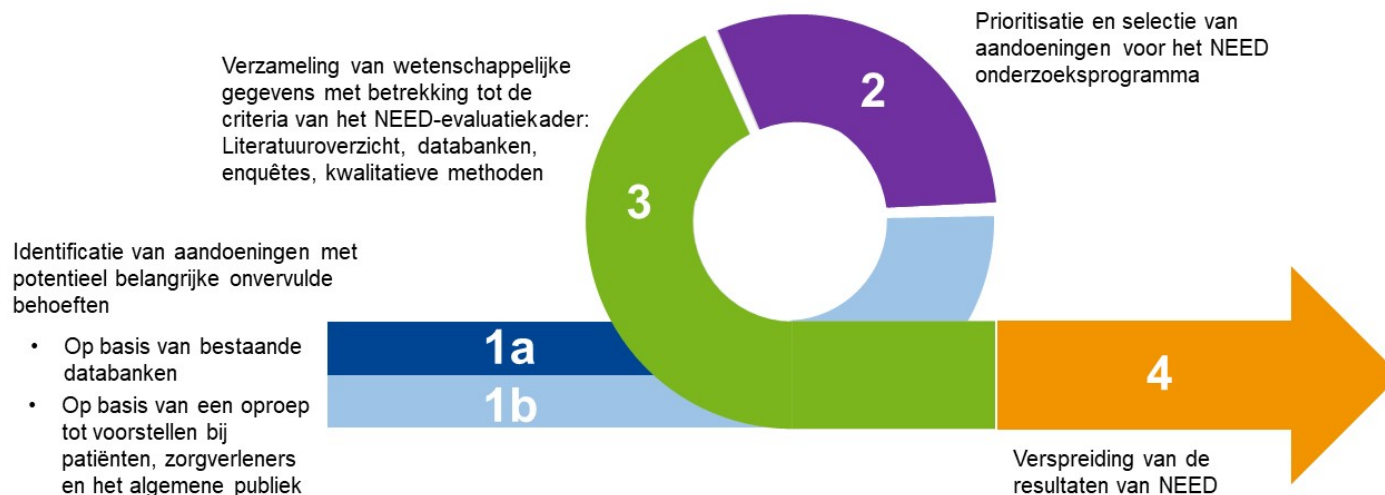
1.1.3. *NEED: een radicaal andere aanpak*

Het NEED-initiatief (*Needs Examination, Evaluation, and Dissemination*), waarvan deze studie deel uitmaakt, is een echt keerpunt in de ontwikkeling naar een meer behoeftegestuurde gezondheids- en innovatiestrategie. Het uiteindelijke doel is om een **onderzoeksinfrastructuur op te zetten** die systematisch gegevens verzamelt over onvervulde gezondheidsgerelateerde behoeften voor een breed scala aan ziekten en gezondheidsproblemen. Dit moet gebeuren op microniveau, vanuit het oogpunt van de patiënt, en op macroniveau, vanuit het oogpunt van de samenleving. Het NEED-concept richt zich daarom op **de huidige realiteit van het gezondheidsprobleem**, en houdt rekening met het reeds bestaande aanbod aan behandelingen en andere voorzieningen.

De NEED-aanpak is gebaseerd op een implementatiemodel met vier fasen (Figuur 1).

In deze synthese richten we ons voornamelijk op fase 3. We ontwikkelden een **NEED-evaluatiekader** met criteria en methoden om de onvervulde behoeften van patiënten en samenleving voor een bepaald gezondheidsprobleem in kaart te brengen. Voor elke ziekte of gezondheidsprobleem wordt wetenschappelijk bewijs per behoeftecriterium verzameld en in een Europese database ingevoerd. Deze database zal beleidsmakers helpen om meer rekening te houden met onvervulde behoeften bij het vergunnen en beschikbaar maken van nieuwe gezondheidsproducten en -diensten. Ze zal ook andere actoren (patiëntenverenigingen, onderzoekers en financiers van onderzoek, ziekenfondsen, enz.) helpen bij het bepalen van hun prioriteiten.

Figuur 1 – De 4 fasen van het NEED-implementatiemodel



Bron: KCE



1.2. Doelstellingen, onderzoeksvragen en methodologie

Het hoofddoel van onze studie was het ontwikkelen van een kader met een reeks criteria voor het identificeren van onvervulde gezondheidsgerelateerde behoeften, op het niveau van patiënt en samenleving. Op basis hiervan kan een database van behoeften worden ontwikkeld voor een hele reeks aan gezondheidsproblemen. Deze informatie kan dan worden gebruikt om de overgang naar een meer behoeftegericht gezondheidsbeleid, inclusief innovatie, te ondersteunen.^b

Bij wijze van test, werd het evaluatiekader reeds toegepast op twee aandoeningen, de [ziekte van Crohn](#) en [kwaadaardig melanoom](#) (casestudies).

Tenslotte gingen we in een tweede studie na of het NEED-evaluatiekader ook voor zeldzame ziekten kan worden gebruikt (zie hoofdstuk 4).

Om het NEED-kader te ontwikkelen en te evalueren, baseerden we ons op de volgende onderzoeksvragen:

1. Welke kaders, methoden en strategieën bestaan er om de behoeften van patiënten en samenleving te identificeren?
2. Welke criteria kunnen worden gebruikt om de onvervulde behoeften van patiënten en samenleving adequaat te beschrijven?
3. Hoe kan bewijsmateriaal over deze criteria worden verzameld (bestaande bronnen, ad hoc gegevensverzameling, enz.)?
4. Is het evaluatiekader bruikbaar in de praktijk en kan je er daadwerkelijk onvervulde behoeften mee beoordelen? Welke lessen kunnen uit de twee casestudies worden getrokken?

^b Het beoordelen van het algemene niveau (laag, gemiddeld of hoog) van onvervulde behoeften voor elke ziekte of gezondheidsprobleem is ook een cruciale stap in het proces, maar valt buiten het bereik van dit rapport.

^c Verordening (EG) nr. 726/2004 van het Europees Parlement en de Raad van 31 maart 2004

2. DEFINITIES

Allereerst staan we kort stil bij het begrip onvervulde behoefte, zoals we het in deze studie gebruiken. Er bestaat geen echte consensus over de betekenis van deze term of, nog minder, over de elementen waarmee een onvervulde behoefte kan worden geïdentificeerd.

Tekstkader 2 – Het begrip behoefte

In de ruimste zin kunnen behoeften worden gedefinieerd als de elementen die nodig zijn voor het overleven, het welzijn en de ontwikkeling van elke persoon. In essentie zijn het **de fundamentele voorwaarden waaraan moet worden voldaan voor ons fysieke, psychologische en sociale welzijn**, zoals beschikbaarheid van voedsel en drinkwater, veilige leef- en werkomstandigheden, betekenisvolle interpersoonlijke relaties en toegang tot gezondheidszorg.

2.1.1. Van onvervulde medische behoeften...

Het begrip ‘**onvervulde medische behoeften**’ ontstond bij de ontwikkeling van geneesmiddelen en ‘programma’s voor gebruik in schrijnende gevallen’, eerst op het niveau van de Europese Unie^c en vervolgens op Belgisch niveau^d. Deze programma’s maken het mogelijk om een farmaceutisch product reeds te gebruiken in de praktijk wanneer het nog niet officieel is vergund, in situaties waar er geen volwaardig alternatief beschikbaar is op de markt. De reden hiervoor kan zijn dat een dergelijk alternatief niet bestaat, of dat het nieuwe product een belangrijke therapeutische meerwaarde biedt in vergelijking met de bestaande producten.

^d Wet van 1er mei 2006 tot herziening van de farmaceutische wetgeving en Koninklijk Besluit van 14 december 2006 betreffende geneesmiddelen voor menselijk en diergeneeskundig gebruik



In deze context kan een onvervulde behoefte worden gedefinieerd als een ernstige of mogelijk levensbedreigende ziekte waarvoor geen vergunde en terugbetaalde behandeling bestaat.

2.1.2. ... naar onvervulde gezondheidsgelateerde behoeften

De onvervulde behoeften die in dit rapport worden besproken en die **onvervulde gezondheidsgelateerde behoeften worden genoemd**, verschillen op drie manieren van het oorspronkelijke concept besproken in Sectie 2.1.1.

Allereerst verwijzen de onvervulde behoeften in deze studie naar **specifieke behoeften** m.b.t. een bepaald gezondheidsprobleem.

Ten tweede is het doel hier **om proactief lacunes in het bestaande aanbod te identificeren**, om hieraan te kunnen verhelpen. Deze informatie kan vervolgens worden gebruikt om prioriteiten te stellen binnen de gezondheidszorg en te beslissen hoe de beschikbare middelen het beste worden ingezet.

Ten slotte is het oorspronkelijke concept verbreed om rekening te houden met **drie soorten behoeften**: gezondheidsbehoeften, gezondheidszorgbehoeften (waaronder medische behoeften) en sociale behoeften (zie Sectie 3.2.1).

2.1.3. De kloof tussen vraag en aanbod

In de praktijk ontstaat een onvervulde gezondheidsgelateerde behoefte wanneer het beschikbare aanbod deze niet of niet volledig vervult.

Dit is echter geen absoluut concept (dat zou inhouden dat er aan een behoefte wordt voldaan of niet), maar eerder een continuüm, met vier hoofdstadia:

1. **De gezondheidstoestand zonder enige behandeling** of interventie.
2. **De gezondheidstoestand** waargenomen binnen de bevolking, rekening houdend met het bestaande zorgaanbod en met het feit dat dit om verschillende redenen niet noodzakelijk optimaal gebruikt wordt.

3. **De haalbare gezondheidstoestand**, d.w.z. de beste gezondheidstoestand die kan worden bereikt, uitgaande van een optimale toegang tot en gebruik van de gezondheidszorg.
4. **De optimale gezondheidstoestand**, ervan uitgaande dat het gezondheidsprobleem geen last meer veroorzaakt.

Onvervulde behoeften vallen tussen de punten 2 en 4. Het zijn behoeften die niet worden vervuld omdat het bestaande aanbod niet volledig wordt benut (tussen 2 en 3), en behoeften waarvoor het aanbod nog moet worden ontwikkeld (tussen 3 en 4).

Tekstkader 3 – Waargenomen behoeften en klinisch gevalideerde behoeften

Er is een onderscheid tussen de gezondheidsgelateerde behoeften van patiënten die (al dan niet) worden waargenomen en de behoeften die (al dan niet) klinisch worden gevalideerd.

- We spreken van een **waargenomen** behoefte als de patiënt zich ervan bewust is dat hij of zij een behoefte heeft. Bij een **niet-waargenomen** behoefte bestaat deze behoefte zonder dat de patiënt zich ervan bewust is (bv. omdat de ziekte geen symptomen veroorzaakt). Een behoefte die niet wordt waargenomen door de patiënt kan wel worden vastgesteld (bv. een afwijking wordt ontdekt tijdens een onderzoek of bloedtest).
- Bij een **klinisch gevalideerde behoefte** is een zorgverlener van mening dat een interventie nodig is, ongeacht of de patiënt zich bewust is van de behoefte.

Het NEED-project richt zich enkel op identificeerbare behoeften, d.w.z. de behoeften die waargenomen en/of klinisch gevalideerd zijn. Het richt zich dus niet op niet-waargenomen of niet klinisch gevalideerde behoeften.



