

***'Een belangwekkende uitgave'***

Prof. Bob Löwenberg, ErasmusMC

***'Een goed verhaal en ontzettend actueel'***

Marjo Zijp, PGO Support

***'De drie uitdagingen voor de care herken ik zeer'***

Ir. Cees Vos, Ministerie van VWS

***'Alle grenzen overschrijdend en uit alle  
benauwende kaders tredend'***

Wim Wientjens,  
Internationale Diabetes Federatie

***'Origineel en to the point'***

Els Borst, oud-voorzitter NFK

***'Mooi verhaal! Neem graag een  
boek mee voor Schippers'***

Elizabeth Vroom,  
Duchenne Parent Project

***'Helemaal Wetenschap 3.0'***

Frank Miedema, UMCU



*Een nieuwe horizon*  
**De toekomst van de patiëntenbeweging in Nederland**

Cees Smit

## Colofon:

Tekst: Cees Smit  
Omslagschilderij: 'Een nieuwe horizon', Morvan, Frankrijk,  
Cees Smit, 2005.  
Foto auteur: Hans Oostrum Fotografie  
Lay-out: Sonia Baquero, Drukkerij de Adelaar, Badhoevedorp  
Uitgever: Kirjaboek, Hoogwoud  
ISBN: 978-94-6008-135-4

Correspondentieadres: [smit.visch@telfort.nl](mailto:smit.visch@telfort.nl)

De hoofdstukken 3, 4 en 5 zijn eerder gepubliceerd met medewerking van GSK (H 3 en 4) en ZonMw (H 5)

De opbrengst van dit boek is bestemd voor de VSOP ([www.vsop.nl](http://www.vsop.nl))

© Cees Smit, 2012

***“Soms dacht ik: geen berg is voor een Nederlander te hoog, geen probleem te complex. Over elk aspect van de ziekte was grondig nagedacht en overlegd, en vervolgens waren inzichten in regels vertaald en in protocollen vastgelegd.***

***Soms dacht ik: kunnen ze niet iets meer ‘tutten’, iets meer pampieren?”***

(Uit: ‘Haar bloed’, Kristien Hemmerechts, 2012)

# Inhoudsopgave

De Nederlandse patiëntenbeweging: een korte schets	11
Een nieuwe horizon	31
De patiënt aan het roer: een nieuwe rol voor patiëntenorganisaties	47
Het verhaal van ....., negen verhalen over patiëntenparticipatie in geneesmiddelenonderzoek	79
Fundamenteel onderzoek en patiëntenorganisaties: een verrassende combinatie!	107
Over de VSOP	164
Over de auteur	166

## Voorwoord

Het is dit jaar veertig jaar geleden dat ik actief werd in de patiëntenbeweging. De Nederlandse Vereniging van Hemofilie-Patiënten (NVHP) werd in 1971 opgericht als een gezamenlijke actie van zowel de behandelend artsen als een aantal patiënten. Ik meldde mij als vrijwilliger om een bijdrage aan het verenigingstijdschrift 'Faktor' te leveren. Een logische stap na een tijd in de redactie van de schoolkrant te hebben gezeten. Vier maal per jaar met mijn mederedacteur Piet Hagen het nieuws brengen over de beginfase van een patiëntenvereniging. Een vereniging, die op dat moment ook het geluk had dat er een behandeling kwam voor een tot dan onbehandelbare ziekte. Een van de eerste weesgeneesmiddelen voor een ziekte die weinig voorkwam, maar wel zeer bekend was door het voorkomen van hemofilie in Europese koninklijke families en aan het hof van de laatste Russische tsaar.

Het was de tijd van stencilmachines, ponsplaatjes voor de ledenadministratie en veel vrijwilligers. De eerste professional in de patiëntenbeweging was nog ver te zoeken. In 1987 werd ik de eerste werknemer van de NVHP als coördinator van hun Landelijk Infopunt. Een functie, die ook nodig was om de zware medische en emotionele problemen op te vangen toen in 1982 bleek dat mensen met hemofilie en andere bloedtransfusieontvangers risico liepen om besmet te raken met hiv, het virus dat aids veroorzaakt. Het waren hectische tijden, die eerste tien, vijftien jaar in de bestrijding van aids. In 1996 kwam er een meer adequate behandeling voor aids. In 1998 verruilde ik de NVHP voor de Stichting Pandora om wat meer in de luwte te werken.

In 1999, op de terugweg van het afscheid van de Nationale Ombudsman Marten Oosting voelde ik mij niet goed worden en dit werd het begin van een periode van ziekte, waardoor ik genoodzaakt werd mijn werkzaamheden bij de Stichting Pandora te beëindigen.

Na die tijd, kwamen er regelmatig vragen om een bijdrage te leveren als vertegenwoordiger vanuit de patiëntenbeweging aan commissies die veelal te maken hadden met het medisch wetenschappelijk onderzoek. In dat werk tekende zich meer en meer een ontwikkeling af waarbij patiëntenorganisaties nauw samenwerkten met onderzoekers en het bedrijfsleven om de oorzaak te vinden van een veelal zeldzame ziekte of de behandeling daarvan. In mijn ogen, tekende zich een nieuwe, een vierde taak van de patiëntenbeweging af. Naast het verstrekken van informatie, het organiseren van lotgenotencontact en het aloude behartigen van belangen, kwam patiëntenparticipatie in onderzoek in beeld. De afgelopen jaren, heb ik daar een aantal kleinere boekjes over geschreven. Boekjes die inmiddels niet meer verkrijgbaar zijn, maar waar voor scholingsdoeleinden nog steeds vraag naar is. Vandaar dat de teksten van deze boekjes in dit boek zijn opgenomen.

Nu de patiëntenbeweging in Nederland getroffen wordt door een stevige bezuiniging op haar subsidie van de overheid, lijkt de tijd rijp voor een nieuwe strategie, een frisse blik op de toekomst. Bij die keuze voor een nieuwe aanpak, biedt dit boek mogelijk de nodige handvatten.

Het eerste hoofdstuk geeft een beschrijving van de Nederlandse patiëntenbeweging, haar financiering en de gevolgen van de recente beleidswijzigingen van het ministerie van VWS voor de diverse organisaties. Hoofdstuk 2 schetst de mogelijkheden voor een nieuwe strategie en aandachtspunten voor de komende jaren.

In het derde hoofdstuk een verdieping van dat nieuwe beleid met voorbeelden hoe de individuele patiënt, zijn partner en naasten, maar ook patiëntenorganisaties een nieuwe, meer sturende rol kunnen vervullen. De voorbeelden gaan zowel in op de cure als de care, en dit hoofdstuk wordt afgesloten met een beschouwing over de sterke en zwakke punten van de patiëntenbeweging en aanbevelingen voor het beleid in de toekomst.

In hoofdstuk 4 wordt het proces van geneesmiddelenontwikkeling nader uitgelegd en wordt door middel van voorbeelden aangegeven welke rol patiëntenorganisaties in de verschillende fases van dat onderzoek kunnen spelen. Hoofdstuk 5 geeft vooral inzicht in de huidige situatie rondom patiëntenparticipatie bij fundamenteel onderzoek en de wijze waarop de verschillende partijen (fundamenteel onderzoekers, bedrijfsleven, beleidsmakers en patiëntenorganisaties) zich tot elkaar verhouden. Het is vooral in dit hoofdstuk dat zich naar mijn mening de contouren van een nieuwe strategie voor patiëntenorganisaties aftekenen.

Er bestaan vrijwel geen publicaties over de Nederlandse patiëntenbeweging en zeker niet van mensen die zelf binnen die beweging actief zijn. Mijn tekst over de Nederlandse patiëntenbeweging is zeker niet zaligmakend in de zin dat het compleet is, het is een persoonlijke visie op zaken zoals ik die als belangrijk ervaar.

Ik wil iedereen bedanken die door het verschaffen van informatie of door het lezen van een deel van de tekst een bijdrage heeft geleverd aan dit boek.

De opbrengst van dit boek is bestemd voor de VSOP, een koepel van ruim 65 patiëntenorganisaties voor mensen met erfelijke en meestal ook zeldzame aandoeningen.



**De Nederlandse patiëntenbeweging:  
een korte schets**



## **De Nederlandse patiëntenbeweging**

Dit hoofdstuk schetst hoe de Nederlandse patiëntenbeweging er op hoofdlijnen uitziet, wat ze doet en hoe de financiering en ondersteuning plaatsvindt (1). Daarbij wordt dieper ingegaan op de gevolgen van het bezuinigingsbeleid van het Kabinet Rutte. Het gaat daarbij niet alleen om bezuinigingen, die budgettaire consequenties hebben. Het overheidsbeleid geeft ook nadrukkelijk aan welke werkerreinen naar het oordeel van de overheid belangrijk – en daarmee subsidiabel – zijn. Ook stuurt de overheid nadrukkelijk aan op onderlinge samenwerking.

De patiëntenbeweging komt daarbij ook aan bod in Europees en internationaal verband (2, 3). In de tekst wordt een aantal websites en bronnen genoemd, die geraadpleegd kunnen worden voor degenen die zich nader willen verdiepen in de patiëntenbeweging. Overigens wil dit hoofdstuk niet meer zijn dan een korte schets en doet het daarmee zeker geen recht aan alles wat er op dit terrein in Nederland gebeurt.

### **Korte schets**

De afgelopen vijftig jaar is in binnen- en buitenland een groot aantal patiënten-, gehandicapten- en ouderenorganisaties (PGO-organisaties) ontstaan. Nederland telt op dit moment meer dan 400 ziekte-specifieke of categorale organisaties voor mensen met een ziekte of een aandoening (4). Dit kan zowel een lichamelijke, een verstandelijke als een psychische/psychiatrische aandoening zijn. De drie kerntaken van al deze organisaties zijn: het geven van voorlichting over de ziekte of aandoening in kwestie, het organiseren van lotgenotencontact en de belangenbehartiging op het specifieke terrein van deze ziekte of aandoening. Belangenbehartiging kan specifiek gericht zijn op de zorg of zich ook meer algemeen richten op andere maatschappelijke terreinen, zoals onderwijs, werk, inkomen en mobiliteit. Dit laatste - belangenbehartiging op alle levensterreinen - is vooral het geval bij de gehandicapten- en ouderenorganisaties. Sinds de laatste beleidsbrief van Minister Schippers van mei 2011, rekent de overheid de ouderenorganisaties niet meer tot de PGO-beweging gerekend en heeft de overheid het over de PG-beweging. In dit boek blijf ik de term PGO-beweging hanteren.

### **Ziekte-specifieke patiëntenorganisaties**

Het hart van de PGO-beweging wordt gevormd door het rijk geschakeerde palet van ziekte-specifieke of categorale organisaties. Zij richten zich meestal op één specifiek ziektebeeld of aandoening of enkele zeer aan elkaar gerelateerde aandoeningen. Als men een dieldeling naar micro-, meso- en macro-niveau in de Nederlandse patiëntenbeweging zou willen hanteren, kan men de ziekte-specifieke organisaties als het micro-niveau van de beweging omschrijven.

Bij de veel voorkomende aandoeningen zijn er vaak meerdere patiëntenverenigingen die zich met dat ziektebeeld of delen ervan bezighouden. Het meest duidelijke voorbeeld hiervan is te vinden rondom kanker, waarbij er vele verenigingen zich specifiek met een bepaald type kanker bezighouden. Zij hebben zich rondom de algemene problematiek van mensen met kanker dan weer verenigd in de Nederlandse Federatie van Kankerpatiëntenorganisaties (NFK), een bundeling van 25 kanker-specifieke organisaties.

Binnen de groep ziekte-specifieke patiëntenorganisaties zijn er een aantal te onderscheiden die – door hun omvang - een belangrijke rol spelen in het zorglandschap. Dat zijn de al genoemde NFK, de Diabetes Vereniging Nederland (DVN), de Reumapatiëntenbond, de Hart & Vaatgroep voor mensen met hart- en vaatziekten, het Astma Fonds (binnenkort Longfonds) en de Vereniging Spierziekten Nederland (VSN). Deze zes organisaties begeven zich op het terrein van de aandoeningen die gezamenlijk enkele miljoenen mensen betreffen.

De belangen van mensen met zeldzame en genetische aandoeningen – vaak zijn dit erfelijke of aangeboren aandoeningen – worden vertegenwoordigd door de VSOP, een alliantie van ongeveer 70 ziekte-specifieke patiëntenorganisaties. De VSOP houdt zich vooral bezig met vraagstukken rond zeldzaamheid, erfelijkheid, medisch wetenschappelijk onderzoek en de ontwikkeling van zorgstandaarden. VSOP staat voor Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties, waarbij ‘Ouder’ staat voor de ouders van kinderen met een aandoening.

Bij al deze organisaties ontstijgt de belangenbehartiging het niveau van de individuele aandoening, zeker daar waar samengewerkt wordt met andere partijen in de zorg. Denk bijvoorbeeld aan de beschikbaarheid en vergoeding van geneesmiddelen, de inhoud van verzekerde pakketten, kwaliteitstoetsing, het ontwikkelen en opstellen van richtlijnen en zorgstandaarden, beleidsnotities, adviestrajecten en wetenschappelijk onderzoek.

Tot slot is er Per Saldo, de belangenorganisatie voor mensen met een persoonsgebonden budget (PGB). Per Saldo is niet zozeer rond een bepaalde aandoening of beperking georganiseerd, maar wel op de specifieke problemen of vragen van mensen met een PGB.

Deze acht grotere organisaties zou men kunnen omschrijven als het meso-niveau van de patiëntenbeweging. Meer informatie over deze organisaties is te vinden op respectievelijk de volgende websites: [www.nfk.nl](http://www.nfk.nl); [www.dvn.nl](http://www.dvn.nl); [www.reumabond.nl](http://www.reumabond.nl); [www.hartenvaatgroep.nl](http://www.hartenvaatgroep.nl); [www.astmafonds.nl](http://www.astmafonds.nl); [www.vsn.nl](http://www.vsn.nl), [www.vsop.nl](http://www.vsop.nl) en [www.pgb.nl](http://www.pgb.nl).

Een aantal van deze patiëntenorganisaties wordt voor een belangrijk deel gefinancierd door een zogenoemd collectebus- of gezondheidsfonds. Dat wil zeggen een fonds dat als 'goed doel' mag collecteren en geld inzamelen voor een bepaalde aandoening. Zoals KWF kankerbestrijding voor het onderzoek en de behandeling van kanker, het Astmafonds voor longziekten en dergelijke. De meeste fondsen ondersteunen de daarbij behorende patiëntenvereniging als 'huisfonds'. Bij het Astmafonds maken de betreffende patiëntenorganisatie(s) onderdeel uit van het fonds. Het Reumafonds en de Reumapatiëntenbond onderzoeken op dit moment of ze eventueel zullen samengaan.

## **Representativiteit**

Het ledental van de Nederlandse patiëntenorganisaties is tamelijk stabiel. De grotere patiëntenorganisaties voor mensen met een veel voorkomende aandoening hebben over het algemeen een lage of een lagere organisatiegraad dan patiëntenorganisaties voor mensen met een minder bekende of zeldzame aandoening. Zo zijn er in Nederland bijna een miljoen mensen met diabetes, terwijl er maar zo'n kleine tien procent lid is van de DVN. Organisaties die aandoeningen vertegenwoordigen die minder vaak voorkomen hebben verhoudingsgewijs vaak meer leden en daarmee een hogere organisatiegraad. Er zijn organisaties van mensen met een zeldzame aandoening, waarbij vrijwel iedereen lid is van de betreffende vereniging en dus een organisatiegraad hebben van tegen de honderd procent. Een verklaring hiervoor is dat die kleinere organisaties vaak over specifieke kennis beschikken die niet zo gemakkelijk te vinden is op internet. Dit geldt ook voor het onderlinge contact dat vaak wel via internet plaatsvindt maar op een besloten deel. Zeker voor de meer zeldzame aandoeningen geldt ook dat de onderlinge verbondenheid groter is. Patiëntenorganisaties met een meer bekend ziektebeeld, hebben het nadeel dat veel van de door hen aangeboden informatie ook elders op het wereldwijde web te vinden is en hebben daardoor te maken met mensen, die hun informatie wel lezen en gebruiken maar er niet voor betalen, de zogenaamde 'free riders'.

## **Koepels en platforms**

De diverse ziekte-specifieke patiëntenorganisaties hebben zich vervolgens weer georganiseerd in een aantal koepels en platforms voor de behartiging van hun gezamenlijke belangen. Nederland telt op dit moment drie formele koepels van PGO-organisaties die door de overheid als zodanig zijn erkend, te weten de NPCF, de CG-Raad en het CSO, alsmede twee platforms, het Landelijk Platform GGZ en het Platform VG. Met een zekere regelmaat probeert de overheid of het veld een bundeling te realiseren van deze koepels, maar tot nu toe is dit niet gelukt. De koepels en platforms kunnen gezien worden als het macro-niveau van de patiëntenbeweging in ons land. Echter, ook diverse van de hiervoor genoemde grotere samenwerkingsverbanden, die niet officieel als koepel zijn erkend, kunnen een dergelijke rol vervullen.

## **Nederlandse Patiënten Consumenten Federatie**

De ziekte-overstijgende belangen van de ziekte-specifieke of categorale patiëntenorganisaties worden behartigd door de Nederlandse Patiënten Consumenten Federatie (NPCF). De NPCF richt zich met name op de belangenbehartiging rond de kwaliteit, toegankelijkheid en keuzevrijheid van de zorg voor zowel de incidentele als de chronische gebruiker van de gezondheidszorg. Daarnaast zet de NPCF zich nadrukkelijk in voor de individuele zorggebruiker, de burger zonder chronische aandoeningen die af en toe een beroep doet op de zorg. Voor meer informatie: [www.npcf.nl](http://www.npcf.nl).

De NPCF geeft jaarlijks de Gids Patiënteninformatie uit (4). Een uitgave die de adresgegevens bevat van alle landelijk werkende patiënten-, consumenten-, gehandicapten- en ouderenorganisaties, inclusief de Zorgbelangorganisaties (de vroegere Regionale Patiënten Consumenten Platforms (RPCP's) en de Informatie- en Klachtenbureaus Gezondheidszorg (IKG's). De Gids Patiënteninformatie zal vanaf 2012 niet meer in gedrukte vorm verschijnen, maar alleen nog digitaal ter beschikking worden gesteld.

## **Chronisch Zieken- en Gehandicaptenraad**

De Chronisch zieken en Gehandicaptenraad (CG-Raad) richt zich in haar belangenbehartiging met name op de volwaardige maatschappelijke positie van mensen met een ziekte of een beperking. Die maatschappelijke positie betreft dan meerdere levenssterreinen, zoals onderwijs, werk, inkomen, mobiliteit maar ook zorg. Voor meer informatie: [www.cg-raad.nl](http://www.cg-raad.nl).

## **CSO, de koepel van ouderenorganisaties**

De ouderenorganisaties in Nederland zijn al ruim vijftig jaar verenigd, tegenwoordig in het CSO, de koepel van ouderenorganisaties. De aangesloten lidorganisaties van de CSO zijn de Unie KBO, PCOB, NOOM en NVOG. De ANBO maakt geen deel uit van het CSO. Het CSO heeft de afgelopen jaren uitgebreid geparticipeerd in het Nationaal Plan Ouderenzorg (NPO). Het NPO verbetert de zorg voor ouderen met complexe hulpvragen. Voor meer informatie: [www.ouderenorganisaties.nl](http://www.ouderenorganisaties.nl).

## **Landelijk Platform GGZ**

De belangen van mensen met psychische of psychiatrische aandoeningen worden door een groot aantal organisaties behartigd, die zich verenigd hebben in het Landelijk Platform GGZ. Voor meer informatie: [www.platformggz.nl](http://www.platformggz.nl).

## **Platform VG**

Voor mensen met een verstandelijke aandoening en hun ouders en verwanten vindt de overkoepelende belangenbehartiging plaats door het Platform VG. Voor meer informatie: [www.platformvg.nl](http://www.platformvg.nl).

## **Regionaal en gemeentelijk niveau**

Naast deze landelijk opererende organisaties is de PGO-beweging ook op regionaal en gemeentelijk niveau georganiseerd. Zorgbelang Nederland is sinds 2008 de nieuwe naam van de Regionale Patiënten en Consumenten Platforms (RPCP's) en is de brancheorganisatie van de 13 regionale Zorgbelangorganisaties die elk actief zijn in hun eigen regio. Voor meer informatie: [www.zorgbelang-nederland.nl](http://www.zorgbelang-nederland.nl). De Informatie- en Klachtenbureaus Gezondheidszorg (IKG's) maken ook deel uit van Zorgbelang Nederland.

Het gemeentelijk niveau is door de invoering van de Wet Maatschappelijke Ondersteuning (Wmo) veel belangrijker geworden. Veel gemeenten hebben dan ook hun eigen cliëntenraden of belangenbehartigingsorganisaties voor mensen met een beperking en/of ouderen. Voor meer informatie: [www.vng.nl](http://www.vng.nl) en/of websites van gemeenten.

## **Het buitenland**

Vergelijkbare organisatiepatronen van de PGO-beweging zijn in het buitenland te vinden. Wereldwijd gezien bestaan er nauwe contacten tussen de diverse PGO-organisaties, een ontwikkeling die vanzelfsprekend versterkt is door de komst van het internet. Daarnaast wordt er op dit niveau overleg gevoerd met nationale en Europese overheden, de Europese Commissie en bestaan er contacten met internationale organisaties, zoals de Wereldgezondheidsorganisatie (WHO) en de Verenigde Naties. De eerste vormen van samenwerking zijn ontstaan op het niveau van de ziekte-specifieke organisaties, maar tegenwoordig wordt er ook meer en meer samengewerkt op het ziekte-overstijgende niveau (2, 3).

In Europa heeft het toenemende belang van wet- en regelgeving op het terrein van de gezondheidszorg vanuit Brussel grote invloed gehad op het ontstaan van één overkoepelende organisatie, het European Patients' Forum (EPF) waarover meer informatie te vinden is op [www.eu-patients.eu](http://www.eu-patients.eu). Het in Engeland gevestigde bureau Patient View geeft de European Patient Group Directory uit, een jaarlijks verschijnend overzicht van Europese patiëntenorganisaties dat te downloaden is via [www.patient-view.com](http://www.patient-view.com) (5). Andere belangrijke koepelorganisaties zijn het European Disability Forum die de belangen van 80 miljoen mensen met een lichamelijke beperking behartigt ([www.edf-feph.org](http://www.edf-feph.org))

en het AGE Platform Europe, dat de belangen behartigt van ouderen ([www.age-platfrom.eu](http://www.age-platfrom.eu)). Het European Disability Forum houdt zich sinds een aantal jaren uitgebreid bezig met de gevolgen van de economische crisis voor mensen met een ziekte of aandoening. De taakverdeling tussen deze organisaties is zodanig dat als het om typische patiëntenbelangen gaat, men bij het EPF moet zijn.

De International Association of Patient Organizations (IAPO) is op mondiaal niveau het aanspreekpunt voor patiëntenbelangen, zie [www.patientsorganizations.org](http://www.patientsorganizations.org).

In 2009 heeft ZonMw een rapport uitgebracht over de betrokkenheid van de Nederlandse patiëntenbeweging in het internationale PGO-beleid (3). Van een structurele aandacht voor het internationale PGO-aspect kan zowel binnen het PGO-veld als binnen het ministerie van VWS volgens dit rapport niet worden gesproken. Evenmin wordt in het subsidiebeleid van VWS het internationale PGO-werk gestimuleerd. Dit rapport van Bob Keizer bouwt voort op een grotere overzichtsstudie van het NIZW uit 2003 (6).

## **Patiënten en consumenten**

Door de hierboven genoemde PGO-organisaties worden de gezondheidsbelangen van mensen met een ziekte of aandoening behartigd. De belangen van mensen zonder chronische problemen met hun gezondheid worden deels behartigd door de NPCF en deels door de Consumentenbond ([www.consumentenbond.nl](http://www.consumentenbond.nl)).

De belangen van mensen met chronische (de patiënt) of incidentele problemen met de gezondheid (de consument) zijn niet per definitie gelijk. Een patiënt is meestal geïnteresseerd in vier vragen, namelijk: wat is de beste behandeling, wat is het beste ziekenhuis, wie is de beste specialist voor mijn probleem en waar is de zorg patiëntvriendelijk georganiseerd? Daarbij zal een patiënt een zorgverzekering willen hebben met een goede dekking, een uitgebreid basispakket en geen of weinig eigen bijdragen. Een consument met geen of weinig gezondheidsproblemen zal veel meer willen weten over wie de goedkoopste zorgverzekeraar is en waarschijnlijk ook bereid zijn een verzekering te accepteren met een hoge(re) eigen bijdrage. Wanneer een consument daadwerkelijk ziek wordt, zal hij dezelfde vragen stellen als een patiënt en voor informatie gaan kijken op een website van een patiëntenorganisatie of daarvan lid worden. In de praktijk is het onderscheid niet altijd goed te maken. Zo zullen mensen met coeliakie (een glutenallergie) dit niet altijd als een ziekte ervaren maar als een voedingsprobleem.



Met name op Europees niveau lopen de meningsverschillen over het gezondheidszorgbeleid soms hoog op tussen de diverse patiënten- en consumentenorganisaties. Een voorbeeld hiervan is de directe informatieverstrekking over geneesmiddelen door de farmaceutische industrie aan patiënten. Patiëntenorganisaties vinden dit een grondrecht, terwijl consumentenorganisaties daar fel op tegen zijn omdat zij dit als reclame ervaren die het onnodig gebruik van geneesmiddelen bevordert. Ook bekritisieren de Europese consumentenorganisaties de Europese patiëntenorganisaties voor een teveel aan financiële ondersteuning door de farmaceutische industrie.

## Patiëntenrechten

Nederland kent een groot aantal wetten waarin de rechten van patiënten en cliënten in de gezondheidszorg is vastgelegd. Het gaat daarbij om:

- Wet Geneeskundige Behandelingsovereenkomst (WGBO, 1994)
- Wet Klachtrecht Cliënten Zorgsector (WKCZ, 1995)
- Kwaliteitswet Zorginstellingen (1996)
- Wet Medezeggenschap Cliënten Zorginstellingen (WMCZ, 1996).

LOC Zeggenschap in zorg is een landelijke cliëntenorganisatie. Zij vertegenwoordigt 2.200 medezeggenschapsorganen - en daarmee hun achterban bestaande uit cliënten - in de sectoren van verzorging, verpleging, thuiszorg, geestelijke gezondheidszorg, verslavingszorg, maatschappelijke opvang, vrouwenopvang en welzijn en maatschappelijke dienstverlening ([www.loc.nl](http://www.loc.nl)). De cliëntenraden van de Academische Ziekenhuizen, ofwel de Universitaire Medische Centra, hebben geen afzonderlijke cliëntenraad, maar een gemeenschappelijke cliëntenraad genaamd CRAZ, de Cliëntenraad Academische Ziekenhuizen ([www.craz.nl](http://www.craz.nl)).

De overheid wil de vier hiervoor genoemde wetten vervangen door de Wet cliëntenrechten zorg (Wcz) om zo de rechtspositie van de patiënt/cliënt te versterken en te verduidelijken. De wet geeft cliënten recht op goede zorg. De cliënt kan straks gemakkelijker kiezen voor de zorgaanbieder die bij hem en zijn zorgvraag past. En wie niet tevreden is, kan daarover eenvoudiger en effectiever een klacht indienen. De Wcz regelt ook de verantwoordelijkheid van zorgaanbieders voor de kwaliteit van zorg. Door de regels over de relatie tussen zorgaanbieder en cliënt op te nemen in één wettelijke regeling, zijn de rechten en plichten van beide partijen beter op elkaar afgestemd. Of dit inderdaad zo is, daarover verschillen de meningen in het veld.

Van belang is ook de Wet Medisch-wetenschappelijk onderzoek met mensen (WMO, 1998), die regels stelt ten aanzien van het meedoen van mensen aan medisch-wetenschappelijk onderzoek. Deze WMO moet niet verward worden met de andere Wmo, de Wet maatschappelijke ondersteuning (Wmo), die per 1 januari 2007 is ingevoerd. Deze wet vormt de basis van het stelsel van Zorg en Welzijn. Dit stelsel bestaat naast de Wmo ook uit de Algemene Wet Bijzondere Ziektekosten (AWBZ) en de Zorgverzekeringswet (Zvw).

## **Overheidsbeleid: de patiënt als ‘derde partij’**

In Nederland heeft de overheid sinds het begin van de jaren tachtig van de vorige eeuw uitspraken gedaan over de versterking van de positie van patiënten en consumenten als ‘derde partij’ in de gezondheidszorg. De ‘derde partij’ naast zorgaanbieders (behandelaars en instellingen) en zorgverzekeraars. Dit beleid is vastgelegd in een aantal documenten en beleidsbrieven. Deze ‘derde partij’ rol betrof vooral het idee van een gelijkwaardige, geïnstitutionaliseerde rol van patiëntenorganisaties in het veld van zorgverzekeraars en zorgaanbieders. Dat idee heeft als zodanig slechts beperkt vorm gekregen. Zo waren dit in het begin nota’s met een brede beleidsvisie, later werd die visie beperkter en ging het meer over specifieke zaken, zoals het subsidiebeleid (2). Het verantwoordelijke ministerie daarbij is het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS). Binnen dit ministerie is het de afdeling Markt en Consument die een coördinerende rol heeft. Verder zijn er andere afdelingen bij VWS en andere ministeries die een rol spelen bij patiënt-gerelateerde vraagstukken rond chronisch zieken, gehandicapten, mensen met een arbeidshandicap (WAJONG’ers) en ouderen.

## **Patiëntenparticipatie in onderzoek en beleid**

Vanuit de gedachte van een ‘derde partij’ in de zorg, is ook de inbreng van patiënten in onderzoek en beleid gekomen. Dit wordt ook wel aangeduid met het begrip patiëntenparticipatie. Hiermee wordt bedoeld het inbrengen van ervaringsdeskundigheid door patiënten of patiëntenorganisaties. Patiëntenparticipatie heeft als doel uiteindelijk meer invloed te hebben op zaken die voor patiënten van belang zijn, zoals in het zorgbeleid of het wetenschappelijk onderzoek. De specifieke ervaringsdeskundigheid van patiënten kan dan aanvullend werken op de professionele deskundigheid van behandelaars, beleidsmakers of onderzoekers en kan op die manier leiden tot een ‘meerwaarde’. Een meerwaarde die de relevantie, kwaliteit en uitkomsten van beleid of onderzoek ten goede komt.

De laatste drie hoofdstukken van dit boek bevatten talloze voorbeelden van patiëntenparticipatie in wetenschappelijk onderzoek, met name rond geneesmiddelenonderzoek. Het laatste hoofdstuk gaat uitgebreid in op de samenwerking tussen patiëntenorganisaties en fundamenteel onderzoekers.

Met patiëntenparticipatie in beleid, zijn de ervaringen in Nederland tamelijk gemengd. Er zijn beleidsorganisaties, waarbij participatie van onafhankelijke patiëntenvertegenwoordigers mogelijk is, zoals bij ZonMw, de Gezondheidsraad en de Adviescommissie Pakket (ACP) van het College voor Zorgverzekeringen (CvZ). Maar er zijn ook beleidsorganen, waarbij dit nadrukkelijk niet het geval is, zoals bij de Raad voor de Volksgezondheid en Zorg (RvZ), Medisch-ethische commissies (METC's) en de Centrale Commissie Medisch-wetenschappelijk Onderzoek bij mensen (CCMO). Dit geldt ook voor het College Beoordeling Geneesmiddelen (CBG), terwijl bij de Europese instantie die dit regelt, de European Medicines Agency (EMA) dit wel het geval is. Dit zorgt voor de merkwaardige paradox, dat Nederlandse patiëntenvertegenwoordigers over het Europese geneesmiddelenbeleid wel meepraten in EMA verband, maar in Nederland niet aan tafel zitten bij het CBG.

## **Patiëntenbeleid in het buitenland**

Over het patiëntenbeleid in het buitenland is op zich weinig bekend, er zijn weinig samenvattende studies die hierover een goed overzicht geven. Het meest recente overzicht vanuit Nederland is in 2010 gemaakt door Bob Keizer en Ruud Bless in opdracht van ZonMw (2). Dit rapport concludeert dat de patiënten- en consumentenbeweging in Europa bestaat uit een grote variëteit aan organisaties in ieder land. Voor hun rapport onderzochten zij de situatie in zeven EU-landen (Frankrijk, Duitsland, Nederland, Polen, Spanje, Zweden en het Verenigd Koninkrijk).

“In veel landen hebben deze organisaties te maken met financieringsproblemen, gebrek aan kennis, afhankelijkheid van sponsors, problemen in de samenwerking met anderen en met representatie, hetgeen een volwaardige participatie in het beleidsproces belemmert, niet alleen op nationaal niveau, maar ook op Europees en internationaal niveau. Hoewel alle overheden voorstander zijn van een actieve betrokkenheid van consumenten en patiënten in gezondheidsvraagstukken is er vrijwel geen land dat recent een samenhangende, brede beleidsvisie heeft geformuleerd gericht op versterking van de patiënten- en consumentenbeweging.

Een onderliggend probleem is dat er in vrijwel alle landen een gebrek is aan overzicht van, en inzicht in, de situatie van de desbetreffende nationale patiëntenbeweging, in het bijzonder voor wat betreft hun werkelijke functioneren, representatie, participatie, kwaliteit en doeltreffendheid (2)”.

## **De financiering en ondersteuning van de PGO-beweging**

De belangrijkste inkomstenbronnen in Nederland van PGO-organisaties vormen bijdragen van leden en donateurs, eventuele subsidies van gerelateerde gezondheidsfondsen (huisfondsen), projectsubsidies van derden, eigen

fondsenwerving, bijvoorbeeld voor wetenschappelijk onderzoek, sponsoring door bijvoorbeeld de genees- en hulpmiddelenindustrie en vrijwel altijd een instellingssubsidie van de overheid die verstrekt wordt via het Fonds PGO. Naarmate patiëntenorganisaties groter zijn, zal er sprake zijn van meerdere financieringsbronnen. Kleinere organisaties zijn vaker voornamelijk afhankelijk van een overheidssubsidie. Er is een groeiend aantal patiëntenorganisaties dat aan eigen fondsenwerving doet.

Sponsoring door de farmaceutische industrie komt voor, maar is in Nederland tamelijk bescheiden, zo'n twee miljoen euro. Zorgverzekeraars dragen niet tot nauwelijks bij aan de financiering van patiëntenorganisaties, veelal omdat zij dat zien als ongewenste subsidie. Veel verzekeraars vergoeden aan hun verzekerden wel het lidmaatschap van een patiëntenorganisatie in aanvullende verzekeringen, met onderling zeer wisselende voorwaarden en vergoedingen.

Het is lastig aan te geven, hoeveel geld er in de Nederlandse patiëntenbeweging omgaat. Naar alle waarschijnlijkheid gaat het om een bedrag van rond de 100 miljoen euro. Bij dit bedrag gaat het om een persoonlijke schatting van mijn kant, die niet goed met bronnen onderbouwd kan worden. Eigenlijk komt mijn schatting neer op een extrapolatie op basis van de PGO monitor 2010 waarin gemeld wordt dat bij 137 organisaties een bedrag van 32 miljoen euro omgaat (7). Als er in ons land meer dan 400 patiëntenorganisaties zijn, is het niet onlogisch te veronderstellen dat er dan in totaal een bedrag van 100 miljoen euro omgaat.

Bij de Europese patiëntenbeweging is er zeker sprake van een grotere ondersteuning door de farmaceutische industrie (6). Een aantal Europese verenigingen is succesvol in het verkrijgen van Europese subsidies, zoals uit de Kaderprogramma's van de Europese Commissie en het Innovative Medicines Initiative (IMI). Het IMI is een gezamenlijk initiatief van de Europese Commissie en de Europese farmaceutische industrie.

## **Fonds PGO**

Sinds 1 januari 2009 voert het Fonds PGO de subsidieregeling aan landelijk werkzame PGO-organisaties in Nederland uit ([www.fondspgo.nl](http://www.fondspgo.nl)). Voor die tijd was het Fonds PGO een zelfstandig bestuursorgaan. De beoordeling van de subsidieaanvragen verloopt volgens criteria van het Beleidskader voor subsidiëring van patiënten- en gehandicaptenorganisaties van het ministerie van VWS. Sinds 1 januari 2009 is het Fonds PGO onderdeel van het CIBG. Het CIBG is een uitvoeringsorganisatie van het Ministerie van VWS. Het fonds is ook verantwoordelijk voor de informatieverstrekking rond de procedures.

## **PGOsupport**

PGOsupport is een dienstverlenende organisatie, die in opdracht van de koepels CG-Raad, de NPCF en de CSO en de platforms LPGGz en VG, ondersteunende diensten levert aan alle PGO-organisaties. De website [www.pgosupport.nl](http://www.pgosupport.nl) van PGOsupport faciliteert de actieve uitwisseling van kennis en informatie tussen PGOsupport en PGO-organisaties, maar vooral ook tussen PGO-organisaties onderling. PGOsupport biedt de PGO-organisaties drie diensten aan: PGOacademie, PGOconsult en PGOweb.

PGOsupport maakt bij haar advies- en ondersteuningswerkzaamheden voor de patiëntenbeweging gebruik van een aantal kleine(re) ondersteuningbureaus of ZZP'ers. Patiëntenorganisaties kunnen daar natuurlijk ook rechtstreeks gebruik van maken en zij doen dit in de praktijk vooral op administratief gebied, het beheer van een ledenadministratie of secretariaatstaken.

## **Brancherapport patiëntenbeweging**

Wat PGO-organisaties doen, wordt sinds 2006 jaarlijks onderzocht en vastgelegd in een monitor en bijbehorende brancherapporten. Daarmee wordt inzicht verkregen in de activiteiten van PGO-organisaties, welke belangen zij behartigen en welke resultaten zij behalen op de verschillende terreinen. Met ingang van 2009 is de verantwoordelijkheid voor de uitvoering van de monitor in handen gegeven van de PGO-beweging en wordt het daadwerkelijke onderzoek verricht door het Verwey Jonker Instituut en KIWA Prismant (7, 8). De monitor en de brancherapporten zijn te downloaden via de kennisbank van [www.pgosupport.nl](http://www.pgosupport.nl).

Deze wijze van monitoring van de patiëntenbeweging is tamelijk uniek in de wereld. In vrijwel geen enkel ander Europees land is sprake van zo'n monitoringsysteem. Helaas is er op dit moment geen financiële ruimte meer om deze monitoring voort te zetten.

## **Reflectie op de patiëntenbeweging**

In het algemeen geldt, dat er niet veel publicaties beschikbaar zijn over de Nederlandse patiëntenbeweging of van mensen binnen die beweging die reflecteren op hun activiteiten. Het betekent dat veel van de gegevens in dit boek afkomstig zijn uit de 'grijze' literatuur. Grijze literatuur betreft publicaties die niet of zeer moeilijk via de boekhandel of uitgeverijen te verkrijgen zijn. Vaak betreft het rapporten of artikelen die van overheidsinstanties, verenigingen of universiteiten afkomstig zijn en die alleen op internet terug te vinden zijn.

Hiervoor zijn al de brancherapporten over de patiëntenbeweging genoemd, die de afgelopen vijf jaar zijn gepubliceerd en die meer en meer informatie opleveren over hoe de patiëntenbeweging functioneert. De Utrechtse hoogleraar Guus Schrijvers heeft hieraan in het verleden meegewerkt en is nog steeds een kritisch volger van hetgeen er in de patiëntenwereld gebeurt (9). Zoals onlangs nog bleek in zijn wekelijkse nieuwsbrief, waarin hij negatief reageerde op het wederom mislukken van een poging om te komen tot een fusie van de koepels (10).

Margo Trappenburg, die in het verleden door het Fonds PGO werd aangesteld als eerste hoogleraar patiëntenperspectief heeft haar bevindingen opgeschreven in het boek 'Genoeg is genoeg'. Dit boek schetst de veranderende rol van de zieke, de patiënt in de samenleving (11). Vroeger werd deze vrijgesteld van allerlei verplichtingen en daarmee kreeg de patiënt de tijd om te herstellen. Tegenwoordig wordt meer en meer het beeld opgeroepen dat de zieke allerlei dingen moet. Dat de patiënt actief participeert in allerlei overlegorganen, surft op websites om verantwoorde keuzes te maken naar welke hulpverlener of ziekenhuis hij of zij moet gaan en welke medicijnen er genomen moeten worden. Door al die verplichtingen is er – bij wijze van spreken - voor de patiënt geen of te weinig tijd om te herstellen. Trappenburg zwakt zo ook het beeld af dat de patiënt altijd en overal staat te trappelen om te participeren.

Voor haar boek werkte Margo Trappenburg nauw samen met Hester van de Bovenkamp, die later ook op dit materiaal promoveerde met haar proefschrift 'De beperkte macht van patiënten, een studie naar actief burgerschap in de Nederlandse gezondheidszorg'. Volgens haar verwachten beleidmakers teveel van zowel patiënten als hun familieleden (12). Op individueel niveau, bijvoorbeeld als het gaat om de vertegenwoordiging van mensen met een ernstige psychische aandoeningen; maar ook op collectief niveau hebben patiëntenorganisaties moeite te participeren in formele besluitvormingstrajecten. Participatie in die processen vereist kennis die vrijwilligers van deze patiëntenorganisaties vaak niet hebben en de ervaringskennis die zij wel hebben sluit niet goed aan bij de dominante professionele wetenschappelijke kennis.

Waar Trappenburg en Van de Bovenkamp meer van buitenaf naar de effecten van patiëntenparticipatie hebben gekeken, zijn er andere onderzoekers in Nederland, die veel ervaring hebben opgedaan met het actief betrekken van patiëntenorganisaties bij wetenschappelijk onderzoek. Tot deze onderzoekers behoren Jacqueline Broerse, Tineke Abma, Francisca Caron-Flinterman en Karin Schipper (13, 14, 15). Het gaat bij hen vooral over ervaringen rond participatieve methoden. Dit geldt met name voor het opstellen van onderzoeksagenda's, hetzij door patiëntenorganisaties zelf, hetzij in samenwerking met onderzoekers, gezondheidsfondsen of beleidsmakers.

## Wenkend Perspectief

De werkgroep ‘Wenkend Perspectief’ is in 2008 ingesteld door het ministerie van VWS om het PGO-veld een visie te laten ontwikkelen op de toekomst van de PGO-organisaties in ons land. In juni 2009 heeft de werkgroep haar rapport ‘De kracht van diversiteit’ uitgebracht (16). De kern van dit rapport is dat PGO-organisaties voor mensen met een ziekte of een aandoening van grote waarde zijn. Juist door hun grote diversiteit verzorgen zij ondersteuning en toerusting op maat. De werkgroep vindt dat die diversiteit ook gehandhaafd moet blijven. Tegelijkertijd moet de PGO-beweging zich ook verder ontwikkelen. Er wordt in toenemende mate een beroep gedaan op PGO-organisaties – hierin stemt dit rapport overeen met de analyse van Trappenburg en Van de Bovenkamp – en dat vraagt nieuwe vaardigheden. Het stellen van prioriteiten is meer dan ooit noodzakelijk en dat betekent dat er binnen de PGO-beweging ruimte moet zijn voor visie-ontwikkeling en debat. De werkgroep stelt voor om een PGO-Raad – vergelijkbaar met de HBO-Raad - op te richten, die de gemeenschappelijke overstijgende belangen van het PGO-veld kan behartigen. De werkgroep vindt dat de PGO-beweging een eigen wetenschappelijk instituut nodig heeft om visievorming en maatschappelijk debat te stimuleren. Ook een adequate, onafhankelijke financiering waar de continuïteit van is gewaarborgd, is daarbij van belang. Het rapport ‘De kracht van diversiteit’ van de werkgroep ‘Het Wenkend Perspectief’ is te downloaden via de kennisbank van PGOsupport.

## De stem van de cliënt

De drie koepels (CG-Raad, CSO en NPCF) hebben eind 2010, samen met LPGA en Platform VG een gezamenlijke visie naar buiten gebracht over de meest optimale structuur van de PGO-beweging in Nederland (17).

In ‘De Stem van de Cliënt’ schetsen zij de kracht en ambities van de gezamenlijke patiënten-, gehandicapten- en ouderenorganisaties in Nederland. Daarnaast pleit de notitie voor een drastische wijziging in de financieringssystematiek, als een van de benodigde maatregelen om die ambities te kunnen waarmaken. Het rapport is op 15 november 2010 aan de minister van VWS aangeboden.

## Bezuinigingen op de PGO-beweging

In mei 2011 is het ministerie van VWS met nieuwe subsidiecriteria voor de patiëntenbeweging gekomen. In deze beleidsbrief met als titel ‘Bundel je kracht, samen sterk’, wordt tegelijkertijd aangekondigd dat er de komende jaren ook krachtig bezuinigd zal worden op de PGO-beweging (18). Deze bezuinigingen komen neer op een korting van

meer dan 40 procent en de maatregel is in 2011 met steun van VVD, CDA en PVV ook door de Tweede Kamer aangenomen. De bezuinigingen worden gelegitimeerd met de opmerking dat er door een betere samenwerking een efficiencyslag gemaakt kan worden waardoor minder geld nodig is (19).

Behalve op landelijk niveau, wordt er op provinciaal niveau ook bezuinigd op de financiering van de Zorgbelang organisaties en op gemeentelijk niveau op de financiering van cliënten- en gehandicaptenplatforms. Een goed overzicht van deze bezuinigingen is niet beschikbaar.

### **Waar komen de bezuinigingen op neer?**

Minister Schippers van VWS gaat de subsidies voor patiënten- en gehandicaptenorganisaties terugbrengen van 43 miljoen naar 25 miljoen euro in 2015. Ouderenorganisaties krijgen helemaal niets meer. Als ouderen aandoeningen hebben of beperkingen moeten zij zich melden bij de PG-organisaties die daarvoor opgericht zijn. Samenwerking wordt gestimuleerd door een extra subsidie (voucher) voor activiteiten die in een samenwerkingsverband worden uitgevoerd. Het uitwisselen van ervaringen wordt gestimuleerd en gepoogd moet worden deze ervaringskennis te bundelen en te koppelen aan de agenda van het nieuwe Kwaliteitsinstituut, dat bij CvZ ondergebracht zal worden. Door deze inbreng kan de patiëntenbeweging een bijdrage leveren, meer invloed uitoefenen op het kwaliteitsbeleid in de zorg. Alle organisaties krijgen te maken met een afbouw van de subsidie in twee stappen: in 2012 een korting van twintig procent en in 2013 bedraagt de korting vijftig procent. Zo'n twintig kleinere PGO-organisaties verliezen hun subsidie.

### **Het nieuwe subsidiebeleid**

In het nieuwe subsidiebeleid worden vier taken voor de patiëntenbeweging onderscheiden, met daaraan gekoppeld voor iedere taak een bijpassende bekostiging. Die vier subsidiestromen betekenen een totaalbedrag aan subsidie van 23 miljoen euro. Daarbij komt dan nog een bedrag van 2 miljoen euro voor organisaties als Per Saldo, het Centrum Klantervaring Zorg (CKZ) en het CBO, het vroegere Kwaliteitsinstituut voor de gezondheidszorg, dat inmiddels is opgegaan in TNO.

#### **Subsidiestroom 1**

Een instellingssubsidie voor ziekte-specifieke organisaties (met minimaal 100 leden en/of donateurs) voor de organisatie van lotgenotencontact en informatievoorziening voor een bedrag tussen de 25 en 35 duizend euro per jaar. Hiervoor is in totaal 8,5 miljoen euro beschikbaar.



