

## SYNTHESE

# HORIZON SCANNING VOOR FARMACEUTISCHE PRODUCTEN: VOORSTEL VOOR DE BENELUXA SAMENWERKING





## SYNTHESE

# HORIZON SCANNING VOOR FARMACEUTISCHE PRODUCTEN: VOORSTEL VOOR DE BENELUXA SAMENWERKING

ISABELLE LEPAGE-NEFKENS, KARLA DOUW, GERTJAN MANTJES, GIMON DE GRAAF, ROOS LEROY, IRINA CLEEMPUT





## ■ VOORWOORD

Toen we, in de zomer van 2015, samen met het RIZIV, de eerste formele contacten legden met de collega's van Zorginstituut Nederland en het Ministerie VWS om te zoeken naar mogelijke synergiën in ons geneesmiddelenbeleid, werd het meteen duidelijk: op het vlak van de *horizon scanning* stonden de Nederlanders een stuk verder dan wij. Dit is een beleefde manier om te zeggen: wij Belgen stonden quasi nergens!

*Horizon scanning*, kort samengevat, is het vooruitblikken naar wat er in de *pipeline* van de geneesmiddelenproducenten zit, of in de vroege fasen van aanvraag tot marktvergunning bij het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA). De bedoeling is om reeds op voorhand een inschatting te kunnen maken van wat er op ons afkomt en zo nodig ook tijdig een *Health Technology Assessment* (HTA) te plannen en uit te voeren. Met als bijkomend streefdoel om dit laatste ook veel meer in internationaal verband te gaan doen.

Intussen hebben ook Luxemburg en Oostenrijk deze club van vrijwillig samenwerkende landen vervoegd, en de afspraak was dat het KCE het methodologisch proces dieper zou uitspitten en een mogelijke organisatiestructuur voor een gezamenlijke horizon scanning zou uitwerken. Wat zijn de mogelijke voordelen, de kritische succesfactoren, de potentiële barrières, de opportuniteiten om dit over de landsgrenzen heen te gaan doen?

Als het waar is dat “gouverner, c'est prévoir”, dan moet horizon scanning alleszins een vaste plaats krijgen in het beleid. De échte oefening, *the proof of the pudding*, moet echter nog beginnen. Hierbij zal het zaak zijn om ook met de partners van het EMA en de farmaceutische sector tot een voor iedereen werkbare en aanvaardbare modus operandi te komen. En, wie weet, naarmate de ervaring en het vertrouwen groeien, kunnen we misschien, na de *horizon scanning*, samen ook beginnen dromen van een *horizon planning*, toegespitst op de vele nog in te vullen noden op het vlak van de volksgezondheid.

Christian LÉONARD  
Adjunct Algemeen Directeur

Raf MERTENS  
Algemeen Directeur



## ■ KERN BOODSCHAPPEN

- In 2016 kondigden de Belgische, Nederlandse, Luxemburgse en Oostenrijkse overheden aan dat ze wilden samenwerken op het vlak van farmaceutisch beleid (BeNeLuxA Collaboration). Aan het KCE werd gevraagd om een task force te leiden, die de opdracht kreeg om een **Horizon Scanning (HS) methodologie** te ontwikkelen voor farmaceutische producten, alsook een model voor een gezamenlijk **Horizon Scanning systeem** (HSS).
- Wij bevelen de oprichting van een **centrale 'Horizon Scanning eenheid'** aan, die de gezamenlijke HS activiteiten zal uitvoeren. Deze centrale HS-eenheid kan een nieuwe op te richten eenheid zijn, een reeds bestaande HS-eenheid, of een derde partij die wordt gefinancierd door en werkt in opdracht van de betrokken landen. De eenheid zal zich bezighouden met de **identificatie** en **het filteren** van nieuwe en opkomende farmaceutische producten. Ze zal de HS-database onderhouden en updaten, meetings organiseren met bedrijven over wat er in hun pijplijn zit, en de HSS-output communiceren aan de nationale beleidsmakers.
- De HS-eenheid werkt nauw samen met **nationale HS-experten**, aangesteld door elk deelnemend land. Deze experts verzamelen de informatie van elk land in, en fungeren als liaison tussen de centrale HS-eenheid en de nationale klinische en andere experts. Verder coördineren zij de nationale **prioriteringsprocessen** (voor de selectie van de producten voor vroegtijdige evaluaties (*early assessments*)) en communiceren zij de output van het HSS aan de nationale beleidsmakers.
- De **output** van het HSS wordt gepubliceerd onder de vorm van lijsten, met links naar de database met de meest uitgebreide, op dat moment beschikbare informatie.
- De HS-database is enkel **toegankelijk** voor de geregistreerde partijen van de deelnemende landen.
- De oprichting van een HSS vergt medewerkers met specifieke vaardigheden, en faciliteiten en apparatuur voor het verzamelen, beheren, opslaan en beveiligen van gevoelige gegevens.



