

Participation des patients aux Pays-Bas

Réunion « Collaborer avec et pour le patient », Bruxelles, 25 sept. 2018

Annemiek van Rensen



Brève introduction :

- MSc : Sciences biopharmaceutiques, Université de Leyde
- PhD : Biopharmacie et Immunologie, Université d'Utrecht
- 1999 : Yamanouchi Europe BV (maintenant : Astellas)
- 2003 : Nederlandse Brandwonden Stichting

- Depuis 2009 : PGOsupport, conseiller Contribution Perspective des clients
- Depuis 2015 : Membre du *College ter Beoordeling van Geneesmiddelen* (CBG) et président de la concertation avec les organisations de patients et de consommateurs



- **PGOsupport** est une organisation en réseau pour les organisations de patients et de clients.
- Avec et par le biais de **PGOsupport**, les organisations de clients partagent des connaissances et de l'expérience. **PGOsupport** aide les organisations en les conseillant et assistant. Nous les informons et conseillons en ce qui concerne le renforcement de leur position stratégique, la gestion de leur organisation, le développement de leur organisation et la contribution de la perspective du client. Nous veillons ainsi à ce que les organisations puissent mieux faire leur travail.
- **PGOsupport** est une fondation indépendante, créée en 2009. **PGOsupport** est financée par un appel d'offres du ministère de la Santé publique, du Bien-être et du Sport.
- Depuis 2017, **PGOsupport** s'oriente de plus en plus sur le renforcement de la contribution de la perspective du client, **chez TOUS les stakeholders**

Pourquoi impliquer les patients dans le développement des médicaments ?





Pourquoi impliquer les patients dans la recherche ?

1. Nouveaux thèmes et questions de recherche
2. Augmentation de la valeur sociétale
3. Objet corrigé de la recherche
4. Meilleures chances d'interprétation correcte des données
5. Meilleur accès au groupe de patients ciblé (recrutement de patients / diffusion des résultats)
6. (Aux Pays-Bas) Plus de chances de financement...
7. *"Rien sur nous, sans nous"*

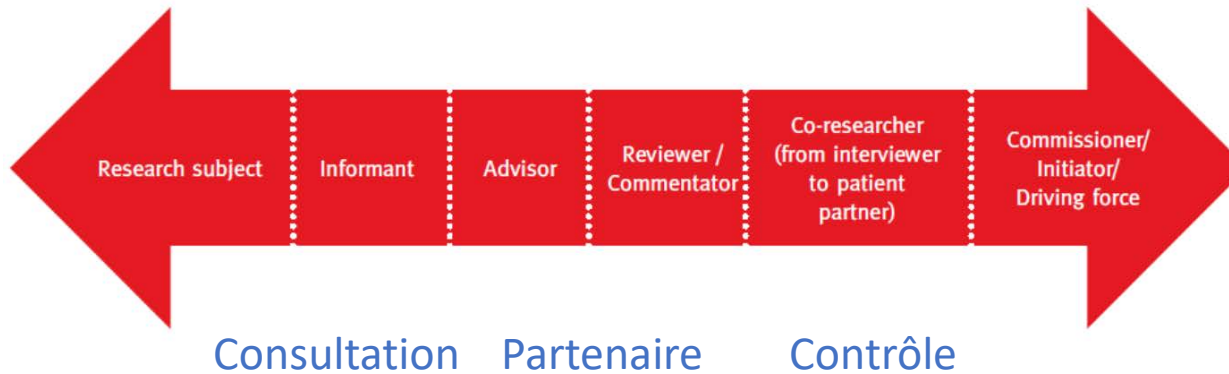


Livre de : Cees Smit,
patient advocate, 2015

Différents types de contribution des patients...

- **Histoire** du patient : que cela fait-il de vivre avec une certaine affection ?
 - **Besoins** du patient : de quoi ont besoin les personnes souffrant de cette affection ?
 - **Avis** du patient : comment puis-je concevoir au mieux une étude clinique ?
 - **Avis** du patient : la question de recherche est-elle pertinente pour un certain groupe de patients ?
 - **Aide** de patients : pour recrutement / diffusion de résultats /
-
- Données des **patients** : que fait ce traitement ?
 - Résultats « durs » (biomarqueurs, PK / PD, survivance)
 - Résultats « doux » (résultats rapportés par le patient (PROMs), qualité de vie)

... en fonction du rôle du patient



Quels patients ?