## **Subsidiestroom 2**

Een vouchersysteem voor ziekte-specifieke organisaties om hun cliëntervaringen gezamenlijk te inventariseren. Hiervoor kunnen tijdelijke of al bestaande coalities gesloten worden, waarbij iedere partner die een subsidie ontvangt zoals onder subsidiestroom 1 beschreven staat, ook een voucher inbrengt van 18 duizend euro per jaar. Met minimaal 7 vouchers per project kan een activiteitenplan voor maximaal drie jaar ontwikkeld worden. Hiervoor is een bedrag van 4,5 miljoen euro beschikbaar. De 7 vouchers moeten daarvoor bij een partij worden ondergebracht.

## **Subsidiestroom 3**

Deze subsidie is bedoeld om de regierol voor het veld te vervullen en is bestemd voor de hiervoor beschreven koepels (NPCF en CG-Raad) en platforms (Platform GGZ en Platform VG). Het betreft hier de regierol voor de bundeling van ervaringsdeskundigheid en bevordering van de samenhang ten aanzien van zorg, ondersteuning en participatie. Hiervoor is een bedrag van 4 miljoen euro beschikbaar en nog eens een optionele 2 miljoen euro als bonus voor verdere samenwerking tussen deze vier partijen.

## **Subsidiestroom 4**

Tot slot is een bedrag van 2 miljoen euro beschikbaar voor ondersteuning van de taken van de patiëntenbeweging. Dit betreft de taken die nu door de koepels zijn ondergebracht in PGOSupport. Daar bovenop is 2 miljoen euro beschikbaar voor de inbreng van cliëntervaringen (zie ook subsidiestroom 2) in het toekomstige Kwaliteitsinstituut. Inmiddels is de eerste subsidie door het ministerie van VWS via [www.aanbestedingskalender.nl](http://www.aanbestedingskalender.nl) geheel of gedeeltelijk ter Europese aanbesteding aangeboden. Het kan dus zo zijn dat een deel van deze subsidiestroom uiteindelijk niet bij de Nederlandse patiëntenbeweging terecht zal komen.

## **Eerdere bezuinigingen**

Al voor 2011 heeft de overheid instellings- of projectsubsidies voor PGO-organisaties afgebouwd, omdat zij geen toegevoegde waarde zouden hebben voor het PGO-veld. Het betrof hier vooral ziekte-overstijgende subsidies, waarbij vaak wel sprake was van samenwerking tussen PGO-organisaties. Het ging hierbij onder andere om het Breed Platform Verzekerden en Werk (tegenwoordig Welder, [www.weldergroep.nl](http://www.weldergroep.nl)). Het BPV&W had specifieke kennis opgebouwd rond beperkingen in het afsluiten van verzekeringen (met name levens- en risicoverzekeringen) en de toelating tot werk door een ziekte of een aandoening. Ook de VSOP kreeg te maken met intrekking van haar instellingssubsidie

voor haar ziekte-overstijgende werk op het terrein van de zeldzame aandoeningen, erfelijkheid en medisch wetenschappelijk onderzoek. In de GGZ-sector troffen de bezuinigingen de Stichting Pandora en de Stichting Kwadraad, die vooral veel werk maakten van de ervaringsdeskundige voorlichting en training door vrijwilligers met een psychische of psychiatrische aandoening.

## Afsluitend

Het hiervoor geschetste beeld van de patiëntenbeweging is zeker niet volledig. Maar deze beknopte schets maakt al snel duidelijk dat het om een zeer diverse groep van organisaties en activiteiten gaat, die breed – maar niet altijd even goed georganiseerd - geworteld is in de Nederlandse samenleving. Met een potentiële achterban van enkele miljoenen Nederlanders die ziek zijn of een aandoening hebben, is de organisatiegraad naar verhouding laag. Waarschijnlijk zijn zo'n 600.000 mensen lid van een patiëntenorganisatie en zijn er enkele honderden professionals en zo'n 20.000 vrijwilligers actief in een beweging waarin per jaar naar schatting zo'n 100 miljoen euro omgaat.

Daarmee bevindt de patiëntenbeweging zich tussen vergelijkbare maatschappelijke organisaties als de Consumentenbond (600.000 leden, 200 medewerkers en een omzet van 35 miljoen) en de ANWB (4 miljoen leden, 5.000 medewerkers en een omzet van 1 miljard).

Als de patiëntenbeweging zich naar buiten toe sterker wil en moet – zie het subsidieprofiel van minister Schippers – profileren en meer gebruik wil maken van haar 'countervailing power', haar tegenkracht als 'derde partij', zal zij moeten nadenken over een innovatieve strategie om dit te bereiken. Dan zal het ook Nederlandse samenleving als geheel duidelijk moeten worden gemaakt dat de patiënten- en gehandicaptenbeweging staat voor de behartiging van belangen die vroeg of laat een ieder aangaan. In een tijd waarin overheid en politiek bezuinigen op dit beleids-terrein, is het aan de beweging zelf om aan te tonen dat in haar diversiteit een kracht ligt waar de samenleving niet omheen kan. In het volgende hoofdstuk zullen hiervoor enkele aanzetten geschetst worden.

## Geraadpleegde literatuur

1. Cees Smit. De PGO-beweging, een korte schets. Bijlage 4 in: Bob Keizer. Internationaal PGO-Beleid, een verkenning. ZonMw, Den Haag, 2009
2. Bob Keizer en Ruud Bless. Pilot study on the position of health consumer and patients' organisations in seven EU countries. ZonMw, Den Haag, 2010
3. Bob Keizer. Internationaal PGO-Beleid, een verkenning. ZonMw, Den Haag, 2009
4. NPCF. Gids Patiënteninformatie. Utrecht, 2011
5. Patient View. European Patient Group Directory 2009-2010. Londen, 2010.
6. NIZW. Ervaring over de grenzen. Utrecht, 2003
7. PGO Monitor 2010. Brancherapport organisaties van patiënten, gehandicapten en ggz-cliënten. Utrecht, 2011
8. PGOSupport. Het effect van pgo-organisaties, speciale uitgave over de monitor patiënten-, gehandicapten- en ouderenorganisaties. Utrecht, 2011
9. M. Berk, H. van der Steeg en G. Schrijvers. Stille kennis, patiënten- en gehandicaptenorganisaties: waardevolle bronnen van informatie. Julius Centrum voor Gezondheidswetenschappen en Eerstelijngeskunde. UMC Utrecht, 2008
10. Guus Schrijvers. Ruzies tussen patiënten is dieptepunt voor 2011. In: Nieuwsbrief Unit Zorginnovatie, Julius Centrum UMC Utrecht, nummer 468, 24 december 2011
11. Margo Trappenburg. Genoeg is genoeg. Over gezondheidszorg en democratie. Amsterdam University Press, Amsterdam, 2008
12. Hester van de Bovenkamp. The limits of patient power. Examining active citizenship in Dutch health care. Proefschrift Erasmus Universiteit. Rotterdam, 2010

13. Tineke Abma en Jacqueline Broerse. Zeggenschap in Wetenschap: patiëntenparticipatie in theorie en praktijk. Uitgeverij Lemma, Den Haag, 2008
14. Francisca Caron-Flinterman. A new voice in science. Patient participation in decision-making on biomedical research. Proefschrift Vrije Universiteit. Zutphen, 2005
15. Karin Schipper. Patient Participation & Knowledge. Proefschrift Vrije Universiteit. VU University Press, Amsterdam, 2011
16. Werkgroep Wenkend Perspectief. De kracht van diversiteit. Haarlem, 2009
17. CG-Raad, CSO, NPCF, LPGGz en Platform VG. De stem van de cliënt. Utrecht, 2010
18. VWS. Visiebrief 'Bundel je kracht, samen sterk'. Tweede Kamer, 25 mei 2011
19. VWS. Beleidskader (MC-U-3074133) voor subsidiëring van patiënten- en gehandicaptenorganisaties, behorend bij de visiebrief "Bundel je kracht, samen sterk". Tweede Kamer 29214, 2011

**Een nieuwe horizon**



## Een nieuwe horizon

In het vorige hoofdstuk is een beeld geschetst van de Nederlandse patiëntenbeweging, dat eindigde met een beschrijving van de nieuwe subsidiesystematiek van het ministerie van VWS. Voor veel patiëntenorganisaties, koepels en platforms betekent dit een aanzienlijke bezuiniging op hun bestaande subsidie van de overheid. Sommige organisaties worden minder getroffen omdat een groot deel van hun inkomsten uit een andere bron komt. Een aantal kleine organisaties moet zelfs meer aanvragen dan voorheen, omdat de minimale subsidie is verhoogd. Van de getroffen organisaties vraagt het een heroriëntatie op hun taken. In de praktijk betekent het vooral dat de meeste organisaties nu met name focussen op de vraag hoe zij op hun uitgaven kunnen besparen. Het betekent vaak het ontslag van betaalde medewerkers, andere, kleinere huisvesting of 'terug naar de keukentafel' en een groter beroep op vrijwilligers. Weinig patiëntenorganisaties komen op dit moment echter toe aan de te volgen strategie om de uitdagingen voor de toekomst op te pakken (1).

## Nieuwe uitdagingen en vragen

Niet alleen verzwakt de positie van patiëntenorganisaties vanwege de bezuinigingen op hun eigen budget, ook het zorglandschap verandert. Het steeds ouder worden van chronisch zieken vanwege het beschikbaar komen van effectieve behandelingen; toekomstige personeelsschaarste in de zorg en met name in de ouderenzorg; stijgende premies en hogere eigen betalingen voor een krimpend basispakket en minder ruimte voor zorginnovaties door bezuinigingen. Daarbij komt een toenemende nadruk op doelmatigheid, ontwikkeling en gebruik van richtlijnen en zorgstandaarden. Dit blijkt onder andere uit de oprichting van een Kwaliteitsinstituut voor de Zorg per 2013, waarin ook het huidige CvZ, het College voor Zorgverzekeringen op zal gaan (2).

Aan de Nederlandse patiëntenbeweging zijn ook nog twee andere, belangrijke vragen te stellen. De eerste vraag betreft de tevredenheid met het voorlopig resultaat van de in 2006 ingevoerde zorgverzekeringswet en de invoering van de marktwerking in de zorg? Daarover wordt buiten de patiëntenbeweging wel gediscussieerd maar intern vrijwel niet.

De tweede vraag betreft een antwoord op het beleid van het kabinet Rutte, waarin de arbeids- en inkomenspositie van mensen met een ziekte of een aandoening sterk wordt aangetast. Onder het motto 'Stop de stapeling' zijn er weliswaar acties gevoerd tegen de serie bezuinigingen die mensen met een ziekte of een aandoening treft, maar er zal in samenwerking met andere partijen ook actief gezocht moeten worden naar oplossingen. Oplossingen om niet alleen die stapeling te beëindigen, maar vooral ook om te zorgen dat mensen met een ziekte of aandoening volwaardig lid van de samenleving kunnen blijven.

Tot nu toe zijn de protesten tegen de bezuinigingen op het persoonsgebonden budget PGB het meest succesvol gebleken, ook al omdat de belangenvereniging van mensen met een PGB, Per Saldo haar zaken beter op orde lijkt te hebben dan het ministerie van VWS.

## **Samen optrekken**

Bij al die uitdagingen en vragen, is het van belang dat de patiëntenbeweging als een eenheid opereert. Dat wil zeggen dat een beweging waarvan de kracht ligt in haar diversiteit, die diversiteit tegelijkertijd extern weet om te zetten in een effectieve eenheid. Dit door een voordeur - een 'front office' - te creëren met een constructief imago, waar andere partijen (overheid, politiek, zorgaanbieders, zorgverzekeraars, onderzoekers en bedrijfsleven) zich toe kunnen wenden bij vragen en verzoeken om ondersteuning. Achter die voordeur zal de beweging zich zodanig moeten organiseren dat die vragen terecht komen bij de organisatie die daarvoor het beste is toegerust en er de grootste belangen bij heeft. Daar zal ook een selectie en prioritering moeten plaatsvinden in relatie tot relevantie en beschikbare capaciteit. Bij minder tijd en geld zullen er strategische keuzes gemaakt moeten worden en zal tegelijkertijd de patiëntenagenda voor de toekomst opgesteld moeten worden.

## **Wenkend Perspectief**

In het vorige hoofdstuk is al op enkele rapporten gewezen waarin dit aan de orde is gesteld. Om te beginnen het rapport van de Werkgroep 'Wenkend Perspectief' uit 2009, daarna in 2010 'De stem van de cliënt' en aan het einde van 2010 verschenen nog twee rapporten van Zorgmarkt Advies met een vergelijkbare inhoud (3, 4).

Met name het rapport van de Werkgroep 'Wenkend Perspectief' heeft – anno 2012 – nog niets aan actualiteit verloren. De analyses worden eigenlijk alleen nog maar scherper tegen de achtergrond van de inmiddels doorgevoerde bezuinigingen in de zorg en op de patiëntenbeweging. De door hen genoemde sterke en zwakke punten binnen de patiëntenbeweging wijken niet zoveel af van de genoemde punten van deskundigen in hoofdstuk drie van dit boek. De diversiteit binnen de beweging is tegelijkertijd haar zwakte, vrijwilligers staan tegenover beroepskrachten, het ontbreekt aan een duidelijk gezicht naar buiten en er is geen lange-termijn strategie.

Ook de aanbevelingen van 'Wenkend Perspectief' over de financiering van de patiëntenbeweging zijn nog steeds actueel tegen de achtergrond van de bezuinigingen en discussies anno 2012.



## **‘Derde partij’ rol**

Binnen de patiëntenbeweging wordt graag en veel gepraat over de ‘derde partij’ rol, naast zorgverzekeraars en zorgaanbieders. Ook hierover is veel nuttigs gezegd in het rapport van ‘Wenkend Perspectief’, en ook al eerder in een advies van de Begeleidingscommissie Zekere Zorg uit 2008 (5). Zo stelt dit advies: ‘Als je als patiëntenbeweging die ‘derde partij’ rol serieus neemt, moet je weten wat je wilt en hoe je dat wilt bereiken en dat alles moet gebaseerd zijn op een samenhangende visie. Voor die visie moet er draagvlak en commitment zijn van alle betrokken partijen. Vervolgens moet daar continuïteit in de financiering voor zijn. Bij zo’n ‘derde partij’ rol past een overheid die ‘intellectueel leiderschap’ vertoont. Een overheid die niet voorschrijft wat de patiëntenbeweging moet doen en hoe het moet gebeuren, maar er voor zorgt dat het debat gevoerd wordt en dat gemaakte afspraken worden nagekomen. Daarbij past ook een solide en structurele kennisinfrastructuur, waarbij ook over de landsgrenzen gekeken zal moeten worden’.

Met al deze behartigenswaardige woorden is zowel door de overheid als door de PGO-beweging weinig gedaan, wat wellicht ook de weg heeft vrijgemaakt voor de huidige bezuinigingen op de patiëntenbeweging.

## **Waarom een ‘derde partij’ rol?**

In hoofdstuk 1 is al gewezen op de verschillen tussen patiënten en consumenten, verschillen die aanleiding kunnen geven tot eventuele belangentegenstellingen. Wat van belang is voor een patiënt, hoeft dat nog niet te zijn voor een consument. Zo heeft een patiënt belang bij een breed basispakket en mag het van de consument best wel eens een onsje minder zijn. De consument is soms ook bereid te betalen voor zorg buiten de zorgverzekeringswet om, bijvoorbeeld voor een gezondheidscheck of een total body scan. Mocht er dan iets vervelends uitkomen, dan komt de consument weer terecht in het reguliere zorgsysteem. Op dat moment krijgt consument dezelfde belangen als de patiënt: wie levert de beste kwaliteit, de beste zorg voor mijn probleem?

En op dat moment is de kans ook groot dat de georganiseerde patiëntenorganisaties de consument verder kunnen helpen op basis van het door hen al verrichte werk, het uitzoeken en opstellen van kwaliteitscriteria voor de zorg.

Veel van dat werk is door patiëntenorganisaties verricht in samenwerking met zorgaanbieders (artsen, paramedici en zorginstellingen) en in een aantal gevallen met zorgverzekeraars. Het is de driehoek van zorgaanbieders, zorgverzekeraars en patiëntenorganisaties, waarin de laatste groep de rol van ‘derde partij’ geacht wordt te vervullen. Zowel patiënten als consumenten hebben er belang bij dat patiëntenorganisaties die ‘derde partij’ rol goed kunnen vervullen.

Want wie nu nog niet ziek is of een aandoening heeft, kan die morgen wel hebben. Omgekeerd hebben patiënten er belang bij dat de nu nog niet zieke consument bereid blijft zijn premie te betalen voor de mensen die wel ziek zijn. Het is een essentieel element voor het behoud van een solidair stelsel van gezondheidszorg. Daarom is het van belang dat patiëntenorganisaties zich bewust zijn van hun verantwoordelijkheid om ook namens die nog niet zieke consument te opereren. Kortom, dat ze in samenwerking met zorgaanbieders en zorgverzekeraars zorgen voor een kwalitatief goed zorgstelsel tegen zo laag mogelijke kosten.

Om die driehoek van zorgaanbieders, zorgverzekeraars en patiëntenorganisaties goed te laten functioneren is het van belang dat ze alle drie even sterk zijn in hun mogelijkheden om met elkaar te overleggen en te onderhandelen. Er moet een zeker marktevenwicht zijn om ervoor te zorgen dat de prijs niet onnodig hoog wordt of de kwaliteit te laag. Op de zorgmarkt moet de ideale prijs/kwaliteitsverhouding ontstaan tussen aanbieders en patiënten/consumenten. Op de verzekeringsmarkt moet de ideale prijs/kwaliteitsverhouding ontstaan tussen verzekeraars en verzekerden.

De mogelijkheid om die rollen in de driehoek goed te kunnen vervullen, betekent dat er een bepaald bedrag nodig is voor alle drie de partijen. Het geldt om daarvoor personeel en kennis in huis te halen, halen de zorgverzekeraars uit de premiegelden van hun verzekerden en de zorgaanbieders uit de gelden die ze voor de door hen geboden zorg van de zorgverzekeraars ontvangen. Het geldt dat de patiëntenorganisaties hiervoor nodig hebben, moeten ze in principe zelf zien binnen te halen. Dit feit maakt dat de patiëntenbeweging eigenlijk niet vanuit dezelfde uitgangspositie in de driehoek zit als de andere twee partijen. Vroegere kabinetten hadden hier oog voor en dat was terug te vinden in hun beleidsnotities over de patiëntenbeweging alsmede hun subsidiebeleid. Het huidige kabinet heeft deze lijn losgelaten en bezuinigt nu drastisch op de patiëntenbeweging. Deze ontwikkeling maakt het noodzakelijk dat de Nederlandse patiëntenbeweging zich bezint op haar 'derde partij' rol en wil zij in de toekomst die rol blijven vervullen, hoe ze daarvoor de financiële middelen vinden.

## **Financiering van die 'derde partij' rol**

In het vorige hoofdstuk is een bedrag van 100 miljoen euro genoemd als inkomsten van de Nederlandse patiëntenbeweging. Een bedrag waar nu in ieder geval door de overheid 20 miljoen van afgehaald wordt. De Werkgroep Wenkend Perspectief kwam in 2009 tot de conclusie dat er een bedrag van 250 miljoen euro dat nodig is om de patiëntenbeweging in staat te stellen een volwaardige 'derde partij' rol te spelen naast zorgverzekeraars en zorgaanbieders. Om dit te realiseren werd voorgesteld daarvoor 5 promille van het zorgbudget te reserveren.

Voor de financiering van de patiëntenbeweging zijn de afgelopen jaren diverse voorstellen gelanceerd, variërend van premiefinanciering via de zorgverzekeringswet, tot een groot fonds, waaraan overheid, farmaceutische industrie, gezondheidsfondsen en zorgverzekeraars bijdragen. Al deze pleidooien komen er op neer dat een meer onafhankelijke en op continuïteit gerichte financieringswijze van de patiëntenbeweging noodzakelijk is.

Een bezinning op het financieringsvraagstuk is anno 2012 dringend gewenst. Het wegvallen van een deel overheids-subsidie, maakt dat de patiëntenbeweging als geheel onvoldoende kan functioneren. Sommige organisaties kunnen afhankelijk worden van te eenzijdige financieringsbronnen en worden daardoor kwetsbaar. In het verleden is zowel financiering door de farmaceutische industrie als door de overheid (de VWS subsidie voor activiteiten van de NPCF op het terrein van de ontwikkeling van het elektronisch patiëntendossier, het EPD) door de buitenwereld bekritiseerd (6, 7). De Raad voor de Volksgezondheid en Zorg (RvZ) wil dat de patiëntenbeweging meer geld van haar leden en donateurs binnenhaalt en haar 'ervaringskennis' vermarkt, dat wil zeggen aan geïnteresseerde partijen verkoopt (8). Voor de meeste organisaties, met name de kleinere, lijkt dit geen reële optie.

Een budgetstap van 100 naar 250 miljoen euro is vandaag de dag weinig realistisch. Echter, de patiëntenbeweging zou wel degelijk een stap kunnen zetten door de mogelijkheid te verkennen van een op continuïteit gericht en zelfstandig te beheren patiëntenfonds.

Ook de koepels en platforms zullen hier aan mee moeten werken, al was het maar omdat het vaker toepassen van Europese aanbesteding (voor bijvoorbeeld PGOSupport) ook hen uitermate kwetsbaar maakt. Als men er niet in slaagt om aan de aanbestedingsnormen te voldoen of de voorgenomen prestaties te leveren, maakt dit de patiëntenbeweging een nog grotere verliezer van de nieuwe subsidiesystematiek.

## **Eigen prioriteiten**

Iedere patiëntenvereniging zal prioriteiten moeten stellen en samenwerkingsmogelijkheden moeten onderzoeken die leiden tot 'win win' situaties. Externe verzoeken zullen goed gewogen moeten worden. Men zal moeten leren 'nee' zeggen tegen zaken waar men geen direct belang bij heeft. Wanneer het een vraag betreft die betrekking heeft op de eigen (ervarings)kennis, zal beoordeeld moeten worden of medewerking bijdraagt aan het realiseren van de eigen doelstellingen. Vaker zal men een vergoeding moeten vragen voor het ter beschikking stellen van die ervaringskennis, het zogenaamde 'vermarkten' van kennis die binnen die vereniging aanwezig is. In hoofdstuk 5 wordt dit geïllustreerd door het vragen van vergoedingen voor commercieel gebruik van data uit door Europese patiëntenorganisaties beheerde biobanken en patiëntenregisters.

## **Innovatie en ondernemerschap**

In de volgende hoofdstukken worden diverse voorbeelden genoemd van personen, organisaties en werkwijzen die innovatief zijn en als rolmodel kunnen dienen. Bij andere voorbeelden past de kanttekening dat ze zo uniek zijn door de persoonlijke kracht, het charisma en ondernemerschap van de personen die ze opgezet hebben dat ze daardoor minder eenvoudig te kopiëren zijn. Maar als je als vereniging wilt vernieuwen, zal je actief op zoek moeten naar die leden binnen de organisatie die die ondernemersgeest en innovatieve kracht in huis hebben.

## **Patiëntenparticipatie in onderzoek en beleid**

Veel van de hierna te noemen voorbeelden van innovatie hebben betrekking op patiëntenparticipatie in wetenschappelijk onderzoek en het beleid rond de toelating en vergoeding van nieuwe geneesmiddelen. In dit verband kan worden gesproken van een cultuuromslag in de patiëntenbeweging.

Vrijwel alle patiëntenorganisaties die in de jaren zeventig en tachtig van de vorige eeuw zijn opgericht, richten zich op de volgende drie taken:

1. Voorlichting en informatie verstrekken
2. Het organiseren van lotgenotencontact en
3. Belangenbehartiging in de ruimste zin van het woord.

Het overheidsbeleid sloot daar ook op aan en voorzag in subsidie voor het verrichten van die drie taken. Zoals in het eerste hoofdstuk is uitgelegd, verleent de overheid nu voor ziekte-specifieke patiëntenorganisaties vrijwel alleen nog subsidie voor die eerste twee taken. Belangenbehartiging wordt alleen nog in samenwerkingsverbanden gesubsidieerd.

Er ontstaat echter veel meer oog voor een nieuwe, vierde taak van het PGO-veld, namelijk directe participatie in medisch-wetenschappelijk onderzoek en beleid. Diverse recent opgerichte patiëntenorganisaties starten met fondsenwerving voor wetenschappelijk onderzoek. Later krijgt men ook aandacht voor de oorspronkelijke taken van de patiëntenbeweging. In principe zou je deze nieuwe, vierde taak ook onder belangenbehartiging kunnen rangschikken maar dat wordt breed (nog) niet als zodanig ervaren.

De inbreng van patiënten in onderzoek en beleid wordt ook wel aangeduid met het begrip patiëntenparticipatie. Hiermee wordt bedoeld het inbrengen van ervaringsdeskundigheid door patiënten of patiëntenorganisaties.

Patiëntenparticipatie heeft als doel uiteindelijk meer invloed te hebben. De specifieke ervaringsdeskundigheid van patiënten werkt aanvullend op de professionele deskundigheid van beleidmakers of onderzoekers en leidt zo tot een 'meerwaarde' die de relevantie, kwaliteit en uitkomsten van beleid of onderzoek ten goede moet komen.

Een heel mooi voorbeeld van de 'meerwaarde' van patiëntenparticipatie in onderzoek is te vinden in Dick Swaab's bestseller 'Wij zijn ons brein, van baarmoeder tot Alzheimer'. In dit boek beschrijft professor Swaab onder andere zijn contacten met de leden van de internationale vereniging van mensen met het Prader-Willisyndroom (9). Het Prader-Willisyndroom is een genetische afwijking die in de loop van de jaren leidt tot een enorme vetzucht. Omdat de ouders hun kinderen met deze ziekte meenamen naar internationale congressen over dit syndroom, leerden ouders, kinderen en onderzoekers elkaar kennen. Maar niet alleen kennen, onderzoekers leerden hierdoor veel van het ziektebeeld en werden er ook enorm door gestimuleerd verder te gaan met hun onderzoek. Omdat het contact binnen dit soort communities inmiddels ook intensief via het internet loopt, krijgt professor Swaab op een dag een vraag van een moeder die in Nieuw-Zeeland als verpleegster in een verpleeghuis werkte. Zij zag bij haar 39 jaar oude zoon met Prader-Willi symptomen die ze herkende van dementerende ouderen. Zou het mogelijk zijn dat er bij Prader-Willi kans was op een vroege veroudering en de ziekte van Alzheimer? Dat was een volkomen nieuwe vraag, want tot voor kort werden Prader-Willipatiënten niet oud. In de paar hersenen, die professor Swaab in zijn laboratorium heeft van Prader-Willipatiënten die ouder dan 40 jaar zijn geworden, vindt hij inderdaad typische alzheimer-veranderingen. Berichten van een vroege dementering bij Prader-Willipatiënten komen sindsdien van over de hele wereld binnen via het Prader-Willinetwork. Systematisch onderzoek naar dit fenomeen is inmiddels begonnen. Maar wat begint bij de observatie van een enkele moeder en leidt tot een uitermate relevante onderzoeksvraag, leidt bij professor Swaab ook tot een belangrijke vervolgvraag. Namelijk komt dit ook voor bij andere vormen van extreme vetzucht en als dat zo is, staat ons dan een explosie van vroege hersenveroudering en Alzheimer te wachten door de forse groei van het aantal mensen met ernstig overgewicht.

Professor Swaab verbindt aan dit voorbeeld de aanbeveling dat eigenlijk iedere patiëntenorganisatie op zo'n manier met onderzoekers zou moeten samenwerken. Uit zijn aanbeveling kan de conclusie worden getrokken dat het ministerie van VWS erg onverstandig bezig is door in haar subsidievoorwaarden op te nemen dat patiëntenvertegenwoordigers deze niet mogen benutten voor buitenlands congresbezoek met een wetenschappelijk doel. Dergelijk inconsistente beleid belemmert ook dat de Nederlandse patiëntenbeweging een serieuze bijdrage kan leveren aan de door de overheid ingezette activiteiten op het terrein van de Topsector Life Sciences Health, dat patiëntenparticipatie op grond van advies van de Gezondheidsraad juist wil stimuleren (10).

Deze door professor Swaab geroemde vorm van patiëntenparticipatie wordt uitvoerig beschreven in hoofdstuk 4, waarin een negental voorbeelden van participatie in het totale traject van het geneesmiddelenonderzoek wordt behandeld.

Hoofdstuk 5 is een verdere verdieping van hoofdstuk 4 en gaat dieper in op de samenwerking tussen fundamenteel onderzoekers, bedrijfsleven en patiëntenorganisaties.

## **Patiëntenparticipatie in de zorg, de ‘care’**

De in de vorige paragraaf benoemde patiëntenparticipatie in onderzoek en beleid, gaat vooral over de ‘cure’ sector en minder over de ‘care’, de zorgsector. Voorbeelden van innovaties in die sector worden in het tweede deel van hoofdstuk 3 genoemd en zijn vooral ontleend aan het werk van Hans Blaauwbroek en Ele Visser. Blaauwbroek en Visser noemen allerlei projecten waarbij gewerkt wordt aan verbetering van de kwaliteit van zorg. Ze zijn de afgelopen jaren uitgevoerd door de grotere, goed georganiseerde en uitgeruste patiëntenorganisaties, zoals ook genoemd in het eerste hoofdstuk. Het gaat hier vooral om de grotere organisaties voor mensen met hart- en vaatziekten, diabetes, astma en COPD, kanker, reuma, spierziekten en andere zeldzame aandoeningen. De projecten worden ook gekenmerkt door tijdelijke financiering en zouden vanwege hun succes eigenlijk structureel gefinancierd moeten worden uit de reguliere middelen. Dat dit ook daadwerkelijk gebeurt, is vrijwel uitgesloten. Het betreft in ieder geval wel allemaal projecten op beleidsterreinen waar patiëntenorganisaties ook in de komende jaren veel aandacht aan zullen moeten besteden.

## **Kwaliteitsinstituut voor de Zorg**

Die aandacht is vooral nodig in verband met de oprichting van het Kwaliteitsinstituut voor de Zorg, dat in de loop van 2012 ondergebracht zal worden bij het CvZ en dat op 1 januari 2013 operationeel moet zijn.

Dit nieuwe instituut zal onder meer professionele standaards in de zorg gaan opzetten. In de woorden van Arnold Moerkamp, de nieuwe bestuursvoorzitter van CvZ, is dat “een samengaan van indicatiestelling, richtlijnen, kwaliteitsnormen, samenhang van ketens, indicatoren en uitkomsten. Dat geheel is een professionele standaard, die we ook in een openbaar register gaan opnemen. De ontwikkeling van professionele standaarden wordt door virtuele gemeenschappen uit het veld via een digitaal platform en een moderator opgepakt. Daarbij zullen realistische doelen gesteld worden, dus beginnen met een paar standaarden voor grote aandoeningen” (2).

In hoofdstuk 1 is al aangegeven dat de participatie in deze ontwikkeling door de patiëntenbeweging valt onder subsidiestromen 3 en 4. Vanuit mijn eigen ervaring als kroonlid van de Adviescommissiepakket van CvZ, zou ik vooral de kleinere, ziekte-specifieke patiëntenorganisaties aanraden hier zeer alert op te zijn. Voor je het weet zit een belangrijk deel van de behandeling voor een bepaalde ziekte of aandoening niet of niet goed geformuleerd in een richtlijn of zorgstandaard. Vervolgens is het risico groot dat dat stukje behandeling dan ook niet meer vergoed zal worden uit het basispakket. Dit is de afgelopen jaren al gebeurd voor zaken als mucolytica (slijmoplossers voor mensen met cystic fibrosis, taaislijmziekte en primaire ciliaire dyskinesie, PCD) of slikihulpmiddelen (voor mensen met een vorm van keel- en halstumoren). Voortdurende alertheid van patiëntenorganisaties is hier op zijn plaats. De door het Kwaliteitsinstituut te ontwikkelen richtlijnen en standaarden zullen niet alleen gebaseerd moeten zijn op de 'evidence based medicine' richtlijnen vanuit de wetenschap, maar aangevuld moeten worden met patiëntervaringen, de 'patient based medicine'.

Dit betekent dat vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties meer dan tot nu toe het geval is getraind moeten worden in de achtergronden van deze ontwikkelingen, zowel op basaal als op gevorderd niveau. De Europese organisatie voor zeldzame aandoeningen, Eurordis heeft hiermee al een begin gemaakt met haar 'summer school'. Een aantal Europese patiëntenorganisaties, waaronder Eurordis en de Europese VSOP, heeft in het kader van het IMI-project van de Europese Commissie voor deze scholingsactiviteiten een subsidie aangevraagd en verkregen. Onderdeel van deze grote subsidie is ook de vertaling van het nog te ontwikkelen voorlichtingsmateriaal in diverse talen van de Europese lidstaten.

## **Doelmatigheidsonderzoek**

Diezelfde alertheid is ook nodig als het om het doelmatigheidsonderzoek gaat, dat meer en meer ten grondslag ligt aan de vergoeding van een medicijn of een behandelmethode uit het basispakket. Een nieuwe behandelmethode moet niet alleen een medische verbetering opleveren ten opzichte van een al bestaande behandeling, het moet ook kosteneffectief zijn. Dat wil zeggen, het mag niet duurder zijn en als dat wel het geval is moet de meerwaarde aangetoond worden. Voor veel patiëntenorganisaties is dit nog een 'ver-van-mijn-bed-show', maar deze werkwijze leidt nu al tot het uitsluiten uit het basispakket van geneesmiddelen, waar bepaalde groepen patiënten veel baat bij hebben. Zo'n uitsluiting kan bijvoorbeeld ontstaan wanneer in een studieopzet uitkomstmaten worden gehanteerd, die niet overeenkomen met de dagelijkse werkelijkheid van patiënten. Een voorbeeld hiervan is de zes minuten looptest, waarmee gemeten kan worden of het energieniveau van een patiënt toeneemt bij het gebruik van een nieuw geneesmiddel. Zo'n zes minuten loop-

test is bijvoorbeeld niet zo geschikt voor mensen in een rolstoel of met een gebrekkige energie. Voor hen kunnen er andere uitkomstmaten van belang zijn, bijvoorbeeld het zelf op een tafel kunnen neerleggen van je arm, zelf een beker van tafel kunnen pakken om te drinken of zelf je haar kunnen kammen zonder hulp van derden. Dit voorbeeld wordt later in hoofdstuk 5 nog verder uitgewerkt voor de ziekte van Duchenne, een spierziekte. Als patiëntenvereniging moet je op dit soort zaken vandaag de dag zeer alert zijn. Het is ook hier nodig om de komende jaren patiëntenorganisaties bij te scholen op dit terrein, zodat zij zelf goed kunnen inschatten welke uitkomstmaten voor hun ziekte wel en niet van belang zijn. In hoofdstuk 4 wordt dit bijvoorbeeld geïllustreerd aan de hand van uitkomstmaten voor reuma-onderzoek die door ervaringsdeskundigen binnen de Reumapatiëntenbond in samenwerking met onderzoekers ontwikkeld zijn.

## Kosten van de zorg

Het wordt voor patiëntenorganisaties ook steeds belangrijker om na te denken over de vraag hoe de kosten van hun zorg zo goed mogelijk beheerst kunnen worden. Of anders gesteld: welke opbrengsten staan tegenover de kosten en kunnen die daarmee beter gerechtvaardigd worden. Kostenoverwegingen gaan een steeds grotere rol spelen in de op te stellen richtlijnen. Een aantal patiëntenverenigingen heeft hier de afgelopen jaren al uitgebreid mee te maken gehad. Bijvoorbeeld in de discussie over de overschakeling van biologische geneesmiddelen naar biosimilars of bij het overhevelen van de geneesmiddelenverstrekking naar ziekenhuizen. Dat laatste speelde vooral bij het gebruik van TNF-alfaremmers voor mensen met reuma. Het is daarmee voor patiëntenorganisaties van belang geworden om na te denken over een efficiëntere organisatie van de zorg, optimale zorg tegen zo laag mogelijke kosten. De NPCF en de CG-Raad werken op dit punt met een aantal andere partijen samen en hebben een convenant gesloten met CvZ over gepast gebruik (11).

Tijdens de presentatie van dit convenant, liet de NPCF patiëntervaringen zien met onnodige consulten: 'Bij de specialist is het nog veel te vaak gebruikelijk dat je voor een uitslag langs moet komen (zelfs als deze goed is) terwijl dit ook telefonisch doorgegeven kan worden', zegt een mevrouw die door haar beperking afhankelijk is van een rolstoel. En patiënten ervaren onnodig dure zorg. Een reumapatiënt meldt: 'Er wordt automatisch iedere 3 maanden een afspraak gemaakt bij de reumatoloog. Ik heb het idee dat een reumaconsulent mij ook goed kan helpen. En vragen stellen via internet zou toch ook kostenbesparend kunnen zijn?!'

In ieder geval hebben politici aangegeven gecharmeerd te zijn van deze gezamenlijke aanpak van NPCF en CG-Raad. Zie hierover het laatste deel van hoofdstuk 3.



## Zorgverzekeraars

Uit het aangehaalde werk van Hans Blaauwbroek en Ele Visser in hoofdstuk 3 blijkt dat vooral de relatie van de patiëntenbeweging met de zorgverzekeraars niet of nog slechts gedeeltelijk is uitgewerkt. Concreet noemen Blaauwbroek en Visser het gebrek aan inzicht in de inkoopkeuzes van zorgverzekeraars.

Ook mij lijkt dat in de relatie met zorgverzekeraars voor de patiëntenbeweging nog veel vooruitgang voor hun leden valt te halen. Niet alleen de besturen van de zorgverzekeraars kunnen hiervoor benaderd worden, maar ook de ledenraden moeten als partner van de patiëntenbeweging ingeschakeld worden. Deze ledenraden vertegenwoordigen de verzekerden van de zorgverzekeraars en hebben bevoegdheden. De ledenraden waren van oudsher al invloedrijk bij de vroegere ziekenfondsen en met de invoering van de marktwerking in de zorg is dit zo gebleven. Of dit op termijn ook zo blijft, is de vraag. Zo zet de Nederlandse Bank in verband met het toezicht op de financiële reserves van zorgverzekeraars in toenemende mate vraagtekens bij de bevoegdheden van de ledenraad. Omdat de ledenraden van zorgverzekeraars bestaan uit verzekerden, betreft het vaak mensen die zelf ook een chronische ziekte of een aandoening hebben. In die zin hebben zij dezelfde belangen als patiënten in de zorg. Vandaar dat ik in het derde deel van hoofdstuk drie dan ook aanraad brieven over bijvoorbeeld het te voeren beleid rond de geneesmiddelenvoorziening niet alleen te sturen aan de besturen maar ook aan de ledenraden van zorgverzekeraars. Op die manier kunnen patiëntenorganisaties aangeven wat zij als voordeel zien van bepaalde geneesmiddelen en waarom zij vinden dat die vergoed moeten blijven worden.

Hetzelfde geldt voor de inkoop van zorg en het al dan niet ver moeten reizen voor een behandeling. Wanneer die behandeling alleen maar plaats kan vinden in een beperkt aantal ziekenhuizen, betekent dit voor een aantal mensen dat zij extra moeten reizen met alle kosten van dien. Wanneer de overheid en gemeenten tegelijkertijd gaan bezuinigen op de kosten van vervoer (Valys, regiotaxi's en dergelijke), dan leidt dit tot een verdere stapeling van lasten voor mensen met een chronische ziekte of een beperking. Je kunt je voorstellen dat je voor een ingewikkelde en moeilijke operatie bereid bent om te reizen, maar dat geldt meestal niet voor de nazorg. Dergelijke kwesties kunnen patiëntenorganisaties ook heel goed bij zorgverzekeraars en hun ledenraden neerleggen, naast mogelijke protesten richting overheid en gemeenten.

Voor wat betreft dat reizen betreft, in het Europese beleid rond zeldzame aandoeningen, is het niet ongebruikelijk dat het de arts, de expert is die reist naar een patiënt of een gezin met een jong kind met een zeldzame aandoening. Dat is vaak gemakkelijker te organiseren dan het reizen met het gehele gezin, zeker wanneer meerdere gezinsleden

gezien moeten worden of wanneer van hen bloed of ander lichaamsmateriaal afgenomen moet worden (12). Ook in Nederland zou er wel eens wat vaker gedacht kunnen worden aan het laten reizen van de expertise of het (lichaams) materiaal in plaats van de patiënt in kwestie.

## **Arbeidsmarkt**

Hiervoor is al de stapeling van bezuinigingsmaatregelen in de zorg aan de orde geweest. Een ander aspect van deze maatregelen betreft de bezuinigingen op de weg naar betaald werk voor mensen met een arbeidshandicap. Naar mijn mening zal de patiënten- en gehandicaptenbeweging hernieuwd aan de slag moeten om creatieve oplossingen te vinden voor de toegang tot die arbeidsmarkt. Dit boek gaat niet al te diep in op deze problematiek. Maar in een tijd, waarin allerlei kleinschalige initiatieven, zoals Buurtzorg, Thomashuizen, Zorgboerderijen en Herbergierprojecten zo succesvol blijken te zijn dat ze op grotere schaal kunnen toegepast, zouden ook op dit terrein juist nieuwe experimenten in samenwerking met gemeenten en werkgevers succesvol moeten zijn. De HIV Vereniging Nederland heeft al succesvol reïntegratietrajecten weten op te zetten, de arbeidspositie van mensen met kanker, krijgt meer en meer aandacht bij de NFK en mogelijk liggen er meer van dit soort kansen wanneer daar vernieuwend over wordt gedacht.

## **Non discriminatie wetgeving**

In hoofdstuk 1 is kort ingegaan op de rechten en plichten van patiënten en cliënten in de gezondheidszorg, alsmede de komst van een nieuwe wet, de Wet cliëntenrechten zorg (Wcz). Op dit punt zou ik willen pleiten voor de opname van een nieuw stuk, de zogenoemde non-discriminatie wetgeving. Non-discriminatie wetgeving, zoals in de Verenigde Staten is aangenomen is bedoeld om mensen te beschermen tegen het oneigenlijke gebruik van medische of erfelijkheidsgegevens bij het afsluiten van verzekeringen (aanvullende verzekering zorgverzekering, levens- of risicoverzekeringen, hypotheek met name) of voor een baan. Ook biedt een dergelijke wetgeving de mogelijkheid dat medisch wetenschappelijk onderzoek voortgang kan vinden zonder dat mensen bang hoeven te zijn dat hun gegevens voor andere doeleinden gebruikt worden. Dit laatste onderwerp is van groot belang voor de patiëntenbeweging bij de discussies over de nieuwe Wet Zeggenschap Lichaamsmateriaal (WZL) en de Europese richtlijn voor de bescherming van gegevens (Data Protection Directive). Dit soort onderwerpen is bij uitstek geschikt om collectief op te maken. Zowel voor de toegang tot arbeid als de toegang tot verzekeringen had de PGO-beweging vroeger het Breed Platform Verzekerden en Werk (BPV&W), maar doordat deze organisatie is wegbezuinigd opereert iedere patiëntenorganisatie op dit terrein nu weer voor zichzelf.

## Afsluitend

Door in dit hoofdstuk dieper in te gaan op de uitdagingen die de PGO-beweging de komende jaren wacht, hoop ik tegelijkertijd de lezer ervan overtuigd te hebben dat bij minder middelen de noodzaak tot collectieve belangenbehartiging groter wordt. Individuele belangenbehartiging of per organisatie wanneer het moet, maar collectief waar het kan.

Hoe je van de ervaringen van het individu tot de ervaringen van de groep als geheel komt, valt te lezen in het eerste deel van hoofdstuk 3.

Collectief zal daarnaast gewerkt moeten werken aan een versterking van de ‘derde partij’ rol, waarbij ook een op continuïteit en onafhankelijkheid gebaseerde financieringsstructuur hoort. De bezuinigingsslag, zoals die in 2011 is doorgevoerd door het ministerie van VWS op de patiëntenbeweging is tevens een waarschuwing dat de Nederlandse PGO-beweging veel strategischer moet opereren. In die zin is een continu proces nodig van niet alleen beleidsontwikkeling maar vooral van visieontwikkeling op de positie van de patiënt in de toekomst. Patiënt 3.0 komt eraan, zoals te lezen valt in hoofdstuk 5 als het gaat over de samenwerking tussen patiëntenorganisaties, beleidsmakers, bedrijfsleven en fundamenteel onderzoekers.

## Geraadpleegde literatuur

1. Boudewijn Smid. De toekomst van de patiëntenbeweging. In: Inclusief, magazine van de CG-Raad, nummer 3, jaargang 2, winter 2011
2. Professionele standaarden voor doelmatige zorg. Interview met Arnold Moerkamp, voorzitter CvZ. In: CvZ Magazine, nummer 4, 14e jaargang, december 2011
3. Marc Soeters en Gerrold Verhoeks. Behouden van de diversiteit door het beëindigen van de fragmentatie. Discussienotitie voor de versterking van de categorale PG-organisaties van de CG-Raad en NPCF. Zorgmarkt Advies, Den Haag, 3 december 2010
4. Marc Soeters en Gerrold Verhoeks. In kracht verbonden, toekomstige versterking PG-beweging. Zorgmarkt Advies, Den Haag, 16 december 2010
5. Advies Begeleidingscommissie Zekere Zorg aan de besturen van Stichting Fonds PGO en de NPCF, Haarlem, 29 september 2008
6. Joop Bouma. De lange arm van Klink. Trouw, 12 september 2009
7. Joop Bouma. Slikken. Veen, Amsterdam, 2006
8. De patiënt als sturende kracht. RvZ, Den Haag, 2010
9. Dick Swaab. Wij zijn ons brein, van baarmoeder tot Alzheimer. Amsterdam, Contact, 2010
10. Raad voor Gezondheidsonderzoek. Medische producten: nieuw en nodig. Publicatie nr. 2011/01E, Gezondheidsraad, Den Haag, 2011
11. Convenant Gepast Gebruik. CvZ, Diemen, 2011
12. Raoul C.M. Hennekam. Care for patients with ultra rare disorders. European Journal of Medical Genetics 54 (2011) 220-224

**De patiënt aan het roer:  
*'Een nieuwe rol voor patiëntenorganisaties'***

Dit hoofdstuk is eerder als boekje verschenen  
ter gelegenheid van een symposium voor patiëntenorganisaties  
op 14 juni 2011, georganiseerd door GSK.



***‘Ons hele gezondheidszorgsysteem  
is gericht op het weghouden van innovatie.  
Het gebeurt wel, maar ondanks  
en niet dankzij de overheid’***

Edith Schippers, minister van VWS  
in Elsevier van 23 april 2011





## Inleiding

Is het glas half vol of is het glas half leeg? Dat is het beeld dat altijd bij mij opkomt als de discussie gaat over de vraag of de patiëntenbeweging nu wel zo goed haar 'derde partij' rol invult. Met andere woorden, speelt de patiëntenbeweging echt mee in het spel tussen zorgaanbieders en zorgverzekeraars? Ontwikkelt de patiëntenbeweging genoeg tegenkracht - countervailing power met een moeilijk woord - tegenover de Tweede Kamer en de overheid?

Het antwoord op die vraag wordt misschien wel bepaald door de vraag of je zelf deel uitmaakt van die patiëntenbeweging of dat je er van buitenaf tegenaan kijkt. De overheid wil graag een georganiseerde patiëntenbeweging, die met één stem spreekt. De Raad voor de Volksgezondheid en Zorg (RvZ), een adviesorgaan van de overheid wil graag dat de patiëntenbeweging minder afhankelijk wordt van overheidssubsidies en meer geld binnenhaalt van haar leden en donateurs (1). En de oud-hoogleraar patiëntenperspectief Margo Trappenburg is van mening dat de patiënt al genoeg heeft aan zijn eigen ziekte om daarnaast nog volop te moeten participeren in allerlei beleidsorganen (2).

Zelf ben ik dit jaar 40 jaar actief in de patiëntenbeweging en eigenlijk word ik steeds enthousiaster over de wijze waarop de patiëntenbeweging zich ontwikkelt. Maar de vraag is of de nieuwe ontwikkelingen die ik zie, dezelfde ontwikkelingen zijn die de buitenwereld ziet.