## ■ SYNTHESE

### INHOUDSTAFEL

■	VOORWOORD.....	1
■	KERNBOODSCHAPPEN.....	2
■	SYNTHESE .....	3
1.	ACHTERGROND, DOELSTELLINGEN EN SCOPE.....	5
2.	VOORSTEL VOOR EEN GEZAMENLIJK HORIZON SCANNING SYSTEEM .....	5
2.1.	DOELSTELLINGEN VAN HET GEZAMENLIJKE HSS.....	5
2.2.	ORGANISATIE VAN EEN GEZAMENLIJK HSS.....	6
2.3.	SCOPE VAN HET HSS .....	6
2.4.	HET HS-PROCES .....	6
2.5.	TIJDSHORIZON EN OUTPUT .....	7
2.6.	INHOUD EN BRONNEN DATABASE.....	8
	2.6.1. Actieve scanning .....	8
	2.6.2. Hoofddatabase .....	8
	2.6.3. Pipelinemeetings .....	9
2.7.	FILTERING .....	10
2.8.	PRIORITERING.....	10
2.9.	ONTWIKKELING VAN HET SAMENWERKINGSSYSTEEM .....	11
	2.9.1. Investering bij de opstart.....	11
	2.9.2. Jaarlijkse kost.....	12
2.10.	SAMENVATTING VAN HET GEZAMENLIJKE HSS .....	12
■	AANBEVELINGEN .....	13



## LIJST VAN AFKORTINGEN

<b>Afkorting</b>	<b>Definitie</b>
AHRQ	The Agency for Healthcare Research and Quality (Québec)
MA	Vergunning voor het in de handel brengen
EMA	Europees geneesmiddelenbureau, <i>European Medicines Agency</i>
FDA	Food and Drug Administration (USA)
HS	Horizon scanning
HSS	Horizon Scanning systeem
HTA	Health Technology Assessment
KCE	Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg
NICE	The National Institute for Health and Care Excellence (UK)
NIHR HSRIC	National Institute for Health Research Horizon Scanning Research & Intelligence Centre, UK
RIZIV	Rijksinstituut voor Ziekte- en Invaliditeitsverzekering
UKmi	UK Medicines information





## 1. ACHTERGROND, DOELSTELLINGEN EN SCOPE

In 2016 kondigden de Belgische, Nederlandse, Luxemburgse en Oostenrijkse regeringen aan dat ze wilden samenwerken op het vlak van farmaceutisch beleid, en meer specifiek op het vlak van horizon scanning (HS), Health Technology Assessment (HTA), uitwisseling van informatie over farmaceutisch beleid, en prijszetting en terugbetaling. Deze samenwerking staat bekend onder de naam “BeNeLuxA Collaboration” of “BeNeLuxA-samenwerking”. De bedoeling is om dubbel werk te vermijden door taken te verdelen en data uit te wisselen.

Een task force kreeg de opdracht om een **Horizon Scanning (HS) methodologie** voor farmaceutische producten en een model voor een gezamenlijk **horizon scanning systeem** (HSS) te ontwikkelen. Aan het KCE werd gevraagd om deze task force te leiden.

De scope van deze studie, die deel uitmaakt van onze opdracht, is **beperkt tot horizon scanning voor farmaceutische producten**.

## 2. VOORSTEL VOOR EEN GEZAMENLIJK HORIZON SCANNING SYSTEEM

Voor de ontwikkeling van het model voor een gezamenlijk HSS maakten we een internationale vergelijking van acht horizon scanning systemen. Daarnaast baseerden we ons op de input van verschillende stakeholders (vertegenwoordigers van de ministers van volksgezondheid van de deelnemende landen, en nationale HS-experten) over hun behoeften en doelstellingen m.b.t. het HSS. Horizon scanning systemen kunnen immers van elkaar verschillen op gebied van doelstellingen, tijdshorizonten en klanten of gebruikers. Afhankelijk van deze verschillen worden er andere methodologische keuzes gemaakt voor de identificatie, het filteren en prioriteren van nieuwe of opkomende producten.

### 2.1. Doelstellingen van het gezamenlijke HSS

Het HSS moet de deelnemende landen toelaten om hun lokale beslissingen te nemen op basis van gezamenlijk ingewonnen informatie. Daarnaast moet het de landen toelaten om thema's te identificeren waarrond ze kunnen samenwerken.

De BeNeLuxA-samenwerking heeft daarom een HSS nodig dat voldoet aan een brede waaier van doelstellingen, die relevant zijn voor de uiteenlopende beleidsvormingsprocessen in de verschillende landen:

- beleidsmakers informeren over opkomende en nieuwe geneesmiddelen, voor terugbetalingsbeslissingen en voor beleidsontwikkeling;
- beleidsmakers informeren over kwesties die relevant zijn voor het verantwoord op de markt brengen (managed introduction) en de monitoring van geneesmiddelen;
- het inschatten van de budgetimpact en het opmaken van een budgetplan vergemakkelijken;
- de selectie mogelijk maken van farmaceutische producten voor (een internationale samenwerking rond) vroege dialogen ('early dialogues') met de industrie, prijsonderhandelingen, HTA's en registers;
- het plannen van gezondheidsdiensten.