- Des patients individuels partagent leur histoire « authentique »
- Les experts patients ont souvent (également) des connaissances au niveau du contenu du sujet (par ex. développement des médicaments)
- Les représentants/organisations de patients ont accès aux connaissances par expérience d'un plus grand groupe de patients
- Situations particulières : proches ou aidants proches comme « représentant du patient »



Organisations de patients aux Pays-Bas

- > 200 organisations nationales (en plus des nombreuses régionales et locales)
- 3 organisations faïtières (Patiëntenfederatie Nederland, Ieder(in), Mind)
- Organisations faïtières spécifiques à une affection (par exemple affections rares, affections oculaires, cancer)



10 patients aux NL, organisation de volontaires



>38.000 membres, > 50 membres de staff ETP rémunérés

Organisations de patients aux Pays-Bas

- **Type classique** (contact de personnes souffrant de la même maladie, information & défense d'intérêts)
 - Environ 200 organisations, soutien financier par le ministère de la Santé publique, du Bien-être et du Sport (VWS) et frais de cotisation
- **Type mixte** : rôles classiques et propre collecte de fonds (par ex. pour recherche)
 - 10-20 organisations, nombre augmente, soutien financier par le ministère de la VWS, frais de cotisation et également propre collecte de fonds/crowdfunding
- Depuis 5-10 ans : plus de focus sur la **recherche ou le développement de médicaments**
 - ? organisations, souvent affections rares, pas de subsides, uniquement propre collecte de fonds
- Depuis 5 ans également, **de nouvelles structures en réseau et formes d'organisation** (Facebook, plateformes,)

Une implication précoce, ça paie !



Involving burn survivors in agenda setting on burn research: An added value?

Jacqueline E.W. Broerse^{a,*}, Marjolein B.M. Zweekhorst^a,
Annemiek J.M.L. van Rensen^b, Monique J.M. de Haan^c

^a Athena Institute, VU university Amsterdam, The Netherlands

^b PGO Support, The Netherlands

^c Dutch Burns Foundation, The Netherlands

**Jeuk bij brandwondpatienten:
Standard Treatment Or topical
doxepin against Pruritus in burn
patients
(STOP-trial)**

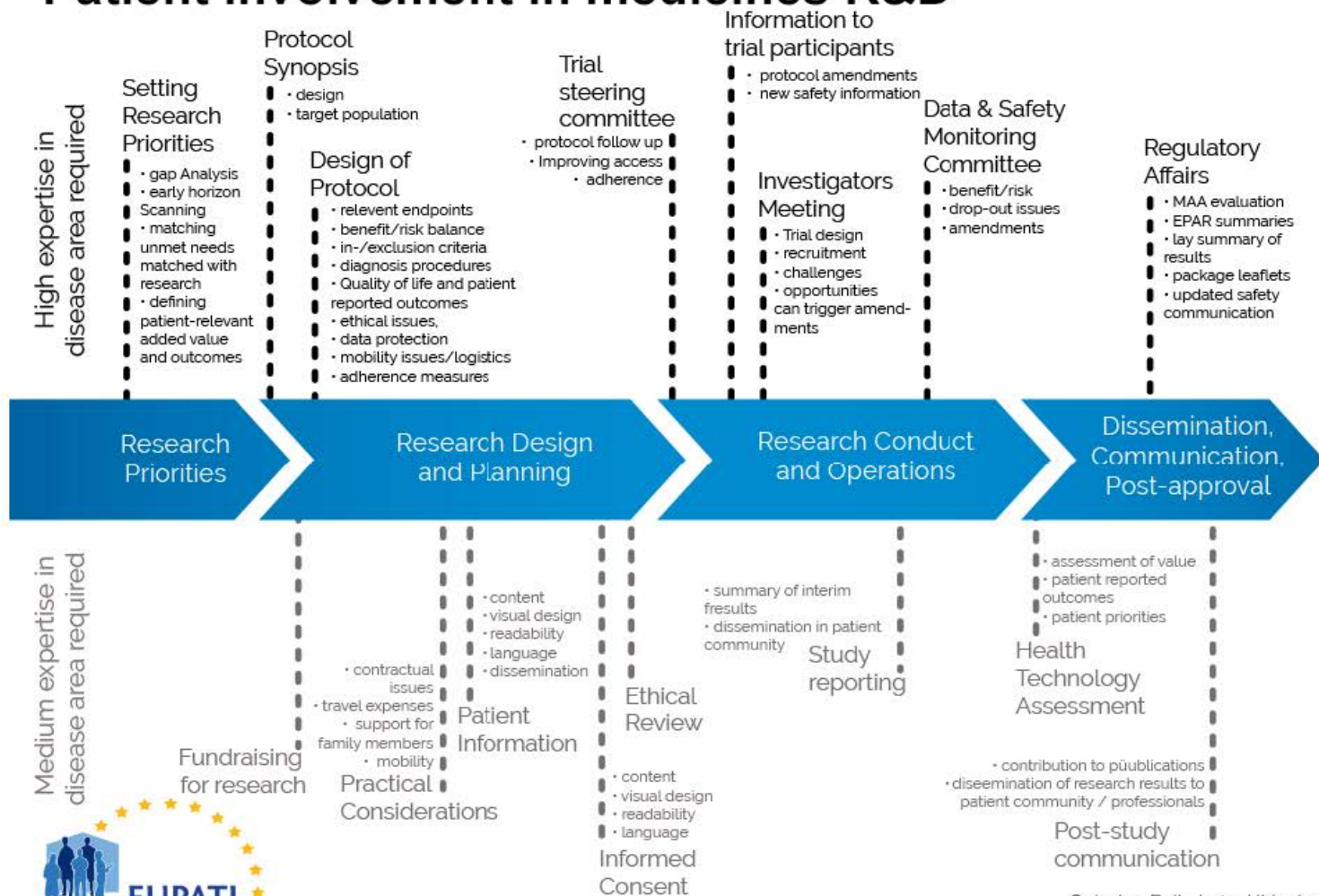
Drs. H. Kuipers, dr. J. Brins, drs. G.H. van Ramsborst, dr. W. Tuinheer, drs. M. Hop, dr. NEE van



