

Patiëntenparticipatie b

Patiëntenorganisaties kunnen verrijking bieden in farmaceutische innovatieprocessen. Daarom is het belangrijk dat fabrikanten, behandelaren, zorgverzekeraars en overheden hierop inspelen.

Tekst | Wouter Boon, Pauline Evers, Cees Smit, Ronald Meyboom en Ele Visser

Patiënten zijn in klinische studies van oudsher vooral object van onderzoek. Ook patiëntenorganisaties hebben een overwegend passieve rol, wat in Nederland wordt benadrukt als het gaat om bijvoorbeeld overleg over het beleid rond proefpersonen [1]. Het is zelfs uitdrukkelijk niet de bedoeling dat patiëntenorganisaties zitting nemen in medisch-ethische toetsingscommissies [2]. Dit heeft al eens geleid tot wrijvingen, bijvoorbeeld bij het besluit om klinische studies met jonge Duchenne-patiënten in Nederland niet toe te laten, ondanks aandringen van patiënten(organisaties).

Placebogroepen bij aids

Andere partijen betrekken patiëntenorganisaties steeds vaker en directer bij klinisch onderzoek. Ze ondersteunen studies door bijvoorbeeld te assisteren bij de rekrutering van patiënten. Ze letten op de kwaliteit van aan patiënten verstrekte informatie en op voldoende waarborgen voor *informed consent*. De Vereniging Spierziekten Nederland heeft bijvoorbeeld een lijst met voorwaarden waaraan de sponsors van klinische studies moeten voldoen voordat de vereniging haar medewerking verleent.

Inhoudelijk meedenken over vraagstelling of meetmethode door patiëntenverenigingen gebeurt soms ook. Zo heeft de International Pompe Association regelmatig contact met universiteiten en bedrijven die medicijnen tegen de ziekte van Pompe beproeven, bijvoorbeeld over de noodzaak van placebogroepen en de mogelijkheden voor programma's voor *compassionate use*. Sommige patiëntenverenigingen leggen de (tussen-

tijdse) uitkomsten van studies voor aan een wetenschappelijke klankbordgroep en zijn zo in staat om op een evenwichtige manier over de uitkomsten te communiceren. Op deze manier dragen die patiëntenverenigingen bij aan het managen van verwachtingen over nieuwe therapieën.

In uitzonderlijke gevallen is hun invloed nog groter. In de jaren tachtig discussieerden groepen aidspatiënten mee over de wetenschappelijke opzet van klinische studies. Zij zetten grote vraagtekens bij het gebruik van placebogroepen (zeker wanneer gedurende de studies een geneesmiddel veilig en effectief bleek) en bij de klinische eindpunten. Onder druk van die organisaties kwamen onderzoekers, bedrijven en regulatoren overeen om surrogaateindpunten (zoals het aantal CD4-positieve T-cellen) te gebruiken in plaats van mortaliteit of progressie naar aids [3].

Patiëntenperspectief

Patiëntenorganisaties nemen soms het initiatief tot klinische studies. Zo zijn er

**Soms denken
patiëntenverenigingen
inhoudelijk mee over vraag-
stelling of meetmethode**

(geregistreerde) medicijnen die voor andere indicaties al jaren *off-label* worden gebruikt. De verenigingen proberen in zulke gevallen artsen, onderzoekers en bedrijven over te halen klinische studies te starten. Sommige



Bij klinisch onderzoek wil een patiënt meer zijn dan enkel proefpersoon.

patiëntenverenigingen organiseren of faciliteren regelmatig bijeenkomsten tussen onderzoekers waardoor (inter)nationale netwerken ontstaan rond bepaalde ziektes. Zij praten over gezamenlijke onderzoeksagenda's, wat kan resulteren in de coördinatie van klinische studies over meerdere landen. Bijvoorbeeld het European Neuromuscular Centre (www.enmc.org). Deze organisatie is opgezet en gefinancierd door negen patiëntenorganisaties en organiseert tienmaal per jaar bijeenkomsten met kleine groepen onderzoekers rondom een bepaalde aandoe-ning of technologie. Bijvoorbeeld om onderzoek te harmoniseren.