## 2.2. Organisatie van een gezamenlijk HSS

In het buitenland zijn er verschillende types van organisaties die aan HS doen: academische instellingen (Engeland), onafhankelijke onderzoeksinstellingen (VS, Wales en Schotland), (lokale) gezondheidsautoriteiten (Italië en het VK), en overheidsinstanties (Nederland, Zweden). Klanten zijn nationale of regionale gezondheidsautoriteiten (Nederland, Zweden en Wales), HTA-agentschappen (Engeland, de VS en Italië), en zorgverstrekkers of -managers (het VK en Schotland).

Voor de BeNeLuxA-samenwerking stellen we de oprichting voor van een **centrale "HS-eenheid"**, om de gezamenlijke HS-activiteiten uit te voeren. Dit kan een nieuw op te richten eenheid zijn binnen een bestaand agentschap in één van de landen van de samenwerking, of een bestaande HS-eenheid, waarvan de HS-activiteiten worden uitgebreid, of een derde partij, aangesteld en gefinancierd door de samenwerkende landen.

Deze HS-eenheid moet een opdracht krijgen voor een voldoende lange periode (bv. minstens 5 jaar), om de continuïteit van het systeem en de opgebouwde expertise te vrijwaren.

## 2.3. Scope van het HSS

De vier landen waren akkoord over de volgende scope voor gezamenlijke HSS: "**farmaceutische producten voor patiënten binnen en buiten het ziekenhuis die een grote financiële, klinische en/of organisatorische impact op het gezondheidssysteem kunnen hebben**". Maken ook deel uit van de scope: de eerste biosimilaire versie van een biologisch product en cel- en/of genterapieën die een vergunning als geneesmiddel zullen krijgen van het Europees geneesmiddelenbureau (EMA).

Profylactische vaccins, generische geneesmiddelen en medische hulpmiddelen vallen voorlopig buiten de scope.

## 2.4. Het HS-proces

De voornaamste activiteiten van een HSS zijn:

- de **identificatie** van nieuwe en opkomende farmaceutische producten die binnen een vooraf bepaalde tijdshorizon op de markt kunnen komen;
- de **filtering** van de geïdentificeerde producten op basis van de scope en de tijdshorizon van het HSS;
- de **prioritering** van de gefilterde producten voor vroegtijdige evaluatie;
- de **vroegtijdige evaluatie** van de geprioriteerde producten of productgroepen op basis van beschikbare data of voorspellingen.

Het gezamenlijke HS-proces en zijn output worden grafisch weergegeven in Afbeelding 1. We stellen daarbij voor om de identificatie en de filtering op internationaal niveau (binnen de samenwerking) en de prioritering op nationaal niveau uit te voeren.

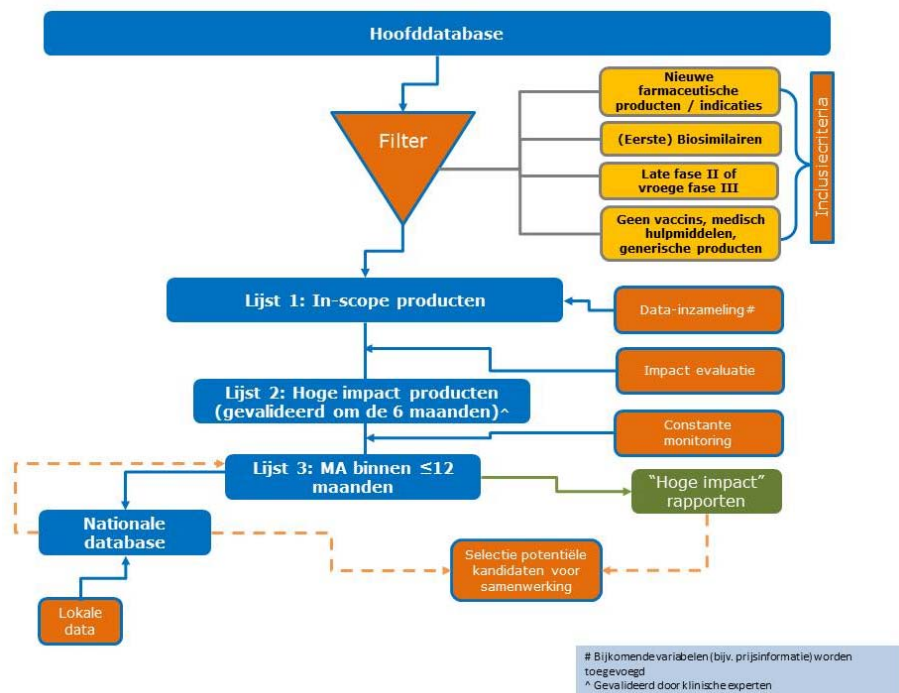
Het resultaat van het gezamenlijke **identificatie**proces is de "hoofddatabase". Deze bevat alle nieuwe of opkomende geneesmiddelen die binnen de vooraf bepaalde tijdshorizon op de markt zouden kunnen komen. In plaats van in maanden, wordt de tijdshorizon eerder uitgedrukt in termen van de ontwikkelingsfase van het product (bv. late fase II).