3. HET NEED-EVALUATIEKADER

3.1. Een korte terugblik

Zoals reeds gezegd is deze studie een vervolg op eerdere KCE-studies. Deze legden mee de basis voor het huidige evaluatiekader.

Een eerste studie uit 2010 (KCE-rapport 147) richtte een aantal aanbevelingen aan beleidsmakers over de factoren waarmee rekening moet worden gehouden bij de terugbetaling van geneesmiddelen. Om in aanmerking te komen voor terugbetaling, moest een nieuw product voldoen aan een **medische, therapeutische of maatschappelijke behoefte** met betrekking tot de beoogde indicatie. Het KCE stelde hiervoor een aantal evaluatiecriteria voor (impact van de ziekte op de levensverwachting, ernst van de symptomen, bestaan van therapeutische alternatieven, prevalentie, enz.)

Een tweede studie (KCE-rapport 272, 2016) stelde een aanpak voor waarbij rekening kan worden gehouden met de voorkeuren van de burgers en de werkelijke behoeften van patiënten, in het kader van het *Unmet Medical Need* programma van het Rijksinstituut voor Ziekte- en Invaliditeitsverzekering (RIZIV). Zonder in detail te treden, geeft dit programma^e patiënten sneller toegang tot innovatieve behandelingen die nog niet beschikbaar zijn op de markt (via een tijdelijke financiële tegemoetkoming aan de bedrijven), voor specifieke ernstige of dodelijke ziekten waarvoor geen therapeutisch alternatief bestaat. Om in aanmerking te komen voor een tijdelijke terugbetaling moet een geneesmiddel een gezondheidsprobleem behandelen dat voorkomt op de lijst van onvervulde behoeften, die jaarlijks wordt opgesteld. In deze context ontwikkelde het KCE een methodologie voor het rangschikken van **onvervulde therapeutische en maatschappelijke behoeften** in volgorde van belangrijkheid, op basis van objectieve criteria.

^e <https://www.riziv.fgov.be/nl/thema-s/verzorging-kosten-en-terugbetaling/wat-het-ziekenfonds-terugbetaalt/geneesmiddelen/geneesmiddel-terugbetalen/onbeantwoorde-medische-behoeften-unmet-medical-need> (Laatst geraadpleegd: 16 februari 2024)

Een derde studie (KCE-rapport 348, 2022) ontwikkelde een methode voor het wetenschappelijk en structureel identificeren van de belangrijkste onvervulde gezondheidsgerelateerde behoeften van patiënten. Het betekende een belangrijk keerpunt, omdat het begrip 'therapeutische behoeften' werd vervangen door het bredere begrip '**patiëntenbehoeften**', waarbij het dus niet meer enkel gaat over de behoefte aan behandeling. De auteurs zochten in de literatuur naar instrumenten om onvervulde behoeften van patiënten te beoordelen. Ze gingen daarbij op zoek naar gegevensbronnen om onvervulde behoeften of ziekten/gezondheidsproblemen met belangrijke behoeften te identificeren. Het KCE ontwikkelde ook een generieke vragenlijst (aan te passen voor elke ziekte) om de onvervulde behoeften van patiënten op een relatief gestandaardiseerde manier in kaart te brengen^f. De onderzoekers stelden een 7-stappenmodel voor, waarop het huidige 4-stappenmodel van Figuur 1 is gebaseerd.

3.2. Het NEED-evaluatiekader

Voor ons kader voor de beoordeling van onvervulde behoeften (het 'NEED-evaluatiekader'), verfijnden en vulden we de criteria voor de beoordeling van patiëntenbehoeften aan. Een gelijkaardige oefening deden we voor de maatschappelijke behoeften, die niet in het KCE-rapport van 2022 aan bod kwamen. Een van de lessen die we uit onze vorige rapporten konden trekken, is namelijk dat er bij het meten van onvervulde gezondheidsgerelateerde behoeften een onderscheid moet worden gemaakt tussen de behoeften van patiënten en die van de samenleving (zie hieronder in Sectie 3.2.1).

We bestudeerden de recente literatuur en overlegden met de belangrijkste stakeholders. Uiteindelijk kwamen we tot een kader dat opgebouwd is rond verschillende dimensies, domeinen, criteria en indicatoren (zie Tekstkader 4 en Bijlage 1).

^f Getest op personen met langdurige COVID, als onderdeel van een pilootstudie (KCE-rapport 344, 2021)



Tekstkader 4 – De fundamenten van het NEED-evaluatiekader

- De **dimensies** hebben betrekking op het perspectief van waaruit de behoeften worden geïdentificeerd en beoordeeld (de patiënt, de samenleving en toekomstige behoeften + de transversale dimensie van billijkheid).
- De **domeinen** hebben betrekking op het type behoefte (gezondheidsbehoefte, zorgbehoefte of sociale behoefte).
- De **criteria** (zie Bijlage 1) beschrijven de verschillende behoeften die moeten worden ingevuld binnen elke dimensie, ingedeeld per domein.
- De **indicatoren** (zie Bijlage 1) beoordelen de mate waarin daadwerkelijk wordt voldaan aan de gezondheidsgerelateerde behoeften die in de criteria worden geïdentificeerd.

3.2.1. Dimensies

Patiëntenbehoeften komen voort uit de directe impact van een gezondheidsprobleem op het leven van de patiënt. Voorbeelden zijn de behoefte aan een goede kwaliteit van leven, ondanks de ziekte, of de behoefte aan een effectieve behandeling.

Naast de individuele impact op de patiënt heeft een gezondheidsprobleem ook gevolgen voor de gemeenschap, en doet op zijn beurt **maatschappelijke** behoeften ontstaan. Als een ziekte bijvoorbeeld veel voorkomt, kan er behoefte zijn aan (meer) effectieve behandelingen of preventieve maatregelen, om de impact op de samenleving te beperken in termen van productiviteitsverlies, kosten voor het gezondheidszorgsysteem, enz.

Ten slotte kan een gezondheidsprobleem ook geassocieerd worden met **toekomstige** behoeften op patiënt- of maatschappelijk niveau, bijvoorbeeld door een toenemende incidentie en/of prevalentie. Het is belangrijk om deze trends proberen te voorspellen en erop te anticiperen.

Tekstkader 5 – Billijkheid

Billijkheid is een transversale dimensie die de drie andere dimensies doorkruist. Het begrip billijkheid verwijst naar de afwezigheid van onrechtvaardige en vermijdbare verschillen tussen verschillende bevolkingsgroepen.

Voor sommige (maar niet alle) criteria in het NEED-evaluatiekader zal de onvervulde behoefte voor een bepaald gezondheidsprobleem waarschijnlijk verschillen tussen bevolkingsgroepen (bv. verschillende leeftijd, geslacht, sociaaleconomisch niveau, enz.). Daarnaast zal ook in het algemeen rekening gehouden moeten worden gehouden met de billijkheid bij de weging en rangschikking van onvervulde gezondheidsgerelateerde behoeften.

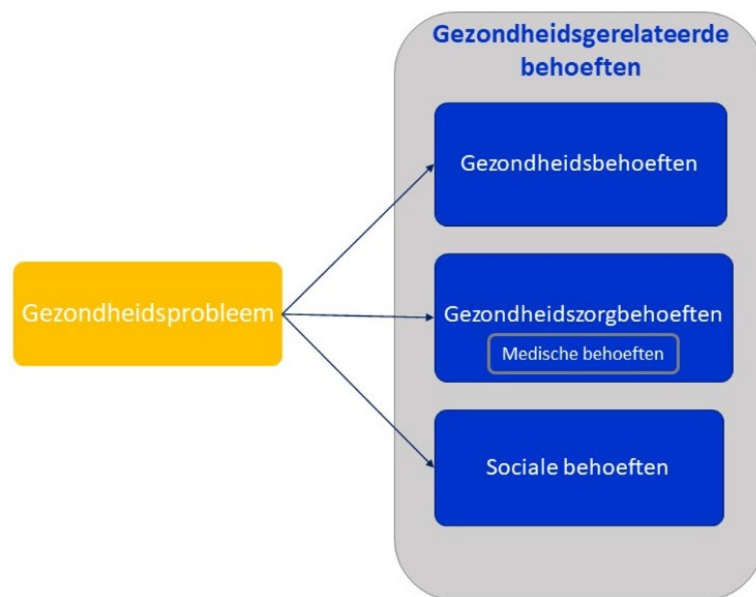
3.2.2. Domeinen

De gezondheidsgerelateerde (toekomstige) behoeften van patiënten en samenleving kan men indelen in drie grote domeinen:

- **De gezondheidsbehoeften** houden rechtstreeks verband met de ziektelast voor patiënten en samenleving, in termen van lijden, verlies van levenskwaliteit, enz.
- **De gezondheidszorgbehoeften** zijn behoeften aan gezondheidszorg in de ruimste zin van het woord: behoefte aan behandeling, verpleegkundige zorg, preventie, enz.
- Tot slot omvatten de **sociale behoeften** alle andere soorten behoeften, d.w.z. behoeften die op een eerder indirecte manier verband houden met een gezondheidsprobleem, zoals de behoefte aan sociale ondersteuning, aanpassingen aan de werkplek of het verminderen van de milieu-impact van de zorg.

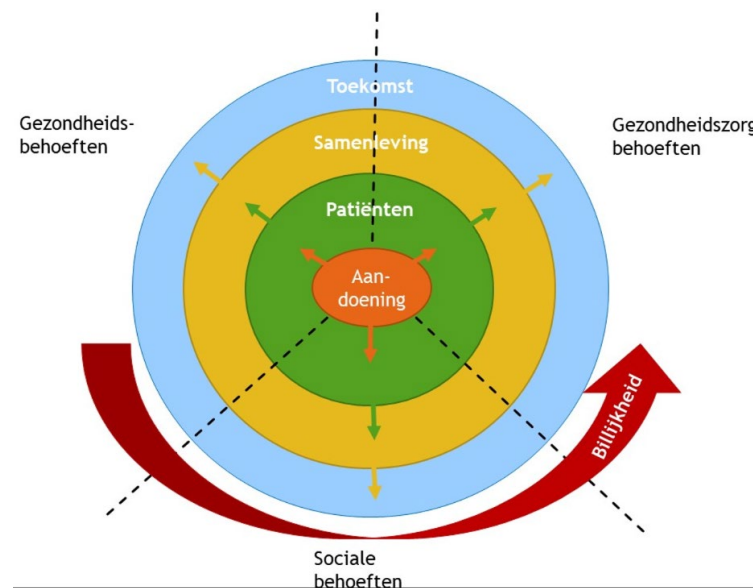


Figuur 2 – De drie soorten gezondheidsgelateerde behoeften



Bron: KCE

Figuur 3 – Wisselwerking tussen het gezondheidsprobleem, de behoeften (in hun verschillende dimensies en domeinen) en billijkheid



Bron: KCE

3.2.3. Criteria

Uiteindelijk omvat het NEED-evaluatiekader in totaal 23 criteria (volledige lijst in Bijlage 1) voor het vaststellen van onvervulde gezondheidsgelateerde behoeften, die samen alle dimensies en domeinen dekken.