Vandaar dat ik mijn kijk op de patiëntenbeweging heb opgeschreven ter voorbereiding op het patiëntensymposium dat GSK dit jaar op 14 juni in samenwerking met een stuurgroep van deskundigen organiseert met als thema 'De patiënt aan het roer: een nieuwe rol voor patiëntenorganisaties?' Waarbij ik hoop dat deze tekst ook kan fungeren als ideeënbus voor patiëntenorganisaties.

Aan de totstandkoming van dit boekje heeft een aantal mensen een bijdrage geleverd. Allereerst de stuurgroep die het thema en de invulling van het programma voor het symposium van 14 juni heeft bedacht en vorm gegeven. De leden van deze stuurgroep zijn: Els Borst-Eilers, Michael Rutgers, Wim Wientjens, Wilna Wind, Marcel Joachimsthal en Bertine Pries-Gehring. Ik wil hen met name bedanken voor de uitnodiging dit boekje te schrijven en voor het leveren van commentaar op een eerdere versie van de tekst. In de tekst zelf komen een groot aantal mensen en organisaties voor, die ik de afgelopen jaren persoonlijk of via hun geschriften heb leren kennen. Ik hoop dat ik de vertaling van hun werk in mijn woorden recht heb gedaan en ik wil hen bedanken voor de inspiratie die uit hun werk spreekt.

Cees Smit  
Hoofddorp, mei 2011



## **De ‘cure’**

### **De individuele patiënt als startpunt**

Steeds meer mensen met een ziekte of een lichamelijke beperking zetten hun ervaringen op papier en delen op die manier hun levensverhaal met lotgenoten of andere geïnteresseerden. Voor een mooi overzicht van al deze ego-documenten, zie de website van Coleta Platenkamp op [www.patiëntervaringsverhalen.nl](http://www.patiëntervaringsverhalen.nl). Op deze website staan deze documenten zowel naar auteur als naar ziekte of aandoening gerangschikt.

Bij al deze ego-documenten gaat het om zeer uiteenlopende verhalen. Zo gaat het boek ‘Diep’ van Inge Diepman en Syla de Graaf over zwangerschap en vroeggeboorte en het korte leven van de zo gewenste David (3). Terwijl ‘Kracht, het nieuwe leven van een optimist’ van Marc de Hond gaat over een medische misser na een operatie aan zijn rug (4). Weer een ander perspectief komt naar voor voren in het boek van Gonny ten Haaf ‘Dokter is ziek: als patiënt zie je hoe zorg beter kan’. Dit boek besteedt aandacht aan de vraag wat er gebeurt met artsen, verpleegkundigen en managers in de zorg als ze van de ene op de andere dag zelf patiënt worden (5).

Veel mensen die zich in een vergelijkbare situatie bevinden, herkennen zich in deze boeken, alhoewel de meningen soms ook sterk uiteen kunnen lopen. Zo bestrijdt Olympisch Goud winnaar Maarten van der Weijden in zijn boek ‘Beter’ de al te optimistische theorieën van Lance Armstrong over overleven met kanker (6). Kortom, de wijsheid van een enkeling is nog niet meteen de kennis van iedereen met diezelfde ziekte of aandoening.

Hoe de wijsheid van een enkeling te vertalen is tot de kennis van een kleine groep, een kleine massa met dezelfde ziekte, bewijst het verhaal van Henk-Willem en Liesbeth Laan, de ouders van de inmiddels 5-jarige Joas. In hun verhaal spelen internet en de mogelijkheden van de nieuwe, sociale media een belangrijke rol.

### ***Het verhaal van Joas Laan***

#### ***‘De wijsheid van een kleine groep’***

*Joas Laan wordt in de zomer van 2006 geboren. Al snel na de geboorte wordt het zijn ouders duidelijk dat er iets niet in orde is en begin 2007 wordt vastgesteld dat Joas het zeer zeldzame Marshall Smith Syndroom (MSS) heeft. Veel mensen zouden niet meteen weten wat te doen als een ziekte zo weinig voorkomt, maar niet de ouders van Joas. Zij starten meteen een zoektocht via internet en zorgen er voor dat alle mensen die wereldwijd op het internet zoeken op het Marshall Smith Syndroom op hun website [www.marshallsmith.org](http://www.marshallsmith.org) terecht komen.*

Voor zover bekend, zijn er naast Joas nog twee kinderen in Nederland met MSS. Op 29 februari 2008 krijgen deze drie families ter gelegenheid van Wereld Zeldzame Ziekten Dag een cheque van 7.000 Euro ter stimulering van het verdere onderzoek naar dit syndroom. Van dit geld zijn de ouders met hun kinderen naar Londen gegaan. Naar de Nederlandse AMC-hoogleraar Raoul Hennekam, die toen ook verbonden was aan het Great Ormond Street Hospital in Londen. Mede door het contact met Raoul Hennekam is er een wereldwijd netwerk van onderzoekers naar het MMS tot stand gekomen.

Via internet is de zoektocht naar meer patiënten verder gegaan, wat geleid heeft tot een bijeenkomst in 2009 in Valkenburg met negen patiënten en hun ouders uit de gehele wereld. Inmiddels zijn door het internet 33 patiënten bereikt, die als alles naar wens verloopt, in de zomer van 2011 weer bij elkaar komen in het Ronald McDonald vakantiehuis in Valkenburg. De onderzoekers hebben intussen met het verzamelde DNA-materiaal van een aantal van deze patiënten in 2010 één van de voor het Marshall Smith Syndroom verantwoordelijk genen weten te identificeren.

## **Het gebruik van een wiki**

Wat in de samenwerking tussen ouders en onderzoekers uniek is, is dat een internetconsultatie van de ouders heeft plaatsgevonden naar de symptomen die zich bij het Marshall Smith Syndroom voordoen. Daartoe is door een arts een beschrijving van het MSS gemaakt op basis van een klein aantal patiënten die door hem gezien zijn. Die beschrijving is herschreven in leken-taal en vertaald in zeven verschillende talen. Via internet, in de vorm van een wiki, konden families met een kind met MSS daar hun eigen commentaar en observaties aan toevoegen (Een wiki is een website waarop bezoekers zelf op een eenvoudige manier informatie kunnen toevoegen of aanpassen. Daarvoor is geen toestemming of toegangscode nodig. Bij sommige wiki's moet je je wel eerst registreren. Het bekendste voorbeeld van een wiki is Wikipedia, cs) Door de ervaringen van andere ouders te lezen, werden de teksten aangevuld met observaties die ouders oorspronkelijk niet zo belangrijk vonden of niet direct in verband brachten met MSS. Op basis van al deze commentaren is de oorspronkelijke beschrijving van de ziekte herschreven en is veel nieuwe informatie toegevoegd over het natuurlijk beloop van de ziekte.

## **Expertcentra voor zeer zeldzame aandoeningen**

Bij uiterst zeldzame aandoeningen gaat het om ziektebeelden met een prevalentie van minder dan één geval per 2 miljoen inwoners. Daarmee vormen ze echter wel een behoorlijk deel van de naar schatting 13,5 miljoen Europeanen met een zeldzame ziekte. Terwijl de diagnostiek en de zorg voor mensen met een zeldzame aandoening nog in een landelijk expertise-centrum ondergebracht kan worden, is dat voor de uiterst zeldzame aandoeningen niet het geval. Daarvoor is de oprichting van virtuele expertcentra nodig, waar internet een cruciale rol in speelt. Voor een goede diagnostiek is het bijvoorbeeld van belang dat er een goed beveiligde website is, waar alle ongediagnosticeerde Europese patiënten in opgenomen kunnen worden. Een website

waarin gebruik gemaakt wordt van een gestandaardiseerde set van beschrijvingen van symptomen en waarin ook een beeldbank zit met foto's van de klinische symptomen, waardoor vergelijkbare patronen en patiënten snel herkend kunnen worden. Dergelijke beeldbanken bestaan al, zoals de London Dysmorphology Data Base en Possum (zie hiervoor [www.lmddatabases.com](http://www.lmddatabases.com) en [www.possum.net.au](http://www.possum.net.au)). Door de aanwezigheid van een dergelijke beeldbank, kon ook bij Joas Laan de diagnose worden gesteld.

## **Nieuwe doelen**

De ouders van Joas Laan hebben in een paar jaar tijd volop gebruik gemaakt van de mogelijkheden die internet biedt. De MSS website is er inmiddels in 7 talen en is omgevormd tot een internet-community, een daaronder liggend patiëntenregister en een uitgebreid wiki-document met de specifieke symptomen en klachten van mensen met MSS. Via Facebook worden dagelijks verhalen en foto's gedeeld en ook dat betekent veel voor zowel kinderen (die nu zien dat er ook andere kinderen met MSS zijn) en ouders (die nu zien dat kinderen met MSS ook volwassen kunnen worden). De MSS Stichting heeft zich voor de komende drie jaar tot doel gesteld om 100.000 Euro bij elkaar te brengen voor onderzoeksprojecten naar de mogelijke behandeling van MSS en het opstellen van zorgstandaarden.

Verdere info: [www.marshallsmith.org](http://www.marshallsmith.org)

Hiervoor zijn al de boeken genoemd van Lance Armstrong en Maarten van der Weijden, twee sporters die op weg naar hun sportieve hoogtepunten getroffen werden door kanker. Ook het recent verschenen 'Ik heb kanker ... en ik leef een goed, gelukkig en gezond leven' van Peter Kapitein past in dit rijtje topsporters met kanker (7). Zowel Lance Armstrong als Peter Kapitein hebben hun favoriete sport gecombineerd met een vorm van actie om geld in te zamelen voor het onderzoek naar de oorzaak en de behandeling van kanker. Zo besloot Lance Armstrong in 1997 geld in te zamelen voor kankeronderzoek, gericht op meer kans op genezing ([www.livestrong.org](http://www.livestrong.org)). Hij richtte in Austin, Texas, de Ride for the Roses op. In 1998 werd in Amsterdam het startschot gegeven voor de eerste Ride for the Roses in Nederland. Sindsdien wordt dat evenement ieder jaar gehouden en de opbrengst gaat naar het Koninging Wilhelmina Fonds, KWF/Kankerbestrijding. De stichting Alpe d'HuZes kent een vergelijkbaar doel, fietsend geld ophalen voor KWF/Kankerbestrijding.

## **Het verhaal van Peter Kapitein 'Fietsen met een dierbare op je bagagedrager'**

Bij triatleet Peter Kapitein was het zijn vriend en collega Coen van Veenendaal, die in 2005 het idee opperde om met het beklimmen van de Alpe d'Huez geld in te zamelen voor de bestrijding van kanker ([www.opgevenisgeenoptie.nl](http://www.opgevenisgeenoptie.nl)). En zo werd op 6 juni 2006 voor de eerste maal Alpe d'HuZes gehouden en werd door 66 wielrenners 6 maal de Alpe d'Huez beklommen.

*Een bijna onmogelijke opgave. Toch lukte het in de jaren 2006 tot en met 2010 al heel veel deelnemers, zelfs een aantal (ex-)kankerpatiënten. Werd in 2006 een bedrag van 370.000 Euro bij elkaar gefietst, in 2010 werd een recordbedrag van 12 miljoen Euro opgehaald! Het doel voor 2011 is om het recordbedrag van 2010 te verpulveren. Het geld is inmiddels via KWF/ Kankerbestrijding gericht besteed aan de ontwikkeling van het revalidatieprogramma A-CaRe voor mensen met kanker, een aantal projecten rond leven met kanker, voeding en kanker en de Bas Mulder Award (Bas Mulder was een mountainbiker, die aan kanker is overleden) voor jonge kankeronderzoekers.*

## **‘Understanding Life!’**

*Begin 2011 hebben de mensen van Alpe d’HuZes een grote bijeenkomst voor 75 (inter)nationale wetenschappers georganiseerd in het klassieke gebouw van de Koninklijke Nederlandse Academie voor Wetenschappen (KNAW). Dagvoorzitters waren Robbert Dijkgraaf, de president van de KNAW en Nout Wellink, president van de Nederlandse Bank en de werkgever van Peter Kapitein. De bijeenkomst was vooral bedoeld om een internationale agenda te maken om het wereldwijde onderzoek naar kanker te versnellen. Onder de titel ‘Understanding Life!’ is op deze conferentie een 5-punten actieprogramma opgesteld, waaronder ook weer het opbouwen van een wiki met de ervaringen van mensen met kanker en hun naasten. Een tweede doel is het opzetten van een internationale biobank met daarin het opgeslagen lichaamsmateriaal van mensen met kanker en hun biopten. Als derde doel is het sneller omzetten van de kennis van biologen (systeembioïogie) naar de kliniek, de behandeling in het ziekenhuis geformuleerd. Goede PR en een fondsenwervingprogramma om met name de eerste drie doelen te realiseren, vormen de bouwstenen van ‘Understanding Life!’ en daarmee de internationale agenda voor Alpe d’HuZes in de komende jaren. De weg naar deze agenda wordt in het boek van Peter Kapitein beschreven.*

*Verdere info: [www.opgevenisgeenoptie.nl](http://www.opgevenisgeenoptie.nl)  
[www.inspire2live.org](http://www.inspire2live.org)*

Alle hiervoor genoemde voorbeelden zijn een illustratie van het feit dat een enkeling met zijn verhaal heel wat kan losmaken bij in eerste instantie zijn eigen omgeving om vervolgens een bredere groep mensen in beweging te krijgen. Beweging om meer te doen voor een ziekte of aandoening waarover nog maar weinig bekend is, zoals in het geval van Joas Laan. Of beweging om meer te doen aan een ziekte waaraan meer en meer mensen lijden en waarvoor nog geen afdoende oplossing in zicht is, zoals in het geval van Peter Kapitein en Lance Armstrong.

Het begint bij taarten bakken en een klein eetfeestje thuis en het loopt uit op groot opgezette evenementen als Ride for the Roses en Alpe d’HuZes.

Opvallend is ook dat het internet een grote rol speelt bij het bereiken van mensen over de gehele wereld. Wat de ouders van Joas Laan bereikt hebben via internet, zou tien jaar geleden nog redelijk ondenkbaar zijn geweest. Ook onderzoekers en artsen staan meer en meer open voor dit soort benaderingen en het zorgt ook voor een stroomversnelling van hun werk. Zonder de nieuwe patiënten met MSS, die via de ouders van Joas gevonden zijn, zou het niet mogelijk geweest zijn één van de genen van het Marshall Smith Syndroom te vinden. Wat in dit geval op zeer kleine schaal gebeurt, gebeurt op veel grotere schaal op een website als [www.patientslikeme.com](http://www.patientslikeme.com). Het 'Patients like me' initiatief is in 2005 begonnen door de gebroeders Heywood, nadat bij één van hen de spierziekte ALS was geconstateerd. Inmiddels zijn zo'n 100.000 mensen met verschillende ziektebeelden aangesloten op deze site.

### ***Van wiki's naar patiëntenregisters en biobanken***

Participatie in onderzoek en beleid, vanuit het patiëntenperspectief, heeft er in de afgelopen tien, vijftien jaar voor gezorgd dat er heel veel is gebeurd op het terrein van de ontwikkeling van patiëntenregisters en biobanken. Waar de politiek net het Elektronisch Patiënten Dossier (EPD) heeft laten sneuvelen, gaan patiëntenorganisaties door met het aanmoedigen van hun leden hun lichaamsmateriaal op te slaan in biobanken. Biobanken zijn verzamelingen van lichaamsmateriaal (bloed, weefsel, DNA, tumoren) gekoppeld aan data over de donor of patiënt (patiëntenregisters) en zij zijn heel belangrijk voor wetenschappelijk onderzoek. Arts-onderzoekers maken vaak gebruik van lichaamsmateriaal bij onderzoek naar een ziekte, diagnose of therapie. Een probleem waar ze dan tegenaan kunnen lopen is het ontbreken van lichaamsmateriaal van voldoende patiënten. Dan kan samenwerking met een patiëntengroep voor vooral zeldzame aandoeningen voor een verrassende wending zorgen. We hebben dat hiervoor al gezien bij het Marshall Smith Syndroom, waar de verzameling van in eerste instantie negen patiënten al voor een wereld van verschil heeft gezorgd.

Maar ook grotere patiëntenorganisaties, zoals de Vereniging Spierziekten Nederland (VSN) zijn voorstander van het deelnemen van hun leden aan patiëntenregisters. De VSN heeft heel veel verschillende spierziekten in haar achterban en dan is een goed overzicht extra belangrijk, en vervolgens de verzameling van het lichaamsmateriaal van hun leden in biobanken om zo het onderzoek naar die verschillende aandoeningen te versnellen. Ook de VSN kan dit niet alleen en vandaar dat internationale samenwerking een absolute vereiste is. De VSN doet dat mede als onderdeel van het 'Treat NMD' netwerk, zie verder [www.treat-nmd.eu](http://www.treat-nmd.eu). Van dit netwerk maakt ook de Franse VSN, de Association Française contre les Myopathies (AFM) deel uit. De AFM en de Europese Organisatie voor Zeldzame Aandoeningen (EURORDIS) hebben gezamenlijk weer de EuroBioBank opgericht.

## **Het verhaal van de EuroBioBank en de Généthon Biobank**

*De EuroBioBank is het Europese netwerk voor DNA en lichaamsmateriaal van mensen met zeldzame aandoeningen. De Euro-biobank is in 2001 opgericht door de AFM en Eurordis (European Organisation for Rare Diseases). Binnen het netwerk zijn ruim 400.000 samples beschikbaar. Er nemen op dit moment dertien biobanken uit zeven landen aan het netwerk deel, waaronder de Généthon Biobank van de AFM. Verzameling en beheer van lichaamsmaterialen gebeurt in die zeven landen, gebonden aan nationale wetgeving. Zowel de EuroBioBank als de Généthon Biobank hebben als doel materiaal van hoge kwaliteit te verzamelen en zo efficiënt mogelijk beschikbaar te stellen voor onderzoek. Beiden hebben een online catalogus en voor de EuroBioBank geldt: 'If a sample does not appear in the EuroBioBank catalogue, help can be provided to further search it at: [contact@eurobiobank.org](mailto:contact@eurobiobank.org) ([www.eurobiobank.org](http://www.eurobiobank.org))'. Onderzoekers zijn verplicht de EuroBioBank te informeren over hun resultaten. Uit onderzoek blijkt dat de EuroBioBank in vergelijking met andere biobanken goed toegankelijk is voor onderzoekers. Sinds de oprichting in 2001 zijn er ruim 25.000 monsters uitgegeven (8). Het geld voor het in stand houden van de lange termijn infrastructuur voor deze twee biobanken komt van de jaarlijkse televisieacties van AFM in Frankrijk en Italië, die 130 miljoen Euro opleveren. Naast investeringen in biobanken, is met de opbrengst van deze televisieacties ook een gentherapie faciliteit gebouwd op het BioScience Park Genopole Parijs, waar onderzoekers en bedrijven uit de gehele wereld op dit moment een beroep op doen (9).*

*Verdere info: [www.eurobiobank.org](http://www.eurobiobank.org) en [www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr)*

Wat we in de cursieve tekst hierboven dus zien is een opschaling van de dataverzameling van een kleine groep naar weer grotere groepen en van nationaal naar internationaal samenwerken. De ontwikkelingen hebben vooral betrekking op het onderzoek naar zeldzame aandoeningen, waarvoor vaak geen of onvoldoende behandeling aanwezig is. De patiëntenorganisaties hebben hierbij gezorgd voor de lange termijn continuïteit. Geld van de Europese Commissie en eigen fondsenwerving hebben er voor gezorgd dat de benodigde infrastructuur kon worden opgezet in samenwerking met onderzoeksinstellingen, waar het verzamelde lichaamsmateriaal bewaard wordt door personen met de vereiste deskundigheid en binnen de vigerende beleidsregels. In veel landen betekent dit laatste dat een medisch-ethische toetsingscommissie beoordeelt of lichaamsmateriaal mag worden opgeslagen en of er een onderzoek mee mag worden uitgevoerd. Een belangrijke aanvulling hierop in Nederland is de Code Goed Gebruik die zelfregulerende regels stelt voor onderzoekers over het beheer van lichaamsmateriaal. Deze code is door de Federatie van Medisch Wetenschappelijke Verenigingen opgesteld, in samenwerking met een aantal patiëntenkoepels (10).



Ook bij biobanken voor meer voorkomende aandoeningen staat het betrekken van patiëntvertegenwoordigers op de agenda. We hebben dat hiervoor al gezien bij het 'Understanding Life' initiatief van Alpe d'HuZes. De werkwijze van het Nederlandse Parelsnoer Initiatief (PSI) is onderwerp van overleg met de Cliëntenraad Academische Ziekenhuizen (CRAZ), waarin patiëntenorganisaties zitting hebben. Het PSI is een data- en biobank van alle Nederlandse academische ziekenhuizen voor met name negen veel voorkomende ziektenbeelden. Samen met het BBMRI-NL denkt het PSI momenteel na over een model voor patiëntenparticipatie. Het Diabetes Fonds en de Nierstichting zijn betrokken bij de LifeLines biobank. De LifeLines biobank betreft een grootschalig bevolkingsonderzoek in Noord-Nederland dat in 2006 van start ging.

## ***Het verhaal van het BBMRI Stakeholder's Forum***

*Op Europees niveau denken patiëntenorganisaties mee in het stakeholder's forum van het BBMRI-EU project, waarin harmonisatie op EU niveau centraal staat. BBMRI-NL staat voor het samenwerkingsverband tussen biobanken in Nederland. BBMRI-NL is opgezet omdat voor het beantwoorden van belangrijke vragen onderlinge samenwerking tussen biobanken essentieel is. BBMRI-NL is het Nederlandse knooppunt binnen het Europese Biobanking and Biomolecular Resources Research Infrastructure. Het BBMRI stakeholder's forum signaleert vooral een belangrijke bijdrage van patiëntenorganisaties aan de communicatie rondom biobanken, werving van donoren en hun belangenbehartiging. Opvallend is de nadruk die het forum legt op het recht van patiënten op innovatie, naast meer gebruikelijke rechten zoals privacybescherming (11). Dit impliceert dat patiënten (organisaties) voorstander zijn van het goed benutten van het beschikbare lichaamsmateriaal. Er is dus een win-win situatie voor zowel patiënten als onderzoekers. Bij het startcongres van het BBMRI-NL in november 2010 in Amsterdam hield de Amerikaan Josh Sommer een imposant verhaal over zijn betrokkenheid bij het verzamelen van zeldzaam tumorweefsel, waarbij hij die win-win situatie omschreef als: 'patients represent a largely untapped source of funding, energy and know-how in the treatment development process', vertaald in het Nederlands 'patiënten vertegenwoordigen een vrijwel onaangetaste bron van financiering en energie voor, en kennis over het ontwikkelingstraject voor behandeling'.*

Verdere info: [www.chordomafoundation.org](http://www.chordomafoundation.org)  
[www.bbmri.eu](http://www.bbmri.eu) en [www.bbmri.nl](http://www.bbmri.nl)

Bij vaker voorkomende aandoeningen zullen patiëntenorganisaties minder snel een initiërende rol vervullen, maar hun bijdrage is dus evenzeer van belang. En het is niet vreemd dat los van elkaar over de gehele wereld patiëntvertegenwoordigers zoals Henk-Willem en Liesbeth Laan, Josh Sommer en Peter Kapitein allemaal het belang van biobanken benadrukken. Zoals gezegd, zijn de patiënten en hun vertegenwoordigers er van overtuigd dat dit heel belangrijk is en

eigenlijk staan zij hierin lijnrecht tegenover de Nederlandse politici die het EPD afwijzen en daar vooralsnog eerst op regionaal niveau mee willen experimenteren. Alhoewel een EPD van iemand vooral betrekking heeft op de gegevens over de behandeling, wordt in de discussie over het EPD vaak over het hoofd gezien dat in een ziekenhuis, en met name de academische ziekenhuizen behandeling en onderzoek vaak samenvallen of op elkaar aansluiten. Door dat samenvallen van behandeling en onderzoek, wordt juist het gebruik van grootschalige biobanken en patiëntenregisters een belangrijke voorwaarde om het wetenschappelijk onderzoek naar de oorzaak en de behandeling van ziekten te verbeteren.

## **Een cultuuromslag in de patiëntenbeweging**

Misschien wel het belangrijkste kenmerk van al deze ontwikkelingen is het feit dat het hier gaat om directe patiëntenparticipatie in wetenschappelijk onderzoek en beleid. Bij de meer traditionele patiëntenorganisaties komt deze betrokkenheid bij vooral wetenschappelijk onderzoek heel vaak pas veel later in beeld.

In die zin is er wel sprake van een cultuuromslag in de patiëntenbeweging. Vrijwel alle patiëntenorganisaties die in de jaren zeventig, tachtig van de vorige eeuw zijn opgericht, richten zich op de volgende drie taken:

1. Voorlichting en informatie verstrekken,
2. Het organiseren van lotgenotencontact en
3. Belangenbehartiging in de ruimste zin van het woord.

Het overheidsbeleid sluit daar ook op aan. De basissubsidie van het ministerie van VWS voor patiënten-, gehandicapten- en ouderenorganisaties (PGO-organisaties) is voor de financiering van die drie taken en niet veel meer. De subsidiëring laat weinig ruimte voor al te enthousiaste activiteiten op het terrein van onderzoek of het verruimen van het werkveld, laat staan een actieve inbreng in Europees of internationaal beleid. Die ruimte moet komen uit de eigen bijdragen van leden of donateurs of andere inkomsten, bijvoorbeeld van fondsen of van het bedrijfsleven.

De veel recenter ontstane patiëntengroepen richten zich veel meer op een nieuwe, vierde, taak van het PGO-veld, namelijk directe participatie in medisch-wetenschappelijk onderzoek en beleid. Om het onderzoek te stimuleren is fondsenwerving een vrijwel direct hieruit voortvloeiende activiteit. Pas nadat er enkele jaren verstreken zijn en er successen geboekt zijn, verschuift de aandacht naar de meer oorspronkelijke taken van de traditionele patiëntenbeweging.

Die cultuuromslag kun je ook beschrijven in termen van vernieuwing, van innovatie. Bas Bloem, hoogleraar Neurologische stoornissen, UMC St Radboud) verwijst in zijn verhalen vaak naar een boek van Clayton M. Christensen, dat in 1997 verscheen is onder de titel 'The Innovator's Dilemma' en in 1999 in het Nederlands met als titel 'Het innovatiedilemma' (12).

## **Het verhaal van ‘Het innovatiedilemma’**

*Christensen ontvouwt in ‘Het innovatiedilemma’ een gestructureerde manier om naar innovatieve ofwel ontwrichtende technologieën in bedrijfstakken te kijken. Een ontwrichtende innovatie (disruptive innovation) technologie is een ontwikkeling die onzichtbaar is en daardoor onderschat wordt door een bestaande industrie (de status quo). Daar zijn een paar redenen voor. In eerste instantie is een ontwrichtende technologie technisch ondergeschikt aan de leidende technologie (sustaining technology). Denk hierbij aan de opkomst van de personal computer (pc) ten opzichte van de micro-computers of recent de ontwikkelingen in de mobiele telefoonmarkt (veranderend bel- en sms-gedrag van jongeren via mobiel internet, cs). Klanten die deze technologie gaan gebruiken, doen dit omdat de leidende technologie onbereikbaar is, te duur, of een andere functionaliteit bevat. De ontwrichtende technologie heeft tijd (en ontwikkeling) nodig om volwassen te worden. Omdat bestaande bedrijven bezig zijn hun winstgevendende klanten te bedienen en hun focus richten op het uitbreiden van deze markt, ontsnapt de ontwrichtende technologie aan hun aandacht. In de loop der tijd (doorgaans tien jaar) wordt de ontwrichtende technologie verbeterd en krijgt momentum. Bedrijfstakken die worden overvallen, vallen volgens Christensen weinig te verwijten: managers handelen zakelijk en rationeel totdat het te laat is. Christensen ontleedt vier principes die gevestigde bedrijven kenmerken en daarmee vatbaar zijn om slachtoffer te worden van een ‘ontwrichting’: bedrijven zijn voor hun financiële middelen afhankelijk van klanten en beleggers; kleine markten voorzien niet in de groei-behoefte van grote bedrijven; markten die niet bestaan kunnen niet geanalyseerd worden; en het technologie-aanbod is niet gelijk aan de marktvrage.*

*(Deze tekst is afkomstig uit een recensie van Bertrand Wagenaar van 22 oktober 2008 in Management en Literatuur, zie [www.managementenliteratuur.nl](http://www.managementenliteratuur.nl). Geraadpleegd op 21 april 2011)*

## **De innovatieve waarde van betrokken patiënten(organisaties)**

De hiervoor beschreven nieuwe patiëntengroepen kun je in de termen van Christensen beschrijven als disruptie-innovation, als vernieuwers op de markt van de gezondheidszorg. Ze zijn een tijd onzichtbaar geweest of worden als randverschijnsel beschouwd. Maar ze worden op een bepaald moment zichtbaar omdat ze een belangrijke rol gaan spelen in het faciliteren van onderzoek en het verzamelen en beheren van lichaamsmateriaal van patiënten in het bijzonder (13). Deze rol is zelfs doorslaggevend omdat, zoals de voorbeelden laten zien, patiënten(organisaties) sterk zijn in:

- 1) het bijeenbrengen van patiënten en hun lichaamsmateriaal (Marshall-Smith);
- 2) het delen van gegevens voor onderzoek en organiseren van samenwerking (EuroBiobank) en
- 3) het bijeen krijgen van financiering voor biobanken en onderzoek, ook voor de langere termijn (zie bijv. AFM/Généthon biobank, Duchenne Parent Project, Alpe du Hu’Zes).

De Nederlandse innovatiewetenschapper Wouter Boon heeft voor zijn proefschrift vooral gekeken naar veranderingen in de gezondheidszorgmarkt en heeft daarbij ook naar het werk van innoverende patiëntenorganisaties gekeken (14). Eén van zijn conclusies is dat organisaties van gebruikers, zoals patiëntenorganisaties één van de meest prominente actoren in de innovatie arena van de gezondheidszorg zijn. De voorbeelden binnen de patiëntenbeweging die hij bestudeerd heeft zijn de Vereniging Spierziekten Nederland (VSN), de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen (WGM) en de Borstkanker Vereniging Nederland (BVN).

Kortom, deze nieuwe patiëntenorganisaties richten zich op een nieuwe, vierde, taak van het PGO-veld, namelijk directe participatie in medisch-wetenschappelijk onderzoek en beleid. Om het onderzoek te stimuleren is fondsenwerving een vrijwel direct hieruit voortvloeiende activiteit. Pas nadat er enkele jaren verstreken zijn en er successen geboekt zijn, verschuift de aandacht naar de meer oorspronkelijke taken van de traditionele patiëntenbeweging. Vaak gebeurt dit ook omdat men tegen knelpunten is aangelopen, die in die beginperiode niet aan de orde waren. Een voorbeeld hiervan is het Duchenne Parent Project. Hier liepen ze enkele jaren geleden tegen het probleem aan dat het in Nederland niet zo eenvoudig is medicijnonderzoek te doen bij kinderen.

## ***Het verhaal over medicijnonderzoek bij kinderen***

*Elizabeth Vroom is het gezicht van een doorbraak in het onderzoek naar de zeldzame spierziekte van Duchenne. Zij kwam in 1994 in Amerika met andere ouders van kinderen met Duchenne bijeen. Daar werd afgesproken 40 miljoen dollar in te zamelen voor onderzoek naar de ziekte. Elizabeth kreeg binnen vier jaar twee miljoen dollar bij elkaar waarmee zij via het Duchenne Parent Project (DPP) onderzoek financierde. Dit heeft geresulteerd in een gentherapie-achtig product dat inmiddels in klinische studies wordt getest. Dit product is ontwikkeld binnen het Leids Universitair Medisch Centrum (LUMC) in samenwerking met het Leidse biotechbedrijf Prosensa. Zowel het LUMC als Prosensa hebben dit werk vooral kunnen doen dankzij de financiering vanuit het Duchenne Parent Project. Voor de verdere ontwikkeling en wereldwijde introductie van deze nieuwe behandeling zijn inmiddels contracten afgesloten met GSK.*

*Toen voor de klinische studie bij kinderen in Nederland toestemming werd aangevraagd bij de Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (CCMO), werd die niet verkregen omdat de onderzoeksbelasting voor jongeren met de ziekte van Duchenne te zwaar zou zijn en ze er ook niet direct baat van zouden ondervinden. Zowel de betrokken kinderen als hun ouders waren het hier niet mee eens. Zij vonden het onderzoek van groot belang en vonden de risico's acceptabel. In hun argumentatie speelde ook een rol dat de Nederlandse regels voor onderzoek bij kinderen strenger waren dan elders in Europa. Door dit probleem, maar ook andere gevallen – met name rond onderzoek bij kinderen met kanker – is in 2007 de Commissie*

*Doek ingesteld, die na enkele jaren voorwerk de minister van VWS in december 2009 geadviseerd heeft de voorwaarden voor onderzoek bij kinderen iets te verruimen (15). Elizabeth Vroom heeft als ervaringsdeskundige meegewerkt aan het advies van de Commissie Doek. De minister van VWS heeft hier zeer recent op geantwoord en gaat op belangrijke punten mee en op minder belangrijke punten niet mee met het advies van de Commissie Doek (16). De vraag is of het standpunt van de minister overeind blijft in de komende parlementaire behandeling.*

*Het betreffende onderzoek is inmiddels – onder dezelfde Europese wetgeving – uitgevoerd in Zweden en België en de eerste onderzoeksresultaten zijn zodanig bemoedigend dat de studies nu voortgezet kunnen worden met hogere dosis. Voor deze studies is inmiddels door de CCMO toestemming verleend, zodat dit onderzoek nu ook onder Nederlandse jongeren met Duchenne kan plaatsvinden.*

*Verdere info: [www.themeeting.eu](http://www.themeeting.eu)  
[www.duchenne.nl](http://www.duchenne.nl)*

Dit voorbeeld laat zien tegen welke vervolproblemen je aan kunt lopen als je eenmaal op weg bent een begin van een behandeling voor een nog onbehandelbare ziekte te ontwikkelen. Iedereen zou verwachten dat zo'n doorbraak met het nodige enthousiasme verwelkomd wordt, maar dat hoeft niet zo te zijn. Wat voor de een één voordeel lijkt te zijn, is voor de ander misschien weer een nadeel. Zo is de Vereniging Spierziekten Nederland in het verleden geconfronteerd met bezwaren van dierenbeschermingsorganisaties tegen de ontwikkeling van een medicijn voor de ziekte van Pompe. Een medicijn dat gemaakt werd uit de melk van transgene konijnen. Vanwege deze maatschappelijke bezwaren is het maken van dit medicijn bij het Leidse bedrijf Pharming gestaakt. Door een ander bedrijf wordt hieraan inmiddels verder gewerkt in België met aanzienlijke financiële injecties van de Vlaamse overheid.

## **Samenwerking met bondgenoten**

Wanneer dit soort problemen zich voordoet, moet je als vereniging vaak in een breder verband opereren en steun zoeken bij andere, al langer bestaande patiëntenorganisaties en koepels om deze problemen op te pakken. Zo is bij het pleidooi om de spelregels voor het onderzoek bij kinderen te verbreden, ook de Vereniging van Ouders van Kinderen met Kanker (VOKK) nauw betrokken en ook koepels als de NFK en de VSOP. Gezamenlijk hebben zij in 2010 een artikel gepubliceerd in het Tijdschrift voor Gezondheidsrecht om te bepleiten dat de ervaringsdeskundigheid van vertegenwoordigers van patiënten wordt meegenomen in de samenstelling van medisch-ethische commissies, die wetenschappelijk onderzoek bij mensen beoordelen (17). In Nederland en in enkele andere Europese landen is dat bij wet verboden, maar in andere landen - zoals in Engeland - wordt dat door de overheid juist gestimuleerd.

Het hierboven genoemde maatschappelijk verzet tegen dierproeven is door de VSOP opgepakt om samen met proef-dieronderzoekers, onderzoeksinstituten en het bedrijfsleven de Stichting Informatie Dierproeven (SID) op te richten. Via deze stichting en met name hun website [www.informatiedierproeven.nl](http://www.informatiedierproeven.nl) wordt geprobeerd het grote publiek een genuanceerder inzicht te geven in de redenen waarom onderzoek met proefdieren gebeurt en wat dit onderzoek in medisch-wetenschappelijk opzicht aan resultaten heeft opgeleverd.

## De 'care'

### Van 'cure' naar 'care'

De in dit boekje beschreven ontwikkelingen en voorbeelden bouwen voort op het boekje dat ik twee jaar geleden voor dit patiëntensymposium heb geschreven, namelijk 'Het verhaal van ..., negen verhalen over patiëntenparticipatie in geneesmiddelenonderzoek' (18). 'Het verhaal van ...' gaat daarmee ook vooral over de ontwikkelingen in de 'cure', de wereld van de diagnose, de oorzaak en de behandeling van ziektebeelden. Het gaat over de 'unmet medical needs', de nog niet vervulde behoeften van gebruikers in de gezondheidszorg en de zoektocht naar een behandeling of een betere behandeling in nauwe samenwerking met arts-onderzoekers en bedrijfsleven.

De ontwikkelingen in de 'care' zijn vorig jaar tijdens het patiëntensymposium aan de orde gekomen. Alhoewel cure en care van die containerbegrippen zijn, waarvan iedereen zo ongeveer denkt te weten wat het precies inhoudt lopen de definities van deze begrippen nogal uiteen. In mijn beleving, gebruik ik het woord 'care' hier vooral om de zorg en de begeleiding van patiënten en cliënten in de gezondheidszorg aan te geven. Hans Blaauwbroek en Ele Visser hebben in het boekje dat zij vorig jaar voor dit patiëntensymposium hebben geschreven 'Klanten kiezen kwaliteit, de invloed van patiëntenorganisaties op de kwaliteit van de zorg' al een zevental voorbeelden behandeld, waarin het speelveld voor kwaliteitsverbetering tussen zorgverzekeraars, zorgaanbieders en PGO-organisaties wordt beschreven (19).

### ***Het verhaal van Blaauwbroek en Visser***

*De zeven kwaliteitsvoorbeelden die door hen zijn beschreven zijn:*

1. *Apotheken door cliënten bekeken, van de Nederlandse Patiënten- en Consumenten Federatie (NPCF),*
2. *Patiëntenparticipatie bij zorginkoop door ziekenhuizen, van Zorgbelang Groningen,*
3. *Verstand van verzekeren, van de Nierpatiënten Vereniging Nederland (NVN),*
4. *Collectieve contracten voor diabetespatiënten, van de Diabetes Vereniging Nederland (DVN),*
5. *COPD kwaliteitscriteria vanuit patiëntenperspectief, van het Astma Fonds,*
6. *Het Vaatkeurmerk, van de Hart & Vaatgroep en de*
7. *NVN Kwaliteitstoets Dialyse, eveneens van de Nierpatiënten Vereniging Nederland (NVN).*

*In dit driehoeksspel tussen zorgverzekeraars, zorgaanbieders en PGO-organisaties, spelen de PGO-organisaties diverse rollen, namelijk:*

- 1. Werken aan kwaliteitsverbetering met zorgaanbieders,*
- 2. Betrokkenheid bij inkoopbeleid zorgverzekeraars,*
- 3. Beoordeling uitvoering basisverzekering en het publiceren hierover,*
- 4. Sluiten van collectieve contracten voor leden*
- 5. Formuleren van kwaliteitscriteria voor zorginkoop*
- 6. Beoordelen van prestaties van zorgaanbieder en het publiceren hierover en het*
- 7. Toetsen van kwaliteit ten behoeve van kwaliteitsverbetering.*

## **Klanten kiezen kwaliteit, het werkt!**

*Aan het einde van hun boekje verbinden zij hier een aantal conclusies aan, waarvan de voornaamste is: samenwerking tussen patiëntenorganisaties, zorgaanbieders en zorgverzekeraars leidt tot betere kwaliteit vanuit patiëntenperspectief. Daarmee leidt de nieuwe rolverdeling tussen de drie partijen die na de stelselwijziging van 2006 is ontstaan, tot mooie samenwerkingsprojecten en invloed vanuit patiëntenperspectief. Zij plaatsen hier vervolgens wel een aantal kritische kanttekeningen bij.*

*Alle zeven 'best practices' zijn gerealiseerd door grotere, goed georganiseerde en uitgeruste patiëntenorganisaties. Kennis en professionaliteit zien zij als een voorwaarde voor succes. De projecten zijn allen gestart op basis van aanvullende projectfinanciering. Om de continuïteit van deze samenwerking te waarborgen is structurele financiering van de verschillende vormen van kwaliteitsontwikkeling noodzakelijk. Dit betekent dat het een bestanddeel van de reguliere financiering moet worden.*

*Structurele financiering lost ook een ander probleem op. De projecten zijn gericht op innovatie. Implementatie en structurele toepassing blijft vaak achterwege door gebrek aan geld. Het NPCF project 'Apotheken door cliënten bekeken' laat zien dat het anders kan. Langdurige toepassing van het systeem is noodzakelijk om resultaten zichtbaar te maken. Alleen dan wordt het onderdeel van de normale bedrijfsvoering. Voor 'Apotheken door cliënten bekeken' geldt dit. De toets wordt nu betaald uit de reguliere exploitatie.*

*Eén rol is door de PGO-organisaties nog niet ingevuld. Dat is het toetsen van het inkoopbeleid van de zorgverzekeraar. Het inkoopbeleid is niet transparant. Onduidelijk is welke afspraken zorgverzekeraars maken met zorgaanbieders over het nakomen van leveringsafspraken. Onduidelijk is ook op welke wijze dit getoetst wordt. Verzekerden weten meestal niet waar ze recht op hebben. Hier ligt dan ook nog een heel terrein braak.*



*Kwaliteit vanuit patiëntenperspectief is langzamerhand een breed geaccepteerde benadering geworden in de gezondheidszorg. Partijen werken hierin van oudsher samen, maar door de stelselwijziging in 2006 en door forse ondersteuning vanuit de overheid, wordt de samenwerking intensiever en succesvoller. Om deze ontwikkeling door te kunnen zetten, moet de overheid blijven investeren en stimuleren, aldus Blaauwbroek en Visser.*

Het patiëntensymposium 2011 bouwt in haar programma verder op de door Blaauwbroek en Visser al aangeleverde bouwstenen. Sprekers als Maarten Ploeg (Diabetes Vereniging Nederland, DVN), Erik van Uden (Vereniging Spierziekten Nederland, VSN), Bas Bloem (UMC Sint Radboud) en Stefanie van Vliet (Parkinson Vereniging) gaan in hun bijdragen in op die veranderende rollen van patiëntenorganisaties, de inschakeling van nieuwe sociale media, de rol van ICT en e-health in de dagelijkse begeleiding en zorg voor patiënten en cliënten. Zij zullen het hebben over de patiënt als hoeder van de kwaliteit van de gezondheidszorg en de dokter 'nieuwe stijl', het zal gaan over het in gezamenlijkheid beslissingen nemen ('shared decision making'). En om met Bas Bloem te spreken: al deze voorbeelden ter verbetering van de kwaliteit van de zorg kunnen op termijn ook leiden tot een daling van de kosten van de zorg.

## **Uitdagingen voor de care in de toekomst**

Zelf zou ik in relatie tot de care, nog wel drie onderwerpen willen benoemen die naar mijn mening meer aandacht van de patiëntenbeweging mogen hebben. Als eerste is daar de vergrijzing, de langere levensduur van de bevolking die gelukkig ook in de patiëntenbeweging naar voren komt in de vorm van een goede of betere levensverwachting voor ziektes die vroeger een snelle dood zouden betekenen. Het tweede probleem hangt hier nauw mee samen en dat is het verschijnsel comorbiditeit, dat wil zeggen het hebben van meer dan één ziekte. Comorbiditeit hangt nauw samen met die vergrijzing, dat ouder worden van chronisch zieken. Het nadeel van dat ouder worden is het optreden van meerdere ziektes, en dan vooral de reguliere ouderdomsziekten (20, 21). Het derde probleem heeft ook een verband met de vorige twee onderwerpen, en dat is de mogelijkheid van zelfregie, het roer in eigen handen hebben en kunnen behouden. Die zelfregie kan in de knel komen en dan is het van groot belang dat er iemand is die de regie kan overnemen en het overzicht heeft van iemands contacten in de gezondheidszorg. Dat kan iemand zijn uit de directe omgeving van de betreffende patiënt of cliënt of iemand uit de sfeer van de hulpverlening. Overigens geldt de behoefte aan iemand die de regie heeft of kan overnemen, niet alleen op oudere leeftijd maar het kan ook van groot belang zijn als sprake is van een complexe behandelsituatie zoals in het hierna beschreven voorbeeld.

## **Het verhaal van Walter Stolz ‘Gevangen in de zorgketen’**

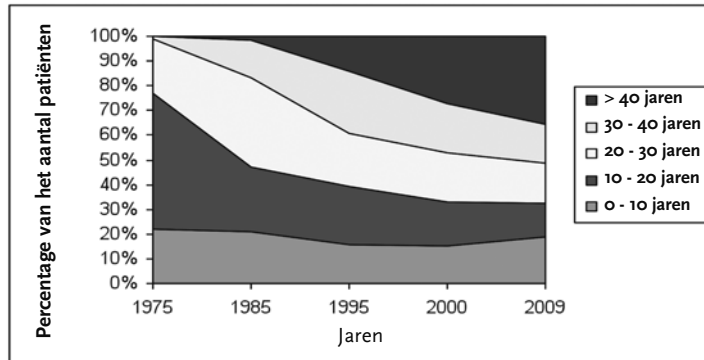
*Aan de in het begin genoemde ego-documenten, is onlangs een nieuw boek toegevoegd en dat is ‘Gevangen in de zorgketen, verslag van een dwaaltocht door de gezondheidszorg’ (22). Dit boek is geschreven door Walter Stolz, consultant maar vooral de partner van Marjolein de Vries, die in 2007 overleed nadat een jaar eerder drie hersentumoren bij haar waren vastgesteld. Stolz beschrijft in dit boek minitueus alle stappen van haar behandeling. Hij baseert zich daarbij op het medisch dossier, zijn dagboek, gespreksverslagen en correspondentie met artsen. Dat artsen, verpleegkundigen, maar ook medewerkers van de thuiszorg allemaal in een harnas zitten van te krappe agenda's, prestatie- en productienormen is al lang bekend. Stolz laat de keerzijde hiervan zien: gebrek aan kwaliteit, gebrek aan compassie en matige kwaliteit. En hoe dit een wissel trekt op de patiënt en haar omgeving. Wat zijn boek de moeite maakt, is de analyse van de oud-consultant. Waarom bijvoorbeeld is er geen arts die de leiding neemt bij zo'n ingewikkelde, maandenlange behandeling verdeeld over twee ziekenhuizen? Iemand die met de vuist op tafel slaat als onderzoeksresultaten voor de zoveelste keer op zich laten wachten? Of die zijn collega's aanspreekt om iets geregeld te krijgen? Een case-manager lijkt immers logisch. Nu neemt Stolz vaak de regierol op zich, zonder dat hem dat overigens wordt gevraagd, zonder dat iemand erbij stilstaat of hij die rol sowieso aan kan. En dus zien we hem redderen, de gaten dichten die de zorgprofessionals laten vallen.*

*(Deze tekst is afkomstig van de boekrecensie van Jeroen den Blijker in Trouw van 15 april 2011)*

Het ouder worden met een chronische ziekte, heb ik gelukkig zelf mogen meemaken. Toen ik geboren werd met hemofilie, een afwijking in de bloedstolling, was mijn levensverwachting beperkt. Ik zou door het ontbreken van een behandeling waarschijnlijk niet oud worden. Met een beetje geluk zou ik de dertig halen. Het is een ander verhaal geworden dankzij de komst van een effectieve behandeling. Mijn levensverwachting is inmiddels vrijwel normaal. Voor de totale patiëntengroep met hemofilie ziet het plaatje er inmiddels ook totaal anders uit. In een periode van veertig jaar is de samenstelling van de patiëntengroep met hemofilie totaal veranderd. In figuur 1 zien we dat er in 1975 vrijwel geen patiënten waren boven de leeftijd van 30 jaar. Vijfendertig jaar later zien we dat bijna de helft van de patiënten ouder is dan 30 jaar. Niet alleen voor de individuele patiënt heeft dit grote gevolgen, ook voor de betreffende patiëntenvereniging is dat het geval. Binnen één en dezelfde vereniging is er nu sprake van verschillende generaties, met ieder totaal verschillende problemen.