In de **filteringsfase** worden enkel de producten binnen de scope van het HSS uit de hoofddatabase geselecteerd voor verdere opvolging. Hierdoor verkleint het aantal producten waarover diepgaande informatie moet worden ingezameld. Telkens wanneer er nieuwe informatie over de producten opduikt, stellen wij een nieuwe filteringsronde voor (zie ook sectie 2.7). Uiteindelijk leveren deze filteringsrondes een set van lijsten op, met producten die ver (lijst 1) of minder ver (lijst 3) verwijderd zijn van een verwachte vergunning voor het op de markt brengen van het product (MA).

In de **prioriteringsfase** wordt de relatieve urgentie voor elk product in de gefilterde database nagegaan. Omdat deze urgentie landspecifiek kan zijn, kan hiervoor bijkomende nationale informatie nodig zijn. Het resultaat van de nationale prioritering is relevant voor de selectie van producten waarrond internationaal kan worden samengewerkt. De uitwisseling van de prioriteringsresultaten tussen de betrokken landen is dan ook wenselijk.



Afbeelding 1 – Voorgestelde methodologie voor een gezamenlijk HSS



Gebaseerd op een informeel gedeeld standpunt over een mogelijke internationale HS-database van het Bureau Financiële Arrangements Geneesmiddelen, Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport, Nederland. MA: vergunning voor het op de markt brengen van een farmaceutisch product

## 2.5. Tijdshorizon en output

Bij HS is er een afweging tussen vroege informatie, die meer onzeker is, en latere informatie, die dat minder is. Hoe langer de tijd vóór MA, hoe hoger de onzekerheid over de producten. De doelstelling van het HSS en de context van het gezondheidssysteem zijn bepalend voor de meest geschikte tijdshorizon voor het HSS.

Om tegemoet te komen aan de verschillende doelstellingen en bijhorende tijdshorizonten voor de vier landen, voorziet het systeem **drie lijsten**:

- **LIJST 1:** Een lijst met producten op het einde van fase II *OF* in vroege fase III *OF* met de status van weesgeneesmiddel *OF* die via andere kanalen de fast track status hebben aangevraagd of verkregen (bv. voorwaardelijke MA<sup>a</sup>). Weesgeneesmiddelen- of geneesmiddelen met fast track status zullen al in fase I worden geïdentificeerd. De lijst bevat een korte beschrijving van het product, zoals de naam van de molecule, de fabrikant en de doelindicatie(s).
- **LIJST 2:** Een lijst met producten op het einde van fase III, met een verwachte hoge financiële, klinische of organisatorische impact op het gezondheidszorgsysteem.
- **LIJST 3:** Een lijst met farmaceutische producten waarvan men verwacht dat ze een grote impact kunnen hebben, in de laatste ontwikkelingsfase, zijnde 12 maanden voor MA-aanvraag; fase III studies zijn afgerond. De volgende fases en de EMA/FDA-status van deze producten worden opgevolgd tot hun goed-of afkeuring.

<sup>a</sup> Voorwaardelijke vergunning voor het op de markt brengen verwijst naar de goedkeuring van een geneesmiddel dat tegemoetkomt aan onbeantwoorde medische noden van patiënten op basis van minder uitgebreide data dan

normaal vereist. De beschikbare data moeten aantonen dat de voordelen van het geneesmiddel zwaarder wegen dan de risico's, en de aanvrager moet de meer uitgebreide klinische data in de toekomst kunnen aanleveren.



**Lijst 1** geeft de gebruiker een idee van de toekomst en kan de beleidsmakers helpen om producten te identificeren voor een vroege dialoog met de producent of beleidsontwikkeling (een vroege dialoog moet plaatsvinden vóór fase III of de gecombineerde fase II/III trials, zodat de producenten rekening kunnen houden met de opmerkingen). Dit is vooral van belang voor landen met een negatieve terugbetalingslijst<sup>b</sup>, zoals de VK en Oostenrijk, omdat zij graag beschikken over een gefinaliseerde HTA als het product op de markt komt.