Quels sont les éléments évalués par les bailleurs de fonds en matière de recherche ?

Catégorie	Sections
1. Résumé pour le public	Lisibilité
2. Pertinence du groupe cible	Question de recherche, KvL, KvZ, taux d'autonomie, utilité, mesures de résultats
3. Pertinence société	Participation sociale, prévention, diagnostic, compréhension, coûts
4. Risques des participants à l'étude	Clarté, acceptabilité
5. Impôt participants à l'étude	Clarté, acceptabilité
6. Faisabilité de la recherche	Faisabilité, collaboration, suffisamment de participants ?
7. Participation des clients	À la conception, à l'exécution, au soutien, au budget
8. Représentativité	Diversité, inclusion, exclusion, représentants client
9. Éthique et sécurité	PIF, informations pertinentes, liberté de choix explicite, vie privée, sécurité d'accès équipements
10. Communication	Vis-à-vis des participants à l'étude, du grand public
11. Mise en oeuvre	Chances d'implémentation, plan d'action

Patient involvement in medicines R&D



Implication des patients auprès du CBG



- Concertation périodique avec les représentants des organisations de patients et de consommateurs
- Concertation ad hoc avec des organisations spécifiques (Thyrax, valproate, méthylphénidate)
- Business plan stratégique (2014-2018) : évaluation de médicaments orientée patient
- Nomination membre du collège avec domaine d'attention Perspective des patients (oct. 15)
- À partir du 18 sept. : pilote participation des patients à l'avis scientifique national
- Nouveau positionnement (2018) : *vigilant – scientifique– en liaison*

Contribution des patients dans le développement de médicaments

Thèmes de la perspective des patients

1. Disponibilité



..... CBG ZiNL VWS assureur



Par où
commencer ?

1. La disponibilité comprend plus qu'une autorisation de mise sur le marché !

do 14 jan 2016, 23:32

Run op schildkliermedicijn

René Steenhorst

DEN HAAG - Thyrox is op de bon. Het door honderdduizenden schildklierpatiënten gebruikte hormoon (levothyroxine) wordt op dit moment door de groothandel mondjesmaat aan de circa 700 apotheken in Nederland geleverd.

pénuries de médicaments



remboursement

'Patiënten krijgen medicatie opgedrongen'
 door René Steenhorst
 AMSTERDAM - Patiënten voelen zich zwaar onder druk gezet door apothekers die hun eigen merk of merkloze medicijnen opdringen. Daarbij wordt dan verwezen naar de zorgverzekeraars. Die zouden afspraken hebben gemaakt, waardoor de vergoeding



politique de préférence

Contribution des patients dans le développement de médicaments

Thèmes de la perspective des patients

2. (Davantage de) focus sur les résultats

- Patient-reported outcomes (PROs)
- Qualité de vie (RH-QoL)