Momenteel loopt een Europees proefproject waarbij registratie- en vergoedingsautoriteiten, beroepsgroepen, betalaren en patiënten betrokken zijn bij wetenschappelijk advies aan de farmaceutische industrie over klinische studies. Vanuit Nederland zijn dat de Nederlandse Federatie van Kankerpatiëntenorganisaties/Borstkankervereniging Nederland en Diabetesvereniging Neder-

ij klinisch onderzoek



land. Op die manier wordt het patiëntenperspectief, maar ook bijvoorbeeld het perspectief van *health assessment*, vroegtijdig meegenomen in beslissingen over het ontwikkeltraject.

Beperkte menskracht

De betrokkenheid van patiëntenverenigingen brengt een aantal uitdagingen met zich mee. Om effectief te participeren in debatten en overleggen is het noodzakelijk dat patiëntenvertegenwoordigers kennis hebben van biomedische zaken en van beleids- en innovatieprocessen. Dit vergt investeringen in opleiding en training. Overigens kan dit leiden tot ‘proto-professionalisering’, als patiëntenvertegenwoordigers zich gaan vereenzelvigen met beleidsmakers en behandelaars. De variëteit aan patiëntenorganisaties en de diversiteit aan patiënten die één vereniging moet vertegenwoordigen, leidt ook tot verschillende en genuanceerde geluiden – iets wat de andere partijen niet altijd waarderen.

Verschuivende rol van patiëntenorganisaties

Patiëntenorganisaties kunnen op verschillende manieren een zinvolle bijdrage leveren aan het ontwikkelen van medicijnen. Het is mogelijk om de introductie van nieuwe medicijnen te bevorderen door ervaringskennis te verzamelen onder leden van patiëntenorganisaties. Maar ook door hun organisatorische bijdrage aan het innovatieproces, en door hun inbreng in ethische discussies.

Van oudsher verzorgen patiëntenorganisaties voorlichting aan hun leden en bieden een platform voor lotgenotencontact. In de jaren tachtig groeide hun aandacht voor belangenbehartiging en zetten zij signalen die zij oppikten bij voorlichting en lotgenotencontact, om in eisen aan overheden, bedrijven en wetenschappers. Sindsdien worden patiëntenorganisaties erkend als belangrijke partij in de gezondheidszorg [6-8].

In verschillende fasen van de geneesmiddelontwikkeling kunnen patiëntenorganisaties een innovatieve rol spelen [9, 10]. In de onderzoeksfase dragen ze soms financieel hun steentje bij. Steeds vaker denken ze ook mee over de onderzoeksagenda. Het Astma Fonds heeft bijvoorbeeld enkele jaren geleden samen met onderzoekers en artsen in een serie dialoogbijeenkomsten een agenda opgesteld voor astmaonderzoek [11].

In het Europese registratietraject van geneesmiddelen beslissen patiënten mee als volwaardige commissieleden van de European Medicines Agency. Wanneer het geneesmiddel eenmaal geregistreerd is, zijn ze betrokken bij beslissingen over vergoedingen, medische richtlijnen en de organisatie van de zorg, bijvoorbeeld rond therapietrouw.

Daarnaast hebben patiëntenorganisaties invloed op het maatschappelijk debat rond farmaceutische innovatie en zorg. Het gaat bijvoorbeeld om kwesties zoals de noodzaak van dierproeven, de maximale vergoeding van therapieën en onderzoek naar genetica, embryo-selectie en stamceltherapie [12].

Een tweede uitdaging is dat steeds meer partijen vragen om input van patiëntenorganisaties, die echter maar beperkte menskracht en middelen hebben. Het risico dreigt dat de agenda bepaald wordt door anderen en patiëntenorganisaties onvoldoende toekomen aan een eigen langetermijnvisie of aan een proactieve houding ten opzichte van bijvoorbeeld nieuwe technologieën. Sponsoring en subsidies kunnen die middelen aanvullen, maar ze maken de verenigingen potentieel afhankelijk van bedrijven en overheden; dit zorgt voor een slecht imago [4].