De ingewikkeldheid, de complexiteit rond dit ouder worden kan ook geïllustreerd worden met figuur 2, dat weergeeft met welke artsen en hulpverleners iemand met een ernstige vorm van hemofilie op oudere leeftijd te maken kan krijgen. Deze contactencirkel groeit in de loop van de tijd van de contacten met de normale artsen en verpleegkundigen

**Figuur 1: Leeftijdsverdeling mensen met ernstige hemofilie (n = 338)**



(Bron: Van Creveldkliniek, UMCUtrecht, 2010, persoonlijke mededeling)

**‘Oud worden het hiv’  
Het patiëntenperspectief**



Figuur 2: Contactencirkel van een oudere patiënt met ernstige hemofilie

voor de behandeling van hemofilie uit tot contacten met de artsen voor de complicaties van de behandeling (de orthoped, de revalidatiearts, de fysiotherapeut) en de bijwerkingen van de medicijnen (in dit geval een infectie met hepatitis C, hiv/aids en diabetes, nierfalen en dergelijke als gevolg van de hiv/aids medicatie. Overigens komen infecties met hiv/aids en hepatitis C sinds 1986 niet meer voor bij mensen met hemofilie en andere gebruikers van bloed of bloedproducten). Deze contactencirkel kan in de praktijk natuurlijk nog uitgebreid worden met de administratieve regelzaken waar chronisch zieken en mensen met een handicap te maken hebben als het gaat om dingen als uitkeringen, aanvragen van hulpmiddelen, thuiszorg en dergelijke. Het is een groot aantal mensen gelukkig gegeven dat ze dit zelf kunnen regelen, maar een groot aantal mensen kan dit niet zelf en heeft hulp nodig.

Dit proces van ouder worden noem ik tegenwoordig transitie van zorg, van de volwassenenzorg naar de ouderenzorg. De overgang naar een volgende levensfase, een overgang naar de leefwereld van aanleunwoningen, verzorgings- en verpleeghuizen en helemaal aan het einde een plek om rustig te sterven. Als dat niet thuis kan, graag in een hospice en graag op een wijze die past bij de persoonlijke visie van iemand.

Alhoewel er de afgelopen jaren veel geld en energie is gepompt in het Nationaal Programma Ouderenzorg (NPO), is de bemoeienis van de PGO-organisaties met dit programma beperkt gebleven tot de CSO, de koepel van ouderenorganisaties. CSO en ZonMw hebben gezamenlijk het handboek ouderenparticipatie in de zorg ontwikkeld, maar betrokkenheid van juist die patiëntenorganisaties die te maken hebben met die transitie (en die daarmee nu ervaring beginnen op te doen) is tot nu toe uitgebleven (23). Eigenlijk is het alleen de HIV-Vereniging Nederland, die inmiddels een 10-puntenplan opgesteld heeft om dit onderwerp in de toekomst uit te werken. Met de HIV-Vereniging Nederland wil ik dit hoofdstuk over innovaties in de care beëindigen. Het is vooral de aids-beweging geweest, die de afgelopen dertig jaar voor talrijke innovaties in de gezondheidszorg heeft gezorgd. De versnelde toelating van aids-remmers, de buddy-zorg, andere vormen van omgaan met stervens- en rouwprocessen en mogelijk in de toekomst, innovatieve projecten in de ouderenzorg.

# ‘Het beleid’

## Het toekomstige beleid van de patiëntenbeweging

Is de patiëntenbeweging anno 2011 goed in staat haar ‘derde partij’ rol in te vullen? Met andere woorden, speelt de patiëntenbeweging echt mee in het spel tussen zorgaanbieders en zorgverzekeraars? Ontwikkelt de patiëntenbeweging genoeg tegenkracht - countervailing power met een moeilijk woord - tegenover de overheid en de politiek?

Zoals ook al in het voorwoord is aangegeven, wordt het antwoord op die vraag misschien wel bepaald door de vraag of je zelf deel uitmaakt van die patiëntenbeweging of dat je er van buitenaf tegenaan kijkt. De overheid wil graag een georganiseerde patiëntenbeweging, die met één stem spreekt. De Raad voor de Volksgezondheid en Zorg (RvZ), een adviesorgaan van de overheid wil graag dat de patiëntenbeweging minder afhankelijk wordt van overheidssubsidies en meer geld binnenhaalt van haar leden en donateurs (1). En de oud-hoogleraar patiëntenperspectief Margo Trappenburg is van mening dat de patiënt al genoeg heeft aan zijn eigen ziekte om daarnaast nog volop te moeten participeren in allerlei beleidsorganen (2).

De beleidsvisie van VWS op de patiëntenbeweging zal tijdens het patiëntensymposium verwoord worden door Leon van Halder, directeur-generaal curatieve zorg van het Ministerie van VWS. Een tipje van de sluier van zijn verhaal is al opgelicht door recente mededelingen van minister Schippers van VWS (haar aangekondigde beleidsbrief over de toekomst van de PGO-organisaties, was op het moment van schrijven van deze tekst nog niet beschikbaar). Enkele bekende boodschappen: er komt géén geld bij, integendeel. De PGO-organisaties zullen de komende jaren moeten bezuinigen en meer moeten samenwerken. Een andere wens van de overheid, meer zelfregie: de patiënt, de cliënt, de consument zal meer zelf moeten regelen en vaker een beroep moeten doen op mantelzorgers, mensen in de directe omgeving. Sommige voorzieningen komen niet meer uit het basispakket of de AWBZ, maar moeten bij de gemeente in het kader van de Wet Maatschappelijke Ondersteuning (Wmo) aangevraagd worden. En die gemeentes hebben op hun beurt ook al aangekondigd dat de burger fors zal moeten bijbetalen, meer zelf zal moeten doen of een groter beroep op mantelzorgers moet doen.

Maar hoe kijkt nu de patiëntenbeweging zelf aan tegen haar eigen functioneren. Daarover is niet zo veel materiaal beschikbaar. Er wordt door beleidmakers en wetenschappers meer over de patiëntenbeweging geschreven dan dat de patiëntenbeweging zelf schrijft over of reflecteert op haar eigen opereren als beweging, als emancipatiebeweging of op haar rol als derde partij.

Om iets van die zelfreflectie op het functioneren van de patiëntenbeweging in deze tekst te krijgen, heb ik de leden van de stuurgroep die jaarlijks dit patiëntensymposium bij GSK organiseert, gevraagd aan te geven wat zij als sterke en zwakte punten van de patiëntenbeweging zien en hoe zij vinden welke richting die beweging voor de toekomst op moet gaan. De stuurgroep bestaat uit:

- Els Borst-Eilers, oud-voorzitter van de NFK, de Nederlandse Federatie van Kankerpatiëntenorganisaties,
- Michael Rutgers, directeur van het Astma Fonds,
- Wim Wientjens, vice-president van de IDF, de Internationale Diabetes Federatie,
- Wilna Wind, directeur van de NPCF, de Nederlandse Patiënten en Consumenten Federatie en
- Marcel Joachimsthal, algemeen directeur van GSK, GlaxoSmithKline.

Hun antwoorden zijn door mij samengevat en komen erop neer dat zij de volgende sterke en zwakte punten van de patiëntenbeweging zien.

## ***Het verhaal van de stuurgroep: Sterke en zwakte punten van de patiëntenbeweging***

*Als sterke punten van de patiëntenbeweging worden genoemd:*

- 1. Een heldere plek in het zorgstelsel als derde partij, waarbij ze ook een speler is geworden in het zorgveld die steeds meer mede verantwoordelijk wil zijn voor de kwaliteit en verbetering van de zorg.*
- 2. Een breed palet aan lidorganisaties, wat een brede vertegenwoordiging mogelijk maakt.*
- 3. Door middel van meldpunten-acties, on-line platforms kunnen meningen vanuit de achterban snel helder worden.*
- 4. Een partij die met een originele, innovatieve aanpak komt richting de meer traditionele zorgbolwerken*
- 5. Eigen kwaliteitseisen formuleert ten aanzien van het toetsen van aanbieders aan die eisen*
- 6. Meer en meer eigentijdse communicatiemiddelen gebruikt om lotgenotencontact en empowerment te verbeteren en zelfmanagement van chronisch zieken stimuleert door het organiseren van internetfora*
- 7. Taboes op sommige ziekten doorbreekt, zoals hiv/aids, kanker, psychiatrie, ziekte van Alzheimer*
- 8. Mondigheid en zelfbewustheid nemen toe en tot slot*
- 9. De patiënt is steeds meer een relevante partij aan het worden in de ogen van de andere stakeholders, die overal bij betrokken moet worden.*

*De volgende punten worden genoemd als zwakke punten:*

- 1. De ervaringsdeskundigheid van de achterban wordt nog onvoldoende gebundeld en professioneel ingezet om het beleid van de andere partijen (overheid, zorgverzekeraars, zorgaanbieders) structureel te beïnvloeden. Hiervoor ontberen veel patiëntenorganisaties nog de financiële middelen.*
- 2. De patiëntenbeweging doet nog onvoldoende aan coalitievorming (soms met aanbieders, soms met verzekeraars) om de beïnvloedingsmacht te vergroten. Als positief voorbeeld wordt hier genoemd de bereikte successen bij het verbeteren van de snelle toegang tot soms ook dure geneesmiddelen door de coalitievorming tussen patiëntenorganisaties en behandelaars (hiv/aids, kanker)*
- 3. De patiëntenbeweging maakt onvoldoende duidelijk waarom zij met de huidige financiering onmogelijk de counter-vailing power kan zijn die de overheid verwacht en die nodig is om het driepartijstelsel echt te laten functioneren.*
- 4. Groot verschil in professionaliteit tussen patiëntenorganisaties onderling.*
- 5. Het teveel vasthouden aan de traditionele taken van belangenbehartiging, lotgenotencontact en informatievoorziening op een manier die niet altijd meer optimaal past in de huidige gezondheidszorg.*
- 6. De financiering van patiëntenorganisaties via subsidies van VWS wekt de indruk van afhankelijkheid. In die zin zou financiering van de PGO-organisaties uit de ziektekostenpremies een betere optie zijn.*
- 7. Het bestaan van een beleidsgerichte agenda spreekt per definitie niet aan bij het grote publiek.*
- 8. Het idee dat iedere ziekte een specifieke benadering vraagt, ook buiten het lotgenotencontact*
- 9. Versnippering tussen de diverse patiëntenorganisaties*

Er zitten enkele opvallende verschillen van mening in deze sterkte- zwakte analyse punten. Wat enerzijds als sterkte wordt gezien: de breedte aan lidorganisaties, wordt door anderen tegelijkertijd als zwakte gezien. De breedte staat vaak een eensgezind optreden in de weg. Ook over de inbreng van de eigen kennis van ervaringsdeskundigen bestaat verschil van mening. Er zijn mensen die vinden dat de eigenheid van patiënten en het naar voren brengen van hun mening teveel door professionals binnen de organisatie is overgenomen en er zijn mensen die vinden dat er meer en beter moet worden geprofessionaliseerd. Ook over de financiering van de PGO-organisaties lopen de meningen nog wel uiteen, van meer subsidie van de overheid tot een betere inbedding van die financiering in het zorgverzekeringsstelsel.

Wat verder opvalt is dat de derde partij rol meer vorm krijgt richting de zorgaanbieders dan richting de zorgverzekeraars. Het spel tussen zorgverzekeraars en de patiëntenbeweging verdient meer aandacht.

Dat laatste punt heb ik onlangs zelf ook nog benadrukt tijdens een 'zeepkist' optreden bij de PGO Support Beurs in Nieuwegein met onderstaande bijdrage.

## **Het verhaal van de biologicals en biosimilars: 'Patiëntenclubs, pak het eens anders aan!'**

*Recent mocht ik als lid van de Adviescommissie Pakket bij het College van Zorgverzekeringen (CvZ) vele brieven van stakeholders lezen over de mogelijke introductie van een preferentiebeleid voor biologicals en biosimilars. Een beleid, waar zorgverzekeraar UVIT uitgebreid voor pleit. Veel patiëntenclubs, waaronder de CG-Raad en de NPCF, hebben zich in protestbrieven richting CvZ tegen de invoering van zo'n algemeen beleid geuit. Er waren veel zogenaamde 'copy and paste' brieven bij.*

*Juist hier zou ik willen pleiten voor een radicaal andere aanpak! Waarom stuurt de patiëntenbeweging naast haar brieven richting CvZ, ook geen brief naar UVIT en de andere zorgverzekeraars dat zij als verzekerden van deze maatschappijen geen preferentiebeleid willen. Dat zij als geen ander de voordelen van de hier in het geding zijnde medicijnen hebben ervaren en dat ze blij zijn dat hun zorgverzekeraar deze medicijnen vergoedt. Dat ze graag zien dat dit in de toekomst ook zo blijft. En waarom deze brieven richting zorgverzekeraars ook niet in kopie of rechtstreeks gericht aan de ledenraad van deze zorgverzekeraars. Een ledenraad, die samengesteld is uit mensen zoals u en ik, met vaak dezelfde makke maar in ieder geval wel met een open oog voor de belangen van de verzekerde. Het is weer eens wat anders en geadviseerd door een mede-patiënt.*

Naast het benoemen van sterke en zwakke punten, heb ik de stuurgroepleden ook gevraagd om aanbevelingen gericht op de toekomst van de patiëntenbeweging.

## **Het verhaal van de beleidsagenda: Wat zou de patiëntenbeweging de komende jaren moeten doen?**

- *Patiëntenorganisaties moeten zich verder professionaliseren – met behoud van en verdere ontwikkeling van ervaringsdeskundigheid - met betrekking tot het verstrekken van inzicht in de medische- en zorgbehoeften van patiënten. Op deze wijze kan het zorgveld inclusief het bedrijfsleven van de juiste informatie worden voorzien om die zorginnovaties te ontwikkelen die patiënten ook daadwerkelijk nodig hebben.*
- *De traditionele taken van de patiëntenorganisaties invullen anno 2011 en verder. Ontwikkelingen zoals internet zorgen ervoor dat er steeds meer mogelijkheden zijn in de wijze waarop patiënten hun ervaringsdeskundigheid kunnen uitwisselen, bundelen en gebruiken om hun invloed uit te oefenen. Op deze wijze kan een volgende stap gezet worden richting empowerment van de zorgconsument, de patiënt.*
- *De lobby en input vanuit patiëntenperspectief richting zorgaanbieders, zorgverzekeraars verder uitbouwen. En vooral de invloed op de politiek aanpakken.*



- *Onderlinge samenwerking intensiveren en ook internationale samenwerkingsverbanden zoeken voor het delen van 'best practices', alsmede het bundelen van krachten en ervaringen over de grenzen heen.*

Kortom, een aanzet voor een beleidsagenda van de PGO-organisaties voor de toekomst die uiteindelijk moet leiden tot een sterkere derde partij functie van de patiëntenbeweging, een sterkere 'countervailing power'.

Over de sterkte van die 'countervailing power' werd onlangs iets gezegd door twee politici. Op 1 april jongstleden, organiseerden de CG-Raad en de NPCF een symposium over de zogenaamde 'lage ziektelast' benadering van het huidige kabinet. Met de lage ziektelast benadering wordt bedoeld het mogelijk niet langer meer uit het basispakket vergoeden van de behandeling van ziektes, die met relatief weinig ongemak gepaard gaan en die in redelijkheid door mensen zelf betaald zouden kunnen worden. Op dit symposium werden ook alternatieven voor deze benadering naar voren gebracht, zoals een meer gepast gebruik van medische en zorgbehandelingen. De aanwezige politici waren over deze werkwijze erg te spreken. Anouchka van Miltenburg van de VVD zei blij verrast te zijn dat de patiëntenkoepels nu zelf met voorstellen komen voor kostenbeheersing in de zorg. *'Tien jaar geleden kwam ik op bijeenkomsten waar de boodschap vooral was: kijk eens hoe zelig wij zijn. Erg goed dat de patiëntenbeweging dit nu doet'*. Jetta Klijnsma van de PvdA voegde daaraan toe dat de CG-Raad en NPCF heel sterk komen te staan als ze inderdaad samen met zorgverzekeraars en zorgaanbieders met concrete alternatieven komen. *'Als die voorstellen zo breed worden gedragen, kan de politiek er niet omheen'*.

De patiëntenbeweging moet deze boodschappen ter harte nemen, zo doorgaan en aantonen dat versterking van de positie van de PGO-beweging kan bijdragen aan een betere en tegelijkertijd een efficiëntere gezondheidszorg (meer of hetzelfde doen voor minder geld). Daarnaast maken de voorbeelden in dit boekje duidelijk welke innovatiekracht aanwezig is in patiëntenorganisaties. Innovatiekracht die niet aanwezig is binnen het ministerie van VWS, zoals minister Schippers onlangs aangaf in Elsevier. Laat de minister die boodschap dan meegeven aan de PGO-organisaties: 'Ga voor innovatie' en misschien kan de patiëntenbeweging haar en de politiek dan afhouden van bezuinigingen op de PGO-beweging. Of laat de minister en de politiek in ieder geval aangeven, hoe de patiëntenbeweging met minder geld toch een steeds sterkere 'derde' partij kan worden. Dat is immers een voorwaarde voor het goed functioneren van het huidige gezondheidszorgstelsel.

## De Geraadpleegde literatuur

1. De patiënt als sturende kracht. RvZ, Den Haag, 2010
2. Genoeg is genoeg. Over gezondheidszorg en democratie. Margo Trappenburg. Amsterdam University Press, Amsterdam, 2008
3. Diep. Inge Diepman en Sylia de Graaf. Archipel, Amsterdam. 2007
4. Kracht, het nieuwe leven van een optimist. Marc de Hond. Nieuw Amsterdam, Amsterdam, 2008
5. Dokter is ziek. Als patiënt zie je hoe zorg beter kan. Gonny ten Haaft. Contact, Amsterdam, 2010
6. Beter. Maarten van der Weijden. Veen Bosch & Keuning uitgevers n.v., Wommelgem, Uitgave in dwarsligger, 2010
7. Ik heb kanker ... en ik leef een goed, gelukkig en gezond leven. Peter Kapitein. Karakter, Uithoorn, 2011
8. BBMRI: an evaluation strategy for socio-economic impact assessment. Technopolis, Amsterdam, 2010
9. Serge Braun, presentatie tijdens The Meeting, de Rode Hoed, Amsterdam, 25 maart 2011. Te downloaden via [www.themeeting.eu](http://www.themeeting.eu)
10. Code Goed Gebruik van lichaamsmateriaal 2011. Federa. Te downloaden via [www.federa.org](http://www.federa.org)
11. Basic principles for patient participation in biobanks. Biobanking and Biomolecular Resources Research Infrastructure Europe (BBMRI-EU), Graz, 2010. Te downloaden via [www.bbmri.eu](http://www.bbmri.eu)
12. The innovator's dilemma. Clayton Christensen. Collins Business Essentials, 1997. In 2009 verscheen van Clayton Christensen 'The innovator's prescription', Mc Graw Hill, waarin hij de gezondheidszorgsector meer specifiek beschouwt.
13. Patiënten spelen doorslaggevende rol bij biobanken, nationale en internationale voorbeelden. Tessa van der Valk en Cees Smit. Nederlands Tijdschrift voor Geneeskunde 2011; 155:A2968
14. Demanding dynamics, demand articulation of intermediary organisations in emerging pharmaceutical innovations. Wouter Boon. Proefschrift Universiteit Utrecht, 2008
15. Advies Commissie Doek. Kamerstuk 26-11-2009. VWS  
Te downloaden via [www.rijksoverheid.nl](http://www.rijksoverheid.nl)
16. Kamerbrief standpunt advies Commissie Doek. Kamerstuk: Kamerbrief 30-3-2011. VWS. Te downloaden via [www.rijksoverheid.nl](http://www.rijksoverheid.nl)
17. Tweede evaluatie WMO: 'Aandacht voor de positie van het proefpersonenlid en de patiënt is dringend gewenst'. Cees Smit, Wouter Boon, Pauline Evers, Ronald Meyboom en Ele Visser. Tijdschrift voor Gezondheidsrecht, 4 juli, 2010

18. 'Het verhaal van ...', negen verhalen over patiëntenparticipatie in geneesmiddelenonderzoek. Cees Smit. Drukkerij De Adelaar, Badhoevedorp, 2009
19. Klanten kiezen kwaliteit, 'De invloed van patiëntenorganisaties op de kwaliteit van de zorg'. Hans Blaauwbroek en Ele Visser, GSK Symposium, 2010
20. Oud worden met hemofilie. E.P. Mauser-Bunschoten, A. de Knecht-van Eekelen en C. Smit. Van Creveldkliniek/UMC Utrecht, 2008
21. Oud worden met hiv. Gezondheid en ziekte van oudere hiv-patiënten: een inventarisatie. Redactie: Cees Smit, Kees Brinkman, Kees Rümke en Annemarie de Knecht-van Eekelen. Aids Fonds, Amsterdam, 2009
22. Gevangen in de zorgketen, verslag van een dwaaltocht door de gezondheidszorg. Walter Stolz. Eburon, Delft, 2011
23. Handboek Participatie voor ouderen in zorg- en welzijnsprojecten. Cecile Vossen, Meralda Slager en Nynke Wilbrink. ZonMw/CSO, 2010



*'Het verhaal van ....'*

**Negen verhalen over patiëntenparticipatie in  
geneesmiddelenonderzoek**

Dit hoofdstuk is eerder als boekje verschenen  
ter gelegenheid van een symposium voor patiëntenorganisaties  
op 21 april 2009, georganiseerd door GSK.



## Inleiding

De afgelopen jaren is er bij patiënten en patiëntenorganisaties een toenemende belangstelling voor het onderwerp 'patiëntenparticipatie in onderzoek en beleid'. Zo organiseert ZonMw al weer vijf jaar een jaarlijkse studiemiddag over dit onderwerp (1). Als onderdeel hiervan, verscheen in 2006 het 'Handboek patiëntenparticipatie in wetenschappelijk onderzoek' en in 2008 een bundel achtergrondartikelen over patiëntenparticipatie in de ontwikkeling van richtlijnen en zorgstandaarden (2,3). In 2007 adviseerde de Raad voor Gezondheidsonderzoek (RGO) de overheid over het onderwerp 'Patiëntenparticipatie in gezondheidsonderzoek' (4).

Het handboek en de bundel geven patiëntenorganisaties veel praktische informatie over hoe ze met dit onderwerp aan de slag kunnen. Het RGO-advies geeft een overzicht van de belangrijkste ontwikkelingen, spelers en knelpunten op dit terrein.

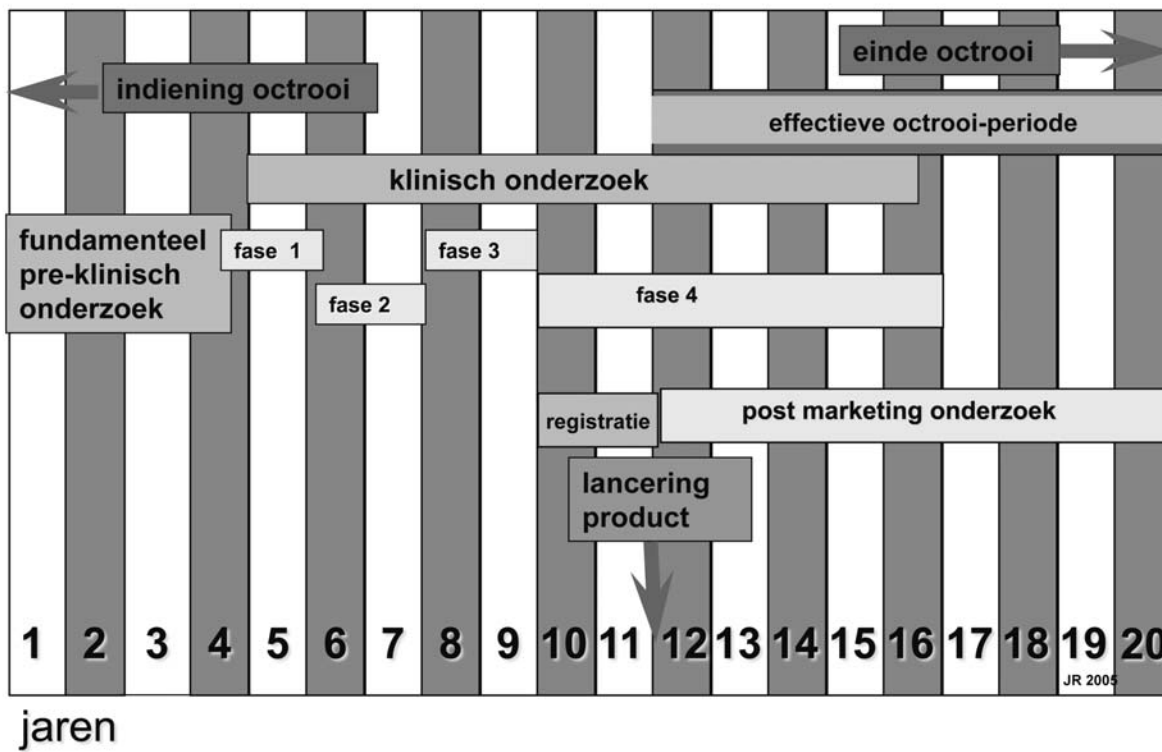
Voor 2009 heeft GlaxoSmithKline (GSK) in samenwerking met een stuurgroep van deskundigen voor haar jaarlijks symposium voor patiëntenorganisaties gekozen voor het thema 'patiëntenparticipatie in geneesmiddelenonderzoek'. Dit boekje is geschreven ter voorbereiding op het symposium van 21 april 2009. Naast een uitleg over het proces van geneesmiddelenontwikkeling, wordt door middel van voorbeelden aangegeven welke rol patiëntenorganisaties in de verschillende fases van het geneesmiddelenonderzoek kunnen spelen.

Aan de totstandkoming van dit boekje hebben een aantal mensen een bijdrage geleverd. Allereerst de stuurgroep, die het thema en de invulling van het programma voor het symposium van 21 april hebben bedacht en vormgegeven. De leden van deze stuurgroep zijn: Els Borst-Eilers, Luc Debruyne, Michael Rutgers, Atie Schipaanboord en Wim Wientjens. Ik wil hen met name bedanken voor de uitnodiging dit boekje te schrijven.

Verder hebben Tineke Abma, Ria Broekgaarden, Cecile van Dierendonck, Pauline Evers, Anja Horemans, Henriët van der Maaten, Cor Oosterwijk, Maryze Schoneveld van der Linde, Elizabeth Vroom, Sonja van Weely, Jolien Wenink, Kim Wever en Maarten de Wit met hun commentaar op eerdere versies van deze tekst een waardevolle bijdrage geleverd aan dit boekje.

Cees Smit  
Hoofddorp, februari 2009

# STADIA ONTWIKKELINGSproces GENEESMIDDEL





## Het ontwikkelingsproces van geneesmiddelen

Geneesmiddeleninnovatie, het proces dat tot de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen, moet leiden wordt gewoonlijk in twee fasen ingedeeld: namelijk een ontdekkingsfase en een ontwikkelingsfase (5). In de **ontdekkingsfase** staat creativiteit centraal. In deze fase, de fase van het **fundamenteel pre-klinisch onderzoek** hoopt iedere onderzoeker op de vondst die tot een wetenschappelijke doorbraak, een Nobelprijs of een octrooi-aanvraag leidt. Octrooien zijn belangrijk voor een bedrijf, omdat zij op die manier de investeringen in onderzoek kunnen terug verdienen. In een groot farmaceutisch bedrijf worden door wetenschappers jaarlijks honderden voorstellen gedaan voor een nieuw geneesmiddel. Daarnaast worden vele duizenden stoffen bekeken op de mogelijkheid dat ze gebruikt kunnen worden voor de productie van geneesmiddelen. Slechts een zeer klein deel van deze ideeën en stoffen bereikt uiteindelijk de markt. Als een idee of een stof door de ontdekkingsfase heen is gekomen, begint de **ontwikkelingsfase**, de **fase van het klinisch onderzoek**. Op deze fase wordt later in dit boekje nog uitgebreid terug gekomen. In deze fase wordt de weg van chemische stof naar nieuw geneesmiddel op de markt afgelegd. Voordat een product daar is, wordt gesproken van de preregistratie- of premarketingfase.

Als het product eenmaal op de markt is, wordt gesproken van de postregistratie- of postmarketingfase. De registratie van een nieuw geneesmiddel is voor een farmaceutisch bedrijf een belangrijk moment. Op dat moment is namelijk voldaan aan strenge regels van werkzaamheid en veiligheid van nationale en internationale registratie- autoriteiten. De stap van ontdekkingsfase naar ontwikkelingsfase tot het moment van toelating op de markt is een lange weg. Vaak is hier een periode van tien tot vijftien jaar mee gemoeid en de ontwikkelingskosten van een nieuw geneesmiddel bedragen gemiddeld 800 miljoen euro (6). De verschillende stadia die tot de ontwikkeling van een nieuw geneesmiddel leiden, zijn samengevat in de figuur op de linkerbladzijde (7, bron JR 2005). Meer informatie over het proces van geneesmiddeleninnovatie is te vinden in het boek 'Het geneesmiddel' (5).

Geneesmiddelenontwikkeling vindt niet alleen plaats binnen de grote farmaceutische bedrijven, maar ook daarbuiten. In toenemende mate spelen kleine - vaak vanuit de academische onderzoekswereld tot stand gekomen – biotechnologische bedrijven een rol bij de ontwikkeling van nieuwe diagnostische tests, hulp- en geneesmiddelen. Voor het gemak worden deze private en van oorsprong publieke bedrijven hierna verder aangeduid als het bedrijfsleven.

# De rol van patiëntenorganisaties bij geneesmiddelenontwikkeling

Vroeger werd de patiënt vaak in een laat stadium geconfronteerd met de inspanningen van wetenschappelijk onderzoek (8). Het traditionele model van onderzoek en ontwikkeling naar een nieuw geneesmiddel was een lineair model (zie figuur 1-A).

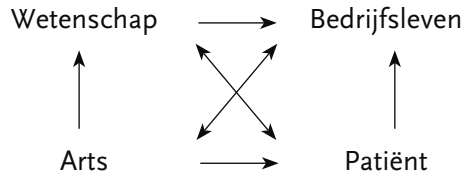
**Figuur 1-A**      *Lineair model*



Het was in deze situatie vaak de arts die bijna aan het einde van het ontwikkelingsproces aan een patiënt vroeg of hij wilde deelnemen aan een klinisch onderzoek (clinical trial) naar de effecten van een nieuw geneesmiddel.

Tegenwoordig wordt dit lineaire model meer en meer vervangen door een interactief model met in principe dezelfde partners, maar in dit model wordt de bijdrage van de patiënt herkend en erkend om problemen op te lossen (zie figuur 1-B).

**Figuur 1-B**      *Interactiemodel*



In dit interactiemodel zijn patiënten en hun organisaties onderdeel van het onderzoeksnetwerk geworden en zij kunnen nu:

- zelf met innovatieve ideeën komen
- druk uitoefenen op onderzoekers en bedrijfsleven, opdat hun aandoening onderzocht wordt. Deze druk kan bijvoorbeeld uitgeoefend worden door het beschikbaar stellen van geld, de patiëntenorganisatie als fondsenwerver en -verstrekker.
- samenwerken met belangrijke onderzoekers en bedrijven om gegevens te verstrekken ten aanzien van hun aandoening, de inbreng van specifieke ervaringskennis en de formulering van relevante uitkomstmaten voor hun aandoening.

- samenwerking en coördinatie tussen partijen versterken en de snelheid, kwaliteit en effectiviteit van het onderzoek in alle stadia propageren, vanaf de eerste omschrijving van de aandoening tot de uiteindelijke informatieverstrekking over werkzame producten om de aandoening te behandelen.
- verzekeren dat het onderzoeksprotocol van het klinisch onderzoek, de clinical trial, realistisch is en aansluit op de noden van patiënten.
- helpen om toegankelijke schriftelijke informatie voor patiënten te ontwikkelen over het fundamenteel pre-klinisch onderzoek en het benodigde klinische onderzoek.
- helpen bij het beoordelen van de resultaten van onderzoek.

In dit interactiemodel vervullen patiëntenorganisaties, naast het feit dat ze nu ook zelf deel uitmaken van het onderzoekswerk een aantal innovatieve rollen, bijvoorbeeld:

- als een lobbygroep richting overheden en subsidiegevers – zowel nationaal als internationaal – om onderzoeksprioriteiten aan te geven. Dit kan ook in de vorm zijn van een ervaringskundige deelnemer(s) aan een commissie of een gebruikersgroep.
- als een databank voor lichaamsmateriaal en gegevens (DNA, cellen, weefsels) en informatie over het verloop van een ziekte over een lange(re) periode. Op deze databanken, die de vorm kunnen aannemen van een biobank of een patiëntenregister wordt later nog terug gekomen.
- als een financieringsbron voor onafhankelijk, wetenschappelijk onderzoek.
- als aandeelhouder/financier van het bedrijfsleven.
- als waakhond ter bescherming van deelnemende patiënten aan klinisch onderzoek of andere onderzoeksprogramma's.

## **Voorbeelden van de rol van patiëntenorganisaties in geneesmiddelenonderzoek**

Tot nu toe is het met name voor het onderzoek naar de oorzaken van en een behandelmethode voor zeldzame aandoeningen, voor patiëntengroepen mogelijk een vernieuwende rol te spelen. Speciale wetgeving om de behandeling van mensen met een zeldzame aandoening te stimuleren, heeft hierbij een belangrijke rol gespeeld. Hierbij kan vooral gedacht worden aan de Amerikaanse 'Orphan Drug Act' uit 1983 en de Europese variant hiervan, die eind 1999 van kracht werd. Om deze innovatieve rol van patiëntenorganisaties concreet te maken, hierbij een uit Amerika afkomstig voorbeeld, het verhaal van Sharon en Patrick Terry (9).

## **Het verhaal van Sharon en Patrick Terry**

Vlak voor Kerstmis 1995 bleken hun twee kinderen een zeldzame erfelijke ziekte te hebben: PXE, pseudoxanthoma elasticum. PXE is een ziekte, waarbij de elastische vezels in het lichaam gaan verkalken en hun elasticiteit kwijt raken. Met een jaar of dertig leidt de ziekte doorgaans tot blindheid en met vijftig tot hartaanvallen. Meestal duurt het zo'n 13 jaar na de eerste klachten voordat de juiste diagnose gesteld wordt. Net als veel andere ouders met een kind met een zeldzame ziekte, doken de Terry's de bibliotheek in om zoveel mogelijk informatie over PXE te verzamelen. Het resultaat stelde Patrick, bouwondernemer en zijn vrouw Sharon, theologe tamelijk somber. De ongeveer 250 artikelen die de laatste honderd jaar over PXE waren geschreven, spraken elkaar voornamelijk tegen. Ook de contacten met wetenschappers stelden teleur. Zij bleken ook niet echt geïnteresseerd in een speurtocht naar de oorzaak van PXE en de weg naar een behandeling. Vanuit de Amerikaanse 'can do' mentaliteit richtten de Terry's het non-profit bedrijf PXE International op, dat wetenschappelijk onderzoek uitzet en coördineert. Het bedrijf groeide uit tot een multinationale groep met 52 kantoren in de hele wereld, veelal bij andere ouders van patiënten thuis. Het bedrijf financiert 19 laboratoria – in Gent, Boedapest, Modena, enz. Ook heeft PXE International een bloed- en weefselbank. Aanvankelijk stuurden de Terry's setjes op naar ouders om bloed van hun kinderen af te nemen en bewaarden dat in een vrieskist bij de buurman. Tegenwoordig heeft PXE International een professionele biobank in Arizona. Uiteindelijk slaagden ze er in om samen met onderzoekers van de Universiteit van Hawai en het interuniversitaire oogheelkundig instituut in Amsterdam, het gen voor PXE te vinden en octrooieerden dat in 2000. Op dit moment wordt gewerkt aan een diagnostische test voor PXE. In een interview met wetenschapsjournalist Simon Rozendaal van Elsevier, zegt Patrick Terry over deze ongewone handelwijze: 'Eerst was ik de baas van een bouwbedrijf, nu van een ziekte. Ik heb me voorgenomen om de aandoening waar mijn kinderen aan lijden, aan te pakken. Dat is alles'. Om ervaring met wetenschappelijk onderzoek te krijgen, werkte Patrick Terry gedurende drie jaar in een laboratorium. 'Ik heb geleerd om DNA af te lezen en genen te bepalen'. Patrick en Sharon hebben vanaf het begin veel aan fundraising gedaan om voldoende geld voor het doen van onderzoek bijeen te krijgen. Voor het vinden van het PXE-gen, gingen de Terry's met twee elkaar beconcurrerende wetenschappelijke groepen in zee om zo het vinden van het gen te versnellen. Het geld dat met de nu ontwikkelde test voor PXE verdiend wordt, vloeit terug naar het verdere onderzoek naar de ziekte. Om de prijs verder zo laag mogelijk te houden, hebben de Terry's ook andere bedrijven opgezet. Een van deze bedrijven Genomic Health heeft een genentest voor erfelijke borstkanker op de markt gebracht. Zelf vinden Patrick en Sharon Terry het niet zo bijzonder wat zij hebben gedaan. 'Iedereen kan wat wij gedaan hebben. Het gaat om passie en toewijding. Ouders van zieke kinderen hebben dat allemaal'.

Verdere info: [www.pxe.org](http://www.pxe.org)

Vaak wordt gedacht dat dit soort verhalen alleen maar uit Amerika komt, maar dat is een misverstand. Zo beschrijft de Nederlandse wetenschapsjournalist Simon Rozendaal in zijn boek 'Het is mijn lijf' en de uitgebreidere Engelse versie 'It's my life, a new revolution patient power' meerdere voorbeelden uit de gehele wereld, waaronder Nederlandse (10). Een verhaal dat in dit boek had kunnen staan, maar er niet in staat, is het onderstaande verhaal over het Nederlandse Duchenne Parent Project. Terwijl in het voorbeeld van de Terry's vooral het fundamentele pre-klinische onderzoek (identificeren van het gen en het opzetten van biobanken) is gestimuleerd, heeft het Duchenne Parent Project de expertise van onderzoekers en het (klinisch) onderzoek naar behandeling zelf gestimuleerd.

### ***Het verhaal van het Duchenne Parent Project***

*Het gezicht van het Nederlandse Duchenne Parent Project, is Elizabeth Vroom. Haar zoon heeft de ziekte van Duchenne, een progressieve spierziekte. Elizabeth Vroom woonde in 1994 in Amerika een congres bij over deze ziekte. Daar kwam aan de orde dat er minimaal 40 miljoen dollar nodig was om het onderzoek naar een behandeling voor Duchenne verder op weg te helpen. Elizabeth Vroom besloot op dat moment twee miljoen van dat bedrag voor haar rekening te nemen. Vier jaar later was het zover. Van dat geld, kreeg een talentvolle Nederlandse onderzoekster Judith van Deutekom een beurs om in Amerika onderzoek te gaan doen. Na een jaar voorbereidend werk in Amerika, kwam zij terug naar Nederland om bij de afdeling Humane Genetica van Gert-Jan van Ommen in het Leids Universitair Medisch Centrum (LUMC) verder te werken aan een bepaalde vorm – exonskipping - van gentherapie voor Duchenne. In oktober 2007 werd bekendgemaakt dat het begin van een behandeling er aan zit te komen. Dat doen ze door een soort RNA-pleister in te spuiten, die het defect in het Duchenne-gen als het ware afplakt. Bij muizen en in menselijke cellen slaat de therapie aan. De eerste resultaten bij patiënten (alleen in een klein stukje van het onderbeenspier) waren zeer positief. Inmiddels is Judith van Deutekom overgestapt naar het Leidse biotechbedrijf Prosensa, waar de RNA-pleisters gemaakt worden en zijn de eerste systemische trials (het hele lichaam) bij kinderen met Duchenne in België en Zweden van start gaan. Helaas kon geen toestemming worden verkregen van de CCMO, de Centrale Commissie voor Mensgebonden Onderzoek om dit onderzoek ook in Nederland te starten. Dit omdat de Nederlandse wetgeving strenger is in haar voorwaarden om medisch-wetenschappelijk onderzoek bij kinderen toe te staan dan in andere Europese landen. Het Nederlandse Duchenne Parent Project gaat voor kwaliteit, alleen de allerbeste onderzoekers krijgen geld en de patiëntenorganisatie laat zich daarbij adviseren door een internationale wetenschappelijke adviesraad. Zij sponsorde meer dan dertig onderzoeksprojecten wereldwijd en investeerde in biotechnologische bedrijven, waaronder Prosensa. Ook de internationale organisatie van Duchenne ouders, UPPMD, is in Nederland gevestigd en wordt door de voorzitter van het Duchenne Parent Project geleid. Deze organisatie is ingebed in een internationaal samenwerkingsverband van vergelijkbare, door patiënten opgezette, spierziekte organisaties die een*

*belangrijke rol spelen in het financieren en stimuleren van onderzoek. Begin 2007 hebben zij Duchenne Research Collaborative International (DRCI) opgericht, waar ook de AFM, de Franse Vereniging voor Spierziekten en de Amerikaanse MDA in deelnemen. Belangrijkste doelstellingen van het DCRI zijn: het samenbrengen van alle patiënten ter wereld in een grote database, die gebruikt kan worden voor het uitvoeren van klinisch onderzoek. DRCI slaat hiermee een brug tussen activiteiten in Europa en de VS. Daarnaast wordt een database ontwikkeld met gegevens van de belangrijkste lopende onderzoeksprojecten (Clearinghouse), met name de door de leden gefinancierde projecten. Het geld voor het Duchenne onderzoek wordt geworven via onder andere kunsttentoonstellingen, het inzamelen van oude mobieltjes, mountainbike races en een kinderfilmfestival. Met de publiciteit rond die activiteiten gaat de fondsenwerving steeds beter lopen en door een minimale overhead (alle mensen werken vrijwillig aan het project mee), gaat vrijwel al het geld naar onderzoek. Inmiddels investeert het Duchenne Parent Project 1,5 miljoen euro per jaar in onderzoek.*

*Verdere info: [www.duchenne.nl](http://www.duchenne.nl)*

## **Patiëntenparticipatie in de onderzoeksagenda**

In de hiervoor beschreven verhalen over PXE en de ziekte van Duchenne, stonden de zoektocht naar de oorzaak (PXE) en een behandeling (Duchenne) centraal. In deze voorbeelden hadden de betrokken ouders een duidelijk doel voor ogen. Maar voor veel patiëntengroepen is het niet altijd even duidelijk wat ze op het gebied van onderzoek voor activiteiten willen ondernemen. Soms is de stap naar het zoeken naar een onderzoek of naar een behandeling ook nog niet te maken. Om duidelijkheid te krijgen over het samenstellen van een onderzoeksagenda voor een patiëntengroep, is in Nederland veel ervaring opgedaan met een stappenplan voor onderzoeksprioritering dat door Abma en Broerse is ontwikkeld (11). Dit model is toegepast voor de Dwarslaesie Organisatie Nederland (DON), evenals voor nierpatiënten en mensen met een verstandelijke beperking. Ook in andere agenderingsprojecten, zoals bij patiënten met astma, diabetes, en mensen met brandwonden is volgens dit stappenplan gewerkt. In onderstaand verhaal is aangegeven hoe de Vereniging Spierziekten Nederland (VSN) dit stappenplan heeft opgepakt.

## **Het verhaal van de Vereniging Spierziekten Nederland**

*Onderzoek naar neuromusculaire aandoeningen (spierziekten) in Nederland is van vrij recente datum en heeft de afgelopen jaren een enorme ontwikkeling doorgemaakt. De Vereniging Spierziekten Nederland (VSN) heeft hierin een belangrijke stimulerende rol gespeeld, onder meer bij de oprichting van het Interuniversitair Steunpunt Neuromusculair Onderzoek*

(ISNO). Onderzoekers in Nederland specialiseren zich zowel in fundamenteel als klinisch onderzoek. Vanwege het hoog specialistische karakter van het onderzoek en door het gebruik van geavanceerde technieken vindt het voornamelijk plaats in academische centra. De VSN en het ISNO achten fundamenteel onderzoek van belang, maar willen zich in de nabije toekomst tevens richten op onderzoek naar symptomen (waaronder pijn, vermoeidheid, slaperigheid en vallen) en zorgaspecten. Ook vanuit de revalidatie verwacht men innovaties.

Met behulp van een subsidie van ZonMw, heeft de VSN samen met de Universiteit van Maastricht een onderzoeksproject opgezet, dat zowel beoogt het perspectief van mensen met een spierziekte als het perspectief van (klinische) onderzoekers op het gebied van neuromusculaire aandoeningen in kaart te brengen. Dit heeft geresulteerd in een onderzoeksagenda met onderzoeksthema's en vragen vanuit het perspectief van de patiënt en een onderzoeksagenda vanuit het perspectief van de onderzoeker. Vervolgens is een dialoog georganiseerd tussen mensen met een spierziekte en onderzoekers.

Over de onderzoeksagenda van de patiënt valt het volgende te zeggen. Natuurlijk heeft onderzoek naar de genezing van spierziekten een hoge prioriteit. Daarnaast hechten patiënten veel waarde aan onderzoek waardoor hun leven van alle dag kan verbeteren. De patiënten geven zelf aan dat de hoop op een genezende behandeling voor de huidige generatie patiënten niet realistisch is en dat onderzoek naar een symptomatische behandeling van klachten waarschijnlijk eerder resultaat oplevert. Patiënten vinden daarnaast onderzoek belangrijk dat aandacht heeft voor een heel breed scala aan klachten en knelpunten op andere vlakken. Bovenal hopen patiënten dat onderzoek hen uiteindelijk in staat zal stellen om 'een zo normaal mogelijk leven' te leiden.

Van de kant van de onderzoekers is er in hun agenda meer aandacht gekomen voor onderzoek naar het verhogen van een algemeen gevoel van welbevinden bij patiënten, zoals onderzoek naar factoren en interventies die de kwaliteit van leven bevorderen en onderzoek op het gebied van de zorg aan mensen met een spierziekte.