2. (Davantage de) focus sur les mesures de résultats pertinentes

- Par exemple : **Overall survival** vs. progression-free survival, objective response rate, duration of response en oncologie
- Par exemple : **6-minute walking test** in Duchenne muscular dystrophy

Pertinent au niveau statistique

versus

pertinent pour le

patient



Expériences après 3 ans d'appartenance au Collège

- Contact accru avec les représentants et organisations de patients
- Les contacts en tête à tête (pour une occasion spécifique) ont une valeur ajoutée
- Les organisations de patients savent trouver le CBG ; leurs questions ne sont pas toujours « adaptées » au « système »
- Une formation et un soutien mutuels sont souhaitables (EUPATI!)
- L'emboîtement structurel de la perspective des patients dans les processus de travail du CBG requiert un peu d'expérimentation...

Expériences après 3 ans d'appartenance au Collège

Exemple 1

- Substitution à grande échelle des médicaments des voies respiratoires (salbutamol, inhalateur)
 - Plaintes de vigilance réduite (par des patients ou des prestataires de soins)
 - Les produits sont bioéquivalents, pas de défaut produit constaté
 - Autre inhalateur, le spray-mist n'y ressemble pas, la sensation buccale n'est pas la même

Bioéquivalent ≠ le même depuis la perspective des patients !

Patiëntenorganisaties roepen op wisselen medicijnen te stoppen

Publicatiedatum: 20 april 2018

Patiënten die moeten overstappen op een ander merk medicijn kampen als gevolg daarvan vaak met gezondheidsklachten: 1 op de 3 wordt ziek van een medicijnwissel. Patiëntenorganisaties doen daarom een dringende oproep aan het ministerie van Volksgezondheid, zorgverzekeraars en apothekers om een einde te maken aan onnodige medicijnwisselingen.

Gezamenlijk onderzoek patiëntenorganisaties

De oproep komt na gezamenlijk onderzoek van 14 patiëntenorganisaties onder bijna 2000 patiënten. Uit het onderzoek van onder meer de Patiëntenfederatie Nederland, het Reumafonds, Nierpatiënten Vereniging Nederland en Schildklier Organisatie Nederland blijkt dat medicijnwisselingen als gevolg van het inkoopbeleid van zorgverzekeraars en apothekers zorgen voor onnodige gezondheidsklachten en onrust bij mensen die afhankelijk zijn van hun medicatie. Zo voelt 34 procent zich zieker of ongezonder na omzetting naar een ander merk van hun vertrouwde medicijn. Bijna een kwart van de mensen geeft aan hierdoor een extra medisch onderzoek te hebben ondergaan

Preferentiebeleid

Ongeveer een miljoen mensen met een chronische aandoening worden jaarlijks, zonder medische reden, op een ander merk medicijn overgezet. Volgens de onderzoekers moet zo'n 60 procent van hen één of meer keer per jaar wisselen. Bij bijna 40 procent is dit zelfs 3 keer of vaker. Het wisselen van

Expériences après 3 ans d'appartenance au Collège

Exemple 2

- Information de sécurité du valproate
 - Enregistré pour le traitement de l'épilepsie et des troubles bipolaires (et de la migraine) depuis 1967
 - Risque accru de troubles du développement chez l'enfant à naître en cas d'utilisation pendant la grossesse
 - Le risque est connu et se trouve dans l'information patients/information pour le médecin
 - Quand même des indications pour utilisation incorrecte



The screenshot shows the BBC News website interface. At the top, there is a navigation bar with the BBC logo, a 'Sign in' button, and links for News, Sport, Weather, Shop, Earth, Travel, and M. Below this is a red banner with the word 'NEWS' in white. Underneath the banner is another navigation bar with links for Home, Video, World, UK, Business, Tech, Science, Stories, and Entertainment & Arts. The 'World' link is highlighted. Below this is a sub-navigation bar with links for World, Africa, Asia, Australia, Europe (highlighted), Latin America, Middle East, and US & Canada. The main headline of the article is 'New evidence in France of harm from epilepsy drug valproate'. At the bottom, there is a copyright notice '© 20 April 2017 | Europe' and social media sharing icons for Facebook, Twitter, LinkedIn, Email, and a general 'Share' button.

EMA's PRAC to Hold First Public Hearing on Use of Valproate Medicines

Posted 09 June 2017

By Zachary Brennan

The European Medicines Agency's (EMA's) Pharmacovigilance Risk Assessment Committee (PRAC) will hold its first public hearing on 26 September 2017 to discuss the safety of using valproate-containing medicines in the treatment of various conditions for women and girls who are pregnant or of childbearing age.

