

Gebruik van beschikbare data versnelt innovaties

Met *Randomized Registry Trials* – een nieuwe methode van uitkomstenonderzoek – en *Value Based Pricing* toetst de industrie nieuwe manieren om duurzaam te kunnen blijven innoveren. Daarnaast willen onderzoekers patiëntendata uit bestaande systemen in de eerste en tweede lijn beter kunnen benutten.

Auteur **Claudia Rijcken en Martijn Groot**

Randomized Controlled Trials (RCT's) zijn sinds lange tijd de gouden standaard voor de evaluatie van interventies in de gezondheidszorg. De laatste jaren gaan er echter steeds meer geluiden op dat RCT's te duur zijn, te lang duren en niet representatief zijn voor het gebruik in de dagelijkse praktijk. Onderzoeksgroepen proberen alternatieve methoden te ontwikkelen die efficiëntere uitkomsten opleveren.

Een goed voorbeeld hiervan is de *Randomized Registry Trial* (RRT): een combinatie van het doen van onderzoek met bestaande registers, waarbij door randomisatie van bestaande patiëntendata eenvoudig en snel een hypothese getest kan worden [1].

Alle informatie bij de start van de studie wordt uit bestaande patiëntenregisters gehaald. Daarmee blijft het extra werk dat nodig is voor inclusie in een studie beperkt tot het activeren van een randomisatiemodule, die in de database is ingebouwd.

Doorlopend worden eindpuntparameters verkregen uit de registers en daarom is (vrijwel) geen studiespecifieke klinische follow-up nodig.

Het voordeel van een RRT is het veel efficiëntere gebruik van bestaande patiënten- en veiligheidsdata vanuit de dagelijkse praktijk en het gegeven dat het meewerken aan onderzoek door patiënten een ethische norm is, in plaats van een uitzondering [1].

Kostenbesparing

De Scandinavische TASTE-studie is een van de eerste trials die op deze wijze succesvol heeft plaatsgevonden [2]. Het betrof hier een multicenter, prospectieve en open-label RRT. De onderzoekers kozen voor een opzet waarbij patiëntrekrutering en datacollectie via een patiëntenregister georganiseerd werden. Het register bevatte alle patiënten van dertig coronaire interventiecentra: een uit IJsland en 29 uit Zweden. De Zweedse overheid financiert en orkestreert de inhoud van deze registers.

Het ging in deze studie om hartpatiënten met afwijkend ECT, te weten *ST-segment elevation myocardial infarction* (STEMI-patiënten). De studie toonde aan dat aspiratie-trombectomie – chirurgisch verwijderen van trombi – voorafgaand aan dotteren (PCI), geen klinisch relevant effect opleverde op de dertig-dagen- mortaliteit of andere klinische parameters, in vergelijking met PCI zonder trombectomie. Onderzoekers van Duke University schatten dat deze RRT-methode

Standaard opzet ontbreekt in Nederland

Patiëntenregisters hebben in Nederland nog geen standaard opzet. Alle zorgpartijen ervaren de administratieve lasten nog als zeer hoog. Teneinde *Randomized Registry Trials* (RRT'S) en *Value Based Pricing* in de toekomst ook in Nederland op bredere schaal te kunnen toetsen, is het noodzakelijk dat alle partijen in de gezondheidszorg hun krachten bundelen om tot uniforme en representatieve registers te komen. Die registers kunnen in de toekomst daadwerkelijk de snelheid en betaalbaarheid van innovaties helpen optimaliseren.



INNOVATIEF GENEESMIDDEL-
ONDERZOEK IS GEBAAIT BIJ
EEN METHODE WAARBIJ EEN
HYPOTHESE EENVOUDIG EN SNEL
GETEST KAN WORDEN.

Foto Novartis

ongeveer een derde van een RCT kost en dat de trial voor de dagelijkse praktijk veel waardevoller is geweest dan een RCT.

De implementatie van RRT omvat nog een aantal onbeantwoorde vragen: zijn bestaande registers van voldoende kwaliteit om te gebruiken voor RTT's, zijn data direct extrapol eerbaar en zijn alle datavelden adequaat ingevuld? In ieder geval is RTT een hoopvolle ontwikkeling om innovaties in de toekomst sneller, goedkoper en beter te kunnen toetsen.

Naast onderzoeksmethoden onderzoekt de industrie nieuwe financieringsmodellen. Het prijssysteem van innovatieve geneesmiddelen is complex en sterk afhankelijk van internationale prijsstelling en centrale versus decentrale marktwerking.

Een relatief nieuwe manier om naar de waarde van geneesmiddelen te kijken is het principe van *Value Based Pricing*. Dat wil zeggen dat fabrikanten met afnemers – zorgverzekeraars, ziekenhuizen, zorginstituut, overheid – afspraken maken om de vergoeding van geneesmiddelen te koppelen aan de waarde die het product in de praktijk heeft opgebracht. Hiermee worden eventuele financiële risico's van de effectieve inzet van een innovatief middel verdeeld tussen verschillende zorgpartijen. Daarnaast bieden de verzamelde data voortgaand inzicht in de optimalisatie van de behandeling en de toekomstige onderzoeksrichtingen. Ook is het een manier om de zorguitgaven te koppelen aan de daadwerkelijke opbrengsten.

Een voorbeeld hiervan zijn *no cure no pay*-arrangementen waarbij de fabrikant de kosten van de behandeling overneemt voor patiënten die niet voldoende responderen op de therapie. Een ander voorbeeld is een model waarbij de prijs van een geneesmiddel mag toenemen wanneer de effectiviteit van het product in de praktijk bewezen wordt.

Consensus

Essentieel voor het slagen van *Value Based Pricing*-afspraken is dat er consensus bestaat tussen voorschrijver, patiënt en betaler over de definitie van de opgebrachte waarde. Daarnaast is bij deze methodiek – net als bij RRT-onderzoek – de grote uitdaging om betrouwbare – *real life* – data beschikbaar te hebben.

Datasystemen zijn momenteel nog te vaak ingericht per zorgonderdeel, waardoor een geïntegreerde, retrospectieve analyse niet altijd mogelijk is. Daarom is het belangrijk voor innovatief geneesmiddelonderzoek en toelating om geen nieuw systeem te ontwerpen, maar zoveel mogelijk bestaande datasystemen te gebruiken, zoals huisarts-, keten- en ziekenhuisinformatiesystemen. ■

Gezondheidseconoom Martijn Groot werkt als Head Pricing & Market Access bij Novartis Pharma.

Apotheker Claudia Rijcken is bij hetzelfde bedrijf Head Market Access & Public Affairs.

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

DE RRT-
METHODE
KOST
ONGEVEER
EEN DERDE
VAN EEN
RCT

- 1 Lauer, ms and D'Agostino, rb. The Randomized Registry Trial, the next disruptive technology N Engl J Med 2013;369:1579-81.
- 2 Frobert O, et al. Thrombus Aspiration in st-Elevation myocardial infarction in Scandinavia (taste trial). A multicenter, prospective, randomized, controlled clinical registry trial based on the Swedish angiography and angioplasty registry (scaar) platform. Study design and rationale. Am Heart J. 2010 Dec;160(6):1042-8.