Er werden dertien criteria gedefinieerd om **de behoeften van patiënten** te identificeren:

- Vijf criteria voor **gezondheidsbehoeften** - de impact van het gezondheidsprobleem op de gezondheidsgelateerde levenskwaliteit, fysieke gezondheid, psychologische gezondheid, autonomie en levensverwachting.



- Vier criteria voor **gezondheidszorgbehoeften** - effectiviteit van de huidige behandeling, belasting van de behandeling, kwaliteit en toegankelijkheid van zorg.
- Vier criteria voor **sociale behoeften** - impact op het sociale leven, impact op opleiding, impact op de beroepsactiviteit en financiële gevolgen.

Er werden acht criteria gebruikt om **de behoeften van de samenleving te identificeren**:

- Vier criteria voor **gezondheidsbehoeften** - frequentie en overdraagbaarheid van het gezondheidsprobleem, eventuele antimicrobiële resistentie en de belasting van de mantelzorgers (verlies van levenskwaliteit).
- Twee criteria voor **gezondheidszorgbehoeften** - prijs-kwaliteitverhouding van de standaardbehandeling en preventie.
- Twee criteria voor **sociale behoeften** - productiviteitsverlies en de milieu-impact van de standaardbehandeling.

Tot slot werden twee criteria gebruikt om de **toekomstige behoeften** te identificeren, zijnde de toekomstige ziektelast (die betrekking heeft op toekomstige gezondheidsbehoeften) en de toekomstige economische last (die een indicatie geeft van toekomstige zorg- en sociale behoeften) in een scenario waarin de huidige situatie niet verandert.

3.2.4. Indicatoren

Voor elk van de hogervermelde criteria werden één of meer concrete, meetbare indicatoren geïdentificeerd (43 in totaal - zie Bijlage 1). Voor elke indicator gingen we na hoe de gegevens het best verzameld worden (via literatuuronderzoek, databaseanalyse, een vragenlijst voor patiënten, individuele interviews met patiënten of meningen van experts, of een combinatie). De betrokkenheid van patiënten is daarbij zeer belangrijk. Meer informatie over de praktische details van deze methoden voor gegevensverzameling vindt u in hoofdstuk 4 van het wetenschappelijke rapport.

Tekstkader 6 – Enkele voorbeelden van indicatoren en van de methodes om hiervoor gegevens te verzamelen

- Aan de hand van twee indicatoren wordt **de impact van het gezondheidsprobleem op de fysieke gezondheid gemeten** (bij de gezondheidsbehoeften van patiënten): de waargenomen ernst van de fysieke symptomen en pijn of ongemak voor en na het optreden van het probleem. Hiervoor worden de gegevens best ingezameld aan de hand van een vragenlijst verspreid onder patiënten, in combinatie met individuele interviews.
- We selecteerden twee indicatoren om **de financiële gevolgen van het gezondheidsprobleem** (bij de sociale behoeften van patiënten) te meten: (1) uitgaven voor gezondheidszorg door de patiënt (remgeld, supplementen...). Daarvoor analyseert men het best de huidige databases (2) kosten veroorzaakt door de ziekte die niet onder gezondheidszorg vallen (bv. reiskosten of kosten voor aanpassing van de leefomgeving). Deze gegevens worden idealiter verzameld via individuele interviews met patiënten.
- Met drie indicatoren kan men **de impact op het milieu door de standaardbehandeling** meten (bij de sociale behoeften van de samenleving): de uitstoot van broeikasgassen, het afval en het gebruik van natuurlijke middelen voor de behandeling. Hier worden best literatuurgegevens en expertopinie gebruikt.



3.3. Van theorie naar praktijk

Om de praktische relevantie van het NEED-evaluatiekader te testen, hebben we het reeds toegepast op twee aandoeningen: de ziekte van Crohn en kwaadaardig melanoom. Aan de hand van deze twee casestudies gingen we na of het huidige model bruikbaar was en op welke punten we het model nog konden verbeteren. De resultaten van deze oefening worden beschreven in Sectie 3.4 'Sterke en zwakke punten van het model'. De geïdentificeerde behoeften van deze twee casestudies, vatten we ook samen in twee *factsheets* in bijlage bij deze synthese.

Zoals we reeds meldten is deze studie slechts de eerste fase van een veel ambitieuzer project. Ons evaluatiekader moet namelijk de basis vormen van een uitgebreide database met onvervulde behoeften voor een groot aantal ziekten of gezondheidsproblemen.

Concreet maakt de ontwikkeling van deze database deel uit van een implementatiemodel, dat uit vier fasen bestaat (zie **Figuur 1**):

1. **Identificatie** van relevante gezondheidsproblemen die moeten worden bestudeerd (in bestaande databases en via oproepen tot het indienen van voorstellen).
2. **Prioritering en selectie** van gezondheidsproblemen, die in de database zullen worden opgenomen.
3. **Gegevensverzameling** op basis van het voorgestelde evaluatiekader van Sectie 3.2, en opzetten van een database.
4. **Verspreiding** van de resultaten.

De gegevens moeten zodanig worden weergegeven dat men makkelijk kan nagaan of er aan de behoeften wordt voldaan (zie het voorbeeld in Tekstkader 7). Ook moet men in staat kunnen zijn om gemakkelijk de gebieden te kunnen identificeren waar er vooruitgang nodig is, zowel binnen een specifiek gezondheidsprobleem ('verticale' prioritering) als breder, over verschillende gezondheidsproblemen heen ('horizontale' prioritering).

Tekstkader 7 – Voorbeeld van een beoordeling van onvervulde behoeften voor het criterium 'Impact op fysieke gezondheid' (gezondheidsbehoeften op patiëntniveau)

Op basis van de gegevens uit een online vragenlijst voor patiënten, kunnen behoeften in verband met de lichamelijke gevolgen van de ziekte worden gemeten met de indicator '**perceptie van de moeilijkheid van lichamelijke symptomen**'. Deze kunnen bijvoorbeeld als onvervuld worden beschouwd als minstens 20% van de patiënten hun lichamelijke symptomen omschrijft als 'tamelijk' of 'zeer belastend'. Voor de indicator '**pijn/ongemak vóór diagnose vs. vandaag**' kunnen onvervulde behoeften worden gemeten aan de hand van het percentage respondenten dat pijn/ongemak (matig, ernstig of extreem) rapporteert, als dit vóór de diagnose niet aanwezig was.

De mogelijke gebruikers van deze databank zijn vooral de instanties die betrokken zijn bij de (voorlopige) terugbetaling van geneesmiddelen of medische hulpmiddelen, instanties voor de evaluatie van gezondheidstechnologie (HTA), geneesmiddelenagentschappen en financiers van onderzoek, zowel nationaal als internationaal. Ze kan echter ook nuttig zijn voor vele andere actoren (patiëntenverenigingen, ziekenfondsen, zorgverleners, onderzoekers, enz.) voor hun communicatie, om hun activiteiten meer te richten op patiënten en hun behoeften, enz.

3.4. Sterke en zwakke punten van het model

3.4.1. Een innovatief project

NEED is een holistische evaluatiekader dat op wetenschappelijke en transparante wijze de onvervulde gezondheidsgerelateerde behoeften van patiënten en de samenleving identificeert. Het is dus een innovatief instrument dat door gebruik steeds verder verfijnd zal worden, vooral bij de keuze en definitie van criteria en indicatoren.



Een van de sterke punten is dat het instrument een zeer breed beeld probeert te geven van onvervulde behoeften. Daarbij komen niet enkel, de behandelingsbehoeften aan bod, maar ook **alle behoeften op gebied van gezondheid, gezondheidszorg en sociale behoeften**. Dankzij de criteria over de toekomstige behoeften wordt er ook aan het **langetermijnperspectief** gedacht.

3.4.2. Bepaalde ziekten en behoeften dreigen door de mazen van het net te glippen

Het NEED-evaluatiekader heeft echter ook zijn zwakke punten. De keuze voor een **benadering 'per ziekte'** heeft zeker voordelen (bv. voor het identificeren van een te interviewen groep patiënten), maar bevat ook mogelijke valkuilen. Zo sluit het per definitie elk gezondheidsprobleem uit dat niet kan worden benoemd. Verder is er het risico om transversale behoeften te missen. Deze behoeften hebben immers betrekking op verscheidene situaties en hebben daarom een meer algemene impact. Ze dragen echter slechts beperkt bij aan de last van elk afzonderlijk gezondheidsprobleem.

Het huidige kader **identificeert** mogelijk niet **alle relevante behoeften**. Het is bv. niet specifiek ontworpen om lacunes in onderzoek te identificeren, zoals een beter begrip van de pathofysiologie van een ziekte (wat zou kunnen bijdragen aan de ontwikkeling van nieuwe behandelingen).

Toen we het kader toepasten op melanoom, bleek ook dat patiënten spontaan, in individuele gesprekken of in de open vragenvelden van de enquête, bepaalde **behoeften** meldden **die helemaal niet aan bod kwamen in de vragenlijst**. Voorbeelden zijn de behoefte aan preventie, grootschalige screening, meer ondersteuning (sociaal, psychologisch, emotioneel, zorgcoördinatie, enz.) een grotere vrijheid bij het kiezen van de plaats van behandeling, enz.

3.4.3. Rekruteringsproblemen

Het gebruik van het model in de praktijk bracht ook een aantal problemen aan het licht bij het rekruteren van **voldoende deelnemers** voor de online enquête en de individuele interviews. Het vinden van voldoende respondenten om betrouwbare en veralgemeenbare resultaten te verkrijgen, vormt een grote uitdaging. Patiëntenorganisaties en arts-specialisten meer betrekken bij de ontwikkeling/aanpassing van de vragenlijst kan de verspreiding ervan vergemakkelijken, en dus ook de rekrutering van deelnemers. Uit onze case studies bleek ook hoe belangrijk het is om de inclusiecriteria zorgvuldig te kiezen (bij melanoom bleken deze criteria zo streng, dat een groot deel van de patiënten werd uitgesloten) en om een voldoende lange wervingsperiode in acht te nemen.

Daarnaast blijkt dat de mensen die bereid zijn om een dergelijke enquête in te vullen niet altijd **representatief zijn voor de hele patiëntenpopulatie**. Zo zijn de minst zieke personen vaak minder gemotiveerd om deel te nemen en zijn de meest zieken niet meer in staat om dit te doen, of zijn bepaalde groepen moeilijk online te bereiken. Dit probleem is waarschijnlijk nog groter bij een zeldzaam gezondheidsprobleem, ook al zijn de onvervulde behoeften daar vaak het grootst (zie ook hoofdstuk 4 over de toepassing van het NEED-evaluatiekader op zeldzame ziekten).

3.4.4. Gegevens die (nog) niet bestaan

Voor sommige indicatoren met de literatuur als belangrijkste gegevensbron, zijn er **onvoldoende gegevens** (of gegevens van voldoende kwaliteit) beschikbaar. Dit geldt vooral voor indicatoren met betrekking tot de impact op het milieu, een relatief nieuw onderzoeksgebied. Toch hebben we deze indicatoren meegenomen, om te voorkomen dat ze uiteindelijk worden opzijgeschoven of vergeten in het evaluatiekader. We verwachten dat dit probleem van beperkte gegevens zich uiteindelijk spontaan zal oplossen.