De onderzoeksagenda van beide partijen was vervolgens het uitgangspunt voor een gesprek tussen onderzoekers en mensen met een spierziekte. De patiënten gaven hierbij aan waarom deze onderwerpen volgens hen van belang zijn voor onderzoek. Vervolgens reageerden de onderzoekers hierop, door aan te geven of er al onderzoek plaatsvindt op het betreffende onderwerp en of zij de vraag van de patiënten begrepen. In de dialoog die hierop ontstond, kwamen de onderwerpen naar boven waarop beide partijen het eens waren. Deze hoofdonderwerpen waren:

- \* Onderzoek naar de symptomatische behandeling van klachten die men in het dagelijkse leven ervaart,
- \* Onderzoek naar factoren en interventies die de kwaliteit van leven bevorderen,

- \* *Onderzoek naar het beter toepassen van bestaande kennis over spierziekten, bijvoorbeeld door de reguliere hulpverleners en*
- \* *Interdisciplinair onderzoek, waarin onderzoekers en hulpverleners vanuit verschillende achtergronden betrokken worden.*

*Verdere samenwerking tussen mensen met een spierziekte, onderzoekers en hulpverleners kan het draagvlak en de toepassing van de onderzoeksagenda vergroten. Het gaat erom dat alle partijen van elkaar kunnen leren, en dat hierdoor nieuwe inzichten kunnen ontstaan, zowel bij onderzoekers als bij mensen met een spierziekte.*

*Op grond van dit onderzoek zijn aanbevelingen gedaan, die bedoeld zijn voor de VSN en haar leden, de leden van het ISNO en de onderzoeksfondsen. De VSN gaat hier meer bekendheid aan geven, door hierover in gesprek te gaan met fondsen die wetenschappelijk onderzoek naar spierziekten financieren en met onderzoekers. Een eerste stap hierin was het aanbieden van het rapport aan de financier van dit onderzoek, ZonMw. Bij deze overhandiging waren onderzoekers en – naast ZonMw – ook andere financiers van wetenschappelijk onderzoek aanwezig.*

*Verdere informatie: [www.vsn.nl](http://www.vsn.nl)*

## **Klinisch onderzoek**

Na de ontdekkingsfase, komt de fase van het klinisch onderzoek. Het klinisch onderzoek is een belangrijke, volgende fase in het ontwikkelingstraject en vindt pas plaats nadat er eerst voldoende laboratoriumonderzoek is gedaan of onderzoek bij proefdieren. Patiënten, of ze nu een zeldzame of een veel voorkomende aandoening hebben, verwachten dat geneesmiddelen veilig en werkzaam zijn wanneer ze deze gebruiken. In de afgelopen veertig jaar is er rond deze eis van veiligheid en werkzaamheid een systeem ontwikkeld, de klinische onderzoeksfase òf in het Engels het ‘clinical trial process’. Dit proces is omgeven door strenge, wettelijke regels en dit wetgevende kader moet vanzelfsprekend gevolgd worden voordat een nieuw geneesmiddel of een behandeling op de markt toegelaten wordt en voorgeschreven mag worden aan een patiënt. Deze klinische onderzoeksfase neemt veel tijd in beslag, gemiddeld vijf tot tien jaar. Veel van de wetgeving op dit terrein is afgestemd op landelijke omstandigheden, zoals bij het uitvoeren van klinische studies bij patiënten in een ziekenhuis. Maar in aanvulling daarop is er een toenemende hoeveelheid internationale maatregelen genomen, die er voor moeten zorgen dat wereldwijd dezelfde veiligheids- en werkzaamheidseisen worden gevolgd. En in principe zou het dan ook niet moeten uitmaken of een onderzoek in Nederland of in China wordt uitgevoerd. De Internationale Conferentie over Harmonisering (ICH), die Europa,



Amerika en Japan omvat, heeft een aantal 'Good Clinical Practice (GCP)' richtlijnen opgesteld, waaraan klinisch onderzoek (clinical trials) moet voldoen. Deze GCP-richtlijnen moeten deelnemers aan klinisch onderzoek beschermen tegen onnodige risico's en misbruik. Andere, meer specifieke richtlijnen geven aanwijzingen hoe om te gaan met de opzet van onderzoek als daarbij speciale ziekten (bijvoorbeeld kanker of hart- en vaatziekten) of kwetsbare groepen (kinderen, wilsonbekwamen) betrokken zijn.

Er moet vervolgens een gedetailleerd dossier gemaakt worden, waarin uitgelegd wordt wat de noodzaak is om een bepaald klinisch onderzoek uit te voeren en waarom dan dit speciaal daarvoor ontworpen onderzoeksvoorstel het meest geschikt is. Deze informatie wordt nauwkeurig bekeken door de regelgevende instanties in het land waar het onderzoek is gepland. Wanneer toestemming is verkregen, kan het onderzoek beginnen. In Nederland wordt deze toestemming verleend door regionale Medisch-ethische toetsingscommissies (METC's) of de landelijke Centrale Commissie voor Mensgebonden Onderzoek (CCMO).

## De fasen van het klinisch onderzoek

Klinisch onderzoek verloopt vervolgens in onderscheiden fases, die in een bepaalde volgorde moeten worden afgelegd. Een fase moet eerst goed zijn afgerond, voordat aan een volgende fase begonnen kan worden.

In **Fase 1-onderzoek** kijkt men naar het effect van een nieuwe stof (het nieuwe geneesmiddel) op het menselijke lichaam. Men noemt dit ook wel 'in vivo' onderzoek, dat wil zeggen binnen het lichaam. Dit is tegenstelling tot 'in vitro' onderzoek, dat buiten het lichaam plaatsvindt en dat in dit geval al gedaan is in de fase voor het klinisch onderzoek. Dit fase 1-onderzoek zal normaal gesproken gebeuren bij een klein aantal gezonde vrijwilligers.

Het **Fase 2-onderzoek** kijkt naar de vraag wat de juiste dosering is van een nieuw geneesmiddel bij patiënten voor wie het geneesmiddel bestemd is. En ook wordt in deze fase gekeken of een bepaalde dosering ook het gewenste resultaat geeft. Fase 2-onderzoek vindt normaal gesproken plaats bij enkele honderden patiënten. De fasen 1 en 2 kunnen in elkaar overlopen. Men kan hierbij denken aan de ontwikkeling van anti-kankermiddelen, die niet zonder meer gebruikt kunnen worden bij gezonde vrijwilligers. De laatste jaren vinden in patiënten steeds meer vroege-fase onderzoeken plaats, in de vorm van 'proof of principle' of 'proof of concept' onderzoeken. Dit is het geval bij het eerder genoemde onderzoek van het Duchenne Parent Project, de testfase van het product bij een kleine groep kinderen in België en Zweden.

Na het Fase 1- en 2-onderzoek, wordt in het **Fase 3-onderzoek** het onderzoek op grotere schaal herhaald in meerdere ziekenhuizen en vaak ook in meerdere landen. Deze fase is bedoeld om het nieuwe geneesmiddel te vergelijken met een bestaande behandeling en kan betrekking hebben op duizenden patiënten. Deze fase kan inhouden dat er gewerkt wordt met placebo's. Placebo's zijn geneesmiddelen die de werkzame stof van het nieuwe geneesmiddel niet bevatten. Het is niet altijd mogelijk placebo's in een studie te gebruiken, bijvoorbeeld omdat dit ethisch niet verantwoord is. In dat geval kan een nieuw geneesmiddel ook worden vergeleken met het geneesmiddel dat op dat moment het meest gangbaar is. Dit noemt men dan een vergelijking met 'gebruikelijke zorg' of de 'gouden standaard'.

De fases 1 tot en met 3 nemen zo'n vijf jaar in beslag. Als ze alle drie goed zijn uitgevoerd, worden de resultaten voorgelegd aan de nationale of de internationale autoriteiten en als deze overtuigd zijn van de veiligheid en werkzaamheid, alsmede van een zorgvuldige uitvoering van het onderzoek, wordt het nieuwe geneesmiddel of de behandeling toegelaten op de markt. Toelating tot de markt wil nog niet zeggen, dat hiermee ook de vergoeding al geregeld is. Hier wordt later in de tekst nog op teruggekomen. Met de toelating wordt de fase, die hiervoor is aangeduid als de preregistratie- of premarketingfase afgesloten. In Nederland gaat het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG) over de toelating, de registratie van geneesmiddelen op de markt. In Europees verband is hiervoor in 1995 de European Medicines Agency (EMA) opgericht. Het EMA coördineert taken die door de lidstaten worden uitgevoerd, zoals het toezicht op klinische proeven en de productie van geneesmiddelen. In diverse commissies en werkgroepen van EMA hebben patiënten- en consumentenvertegenwoordigers zitting.

In de fase die hierna komt, het **Fase 4-onderzoek** wordt het gebruik van een nieuw geneesmiddel in de praktijk volgens de daarvoor opgestelde officiële richtlijnen gevolgd. Ook wordt hier nauwkeurig bijgehouden of er nieuwe bijwerkingen optreden en zo ja, of dit de veiligheid voor de gebruikers in gevaar brengt.

## **Patiëntenorganisaties en klinisch onderzoek**

In alle drie van de hiervoor genoemde fases van het klinisch onderzoek zijn er mogelijkheden voor patiëntenorganisaties om een actieve rol te spelen. Veel patiëntenorganisaties zullen in de praktijk ook te maken hebben met de vraag om medewerking vanuit de hoek van onderzoekers of het bedrijfsleven. Dit kan een verzoek zijn om eventueel bekendheid te geven aan lopend onderzoek of meer actief om een oproep te doen voor deelname aan onderzoek. Ook worden patiëntengroepen vaak gevraagd te kijken naar de leesbaarheid van teksten, die onderdeel uitmaken van de voorlichting over clinical trials aan potentiële deelnemers. Ook publiceren de meeste patiëntenorganisaties in hun verenigingstijdschriften over lopend of nieuw onderzoek.

De HIV-Vereniging Nederland heeft een lange traditie op dit terrein. Zij hebben in het verleden geijverd voor een versnelde toelating op de markt voor mogelijk levensreddende medicijnen. Patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen bundelen vaak op internationaal niveau de krachten en brengen de leden van hun organisaties zoveel mogelijk onder in registers om zo voldoende aantallen patiënten voor trials beschikbaar te krijgen. Deze organisaties zijn vaak ook heel kritisch aan welk onderzoek hun leden wel of niet deelnemen, omdat ze maar over een beperkte achterban beschikken. Voor zowel onderzoekers als het bedrijfsleven is in deze gevallen een goede samenwerking noodzakelijk met deze patiëntenorganisaties om onderzoek te doen slagen. En omgekeerd geldt voor deze patiëntengroepen ook, dat zij alleen maar baat hebben bij het bundelen van de krachten om tot resultaten te kunnen komen. Zie het verhaal van het Duchenne Parent Project hiervoor. De rol van patiënten en hun organisaties is ook op het terrein van het klinisch onderzoek de afgelopen jaren duidelijk verschoven van een passieve rol naar een actieve rol, namelijk de daadwerkelijke beïnvloeding van het klinisch onderzoek. Een voorbeeld hiervan is ook het verhaal achter het project 'PatientPartner', dat opgezet is vanuit de VSOP, alliantie voor erfelijkheidsvraagstukken.

## ***Het verhaal van PatientPartner***

*Vanouds heeft de VSOP, al een grote bemoeienis met het medisch-wetenschappelijk onderzoek. Zo heeft de VSOP een grote rol gespeeld bij het tot stand komen van het erfelijkheidsonderzoek in ons land ([www.erfocentrum.nl](http://www.erfocentrum.nl) en [www.erfelijkheid.nl](http://www.erfelijkheid.nl)) en is zij erg betrokken bij het stimuleren van ontwikkelingen op het terrein van de medische biotechnologie ([www.biomedisch.nl](http://www.biomedisch.nl)). Op het terrein van het klinisch onderzoek heeft de VSOP de afgelopen jaren gewerkt aan een brochure met veel gestelde vragen en antwoorden. Deze Engelstalige brochure is te downloaden via [www.egan.eu](http://www.egan.eu) en naar verwachting komt hiervan binnenkort ook een Nederlandse versie beschikbaar. De VSOP participeert voorts in de activiteiten van het Dutch Clinical Trial Forum (DCTF) en het patiëntenplatform van het Medicines for Children Research Network(MCRN).*

*De VSOP is in 2008 begonnen met een studie naar de huidige en wenselijke rol van patiëntenorganisaties bij klinisch onderzoek (clinical trials). Dit project heeft de naam PatientPartner gekregen en daarbij wordt met name aandacht besteed aan onderzoek bij kinderen, de rol van biobanken en aan ethische aspecten. Zowel veel voorkomende ziekten als zeldzame aandoeningen worden in het onderzoek meegenomen.*

*PatientPartner is een driejarig project binnen het 7e Kaderprogramma van de Europese Commissie. De VSOP werkt daarbij samen met een drietal Europese partners, te weten de Genetic Interest Groep (GIG), de Engelse VSOP, het European Genetic Alliances' Network (EGAN) en het European Forum for Good Clinical Practice (EFGCP).*

*De resultaten van het onderzoek zullen worden besproken in een aantal conferenties op diverse plaatsen in Europa. Vervolgens worden adviezen opgesteld betreffende de wenselijke rol van patiëntenorganisaties in het klinisch onderzoek, bestemd voor Europese en nationale beleidmakers, wetenschappers en het bedrijfsleven. Ook het oprichten van een Europees netwerk voor patiëntenorganisaties die intensiever willen gaan participeren in klinisch onderzoek, maakt deel uit van PatientPartner.*

*De VSOP is van mening dat het in een vroeg stadium betrekken van patiëntenorganisaties bij experimenteel klinisch onderzoek, als gelijkwaardige partners, bijdraagt aan onderzoek dat beter is afgestemd op de feitelijke problematiek van de patiënt, aan kwalitatief beter en sneller onderzoek, aan een betere weging van de mogelijke voor- en nadelen en uiteindelijk aan een betere gezondheidszorg.*

*Als eerste onderdeel van het PatientPartner project is in de tweede helft van 2008 een enquête gehouden onder Europese patiëntengroepen. Inmiddels zijn de eerste resultaten van de enquête bekend en te vinden op [www.patientpartner-europe.eu](http://www.patientpartner-europe.eu). De respons was daarbij gelijk verdeeld over de veelvoorkomende aandoeningen als de meer zeldzame ziekten. Uit de eerste resultaten is duidelijk gebleken dat dit initiatief van de VSOP bij Europese patiëntenorganisaties erg goed is ontvangen.*

*Voor verdere informatie: [www.vsop.nl](http://www.vsop.nl)*

## **Uitkomstmaten van klinisch onderzoek**

Uitkomstmaten zijn criteria aan de hand waarvan onderzoekers kunnen vaststellen hoe werkzaam een behandeling of een medicijn is. Het meten van de uitkomst van de werking, de effectiviteit van een nieuw medicijn of een behandeling is daarom een belangrijk doel van het klinisch onderzoek. Een duidelijk voorbeeld van een uitkomstmaat is de levensverwachting. Van iedere nieuwe behandeling – zeker als er tot die tijd geen behandeling was - mag je verwachten dat de levensverwachting zal toenemen. Een duidelijk voorbeeld is de beschikbaarheid van medicijnen voor de behandeling van hiv (aids). Sinds de introductie van de zogenaamde aids-remmers in 1996, is het aantal sterfgevallen onder mensen met een hiv-infectie sterk gedaald. Maar voor bijvoorbeeld de behandeling van kanker geldt dat de toename van de levensverwachting veel langzamer verloopt. De introductie van een nieuwe behandelingsmethode levert dan misschien een verlenging van de levensverwachting met een half jaar op. Maar als zo'n verlenging tevens gepaard gaat met een vermindering van de vaak ernstige bijwerkingen, betekent dat toch een belangrijke vooruitgang. In dat geval kan worden gemeten, dat iemands 'kwaliteit van leven' is toegenomen. Voor iedere ziekte kunnen er verschillende uitkomstmaten zijn, afhankelijk van de typische kenmerken van zo'n ziekte. Voor iemand met een spierziekte bijvoorbeeld, kan het al een enorme vooruitgang betekenen als iemand zelf het eigen

haar kan kammen in plaats van daarbij geholpen te moeten worden. Meer en meer, worden patiëntenorganisaties betrokken bij het formuleren van uitkomsten of eindpunten van klinisch onderzoek, zoals blijkt uit het onderstaande verhaal over mensen met een reumatische aandoening.

## **Het verhaal van Omeract**

*Sinds 2002 participeren patiënten met reuma in Omeract, een conferentie waar experts zich buigen over de 'uitkomstmaten' in het reumatologieonderzoek. Omeract is in 1992 opgericht en de naam staat voor 'Outcome Measurement in Rheumatology'. Sinds die tijd heeft Omeract zich ontwikkeld tot een internationaal, informeel netwerk waar alle relevante partijen in het reumaonderzoek - inclusief de patiënten - bij betrokken zijn. Het doel van Omeract is om te komen tot uniforme definities van relevante eindpunten, uitkomstmaten van het onderzoek. Het hoopt daarmee de onderlinge vergelijkbaarheid van klinisch onderzoek te verbeteren.*

*Omeract houdt iedere twee jaar consensusconferenties over het onderzoek naar betere uitkomstmaten. Er is een contactgroep van patiënten binnen Omeract, die bestaat uit 25 mensen uit 9 landen en een dagelijks bestuur van vijf mensen uit drie continenten. De contactgroep maakt een nieuwsbrief en er is ook een verklarende woordenlijst, een glossary gemaakt voor de patiënt-onderzoekspartners binnen Omeract.*

*Tijdens de Omeract conferentie van 2002 hebben de patiëntvertegenwoordigers het onderwerp vermoeidheid (fatigue) ingebracht als relevante uitkomstmaat. Sindsdien staat het thema op de onderzoeksagenda van diverse onderzoeksinstituten. Iedere twee jaar wordt gerapporteerd over de voortgang van het onderzoek. Dat heeft geleid tot onderzoek naar de eigenschappen van vermoeidheid en de ontwikkeling en validering van meetinstrumenten voor vermoeidheid. Sinds kort zijn ook de eerste interventie-studies gestart. Inmiddels zijn alle betrokkenen ervan doordrongen dat vermoeidheid een uitkomstmaat is die in clinical trials niet mag ontbreken. En hoewel vermoeidheid nog niet formeel deel uitmaakt van de core-set, de gereedschapskist voor Reumatoïde Artritis (RA), is het een algemeen aanvaardbare uitkomstmaat die door iedere onderzoeker wordt meegenomen. De deelnemende patiëntvertegenwoordigers zijn ook co-auteur van menige publicatie in 'The journal of rheumatology'.*

*Behalve in Omeract, is de patiëntengroep met reuma ook vertegenwoordigd in Eular, de European League against Rheumatism. Eular is een wetenschappelijke koepelorganisatie van onderzoekers, patiënten en paramedici. Ook binnen Eular wordt uitgebreide aandacht geschonken aan patiëntervaringen en de betekenis hiervan voor bijvoorbeeld de ontwikkeling van richtlijnen vanuit patiëntenperspectief.*

*In de in de inleiding genoemde bundel achtergrondartikelen over patiëntenparticipatie in de ontwikkeling van richtlijnen en zorgstandaarden (3), beschrijft de Belgische Nele Caeyers haar ervaringen met richtlijnontwikkeling. In haar voorbeeld gaat het om de richtlijn voor het gebruik van corticosteroïden in de behandeling van reumatische aandoeningen. Haar specifieke inbreng had betrekking op het effect van het gebruik van deze corticosteroïden tijdens de zwangerschap en bij het geven van borstvoeding. Dat was door de betrokken deskundigen over het hoofd gezien, maar haar eigen twee zwangerschappen leverden voldoende materiaal op om dit punt op te nemen in de richtlijnen.*

Voor meer informatie: [www.omeract.org](http://www.omeract.org) en [www.eular.org](http://www.eular.org)

## **Patiëntenregisters en klinisch onderzoek**

Hiervoor is uiteen gezet dat in Fase 2 van het klinisch onderzoek een nieuw ontwikkeld geneesmiddel voor het eerst wordt uitgetest bij patiënten met die betreffende ziekte. Vooral als het om een weinig voorkomende aandoening gaat, kan het problemen opleveren om voldoende patiënten te vinden die mee willen doen aan een bepaald type onderzoek. Soms ook is er behoefte aan een bepaalde groep patiënten voor het betreffende onderzoek, bijvoorbeeld patiënten met een ernstige vorm of juist een lichtere vorm van de ziekte. En soms ook wil men weten hoe het natuurlijk beloop van een ziekte is, om vervolgens goed te kunnen meten wat de gevolgen zijn van een behandeling met een nieuwe therapie. In die gevallen kan het handig zijn als een groep onderzoekers of een patiëntenvereniging de beschikking heeft over een goed gegevensbestand, een register van hun patiënten. Vanzelfsprekend geldt hier dat een patiëntenorganisatie voorzichtig om dient te gaan met de vaak zeer persoonlijke gegevens van mensen die in hun bestanden zijn opgenomen en dat deze bestanden niet zomaar aan onderzoekers of bedrijven ter hand worden gesteld (10). In het onderstaande voorbeeld over de ziekte van Pompe wordt aangegeven wat het belang van zo'n patiëntenregister kan zijn.

### ***Het verhaal over de ziekte van Pompe***

*De ziekte van Pompe is een spierziekte die veroorzaakt wordt door een gestoorde stofwisseling in de spieren. De ziekte komt in veel varianten voor met als uitersten een vroeg optredende ernstige vorm bij baby's en kinderen en een later optredende langzaam progressieve vorm bij volwassenen. De ziekte van Pompe komt gemiddeld bij één op de veertigduizend mensen voor. Nederland speelt een belangrijke rol bij het onderzoek naar de oorzaak en de behandeling van de ziekte van Pompe. Vandaar dat onderzoekers van het ErasmusMC te Rotterdam, samen met de Internationale Pompe Association (IPA) in 2002 het 'IPA/Erasmus Pompe Survey' project zijn gestart.*

*Dit is een doorlopende internationale studie waarin door middel van vragenlijsten gegevens verzameld worden van kinderen en volwassenen met de ziekte van Pompe. Het doel van dit onderzoek is om uiteindelijk een goede beschrijving te kunnen geven van natuurlijk beloop, ernst van de ziekte en de invloed op het dagelijkse leven. Patiënten worden dus meerdere malen gevraagd om de vragenlijst in te vullen. De gegevens van patiënten worden geanonimiseerd en zijn alleen door de hoofdonderzoeker terug te herleiden. Een tweede doel is het ontwikkelen en testen van meetschalen voor het bepalen van de ziekte-ernst en het meten van veranderingen in de tijd. Hiervoor wordt een speciaal voor dit doel samengestelde Pompe-vragenlijst gebruikt, die onderwerpen bevat als diagnose, ziektegeschiedenis, ontwikkeling als kind, mobiliteit, ademhaling, specifieke symptomen, dagelijkse activiteiten en gebruik van zorg. Ook worden al bestaande meetschalen gebruikt voor het meten van vermoeidheid (fatigue severity scale), zelfverzorging en mobiliteit, de mate van handicap (Rotterdam 9-items handicap scale), en kwaliteit van leven (SF-36 health survey). Op dit moment hebben meer dan 300 Pompe- patiënten aan het onderzoek deelgenomen via de bij de IPA aangesloten patiëntenverenigingen.*

*Het 'Pompe Survey' project is gestart voordat er een behandeling voor de ziekte van Pompe was, maar een nieuwe behandeling zat er wel aan te komen. Vandaar dat de resultaten en de verkregen inzichten met het 'Pompe Survey' project meegenomen konden worden in het onderzoeksdesign voor de fase 3 trial van de nieuwe behandeling. Vanwege de ernst van de aandoening is dit onderzoek eerst begonnen bij baby's en kinderen en pas later bij volwassenen.*

*De patiëntenorganisaties die aangesloten zijn bij de IPA, zijn geïnformeerd over de survey en de survey werd in diverse talen vertaald. De directe contacten van de IPA met haar leden, hebben er voor gezorgd dat uit alle delen van de wereld mensen met de ziekte zich hebben aangemeld als deelnemer aan het project.*

*Door de nauwe samenwerking tussen de patiënten, de onderzoekers en het bedrijfsleven, is het vervolgens goed gelukt voldoende patiënten voor het onderzoek naar de nieuwe behandelwijze te vinden en de uitkomsten te vergelijken met de gegevens uit het 'Pompe Survey' project. Ook bij het uiteindelijke verzoek tot registratie van het betreffende product op de markt heeft de patiëntengroep nauwkeurig aangegeven waar de voordelen van het nieuwe product op neer kwamen en wat daarvan het belang, de meerwaarde was.*

Voor meer informatie: [www.worldpompe.org](http://www.worldpompe.org) en [www.pompecenter.nl](http://www.pompecenter.nl)

## Registratie van een geneesmiddel, een behandelmethode

Zoals hiervoor al is aangegeven, worden de resultaten van het fundamenteel onderzoek, het proefdieronderzoek en de fasen van het klinisch onderzoek – de fasen 1, 2 en 3 - gezamenlijk ingediend bij de verantwoordelijke autoriteiten met daarbij de vraag de nieuwe behandelwijze toe te laten tot de markt. Voor de fabrikant is dit een spannende periode, want toelating betekent dan of het werk van de voorgaande tien jaar voldoende is gebleken om in de volgende periode het geïnvesteerde geld terug te kunnen verdienen. Naast de beoordeling van de medische effectiviteit, spelen tegenwoordig ook meer en meer economische aspecten een rol bij de beoordeling.

Deze ***farmaco-economische toetsing*** wordt steeds belangrijker en er wordt al over gesproken als **Fase 5** van het klinisch onderzoek. In deze fase moet worden aangetoond dat het middel ook in financiële termen voor de gezondheidszorg acceptabel is. In dit kader komen dan zaken als kosteneffectiviteit, budgetimpact en dergelijke aan de orde en wordt door betalers gekeken of het nieuwe middel voldoende innovatie biedt ten opzichte van het prijskaartje dat er aan verbonden is. Om kostenbeheersing niet ten koste te laten gaan van de kwaliteit van de zorg, is een beslissingsmodel nodig. Het College voor Zorgverzekeringen (CVZ), dat de minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS) adviseert over de omvang van het verzekerde pakket, hanteert daartoe vier pakketprincipes; noodzakelijkheid van zorg, de therapeutische waarde, de kosteneffectiviteit en de uitvoerbaarheid. CVZ biedt belanghebbende partijen, waaronder patiëntenorganisaties gelegenheid om commentaar te geven op haar advisering naar de minister.

De achtergronden van kosteneffectiviteitsstudies zijn niet bepaald een gemakkelijk onderwerp voor patiëntenorganisaties, maar er begint langzaam maar zeker wel aandacht te komen binnen - vooral Europese - patiëntenorganisaties om hier op een meer eenvoudige wijze uitleg over te geven. Zo is er recent een Engelstalige 'Frequently asked questions' brochure over Health Technology Assessment (HTA) verschenen en naar verwachting zal daar op korte termijn ook een Nederlandse versie van verschijnen (12). Verdere uitleg over dit onderwerp is te vinden in het al eerder genoemde boek 'Het geneesmiddel' (5). Ook recente adviezen van de Raad voor Volksgezondheid en Zorg (RvZ) en het boek 'Van kosten tot effecten' geven informatie over dit onderwerp (13, 14, 15).

## Het opstellen van richtlijnen en zorgstandaarden

Beoordeling van zowel medische effectiviteit als economische effectiviteit worden na de fase van registratie meegenomen bij het opstellen van richtlijnen. Richtlijnen worden meestal opgesteld door de betreffende beroepsverenigingen van medische beoefenaren. Richtlijnen dienen duidelijk op bewijs gebaseerd te zijn, de zogenaamde 'evidence



based' richtlijnen. Evidence-based betekent dan dat drie elkaar aanvullende bronnen van kennis gebruikt moeten zijn, de wetenschappelijke kennis, de ervaring van hulpverleners en de ervaringen en voorkeuren van hulpvragers, de patiënten. In toenemende mate, worden patiëntenorganisaties dan ook betrokken bij het opstellen van richtlijnen. In Nederland gebeurt het opstellen van richtlijnen door het CBO, het Kwaliteitsinstituut voor de Gezondheidszorg en door het NHG, het Nederlands Huisartsen Genootschap.

Het CBO en de NPCF, de Nederlandse Patiënten en Consumenten Federatie hebben een praktische handleiding voor patiënten ontwikkeld, die patiëntenorganisaties kunnen gebruiken als zij gevraagd worden mee te werken aan het opstellen van een richtlijn. De VSOP, de Alliantie voor Erfelijkheidsvraagstukken heeft recent een vergelijkbare handleiding uitgebracht om patiëntenorganisaties steun te bieden bij het opstellen van zorgstandaarden. Het eerste document is vooral gericht op veel voorkomende aandoeningen, het laatste document is meer geschikt voor zeldzame aandoeningen. Beide handleidingen zijn te vinden in de 'Bundel achtergronden', die gemaakt is voor de vijfde ZonMw studiemiddag over patiëntenparticipatie in onderzoek (3). In onderstaand verhaal wordt de meerwaarde van patiëntenparticipatie toegelicht aan de hand van de richtlijn 'Pijn bij patiënten met kanker' (16).

## ***Het verhaal van de NFK***

*In een evidence-based richtlijn dient, naast het wetenschappelijke bewijs en de klinische expertise van zorgverleners, het patiëntenperspectief te zijn geïntegreerd. De juiste invulling hiervan is regelmatig opnieuw onderwerp van gesprek. Ter discussie staat of een (ex-)patiënt aan een richtlijnwerkgroep moet deelnemen. Professionals zijn vaak bang dat patiënten niet boven hun eigen ziekteverhaal uit kunnen stijgen. Patiënten zijn bang dat ze niet gehoord worden of denken dat zij niet goed in staat zijn een waardevolle bijdrage te leveren. Deze onzekerheid komt vaak ook voort uit het feit, dat een richtlijnwerkgroep uitsluitend uit professionals bestaat.*

*Bij de ontwikkeling van de richtlijn 'Diagnostiek en behandeling van pijn bij patiënten met kanker' hebben de Vereniging van Integrale Kankercentra (VIKC), het CBO en de leden van de werkgroep nauw samengewerkt met de Nederlandse Federatie van Kankerpatiëntenverenigingen (NFK). Bij de ontwikkeling van deze richtlijn is gezocht naar een optimale structuur en invulling van de patiënteninbreng. Dit heeft geleid tot het participeren in de werkgroep van een patiëntenvertegenwoordiger en een beleidsmedewerker, beide namens de NFK. Bij de evaluatie van het richtlijnproces is door de werkgroepleden veel waardering uitgesproken voor de inbreng van de NFK-afgevaardigden. Om deze inbreng te objectiveren hebben zowel de voorzitter van de werkgroep als de patiëntenvertegenwoordiger in een schriftelijke evaluatie aangegeven*

*welke inbreng zij van de patiënt hadden verwacht en welke feitelijke inbreng was ervaren. Van beide kanten werd de waarde van de patiëntenparticipatie veel groter ervaren dan verwacht.*

*Door de specifieke inbreng van de patiëntvertegenwoordiger, kwamen in deze richtlijn de volgende zaken naar voren:*

- de invloed van het gebruik van opiaten en/of medicijnen op de rijvaardigheid*
- andere ziekten, die de patiënt kan hebben naast kanker, de zogenaamde comorbiditeit, het hebben van méér dan een ziekte*
- en in het verlengde hiervan, de polyfarmacie, het gebruik van meerdere medicijnen en de mogelijke bijwerkingen die hiervan het gevolg kunnen zijn*
- de rol van de apotheker*
- het betrekken van de naasten van de patiënt*
- het benoemen van een hoofdbehandelaar*
- het optimaliseren van de continuïteit van de verleende zorg*
- aandacht voor de geestelijke, spirituele kanten van het ziek zijn*

*Voor meer informatie: [www.nfk.nl](http://www.nfk.nl)*

## **Implementatie van richtlijnen en zorgstandaarden**

Met het opstellen van richtlijnen voor een optimale behandeling is men er nog niet. Het zal ook zo moeten zijn dat de richtlijnen in de praktijk daadwerkelijk worden toegepast. Bij die implementatie kan een patiëntenorganisatie een belangrijke rol spelen, zoals uit onderstaand verhaal blijkt waar Freya, de patiëntenorganisatie voor mensen met vruchtbaarheidsproblemen bij betrokken is.

### ***Het verhaal van Freya***

*Eind 1999 heeft het Ministerie van VWS aan ZonMw gevraagd om nieuw doelmatigheidsonderzoek rond vruchtbaarheidsstoornissen op te zetten. Samen met alle betrokken partijen, waaronder Freya, zijn onderzoeksprioriteiten vastgesteld en op basis hiervan zijn in 2001 zes studies van start gegaan. In interviews gaven partijen aan wat de doelmatigheidsproblemen waren en welke instrumenten hen ter beschikking stonden om doelmatigheid te bevorderen. Voor Freya stond voorop dat een belangrijk uitgangspunt de kans op een zwangerschap is. Daarnaast zijn de problemen als gevolg van het vergoedingen-*

*beleid uiteengezet. Ook was voor veel echtparen niet altijd even duidelijk wat de voor- en nadelen waren van de wachttijd voordat tot een IVF-behandeling werd overgegaan. De onderzoeksperiode liep van 2001 tot 2005. Aan het einde van deze periode is met alle partijen, waaronder ook Freya, over de onderzoeksresultaten gesproken.*

*Een van de onderzoeksresultaten was, dat beter inzicht is verkregen in de periode van de wachttijd. In die periode kan de kans op een spontane zwangerschap vergroot worden door de ouders tijdens die wachttijd goed te begeleiden. Begeleiding wil in dit geval zeggen, goede voorlichting over het nut van de wachttijd en begeleiding bij het eventueel stoppen met roken en het verminderen van overgewicht. Door te stoppen met roken en overtollig gewicht kwijt te raken, wordt de kans op een spontane zwangerschap groter. Freya is op basis van dit onderzoek begonnen via haar website en haar verenigingsblad informatie te verstrekken over de wetenschappelijke basis voor het maximaal benutten van de spontane zwangerschapskans.*

*Gedurende het onderzoekstraject, werd met ingang van 1 januari 2004 de vergoeding van de eerste IVF-cyclus uit het ziekenfondspakket gehaald. Uit de resultaten van deze zes studies kwam tevens naar voren dat dit een ondoelmatige actie was en dat het efficiënter zou zijn de vergoeding van de eerste IVF weer op te nemen. Dit is uiteindelijk bij de invoering van de nieuwe Zorgverzekeringswet per 1 januari 2006 weer gebeurd.*

*Voor meer informatie: [www.freya.nl](http://www.freya.nl)*

## **De periode na registratie, de postmarketingsurveillance**

In de periode na registratie wordt onder andere de veiligheid van het nieuwe product nauwkeurig in de gaten gehouden. Dit wordt de postmarketingsurveillance of postmarketing onderzoek genoemd. Ook voor patiëntenorganisaties wordt deze fase steeds belangrijker. Met name als het gaat om relatief dure behandelingen, kunnen zij er belang bij hebben dat in de tijd goed gevolgd wordt wat op de lange termijn gevolgen zijn van een behandeling voor hun patiëntengroep. In het hiervoor beschreven voorbeeld over de ziekte van Pompe gaat het om een relatief dure behandeling en door het vroegtijdig opzetten van een patiëntenregister is er een goede basis aanwezig om deze patiëntengroep over een periode van tien, twintig jaar te vervolgen. Onderstaand het verhaal over hemofilie, een erfelijke afwijking in de bloedstolling, waarbij inmiddels al meer dan dertig jaar wordt gemeten wat de effecten van de introductie van een behandeling zijn (17).

## **Het verhaal van ‘Hemofilie in Nederland’**

*Rond 1965 werd het voor het eerst mogelijk mensen met hemofilie enigszins adequaat te behandelen en het zou ongeveer vijf jaar duren voordat dit in meerdere, vaak academische ziekenhuizen in Nederland mogelijk was. De introductie van een behandeling was niet alleen aanleiding om een patiëntenvereniging op te richten, maar was voor artsen en patiënten ook aanleiding om een studie op te zetten om te inventariseren hoeveel mensen met hemofilie er in Nederland waren en hoe het gesteld was met hun medische en sociale situatie. Zo werd de eerste studie in 1972 gedaan door middel van een schriftelijke enquête die aan zoveel mogelijk patiënten of hun ouders gestuurd werd. De studie is vervolgens om de zeven jaar herhaald en inmiddels wordt aan een zesde enquête gewerkt die in 2012/2013 zal worden gehouden. De respons op de enquêtes is – zeker voor schriftelijke enquêtes – heel hoog. Iedere keer doet meer dan tachtig procent van alle patiënten in Nederland mee. Er is ook een behoorlijke groep patiënten, die aan alle vijf enquêtes heeft meegedaan. Het succes daarachter betreft ook het feit dat de onderzoekers iedere keer voor de patiënten een speciaal voor hen geschreven onderzoeksverslag schrijven. In dit verslag wordt op begrijpelijke wijze uiteengezet wat de resultaten van de studie zijn en wat de betekenis hiervan is voor de betreffende patiëntengroep. Uit de studie komt bijvoorbeeld naar voren dat de levensverwachting van mensen met hemofilie vrijwel gelijk is geworden aan die van de Nederlandse bevolking zonder hemofilie. Voor jonge mensen betekent dit dat zij gemakkelijker en zonder beperkende voorwaarden of premieverhogingen een levensverzekering of hypotheek kunnen afsluiten.*

*Hemofilie is op dit moment een van de weinige ziektebeelden die door de tijd op deze wijze gevolgd worden. En dat is iets waar veel onderzoekers en patiëntenverenigingen jaloers op zijn. In de praktijk blijkt wel dat het niet gemakkelijk is voor dit type onderzoek subsidie te krijgen. Vandaar dat de Stichting Vrienden van de Nederlandse Vereniging van Hemofilie-Patiënten in de praktijk de belangrijkste financier is van dit onderzoek, dat nog steeds gezamenlijk wordt georganiseerd door de patiëntenvereniging en de hun behandelende artsen.*

Voor meer informatie: [www.nvhp.nl](http://www.nvhp.nl)

## Nawoord

Op de vorige bladzijden is de theorie van het ontwikkelingsproces van geneesmiddelen beschreven. Door middel van negen voorbeelden is aangegeven hoe op alle niveau's van dit ontwikkelingsproces het voor patiëntenorganisaties mogelijk is om hieraan een stevige bijdrage te leveren. Dat het mogelijk is om op alle niveau's een bijdrage te leveren, is misschien wel een verrassende conclusie van dit boekje.

Vaak wordt gedacht dat de inbreng van patiënten stapsgewijs moet verlopen, via eerst eens een bijdrage aan een commissie en dan bijvoorbeeld via een prioriteringsstudie over wat een patiëntengroep met onderzoek wil bereiken (18). De voorbeelden in dit boekje geven aan, dat eigenlijk op alle niveau's een bijdrage mogelijk is en dat dit ook de moeite waard is. De inbreng van de ervaringskennis vanuit de patiëntenbeweging voegt iets toe – geeft een meerwaarde – aan de wetenschappelijke kennis van onderzoekers en de ondernemingskennis van het bedrijfsleven. Er ontstaat voor alle betrokken partijen een 'win-win' situatie.

Als de inbreng van ervaringskennis vanuit de patiëntenbeweging zo'n meerwaarde heeft, waarom gebeurt het dan niet vaker of wordt er niet vaker een beroep op gedaan? Wat zijn de eventuele belemmeringen die hieraan ten grondslag liggen? Een belangrijk punt is wel, dat over deze positieve ervaringen weinig wordt geschreven. Geschreven, in termen van wetenschappelijke publicaties. Het is kennis, die vaak opgesloten zit in de hoofden van de mensen die dit werk doen voor patiëntenorganisaties en te weinig tijd hebben om het op te schrijven, zoals bijvoorbeeld in dit boekje is gebeurd.

Daarnaast moeten partijen er ook voor open staan, het de gewoonste zaak van de wereld vinden dat patiëntenorganisaties een belanghebbende partij zijn in de gezondheidszorg en daarom gehoord worden of betrokken worden in het beslissingsproces. In Europa, is dit soms vanzelfsprekender dan in Nederland. Zo kent, zoals gezegd EMA een werkgroep van consumenten en patiënten en beslissen patiënten mee over de toelating van nieuwe geneesmiddelen in Europa, maar dit is in Nederland veel minder uitgesproken het geval bij het CBG. Ook is het in Nederland bij wet verboden, dat patiënten lid zijn van METC's en de CCMO. Ook is het voor patiëntenorganisaties in Europa gemakkelijker om een beroep te doen op wetenschappelijke onderzoekssubsidies dan in Nederland vaak het geval is. Het lastige is vaak dat andere partijen eerst zo'n samenwerkingsproces moeten hebben meegemaakt om overtuigd te raken van de vele mogelijkheden en voordelen die patiëntenparticipatie kan bieden. En ook patiëntenvertegenwoordigers moeten vaak enige schroom, enige aarzeling overwinnen om te zien dat zij een wezenlijke bijdrage kunnen leveren. Het eerder genoemde 'Handboek patiëntenparticipatie in wetenschappelijk

onderzoek' biedt verdere ondersteuning bij het nadenken over hoe een bijdrage vanuit een patiëntenorganisatie kan worden ingevuld (2). In de literatuurlijst bij dit boekje en op de diverse websites waar in de tekst naar verwezen wordt, is aanvullende informatie te vinden. Ook zijn er cursussen voor patiëntenorganisaties beschikbaar, waarin nader ingegaan wordt op de wijze waarop patiënten hun rol als onderzoekspartner kunnen invullen. Zo zijn er onder andere door de Stichting Tools ontwikkelde cursussen (zie: [www.tools2use.org](http://www.tools2use.org)). En in 2009 start het programma van het VSBfonds en ZonMw, dat zich richt op onderzoek naar 'Patiëntenparticipatie bij onderzoek, kwaliteit en beleid' (18). Dit programma heeft tot doel bij te dragen aan een wetenschappelijke onderbouwing van patiëntenparticipatie in deze domeinen en het beschikbaar maken van effectieve methoden en (ondersteunings)instrumenten. Daarnaast willen het VSBfonds en ZonMw met het voorgenomen programma bijdragen aan de ontwikkeling van een kennis- en ondersteuningsnetwerk op het gebied van patiëntenparticipatie.

Tot slot, biedt het symposium dat op 21 april 2009 georganiseerd wordt over 'Patiëntenparticipatie in geneesmiddelenonderzoek' een mogelijkheid om door weer andere verhalen gestimuleerd te worden om als patiëntenorganisatie actief met dit onderwerp aan de slag te gaan.

## Geraadpleegde literatuur

1. Zie [www.zonmw.nl/patientenparticipatie](http://www.zonmw.nl/patientenparticipatie)
2. Handboek patiëntenparticipatie in wetenschappelijk onderzoek. ZonMw, VSOP en Reumapatiëntenbond, Den Haag, 2006
3. 'Een bundel achtergronden' bij de 5e Studiemiddag Patiëntenparticipatie 'Kritische reflectie bij richtlijnontwikkeling'. ZonMw, VSOP en Reumapatiëntenbond, Den Haag, 2008
4. Patiëntenparticipatie in gezondheidsonderzoek. Raad voor Gezondheidsonderzoek (RGO), Publicatie nr. 56, Den Haag, 2007
5. Het geneesmiddel. Onder redactie van: H. Buurma, H.J. Beudeker, L.T.W. de Jong-van den Berg en H.G.M. Leufkens. Elsevier Gezondheidszorg, Maarssen, vijfde, herziene druk, 2009
6. DiMasi JA et al., The price of innovation: new estimates of drug development costs. *Journal of Health Economics* 2003;22:151-85
7. J.A.M. Raaijmakers, persoonlijke communicatie, 2009
8. 'Getting involved in research', a guide for individuals, families and the groups that support them'. EAGS, London, 2000
9. Simon Rozendaal. Het is mijn lijf: een nieuwe revolutie Patient Power. Aspekt, Soesterberg, 2006
10. Simon Rozendaal. It's my life: a new revolution Patient Power. Aspekt, Soesterberg, 2007
11. Tineke Abma en Jacqueline Broerse. Zeggenschap in wetenschap: patiëntenparticipatie in theorie en praktijk. Uitgeverij Lemma, Den Haag, 2007
12. Understanding Health Technology Assessment (HTA). Health Equality Europe (HEE), Switzerland, 2008

13. Zinnige en duurzame zorg. RvZ, Den Haag, 2006
14. Rechtvaardige en duurzame zorg. RvZ, Den Haag, 2007
15. Van kosten tot effecten, een handleiding voor evaluatiestudies in de gezondheidszorg. Onder redactie van: M.P.M.H. Rutten-van Mólken, J.J. van Bussbach en F.F.H. Rutten. Elsevier Gezondheidszorg, Maarssen, 2001
16. Saskia Vonk e.a., Patiënteninbreng bij richtlijnontwikkeling. Tijdschrift Kanker, februari 2008, Uitgeverij Misset
17. Werkgroep 'Hemofilie in Nederland'. Hemofilie in Nederland 5, verslag 30 jaar onderzoek (1971-2001) naar de medische en sociale omstandigheden van mensen met hemofilie in Nederland. Leiden, 2004
18. Inventarisatie patiëntenperspectief in onderzoek, kwaliteit en beleid. H. van de Bovenkamp, K. Grit en R. Bal, iBMG, Rotterdam, 2008



# **Fundamenteel onderzoek en patiëntenorganisaties: een verrassende combinatie!**

Cees Smit (red.), Tessa van der Valk en Kim Wever

Dit hoofdstuk is eerder als boekje verschenen  
als achtergrondnotitie bij een advies van de taakgroep  
Wetenschap en Patiënt van ZonMw in september 2011



***‘Zij kenden de literatuur vaak nog beter dan wij.  
Ik was een echte labrat. Opeens zag ik dat je als  
wetenschapper ook gewoon direct met patiënten  
kon praten over onderzoek’***

Frank Miedema, decaan en vice-voorzitter  
van de Raad van Bestuur van het  
Universitair Medisch Centrum Utrecht  
over de beginjaren van het aids-onderzoek

***‘Patients represent a largely untapped source  
of funding, energy and know-how  
in the treatment development process’***

Josh Sommer, directeur  
van de Chordoma Foundation USA

***‘Afen toe vergat ik dat ik te maken had  
met ouders in plaats van collega’s’.***

Ype Elgersma,  
hoogleraar Moleculaire Neurobiologie,  
ErasmusMC Rotterdam

***‘Ons hele gezondheidszorgsysteem  
is gericht op het weghouden van innovatie.  
Het gebeurt wel, maar ondanks  
en niet dankzij de overheid’***

Edith Schippers,  
Minister van VWS



## Inleiding

In de zomer van 2010 heb ik een cursus schilderen in Normandië gevolgd. Ik heb daar een schilderij gemaakt van de haven van Granville, met op de achtergrond de Mont Saint Michel. 'Een verrassende combinatie', aldus de burgemeester van St Léger, die langskwam op de eindexpositie van de cursisten in haar dorp. Zij wist net als ik dat de Mont Saint Michel verstopt zit achter een landtong en niet te zien is vanuit de haven van Granville.

Een vergelijkbare 'verrassende combinatie' kwam de afgelopen jaren ook naar voren tijdens de gesprekken bij ZonMw tussen fundamenteel onderzoekers en vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties. Ook daar werd achter de werkelijkheid van aanvankelijk wat aarzelende gesprekken tussen vertegenwoordigers van werelden die elkaar niet goed kenden, een nieuwe werkelijkheid zichtbaar. Een nieuwe werkelijkheid van fundamenteel onderzoekers, die enthousiast zijn over hun intensieve samenwerking met patiëntenorganisaties. Een samenwerking die geleid heeft tot het vinden van nieuwe genen, nieuwe beschrijvingen van ingewikkelde diagnostiek en stevige doorbraken in de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen of behandelmethoden voor niet of nog niet goed te behandelen ziektebeelden. En niet onbelangrijk, sommige fundamentele onderzoeksgroepen krijgen inmiddels behoorlijke sommen geld uit de fondsenwerving van patiëntenorganisaties.

In de loop van de tijd is in de gesprekken van de Taakgroep Wetenschap en Patiënt van ZonMw consensus ontstaan over waar zinvolle samenwerking mogelijk is. Samenwerking tussen fundamenteel onderzoekers en patiëntenorganisaties is met name daar op zijn plaats, wanneer het fundamenteel onderzoek uiteindelijk gericht is op een vertaalslag naar de kliniek, het zogenaamde translationele onderzoek of in de Engelse terminologie 'from bench to bedside'. Als die vertaalslag naar de kliniek succesvol verloopt, komt vervolgens het verder benodigde klinische onderzoekswerk in beeld. Het onderscheid tussen fundamenteel en klinisch is niet altijd goed te maken en in deze tekst loopt het ook nog wel eens door elkaar. Dit komt vooral omdat fundamenteel en klinisch onderzoek in elkaars verlengde liggen, met biobanken en patiëntenregisters als een soort 'tussenfase' waarin er eigenlijk sprake is van fundamenteel onderzoek, maar er toch ook al iets van de patiënt wordt gevraagd.