**Lijst 2** kan nuttig zijn voor nationale budgetplanning. De lijst bevat producten die potentieel belangrijk zijn, maar die nog niet te dicht bij een MA zitten, zodat men zich nog kan voorbereiden op de mogelijke komst van het product. In de VS gebruikt het *Agency for Healthcare Research and Quality* (AHRQ) voor de identificatie van nieuwe of opkomende producten daarom een tijdshorizon van 24 tot 36 maanden vóór MA.

Met behulp van **Lijst 3** kunnen landen prioriteiten bepalen voor vroegtijdige evaluatie en mogelijke samenwerkingen rond HTA, registers en/of prijsonderhandelingen verkennen.

De drie lijsten vormen de output van het HSS. Lijsten 1 en 2 kunnen jaarlijks, en Lijst 3 tweemaal per jaar, aan de gebruikers worden overgemaakt. Het gewenste formaat van de lijsten kan, afhankelijk van de wens van de gebruiker, enkel een database zijn, of een aangepast rapport op basis van de database. Zo maakt het Nederlandse systeem een database aan met informatie over de producten, met daarbij een advies (van één zin) of een product al dan niet in aanmerking komt voor prijsonderhandelingen. De Zweedse, Amerikaanse, Italiaanse en VK-systemen maken dan weer op vaste tijdstippen (vier-, twee- of éénmaal per jaar) vroegtijdige evaluatierapporten op.

In het wetenschappelijke rapport wordt uitgebreid beschreven welke informatie kan worden verkregen uit de respectievelijke lijsten en welke bronnen daarvoor kunnen worden gebruikt. We verwijzen de geïnteresseerde lezer door naar Sectie 5.8.

<sup>b</sup> Gezondheidssystemen met een negatieve terugbetalingslijst kennen standaard een tegemoetkoming toe zodra het product wordt goedgekeurd door het Europees geneesmiddelenbureau (EMA) of door de nationale

## 2.6. Inhoud en bronnen database

### 2.6.1. Actieve scanning

Voor de BeNeLuxA-samenwerking stellen we een actieve scanning voor: dit houdt in dat de HS-eenheid zelf actief informatiebronnen voor de identificatie van producten scant, in plaats van de output van een ander HSS te gebruiken. Deze actieve aanpak garandeert dat de scanning aansluit bij de scope en tijdshorizon van het gezamenlijke HSS. Deze scanning kan wekelijks of maandelijks plaatsvinden. De bijlage bij het wetenschappelijke rapport bevat een lijst van mogelijke bronnen.

### 2.6.2. Hoofddatabase

Eerst en vooral moeten alle maatregelen worden genomen om de hoofddatabase, met informatie over de geïdentificeerde producten, **optimaal te beschermen**.

Een semi-geautomatiseerde zoekfunctie zou de identificatie en het data-inzamelingsproces van nieuwe geneesmiddelen gevoelig kunnen verbeteren, versnellen en vereenvoudigen. Daarom moet de samenwerking de mogelijkheden voor de **automatisering van data-inzameling** verkennen. Dit kan de input van menselijke expertise echter niet vervangen. Een input van bedrijven en klinische experts kunnen het filteringsproces nog verbeteren (cf. infra). In deze context moet worden onderzocht of en onder welke omstandigheden **de door EMA ingezamelde data vóór de aanvraag voor MA** (vandaag niet toegankelijk voor niet-regelgevende organisaties) kunnen worden gedeeld met de HS-eenheid.

Na verloop van tijd moet de database evolueren naar een **real-time** database. Dit betekent dat de deelnemende landen op de hoogte worden gebracht van elke update van de database, na validatie door het analyseteam.

regelgevende instantie. De producten kunnen uit het tegemoetkomingsspakket worden gehaald, maar enkel na een politieke evaluatieprocedure op basis van een HTA.



De **toegang** tot de volledige database zou beperkt zijn tot de aangestelde HS-experten van elk land (in België kunnen dit experts van het RIZIV en/of benoemd door de minister van Volksgezondheid zijn). Door enkel toegang te verlenen aan wie het systeem financiert, wordt de duurzaamheid van het HSS verhoogd, en worden ongepaste interpretaties of verwachtingen door buitenstaanders vermeden.

Naast deze beperkte toegankelijkheid kan wel een gebruiksvriendelijke verspreiding van bepaalde resultaten onder specifieke doelgroepen (bv. clinici) overwogen worden. Het formaat en de frequentie van dergelijke **output** hangt af van de output timing (hoe lang vóór MA) en van de noden van de gebruiker. Hoe korter bij MA, hoe meer informatie er beschikbaar is en hoe diepgaander de evaluatie kan zijn. We raden aan om eerst de behoefte aan dergelijke evaluaties na te gaan en om verschillende modellen te toetsen (bv. “infoblad” van 1 tot 2 pagina’s, binnen de 24-48u) van “kort” (4-6 pagina’s, kan 0.5 tot 2 weken in beslag nemen) tot “diepgaand” (tot 40 pagina’s, kan 4-6 maanden in beslag nemen) vooraleer over te gaan tot een systematische productie.