4. HET NEED-EVALUATIEKADER EN ZELDZAME ZIEKTEN

De bedoeling is dat het NEED-model op elk **gezondheidsprobleem** kan worden toegepast. Vermits zeldzame ziekten specifieke kenmerken hebben, leek het ons zinvol om na te gaan of het model ook hierop kan worden toegepast. We wilden ook onderzoeken hoe de verzamelde gegevens vervolgens kunnen worden gebruikt. We voerden hiervoor een afzonderlijke studie uit, op basis van een wetenschappelijk literatuuroverzicht, gegevens uit de grijze literatuur⁹ en overleg met stakeholders.

4.1. Zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen

Zeldzame ziekten zijn aandoeningen waaraan een klein aantal patiënten lijdt meest frequent gedefiniëerd als een ziekte met een prevalentie van minder dan 5 op de 10.000 inwoners. Toch mogen we het aantal patiënten niet onderschatten: de www.orpha.net-database bevat prevalentie- of incidentiegegevens voor meer dan 6000 zeldzame ziekten, en wereldwijd zouden er totaal zo'n 7000 geïdentificeerd zijn. Volgens de Koning Boudewijnstichting treffen ze 6 tot 8% van de wereldbevolking, of meer dan een half miljoen personen in België.

4.1.1. Specifieke uitdagingen

De lage prevalentie van zeldzame ziekten brengt een aantal specifieke uitdagingen met zich mee. In het algemeen **blijven deze ziekten vaak onbekend en slecht begrepen**, omdat er voor onderzoek onvoldoende patiënten beschikbaar zijn. Dit geldt vooral voor zeldzame ziekten met heel uiteenlopende symptomen die van patiënt tot patiënt verschillen, of wanneer de symptomen geassocieerd worden met andere diagnoses (comorbiditeiten).

Bovendien bestaan er voor mensen met zeldzame ziekten niet altijd specifieke patiëntenverenigingen die hen vertegenwoordigen en ondersteunen, wat verder bijdraagt aan het **gebrek aan zichtbaarheid en onwetendheid over hun behoeften**.

Deze situatie is nog schrijnender **omdat de behoeften vaak talrijk, complex en veel breder zijn dan enkel medische of therapeutische behoeften**. Zeldzame ziekten hebben verstrekken gevolgen voor de patiënt, maar mogelijk ook voor hun gezin en verzorgers, en voor toekomstige generaties.

4.1.2. Eendracht maakt macht

Patiënten met een zeldzame ziekte moeten vaak een **hindernissenparcours afleggen**, vanaf de diagnose, die soms pas na jaren van medische onderzoeken en consulten wordt gesteld. Volgens de Koning Boudewijnstichting zag 22% van de patiënten met een zeldzame ziekte in Frankrijk vijf artsen voordat hun diagnose werd bevestigd. Zeven procent zag meer dan tien artsen en 44% kreeg een foutieve eerste diagnose (waarna driekwart een niet-gepaste en ineffectieve behandeling kreeg).

Na diagnose lopen deze patiënten ook meer risico op een gebrek aan zorgcoördinatie, communicatie, informatie en ongepaste behandelingen.

Hoewel er waarschijnlijk geen perfecte oplossing bestaat, is het duidelijk dat internationale samenwerking voor zeldzame ziekten essentieel is. Er bestaan al verschillende initiatieven, waaronder het *Undiagnosed Diseases Network International* (UDNI). Het heeft tot doel patiënten met zeldzame ziekten te diagnosticeren. Daarnaast werden *Europese referentienetwerken* (ERN's) opgericht. Deze virtuele netwerken van zorgverleners faciliteren de kennisuitwisseling rond zeldzame ziekten.

⁹ De term "grijze literatuur" verwijst naar alle documentatie die bv. door de overheid, de industrie, patiëntenverenigingen, enz. wordt geproduceerd, maar niet via de

gebruikelijke wetenschappelijke kanalen (bv. wetenschappelijke tijdschriften) wordt gepubliceerd.



4.2. Toepasbaarheid van het NEED-kader op zeldzame ziekten

4.2.1. Onderzoeksvragen en methodologie

- Welke **definities** van zeldzame ziekten worden momenteel door het gezondheidsbeleid in de EU gebruikt?
- Wat zijn de specifieke **methodologische uitdagingen** bij onderzoek naar zeldzame ziekten, die impact kunnen hebben op de beoordeling van onvervulde behoeften van patiënten en samenleving?
- Wat zijn **belangrijke criteria** bij het beoordelen van onvervulde gezondheidsgerelateerde behoeften voor zeldzame ziekten?

4.2.2. Een definitie die sterk wordt beïnvloed door de wetgeving rond weesgeneesmiddelen

Uit een analyse van de websites van ongeveer 136 actoren die direct of indirect betrokken zijn bij zeldzame ziekten op het niveau van de EU of de lidstaten (agentschappen voor de evaluatie/financiering van gezondheidstechnologie, regelgevende instanties/beleidsmakers, organisaties die de industrie vertegenwoordigen, patiëntenorganisaties) blijkt dat **slechts 38,2% een expliciete definitie van zeldzame ziekten geeft**. Patiëntenorganisaties doen dit het vaakst.

Zelfs wanneer er een **definitie** voorhanden is, **verschilt deze van bron tot bron en worden de termen ‘zeldzame ziekte’ en ‘weesziekte’ vaak door elkaar gebruikt**. Dit komt waarschijnlijk doordat veel actoren denken aan het concept ‘weesgeneesmiddel’ in de zin van de Europese verordening.^h Deze moedigt investeringen in onderzoek naar zeldzame ziekten en de ontwikkeling van geneesmiddelen voor de behandeling van (zeldzame) ziekten waarvoor nog geen behandeling bestaat (weesgeneesmiddelen) aan. Sommige bronnen maken wel een duidelijk onderscheid tussen de twee concepten. In België vermeldt Sciensano op zijn website dat een ziekte als ‘zeldzaam’ wordt beschouwd als er minder dan één persoon op 2000

aan lijdt, en als ‘wees’ als er geen behandeling voor de zeldzame aandoening bestaat.

Tekstkader 8 – Definitie van een zeldzame ziekte

De definitie van een zeldzame ziekte is voornamelijk gebaseerd op de **prevalentie** (over het algemeen minder dan 5 gevallen op de 10 000 tot minder dan één geval op de 2 000, overeenkomstig de EU-drempel), soms in combinatie met een of meer **kwalitatieve factoren** (bv. ernst, complexiteit, progressieve of degeneratieve aard, last voor patiënten, hiaten in de kennis, enz.)

De verschillen in terminologie en criteria zijn niet zonder gevolgen. Op Europees niveau worden specifieke stimulansen gegeven voor zeldzame ziekten met grote onvervulde behoeften. Als de criteria voor het definiëren van een zeldzame ziekte van land tot land verschillen, kan de beoordeling van eventuele onvervulde behoeften ook verschillende resultaten opleveren.

In een context waarin zeldzame ziekten steeds meer een prioriteit voor de volksgezondheid worden, zou het ongetwijfeld **goed zijn om de definitie van zeldzame ziekten te harmoniseren en het onderscheid tussen zeldzame ziekten en weesziekten te verduidelijken**.

^h Verordening 141/2000 inzake weesgeneesmiddelen

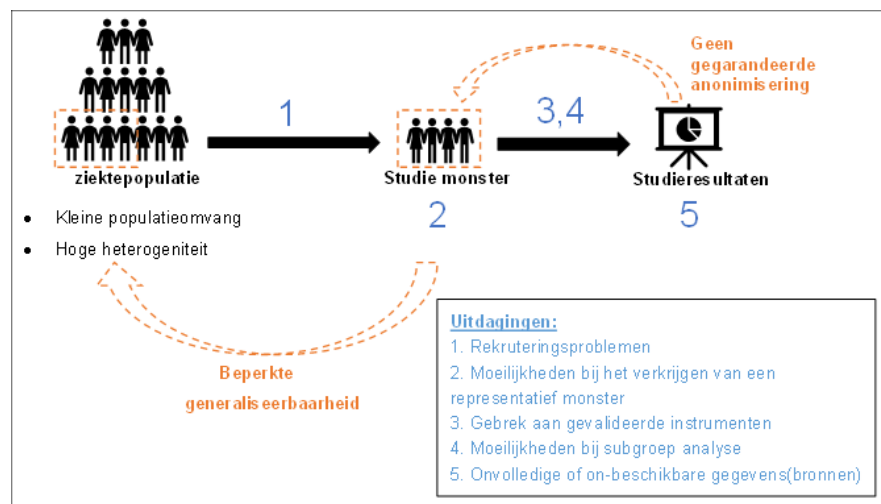


4.2.3. Identificeren van onvervulde behoeften bij zeldzame ziekten: talrijke uitdagingen

Om de toepasbaarheid van het NEED-kader op zeldzame ziekten na te gaan, voerden we een literatuurstudie uit over de identificatie en beoordeling van onvervulde behoeften bij zeldzame aandoeningen. Hiervoor kunnen er **verschillende methoden** worden gebruikt en deze verschillen niet veel van deze voor de meer courante ziekten: analyse van de (wetenschappelijke of grijze) literatuur, analyse van databases (bv. nationale registers), kwalitatieve methodes (individuele interviews, groepsdiscussies), enquêtes/vragenlijsten of, nog beter, een combinatie van deze methoden.

Los van de gebruikte methoden, stuit het onderzoek naar zeldzame ziekten echter op een reeks valkuilen, die schematisch worden samengevat in Figuur 4.

Figuur 4 – De uitdagingen van onderzoek naar zeldzame ziekten



Bron: NEED-initiatief

4.2.3.1. Wat kunnen we eruit leren?

Uit de analyse van de methodologische problemen blijkt dat de grootste uitdaging is om **voldoende gegevens te kunnen verzamelen om relevante, representatieve en generaliseerbare conclusies te kunnen trekken**. Hoe beperkter de beschikbare gegevens, hoe groter het risico dat extreme, bevooroordeelde of kwalitatief slechte waarden het algemene beeld vertekenen.

Bovendien is het niet altijd mogelijk om **subgroepen** van de onderzochte populatie of subtypes van de ziekte te analyseren, en er kunnen ook problemen zijn met het **anonimiseren van** de gegevens.

Deze moeilijkheden worden nog verergerd doordat het vaak gaat om **ernstige ziekten en/of ziekten die gepaard gaan met vroegtijdige sterfte**. Zeer zieke mensen en kinderen zijn vaak moeilijker te bereiken of rechtstreeks te raadplegen, en de inbreng van ouders of zorgverleners weerspiegelt niet altijd volledig het perspectief van de patiënt zelf.

Omdat de doelgroep beperkt is, is er de kans dat de betrokkenen veel gevraagd worden voor enquêtes en opiniepeilingen, waardoor er een **'enquêtemoeheid'** optreedt.

Een laatste valkuil is dat de instrumenten om de gezondheidstoestand, kwaliteit van leven of andere factoren te evalueren (vragenlijsten, schalen, etc.) vaak **generiek** zijn. Hierdoor zijn ze niet altijd geschikt voor mensen die leven met een zeer invaliderende, zeldzame ziekte.