Deze tekst is een vervolg op het in 2009 verschenen boekje *'Het verhaal van ...', negen verhalen over patiëntenparticipatie in geneesmiddelenonderzoek'* (1). De tekst concentreert zich nu echter vooral op het begin van het lange proces van geneesmiddelenonderzoek, het fundamenteel preklinisch onderzoek. Aan de hand van een aantal praktijkvoorbeelden wordt meer duidelijk over de drijfveren van patiëntenorganisaties om zich met

geneesmiddelenonderzoek bezig te houden en in de praktijk betekent dat – tot verbazing van velen – ook fundamenteel onderzoek. Daarnaast geven fundamenteel onderzoekers aan wat zij vinden van de mogelijkheden en onmogelijkheden om samen te werken met patiëntenorganisaties.

De bedoeling van dit achtergrondstuk als bijlage bij het in september 2011 uitgebrachte advies van de Taakgroep Wetenschap en Patiënt van ZonMw is om meer inzicht te verkrijgen in de huidige situatie rondom patiëntenparticipatie bij fundamenteel onderzoek en de wijze waarop de verschillende partijen zich tot elkaar verhouden. In die zin is deze tekst vooral een beschrijving van ontwikkelingen. Het advies van de Taakgroep is vooral bedoeld om een richting te schetsen voor de verdere samenwerking tussen fundamenteel onderzoekers, beleidmakers en patiëntenorganisaties.

Tessa van der Valk en Kim Wever, beleidsmedewerkers bij de Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties (VSOP), hebben een deel van het denkwerk voor deze tekst met mij gedeeld door hun kennis over biobanken en patiëntenregisters (Tessa) en klinisch onderzoek (Kim) en de manier waarop patiëntenorganisaties hiermee bezig zijn.

In de tekst zelf komt een groot aantal mensen en organisaties voor, die ik de afgelopen jaren persoonlijk of via hun geschriften heb leren kennen. Ik hoop dat ik de vertaling van hun werk in mijn woorden recht heb gedaan en ik bedank hen voor de inspiratie die uit hun werk spreekt.

Cees Smit (eindredactie)

Hoofddorp, 5 september 2011

# Fundamenteel onderzoek en patiëntenorganisaties: een verrassende combinatie !

door Cees Smit (red.), Tessa van der Valk en Kim Wever

## Samenvatting

- *In 2008 zijn de eerste gesprekken gestart tussen ZonMw en een aantal Nederlandse patiëntenorganisaties rond zeldzame aandoeningen om te kijken of er meer samenwerking mogelijk is tussen patiëntenorganisaties en fundamenteel onderzoekers en welke rol ZonMw en NWO hierbij zouden kunnen spelen.*
- *Deze gesprekken zijn uitgemond in de vorming van een Taakgroep Wetenschap en Patiënt.*
- *Dit stuk geeft een overzicht van wat er zich op dit moment zowel in Nederland als daarbuiten afspeelt aan samenwerking tussen patiëntenorganisaties en fundamenteel onderzoekers.*
- *Zinvolle samenwerking tussen fundamenteel onderzoekers en patiëntenorganisaties is met name daar op zijn plaats, wanneer het onderzoek uiteindelijk gericht is op een vertaalslag naar de kliniek, het zogenaamde translationele onderzoek of in de Engelse terminologie 'from bench to bedside' .*
- *Een groeiende groep patiëntenorganisaties is – in nauwe samenwerking met onderzoekers - actief betrokken bij het daadwerkelijk opzetten van wetenschappelijk onderzoek naar de oorzaak van hun ziekte en de behandeling ervan.*
- *Patiëntenorganisaties zijn daarbij met name sterk in:*
  1. *Het bijeenbrengen van patiënten en hun lichaamsmateriaal in patiëntenregisters en biobanken.*
  2. *Het delen van gegevens voor onderzoek en het organiseren van samenwerkingsverbanden tussen patiënten, onderzoekers en bedrijfsleven.*
  3. *Het bijeen krijgen van financiering voor biobanken en onderzoek, ook voor de langere termijn.*
- *Inmiddels zijn op het terrein van gendiagnostiek en productontwikkeling de eerste successen te melden waarbij patiëntenorganisaties een cruciale rol speelden.*

- *De hier geschetste ontwikkeling wordt ondersteund door wetgeving op het gebied van de zeldzame ziekten, zowel in Amerika – de Orphan Drug Act van 1983 – als in Europa – de Regulation on Orphan Medicinal Products van 1999.*
- *Een groeiende groep fundamenteel onderzoekers is betrokken bij deze initiatieven van patiëntenorganisaties en werkt met veel plezier en resultaat met hen samen.*
- *Een aantal fundamenteel onderzoekers ontvangt op dit moment substantiële sommen geld voor hun onderzoekswerk van patiëntenorganisaties. Dit kan oplopen tot een kwart van hun onderzoeksgelden.*
- *Ook collectebusfondsen profiteren in toenemende mate van de fondsenwervende activiteiten van patiënten en hun naasten, in het geval van KWF Kankerbestrijding gaat het inmiddels ook om een kwart van hun totale inkomsten.*
- *Naast samenwerking op het terrein van fundamenteel onderzoek, kunnen patiëntenorganisaties en burgerpanels onderzoekers ook inzicht geven in de onderzoeksvragen die bij burgers en patiënten leven. Een dergelijk inzicht blijkt*
- *bijvoorbeeld uit het in januari 2011 verschenen rapport ‘Medische producten: nieuw en nodig!’ van de Gezondheidsraad.*
- *De in deze tekst beschreven voorbeelden laten duidelijk zien dat de Nederlandse patiëntenbeweging een zeer constructieve bijdrage kan leveren aan het uitvoeren van bijvoorbeeld: de Agenda Medische Producten van de Gezondheidsraad; het Topsectorplan Life Sciences & Health; en het nieuwe Europese instituut voor translationeel onderzoek EATRIS dat in Nederland gevestigd zal worden.*



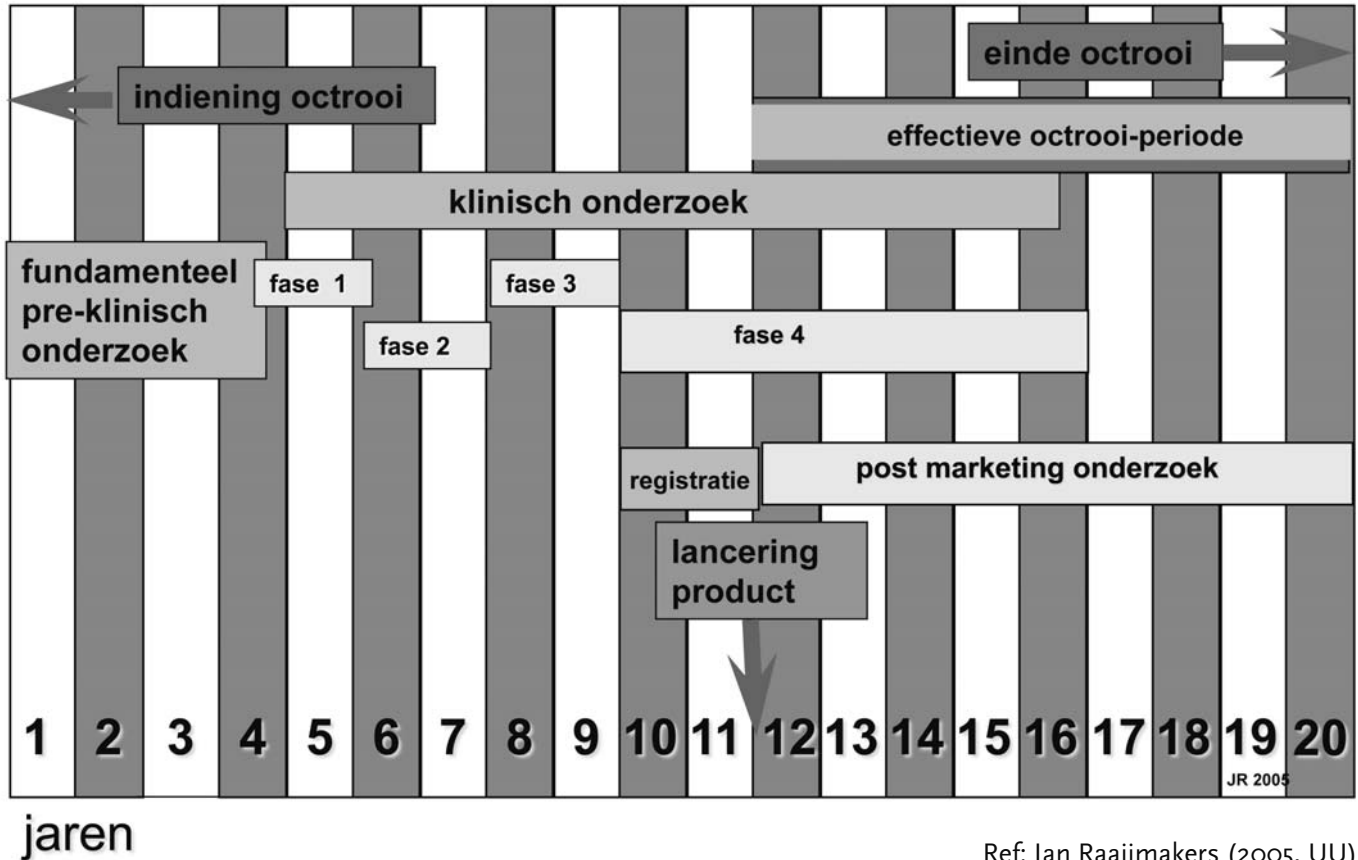
## Het ontwikkelingsproces van geneesmiddelen en de veranderende rol van patiëntenorganisaties

Geneesmiddeleninnovatie, het proces dat tot de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen of behandelmethoden moet leiden, wordt gewoonlijk in twee fasen ingedeeld: namelijk een ontdekkingsfase en een ontwikkelingsfase (2). In de **ontdekkingsfase** staat creativiteit centraal. In deze fase, de fase van het **fundamenteel preklinisch onderzoek** hoopt iedere onderzoeker op de vondst die tot een wetenschappelijke doorbraak, een Nobelprijs of een octrooiaanvraag leidt. Octrooien zijn belangrijk voor zowel bedrijven als universiteiten, omdat zij op die manier de investeringen in onderzoek kunnen terugverdienen. In een groot farmaceutisch bedrijf worden door wetenschappers jaarlijks honderden voorstellen gedaan voor een nieuw geneesmiddel. Daarnaast worden vele duizenden stoffen bekeken op de mogelijkheid dat ze gebruikt kunnen worden voor de productie van geneesmiddelen. Slechts een zeer klein deel van deze ideeën en stoffen bereikt uiteindelijk de markt.

Als een idee of een stof door de ontdekkingsfase heen is gekomen, begint de **ontwikkelingsfase**, de **fase van het klinisch onderzoek**. In deze fase wordt de weg van chemische stof naar nieuw geneesmiddel op de markt afgelegd. Voordat een product daar is, wordt gesproken van de preregistratie- of premarketingfase. Als het product eenmaal op de markt is, wordt gesproken van de postregistratie- of postmarketingfase. In die fase wordt de toepassing van het geneesmiddel nog altijd nauw gevolgd, om meer inzicht te krijgen in de werkzaamheid en veiligheid op de lange termijn. De registratie van een nieuw geneesmiddel is voor een farmaceutisch bedrijf een belangrijk moment. Op dat moment is namelijk voldaan aan strenge regels van werkzaamheid en veiligheid van nationale en internationale registratie-autoriteiten. De stap van ontdekkingsfase naar ontwikkelingsfase tot het moment van toelating op de markt is een lange weg. Vaak is hier een periode van tien tot vijftien jaar mee gemoeid en de ontwikkelingskosten van een nieuw geneesmiddel bedragen gemiddeld 800 miljoen euro (3). De verschillende stadia die tot de ontwikkeling van een nieuw geneesmiddel of een behandelwijze leiden, zijn samengevat in figuur 1(4).

Meer informatie over het proces van geneesmiddeleninnovatie is te vinden in het boek 'Het geneesmiddel' (2). Het komt regelmatig voor dat een geneesmiddel na registratie voor een specifieke aandoening ook nog voor andere aandoeningen wordt geregistreerd.

Figuur 1. Het geneesmiddelen ontwikkelingstraject



Ref: Jan Raaijmakers (2005, UU)

Geneesmiddelenontwikkeling vindt niet alleen plaats binnen de grote farmaceutische bedrijven, maar ook daarbuiten. In toenemende mate spelen kleine - vaak vanuit de academische onderzoekswereld tot stand gekomen - biotechnologische bedrijven een rol bij de ontwikkeling van nieuwe diagnostische tests, hulp- en geneesmiddelen.

## **Taken van patiëntenorganisaties**

Vrijwel alle patiëntenorganisaties die in de jaren zeventig, tachtig zijn opgericht, hebben zich op de volgende drie taken toegelegd:

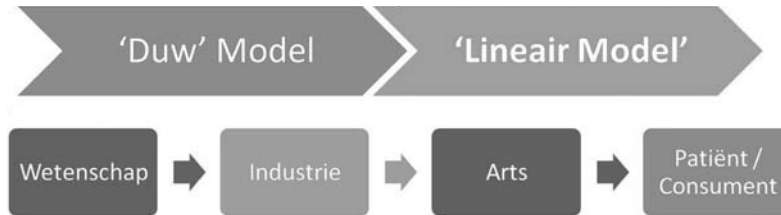
1. Voorlichting en informatie verstrekken.
2. Het organiseren van lotgenotencontact.
3. Belangenbehartiging in de ruimste zin van het woord.

Het overheidsbeleid sloot daar op aan in de zin dat de basissubsidie van het ministerie van VWS voor patiënten-, gehandicapten- en ouderenorganisaties (PGO-organisaties) voor de financiering van die drie taken bedoeld was. Inmiddels is de opkomst van nieuwe patiëntengroepen zichtbaar, die zich vrijwel uitsluitend richten op directe participatie in medisch-wetenschappelijk onderzoek en beleid. Om dit wetenschappelijk onderzoek te stimuleren, houden deze nieuwe patiëntengroepen zich ook actief met fondsenwerving bezig. Die participatie van patiëntengroepen in onderzoek en beleid kan men zien als een nieuwe, een vierde taak van de patiëntenbeweging.

## **De veranderende rol van patiëntenorganisaties bij geneesmiddelenontwikkeling**

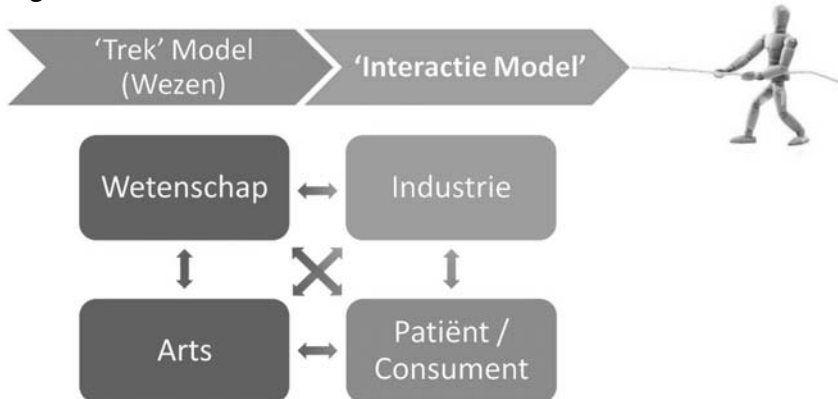
De opkomst van deze nieuwe patiëntengroepen lijkt parallel te lopen met ontwikkelingen op het terrein van de geneesmiddelenontwikkeling. Vroeger werd de patiënt vaak in een laat stadium geconfronteerd met de inspanningen van wetenschappelijk onderzoek (5). Het traditionele model van onderzoek en ontwikkeling naar een nieuw geneesmiddel was een lineair model, ook wel het 'duwmodel' of het 'push model' genoemd. (zie figuur 2A).

**Figuur 2A** Het 'Duw' of 'Push model'



Het was in deze situatie vaak de arts die bijna aan het einde van het ontwikkelingsproces aan een patiënt vroeg of hij wilde deelnemen aan een klinisch onderzoek (clinical trial) naar de effecten van een nieuw geneesmiddel. Tegenwoordig wordt dit lineaire model meer en meer vervangen door een interactief model met in principe dezelfde partners, maar in dit model wordt de bijdrage van de patiënt om problemen op te lossen herkend en erkend (zie figuur 2B). Voor dit meer interactieve model wordt ook de term 'Trekmodel' of 'Pull model' gebruikt, om aan te geven dat de behoeften van gebruikers centraal staan.

**Figuur 2B** Het 'Trek' of 'Pull Model'



In dit interactiemodel zijn patiënten en hun organisaties onderdeel van het onderzoeksnetwerk geworden en zij kunnen nu:

- Zelf met innovatieve ideeën komen.
- Druk uitoefenen op onderzoekers en bedrijfsleven, opdat hun aandoening onderzocht wordt. Deze druk kan bijvoorbeeld uitgeoefend worden door het beschikbaar stellen van geld, de patiëntenorganisatie als fondsenwerver en -verstrekker.
- Samenwerken met belangrijke onderzoekers en bedrijven om gegevens te verstrekken ten aanzien van hun aandoening, de inbreng van specifieke ervaringskennis en de formulering van relevante uitkomstmaten voor hun aandoening.
- Samenwerking en coördinatie tussen partijen versterken en de snelheid, kwaliteit en effectiviteit van het onderzoek in alle stadia propageren, vanaf de eerste omschrijving van de aandoening tot de uiteindelijke informatieverstrekking over werkzame producten om de aandoening te behandelen.
- Verzekeren dat het onderzoeksprotocol van het klinisch onderzoek, de clinical trial, realistisch is en aansluit op de noden van patiënten.
- Helpen om toegankelijke schriftelijke informatie voor patiënten te ontwikkelen over het fundamenteel preklinisch onderzoek en het benodigde klinische onderzoek.
- Helpen bij het organiseren van een efficiënte inclusie van patiënten in klinisch onderzoek.
- Helpen bij het beoordelen van de resultaten van onderzoek.

In dit interactiemodel vervullen patiëntenorganisaties, naast het feit dat ze nu ook zelf deel uitmaken van het onderzoekswerk, een aantal innovatieve rollen, bijvoorbeeld:

- Als een lobbygroep richting overheden en subsidiegevers - zowel nationaal als internationaal - om onderzoeksprioriteiten aan te geven. Dit kan ook in de vorm zijn van (een) ervaringsdeskundige deelnemer(s) aan een commissie of een gebruikersgroep.
- Als beheerder van een databank (een biobank of een patiëntenregister) voor lichaamsmateriaal en gegevens (DNA, cellen, weefsels) en informatie over het verloop van een ziekte over een lange(re) periode.
- Als een financieringsbron voor onafhankelijk, wetenschappelijk onderzoek.
- Als aandeelhouder/financier van het bedrijfsleven.
- Als waakhond ter bescherming van deelnemende patiënten aan klinisch onderzoek of andere onderzoeksprogramma's.

## De patiënt als onderzoeker

Een groeiende groep patiëntenorganisaties is actief betrokken bij het daadwerkelijk opzetten van wetenschappelijk onderzoek naar de oorzaak van hun ziekte en de behandeling ervan. Zoals uit de voorbeelden blijkt, ligt de kracht van patiëntenorganisaties hierbij vooral in het organiseren van de eigen patiëntengroep, het verzamelen van lichaamsmateriaal en/of gegevens in biobanken en patiëntenregisters en de lange termijn financiering van onderzoek naar de oorzaak van de vaak zeldzame aandoening. Als die oorzaak eenmaal gevonden is, volgen de vraag naar een diagnostische test en de behandeling van de ziekte. In een aantal gevallen is de stap gezet naar een behandeling en zijn er contacten met kleine biotechnologische bedrijven en de grote, internationale farmaceutische bedrijven. Deze ontwikkeling is al begonnen in de jaren zestig van de vorige eeuw en heeft zich sinds de jaren tachtig versterkt doorgezet.

## De pioniers

Een eerste groep 'expert patients' die in de tachtiger jaren van de vorige eeuw naar boven kwam, waren aids-patiënten. Act-Up was de eerste organisatie die via een actieve, agressieve aanpak meer macht voor patiënten afdwong. Met name in Amerika namen zij geen genoegen met de bureaucratische werkwijze van de overheid en eisten zij snellere procedures voor de toelating van aids-medicijnen op de markt (6). Bij Act-Up was zowel sprake van een sterke lobby als een grote inhoudelijke kennis van het klinisch onderzoek.

Maar al voor die tijd was er het voorbeeld van Nancy Wexler, afkomstig uit een Russische immigrantenfamilie waarin de ziekte van Huntington voorkwam. Toen haar moeder in 1968 de ziekte ook bleek te hebben, ging zij zich samen met haar vader inzetten voor het onderzoek naar deze ziekte. Hiertoe schoolde zij zich om van klinisch psycholoog tot geneticus. Haar vader, een psychiater in Hollywood, had veel bekende filmsterren op de divan en deze werden ingezet voor fondsenwervings-campagnes voor de ziekte van Huntington. Dit geld gebruikte Nancy Wexler onder andere voor het opzetten van een expeditie naar een aantal kleine dorpjes in Venezuela waar veel mensen met de ziekte van Huntington leven. Na een band met deze mensen opgebouwd te hebben, mocht zij bloed van hen afnemen en slaagden onderzoekers aan de Harvard Universiteit erin het gen voor de ziekte te lokaliseren (7).

Na de periode van deze pioniers, komt er een nieuwe fase die sterk beïnvloed is door de Amerikaanse en Europese wetgeving op het terrein van het onderzoek rond zeldzame aandoeningen. De Amerikaanse 'Orphan Drug Act' dateert uit 1983 en de Europese variant daarvan uit 1999. Het gaat daarbij niet alleen om zeldzame aandoeningen, zoals in het voorbeeld van Sharon en Patrick Terry, maar ook om de zeldzame varianten van veel voorkomende aandoeningen, zoals kanker. Hierop heeft het voorbeeld van Josh Sommer van de Amerikaanse Chordoma Foundation betrekking.

## **Sharon en Patrick Terry**

Een inmiddels bekend voorbeeld is het verhaal van Patrick en Sharon Terry (7). In 1995 werd bij hun twee kinderen de zeldzame ziekte PXE, pseudoxanthoma elasticum ontdekt. PXE is een ziekte, waarbij de elastische vezels in het lichaam gaan verkalken. De meeste patiënten worden ernstig slechtziend rond hun vijftigste en ze hebben een verhoogde kans op hart- en vaatziekten. Net als zoveel andere ouders van kinderen met een zeldzame ziekte, lazen de Terry's alle wetenschappelijke artikelen die ze te pakken kregen en spraken met onderzoekers. Ze kwamen tot de ontdekking dat er nog maar weinig over de ziekte bekend was en dat onderzoekers niet echt met elkaar samenwerkten. Daarop besloten zij het heft in eigen handen te nemen, van patiënten wereldwijd lichaamsmateriaal in te zamelen en met ingezameld geld onderzoekers voor hen aan het werk te zetten. Het onderzoek, waaraan ook het interuniversitair oogheelkundig instituut van de Universiteit van Amsterdam deelnam, resulteerde in het vinden van het gen voor PXE in 2000. Sharon Terry is de vierde auteur van het artikel waarin de vinding van het gen wordt beschreven (8). Het gen is geëtrooieerd en mede-eigendom van PXE International, de patiëntenorganisatie (9). Inmiddels is er ook een genetisch-diagnostische test voor PXE ontwikkeld. Sinds 2007 loopt er een studie naar het klinisch verloop van de ziekte. Ook is er een PXE- 'knock-out' muismodel ontwikkeld, waar veel onderzoek mee wordt gedaan. Via de oprichting van de Genetic Alliance Biobank probeert PXE International ook onderzoek naar andere zeldzame aandoeningen mogelijk te maken.

## **De Genetic Alliance Biobank**

Het primaire doel van de Genetic Alliance Biobank is het bieden van een infrastructuur voor biobanken aan patiëntenorganisaties zodat zij daarmee zelf het onderzoek naar behandeling van ziekten kunnen stimuleren. Binnen dit initiatief wordt nauw samengewerkt met Amerikaanse bedrijven en kennisinstellingen. Op dit moment nemen zes categorale patiëntenorganisaties deel, waaronder de oorspronkelijke oprichter PXE International.

Geïnteresseerde onderzoekers kunnen bij de biobank een aanvraag voor gegevens en lichaamsmateriaal indienen. Andere patiëntenorganisaties kunnen lid worden van de Genetic Alliance Biobank, en zo de bestaande infrastructuur benutten om een ziektespecifieke biobank op te zetten ([www.biobank.org](http://www.biobank.org)). Soms worden hiervoor door de Genetic Alliance subsidies verleend. Sharon Terry was op 17 juni 2011 in Nederland voor een presentatie over biobanken en patiëntenorganisaties en in die presentatie introduceerde zij het GRAND concept voor een versnelling in het fundamenteel onderzoek naar zeldzame aandoeningen (zie [www.biobanken.org](http://www.biobanken.org))

## Chordoma Foundation

Josh Sommer is de directeur van de in 2007 samen met zijn moeder opgerichte Chordoma Foundation. Op 22 november 2010 presenteerde hij zijn verhaal tijdens het BBMRI-nl symposium 'Connecting biobanks' (zie [www.bbMRI.nl](http://www.bbMRI.nl)). Bij hem werd in 2006 een chordoom gevonden, een zeldzame vorm van kanker in de wervelkolom. De vooruitzichten van chordoompatienten zijn slecht, en Josh ging na het herstel van zijn operatie op zoek naar mogelijkheden om het onderzoek naar de ziekte te versnellen. Bij toeval bleek dat de enige door de National Institutes of Health (NIH) gefinancierde chordoom onderzoeker werkzaam was bij de universiteit waar Josh op dat moment studeerde, de Duke University. Josh ging daarop als vrijwilliger aan de slag in het lab van deze oncoloog, dr. Kelley. Een gebrek aan tumormateriaal bleek al snel een belangrijke barrière voor het onderzoek. Weefsel werd veelal niet of onvindbaar opgeslagen. Het bleek ook niet gebruikelijk voor instituten om het beschikbare zeldzame materiaal te delen. Daarnaast was er een gebrek aan financiering van onderzoek en te weinig coördinatie en samenwerking. Daarop richtte Josh samen met zijn moeder de Chordoma Foundation op om te zorgen voor kennisdeling en meer samenwerking tussen onderzoekers. Sinds 2007 komen onderzoekers nu samen op de jaarlijkse internationale Chordoma Foundation onderzoeksconferenties en is er meer aandacht voor het bijeenbrengen van voldoende weefselmonsters van voldoende kwaliteit. Op dit moment zijn nog geen concrete wetenschappelijke resultaten geboekt, maar deze worden op korte termijn wel verwacht. De toegenomen samenwerking heeft ervoor gezorgd dat deze vorm van een zeldzame kanker meer aandacht krijgt (zie verder [www.chordomafoundation.com](http://www.chordomafoundation.com)). Het voorbeeld van Josh Sommer laat zien dat nu ook patiënten van vaker voorkomende aandoeningen zich met fundamenteel preklinisch onderzoek gaan bezighouden en dat een belangrijke drijfveer toch ook het gebrek aan samenwerking tussen onderzoekers is, zoals dat eerder ook al is aangegeven voor het PXE voorbeeld van Sharon en Patrick Terry.



## Carrière-switch

Bij al deze pioniers was er sprake van een carrière-switch. Aids-patiënten ontwikkelden zich tot experts op het terrein van de opzet van klinische trials. Nancy Wexler schoolde zich om van klinisch psycholoog tot geneticus, ook haar moeder was hoogleraar in de genetica. Patrick Terry was directeur van een bouwbedrijf en is nu directeur van verschillende biobanken en bedrijven in de gezondheidszorg. Hij werkte drie jaar in een laboratorium om zelf DNA af te kunnen lezen en genen te bepalen. Een van zijn bedrijven is GenomicHealth, die een genentest voor erfelijke borstkanker op de markt heeft gebracht. Sharon Terry is van huis uit theologe, maar staat nu aan het hoofd van de Genetic Alliance Biobank. En ook Josh Sommer veranderde van studierichting: hij maakte zijn eigen bio-engineering curriculum, gericht op het modelleren en oplossen van biologische processen, die tot ziekte leiden. Josh's moeder Simone Sommer is huisarts. Wat de vier voorbeelden daarnaast met elkaar gemeen hebben, is het gebrek aan behandelingsmogelijkheden voor zeer ernstige en levensbedreigende ziektebeelden.

## Nederlandse patiëntenorganisaties

Ook in Nederland zijn er een aantal doorbraken in het onderzoek naar zeldzame ziekten te danken aan de inzet van ouders van patiënten. Een bekend voorbeeld is het onderzoek naar de behandeling van de ziekte van Duchenne. Hier is Elizabeth Vroom het gezicht van die doorbraak (1).

## Het Duchenne Parent Project

Elizabeth Vroom kwam in 1994 in Amerika met andere ouders bijeen en daar werd de afspraak gemaakt minimaal 40 miljoen dollar in te zamelen om het onderzoek naar de ziekte van Duchenne op gang te helpen. Elizabeth Vroom slaagde er in om binnen vier jaar twee miljoen dollar bij elkaar te krijgen. Van dat geld kreeg de talentvolle jonge onderzoekster Judith van Deutekom een beurs om in Amerika onderzoek te doen. Later keerde zij terug naar Nederland om bij het Leids Universitair Medisch Centrum (LUMC) verder te werken aan een bepaalde vorm van genetische therapie – exon-skipping – voor Duchenne. Bij exon-skipping wordt een soort RNA-pleister ingespoten, die het defect in het Duchenne-gen als het ware afplakt. Inmiddels zijn met het meest gevorderde product PRO051 de eerste fase-II trials succesvol afgerond en is recentelijk een fase-III onderzoek gestart. Het Leidse biofarmaceutische bedrijf Prosensa heeft inmiddels zes producten in ontwikkeling voor verschillende

subpopulaties van Duchenne patiënten en is verantwoordelijk voor het verdere onderzoek, de ontwikkeling en de toekomstige commercialisatie van deze producten. Prosensa heeft voor een deel van deze portfolio een wereldwijde overeenkomst gesloten met Glaxo Smith Kline. Binnen het LUMC zijn inmiddels meerdere onderzoeksgroepen te vinden die uitgebreid samenwerken met patiëntenorganisaties, zoals de onderzoeksgroep van Silvère van der Maarel die zich met de spierziekte FSHD bezighoudt.

## **Marshall Smith Syndroom**

Een ander recent voorbeeld speelt rond de ouders van Joas Laan, die in de zomer van 2006 geboren werd met het zeer zeldzame Marshall-Smith Syndroom (MSS). Nadat begin 2007 de diagnose gesteld was, begonnen zijn ouders een zoektocht op internet naar andere kinderen met die ziekte. Binnen korte tijd hadden zij twee andere Nederlandse patiënten gevonden. Op 29 februari 2008 kregen zij ter gelegenheid van Wereld Zeldzame Ziekten Dag een cheque van 7.000 euro ter stimulering van het verdere onderzoek naar dit syndroom. Van dit geld gingen zij met de betreffende kinderen naar de Nederlandse arts Raoul Hennekam, die toen in het Great Ormond Street Hospital in Londen werkte. Weer een jaar later kwamen zij in Valkenburg bijeen met negen patiënten uit de gehele wereld. Inmiddels kennen zij 29 patiënten, maar wat belangrijker is: het hiervan verzamelde DNA-materiaal heeft inmiddels geleid tot de identificatie van een voor het MSS verantwoordelijk gen (10). Eind juni 2011 heeft er weer een wereldwijde bijeenkomst van kinderen met het MSS en hun ouders plaatsgevonden in het Ronald McDonald vakantiehuis in Valkenburg, ditmaal met negen kinderen uit zes landen. Op deze bijeenkomst werd een cheque van 100.000 euro uitgereikt aan een van de onderzoekers op het terrein van het MSS.

## **De nieuwe sociale media**

De ouders van Joas Laan hebben in een paar jaar tijd volop gebruik gemaakt van de mogelijkheden die internet biedt (11). Iedereen, waar ook ter wereld die op het MSS zoekt, komt op hun website uit ([www.marshallsmith.org](http://www.marshallsmith.org)). De MSS website is er inmiddels in zeven talen en is omgevormd tot een internet-community, een daaronder liggend patiëntenregister en een uitgebreid wiki-document met de specifieke symptomen en klachten van mensen met MSS. Via Facebook worden dagelijks verhalen en foto's gedeeld en ook dat betekent veel voor zowel kinderen (die nu zien dat er ook andere kinderen met MSS zijn) en ouders (die nu zien dat kinderen met MSS ook volwassen kunnen worden).

## Veel voorkomende aandoeningen

Ook in Nederland is de overgang te zien van de ontwikkeling van dit soort initiatieven bij vooral zeldzame aandoeningen naar de veel voorkomende aandoeningen, zoals kanker. Illustratief hierbij is het verhaal van Peter Kapitein, het gezicht van de Stichting Alpe d'HuZes.

### Stichting Alpe d'HuZes

Bij triatleet Peter Kapitein was het zijn vriend en collega Coen van Veenendaal, die in 2005 het idee opperde om met het beklimmen van de Alpe d'Huez geld in te zamelen voor de bestrijding van kanker ([www.opgevenisgeenoptie.nl](http://www.opgevenisgeenoptie.nl)). En zo werd op 6 juni 2006 voor de eerste maal Alpe d'HuZes gehouden en werd door 66 wielrenners zes maal de Alpe d'Huez beklommen. Een bijna onmogelijke opgave. Toch lukte het in de jaren 2006 tot en met 2010 al heel veel deelnemers, zelfs een aantal (ex-)kankerpatiënten. Werd in 2006 nog een bedrag van 370.000 euro bij elkaar gefietst, in 2010 werd een recordbedrag van twaalf miljoen euro opgehaald! Het doel voor 2011 was er op gericht om het recordbedrag van 2010 te verpulveren en dat is medio 2011 al ruimschoots gelukt. Op 9 juni 2011 werd door ruim 4300 deelnemers een bedrag van 20.106.345,75 euro bij elkaar gefietst voor KWF/Kankerbestrijding. Met dit bedrag zorgt alleen al de Stichting Alpe d'HuZes voor 20 procent van de inkomsten van KWF/Kankerbestrijding.

Het geld van de eerste vier jaar is inmiddels via KWF/Kankerbestrijding gericht besteed aan de ontwikkeling van het revalidatieprogramma A-CaRe voor mensen met kanker, een aantal projecten rond leven met kanker, voeding en kanker en de Bas Mulder Award (Bas Mulder was een mountainbiker, die aan kanker is overleden) voor jonge kankeronderzoekers. En inmiddels heeft de Stichting Alpe d'HuZes ook de switch gemaakt door zich bezig te gaan houden met het medisch-wetenschappelijk onderzoek naar kanker.

### 'Understanding Life!'

Begin 2011 hebben de mensen van Alpe d'HuZes een grote bijeenkomst voor 75 (inter)nationale wetenschappers georganiseerd in het klassieke gebouw van de Koninklijke Nederlandse Academie voor Wetenschappen (KNAW). Dagvoorzitters waren Robbert Dijkgraaf, de president van de KNAW en Nout Wellink, oud-president van de Nederlandse Bank, die de werkgever van Peter Kapitein is. De bijeenkomst was vooral bedoeld om een internationale agenda

te maken om het wereldwijde onderzoek naar kanker te versnellen. Onder de titel 'Understanding Life!' is op deze conferentie een vijfpunten actieprogramma opgesteld, waaronder het opbouwen van een wiki met de ervaringen van mensen met kanker en hun naasten. Een tweede doel is het opzetten van een internationale biobank met daarin opgeslagen biopten en ander lichaamsmateriaal van mensen met kanker. Als derde doel is het sneller omzetten van de kennis van biologen (systeembioïologie) naar de kliniek, de behandeling in het ziekenhuis geformuleerd. Goede PR en een fondsenwerving-programma om met name de eerste drie doelen te realiseren, vormen de bouwstenen van 'Understanding Life!' en daarmee de internationale agenda voor Alpe d'HuZes in de komende jaren. De weg naar deze agenda wordt in het recente boek van Peter Kapitein beschreven (12).

## **De stimulerende rol van wetgeving**

De hiervoor beschreven ontwikkelingen hebben een grote stimulans gekregen door het in werking treden van de Amerikaanse Orphan Drug Act in 1983 en vergelijkbare Europese wetgeving in 1999. Beide hebben geresulteerd in een impuls van het innovatieve geneesmiddelen-onderzoek bij bedrijfsleven en universiteiten. De wetgeving voorziet in financiële prikkels om de ontwikkeling van nieuwe behandelwijzen voor zeldzame aandoeningen van de grond te krijgen. In Europa leidde de op stapel zijnde wetgeving tot de oprichting van Eurordis, de Europese organisatie voor mensen met zeldzame aandoeningen. Zowel de Europese wetgeving als de oprichting van Eurordis, werd sterk gestimuleerd door de aandacht van de Franse overheid voor het ontbreken van voldoende behandelingsmogelijkheden voor zeldzame aandoeningen. De AFM, de Franse zusterorganisatie van de Vereniging Spierziekten Nederland (VSN), speelde bij deze bewustwording een sleutelrol. De AFM slaagt er in jaarlijks rond de 100 miljoen euro op te halen met een televisie-inzamelingsactie onder de naam Téléthron ([www.afm-telethon.fr](http://www.afm-telethon.fr)). Met dit geld wordt onder andere de lange termijn financiering van de Eurobiobank en de AFM Généthon DNA en Cell Bank veilig gesteld. Een andere structurele financieringsactiviteit betreft de bouw van Généthon Bio-Prod, de grootste genterapie-vector faciliteit ter wereld op het Bio Science Park 'Genopole' nabij Parijs, waar genterapieonderzoekers hun vectoren kunnen laten bouwen. Voor meer informatie hierover, zie de presentatie van Serge Braun op 24 maart 2011 tijdens The Meeting ([www.themeeting.eu](http://www.themeeting.eu)). Het Nederlandse biotechnologiebedrijf AMT is een van de bedrijven, die op dit moment nauw met Généthon Bio-Prod samenwerkt.

## **Europese en nationale plannen voor zeldzame aandoeningen**

Voor wat betreft Europees beleid is het niet alleen gebleven bij een wet. Ook daarna heeft de Europese politiek zich met dit onderwerp bezig gehouden. De Raad van Ministers heeft op 8 juni 2009 de lidstaten een aantal aanbeve-

lingen gedaan betreffende hun handelen op het gebied van zeldzame ziekten (2009/C 151/02). Een van de aanbevelingen heeft betrekking op plannen en strategieën op het terrein van zeldzame ziekten. Ieder EU-land wordt geacht voor 1 januari 2013 een nationaal plan op te stellen voor de zorg voor mensen met een zeldzame aandoening. Die nationale plannen moeten dan leiden tot een Europees plan, het zogenaamde Europlan. De leidraad voor het ontwikkelen van een nationaal plan is te downloaden via [www.weesgeneesmiddelen.nl](http://www.weesgeneesmiddelen.nl). Naast deze in gang gezette planmatige aanpak, kent Europa ook EUCERD, een Europese commissie van experts op het terrein van zeldzame aandoeningen waarvan ook een aantal vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties met zeldzame aandoeningen deel uitmaakt.

In dit verband is het eveneens van belang te melden dat de hoofdzetel van de European Advanced Translational Research Infrastructure in medicine (EATRIS) in Nederland komt. Dat is 20 oktober 2010 besloten door vertegenwoordigers van negen lidstaten van de Europese Unie (EU). Het Center for Translational Molecular Medicine (CTMM) en ZonMw (met steun van NWO) dragen in nauwe samenspraak met de Nederlandse Federatie van Universitair Medische Centra (NFU) zorg voor de nationale coördinatie.

## **Eurobiobank en Généthon DNA en Cell Bank**

De Eurobiobank is het Europese netwerk voor DNA en lichaamsmateriaal van mensen met zeldzame aandoeningen. Biobanken kunnen deelnemen in dit initiatief. De Eurobiobank is in 2001 opgericht door de AFM en Eurordis (European Organisation for Rare Diseases) en wordt door de laatste organisatie gecoördineerd (voor meer informatie zie [www.eurobiobank.org](http://www.eurobiobank.org)). Binnen het netwerk zijn meer dan 400.000 samples beschikbaar. Er nemen op dit moment dertien biobanken uit zeven landen aan het netwerk deel (overigens geen Nederlandse). De Généthon DNA and Cell Bank van de AFM is er hier een van. Zowel de Eurobiobank als de Généthon biobank hebben als doel materiaal van hoge kwaliteit te verzamelen en zo efficiënt mogelijk ter beschikking te stellen van onderzoekers. Het einddoel is om onderzoek naar zeldzame aandoeningen te stimuleren. Beide initiatieven hebben een online catalogus en voor de Eurobiobank geldt 'If a sample does not appear in the EuroBioBank catalogue, help can be provided to further search it at: [contact@eurobiobank.org](mailto:contact@eurobiobank.org)'. Met de overdracht van lichaamsmateriaal worden onderzoekers verplicht gesteld hun resultaten terug te koppelen. Uit onderzoek van de Technopolis Group blijkt dat de Eurobiobank en de Genethon DNA en Cell Bank in vergelijking met andere biobanken goed toegankelijk zijn voor onderzoekers. Sinds de oprichting in 2001 zijn er al ruim 25.000 monsters uitgegeven (13).

De Vereniging Spierziekten Nederland (VSN) werkt nauw samen met andere organisaties van patiënten met spierziekten in de hele wereld en ook met de AFM. Een van die samenwerkingsverbanden is TREAT NMD (Translational Research in Europe to Accelerate Treatments for Neuromuscular Disorders), waarbij met name internationale onderzoeksgroepen rond een bepaalde spierziekte bij elkaar worden gebracht, die vervolgens weer in contact gebracht kunnen worden met specifieke patiëntengroepen via de vele patiëntenregisters die zijn opgebouwd. Bij de VSN is de ledenadministratie al meteen het begin van het wetenschappelijk onderzoek. Die waarde zit in het feit dat de VSN vanaf de oprichting de verschillende spierziekten op naam registreert en daarmee landelijk informatie van belang heeft voor wetenschappelijk onderzoek. Onderzoekers kloppen regelmatig bij de VSN aan en vragen de VSN haar leden te benaderen voor deelname aan onderzoek. De VSN toetst het onderzoek vanuit patiëntenperspectief en na goedkeuring worden leden door de VSN schriftelijk geïnformeerd.

Binnen de VSOP, de koepel van patiëntenorganisaties voor zeldzame, erfelijke of aangeboren aandoeningen (vaak zijn dit ook zeldzame aandoeningen) zijn met name de Vereniging Spierziekten Nederland (VSN) en de Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting (NCFS) de organisaties die veel ervaring hebben met het opbouwen van patiëntenregisters en het gebruik hiervan voor medisch-wetenschappelijk onderzoek. Maar ook bij de vaker voorkomende aandoeningen, zoals HIV en kanker zijn de betreffende patiëntenorganisaties betrokken bij registraties, zoals via de stichting HIV-Monitoring (SHM) en de stichting Hemato-Oncologie voor Volwassenen Nederland (HOVON).

## **Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting**

Sinds 2006 is het stimuleren van wetenschappelijk onderzoek een kerntaak van de Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting (NCFS). De NCFS heeft met een klankbordgroep van patiënten en ouders de prioriteiten voor de onderzoeksagenda bepaald en deze afgestemd met die van de onderzoekers. De gezamenlijke onderzoeksagenda (waaronder fundamenteel onderzoek) is vervolgens vastgelegd in de 'Richtlijn Diagnostiek en Behandeling Cystic Fibrosis' uit 2007 (14). Op basis van die gezamenlijke onderzoeksagenda verstrekt de NCFS jaarlijks onderzoeksubsidies. De NCFS besteedt jaarlijks gemiddeld 650.000 euro aan onderzoek.

Tevens heeft de NCFS het Nederlands CF Research Netwerk opgericht. In dit Netwerk werken Nederlandse CF-onderzoekers en de NCFS samen om, door gezamenlijke onderzoeksprojecten, krachten te bundelen en massa te creëren. Dit netwerk sluit aan bij internationale netwerken.

Een belangrijke ondersteuning voor zowel kwaliteit van de zorg als onderzoek vormt de Nederlandse CF Registratie. De NCFS coördineert, beheert en financiert de Nederlandse CF Registratie. Een Stuurgroep, samengesteld uit vertegenwoordigers van alle CF-centra en de NCFS, bepaalt het beleid rond deze Registratie. Ongeveer 125 variabelen van vrijwel alle (gecodeerde) Nederlandse patiënten met CF worden jaarlijks opgenomen in de Registratie. De Nederlandse CF Registratie levert ook gegevens aan de Europese CF Registratie. Onderzoekers kunnen aanvragen doen voor gegevens uit de Registratie op nationaal of Europees niveau. Daarnaast publiceert de NCFS jaarlijkse rapportages van de Registratie op haar website, ontvangen CF-centra spiegelrapportages van hun gegevens ten opzichte van de andere centra en organiseert de NCFS uitwisselingsbijeenkomsten met de CF-centra om de kwaliteit van de zorg te verbeteren.

In een samenwerkingsverband van het ministerie van VWS, CF-behandelaars, zorgverzekeraars en de NCFS wordt op dit moment gewerkt aan een model voor integrale financiering van de zorg voor mensen met CF in Nederland. Het gaat hierbij om een experiment dat uiteindelijk moet leiden tot een geïntegreerde DBC.

## **Het BBMRI-EU Stakeholder's forum**

Europese en internationale patiëntenorganisaties die belangen hebben bij het opbouwen van een goed werkend stelsel van biobanken hebben zich verenigd binnen het Stakeholder's Forum van de Europese Biobanking and Biomolecular Resources Research Infrastructure (BBMRI-EU). Dit BBMRI project heeft als doel bestaande biobanken in kaart te brengen, de kwaliteit van die biobanken te verbeteren en te harmoniseren. Door het Stakeholder's Forum zijn ook de principes opgesteld voor de participatie van patiënten(organisaties) in biobanken. Naast de gebruikelijke rechten, zoals bescherming van de privacy en het voorkomen van discriminatie, is een belangrijk recht het organiseren van zeggenschap. Onderdeel hiervan is het laten meebeslissen van patiëntenorganisaties over het beheer van biobanken. Het gaat daarbij met name om de procedures voor het verkrijgen van toestemming van donoren en procedures voor het regelen van de toegang van onderzoekers tot het opgeslagen lichaamsmateriaal. Een ander zeer opvallend recht in dit document is het 'recht op innovatie'. De gedachte hierachter is dat donoren aan biobanken het recht hebben dat er met hun materiaal kwalitatief hoogwaardig en efficiënt onderzoek gedaan wordt, teneinde biomedische innovatie te bevorderen. Dit impliceert ook dat de gedoneerde data en lichaamsmateriaal beschikbaar moeten worden gesteld voor onderzoek (15). Voor meer informatie, zie [www.bbmri.eu](http://www.bbmri.eu) en [www.bbmri.nl](http://www.bbmri.nl).

## **Op welke onderzoeksterreinen zijn patiëntenorganisaties actief**

De afgelopen tijd zijn er twee studies gedaan naar de wijze waarop patiëntenorganisaties betrokken zijn bij onderzoek. De eerste is van de Europese koepel voor zeldzame aandoeningen, Eurordis, uitgevoerd in samenwerking met het 'Centre de sociologie de l'innovation' van de Ecole des Mines uit Parijs. Deze studie heeft vooral betrekking op de onderzoeksactiviteiten van patiëntenorganisaties rond zeldzame aandoeningen.