### 2.6.3. Pipelinemeetings

De HS-eenheid kan jaarlijks face-to-face pipelinemeetings organiseren om input in te zamelen voor de HS-database, net zoals bij het Engelse en Zweedse HSS. N.a.v. deze vergaderingen wordt bedrijven gevraagd om proactief een lijst van opkomende producten te delen, informatie te verstrekken over geschatte lanceringsdata en prijsmarges en om de producten aan te duiden die niet meer relevant zijn, bv. omdat het onderzoek werd stopgezet. Andere informatie, zoals doelpubliek, indicaties of

mogelijke uitbreiding van indicaties, klinische studieresultaten, enz. van andere bronnen, kan ook worden afgetoetst bij de bedrijven en vergeleken met de informatie die werd bezorgd aan de financiële analisten.

Deze communicatie met de bedrijven kan voor het HSS enkel doeltreffend en relevant zijn als de bedrijven zich echt engageren. Hen ertoe verplichten is niet de beste manier om het doel van deze pipelinemeetings te bereiken. Een voorbeeld is de UK PharmaScan. Dit is een beveiligde centrale database die wordt georganiseerd en beheerd door NICE. Ze bevat informatie over alle producten die in de VK zullen worden gelanceerd. In een ideale wereld zouden alle farmaceutische bedrijven UK PharmaScan up-to-date houden, maar in werkelijkheid moeten de bedrijven daartoe vaak aangezet worden. Ondanks deze inspanningen worden de data nog altijd niet als actueel en volledig beschouwd.<sup>c</sup>

In het kader van deze studie voerden we een Belgische haalbaarheidsstudie uit. Van de zes bedrijven die werden uitgenodigd voor een vergadering om informatie uit te wisselen rond specifieke producten in hun pijplijn, namen er slechts drie deel. De drie deelnemende bedrijven leverden nuttige informatie over o.a. hun ontwikkelingsprioriteiten, het stopzetten van producten, de plaats van hun producten binnen de therapie, de verwachte EMA-aanvraag en de resultaten van ongepubliceerde trials, maar ze konden geen landspecifieke prijzen doorgeven<sup>d</sup>.

De Belgische Algemene Vereniging van de Geneesmiddelenindustrie, Pharma.be, heeft zich bereid verklaard om mee te werken aan een gemeenschappelijke HS-inspanning, onder bepaalde voorwaarden.<sup>e</sup> Deze moeten verder worden besproken op Europees niveau.

<sup>c</sup> Scottish Medicines Consortium. Guidance on Horizon Scanning Process. July 2015. Verkregen via [https://www.scottishmedicines.org.uk/About\\_SMC/What\\_we\\_do/Horizon\\_Scanning/Guidance\\_on\\_Horizon\\_Scanning\\_\(1\\_februari\\_2017\)](https://www.scottishmedicines.org.uk/About_SMC/What_we_do/Horizon_Scanning/Guidance_on_Horizon_Scanning_(1_februari_2017))

<sup>d</sup> Voor prijzen moeten in dit geval alternatieve bronnen worden gebruikt, zoals websites van investeerders of prijzen van vergelijkende instanties.

<sup>e</sup> Eerst en vooral wil Pharma.be dat informatie van bedrijven die niet publiek beschikbaar is, vertrouwelijk blijft (tenzij de informatie voorkomt in financiële analyserapporten). Ten tweede ondersteunt Pharma.be het principe niet dat

deelname aan het HSS een voorwaarde voor tegemoetkoming wordt, of dat impliciete beslissingen omtrent tegemoetkoming worden gemaakt voordat een tegemoetkomingsaanvraag wordt ingediend bij de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen. Dit is het geval in Engeland, waar opname in de UK PharmaScan database een voorwaarde is voor tegemoetkoming. Het HSS wordt gebruikt om geneesmiddelen te selecteren voor diepgaander HTA door NICE. Ten derde, verklaart Pharma.be dat het HSS niet mag leiden tot een afzonderlijk budget voor nieuwe geneesmiddelen. Ten vierde beklemtonen ze dat alle bedrijven de kans moeten krijgen om deel te nemen.



Zo moet worden nagegaan of de *European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations* (EFPIA) en de *European Biotechnology Enterprises* (EBE) het standpunt van Pharma.be delen.

## 2.7. Filtering

Voor het filteringsproces wordt aangeraden expliciete criteria te gebruiken, gebaseerd op de scope van het HSS. Een set van mogelijke vragen die kan helpen in deze fase (om te bepalen of een geïdentificeerd product past binnen de scope van het HSS en dus moet worden opgenomen in Lijst 1) bevindt zich in het wetenschappelijke rapport. De filtering kan intern gebeuren door de HS-eenheid, of kan worden voorgelegd aan externe experts, zoals in het Nederlandse en Amerikaanse HSS.