Tekstkader 9 – Mogelijke oplossingen

De voorgestelde oplossingen omvatten vaak **een verbreding en diversificatie**, zowel in de opzet van de studies (bv. het combineren van verschillende onderzoeksmethoden) als in de rekruteringsstrategieën (bv. het gebruik van verschillende media, verschillende communicatiekanalen, verschillende soorten contacten om de informatie te verspreiden, enz.

Een ander cruciaal punt is **de betrokkenheid van patiënten** bij de ontwikkeling van geschikte evaluatiemethoden of -instrumenten. Kwalitatieve en/of patiëntgerichte benaderingen (enquêtes, individuele interviews, groepsdiscussies, etc.) zijn mogelijk beter geschikt voor het identificeren van onvervulde behoeften in kleine populaties dan kwantitatieve methoden.

4.2.4. Specifieke criteria en indicatoren voor zeldzame ziekten

We pasten de verschillende criteria en indicatoren van het NEED-evaluatiekader en de respectievelijke gegevensbronnen (zie Secties 3.2.3 en 3.2.4) aan op basis van de literatuur, en na overleg met een aantal stakeholders. Op die manier probeerden we de relevantie ervan voor zeldzame ziekten te verbeteren.

We stellen een aantal bijkomende criteria en indicatoren voor. Daarnaast hebben we er een aantal aangepast, vooral die m.b.t. de behoeften van patiënten (gezondheid, zorg en sociaal) en, in mindere mate, die van de samenleving. De categorie 'toekomstige behoeften' hebben we niet ingrijpend gewijzigd.

Sommige aanvullingen gaan over problemen die specifiek zijn voor zeldzame ziekten, maar de meeste aanpassingen zijn ook van toepassing op meer courante aandoeningen. Er zal echter verder onderzoek nodig zijn om voor elk van deze ziekten na te gaan welke de meest geschikte methoden zijn om de overeenkomstige indicatoren te meten en gegevens te verzamelen.

Een aantal indicatoren of criteria verdienen bijzondere aandacht of moeten op een andere manier worden geëvalueerd voor zeldzame ziekten. Andere indicatoren of criteria zijn dan weer minder relevant voor zeldzame aandoeningen.

We lichten hieronder de door ons voorgestelde wijzigingen verder toe. Voor meer details verwijzen we naar het wetenschappelijke rapport.

4.2.4.1. Gezondheidsbehoeften van patiënten

Met onze aanpassingen wilden we vooral meer rekening houden met de ingrijpende impact die een zeldzame ziekte kan hebben op elk aspect van het leven, evenals de psychologische gevolgen ervan. We stellen daarom voor om een indicator voor **eigenwaarde** in het model op te nemen.

Een andere toe te voegen indicator is de impact op de levenskwaliteit door de **(on)voorspelbaarheid** van de ziekte, de progressie en de schommelingen. Niet weten hoe de symptomen zich verder zullen ontwikkelen of wanneer ze zullen optreden, kan veel stress veroorzaken bij de patiënten en beïnvloedt hun dagelijks leven en hun toekomstplannen.

Tot slot voegden we een nieuw criterium aan dit domein toe: de impact van de ziekte op **de reproductieve gezondheid**.

Andere aandachtspunten :

- Het **type handicap of beperking** dat de grootste impact heeft op de dagelijkse activiteiten.
- Het vermogen van de patiënt om **autonoom thuis te wonen** is een onderdeel van autonomie.



4.2.4.2. Gezondheidszorgbehoeften van patiënten

Het gebrek aan informatie en kennis over de ziekte heeft een belangrijke impact op alle stadia van de behandeling. Daarom hebben we het NEED-kader aangevuld met een criterium over **onderzoeksbehoeften**. Dit omvat twee indicatoren: het **gebrek aan (kwalitatieve) informatie** en wetenschappelijk bewijs voor zorgverleners, en het gebrek aan ervaring van zorgverleners en de behoefte aan **klinische praktijkrichtlijnen**.

De diagnostische vertraging maakt al deel uit van het NEED-kader, maar is vaker een groot probleem bij zeldzame ziekten. In deze specifieke context kan het fenomeen nog worden verergerd door de **(on)beschikbaarheid van diagnostische hulpmiddelen** (tests, screeningsprogramma's, enz.). Dit moet daarom expliciet worden onderzocht.

Om de last van de behandeling voor patiënten te beoordelen, voegen we een indicator voor **therapietrouw toe** - een factor die waarschijnlijk vooral verband houdt met het ongemak van een behandeling (of van de bijwerkingen), en die de effectiviteit van de behandeling in gevaar kan brengen.

Toegankelijkheid van zorg is een ander element in het NEED-kader dat bij zeldzame ziekten voor specifieke problemen kan zorgen, vanwege het beperkte aantal experts in soms zeer specifieke domeinen en (ultra)gespecialiseerde centra. Hierdoor moeten patiënten soms lange **afstanden** afleggen om de zorg te krijgen die zij nodig hebben (soms zelfs zo ver dat zij beslissen dichterbij te gaan wonen). Ze kunnen ook te maken krijgen met lange **wachttijden**. Deze twee factoren bemoeilijken de toegang tot zorg en moeten daarom voor zeldzame ziekten in het evaluatiekader worden opgenomen.

Andere aandachtspunten

- Behoud een voldoende ruime definitie van het begrip behandeling, met meer aandacht voor **niet-farmacologische opties**.
- De beschikbaarheid en effectiviteit van behandelingen beoordelen, waarbij ook rekening moet worden gehouden met **het perspectief van de patiënt**.

- Het belang van een **langetermijnperspectief** bij het beoordelen van de last van behandeling.
- Het belang van holistische, **multidisciplinaire zorg...** en de daarmee gepaard gaande moeilijkheden, in een context van een gebrek aan beschikbare expertise.

4.2.4.3. Sociale behoeften van patiënten

Zeldzame ziekten hebben vaak een grote impact op talrijke aspecten van het sociale leven van de patiënten. Naast de behoefte aan sociale steun, die al aanwezig is in het NEED-kader, stellen we voor om breder te kijken naar de behoefte aan **sociale relaties**. Deze leunt nauw aan bij het vermogen om deel te nemen aan de samenleving, het huwelijks- en gezinsleven, vrijetijdsactiviteiten, enz.

Stigma, wat vaak gepaard gaat met een gebrek aan zichtbaarheid of slechte kennis van de ziekte is een ander belangrijk criterium. Het kan de sociale integratie en het welzijn van patiënten met een zeldzame ziekte erg beïnvloeden.

Andere aandachtspunten :

- **Inclusiviteit** en, meer specifiek, aandacht voor de manier waarop de ziekte een impact heeft op patiënten van verschillende leeftijden/levensfasen.
- Gebrek aan **zelfhulpgroepen** en **begeleiding** door niet-zorgverleners (bv. sociale diensten).
- De **specifieke** impact op het beroepsleven (bv. heeft de ziekte de patiënt gedwongen om van werk te veranderen of om werkuren aan te passen).

4.2.4.4. Gezondheidsbehoeften op maatschappelijk niveau

Zeldzame ziekten hebben vaak een erfelijke component. Het begrip overdraagbaarheid verwijst vaak naar de overdracht van genetische mutaties naar volgende generaties (**overerfbaarheid**) in plaats van naar de **besmettelijkheid van** de ziekte. Deze twee aspecten worden daarom best afzonderlijk onderzocht.



Een ander element is **de impact van de ziekte op mantelzorgers**. Dagelijks zorgen voor een patiënt met een zeldzame ziekte kan niet alleen een impact hebben op de levenskwaliteit (reeds in het NEED- kader), maar ook op de lichamelijke en geestelijke gezondheid en op de eigen projecten en activiteiten.

4.2.4.5. Gezondheidszorgbehoeften op maatschappelijk niveau

Wij stellen in dit domein geen veranderingen voor, maar wijzen erop dat de **kosten-effectiviteitsverhouding van behandelingen voor zeldzame ziekten** zelden gunstig is en vaak moeilijk te beoordelen (vanwege de lage prevalentie, het gebrek aan gegevens en/of onzekere klinische resultaten).

4.2.4.6. Sociale behoeften op maatschappelijk niveau

We bevelen aan om de impact van zeldzame ziekten op **mantelzorgers** ook vanuit een maatschappelijk oogpunt te beoordelen. Net als bij de patiënten kunnen ook hun professionele activiteiten (of opleiding, indien van toepassing) worden beïnvloed door hun rol als mantelzorger, met **financiële gevolgen** door productiviteits- en inkomensverlies. Indirect heeft dit ook economische gevolgen voor de werkgevers en de samenleving in zijn geheel.

De **sociale relaties** van mantelzorgers kunnen ook beïnvloed worden. Soms houden ze weinig tijd over voor zichzelf, raken ze in een isolement of ervaren ze problemen in hun relationele en emotionele leven.

Andere aandachtspunten :

- Meer rekening houden met het oogpunt van patiënten/verzorgers m.b.t. productiviteitsverlies.

Tekstkader 10 – Niet elke zieke is gelijk

De stakeholders die we interviewden wezen ook op een aantal punten i.v.m. **billijkheid** en ongelijkheid bij zeldzame ziekten.

- **Patiënten met zeldzame ziekten zijn over het algemeen niet erg zichtbaar** in de gezondheidszorg, om een aantal redenen (slecht begrepen en weinig onderzochte pathologie, gebrek aan gegevens, afwezigheid van registers, enz.). Daardoor worden hun behoeften meer genegeerd dan die van personen met meer voorkomende gezondheidsproblemen.
- **Het zorgaanbod** is beter georganiseerd en meer ontwikkeld voor sommige soorten ziekten en domeinen dan voor andere.
- Zeldzame ziekten (net zoals meer voorkomende aandoeningen) manifesteren zich niet altijd op dezelfde manier bij beide **geslachten**. Mannen zijn echter nog steeds oververtegenwoordigd in klinisch onderzoek en ontwikkeling. Dit kan zorgen voor ongelijkheid bij de behandeling. Verschillende sociale verwachtingen tussen mannen en vrouwen (bv. bij huishoudelijke taken) kunnen ook van invloed zijn op hoe de ziekte hen treft.
- Verschillende **sociaal-culturele kenmerken** (opleidingsniveau, etnische afkomst, enz.) en **geografische kenmerken** (land/regio, landelijk of stedelijk gebied, enz.) beïnvloeden ook de mogelijkheid om de weg te vinden in het gezondheidszorgsysteem en om optimaal gebruik te maken van de beschikbare middelen.
- Meer aandacht moet worden besteed aan mensen met **een verstandelijke beperking**. Dit is een frequent probleem bij patiënten met zeldzame ziekten. Ze lopen een verhoogd risico op ongepaste zorg (zoals ook blijkt uit KCE-rapport 361 uit 2022).



4.2.5. Is het implementatiemodel geschikt voor zeldzame ziekten?

We voerden een snelle literatuurstudie uit en raadpleegden verschillende stakeholders om de toepasbaarheid van het vierfasenmodel (zie figuur 1) op zeldzame ziekten na te gaan.

Voor elke fase kwamen een aantal aandachtspunten of valkuilen naar voor die specifiek zijn voor zeldzame ziekten.

In het algemeen blijkt dat **een aanpak voor duidelijk geïdentificeerde ziekten of gezondheidsproblemen mogelijk niet geschikt is voor zeldzame ziekten**. Het risico bestaat dat een grote groep patiënten voor wie er (nog) geen precieze diagnose is of die meerdere problemen combineren, wordt gemist. Een manier om dit te vermijden is om te vertrekken vanuit symptomen of groepen van ziekten die geassocieerd worden met specifieke behoeften, in plaats van op individuele diagnoses.