Knelpunten

In het licht van deze uitdagingen is het interessant hoe patiëntenorganisaties en andere partijen in de farmaceutische zorg aankijken tegen de mogelijkheden en

wenselijkheden van patiëntenparticipatie. In 2008 organiseerden de Nederlandse Federatie voor Kankerpatiëntorganisaties en de Universiteit Utrecht daartoe een multidisciplinaire workshop ‘Invloed op de agenda farmaceutische industrie en wetenschappelijk onderzoek’. Naast oncologische patiënten waren ook behandelaars, wetenschappers en industrieën vertegenwoordigd. Deze workshop beoogde te inventariseren hoe patiënten en hun organisaties een inbreng kunnen hebben in geneesmiddelenonderzoek in Nederland, en wat de knelpunten daarbij zijn. Om een zo groot mogelijke variëteit aan ideeën en meningen te verzamelen, werd gebruikgemaakt van het beleidslaboratorium van de Universiteit Utrecht.

De deelnemers kwamen met een prioriteitenlijst van wat patiëntenorganisaties zouden moeten doen. Enkele belangrijke

- > onderwerpen waren: het effectiever maken van de vraagformulering vanuit de achterban, het zichtbaarder maken van het in de achterban aanwezige 'kapitaal', alsmede kwesties over hoe organisaties verschillende onderwerpen prioriteit moeten geven en hoe de agenda van andere partijen het beste kan worden beïnvloed.

In de workshop werd de deelnemers ook gevraagd wat zij van andere partijen verwachtten met betrekking tot patiëntenparticipatie. Zij vonden dat onderzoekers, maar ook financiers van wetenschappelijk onderzoek, ervaringskennis zouden moeten waarderen: naast *evidence-based* en *practice-based* kennis moet er ruimte zijn voor *patient-based* kennis. Patiënten kunnen een schat aan gegevens aanleveren over hun aandoening en hun ervaringen daarmee, waardoor het mogelijk is om onderzoeksvragen beter te formuleren en te beantwoorden. Financiers zouden patiëntenparticipatie als voorwaarde kunnen stellen voor subsidieverstrekking, terwijl de overheid patiëntenorganisaties zou kunnen faciliteren, patiënten als belanghebbenden zou kunnen betrekken bij wet- en regelgeving rondom onderzoek, en die

wet- en regelgeving meer zou kunnen toespitsen op het stimuleren van innovatie die is gericht op kwaliteit van leven.

Anekdotisch

Om optimaal te functioneren als aanjagers en bewakers van maatschappelijk verantwoord innovatieprocessen, is het nodig dat

Patiënten hebben het recht om mee te beslissen over iets wat hen aangaat

patiëntenorganisaties de beschreven uitdagingen het hoofd bieden. De drie belangrijkste aandachtspunten zijn:

- **positionering:** weloverwogen de positie ten opzichte van andere partijen in de gezondheidszorg bepalen om een vertrouwde en geloofwaardige partner te blijven, waarbij het nodig is om transparantie, variëteit, onafhankelijkheid en continuïteit in financiering te betrachten;

- **representativiteit:** de achterban bewust betrekken bij activiteiten en de wensen van de leden vertalen in één geluid;
- **proactief handelen en visievorming:** toekomstvisies ontwikkelen en anticiperen op wat komen gaat in wetenschap, bedrijfsleven en bij de overheid; zo worden de patiëntenorganisaties meer *empowered* en kunnen ze een effectievere inbreng hebben in debatten over innovaties en nieuwe technologieën.