Wanneer producten van Lijst 1 in late Fase II zitten (of fase I voor weesgeneesmiddelen) of vroege Fase III, wordt nagegaan of ze een belangrijke financiële, organisatorische en/of klinische impact kunnen hebben. Dit gebeurt op basis van de inzameling van bijkomende (minimale) data. Dit is de tweede fase van de filtering. Om bv. in het Nederlandse systeem te worden gefilterd, moeten producten de expliciete drempel voor één van de vooraf gedefinieerde kostenparameters overschrijden (geschatte jaarlijkse macro kost, kost per patiënt per jaar, volumerisico en potentiële besparingen).

Bij een geschatte hoge potentiële impact, wordt een product geselecteerd voor Lijst 2. Ten slotte, om te worden opgenomen in Lijst 3, de derde filteringsstap, zijn de expliciete criteria 'fase III gefinaliseerd' en '≤12 maanden voor MA-aanvraag'.

## 2.8. Prioritering

Na de filtering moeten de overblijvende producten worden geprioriteerd voor evaluatie. Dit gebeurt op nationaal niveau. Elk land moet een systematische aanpak ontwikkelen, om de output van het HSS te gebruiken voor zijn beleidscyclus of onderzoeksagenda. Het kan starten op basis van Lijst 2 of Lijst 3, afhankelijk van de doelstelling van de beleidsmakers. Sommige producten die werden geselecteerd door de centrale HS-eenheid kunnen toch nog uitgefilterd worden op nationaal niveau, als ze de doelstelling van het land niet dienen.

### Nationale data-inzameling

De meeste informatie om een landspecifiek prioriteringsproces uit te voeren, zal al opgenomen zijn in de gemeenschappelijke HSS-database, maar nationale prioritering kan ook landspecifieke informatie vereisen (bv. over de nationale incidentie en prevalentie, het verwachte aantal te behandelen patiënten, bestaande guidelines en huidige zorgstandaard, kosten, onbeantwoorde medische en maatschappelijke noden, impact op de huidige zorg- en gezondheidsdiensten). Nationale klinische en andere **experten** (gezondheidssysteemspecialisten, HTA-experten, ziekenhuismanagers, ziekteverzekeraars en patiëntenverenigingen) moeten bij dit proces worden betrokken. Dit zorgt voor transparantie, creëert een draagvlak voor de daaropvolgende beslissingen en helpt informatie in te winnen vanuit verschillende perspectieven. Het mogelijke nadeel is het tijdrovende aspect en de kost. Onze Belgische haalbaarheidsstudie toonde aan dat het niet gemakkelijk was om klinische experts te betrekken. Zodra ze zich echter hadden geëngageerd, verstrekten ze nuttige informatie over de context van de innoverende behandeling (bv. huidige zorgstandaard, de medische nood bij (specifieke) patiëntgroepen en de inschatting van het volume aan patiënten bij elke behandelingslijn) en over de positie van het product binnen de behandeling (bv. gepaste doelpatiëntpopulatie, eerste, tweede of derde lijn, vervanging van (een) ander(e) product(en)). De inbreng van de experts kan gebeuren via geschreven formulieren en/of vergaderingen.

Ook de inbreng van een **investeerder** moet in deze fase worden overwogen. Sommige websites van investeerders of commerciële nieuwssites bevatten data over kosten zonder referenties. In dat geval kan een investeerder helpen bij de evaluatie van de reputatie van een website.



Hoewel het prioriteringsproces zelf niet gezamenlijke gebeurt, is het interessant om **de landspecifieke informatie en prioriteiten te delen** met de centrale HS-eenheid, zodat een verdere samenwerking stroomafwaarts in het HS-proces gemakkelijker wordt.

### Prioriteringsproces

Prioriteringsprocessen kunnen expliciete kwantitatieve processen zijn of processen gebaseerd op consensus of iets ertussenin. Een set van **expliciete prioriteringscriteria** verhoogt de transparantie en consistentie van het prioriteringsproces.

De impact op de gezondheidszorguitgaven en op de organisatie van de gezondheidszorg (bv. gebruik, infrastructuur, systeem van zorgverstrekking) zijn de voornaamste expliciete prioriteringscriteria die worden gebruikt in de huidige systemen. Andere expliciete criteria zijn gezondheidsvoordelen, innovatie, patiëntvolume en impact op toegankelijkheid. Naast expliciete kunnen ook impliciete prioriteringscriteria een rol spelen, zoals beleidsprioriteiten en advies van medische verenigingen en klinische experts. De deelnemende landen kunnen gelijkaardige prioriteringscriteria gebruiken, maar het respectievelijke gewicht van deze criteria zal afhangen van de context, voorkeuren en doel van de beleidsmakers.

Meer details over het prioriteringsproces vindt u in het wetenschappelijke rapport, deel 5.11.