4.2.5.1. Stap 1: Identificatie van de te bestuderen gezondheidsproblemen

De identificatie van ziekten met mogelijk grote onvervulde behoeften aan de hand van databases (stap 1a van het model) of een oproep tot het indienen van voorstellen door patiënten, zorgverleners of burgers (stap 1b) zorgt bij zeldzame ziekten voor specifieke problemen:

- Er zijn **weinig databases** voor zeldzame ziekten, zelfs op internationaal niveau, en de beschikbare bronnen zijn niet altijd volledig of kwaliteitsvol. Daarom volstaat deze aanpak hier niet.
- **Oproepen tot het indienen van voorstellen** dreigen patiënten(groepen) te bevoordelen die het best vertegenwoordigd, het best georganiseerd en het meest 'extravert' zijn, in plaats van degenen met de grootste behoeften. Het kan ook moeilijker zijn om hen te bereiken. Daarom moet goed worden nagedacht over de opzet van deze oproepen (gevraagde informatie, formulering van vragen, enz.) en over hoe deze worden verspreid. De kans om deze mensen te bereiken en aan te zetten tot deelname, moet zo groot mogelijk worden gemaakt.

4.2.5.2. Fase 2: Prioritisering en selectie van te beoordelen ziekten

De tweede fase van het model, de prioritisering en selectie van ziekten of gezondheidsproblemen waarvan de onvervulde behoeften zullen worden beoordeeld, kan voor ongelijkheid zorgen. Dit is het geval als de huidige prioriteringscriteria (zie Kader 10) zonder onderscheid worden toegepast op alle ziekten, of ze nu zeldzaam zijn of vaker voorkomen.

Voor al **zuiver kwantitatieve criteria** zoals de frequentie van het probleem moeten correct worden gebruikt, bv. door aan zeldzame ziekten een ander gewicht toe te kennen.

Voor zeldzame ziekten kan ook rekening worden gehouden met **bijkomende prioriteringscriteria**, zoals het gebrek aan kennis over de ziekte en de behandeling ervan, het ontbreken van behandelingen, de moeilijkheid van het diagnostische traject, enz.

Sommige stakeholders waren ook van mening dat de impact op **kwetsbare groepen** die moeilijk te bereiken zijn of minder goed worden bestudeerd (bv. kinderen of zwangere vrouwen) meer gewicht moeten krijgen bij de prioritisering.

Tekstkader 11 – Prioriteringscriteria in de 2^e fase van het NEED-model

- Invloed op levenskwaliteit
- Invloed op levensverwachting
- Frequentie
- Economische impact op patiënten en samenleving
- Impact op kwetsbare bevolkingsgroepen



4.2.5.3. Fase 3: De zoektocht naar gegevens

We komen hier niet terug op de uitdagingen en aandachtspunten bij het verzamelen van gegevens over onvervulde behoeften bij zeldzame ziekten (3^e fase). Deze werden al besproken in de secties over de methodologische uitdagingen (Sectie 4.2.3) en de aanpassingen aan het NEED-evaluatiekader (Sectie 4.2.4).

4.2.5.4. Fase 4: De resultaten bekendmaken

Voor de laatste fase van het model, de verspreiding van de resultaten, zijn er voor zeldzame ziekten niet echt specifieke aandachtspunten, tenzij de bescherming van persoonlijke gegevens.

De geïnterviewde stakeholders wezen er wel op dat de database met onvervulde behoeften **regelmatig moet worden bijgewerkt**, omdat deze waarschijnlijk doorheen de tijd zullen wijzigen.

Ze wijzen er ook op dat er best een strategie voor **het verspreiden van informatie** wordt ontwikkeld, voor een actieve verspreiding onder de bevolking en zodat de informatie kan worden gebruikt om de besluitvorming te onderbouwen.

5. CONCLUSIE

De gezondheidszorg is bij uitstek een sociale sector die bestaat voor mensen in nood. Het zou dus zeker niet correct zijn te beweren dat er enkel uit winstbejag aan innovatie wordt gedaan. Toch ontsnapt de sector niet volledig - of toch niet in de mate die we zouden willen – aan deze economische motieven. Als het gaat om onbekende onderzoeksdomeinen, met alle risico's van dien voor investeerders, valt dit nog te verdedigen. Er is echter ook een toenemende tendens om 'innovatief' te zijn in domeinen die reeds uitgebreid bestudeerd zijn, of waarbij een groot aantal patiënten is betrokken, zodat de kans op grote voordelen verhoogt.

Deze aanpak heeft vandaag zijn grenzen bereikt en een paradigmaverschuiving is nodig. Het is tijd voor (vertegenwoordigers van) de samenleving om de controle over innovatie, investeringen en, in bredere zin, de beleidsstrategie in de gezondheidszorg terug te nemen en deze te richten op domeinen waar ze een echte toegevoegde waarde kunnen bieden. Daar waar ze de grootste impact zullen hebben voor patiënten, hun gezin of de samenleving. Waar de diensten slecht zijn aangepast of alleszins voor verbetering vatbaar zijn. Waar diensten schaars zijn of onbestaand. Die vaak meer atypische oplossingen of preventieve benaderingen

Om dit te bereiken, moeten de domeinen die voorrang dienen te krijgen worden geïdentificeerd. Of, met andere woorden de domeinen waar de behoeften, ondanks het huidige aanbod, het grootst blijven in termen van volume of ernst. Het NEED-project stelt een aanpak voor om deze oefening op een gestructureerde en wetenschappelijke manier uit te voeren. Deze aanpak zal blijven evolueren doorheen de tijd op basis van opgedane ervaring. Het doel is groot en ambitieus: een Europese database van onvervulde behoeften van patiënten en samenleving, voor een zo breed mogelijk scala aan ziekten en gezondheidsproblemen. Deze informatie kan dan worden gebruikt om de transitie naar een door-behoeften-gedreven gezondheidszorg te faciliteren en te ondersteunen.



Hopelijk overtuigt dit model en de achterliggende filosofie alle actoren op Belgisch of Europees niveau, betrokken bij gezondheid en gezondheidsinnovatie. Het betreft de ministers tot de instanties voor de evaluatie van gezondheidstechnologieën, via de geneesmiddelenagentschappen, de structuren die belast zijn met prijszetting en terugbetaling, de ziekenfondsen, de onderzoekers, de industrie en natuurlijk de patiënten en hun verenigingen. Als NEED een verschil wil maken, moeten alle stakeholders er samen hun schouders onder zetten. Een op-behoeften-gebaseerde aanpak moet op termijn vanzelfsprekend worden. Dit ambitieuze project heeft dus gepaste steun nodig.



■ AANBEVELINGENⁱ

Aan de ministers van Volksgezondheid en de instellingen van de Europese Unie

1. Zet een onafhankelijke Europese onderzoeksinfrastructuur op om het onderzoek naar onvervulde behoeften te coördineren en de ontwikkeling van de betrokken database te ondersteunen. Deze Europese infrastructuur moet het onderzoek naar onvervulde behoeften in de verschillende landen overkoepelen. Ze zal:
 - procedures en methoden voor onderzoek naar onvervulde behoeften standaardiseren;
 - het model met vier fasen toepassen (1) identificatie van gezondheidsproblemen die moeten worden onderzocht binnen het onderzoek naar onvervulde behoeften; (2) prioritisering en selectie van gezondheidsproblemen voor onderzoek naar onvervulde behoeften; (3) verzameling van wetenschappelijk bewijs; (4) verspreiding van resultaten;
 - advies, opleiding en ondersteuning bieden aan onderzoekers bij het verzamelen van gegevens over onvervulde behoeften;
 - de database van onvervulde behoeften onderhouden en bijwerken.
2. Overweeg het NEED-evaluatiekader te gebruiken om het gezondheidsbeleid en de toewijzing van onderzoeksgelden te onderbouwen.
3. Blijf een op behoeften gebaseerd gezondheidszorgbeleid aanmoedigen en bevorderen. Dat beleid is gebaseerd op de identificatie van de behoeften van patiënten en samenleving met behulp van een betrouwbare en transparante wetenschappelijke aanpak.

Aan de Belgische federale minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid, de Belgische staatssecretaris belast met Wetenschapsbeleid, de Belgische ministers van de deelstaten, bevoegd voor gezondheid, en de Belgische instellingen bevoegd voor volksgezondheid en gezondheidszorg

4. Start en faciliteer overleg met andere Europese landen over het opzetten van een onderzoeksinfrastructuur voor onvervulde behoeften.

ⁱ Het KCE blijft als enige verantwoordelijk voor de aanbevelingen.



5. Neem de onvervulde behoeften van patiënten en samenleving mee bij overleg waarin prioriteiten worden gesteld in het beleid rond gezondheidszorg en sociale zorg en bij het bepalen van doelstellingen voor gezondheid en gezondheidszorg.

Aan het Europees Geneesmiddelenagentschap en de nationale geneesmiddelenagentschappen

6. Evalueer in hoeverre de criteria van het NEED-evaluatiekader en de gegevens over onvervulde behoeften kunnen worden meegenomen bij de beoordeling van het niveau van onvervulde behoeften inde besluitvorming over bijv. programma's voor versnelde toegang, incentieven of het toekennen van de status van weesgeneesmiddel aan bepaalde gezondheidsproducten.

Aan de nationale tarifierings- en vergoedingsinstanties

7. Houd rekening met onvervulde behoeften bij het beoordelen van terugbetalingsaanvragen voor behandelingen en andere interventies in de gezondheidszorg. Bijvoorbeeld:
 - Vereis het verstrekken van gegevens over onvervulde behoeften in de terugbetalingsaanvragen;
 - Vereis het verstrekken van gegevens over de impact van de nieuwe interventie op de belangrijkste onvervulde behoeften.
8. Houd rekening met wetenschappelijk bewijs over onvervulde behoeften bij het beoordelen van aanvragen voor het *unmet medical need* programma:
 - Vereis het verstrekken van gegevens over niet vervulde behoeften in aanvragen;
 - Vereis het verstrekken van gegevens over de verwachte impact van de nieuwe interventie op de belangrijkste onvervulde behoeften.

Aan de Europese agentschappen voor de evaluatie van gezondheidstechnologieën (HTA)

9. Gebruik wetenschappelijk bewijs over onvervulde behoeften van patiënten en de samenleving bij de evaluatie van gezondheidstechnologieën en bij het prioriteren van de te evalueren technologieën.

***Aan de verzekeraars, patiëntenvertegenwoordigers en het Belgisch Observatorium voor Chronische Ziekten***

10. Draag actief bij aan onderzoek naar onvervulde behoeften, bv. door in te gaan op oproepen tot onderwerpen voor onderzoek naar onvervulde behoeften en door deel te nemen aan stakeholderoverleg.
11. Maak patiënten bewust van onderzoek naar onvervulde behoeften, ook als ze niet vertegenwoordigd worden door patiëntenverenigingen.
12. Gebruik gegevens over onvervulde behoeften van patiënten en samenleving bij het prioriteren van activiteiten en informatie voor specifieke patiëntengroepen en andere stakeholders.