The public element of the meeting means EU citizens will be invited to share their experiences with these medicines, which are approved nationally in the EU to treat epilepsy, bipolar disorder and in some countries, migraines, according to EMA.



Public hearing van Pharmacovigilance Risk Assessment Committee (PRAC, EMA) le 26 sept, 2017

Comment améliorer l'utilisation du valproate dans la pratique clinique ?

- Avis du patient
- Avis du médecin



VALPROATE*+ GROSSESSE = DANGER

Ne pas utiliser chez les filles, adolescentes, femmes en âge de procréer ou enceintes, sauf en cas d'échec des autres traitements

Expériences après 3 ans d'appartenance au Collège

Exemple 3

- Disponibilité d'Orkambi (lumacaftor/ivacaftor) - fibrose cystique
 - Autorisation de mise sur le marché (EMA) en nov. 2015 pour patients FC >12 ans avec une mutation spécifique
 - mai 2016 : avis négatif remboursement (Zorginstituut NL)
 - mai 2017 : Le ministre de VWS décide qu'Orkambi n'est pas remboursé
 - Oct. 9, 2017 : Confirmation de décision négative (VWS)
 - Oct. 25, 2017 Orkambi est quand même remboursé

Orkambi n'est pas jugé avoir un bon rapport coût/efficacité de manière prouvée

Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting

- Campagne de publicité (#DaaromOrkambi)
- Démarches juridiques
- Lobby politique
- Histoires de patients
- Q & R pour patients FC

Is haar leven 170.000 euro waard?

Zorg

Studente Robin Kok (25) heeft taaislijmziekte. Ze schreef NRC een brief over haar begrip voor minister Schippers, die een duur medicijn niet wil vergoeden.

✍ Rik Wassens © 18 oktober 2017

Stel: er is een nieuw medicijn op de markt. Het is veelbelovend voor mensen met een levensbedreigende ziekte die jij ook hebt. Het is alleen zo duur - 170.000 euro per patiënt - dat de minister zelf met de farmaceut Vertex over de prijs onderhandelt. Dan vraag je je als patiënt tegen wil en dank af: ben ik dit wel waard?

Masterstudente arbeid, organisatie en gezondheid Robin Kok (25) uit Utrecht staat voor dat dilemma. Ze heeft taaislijmziekte, schreef ze deze krant in een brief. Het medicijn



Persbericht: UMC Utrecht en NCFS ondertekenen samenwerkingsovereenkomst

12-01-2017



CF in toekomst wellicht geen dodelijke ziekte meer

Het UMC Utrecht en de Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting ondertekenden woensdag 11 januari een overeenkomst voor samenwerking in internationaal onderzoek. De ambitie is om de komende vijf jaar individueel aangepaste behandelingen voor alle mensen

Dossier Orkambi



#daaromOrkambi



Orkambi® (lumacaftor/ivacaftor) is eind 2016 door de European Medicines Agency geregistreerd voor de behandeling van mensen met Cystic Fibrosis vanaf 12 jaar met een dubbele (homozygote) F508del mutatie. Orkambi is het eerste geneesmiddel dat zich richt op de onderliggende oorzaak van CF. Ivacaftor en lumacaftor zijn stoffen die aansluiten op het probleem bij de vorming van chloridekanalen in de cel.

Wat is er gebeurd in de besluitvorming rondom de vergoeding van Orkambi? Bekijk de tijdlijn.

25 oktober 2017 - Orkambi eindelijk beschikbaar!

Eindelijk goed nieuws over Orkambi: dit geneesmiddel zal worden opgenomen in het verzekerde zorgpakket!

Pilote Contribution patients avis scientifique

- Comment le CBG peut-il accepter de manière significative la perspective des patients dans ses avis nationaux ?
- Quels sont les attentes et souhaits des différents stakeholders ?
- Que cela signifie-t-il pour l'organisation de la contribution patients ?
- Application concrète dans quelques avis (déc 18 / jan 19)
- Comment mesurer l'impact ?

Cela conduit-il à de meilleurs médicaments qui sont plus rapidement disponibles pour le patient ?

Iedereen die een medicijn gebruikt
moet daarop kunnen vertrouwen.

Dit is waar het CBG elke dag aan werkt
in Nederland en in Europa.

wetenschappelijk | in verbinding | waakzaam



C B G
M E B

**GOEDE
MEDICIJNEN
GOED
GEBRUIKT**