De tweede studie is van de Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties in samenwerking met het European Patients' Network for Medical Research and Health (EGAN), de European Federation for Good Clinical Practice (EFGCP) en de Engelse VSOP: de Genetic Alliance UK. Deze studie is uitgevoerd onder een veel grotere groep patiëntenorganisaties en daarmee ook patiëntenorganisaties voor veel voorkomende, aandoeningen. Deze laatste studie probeerde ook meer te kijken naar de betrokkenheid bij klinisch onderzoek als vervolgstap op het eerdere fundamentele en translationele onderzoek.

### **Eurordis en 'Partners for Life!'**

'Organisaties voor patiënten met zeldzame aandoeningen kunnen waardevolle partners zijn bij onderzoek - door het financieren van onderzoekers of apparatuur, het geven van trainingen of te helpen bij het zoeken naar deelnemers voor klinisch onderzoek. Patiënten of hun organisaties vervullen vaak de rol van katalysator bij de toenemende samenwerking tussen onderzoekers, klinici, bedrijfsleven en patiënten. Daarom is het voor onderzoekers en patiënten zinvol om samen te werken'. Dit is de hoofdconclusie van het onderzoek dat Eurordis op 1 maart 2010 in Brussel presenteerde ter gelegenheid van Wereld Zeldzame Ziekten Dag (16).

Bijna veertig procent van de betrokken patiëntenorganisaties gaf aan financieel te investeren in het ondersteunen van jonge onderzoekers door het beschikbaar stellen van beurzen of het aankopen van apparatuur. In totaal ging het daarbij om een bedrag van dertien miljoen euro op jaarbasis. Dit bedrag komt bovenop de honderd miljoen euro die de Franse spierziektenvereniging AFM jaarlijks aan onderzoek besteedt (zie hiervoor in het stuk over de stimulerende rol van wetgeving). In immateriële zin leveren patiëntenorganisaties vooral een bijdrage aan het zoeken van deelnemers aan klinisch onderzoek.

Uit dit onderzoek komt naar voren dat de prioriteiten van patiëntenorganisaties met zeldzame aandoeningen liggen bij fundamenteel onderzoek (diagnostiek en behandeling) en epidemiologische studies. Diagnostiek en behandeling



zijn de onderzoeksterreinen, die dan vooral uit publieke middelen gefinancierd zouden moeten worden en omdat patiëntenorganisaties begrijpen dat fundamenteel onderzoek en epidemiologie (met name biobanken en patiëntenregisters) noodzakelijk voorafgaan aan goed onderzoek naar diagnose en behandeling, ligt daar de prikkel om dat uit private bronnen te financieren. Het zijn met name de koepels van mensen met een zeldzame aandoening (Eurordis en AFM) die direct betrokken zijn bij het opzetten van biobanken en patiëntenregisters. Door de financiële bijdragen van de AFM, staat er met de Eurobiobank en de Généthon DNA en Cell Bank een lange termijn infrastructuur, waarbij individuele patiëntenorganisaties zich gemakkelijk kunnen aansluiten. Vooral voor onderzoekers zijn die beide biobanken erg interessant vanwege de levering van onderzoeksmateriaal. Zoals hiervoor is aangegeven, is het ook juist hierom dat de Technopolis Group die beide biobanken als zo effectief beoordeeld heeft.

Gebrek aan interesse in een bepaald ziektebeeld en de gebrekkige samenwerking tussen onderzoekers werden als grootste obstakels gezien voor vooruitgang in het translationele onderzoek rond zeldzame aandoeningen. Deze twee problemen worden als problematischer ervaren dan het vinden van deelnemers voor klinisch onderzoek.

Naast deze gegevens, blijkt uit het onderzoek dat Frankrijk en Ierland in positieve zin uitschieters zijn als het om financiering van onderzoek door patiëntenorganisaties gaat. Ierland valt met name op vanwege het feit dat Fighting Blindness Ireland erg actief is op het terrein van fondsenwerving en het vervolgens uitzetten van dit geld in onderzoek naar de bestrijding van vormen van slechtziendheid en blindheid. Een van de succesvolle terreinen hier is het onderzoek naar vormen van gentherapie, met name bij de ziekte van Leber.

Nederland blijft in het Eurordis onderzoek achter in vergelijking met andere Europese landen. Toch is in Nederland - mogelijk gestimuleerd door het succes van het Duchenne Parent Project – ook een toename te zien van het aantal organisaties dat geld inzamelt voor het onderzoek naar en de behandeling van zeldzame aandoeningen. Een aantal recente initiatieven betreft onder andere het Zeldzame Ziekten Fonds ([www.zzf.nl](http://www.zzf.nl)), de NINA Foundation voor het Angelman Syndroom ([www.nina-foundation.org](http://www.nina-foundation.org)), de spierziekte ALS ([www.stichting-als.nl/evenementen](http://www.stichting-als.nl/evenementen)), stofwisselingsziekten als de ziekte van Sanfilippo ([www.kinderenenkansen.nl](http://www.kinderenenkansen.nl)) en de ziekte van Batten ([www.beatbatten.com](http://www.beatbatten.com)) en de stichting Metakids ([www.metakids.nl](http://www.metakids.nl)).

## **De VSOP en het PatientPartner project**

Het PatientPartner project is een zojuist afgerond driejarig project, dat is gesubsidieerd uit het 7<sup>e</sup> kaderprogramma van de Europese Commissie. Het project is in mei 2008 van start gegaan en is gecoördineerd door de Vereniging

Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties (VSOP), de Nederlandse koepelorganisatie voor zeldzame, erfelijke en aangeboren aandoeningen. Voor meer informatie zie: [www.patientpartner-europe.eu](http://www.patientpartner-europe.eu).

De doelen van het PatientPartner project waren:

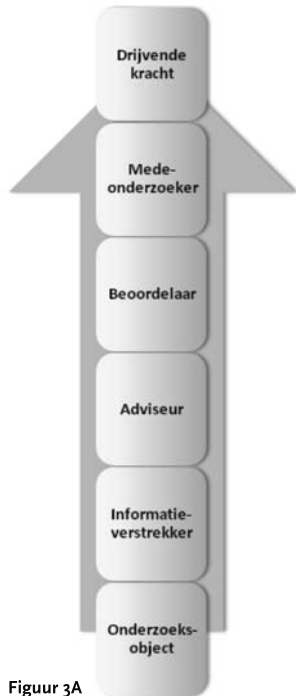
- Inventariseren van de wensen van patiëntenorganisaties met betrekking tot het actief betrokken zijn bij klinisch onderzoek.
- Het tot stand brengen en aangaan van een actieve dialoog met patiëntenorganisaties, bedrijfsleven en onderzoekers over het tot stand brengen van een model voor partnerschap.
- Het tot stand brengen van het European Network for Patients Partnering in Clinical Research (ENPCR) ter ondersteuning van de dialoog over actieve betrokkenheid van patiëntenorganisaties in klinisch onderzoek.
- Het ontwikkelen van praktische gereedschappen voor patiëntenorganisaties en andere stakeholders om een partnerschap in de praktijk vorm te geven.
- Het uitbrengen van aanbevelingen aan Europese, lokale en nationale beleidmakers en politici om de randvoorwaarden voor partnerschap in de praktijk te faciliteren.

Sommige van deze doelen waren specifiek gericht op klinisch onderzoek, terwijl andere doelen een bredere toepassing beoogden, zoals het vormen van partnerschappen voor fundamenteel of preklinisch onderzoek.

Het project heeft zes niveaus van actieve betrokkenheid geïdentificeerd waarop patiëntenorganisaties en hun vertegenwoordigers actief kunnen zijn in de context van klinisch onderzoek, biobanken en patiëntenregistraties. Deze niveaus zijn afgeleid van de veel gebruikte patiënten participatieladder van Arnstein (17,18).

De zes niveaus in figuur 3A zijn:

- Onderzoeksobject (Research subject)
- Informatieverstrekker (Information Provider)
- Adviseur (Advisor)
- Beoordelaar (Reviewer)
- Mede-onderzoeker (Co-researcher)
- Drijvende kracht (Driving force)



Figuur 3A

### Figuur 3A. De verticale participatieladder van Arnstein

Oorspronkelijk gaat het hier om een verticale ladder, waarbij het er op lijkt dat het doel van participatie het bereiken van de bovenste trap van de ladder zou moeten zijn. De deelnemers aan de PatientPartner workshops waren echter van mening dat het beter is om het idee van een verticale ladder te vervangen door een horizontale lijn, die aangeeft dat alle stappen in het proces en de daarmee gepaarde rollen van gelijke waarde, van gelijk belang zijn.

### Figuur 3B. De horizontale participatieladder

Voor het inventariseren van de huidige manieren van actieve betrokkenheid van patiënten en hun organisaties in klinisch onderzoek, biobanken en patiëntenregistraties is door PatientPartner een enquête gehouden onder 12.000 Europese patiëntenorganisaties en hebben interviews met een twintigtal patiëntenvertegenwoordigers plaatsgevonden.



Figuur 3B

## Resultaten enquête PatientPartner

De enquête laat zien dat bijna tachtig procent van alle patiëntenorganisaties op meer dan één van de beschreven niveaus betrokken is bij klinisch onderzoek. Daarnaast verstrekken de patiëntenorganisaties demografische gegevens aan onderzoekers over hun patiëntenpopulaties en spelen ze steeds meer een essentiële rol in het werven van

patiënten voor klinisch onderzoek, met name waar het gaat om onderzoek naar zeldzame aandoeningen. Uit de enquête blijkt tevens dat de ervaringskennis van patiëntenorganisaties meer en meer wordt ingezet in het leesbaar maken van patiënteninformatie en 'informed consent' formulieren voor zowel preklinisch als klinisch onderzoek. Tevens zijn meerdere patiëntenorganisaties betrokken in een rol als co-onderzoeker variërend van het uitvoeren van kwalitatieve onderdelen van klinische onderzoeken tot het meeschrijven aan artikelen over de uitkomsten van een bepaalde klinische trial.

Een andere categorie die aandacht verdient, is de bijdrage die patiëntenvertegenwoordigers leveren in ethische commissies. Dit geldt vooral voor andere Europese landen, in Nederland is de betrokkenheid van patiëntenorganisaties bij het werk van Medisch Ethische Toetsingscommissies (METC's) en de Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (CCMO) afwezig en zelfs bij wet verboden (19). Ruim twintig procent van de respondenten van PatientPartner is hierbij betrokken geweest als volwaardig lid dan wel als adviseur. Uit de interviews bleek een consensus onder patiëntenorganisaties te zijn dat de stem van de patiënt in ieder geval gehoord dient te worden in het proces van ethische goedkeuring van klinische studies. Dit varieert van een verplicht gesprek van de onderzoeker met de desbetreffende patiëntenorganisatie voorafgaand aan de ethische procedure tot een wederhoor procedure waarbij een patiëntenorganisatie bezwaar dan wel aanvullingen kan maken op de uitkomst van de ethische toetsing. De redenering voor het actief betrokken zijn van alle patiëntenorganisaties ligt in de missie van patiëntenorganisaties om op te komen voor de veiligheid en het algemeen belang van hun achterban. Een veelgehoord aanvullend argument is die van het verschil in interpreteren van bepaalde risico's: een patiënt die geconfronteerd wordt met zijn ziekte zou daarbij wellicht 'meer' risico's willen aanvaarden om een verbetering in zijn of haar toestand en die van toekomstige patiënten te bewerkstelligen dan een ethicus of een arts.

Een laatste categorie waarop patiëntenorganisaties betrokkenheid tonen is in de rol van drijvende kracht, dat wil zeggen dat zij bij een onderzoek in de bestuurdersstoel zitten. Bekende voorbeelden zijn die van de Franse spierziektenvereniging AFM, het succes van de European Aids Treatment Group (EATG) op het gebied van het beïnvloeden en bewerkstelligen van klinisch onderzoek naar Hiv en die van de International Pompe Association (IPA) die in samenwerking met wetenschap en bedrijfsleven een levensreddend middel (Myozyme) van het laboratorium naar de markt heeft begeleid door haar zeer actieve betrokkenheid in alle stappen van het proces.

In de dialoofase van het PatientPartner project zijn drie regionale Europese workshops georganiseerd. De uitkomsten van deze workshops hebben laten zien dat er een positieve attitude is onder alle betrokken stakeholders

(bedrijfsleven, onderzoekers en patiëntenorganisaties) ten aanzien van het nut en de noodzaak van het incorporeren van het patiëntenperspectief in het klinische onderzoeksproces. Randvoorwaarden voor een succesvolle samenwerking dienen gezocht te worden in 'kennis en overdracht' en 'het elkaar leren kennen en waarderen'. In het laatste jaar van het Patientpartner project is gewerkt aan een concrete uitwerking van een model voor partnerschap, de ethische randvoorwaarden daarvan en aan de handleidingen voor alle stakeholders om in navolging van de gestarte dialoog aan de slag te gaan om het patiëntenperspectief voorgoed te incorporeren in het klinisch onderzoekstramien. Voor nu lijkt er in ieder geval een goede basis gelegd te zijn voor het inzetten van patiëntenparticipatie om tot gezondheidszorg te komen die aansluit bij de wensen en noden van de patiënt (20, 21).

De twee studies, die hier behandeld zijn van Eurordis en de VSOP zijn nog aan te vullen met de uitkomsten van Value+, een project van het European Patients' Forum (EPF). In het Value+ project is ook uitgebreid gekeken naar de wijze waarop patiëntenorganisaties een meerwaarde kunnen toevoegen aan het werk van onderzoekers en beleidmakers in de gezondheidszorg ([www.eu-patient.eu/documents/projects/value+](http://www.eu-patient.eu/documents/projects/value+)). Inmiddels hebben de VSOP, EPF en Eurordis met nog een aantal Europese patiëntenorganisaties een forse subsidie (bijna negen miljoen euro) verkregen van het Innovative Medicines Initiative (IMI), waarbij de helft van het geld afkomstig is van de Europese Commissie en de andere helft van het geld in de vorm van 'in kind' bijdragen afkomstig is van het bedrijfsleven. Dit project heet EUPATI en behelst het opzetten van een groot educatie- en trainingstraject voor Europese patiëntenvertegenwoordigers op het terrein van het geneesmiddelenonderzoek.

## De fundamenteel onderzoekers

Hiervoor is een aantal voorbeelden gegeven van activiteiten van patiëntenorganisaties, die in samenwerking met onderzoekers indrukwekkende stappen hebben gemaakt bij de identificatie van een gen voor een bepaalde ziekte, zoals bij PXE en het Marshall Smith Syndroom (MSS) of de stap naar een mogelijke behandeling, zoals bij de ziekte van Duchenne.

Aan vooral de onderzoekers, die bij dit onderzoek betrokken zijn of zijn geweest, is gevraagd te reflecteren op de samenwerking met de betreffende patiëntenorganisaties. De weergave van hun opmerkingen volgt hieronder.

### Raoul Hennekam (AMC)

In het voorbeeld van de ouders van Joas Laan, bij wie het MSS is vastgesteld, speelt Raoul Hennekam een belangrijke rol. Raoul Hennekam is kinderarts en klinisch-geneticus en hij heeft de afgelopen jaren ook een periode gewerkt in het Great Ormond Street Hospital in Londen. Inmiddels is hij teruggekeerd naar het Academisch Medisch Centrum (AMC) in Amsterdam en daar is hij nu hoogleraar translationele geneeskunde. In 2009 ontving hij de Engel Award, een award die bedoeld is voor mensen die zich op een bijzondere wijze verdienstelijk hebben gemaakt voor één of meer zeldzame ziekten. Raoul Hennekam is een autoriteit op het gebied van zeldzame syndromen en een zeer gedreven onderzoeker en behandelaar. Zowel in Nederland als in Engeland onderzoekt hij een aantal zeldzame ziekten, waaronder het Rubinstein-Taybi Syndroom, het MSS en Progeria. Omdat er wereldwijd zo weinig kinderen zijn die deze ziekten hebben, is onderzoek in Europees verband erg belangrijk.

Alle uiterst zeldzaam voorkomende aandoeningen bij elkaar vormen wel weer een behoorlijk deel van de naar schatting 13,5 miljoen Europeanen met een zeldzame ziekte. Terwijl de diagnostiek en de zorg voor mensen met een zeldzame aandoening nog in een landelijk expertise-centrum ondergebracht kan worden, is dat voor de uiterst zeldzame aandoeningen niet het geval. Daarvoor is de oprichting van virtuele expertcentra nodig, waar internet een cruciale rol in speelt. Voor een goede diagnostiek is het bijvoorbeeld van belang dat er een goed beveiligde website is, waar alle nog niet gediagnosticeerde Europese patiënten bij wie aan een zeldzame aandoening wordt gedacht in opgenomen kunnen worden. Een website waarin gebruik gemaakt wordt van een gestandaardiseerde set van beschrijvingen van symptomen en waarin ook een beeldbank zit met foto's van de klinische symptomen, waardoor

vergelijkbare patronen en patiënten snel herkend kunnen worden. Dergelijke beeldbanken bestaan al, zoals de London Dysmorphology Data Base en Possum (zie voor meer informatie: [www.lmddatabases.com](http://www.lmddatabases.com) en [www.possum.net.au](http://www.possum.net.au)). Door de aanwezigheid van een dergelijke beeldbank, kon ook bij Joas Laan de diagnose worden gesteld.

In Krakau, waar in mei 2010 een door Eurordis georganiseerd symposium over zeldzame ziekten plaatsvond, vertelde hij in de wandelgangen al enthousiast over het feit dat met hulp van de ouders in relatief korte tijd (drie jaar) een gen voor het MSS gevonden was. In de zomer van 2010 volgde de officiële publicatie (10), maar daarmee is de samenwerking tussen de ouders van kinderen met MSS en onderzoekers nog niet ten einde. Hennekam heeft inmiddels in een nieuwe publicatie over uiterst zeldzame aandoeningen – ultra rare disorders - aandacht besteed aan de belangrijke rol die ouders kunnen spelen bij de diagnose en de beschrijving van de symptomen van uiterst zeldzame aandoeningen (22).

Wat in de samenwerking tussen onderzoekers (naast Raoul Hennekam, speelt ook Adam Shaw van het Institute of Child Health van de Universiteit van Londen hierbij een belangrijke rol) eveneens uniek is, is dat een internet-consultatie van ouders heeft plaatsgevonden naar de symptomen die zich bij het MSS voordoen. Daartoe is door een arts een beschrijving van de MSS gemaakt op basis van een klein aantal patiënten die door hem gezien zijn. Die beschrijving is herschreven in lektentaal en vertaald in zeven verschillende talen. Via internet, in de vorm van een Wiki, konden families met een kind met MSS daar hun eigen commentaar en observaties aan toevoegen. Door de ervaringen van ouders van elkaar te lezen, werden de teksten aangevuld met observaties die ouders oorspronkelijk niet zo belangrijk vonden of niet direct in verband brachten met MSS. Op basis van al deze commentaren is de oorspronkelijke beschrijving van de ziekte herschreven en is veel nieuwe informatie toegevoegd over het natuurlijk beloop van de ziekte.

De ouders van Joas Laan hebben volop gebruik gemaakt van internet en vrijwel alle zoekresultaten in de gehele wereld naar MSS leiden naar de internationale MSS-site, die vanuit Nederland beheerd wordt. Syndroom-specifieke sites bestaan nu voor MSS, maar ook voor de Progeria Family Circle, de Angelman Support Group en de Rubinstein-Taybi Support Group.

Voor Raoul Hennekam is het een uitgemaakte zaak: 'Onderzoekers kunnen niet meer om de patiënt en zijn of haar ouders heen'. Samenwerking is noodzakelijk omdat er zo weinig patiënten zijn. Hun bereidheid tot deelname aan

onderzoek is veel groter als ze er vanaf het begin bij betrokken zijn en ze begrijpen wat de resultaten voor hen opleveren. 'Ook subsidieverstrekkingen hechten steeds meer belang aan de gevolgen van onderzoek voor patiënten. Zij moeten er iets aan hebben. Je ziet dat niet alleen een organisatie als ZonMw meer nadruk legt op het patiëntenbelang bij onderzoek, maar ook op Europees niveau is de verandering zichtbaar. Daarnaast kijken collectebusfondsen als de Hartstichting en de Nierstichting bij het toekennen van subsidies meer dan vroeger naar de impact van onderzoek op patiënten. Ik vind dat een goede zaak', aldus Hennekam onlangs in een interview in het blad 'Status', het personeelstijdschrift van het (AMC) (23).

Overigens presenteert Raoul Hennekam zijn wetenschappelijke verhalen tegenwoordig vaak samen met Henk-Willem Laan, de vader van Joas. Zie bijvoorbeeld hun gezamenlijke presentatie op [www.themeeting.eu](http://www.themeeting.eu). Zo krijgen patiënten en hun ouders ook de 'credits' voor de vele tijd en de onderzoeksinspanningen die zij samen met onderzoekers leveren.

## Ype Elgersma (ErasmusMC)

Ype Elgersma is hoogleraar neurobiologie aan het ErasmusMC te Rotterdam en hij is als fundamenteel onderzoeker betrokken bij het onderzoek naar een eveneens zeer zeldzame aandoening: het Angelman Syndroom. Hij heeft in 2007 een VICI subsidie van het Open Programma van ZonMw en NWO ontvangen.

Het Angelman Syndroom is een aangeboren ontwikkelingsstoornis, die zich uit in de vorm van een ernstige verstandelijke beperking, epilepsie en een ontbrekende spraakontwikkeling. Naasten, familieleden en ouders van een kind met deze ziekte werken sinds een aantal jaren samen binnen de NINA Foundation, Nina is het nichtje van de oprichter. De NINA Foundation doet veel aan fondsenwerving en is ook bekend van de televisiereclame voor dit ziektebeeld. Een deel van de bij hen binnengekomen gelden is inmiddels geïnvesteerd in een klinisch expertisecentrum voor dit ziektebeeld dat is ondergebracht bij het ErasmusMC.

Voor dit achtergronddocument heeft Ype Elgersma zelf een tekst aangeleverd, die hieronder volgt (24).

'Had iemand mij tien jaar geleden gevraagd iets te schrijven over betrokkenheid van patiëntenorganisaties bij mijn onderzoek, dan zou ik deze persoon meewarig aangekeken hebben. Inmiddels vind ik het niet meer dan logisch dat we zeer geregeld contact hebben.



Ons onderzoek richt zich op de mechanismen die ten grondslag liggen aan geheugenvorming. We doen dat door met muizen te werken, waarin een genetische verandering is aangebracht. We bestuderen wat het effect is van zo'n mutatie op leren en geheugenvorming. De genen die we hiervoor selecteerden, waren geïdentificeerd op basis van biochemische experimenten of literatuur onderzoek. Door de spectaculaire ontwikkelingen in de genetica, werd echter in de loop van de jaren duidelijk dat de genen waaraan we werkten ook geassocieerd waren met syndromen waarbij cognitieve problemen voorkwamen. Dat was een bijzondere gewaarwording; we deden door deze nieuwe ontwikkelingen plotseling klinisch relevant onderzoek in plaats van fundamenteel onderzoek, zonder dat er iets aan ons onderzoeksplan veranderd was.

Deze ontwikkelingen prikkelden me om patiënten te ontmoeten. Via de bijeenkomsten van patiëntenorganisaties kwamen we in contact met de ouders en kinderen met deze aandoeningen. Dat was een heftige gewaarwording. Immers na jaren aan een 'mutante' muis gewerkt te hebben zie je plotseling wat de gevolgen van zo'n mutatie 'in het echt' zijn. Ondanks de vele reviews die ik over de ziektebeelden gelezen gehad, kan geen enkel artikel je goed voorbereiden op het zien van een groot aantal kinderen met allemaal dezelfde ernstige handicap. Het was in het begin behoorlijk confronterend. Wat me echter verbaasde is hoe goed de ouders hier mee om konden gaan. Ook bleken ze vaak over veel gespecialiseerde kennis over de aandoening te beschikken. Af en toe vergat ik dat ik te maken had met ouders in plaats van collega's. Ik werd bestookt met vragen, en hoewel een aantal vragen 'off-target' waren, zaten er ook veel vragen bij die me aan het denken hebben gezet. Ik realiseerde me ook dat mijn inzicht in de problematiek niet altijd overeenkwam met de ervaringen van ouders. Bijvoorbeeld bij het Angelman Syndroom dacht ik altijd dat het niet kunnen praten van het kind, tot het meest ernstige aspect van de ziekte gerekend zou worden. Op de voet gevolgd door de verstandelijke handicap en epilepsie. De meeste ouders verzekerden mij dat het ontbreken van een vast slaapritme in de praktijk het grootste probleem was, en de grootste impact op het gezin had. Dat aspect stond in het geheel niet op mijn onderzoeks 'to-do' lijst, en werd naar mijn weten door niemand onderzocht! Ik ben daarna naarstig op zoek gegaan naar onderzoekers die in een samenwerking op dit aspect geïnteresseerd waren. Op zo'n ouderdag werd me ook duidelijk waarom ons muismodel 'obese' was terwijl daarover voor patiënten niets in de literatuur vermeld stond. De ouders verzekerden me dat ze het eten altijd moesten verbergen, anders bleven de kinderen dooreten. En hoewel de meeste kinderen een deletie van chromosoom 15 hebben en geen sterk overgewicht lieten zien, waren de paar kinderen met uitsluitend een mutatie in het Ube3a gen wel overwegend zwaarlijvig. En dat was nu juist de genetische verandering die we in het muismodel aangebracht hadden.

Het werd me door deze contacten met de ouders ook pijnlijk duidelijk hoe weinig de medische kennis gebundeld was en hoe ouders moesten shoppen voor een diagnose en hoe vele basale vragen onbeantwoord bleven. Die aspecten hebben me ervan overtuigd dat er een klinisch expertisecentrum moest komen waarin de kennis gebundeld werd. Het oprichten van een expertisecentrum dient een aantal doelen. Uiteraard kunnen de patiënten hier de beste zorg krijgen. Maar het stelt ons ook in staat de kennis van het laboratorium te vertalen naar de kliniek door trials te doen. En omgekeerd kunnen we proberen in het laboratorium vragen te beantwoorden die de ouders of artsen ons stellen (bijvoorbeeld: waarom werkt bij deze patiënten dit medicijn tegen epilepsie vaak goed, en verergert de epilepsie juist door dat andere middel). Het antwoord op zo'n vraag geeft vaak weer nieuwe inzichten in de aangedane mechanismen, en daardoor leren we meer over de hersenen.

Uiteraard is het niet reëel dat iedere onderzoeker zo nauw betrokken is bij het oprichten van een expertisecentrum. Dat is een lange weg en kost bijzonder veel tijd. Bovendien lukt het ook alleen maar door zeer gedreven artsen te vinden die samen met de onderzoeker die weg willen bewandelen. Zelf heb ik zo'n arts gevonden na inschakeling van een patiëntenorganisatie. Mijn e-mail aan de Nederlandse Vereniging voor Neurofibromatose (NFVN) met de vraag welke arts in Nederland de meeste kennis bezat over NF1, leerde me dat die arts nota bene aanwezig was in ons eigen ErasmusMC! Dat geeft wel aan hoe geïsoleerd onderzoekers soms werken. En het is wederom een mooi voorbeeld hoe nuttig contacten met patiëntenorganisaties kunnen zijn.

Mijn grootste angst in mijn contacten met patiëntorganisaties is altijd geweest dat men te hoge verwachtingen zou hebben, en teleurgesteld in mij zou zijn als ik niet binnen een paar jaar met een magische pil kwam. Die angst is echter onterecht gebleken. Het is belangrijk zelf heel realistisch te blijven en ook steeds de beperkingen aan te geven. De meeste patiëntorganisaties begrijpen het belang van gedegen onderzoek en snappen dat het een kwestie van de lange adem kan zijn. Als een onderzoeker verkondigt dat alles over een paar jaar opgelost is, dan werkt dit vaak zelfs averechts. Een Amerikaanse collega van mij heeft die fout gemaakt. Een aantal ouders geloofde in zijn (genante) beloftes, zag hem als verlosser en splitste zich af van de oorspronkelijke patiëntorganisatie zodat al het geld bij deze onderzoeker terecht kon komen. Na vijf jaar realiseerden deze ouders zich dat hij zijn woorden niet kon waarmaken, ontstond er bitterheid, en verloor men het vertrouwen in onderzoekers. Echter, dit is een uitzondering en de onderzoeker heeft dit zelf in de hand gewerkt. Wat de patiëntorganisaties echt willen is dat iemand naar hen luistert, zich inspant voor hun aandoening, en zijn best doet de ziekte op te helderen, ook al is dat stapje voor stapje. Dat het begrijpen van een ziekte niet automatisch resulteert in volledige genezing, is geen leuke boodschap, maar wel goed uit te leggen.

Uit eigen ervaring kan ik dus iedere onderzoeker sterk aanbevelen contact te zoeken met patiëntenorganisaties. Soms is het zelfs financieel aantrekkelijk, maar ga daar niet van uit, want veel organisaties hebben geen geld voor onderzoek. Echter, als ze zien dat er gedreven onderzoekers zijn die aan 'hun' ziekte willen werken, kan dat zeker veranderen. Maar los van het financiële aspect werkt het vooral enorm stimulerend en krijg ik zeer veel dankbaarheid voor mijn inspanningen. Dit soort van waardering is niet te vergelijken met de wetenschappelijke waardering die ik krijg van collega onderzoekers. Contacten met patiëntenorganisaties houden me ook scherp als onderzoeker. En als er van de vijf onderzoeksvragen die ik kan stellen, er eentje bijzit die direct klinisch relevant is, dan is het toch een gemiste kans om niet met die onderzoeksvraag te starten? Zo zal ik voortaan bij voorkeur nieuwe muizen maken waarvan het gen al geassocieerd is met een syndroom met een verstandelijke handicap. Ik weet dan immers al dat alles wat ik ga ontdekken direct relevant is. Een win-win situatie voor iedereen!

## **Arthur Bergen en Astrid Plomp (NIN, Amsterdam)**

Arthur Bergen en Astrid Plomp zijn beide werkzaam bij het Nederlands Instituut voor Neurowetenschappen (NIN), het voormalig Interuniversitair Oogheelkundig Instituut (IOI) in Amsterdam. Zij zijn de eerste en tweede auteur van het artikel over de vinding van het ABCC6-gen, Sharon Terry van de Amerikaanse PXE patiëntenorganisatie is de vierde in de rij van twaalf auteurs (8). In het ABCC6-gen zijn inmiddels meer dan 200 verschillende mutaties gevonden en de onderzoekers van het NIN hebben al een lange onderzoekstraditie op dit terrein. Astrid Plomp is ook als klinisch geneticus verbonden aan het NIN om patiënten met oogziekten te diagnosticeren en erfelijkheidsvoorlichting te geven. Naast een aantal vaker voorkomende oogaandoeningen, zoals Macula Degeneratie (MD) en glaucoom, wordt het terrein van de erfelijke oogziekten gekenmerkt door het bestaan van een groot scala aan minder frequente oogaandoeningen. Het NIN is gespecialiseerd in de DNA-diagnostiek van die aandoeningen en zo is ook het contact met de PXE groep uit Amerika ontstaan.

Bergen relateert de rol van de Amerikaanse PXE patiëntenorganisatie wel een beetje. Op basis van het al langer bestaande Amsterdamse PXE patiëntenmateriaal was de vinding van het PXE-gen er waarschijnlijk ook wel gekomen, alleen wat later in de tijd. Het bestaan van grotere patiëntenbestanden is in Amerika sowieso wat gebruikelijk en in die zin hebben Sharon en Patrick Terry met de oprichting van de PXE patiëntenorganisatie daar wel als een soort katalysator gewerkt. Het NIN werkt met diverse binnen- en buitenlandse patiëntenorganisaties samen en ongeveer een kleine dertig procent van hun onderzoeksbudget is van patiëntengroepen afkomstig. Bergen is net als in de verhalen van zijn collega's Elgersma en Van der Maarel naar voren komt, wel beducht voor

collega-onderzoekers die patiëntengroepen ‘gouden bergen’ beloven in ruil voor hun geld. Een ontwikkeling, waardoor het geld ook niet op de goede plaats terecht komt. Vandaar dat de mensen van het NIN er wel aan hechten samen te werken met patiëntenorganisaties waar ook een goede wetenschappelijke beoordeling plaatsvindt van de ingediende subsidieaanvragen. Ook het opstellen van een goede onderzoeksagenda van betrokken partijen kan voorkomen dat geld niet goed besteed wordt. In Amerika is er bijvoorbeeld door de Association of Research in Vision and Ophthalmology (ARVO) een goede onderzoeksagenda opgesteld, de Nederlandse vertakking hiervan is ARVO-NED. De methodiek van het maken van onderzoeksagenda’s door de verschillende stakeholders in onderzoek staat overigens goed beschreven in het boek ‘Zeggenschap in Wetenschap, patiëntenparticipatie in theorie en praktijk’ van Tineke Abma en Jacqueline Broerse (18).

Bergen realiseert zich terdege dat zijn onderzoeksveld te veel kleine onderzoeksgroepen telt en dat er daardoor te weinig massa aanwezig is om tot doorbraken te komen. Enkele patiëntenorganisaties zijn daar naar zijn mening in het verleden ook wat te passief in geweest, een situatie die zich nu sterk aan het verbeteren is. Misschien is de verklaring daarvoor te vinden in het verleden van de blinden- en slechtziendenwereld. Er werd altijd te gemakkelijk van uitgegaan dat mensen te weinig zelf konden en daardoor werd er teveel voor ze gezorgd in blindeninstituten en sociale werkplaatsen. In die zin is de pro-actieve aanpak van de Amerikaanse PXE patiëntenorganisatie en de zeer actieve Fighting Blindness groep uit Ierland wel een verademing en mogelijk ook een uitdaging voor een nog actievere opstelling voor de Nederlandse patiëntengroepen (7). Overigens vinden beide onderzoekers het een volstrekt vanzelfsprekende zaak dat een deel van hun werk bestaat uit het uitleggen van hun onderzoekswerk aan patiëntenorganisaties.

## **Spierziektenonderzoekers**

In het deel over patiëntenorganisaties is al aan de orde gekomen dat de belangen van mensen met verschillende spierziekten uitgebreid behartigd worden door de Vereniging Spierziekten Nederland (VSN). Het betekent ook dat er nogal wat Nederlandse onderzoekers zijn die uitgebreide ervaring hebben opgedaan in het samenwerken met patiënten met spierziekten.

## **Marianne de Visser (AMC)**

In hetzelfde artikel van het AMC-tijdschrift Status waaruit al eerder enkele citaten zijn opgenomen van Raoul Hennekam, komt ook Marianne de Visser, hoogleraar Neuromusculaire Ziekten en oud vice-voorzitter van de Gezondheidsraad aan het woord (23). Ook zij behandelt patiënten met zeldzame spierziekten. ‘Ik vind het ontzettend belangrijk dat zij meedenken over onderzoek, want ik weet als arts dan wel veel over hen, maar ik sta niet in hun schoenen. Het kan

best zijn dat wat wij willen onderzoeken te belastend is voor hen. Daarom werken wij al heel lang samen met de Vereniging Spierziekten Nederland (VSN). Als we een onderzoek willen uitvoeren en daarvoor patiënten zoeken, toetst de VSN eerst onze onderzoeksopzet. Zij bekijken ons plan dus vanuit patiëntenperspectief. Het is wel eens gebeurd dat we op hun verzoek onderdelen aanpasten. Als de VSN akkoord is, worden potentiële deelnemers op de hoogte gesteld en kunnen ze zich aanmelden voor deelname. Patiënten kunnen ook goed een rol spelen bij het bepalen van de juiste uitgangsmaten voor onderzoek, zegt De Visser. Meten we wel het juiste als we op zoek zijn naar een antwoord op die en die vraag’.

Een aardige illustratie bij dit laatste door Marianne de Visser genoemde punt van uitkomstmaten is dat bij de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen bijvoorbeeld een zes minuten looptest wordt gebruikt als uitkomstmaat. Dit is voor mensen met een spierziekte vaak een niet te halen uitkomstmaat, omdat zij niet kunnen lopen en afhankelijk zijn van een rolstoel. Een patiëntenvereniging kan er dan bijvoorbeeld voor pleiten om andere uitkomstmaten te gebruiken, zoals het gebruik van je arm en hand om bijvoorbeeld je hand op een tafel te kunnen leggen om het toetsenbord van een laptop te kunnen bedienen en zo de communicatie met de buitenwereld in stand te houden. Voor veel patiënten is ook het zelfstandig kunnen kammen van je haar een belangrijke uitkomstmaat net als het zelf kunnen optillen van een beker om daaruit te kunnen drinken. Zo heeft bijvoorbeeld Elizabeth Vroom allerlei korte filmpjes gemaakt van jongeren met de ziekte van Duchenne en in die filmpjes laten zij dan dit soort voorbeelden zien om te illustreren wat voor hun ‘kwaliteit van leven’ van belang is. Deze filmpjes zijn ook getoond in het overleg met de gezondheidsautoriteiten die gaan over de goedkeuring van een nieuwe behandelwijze voor de ziekte van Duchenne om ze te laten zien wat goede uitkomstmaten voor de beoordeling van die nieuwe behandelwijze zouden kunnen zijn.

## **Omeract en uitkomstmaten voor reuma**

Ook Omeract, een groep patiëntenexperts met reuma is inmiddels wereldwijd bekend vanwege hun werk om te komen tot nieuwe uitkomstmaten waarop onderzoek met reuma moet worden beoordeeld (25). Naast pijn, hebben zij de uitkomstmaten vermoeidheid en slaapgedrag in het wetenschappelijk onderzoek ingebracht.

## **Silvère van der Maarel (LUMC)**

Silvère van der Maarel, hoogleraar Medische Epigenetica is verbonden aan de afdeling Humane Genetica van het Leids Universitair Medisch Centrum (LUMC). Van der Maarel hield op 13 januari 2011 een lezing over zijn onderzoek naar de spierziekte FSHD tijdens een bijeenkomst van patiënten, onderzoekers en bedrijfsleven in Basel (26).

FSHD is een spierziekte die pas op latere leeftijd manifest wordt, zo rond je twintigste en FSHD wordt veroorzaakt door een afwijking op chromosoom 4. De ziekte uit zich in een progressief verlies van spierkracht in vooral het gezicht, de bovenarmen en bovenbenen. Als mensen erg veel last van FSHD krijgen, kunnen ze volledig rolstoelafhankelijk worden. Zo ongeveer één op de 20.000 mensen krijgt er last van en daarmee is het nog wel een zeldzame aandoening maar wel een van de grotere zeldzame aandoeningen. Het effect van 'te groot voor een servet en te klein voor een tafellaken', maakt het vinden van onderzoekssubsidies in het geval van FSHD een lastig probleem. En het is hier dat patiëntenorganisaties een belangrijke rol zijn gaan spelen. Van der Maarel liet in Basel twee dia's zien, die aangeven dat de groei en activiteiten van patiëntenorganisaties wereldwijd gelijk oploopt met de toename van de wetenschappelijke kennis rond FSHD.

Nederland is vanouds al actief in het FSHD onderzoek en dan met name het UMC St Radboud Nijmegen en het LUMC. In Amerika zitten onderzoekscentra in Seattle en Rochester en in 2007 zijn de centra uit Rochester en Leiden nauw gaan samenwerken in het FIELDS FSHD & Neuromuscular Research CENTER. Dit centrum is genoemd naar Richard T. Fields, een vermogend familielid van een patiënt met deze spierziekte. In Amerika kan het door particulieren ingezameld onderzoeksgeld verdubbeld worden door de National Institutes of Health (NIH) en dat maakt deze matching-constructie erg aantrekkelijk voor Europese onderzoekers. In Amerika kan het, en dan met name voor de NIH, een voordeel zijn als belastinggeld gematched kan worden met private gelden. Overigens wel onder de voorwaarde dat ook de kwaliteit van het onderzoeksvoorstel en de onderzoeksgroep goed is. De Nederlandse FSHD Stichting, geleid door Kees van der Graaf, is eveneens zeer actief, zowel op het terrein van de fondsenwerving als in het stimuleren van wetenschappelijk onderzoek. Zijn stichting heeft in 2003 een eerste 'Roadmap to solutions' opgesteld, waarin wetenschappelijke vragen en hypothesen werden geformuleerd die moesten leiden tot onderzoeksprojecten (27). In die periode heeft de FSHD Stichting bijna één miljoen euro gedoneerd aan de in de roadmap gedefinieerde onderzoeksprojecten. Eind 2007 is een tweede roadmap geformuleerd (28). Uiteindelijk heeft deze gericht geformuleerde aanpak in 2010 geleid tot een belangrijke vinding: het bleek namelijk dat FSHD patiënten te maken hebben met een verkorting van het chromosoom 4 en daardoor een stabielere vorm van een bepaald eiwit dat schadelijk is voor spiercellen. Hierdoor worden hun spieren langzaam afgebroken en raken ze verlamd. Deze vinding, die resulteerde in een publicatie in het hoog genoteerde tijdschrift Science is een gezamenlijke publicatie van de onderzoeksgroepen in Nijmegen, Seattle, Rochester en Leiden (29).

Van der Maarel is erg enthousiast over deze doorbraak. 'Deze doorbraak is mede te danken aan de steun die de FSHD Stichting heeft gegeven. De stichting is altijd bereid in te springen, zekerheid te bieden voor de voortgang van het onderzoek door garant te staan voor het geld als onderzoeksaanvragen nog niet definitief zijn toegekend

en ook door pilotstudies te financieren, waardoor we door kunnen gaan. Nu weten we de oorzaak en kunnen we proberen om de ziekte te behandelen door het specifieke gen uit te schakelen. Dit gaat alleen niet van vandaag op morgen. Er is nog veel geld en tijd nodig voordat we de patiënten een therapie kunnen aanbieden’.

Met het noemen van die garantstellingen benoemt Van der Maarel een punt dat ook bij andere onderzoekers en soms ook vanuit het bedrijfsleven gehoord wordt. Als er gewacht moet worden op de definitieve besluitvorming rond subsidieaanvragen is het wel zo prettig als er op de achtergrond geld van een patiëntenorganisatie is om die gaten op te vullen. Van der Maarel, maar ook andere fundamenteel onderzoekers geven aan dat inmiddels toch zo’n twintig tot dertig procent van hun onderzoeksgelden afkomstig is uit de wereld van de patiëntenorganisaties.

Tegelijkertijd is het ook de onderzoeksagenda, de ‘Roadmap to solutions’ van de FSHD Stichting die een belangrijke rol heeft gespeeld. Ook Kees van der Graaf van de FSHD Stichting is hier duidelijk over: ‘Met de roadmap hebben we continu aangestuurd op het ontrafelen van de oorzaak van de ziekte. Wetenschappers van veel verschillende disciplines hebben hierdoor vanuit diverse invalshoeken breed onderzoek kunnen verrichten. Nu we precies weten hoe FSHD tot stand komt is de oplossing in de vorm van therapie voor patiënten een stukje dichterbij gekomen. We zijn er alleen nog lang niet en hebben hierbij nog veel steun nodig’.

Aan het einde van zijn verhaal in Basel, vatte Silvère van der Maarel de belangrijkste lessen en aanbevelingen uit zijn FSHD werk als volgt samen:

1. Wat nodig is, is een multidisciplinaire setting, waarin fundamenteel, translationeel en klinisch onderzoek gedaan kan worden en die groep moet gesteund worden door patiënten, fondsen, onderzoekers, klinici, regelgevers en bedrijfsleven.
2. Het continuüm fundamenteel, translationeel en klinisch onderzoek moet doorlopend zijn.
3. Er moet geïnvesteerd worden in structuur en coördinatie van het onderzoek.
4. Er moet sprake zijn van duurzaamheid.

## **Gertjan van Ommen (LUMC) en Judith van Deutekom (Prosensa)**

Prof. dr. Gertjan van Ommen is als hoogleraar Humane Genetica verbonden aan het Leids Universitair Medisch Centrum (LUMC), waar hij leiding geeft aan de afdeling Humane Genetica en directeur is van het *Center for Medical Systems Biology*. Van Ommen heeft in het verleden veel werk verzet voor de ontcijfering van het humane genoom,

het HUGO-project. Als onderzoeker is hij altijd al nauw betrokken geweest bij het onderzoek naar de ziekte van Duchenne samen met Johan den Dunnen en Janet Gommers. Johan den Dunnen kwam in 1996 met het exon-skip idee aan, dat hebben we gezamenlijk verder uitgewerkt en als project is Judith van Deutekom daarmee aan de slag gegaan. Het eerste voorstel, naar de Muscular Dystrophy Group in Engeland, werd afgewezen. Vervolgens is het eerste projectvoorstel voor het DPP geschreven en dat hebben we toen gekregen. Vervolgens heeft onze afdeling het octrooibureau erbij gehaald, en de contacten met Prosensa gelegd. Naast Judith van Deutekom speelt ook Annemieke Aartsma-Rus een belangrijke rol in dit onderzoek en het vervolg traject in het LUMC.

Judith van Deutekom heeft dus aan het begin van haar wetenschappelijke carrière de kans gekregen van het Duchenne Parent Project om haar kennis over deze spierziekte te verdiepen tijdens een verblijf in Amerika. Na dit verblijf is zij terug gekeerd naar het LUMC waar zij aan de wieg heeft gestaan van de doorbraken in het exon-skipping project rond Duchenne. De ontwikkeling en het verdere onderzoek zijn voortgezet bij het Leidse biofarmaceutische bedrijf Prosensa en Judith van Deutekom is bij Prosensa inmiddels hoofd van de wetenschappelijke onderzoeksafdeling.

### ***Fundamenteel versus toegepast wetenschappelijk onderzoek***

Doen Van Ommen en zijn team, waarvan in het verleden dus ook Judith van Deutekom deel uitmaakte, nu translationeel of meer fundamenteel onderzoek (30)? ‘Eigenlijk allebei’, aldus Van Ommen, ‘het wisselt een beetje, maar wel richten wij ons bij het fundamentele onderzoek op de mogelijkheden van translatie. Ik ken de bedenkingen van sommige ‘basisonderzoekers’ wat betreft meer translationeel werk (maar let op: er is niet echt een ‘standaard basisonderzoeker’), maar het heeft eerder te maken met hun sterkere of pure focus op basaal, mechanistisch onderzoek. De meesten zijn echt meer geïnteresseerd in hoe het werkt, dan wat je er dan mee kan. Op zich is daar niets mis mee: als wij niet precies gesnapt hadden hoe het Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)-gen in elkaar zat, was het exon skippen er ook niet van gekomen. Het heeft weinig zin om een betere verrekijker te ontwikkelen of te hebben, als je niet weet dat die onduidelijke pluk bruin-witte blokjes en groene balletjes en puntige uitsteeksels aan de horizon een dorp is (dat weten we wel omdat we die van dichtbij al kenden). Met andere woorden, basisonderzoek is superbelangrijk, en het zou me niet verbazen – zeker in de huidige tijd niet – als dat meer in de knel zit qua financiering dan het translationele onderzoek. Dat is een ander teer punt bij basisonderzoekers, dat meer in toepassingen gerichte onderzoekers ‘makkelijker aan geld komen’. Terwijl ze ‘minder goed scoren’, omdat de toptijdschriften van oudsher meer ‘echte wetenschappelijke doorbraken’ publiceren. Dat is meestal ook een momentopname, terwijl het vervolg langzaam komt, met jarenlange klinische trials en veel tegenslag. Maar één op de 35 vindingen die in de pharma het klinische traject in gaat, komt als een medicijn op de markt. Daar moet je maar tegen kunnen’.