Aan onderzoekers, financiers van onderzoek, patiëntenverenigingen en industrie

13. Stem onderzoek en ontwikkeling van nieuwe gezondheidsinterventies af op de belangrijkste onvervulde behoeften van patiënten en samenleving.
14. Overweeg het gebruik van de criteria in het NEED-evaluatiekader voor het toewijzen van onderzoeksfinanciering.
15. Overweeg om het NEED-evaluatiekader te gebruiken bij onderzoek naar onvervulde behoeften.
16. Bevorder het verzamelen van gegevens over onvervulde behoeften bij zeldzame ziekten, en houd rekening met het NEED- evaluatiekader.
17. Moedig de uitwisseling van gegevens over patiënten met een zeldzame ziekte tussen Europese landen aan, en maak deze gegevens beschikbaar voor onderzoek naar onvervulde behoeften.

Aan iedereen uit de sector van de gezondheidszorg, inclusief de Belgische federale minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid, de Belgische ministers van de deelstaten die verantwoordelijk zijn voor gezondheid, en de administraties die verantwoordelijk zijn voor de volksgezondheid en gezondheidszorg in België

18. Omwille van het gebrek aan een coherente definitie van zeldzame ziekten, die door de verschillende actoren in de gezondheidszorg wordt gebruikt, erken dat het concept 'zeldzame ziekte' niet automatisch betekent dat er aanzienlijke onvervulde behoeften zijn (of met andere woorden het concept niet gelijkstaat aan "weesziekte" of "weesgeneesmiddel"). Daarom is het belangrijk het NEED-evaluatiekader ook toe te passen op zeldzame ziekten.



■ BIJLAGE

Kader voor het identificeren en meten van onvervulde gezondheidsgerelateerde behoeften

<i>Dimensie</i>	<i>Domein</i>	<i>Criteria</i>	<i>Indicator</i>
PATIËNT	Gezondheidsbehoeften	Impact op algemene gezondheidsgerelateerde levenskwaliteit Impact van het gezondheidsprobleem op de gezondheidsgerelateerde levenskwaliteit van patiënten.	Aantal levensjaren geleefd met een handicap (per geval) Gemiddelde EQ-5D-5L score Gerelateerde comorbiditeiten
		Impact op fysieke gezondheid Impact van het gezondheidsprobleem op de fysieke gezondheid van patiënten.	Ervaren ongemak van lichamelijke symptomen die verband houden met het gezondheidsprobleem Pijn/ongemak vroeger vs. nu
		Impact op psychologische gezondheid Impact van het gezondheidsprobleem op de psychologische gezondheid van patiënten.	Ervaren ongemak van psychologische symptomen die verband houden met het gezondheidsprobleem Angst/depressie vroeger vs. nu
		Invloed op autonomie Impact van het gezondheidsprobleem op de autonomie van de patiënt.	Mobiliteit vroeger vs. nu Vermogen om voor jezelf te zorgen vroeger vs. nu Mogelijkheid om de gebruikelijke activiteiten uit te voeren vroeger en nu
		Invloed op levensverwachting Impact van het gezondheidsprobleem op de levensverwachting van patiënten.	Verloren levensjaren (per sterfgeval)
	Gezondheidszorgbehoeften	Effectiviteit van de behandeling Mate van effectiviteit van de huidige behandeling in zijn geheel.	Effectiviteit van de huidige behandeling in zijn geheel (standaardbehandeling of standaardzorg)
		Last van de behandeling Ongemak van de huidige behandeling in zijn geheel voor patiënten.	Ervaren ongemak van de behandeling Waargenomen ongemak van bijwerkingen van de behandeling
		Kwaliteit van zorg Conformiteit van de geleverde zorg met de kwaliteitsnormen, inclusief organisatie, informatie, betrokkenheid van de patiënt bij	Ervaring met gezondheidszorgorganisatie Hoeveelheid ontvangen informatie Duidelijkheid van de ontvangen informatie Betrokkenheid bij de keuze van de behandeling



		de besluitvorming en diagnostische processen.	Diagnostische timing
		Toegankelijkheid	Beschikbaarheid van behandeling ^a
		Beschikbaarheid van behandeling en gemakkelijke toegang tot noodzakelijke zorg voor patiënten.	Afzien van zorg ^b
Sociale behoeften		Invloed op het sociale leven	Behoeftte aan sociale steun
		Impact van het gezondheidsprobleem op het sociale leven van de patiënt, inclusief zijn behoefte aan sociale ondersteuning en zijn vermogen om zinvolle relaties te onderhouden met zijn omgeving, gezin en/of vrienden.	
		Impact op onderwijs	Aantal verloren studiejaren
		Impact van gezondheidsproblemen op het opleidingstraject van patiënten.	
		Impact op professionele activiteit	Veranderingen in arbeidsomstandigheden
		Invloed van het gezondheidsprobleem op de werkomstandigheden van patiënten, waaronder het vermogen om te werken, werktijden en werkomgeving.	
		Financiële gevolgen	Gemiddelde eigen bijdrage gezondheidszorg per patiënt
		Kosten die patiënten moeten dragen voor toegang tot al dan niet terugbetaalde gezondheidszorg.	Gemiddelde niet-zorgkosten per patiënt
SAMENLEVING	Gezondheidsbehoeften	Frequentie	Prevalentie of incidentie
		Frequentie van het gezondheidsprobleem in de populatie (risicogroep) over een bepaalde periode.	
		Overdraagbaarheid	Besmettelijkheid
		Mate van overdraagbaarheid van het gezondheidsprobleem van het ene organisme op het andere.	
		Antimicrobiële resistentie	Antimicrobiële resistentie tegen de gebruikte behandelingen
			Volume verstrekte antibiotica om de ziekte te behandelen (proxycriterium)



		<p>Mate van ineffectiviteit van antibiotica of andere antimicrobiële middelen om de aandoening te behandelen of te beheersen, of moeilijk/onmogelijkheid om infecties door de aandoening te behandelen als gevolg van antimicrobiële resistentie.</p>	
		<p>Belasting van mantelzorgers Impact van de zorgtaken op de levenskwaliteit van mantelzorgers.</p>	Verlies van levenskwaliteit bij mantelzorgers
	Gezondheidszorgbehoeften	<p>Kosten-batenverhouding van standaardbehandeling Gezondheidsvoordeel dankzij de uitgaven voor de standaardbehandeling van het gezondheidsprobleem. Dit criterium maakt het mogelijk om inefficiënte aspecten van het gezondheidszorgsysteem te identificeren.</p>	<p>Kosten van gezondheidszorg per eenheid gezondheidswinst (uitgesplitste weergave van de totale uitgaven voor gezondheidszorg en het totale effect van standaardbehandelingen op de gezondheid)</p>
		<p>Opties voor preventie In welke mate kan het gezondheidsprobleem worden vermeden of beperkt door primaire preventie?</p>	Implementatie van effectieve strategieën voor primaire preventie
	Sociale behoeften	<p>Verlies van productiviteit Kosten door werkverzuim^c, presenteïsme^d en vervroegd vertrek uit de arbeidsmarkt, bij patiënten en hun mantelzorgers.</p>	<p>Kosten door absenteïsme, presenteïsme en/of gedwongen vertrek van patiënten uit de arbeidsmarkt</p>
		<p>Milieueffecten van standaardbehandeling Impact van de aanpak van een gezondheidsprobleem op de natuurlijke omgeving.</p>	<p>Kosten door absenteïsme, presenteïsme en/of gedwongen vertrek van mantelzorgers uit de arbeidsmarkt</p>
			<p>Broeikasgasemissies door standaardbehandeling</p>
			<p>Gevaarlijk afval gegenereerd door standaardbehandeling</p>
			<p>Gebruik van natuurlijke hulpbronnen en grondstoffen voor standaardbehandeling</p>
TOEKOMST	Gezondheidsbehoeften	<p>Toekomstige ziektelast Impact van het gezondheidsprobleem op de gezondheid van toekomstige generaties</p>	<p>Toekomstige prevalentie/incidentie</p>
			<p>Verlies van jaren van een leven in de toekomst</p>
			<p>Toekomstige jaren te leven met een handicap</p>
	Gezondheidszorgbehoeften en sociale behoeften	<p>Toekomstige economische last</p>	<p>Directe kosten in de toekomst^e</p>
			<p>Indirecte kosten in de toekomst^f</p>



*Impact van het gezondheidsprobleem op
toekomstige uitgaven voor gezondheidszorg
en productiviteit, in geldwaarde.*

^a Een behandeling wordt als beschikbaar beschouwd als ze ruim toegankelijk is voor de patiënten, zowel logistiek als financieel. Beschikbaarheidsproblemen kunnen betrekking hebben op belangrijke behandelingen die niet vergund zijn in België, vergund maar niet op de markt gebracht, op de markt gebracht maar duur en niet terugbetaald, of behandelingen die regelmatig schaars zijn.

^b De term 'afzien van zorg' verwijst naar het niet gebruiken van gezondheidszorg die als noodzakelijk wordt beschouwd. Hier zijn veel redenen voor, zoals kosten, wachtlijsten en reisproblemen.

^c Bij absentisme is een werknemer afwezig van het werk door gezondheidsprobleem (ziekteverzuim).

^d Bij presenteïsme is er productiviteitsverlies omdat een werknemer niet volledig operationeel is door een gezondheidsprobleem. Zelfs als de persoon fysiek op de werkplek aanwezig is, kan hij zijn taken niet volledig uitvoeren.

^e Directe kosten omvatten kosten van de zorg zelf, zoals de kosten van diagnose, behandeling en beheer van het gezondheidsprobleem door het zorgsysteem en de zorgkosten voor de patiënt zelf (bv. uitgaven voor geneesmiddelen zonder voorschrift), evenals niet-zorgkosten (bv. reiskosten).

^f Indirecte kosten omvatten kosten door productiviteitsverlies van de patiënt of de mantelzorger door het gezondheidsprobleem en het beheer ervan.