Door deze punten als leidraad te nemen, kunnen patiëntenorganisaties, samen met partners zoals farmaceutische bedrijven, behandelaars, zorgverzekeraars en overheden, effectiever vormgeven aan patiëntenparticipatie. Dit is belangrijk aangezien patiëntenparticipatie op verschillende manieren een verrijking kan betekenen voor het farmaceutisch innovatieproces, in het bijzonder de klinische fase [5]. Ten eerste vormt de ervaringskennis van patiënten een specifieke inbreng in het ontwikkeltraject en is het mogelijk om het creatieve potentieel van *patient-based* kennis zinvol te gebruiken in innovatieprocessen. Patiëntenorganisaties hebben het voordeel dat ze het anekdotische ontstijgen en goed kunnen aansluiten bij het vertoog van publieke debatten en de innovatieprocessen van bedrijven. Ten tweede leveren patiëntenorganisaties een instrumentele bijdrage aan klinische studies door studies bij hun achterban aan te bevelen en behulpzaam te zijn bij implementatietrajecten. Tot slot is er een moreel argument: patiënten hebben het recht om mee te beslissen over iets wat hen aangaat. <



Het creatieve potentieel van patiëntenkennis is te gebruiken voor innovatie.

Dr. Wouter Boon (w.boon@rathenau.nl) doet bij het Rathenau Instituut onderzoek naar de rol van gebruikers in innovatieprocessen. Dr. Pauline Evers is beleidsmedewerker geneesmiddelen bij de Nederlandse Federatie van Kankerpatiëntenverenigingen (NFK). Dr. Cees Smit is oud-voorzitter van de VSOP, een samenwerkingsverband van 58 organisaties van patiënten die zijn betrokken bij erfelijkheidsvraagstukken. Dr. Ronald Meyboom is verbonden aan de afdeling Farmaco-epidemiologie en Klinische Farmacie van de Universiteit Utrecht en is lid van de Commissie geneesmiddelen van de NFK. Ele Visser is directeur van de Patiënten Academie.

Zie voor de literatuurreferenties de digitale versie van dit artikel op pw.nl.

LITERATUUR

- 1 Smit C, van Bennekom I. De meerwaarde van patiëntenparticipatie in METC's en de CCMO. *METCforum*. 2006;10(3):7-11.
- 2 Smit C, Boon WPC, Evers MPJ, Meyboom RHB, Visser E. Tweede evaluatie WMO: 'Aandacht voor de positie van het proefpersonenlid en de patiënt is dringend gewenst'. *Tijdschr Gezondheidsrecht*. 2010;(4):305-6.
- 3 Epstein S. Activism, drug regulation, and the politics of therapeutic evaluation in the AIDS era: a case study of ddC and the 'surrogate markers' debate. *Soc Stud Sci*. 1997;27(5):691-726.
- 4 Trappenburg M. *Genoeg is genoeg. Over gezondheidszorg en democratie*. Amsterdam: Amsterdam University Press; 2008.
- 5 Smits REHM, Boon WPC. The role of users in innovation in the pharmaceutical industry. *Drug Discov Today*. 2008;13(7-8):353-9.
- 6 *Patiëntenparticipatie in gezondheidsonderzoek*. Den Haag: Raad voor Gezondheidsonderzoek; 2007.
- 7 Nederland T, Duyvendak WJ, Brugman M. *Belangenbehartiging door de patiënten- en cliëntenbeweging. De theorie*. Utrecht: Verwey-Jonker Instituut; 2003.
- 8 Nederland T, Duyvendak WJ. *De kunst van effectieve belangenbehartiging door de patiënten- en cliëntenbeweging. De praktijk*. Utrecht: Verwey-Jonker Instituut; 2004.
- 9 Boon WPC. *Demanding dynamics – demand articulation of intermediary organisations in emerging pharmaceutical innovations [dissertatie]*. Utrecht: Universiteit Utrecht; 2008.
- 10 Tejada P. *Patients and researchers: partners for life!* Paris: Eurordis; 2010. www.eurordis.org/content/patients-and-researchers-partners-life.
- 11 Abma T, Broerse J. *Zeggenschap in wetenschap. Patiëntenparticipatie in theorie en praktijk*. Den Haag: Lemma; 2007.
- 12 Smit C, red. 'Het verhaal van ...' *Negen verhalen over patiëntenparticipatie in geneesmiddelenonderzoek*. Badhoevedorp: Drukkerij De Adelaar; 2009.