## ***Het Duchenne Parent Project was onze redding***

Wat betreft de eigen bevindingen van Van Ommens team met het Duchenne Parent Project: 'Het Duchenne Parent Project (DPP) was onze absolute redding, niets meer of minder. De basis onderzoeksinstanties hebben hier eigenlijk nooit erg warm voor gelopen, voor hen was Duchenne Muscular Dystrophy (DMD) 'klaar'. Het gen was gevonden, de bijzonderheid en schaal aangetoond, het eiwitproduct aangetoond, het ontbreken ervan bij DMD, en de rol van dystrofine in het intact houden van het membraan en de overdracht van de spiercontractie naar de spierpezen en het bot. Therapie leek nog ver weg en vooral bij dit mega-gen betrekkelijk kansloos'.

'We zijn bij de Muscular Dystrophy Campaign in UK begonnen in 1997, met een 'tweestromenvoorstel', de 'gehumaniseerde DMD muis' (het overzetten van het 2,5 miljoen DNA bouwstenen lange humane DMD gen naar de muis, wat we in gist bij elkaar hadden weten te plakken, als therapie-model en om te zien hoe een extra humaan DMD gen zou werken - die wordt nu aan allen die hem aanvragen beschikbaar gesteld en is 'het' onderzoeksmodel voor genetische DMD interventies) en de 'exon-skipping'. We kregen als antwoord dat we wel geld kregen, maar alleen voor de hDMD muis, "dat andere had te weinig slaagkans"... (er zat ook wel iets van politiek bij want in Engeland zelf was er ook een groep mee aan het werk, en die kreeg hiervoor ook geen geld)'.

'Toen zijn we naar het toen in opkomst zijnde Duchenne Parent Project gegaan, en daar hebben we in 1998 onze eerste subsidie van gekregen. Iets meer dan 200.000 gulden, waar Judith van Deutekom op is aangesteld. Later hebben we een tweede aanvraag ingediend, ik denk in 2000, en gekregen voor een vergelijkbaar bedrag. Sindsdien zijn we steeds door het DPP gesteund geweest. Dat ging op zich allerm minst vanzelf, zij krijgen per subsidieronde tien tot vijftien aanvragen en die worden door wetenschappelijke referenten beoordeeld en vervolgens door een wetenschappelijke adviesraad in volgorde gezet. Wij kregen, net als andere aanvragers overigens, vaak een heleboel kritische vragen die niet altijd even relevant waren of zelfs maar goed te beantwoorden. Er was indertijd niet veel kennis op dit vlak en er was ook een grote dosis blind vertrouwen nodig, en ongebreideld optimisme. Maar we hebben het steeds gered omdat we altijd gedaan hebben wat we zeiden dat we zouden gaan doen. We hebben aanvankelijk ongeveer een ton subsidie per jaar gekregen, maar dat is de laatste jaren aan het oplopen omdat ons onderzoek zich verbreedt naar de versterking en ondersteuning van de exon-skipping methodiek met andere benaderingen'.

'Wij hebben tot nu toe van DPP al meer dan twee miljoen gehad. DPP heeft ook een belangrijke rol gespeeld bij de verdere groei van Prosensa door dit jonge bedrijf financieel te ondersteunen. De directeur van Prosensa, Hans Schikan,

beaamt dat Prosensa de eerste vijf jaar van haar bestaan niet had kunnen overleven zonder de hulp van het Duchenne Parent Project. Dit voorbeeld illustreert welke rol patiëntenorganisaties kunnen spelen bij het vinden van een oplossing voor de ziekte waarvoor zij actief zijn’.

‘Toen het preklinische onderzoek er goed uit begon te zien - de eerste successen met patiëntencellen waren verkregen en geïdentificeerd in 2000 en in 2001 gepubliceerd door Judith en haar groeiende groepje, kreeg ik contact met Otto Postma, voorheen bij Pharming werkzaam. Hij werd ‘valorization officer’ bij het *Center for Medical Systems Biology* (CMSB) en hij bracht me weer in contact met Gerard Platenburg, ook ex-Pharming. Hij had samen met Jacques van Boom en Herman de Boer, met geld van de laatste, een bedrijf gestart wat met behulp van biomoleculen aan therapie wilde werken maar dat was nog niet echt ingevuld. Het klikte tussen de partijen, men koos voor de antisense, de naam van het bedrijf werd veranderd in Prosensa en zij kregen een licentie op ons eerste octrooi en een tweede in de maak. Zoals ze zeggen “The rest is history”: Prosensa kreeg gelden bij Senter, DPP, diverse andere patiëntenverenigingen en van private investeerders via twee financieringsrondes. En wij bleven steun krijgen van het Duchenne Parent Project, later ook van het Prinses Beatrix Fonds, de Amerikaanse spierziektenvereniging MDA, en de Engelse spierziekten campagne MDC, en bleven, aanvankelijk zonder veel succes, doorzeuren bij de van translatie vervulde Nederlandse overheid. De Nederlandse overheid had in 2003 gelden aan ZonMw ter beschikking gesteld voor een programma ‘Translationeel Gentherapeutisch Onderzoek (TGO).

Wij achtten ons onderzoeksprogramma daarvoor bij uitstek geschikt en hebben daar in 2004 voor de eerste ronde een vooraanmelding ingediend. Die kwam ons op een ‘ontrading’ te staan. Omdat dat een besluit van de programma commissie zelf was, hebben we eigenwijs toch ingediend. Dat leidde ondanks een ‘excellent’ en een ‘very good’ oordeel van de referenten, toch tot een afwijzing van de aanvraag vanwege vooral het ontbreken van voldoende ‘muizenstudies’. Tegen deze afwijzing is toen beroep aangetekend, dat gewonnen is, maar desondanks heeft dit niet geleid tot een herroeping van het oordeel en een toekenning van de aangevraagde subsidie.

Ondertussen was de tweede ronde aan de orde, hebben we weer ingediend en werden we wonder boven wonder nummer één van de selectie, mede omdat het muizenwerk nu wel was gepubliceerd en we zelf ook niet stil hadden gezeten. Uit dat programma zijn een uitbreiding van het team en een flink bedrag aan GMP AONs bekostigd omdat we toen al in het begin van de eerste klinische trial zaten. Wij zijn later nog geïnterviewd over de succesfactoren van waarom dit zoveel sneller was gegaan, wat wij danken aan het vroege en goede contact met Prosensa, als geheel op dit werk gefocust biotech bedrijf.

Ter verduidelijking: GMP AONs zijn Antisense oligonucleotiden die onder 'Good Manufacturing Practice' (GMP) condities gemaakt zijn. Die kosten een klein fortuin omdat daarvoor dan alle eigenschappen en fabricagestappen goed moeten zijn geregistreerd en herhaalbaar moeten zijn. Daar zijn hooggespecialiseerde bedrijven voor. De eerste zending daarvan kostte drie ton, de tweede zeven, en toen bleek dat we vanwege de Nederlandse regels eigenlijk drie van die batches moesten laten maken waarvan we dezelfde biologische werkzaamheid moesten kunnen aantonen.

Al met al onderstreept de historie rond onze aanvraag bij het ZonMw programma TGO de betekenis van het Duchenne Parent Project. Zij bleven ons in een moeilijke periode steunen en dan niet alleen vanwege de gelden die ze ter beschikking stelden, maar ook de steun door dik en dun en in die vroege fase eigenlijk tegen de gevestigde opinies in'.

### ***Beperkingen van het werken met patiëntenorganisaties als fonds***

'Als je me vraagt naar belemmeringen, dan zou ik alleen kunnen wijzen naar de veel fragielere infrastructuur van kleine fondsen met betrekking tot het verwerken van aanvragen, terugkoppeling, organiseren van de Wetenschappelijke Advies Raad (WAR) vergadering, vinden van referenten etc. Dat is echt een vak, en dat loopt bij de grotere fondsen en NWO, ZonMw systematischer. Dat komt altijd wel goed, maar kan dus soms tot vertraging leiden, en heel soms tot oneigenlijke discussies of overmatige invloed van een enkeling of een parallelle discussie in de vereniging zelf over de doelen.

Ook is er nog het aspect van onbekend maakt onbemind. Er zijn in allerlei hoeken en gaten kleine fondsen die eigenlijk moeite hebben om hun subsidies echt goed aan de man te brengen omdat hun doel te klein, gefocust en onbekend is. Soms sluiten die fondsen qua beoordelingsronde aan bij grotere fondsen maar dan is er vaak een moeizame discussie over doelen, invloed en zeggenschap, waar niet altijd uitgekomen wordt. Voor onderzoekers heeft een subsidie van NWO, ZonMw, KWF vaak veel meer status door de bekendheid van de organisaties en de standaardisatie van het proces en dus vinden veel onderzoekers het gewoon te lastig om in die onduidelijke wereld van kleinere fondsen en patiëntenorganisaties door te dringen. Dat geldt overigens ook internationaal.

## De beleidmakers

Beleidmakers kunnen ook in een vroegtijdig stadium gebruikers van de zorg raadplegen over hun noden en behoeften en kijk op de zorg. Vaak gebeurt dit in de vorm van het maken van een onderzoeksagenda. Het Athena Instituut van de VU heeft hier uitgebreide ervaring mee opgedaan en hun ervaringen staan beschreven in het al enkele keren eerder genoemde boek 'Zeggenschap in Wetenschap' van Jacqueline Broerse en Tineke Abma (18). Vooral een aantal van de Nederlandse gezondheidsfondsen heeft van deze agenderingsmethodiek gebruik gemaakt. Maar ook de Raad voor Gezondheidsonderzoek (RGO) heeft het Athena Instituut ingeschakeld bij het opstellen van de in 2006 verschenen 'Onderzoeksagenda Medische Biotechnologie' (31). Recent heeft de inmiddels in de Gezondheidsraad (GR) opgenomen RGO met het Athena Instituut dezelfde methodiek gehanteerd om te komen tot het rapport 'Medische producten: nieuw en nodig!' (32).

### **Medische producten: nieuw en nodig! Een investeringsagenda voor onderzoek naar innovatieve en relevante medische producten**

Onder bovenstaande titel is op 18 januari 2011 de onderzoeksagenda medische producten van de Raadscommissie voor Gezondheidsonderzoek gepresenteerd. Deze agenda is tot stand gekomen op verzoek van de minister van VWS aan de GR. Aanleiding zijn de grote toekomstige uitdagingen waar de gezondheidszorg voor staat. Mensen worden ouder en het aantal chronisch zieken neemt toe, terwijl er steeds minder jonge mensen zijn om deze zorg op zich te nemen. Hulpmiddelen waarmee mensen langer zelfstandig kunnen blijven of minder vaak naar de dokter hoeven, verminderen de druk op de zorg. De ontwikkeling van nieuwe medische producten is daarom hard nodig. Welke nieuwe medische producten kunnen helpen de gezondheidszorg in Nederland te verbeteren? En hoe kunnen we zorgen dat die producten er ook komen?

Om een antwoord te vinden op deze vragen is de RGO gaan praten met patiënten en zorgverleners. Want niemand weet beter aan welke producten precies behoefte is dan de mensen die ze moeten gebruiken. Deze gesprekken leverden voor vijftien ziektegebieden een lijst op met verbeteringen waarop patiënten en zorgverleners zitten te wachten: nieuwe geneesmiddelen, weefselvervangende producten en hulpmiddelen voor diagnostiek en zorg.

Het gaat daarbij zowel om producten die zijn gericht op de behandeling van de ziekte als om zaken die het leven met de ziekte vergemakkelijken. Overigens hebben patiënten ook problemen genoemd die te maken hebben met de organisatie van de zorg - kwesties die vragen om betere samenwerking of afstemming tussen zorgverleners. Omdat dit geen zaken zijn waarvoor medische producten de oplossing kunnen bieden, vallen ze buiten het bereik van het advies.

De raad heeft de lijst met voorgestelde medische producten gebruikt om een zogenoemde onderzoeksagenda samen te stellen. Daarop staan de onderwerpen die met voorrang nader onderzoek verdienen en waarbij het ook nodig is dat de overheid dit onderzoek stimuleert.

### ***Patiënten en zorgverleners aan het woord***

Van depressie tot stoornissen van het bewegingsapparaat, van angststoornissen tot beroerten. De raad koos vijftien ziektegebieden uit om patiënten over te bevragen. Kiezen was nodig, omdat de tijd beperkt was en dus niet de hele zorg aan bod kon komen. Belangrijk was bovendien dat de patiënten voldoende met elkaar gemeen hadden om ervaringen uit te wisselen en samen te bedenken aan welke producten de grootste behoefte bestaat. Om die reden is bijvoorbeeld kanker nu niet meegenomen: daar valt een verzameling van tientallen ziektes onder, waardoor patiënten te veel van elkaar verschillen om een gezamenlijk geluid te laten horen. Naast de patiënten zijn andere groepen gebruikers van medische producten bevroegd: huisartsen, medisch specialisten, verpleegkundigen en mantelzorgers. Iedere patiëntengroep heeft uit de eigen suggesties een top 3 gekozen van producten die het belangrijkste zijn.

Eén voorbeeld dat is boven komen drijven door de raadpleging van patiënten is het onderwerp jeuk. Er zijn in Nederland heel veel mensen die ooit brandwonden hebben opgelopen. Vaak houden zij last van ondraaglijke jeuk. Eén van de dingen die de GR de minister adviseert is daarom: laat onderzoek doen naar het bestrijden van jeuk. De GR is erg enthousiast over de wijze waarop patiënten en hulpverleners hebben meegewerkt en de lijst van prioriteiten die aldus is ontstaan. 'Hoe logisch het ook lijkt om patiënten en zorgverleners te betrekken bij de keuzes voor onderzoek, het gebeurt nog veel te weinig. Naar ons idee moet dat veranderen. We hopen dat dit advies daaraan bijdraagt', aldus Louise Gunning-Schepers, voorzitter van de Gezondheidsraad. Commissievoorzitter Geert Blijham (oud-voorzitter Raad van Bestuur van het Universitair Medisch Centrum Utrecht (UMCU)) voegt daar aan toe: 'Ik hoop dat dit advies iedereen enthousiast maakt om gewoon met zo'n onderzoeksagenda te gaan beginnen.'

Zo'n proces gaat natuurlijk in kleine stapjes, maar eerst moet er een grote stap gezet worden. Ik hoop dat de nieuwe minister dit advies aangrijpt en zegt: 'In mijn periode ga ik dit voor mijn kiezers doen. Zij hebben verteld wat hun leven zou verbeteren, ik geef een financiële prikkel aan die onderzoekers die helpen om de medische producten te ontwikkelen waaraan kennelijk grote behoefte is'.

Van het advies van de GR is zowel een wetenschappelijke versie beschikbaar als een speciaal voor patiënten en zorgverleners geschreven samenvatting.

## **RGO-advies over patiëntenparticipatie**

In 2007 heeft de RGO een advies uitgebracht over patiëntenparticipatie (33). De RGO had voor die tijd al een aantal kleinere conferenties georganiseerd over patiëntenparticipatie in onderzoek en beleid en was daarbij vooral geïnspireerd door de stimulans die in Engeland aan dit werk was gegeven door de National Health Service (NHS) met haar 'Involve' initiatief. Via het Involve-programma stimuleert de NHS burger-, consument-, cliënt- en patiëntenparticipatie op een structurele wijze. Voor meer details over Involve, zie [www.involve.org.uk](http://www.involve.org.uk). Het RGO-advies van 2007 bevatte twee aanbevelingen aan het ministerie van VWS, namelijk:

1. Het evalueren van diverse vormen van patiëntenparticipatie om te zien welke vormen wel en niet òf meer of minder effectief zijn.
2. Het bewerkstelligen van een infrastructuur om de kennis van vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties, onderzoekers en bedrijfsleven bij elkaar te brengen en up to date te houden. Dit netwerk zou dan ook een makelaarsfunctie kunnen krijgen.

Het ministerie van VWS heeft het betreffende RGO-advies wel positief ontvangen, maar het heeft geen concrete uitwerking gekregen in de vorm van een taakopdracht voor ZonMw.

## **ZonMw**

ZonMw is er wel in geslaagd om samen met het VSBfonds het programma 'Patiëntenparticipatie in onderzoek en beleid' te realiseren, dat in 2009 van start is gegaan (34). Met participatie wordt hier de deelname van patiënten (organisaties) aan onderzoek, kwaliteit en beleid bedoeld als partner naast andere partijen als wetenschappers, beleidmakers en professionals. In dit programma wordt onderzocht welke ervaringen met patiëntenparticipatie reeds

zijn opgedaan en hoe deze ervaringen zo goed mogelijk ingezet kunnen worden. Dit programma volgt in grote lijnen het advies van de RGO uit 2007. Daarnaast is ZonMw op dit moment - in opdracht van het ministerie van VWS - ook bezig om te bekijken hoe ze praktisch vorm kan geven aan het GR-advies over medische producten: nieuw en nodig! ZonMw zou voor zo'n structuur bijvoorbeeld kunnen kijken naar de benadering in Frankrijk van INSERM.

## INSERM

INSERM is een Franse onderzoeksinstituten, die enigszins te vergelijken is met de diverse onderzoeksinstituten van de KNAW, zoals het Hubrecht Instituut, het Herseninstituut en dergelijke. Tegelijkertijd is INSERM ook een beleidsachtige organisatie en daarmee enigszins vergelijkbaar met NWO en ZonMw. In 2004 heeft INSERM een beleidsomslag gemaakt in het werken met patiëntenorganisaties. De structuur van INSERM's 'Groupe de Réflexion avec les Associations de Maladies' (GRAM) lijkt in principe wel wat op de Taakgroep Wetenschap en Patiënt van ZonMw, zoals die nu vorm heeft gekregen, maar inhoudelijk gaat INSERM verder.

In 2004 heeft INSERM besloten haar kennis ter beschikking te stellen aan patiëntenorganisaties door het aangaan van een dialoog en een samenwerkingsverband, dat gebaseerd is op vier pijlers:

- Participatie van patiëntenorganisaties in lopende onderzoeksprogramma's.
- Betrekken van patiëntenorganisaties bij klinisch onderzoek.
- Het trainen van vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties op het terrein van wetenschappelijk onderzoek om zo ook de dialoog met onderzoekers goed of beter te kunnen voeren.
- Om vanuit het gevormde netwerk van onderzoekers en patiëntenorganisaties relevante partijen met elkaar in contact te brengen.

Tweemaal per jaar moeten de fundamenteel onderzoekers binnen INSERM verantwoording afleggen over hun activiteiten met en richting patiëntenorganisaties. INSERM heeft de GRAM groep opgezet om de top van het Franse ministerie van VWS te adviseren over de strategie rond het samenwerken met patiëntenorganisaties, mogelijke concrete stappen aan te geven en toe te zien op de naleving hiervan. De GRAM groep bestaat uit vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties, onderzoekers en de operationele managers van INSERM (35).

Zoals ook al eerder is aangegeven in het stuk over de stimulerende rol van wetgeving is met name de Franse overheid erg actief in het stimuleren van dit soort vormen van patiëntenparticipatie in onderzoek en beleid. Nog onlangs

heeft de Franse overheid de getherapiefaciliteit BIO-PROD van de Franse spierziektenorganisatie AFM nabij Parijs erkend als officiële productiefaciliteit voor onderzoekers en bedrijven in Frankrijk (36).

## **Europees patiëntenbeleid**

Voortbordurend op de participatie van Nederlandse patiëntenorganisaties in Europees onderzoeksbeleid en de eerdere RGO-bevindingen over het actief betrekken van met name Engelse patiëntenorganisaties in Involve, heeft Bob Keizer de afgelopen jaren voor ZonMw gekeken naar het overheidsbeleid in Europese landen, waaronder dat van de Nederlandse overheid (37, 38). Keizers laatste rapport concludeert dat de consumenten/patiëntenbeweging in Europa bestaat uit een grote variëteit aan organisaties in ieder land. In veel landen hebben deze organisaties te maken met financieringsproblemen, gebrek aan kennis, afhankelijkheid van sponsors, problemen in de samenwerking met anderen en met representatie, hetgeen een volwaardige participatie in het beleidsproces belemmert, niet alleen op nationaal, maar ook op internationaal niveau.

Hoewel alle overheden tegenwoordig voorstander zijn van een actieve betrokkenheid van consumenten/patiënten in gezondheidszorgvraagstukken, is er vrijwel geen land dat recent een samenhangende, brede beleidsvisie heeft geformuleerd gericht op versterking van de consumenten/patiëntenbeweging. Onderliggend probleem is dat in vrijwel alle landen er een gebrek is aan overzicht van en inzicht in de situatie van deze beweging, in het bijzonder wat betreft hun werkelijke functioneren, representatie, participatie, kwaliteit en doeltreffendheid. Het verzamelen van dit soort informatie is daarom een noodzakelijke voorwaarde voor beleidsontwikkeling, zowel op nationaal als op internationaal niveau.

Tevens bestaat de indruk dat er in veel landen verschillende opvattingen bestaan over de taken en rollen van de consumenten/patiëntenbeweging en hun representativiteit. Een eerste stap zou – volgens Bob Keizer - kunnen bestaan uit het organiseren van een seminar op Europees niveau, met alle betrokken partijen, teneinde bevindingen en conclusies van deze pilot-studie te bespreken als ook het belang van gegevensverzameling en onderzoek voor beleid gericht op het betrekken van consumenten/patiëntenorganisaties in het gezondheidssysteem. Een tweede stap kan zijn het ontwikkelen van een EU-breed netwerk, met als doel het in kaart brengen van de situatie en het functioneren van consumenten/patiëntenorganisaties op basis van gemeenschappelijke concepten en definities. Dit zou, als een derde stap, kunnen leiden tot een gedegen Europees overzicht als basis voor een toekomstige EU-brede monitor van de patiënten/consumentenbeweging.



Keizer snijdt in zijn rapporten wel een paar essentiële zaken aan. Er gebeurt heel veel in Europa als het gaat om de betrokkenheid van patiëntenorganisaties in onderzoeks- en beleidsvragen, maar een beleidsvisie vanuit Europese overheden ontbreekt, evenals vanuit de Europese Commissie. Ook de financiering van patiëntenorganisaties voor dit werk is een heikel punt, omdat noch Europese overheden noch de Europese Commissie deze vormen van participatie financiert. Ook de recente beleidsbrief van minister Schippers over de taken van de Nederlandse patiëntenorganisaties gaat volledig voorbij aan Europa. Naast een drastische bezuiniging op de patiëntenorganisaties, die in deze beleidsbrief wordt aangekondigd, is het voor deze achtergrondnotitie van belang om op te merken dat subsidie-aanvragen betreffende initiatieven die primair gericht zijn op studiemogelijkheden of wetenschappelijk onderzoek naar specifieke aandoeningen of beperkingen of het zelf ontwikkelen van medisch inhoudelijke kwaliteits-indicatoren niet subsidiabel worden geacht (39). Cor Oosterwijk, directeur van de VSOP, refereert ook aan het ontbreken van zo'n beleidsvisie in een recent interview in de Mediator Special over diversiteit en participatie in zorg en onderzoek wanneer hij zegt 'Patiëntenparticipatie heeft het meer nodig te worden gefaciliteerd dan te worden bestudeerd' (40).

Overigens mag het feit dat een aantal nieuwere patiëntenorganisaties, zoals het Duchenne Parent Project en de Stichting Alpe d'HuZes het zonder overheidssubsidie doen, geen argument voor de Nederlandse overheid zijn om dit soort activiteiten dan ook maar niet te subsidiëren. Nieuw overheidsbeleid zou juist op dit soort nieuwe ontwikkelingen moeten inspelen, het ondersteunen en als voorbeeldfunctie moeten gebruiken voor proefprojecten bij de al langer bestaande patiëntenorganisaties om ook daar te komen tot innovaties.

## **Een cultuuromslag in de patiëntenbeweging**

Misschien wel het belangrijkste kenmerk van alle hiervoor beschreven ontwikkelingen bij patiëntenorganisaties is het feit dat het hier gaat om directe patiëntenparticipatie in wetenschappelijk onderzoek en beleid. En dat dit het kenmerk lijkt te zijn van de meer recent ontstane patiëntenorganisaties. Bij de meer traditionele en de langer bestaande patiëntenorganisaties komt deze betrokkenheid bij vooral wetenschappelijk onderzoek heel vaak pas veel later in beeld.

In die zin is er wel sprake van een cultuuromslag in de patiëntenbeweging. Vrijwel alle patiëntenorganisaties die in de jaren zeventig, tachtig zijn opgericht, richten zich op de volgende drie taken:

1. Voorlichting en informatie verstrekken,
2. Het organiseren van lotgenotencontact en
3. Belangenbehartiging in de ruimste zin van het woord.

Het overheidsbeleid sloot daar ook op aan. De basissubsidie van het ministerie van VWS voor patiënten-, gehandicapten- en ouderenorganisaties (PGO-organisaties) was voor de financiering van die drie taken en niet veel meer. De subsidiëring liet weinig ruimte voor al te enthousiaste activiteiten op het terrein van onderzoek of het verruimen van het werkveld, laat staan een actieve inbreng in Europees of internationaal beleid. Die ruimte moest komen uit de eigen bijdragen van leden of donateurs of andere inkomsten, bijvoorbeeld van fondsen of van het bedrijfsleven. Met de recente beleidsbrief van minister Schippers is de rol van belangenbehartiger afgefallen en zoals hierboven beschreven is er nu helemaal geen ruimte meer in het subsidiebeleid voor activiteiten op wetenschappelijk terrein.

Recenter ontstane patiëntengroepen richten zich veel meer op een nieuwe, vierde, taak van het PGO-veld, namelijk directe participatie in medisch-wetenschappelijk onderzoek en beleid. En om dit onderzoek te stimuleren is fondsenwerving een vrijwel direct hieruit voortvloeiende activiteit. Sommigen van deze patiëntenorganisaties, zoals het Duchenne Parent Project, hebben bewust geen beroep gedaan op overheidssubsidie om niet gebonden te zijn aan regels wat zij wel en niet mogen doen. In die zin waait er een nieuwe wind in patiëntenland, komen de contouren van een nieuwe horizon in zicht.

## **Het verhaal van ‘Het innovatiedilemma’**

Die cultuuromslag kun je ook beschrijven in termen van vernieuwing, van innovatie. Bas Bloem, hoogleraar Neurologische stoornissen, UMC St Radboud), verwijst in zijn verhalen over de vernieuwing in de zorg voor mensen met de ziekte van Parkinson vaak naar een boek van Clayton M. Christensen, dat in 1997 verschenen is onder de titel ‘The Innovator’s Dilemma’ en in 1999 in het Nederlands met als titel ‘Het innovatiedilemma’ (41). Christensen ontvouwt in ‘Het innovatiedilemma’ een gestructureerde manier om naar innovatieve ofwel ontwrichtende technologieën in bedrijfstakken te kijken. Een ontwrichtende innovatie (disruptive innovation) technologie is een ontwikkeling die onzichtbaar is en daardoor onderschat wordt door een bestaande industrie (de status quo). Daar zijn een paar redenen voor. In eerste instantie is een ontwrichtende technologie technisch ondergeschikt aan de leidende technologie (sustaining technology). Denk hierbij aan de opkomst van de personal computer (pc) ten opzichte van de micro-computers of recent de ontwikkelingen in de mobiele telefoonmarkt (veranderend bel- en sms-gedrag van jongeren via blackberry’s, cs). Klanten die deze technologie gaan gebruiken, doen dit omdat de leidende technologie onbereikbaar is, te duur, of een andere functionaliteit bevat. De ontwrichtende technologie heeft tijd (en ontwikkeling) nodig om volwassen te worden. Omdat bestaande bedrijven bezig zijn hun winstgevende klanten te bedienen en hun focus richten op het uitbreiden van deze markt, ontsnapt de ontwrichtende technologie aan hun aandacht. In de loop der tijd (doorgaans tien jaar) wordt de ontwrichtende technologie verbeterd en krijgt

momentum. Bedrijfstakingen die worden overvallen, vallen volgens Christensen weinig te verwijten: managers handelen zakelijk en rationeel totdat het te laat is. Christensen ontleedt vier principes die gevestigde bedrijven kenmerken en daarmee vatbaar zijn om slachtoffer te worden van een 'ontwrichting': bedrijven zijn voor hun financiële middelen afhankelijk van klanten en beleggers; kleine markten voorzien niet in de groei-behoefte van grote bedrijven; markten die niet bestaan kunnen niet geanalyseerd worden; en het technologie-aanbod is niet gelijk aan de markt-vraag (42).

## **De innovatieve waarde van betrokken patiënten(organisaties)**

De hiervoor beschreven nieuwe patiëntengroepen kun je in de termen van Christensen beschrijven als disruptieve innovatie, als vernieuwers op de markt van de gezondheidszorg. Ze zijn een tijd onzichtbaar geweest of worden als randverschijnsel beschouwd. Maar ze worden op een bepaald moment zichtbaar omdat ze een belangrijke rol gaan spelen in het faciliteren van onderzoek en het verzamelen en beheren van lichaamsmateriaal van patiënten in het bijzonder (9).

Deze rol is zelfs doorslaggevend omdat, zoals de voorbeelden laten zien, patiënten(organisaties) sterk zijn in:

- 1) Het bijeenbrengen van patiënten en hun lichaamsmateriaal (Marshall Smith Syndroom).
- 2) Het delen van gegevens voor onderzoek en organiseren van samenwerking ( EuroBiobank).
- 3) Het bijeen krijgen van financiering voor biobanken en onderzoek, ook voor de langere termijn (zie bijv. Duchenne Parent Project, AFM/Généthon biobank, Alpe du Hu'Zes).

De Nederlandse innovatiewetenschapper Wouter Boon heeft voor zijn proefschrift vooral gekeken naar veranderingen in de gezondheidszorgmarkt en heeft daarbij ook naar het werk van innoverende patiëntenorganisaties gekeken (43). Eén van zijn conclusies is dat organisaties van gebruikers, zoals patiëntenorganisaties, één van de meest prominente actoren in de innovatie arena van de gezondheidszorg zijn. De voorbeelden binnen de patiëntenbeweging die hij bestudeerd heeft zijn de Vereniging Spierziekten Nederland (VSN), de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen (WGM) en de Borstkanker Vereniging Nederland (BVN).

## Nawoord

De hierboven geschetste ontwikkelingen en voorbeelden laten zien dat er sprake is van een brede gezamenlijke agenda onder patiënten met vooral zeldzame aandoeningen om zelf een sleutelrol te vervullen bij het opzetten en financieren van onderzoek. Opvallend is dat bij een aantal patiënten(organisaties), zoals bij PXE en bij Chordoma het gebrek aan samenwerking tussen onderzoekers een belangrijke drijfveer is geweest om het roer zelf ter hand te nemen. Concreet betekent dit voor een aantal betrokkenen dat zij ook in hun persoonlijk leven het roer radicaal hebben omgegooid en aan een medische onderzoekscarrière zijn begonnen. Ook zien we dat de beweging om te participeren in onderzoek van zeldzame aandoeningen doorschuift naar de veel voorkomende aandoeningen, zoals kanker, met als meest in het oog springend voorbeeld de Stichting Alpe d'HuZes.

Op grond van de voorbeelden kan ook gezegd worden, dat deze patiëntvertegenwoordigers na verloop van tijd al indrukwekkende resultaten hebben bereikt, waarvoor fundamenteel onderzoekers grote waardering hebben. Niet alleen vanwege de ontvangen financiële steun, maar ook vanwege de jarenlange steun voor hun soms moeizame werk, zoals Gertjan van Ommen en zijn team schetsen.

De wijze waarop door patiëntenorganisaties een model is neergezet voor het beheer van biobanken en patiëntenregisters, laat zien dat zij ook oog hebben voor de lange termijn infrastructuur die nodig is om fundamenteel preklinisch onderzoek van de grond te krijgen.

Tegelijkertijd laten de voorbeelden zien dat er sprake is van een uitgebreid internationaal netwerk - waarin ook Nederlandse patiëntenorganisaties participeren - dat samenwerkt met fundamenteel onderzoekers en bedrijfsleven op weg naar een behandeling voor nu veelal nog niet of onvoldoende te behandelen ziekten.

De wijze waarop beleidmakers - in Nederland de Gezondheidsraad en ZonMw, in Frankrijk INSERM - met patiëntvertegenwoordigers samenwerken bij het formuleren van onderzoeksagenda's is eveneens een opmerkelijke ontwikkeling.

Het werk van de Taakgroep Fundamenteel Onderzoek van ZonMw en Nederlandse patiëntenorganisaties is er op gericht om deze samenwerking bredere bekendheid te geven en tegelijkertijd wegen aan te geven waarop deze samenwerking - waar nodig - versneld en geoptimaliseerd kan worden. Dit staat verder uitgewerkt in het advies en de aanbevelingen van de Taakgroep.

Tot slot past hier de opmerking dat wanneer patiëntenparticipatie in onderzoek en beleid daadwerkelijk van de grond wil komen, overheidsbetrokkenheid nodig is. Vanuit een duidelijk commitment van de zijde van de overheid voelen ook andere organisaties de verplichting hiermee in hun beleid rekening te houden. Frankrijk en Engeland zijn in die zin vele malen verder dan Nederland. De Nederlandse overheid is op dit moment sterk aan het bezuinigen op het budget van de patiënten- en gehandicaptenorganisaties en tegelijkertijd wordt patiëntenparticipatie in onderzoek en beleid niet als een kerntaak van de patiëntenbeweging gezien.

Het lijkt er qua overheidsbeleid eigenlijk op dat de Nederlandse overheid geen of onvoldoende oog heeft voor de 'disruptive innovation', zoals die hiervoor is beschreven. Daarmee ziet de Nederlandse overheid ook de bijdrage over het hoofd die de Nederlandse patiëntenbeweging zou kunnen leveren aan de beleidsdoelen van het ministerie van VWS, verhoging van de kwaliteit van de gezondheidszorg en het bereiken van doelmatigheidswinst door een betere kennisuitwisseling. De in deze tekst beschreven voorbeelden laten duidelijk zien dat de Nederlandse patiëntenbeweging een zeer constructieve bijdrage kan leveren aan het uitvoeren van bijvoorbeeld:

1. De Agenda Medische Producten van de Gezondheidsraad.
2. Het Topsectorplan Life Sciences & Health.
3. EATRIS, het nieuwe in Nederland gevestigde Europese instituut voor translationeel onderzoek.

Daarnaast gaat het er natuurlijk in het beleid ook om dat de overheid en andere stakeholders het belang inzien van patiëntenparticipatie, daarop een visie hebben en structurele maatregelen nemen om die participatie te bevorderen. Participatie kan dan bevorderd worden door participatie bij belangrijke onderzoeksorganisaties te regelen, deskundigheid en actieve kennisuitwisseling te bevorderen. Bevordering van participatie zal uiteindelijk ook zijn weerslag moeten hebben op internationaal niveau, alsmede vastgelegd moeten worden in wet- en regelgeving.

## Referenties

De citaten aan het begin van dit boekje zijn afkomstig uit:

1. Vrij Nederland, 26 november 2010
2. BBMRI.NL, Nieuwsbrief Hub 2, december 2010
3. Bijdrage Ype Elgersma in deze uitgave
4. Elsevier, 23 april 2011

De figuren in dit boekje zijn gemaakt door en zijn met toestemming overgenomen van:

- Figuur 1, Prof dr. Jan Raaymakers, Universiteit Utrecht, 2005  
Figuur 2A en 2B, Maryze Schoneveld van der Linde  
Figuur 3A en 3B, Kim Wever

## Literatuurlijst

1. Cees Smit. 'Het verhaal van ...', negen verhalen over patiëntenparticipatie in geneesmiddelenonderzoek'. Drukkerij De Adelaar, Badhoevedorp, 2009
2. H. Buurma e.a., Het geneesmiddel. Elsevier Gezondheidszorg, Maarssen, vijfde, herziene druk, 2009
3. DiMasi JA et al., The price of innovation: new estimates of drug development costs. *Journal of Health Economics* 2003;22:151-85
4. J.A.M. Raaijmakers, persoonlijke communicatie, 2009
5. 'Getting involved in research: a guide for individuals, families and the groups that support them'. EAGS, London, 2000
6. Steven Epstein. Activism, drug regulation, and the politics of therapeutic evaluation in the AIDS era: a case study of ddC and the 'surrogate markers' debate. *Social Studies of Science*, Vol. 27, No. 5 (Oct., 1997), pp. 691-726
7. Simon Rozendaal. Het is mijn lijf: een nieuwe revolutie Patient Power. Aspekt, Soesterberg, 2006. Er is ook een Engelse versie van dit boek onder de titel 'It's my life: a new revolution Patient Power'. Aspekt. Soesterberg, 2007
8. Bergen AA et al., Mutations in ABCC6 cause pseudoxanthoma elasticum. *Nat Genet* 2000;25:228-31
9. Tessa van der Valk en Cees Smit. Patiënten spelen doorslaggevende rol bij biobanken, nationale en internationale voorbeelden. *NTvG* 2011;155:A2968
10. Valérie Malan et al., Distinct effects of allelic NFIX mutations on nonsense-mediated mRNA decay engender either a Sotos-like or a Marshall-Smith Syndrome, *American Journal of Human Genetics* 87, 1- 10, August 13, 2010

11. Cees Smit. 'De patiënt aan het roer: een nieuwe rol voor patiëntenorganisaties'. Drukkerij De Adelaar, Badhoevedorp, 2011
12. Peter Kapitein. Ik heb kanker .... En ik leef een goed, gelukkig en gezond leven. Karakter, Uithoorn, 2011
13. Technopolis Group. BBMRI: an evaluation strategy for socio-economic impact assessment. Technopolis, Amsterdam, 2010
14. Richtlijn Diagnostiek en Behandeling Cystic Fibrosis, 2007. Utrecht, CBO, 2007. Te downloaden via [www.cbo.nl](http://www.cbo.nl)
15. Basic principles for patient participation in biobanks. Biobanking and Biomolecular Resources Research Infrastructure Europe (BBMRI-EU), Graz, 2010. Te downloaden via: [www.bbmri.eu](http://www.bbmri.eu)
16. Fabrizia Bignami. 'Partners for Life'. Presentatie tijdens Rare Disease Day, Brussels, March 1, 2010. Te vinden op [www.eurordis.org](http://www.eurordis.org) en dan zoeken op 'Partners for Life'.
17. Cecile Vossen e.a. Handboek patiëntenparticipatie in wetenschappelijk onderzoek. ZonMw, VSOP en Reuma-patiëntenbond, Den Haag, 2008
18. Tineke Abma en Jacqueline Broerse. Zeggenschap in wetenschap: patiëntenparticipatie in theorie en praktijk. Uitgeverij Lemma, Den Haag, 2007
19. Cees Smit e.a. Tweede evaluatie WMO: 'Aandacht voor de positie van het proefpersonenlid en de patiënt is dringend gewenst'. Tijdschrift voor Gezondheidsrecht, 4 juli, 2010
20. Patient Partner. Patient involvement in clinical research: a guide for patient organisations and patient representatives. VSOP, Soest, 2011
21. Patient Partner. Patient involvement in clinical research: a guide for sponsors and investigators. VSOP, Soest, 2011
22. Raoul C.M. Hennekam. Care for patients with ultra rare disorders. European Journal of Medical Genetics 54 (2011) 220-224.
23. Fija Nijenhuis. Onderzoeker kan niet meer om patiënt heen. Status, personeelstijdschrift AMC, Amsterdam, juni 2011
24. Y. Elgersma. Persoonlijke communicatie, 2011
25. Lilian van Tuyl en Marieke Scholte. Patiëntenparticipatie in wetenschappelijk onderzoek. NTvG 2011;155:A3501
26. Silvere M. van der Maarel. Selecting targets for drug therapy: FSHD and the long road to therapy. Lezing EGAN/ Roche workshop, Basel, January 2011
27. FSHD Stichting. Roadmap to solutions 2003-2007. Persoonlijke communicatie VSN, 2011
28. FSHD Stichting. Roadmap to solutions 2008-2011. Persoonlijke communicatie VSN, 2011
29. Lemmers, Richard JLF et al., A Unifying Genetic Model for Facioscapulohumeral Muscular Dystrophy. Science 24 September 2010: Vol. 329 no. 5999 pp. 1650-1653

30. GJ. Van Ommen. Persoonlijke communicatie, 2011
31. Raad voor Gezondheidsonderzoek. Onderzoekagenda Medische Biotechnologie. Publicatie nr. 53, Gezondheidsraad, Den Haag, 2006
32. Raad voor Gezondheidsonderzoek. Medische producten: nieuw en nodig. Publicatie nr. 2011/01E, Gezondheidsraad, Den Haag, 2011
33. Raad voor Gezondheidsonderzoek. Patiëntenparticipatie in wetenschappelijk onderzoek. Publicatie nr. 56, Gezondheidsraad, Den Haag, 2007
34. ZonMw/VSB Fonds. Programmatekst Patiëntenparticipatie in onderzoek en beleid. ZonMw, Den Haag, 2009
35. Journal de la rencontre. Rencontre avec les associations de malades. Inserm, Parijs, Mai 2010
36. Nieuwsbrief Eurordis, juni 2011. Te vinden op [www.eurordis.org](http://www.eurordis.org)
37. Bob Keizer. Internationaal PGO-beleid, een verkenning. Den Haag, ZonMw, 2009.
38. Bob Keizer and Ruud Bless. Pilot Study on the position of Health Consumer and Patients' Organisations in seven EU countries. Den Haag, ZonMw, 2010.
39. Ministerie van VWS. Visiebrief PGO 'Bundel je kracht, samen sterk' en 'Subsidiekader'. Beleidsbrief minister Schippers, VWS, Den Haag, mei 2011
40. Mediator Special. Diversiteit en participatie in zorg en onderzoek. Mediator 22(1). Den Haag, ZonMw, februari 2011
41. Clayton Christensen. The innovator's dilemma. Collins Business Essentials, 1997. In 2009 is van Clayton Christensen 'The innovator's prescription' verschenen, dat gaat over innovatie in de gezondheidszorg
42. Deze tekst is afkomstig uit een recensie van Bertrand Wagenaar van 22 oktober 2008 in Management en Literatuur, zie [www.managementenliteratuur.nl](http://www.managementenliteratuur.nl)
43. Wouter Boon. Demanding dynamics, demand articulation of intermediary organisations in emerging pharmaceutical innovations. Proefschrift Universiteit Utrecht, 2008

## **Over de auteurs**

Dr. Cees Smit is voorzitter van de ZonMw/VSBfonds commissie 'Patiëntenparticipatie in onderzoek en beleid' en oud-voorzitter van de Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties (VSOP), een koepelorganisatie voor mensen met zeldzame, erfelijke of aangeboren aandoeningen.

Dr. Tessa van der Valk is beleidsmedewerker onderzoek en therapieontwikkeling bij de VSOP

Drs. Kim Wever is beleidsmedewerker zeldzame aandoeningen en internationale zaken bij de VSOP







VSOP

## Over de VSOP

### Wie zijn we?

De VSOP<sup>1</sup> is een samenwerkingsverband van ongeveer 65 patiëntenorganisaties, de meeste gericht op zeldzame en genetische aandoeningen.

De VSOP behartigt hun gezamenlijke belangen op het terrein van o.a. zorg en preventie, medisch wetenschappelijk onderzoek, erfelijkheidsvraagstukken en zwangerschap.

De missie van de VSOP is om te stimuleren dat nieuwe genetische kennis en biomedische toepassingen voor iedereen toegankelijk zijn en optimaal bijdragen aan het welzijn en de gezondheid van zowel huidige als toekomstige generaties.

### Wat doen we?

Er zijn in Nederland minstens één miljoen mensen met een zeldzame en/of genetische aandoening: het betreft ongeveer 5% van de pasgeborenen! Geïnspireerd door het perspectief van ouders en patiënten met zeldzame en genetische aandoeningen zet de VSOP zich in Nederland en Europa onder andere in voor:

- Betere zorg, diagnostiek en preventie.
- Tijdige informatie en keuzebegeleiding bij erfelijkheidsvraagstukken.
- Innovatie in onderzoek en therapieontwikkeling, in samenwerking met patiënten(organisaties).
- Aandacht voor de brede maatschappelijke (ethische) vragen betreffende genetisch en biomedisch onderzoek.

## Voor wie?

**Voor patiënten:** De eerste doelstelling van de VSOP is het behartigen van de gezamenlijke belangen van patiënten, ouders en overige betrokkenen, inclusief mensen met een verhoogde kans op een genetische aandoening bij zichzelf of hun (toekomstige) kinderen.

**Voor de samenleving in het algemeen.** De VSOP heeft een maatschappelijke missie die voor de hele samenleving van belang is. Iedereen krijgt vroeg of laat wel te maken met de mogelijkheden en dilemma's op het terrein van de erfelijkheid: zowel in de gezondheidszorg (bv. de hielprik van pasgeborenen) als in het leven van alledag (bv. de mogelijkheid van voorspellende genetische testen).

## Hoe?

In nauwe interactie met patiënten als ervaringsdeskundigen richten VSOP-beleidsmedewerkers zich op de constructieve beïnvloeding van Nederlandse en Europese partijen op het terrein van gezondheidszorg en onderzoek: overheden, politiek, medische beroepsgroepen, zorgverzekeraars, medisch-wetenschappelijk onderzoekers en industrie. Andere medewerkers werken actief aan kwaliteitsrichtlijnen voor diagnostiek, behandeling, preventie, organisatie van de zorg, en zorgstandaarden.

Op Europees niveau participeert de VSOP in het European Genetic Alliances' Network (EGAN: [www.egan.eu](http://www.egan.eu)) en Rare Diseases Europe (Eurordis: [www.eurordis.org](http://www.eurordis.org)).

## Meer informatie

Voor meer informatie: [www.vsop.nl](http://www.vsop.nl), [vsop@vsop.nl](mailto:vsop@vsop.nl) of 035 – 6034040.

Andere websites die de VSOP beheert zijn: [www.biobanken.org](http://www.biobanken.org); [www.biomedinvo4all.com](http://www.biomedinvo4all.com) en [www.zorgstandaarden.net](http://www.zorgstandaarden.net).

De VSOP heeft in het verleden het Erfocentrum opgericht. Voor meer informatie [www.erfocentrum.nl](http://www.erfocentrum.nl) en [www.erfelijkheid.nl](http://www.erfelijkheid.nl)

- 1) VSOP staat voor: Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties, waarbij 'Ouder' staat voor de ouders van kinderen met een aandoening

## Over de auteur

Cees Smit (1951) studeerde bedrijfseconomie aan de Vrije Universiteit te Amsterdam. Hij heeft ernstige hemofilie en vanuit die achtergrond was hij van 1987 – 1998 coördinator van de Nederlandse Vereniging van Hemofilie-Patiënten (NVHP). Daarna werkte hij bij de Stichting Pandora. Vanaf 1978 is hij verbonden aan het onderzoeksproject 'Hemofilie in Nederland', van de afdeling klinische epidemiologie en hemostase van het Leids Universitair Medisch Centrum (LUMC). Van 2001-2006 was hij bestuurslid van de VSOP, Alliantie voor Erfelijkheidsvraagstukken.

Op dit moment is hij op voordracht van de overheid, maar wel op persoonlijke titel en voor of namens het patiëntenperspectief - lid van de de Gezondheidsraad (GR) en de Advies Commissie Pakket (ACP) van het College voor Zorgverzekeringen (CvZ).

Bij ZonMw is hij voorzitter van de VSBfonds/ZonMW commissie Patiëntenparticipatie in Onderzoek en Beleid, alsmede lid van de Commissies Translatieele Getherapie en Translatieele Stamceltherapie.

Daarnaast is hij voorzitter van de Stichting Informatie Dierproeven (SID) en bestuurslid van de Stichting Week van de Chronisch Zieken.

De afgelopen jaren heeft hij samen met anderen gewerkt aan een viertal boeken over de zorg voor ouderen met een chronische ziekte, waaronder het in 2009 verschenen boek 'Oud worden met hiv'.

In 1996 is hij benoemd tot officier in de Orde van Oranje Nassau.

In 2003 ontving hij een eredoctoraat van het college van decanen van de Universiteit van Amsterdam voor zijn werk op het terrein van hemofilie, patiëntenparticipatie en medische biotechnologie.

Correspondentieadres: [smit.visch@telfort.nl](mailto:smit.visch@telfort.nl)