COLOPHON

Titel:	NEED: evaluatie van onvervulde gezondheidsgerelateerde behoeften van patiënten en samenleving – Synthese
Auteurs NEED-evaluatiekader:	Charline Maertens de Noordhout (KCE), Muriel Levy (KCE), Rani Claerman (Sciensano), Mats De Jaeger (KCE), Robby De Pauw (Sciensano), Laurence Kohn (KCE), Claudia Schönborn (KCE), Irina Cleemput (KCE)
Auteurs toepassing van het NEED-evaluatiekader aan de zeldzame ziekten:	Zilke Claessens (KU Leuven), Alice Vanneste (KUL), Jolien Broekmans (KUL), Charlotte Verbeke (KUL), Io Wens (KUL), Charlotte Van Isterdael (KUL), Rosanne Janssens (KUL), Liese Barbier (KUL), Rani Claerman (Sciensano), Mats de Jaeger (KCE), Robby De Pauw (Sciensano), Laurence Kohn (KCE), Muriel Levy (KCE), Claudia Schönborn (KCE), Irina Cleemput (KCE), Charline Maertens de Noordhout (KCE), Isabelle Huys (KUL)
Project facilitator:	Nathalie Swartenbroekx (KCE)
Informatiespecialist:	Nicolas Fairon (KCE)
Reviewers:	Marie Dauvrin (KCE), Célia Primus-de Jong (KCE)
Externe experts en stakeholders NEED-evaluatiekader:	Francis Arickx (RIZIV – INAMI - Rijksinstituut voor ziekte- en Invaliditeitsverzekering - Institut national d'assurance maladie-invalidité), Sabine Corachan (LUSS - Ligue des Usagers des Services de santé), Charles Denonne (AFMPS – FAGG - Agence Fédérale des médicaments et des Produits de Santé - Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten), Harlinde De Schutter (Stichting Kankerregister – Registre du Cancer), Eva D'Haese (RIZIV – INAMI), Marc Geboers (Onafhankelijke Ziekenfondsen), Pol Gerits (FOD Volksgezondheid – SPF Santé publique), Stefan Gijssels (Patient Expert Center), Agnès Leclercq (Union Nationale des Mutualités Libres), Christian Leonard (Sciensano), Lydie Meheus (Anticancer Fund), Marit Mellaerts (VPP - Vlaams Patiëntenplatform), Valentin Mutemberezi (INAMI – RIZIV), Isabelle Nguyen (KBS - Koning Boudewijnstichting), Wim Penninckx (FAGG – AFMPS), Fabrice Peters (CSS – HGR - Conseil Supérieur de la Santé – Hoge Gezondheidsraad), Annemie Quanten (RIZIV – INAMI), Eva Schoeters (RaDiOrg – Rare Diseases Belgium), Eric Schokkaert (KU Leuven), Anja Sonemann (RIZIV – INAMI), Luc Van Gorp (Christelijke Mutualiteiten), Amélie Van Vyve (Sciensano), Armand Voorschuur (pharma.be), Sofie Waebens (FOD Volksgezondheid – SPF Santé publique), René Westhovens (KU Leuven), Marjan Willaert (pharma.be)
Externe experts en stakeholders Toepassing van het NEED-evaluatiekader aan de zeldzame ziekten:	An Bollen (UZ Leuven), Antonella Cardone (Cancer Patients Europe), Sabine Corachan (LUSS - Ligue des Usagers des Services de Santé), Fabio Datri (European Commission), Harlinde De Schutter (Stichting Kankerregister), Martine Delchambre (LUSS), Marion Delcroix (UZ Leuven), Bart Demyttenaere (Solidaris), Franck Devaux (Hôpital Universitaire de Bruxelles), Marc Doods (UZ Leuven), Maggie Galbraith (HAS - Haute Autorité de Santé), Sarah Garner (WHO Europe), Stefan Gijssels (Patient Expert Center), Wim Goettsch (Universiteit Utrecht, the Netherlands), Dimitri Hemelsoet (Universitair Ziekenhuis Gent), Francois Houyez (EURORDIS - European Organisation for Rare Diseases), Stefan Joris (Belgische vereniging voor strijd tegen mucoviscidose), Heini Kanervo (UZ Brussel), Kaja Kantorska (European Commission), Anna Kubina (Kabinet minister Frank Vandenbroucke), Olivia Lacroix (Cliniques universitaires Saint-Luc), Damien Lederer (IPG - Institut de Génétique)



Humaine), Tim Leest (FAGG – AFMPS – Federaal agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten – Agence fédérale des médicaments et des produits de santé), Joyce Loridan (Solidaris), Kate Morgan (Myeloma Patients Europe), Valentin Mutemberezi (INAMI – RIZIV – Institut national d'assurance maladie-invalidité – Rijksinstituut voor ziekte- en invaliditeitsverzekering), Clara Noirhomme (Mutualité chrétienne), Gauthier Remiche (HUB - Hôpital Universitaire de Bruxelles, Hôpital Erasme, ULB - Université libre de Bruxelles), Marjolijn Renard (Ziekenhuisfunctie Zeldzame Ziekten, Universitair Ziekenhuis Gent), Eva Schoeters (RaDiOrg – Rare Diseases Belgium), Valentina Strammiello (EPF - European Patient's Forum), Tina Taube (EFPIA - European Federation of Pharmaceutical Industries), Sylvie Taziaux (CHU de Liège), Annemie T'Seyen (Koning Boudewijnstichting), Marc Van De Castele (RIZIV – INAMI - Rijksinstituut voor ziekte- en invaliditeitsverzekering – Institut national d'assurance maladie-invalidité), Chris Van Haecht (Christelijke mutualiteit), Anne Van Meerbeeck (VPP - Vlaams Patiëntenplatform), Armand Voorschuur (Pharma.be), René Westhovens (KU Leuven), Beate Wieseler (IQWiG - Institute for Quality and Efficiency in Health Care)

Externe validatoren
NEED-evaluatiekader:

Marjo Cellier (CEPPP – Centre of Excellence on Partnership with Patients and the Public, University of Montreal, Canada), Dimitra Panteli (EOHSP - European Observatory on Health Systems and Policies), Bert Leufkens (Universiteit Utrecht, Nederland)

Externe validatoren
Toepassing van het NEED-
evaluatiekader aan de zeldzame
ziekten:

Olivia Lacroix (Cliniques universitaires St-Luc), Domenica Taruscio (Former director of the National Centre for Rare Diseases, Istituto Superiore di Sanità, Italië), Wendy Van Zelst-Stams (Radboud Universitair Medisch Centrum, Nederland)

Acknowledgements
NEED-evaluatiekader:

Wij zouden graag Roisin Adams (National Centre for Pharmacoeconomics, Ierland), Laetitia Aerts (KBS), Fernando Avelar (INFARMED, Portugal), Rita Baeten (Kabinet van de minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid), Benedetta Baldini (ESIP - European Social Insurance Platform), Nicolas Boucakert (KCE), Benoît Collin (INAMI – RIZIV), Ines Costa (INFARMED, Portugal), Peter Decat (Universiteit Gent), Diane Delnoij (IHSI - International Horizon Scanning Initiative), Marie Delnord (Centre du Cancer – Sciensano), Pedro Facon (RIZIV – INAMI), Judith Fernandez (HAS - Haute Autorité de Santé, Frankrijk), Laure Geslin (European Commission, DG SANTE), Aïko Gryspeirt (Innoviris Brussels), Marcus Guardian (IHSI - International Horizon Scanning Initiative), Andras Hetenyi (National Public Health and Pharmacy Center, Hongarije), Beatrix Horvath (Ministry of Interior Affairs, Hongarije), Oliver Jacobi Lomholt (DKMA - Danish Medicines Agency, Denemarken), Kaja Kantorska (European Commission, DG SANTE), Andreas Kouroumalis (EMA - European Medicines Agency), Anna Kubina (Kabinet van de minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid), Véronique Le Ray (Fondation contre le Cancer), Lilia Luchianov (European Commission, DG SANTE), Karen McNamara (Department of Health, Ireland), Patricia Menten (VLAIO – Vlaams Agentschap Innoveren en Ondernemen), Gergő Merész (National Institute of Pharmacy and Nutrition, Hongarije), Anna Nachtnebel (Austrian Social Insurance, Oostenrijk), Yannis Natsis (ESIP - European Social Insurance Platform), Clara Noirhomme (Mutualité Chrétienne), Dimitra Panteli (European Observatory on Health Systems and Policies), Valérie Paris -(OECD – Organisation for Economic Co-operation and Development), Dirk Ramaekers (FOD Volksgezondheid – SPF Santé publique), Cornelia Rüdiger



(IQWiG - Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, Duitsland), Anja Schiel (Norwegian Medicines Agency, Noorwegen), Julia Schmitz (European Commission, DG SANTE), Dorota Sienkiewicz (EuroHealthNet), Françoise Smets (UCLouvain), Barbara Sodar (National Institute of Pharmacy and Nutrition, Hongarije), Anca Toma (EPF - European Patients' Forum), Evert Jan van Asselt (Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport, Nederland), Marc Van De Casteele (RIZIV – INAMI), Carine Van de Voorde (Kce), Tina Van Havere (Kabinet van de minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid), Frank Vandenbroucke (Minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid), Sabine Vögler (GÖG - Gesundheit Österreich, Oostenrijk), Piia Vuorela (FIMEA - Finnish Medicines Agency, Finland), Annouk Waeytens (Kabinet van de minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid), Beate Wieseler (IQWiG - Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, Duitsland), Claudia Wild (AIHTA - Austrian Institute for HTA, Oostenrijk) bedanken voor hun bijdrage tot deze studie.

Acknowledgements

Toepassing van het NEED-evaluatiekader aan de zeldzame ziekten:

De auteurs wensen Thomas Vandendriessche, Norin Hamouda, Krizia Tuand en Chayenne Van Meel, de biomedische referentiebibliothecarissen van het KU Leuven Libraries – 2Bergen – Learning Centre Désiré Collen (Leuven), te bedanken voor hun hulp in het uitvoeren van de systematische literatuurstudie. We zouden ook graag Elise Schoefs (Clinical pharmacology & pharmacotherapy, KU Leuven) willen bedanken voor haar logistieke ondersteuning, Marc Doms (UZ Leuven), Alessandra Blonda (Clinical Pharmacology & Pharmacotherapy, KU Leuven) en René Westhovens, (Department of Development and Regeneration, Skeletal Biology and Engineering Research Center, KU Leuven) om de lijst van genodigden voor de stakeholdersconsultatie na te kijken. Wij danken de Ethische Commissie – UZ Leuven voor de tijdige beoordeling en goedkeuring van het onderzoeksprotocol.

Belangen KCE experts:

Het KCE is een federale instelling die wordt gefinancierd door het RIZIV, door de Federale Overheidsdienst Volksgezondheid, Veiligheid van de Voedselketen en Leefmilieu en door de Federale Overheidsdienst Sociale Zekerheid. De opdracht van het KCE bestaat erin de beleidsmakers te adviseren over beslissingen inzake gezondheidszorg en ziekteverzekering op basis van wetenschappelijk en objectief onderzoek. Het moet de best mogelijke oplossingen identificeren en belichten, in het kader van een toegankelijke en kwaliteitsvolle gezondheidszorg, rekening houdend met de groeiende vraag en de budgettaire beperkingen.

Het KCE heeft geen belangen in bedrijven (commerciële of niet-commerciële, d.w.z. ziekenhuizen en universiteiten), verenigingen (bv. beroepsverenigingen, vakbonden), personen of organisaties (bv. lobbygroepen) die door de uitvoering van de aanbevelingen positief of negatief (financieel of anderszins) zouden kunnen worden beïnvloed. Alle experts die betrokken waren bij het schrijven van het verslag of het peer-reviewproces hebben een belangenverklaring ingevuld. Informatie over mogelijke belangenconflicten staat in de colofon van dit verslag. Alle leden van het team van KCE-experten leggen jaarlijks een belangenverklaring af en nadere gegevens daarover zijn op verzoek verkrijgbaar.



Gemelde belangen:

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

RaDiOrg ondersteund de toepassing van het NEED-evaluatiekader op zeldzame ziekten niet.

Layout:

Joyce Grijseels (KCE)

Financiële ondersteuning door Belspo

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 met meerderheid van stemmen 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:

28 maart 2024

Domein:

Health Services Research (HSR)

MeSH:

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

NLM classificatie:

W84.3

Taal:

Nederlands

Formaat:

Adobe® PDF™ (A4)

Wettelijk depot:

D/2024/10.273/01

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>.



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

<https://doi.org/10.57598/R377AS>