## 2.9. Ontwikkeling van het gezamenlijke systeem

### 2.9.1. Investering bij de opstart

De initiële investering is afhankelijk van hoe het systeem wordt opgevat: als een nieuwe HS-eenheid, als een samenwerking met een bestaand HS-initiatief met ervaring of met een derde partij.

Voor de opzet van een nieuwe eenheid is er een initiële investering nodig voor de opleiding van de medewerkers in het HS-proces, de methodologie en communicatievaardigheden. Als er in één van de deelnemende landen een nieuwe HS-eenheid wordt opgestart, moet deze eenheid nauwe banden onderhouden met de relevante besluitvormende instellingen in de andere landen van de samenwerking. Daarom moet in elk van deze instellingen een HS-vertegenwoordiger worden aangesteld.

Er zijn middelen nodig voor de ontwikkeling van de database en de web-based interface. Zoals vermeld hierboven, moeten de functionaliteiten om het proces zo efficiënt mogelijk te maken worden verkend, maar moet ook de dataveiligheid worden gegarandeerd. Het kan tot 6 maanden duren om een nieuwe database te creëren. Bij een samenwerking met een bestaand initiatief zal dit minder tijd in beslag nemen. Er kan ook een database aangekocht worden bij AHRQ, NIHR HSRIC of UKmi of bij het Ludwig Boltzmann Institute (uitsluitend oncologische producten), maar een bijkomende ontwikkeling blijft nodig om ze aan te passen aan de noden van de BeNeLuxA-samenwerking.

Verder moeten er contacten worden gelegd met de farmaceutische bedrijven en medische verenigingen op nationaal niveau, om hun rol in het proces toe te lichten en productieve relaties uit te bouwen. Deze inspanning mag niet worden onderschat: het is tijdrovend, maar belangrijk om de juiste informatie in te winnen.



Het voorgestelde HSS kan worden opgestart in een pilootfase, om de verschillende soorten output, gegevensbronnen en stakeholder input-procedures te testen, en om praktische outputformaten te ontwikkelen. De duur ervan wordt geschat op 1.5 jaar (of minstens twee “Lijst 2” cycli). Tijdens deze fase kan worden nagegaan of de betrokkenheid van een financiële analist een toegevoegde waarde vormt voor de validering van de (kosten)data of voor de ontwikkeling van nieuwe methoden voor kost- en budgetschattingen.

### 2.9.2. Jaarlijkse kost

De jaarlijkse kost van het HSS zal afhangen van de omvang van de HS-activiteiten. Voor een compleet systeem, dat alle gezondheidstechnologietypes, en niet enkel geneesmiddelen, dekt, zullen ongeveer 10 voltijdse equivalenten met diverse competenties nodig zijn. Een systeem met beperkte scope, zoals het systeem in dit rapport, kan het met minder doen. De HS-eenheid vereist de diensten van:

- een medisch bibliothecaris
- HS-analisten met ervaring in HTA en/of gezondheidseconomie of een farmaco-economische achtergrond
- een farmacoloog
- een HS-analist met medische achtergrond (arts)
- een data manager
- een communicatiespecialist (voor de aanmaak van “high impact rapporten”)
- een ICT-specialist
- een manager of coördinator

Er is ook een jaarbudget nodig voor abonnementen, huur en faciliteiten. Voor de outsourcing naar een derde partij met winstoogmerk kan ook nog een premie moeten worden betaald, die bovenop de kosten komt.

## 2.10. Samenvatting van het gezamenlijke HSS

De kenmerken van het voorgestelde HSS worden vermeld in Afbeelding 2.

### Afbeelding 2 – Kenmerken van het gezamenlijke HSS

<b>Identificatie</b>	Internationale samenwerking	Ja	Nee
	Actieve scanning	Actief	Passief
	Input bedrijven	Ja	Nee
	Input experts	Ja	Nee
<b>Filtering</b>	Internationale samenwerking	Ja	Nee
	Criteria	Expliciet	Impliciet
	Input bedrijven	Ja	Nee
	Input stakeholders	Ja	Nee
<b>Verspreiding</b>	Vroegtijdige evaluatie	Ja	Nee
	Publieke beschikbaarheid	Ja	Nee

Het voorstel suggereert om samen te werken voor de identificatie en filtering. Een centrale HS-eenheid zou de HS-taken kunnen uitvoeren voor de samenwerking, met inbegrip van het onderhoud en de update van de HS-database, de organisatie van de pipelinemeetings en de ondersteuning van de nationale HS-experten. De output van het HSS bestaat uit drie lijsten, met links naar de meest uitgebreide informatie die op dat moment beschikbaar is. De toegang tot de database is beperkt tot de geregistreerde partijen binnen de deelnemende landen.

Het huidige voorstel beschrijft een eerder uitgebreid systeem, dat moet worden nagestreefd op lange termijn. Op korte termijn worden suggesties gedaan over de opstart van een operationeel HSS dat al vrij veel behoeften invult. Als op langere termijn meer landen willen instappen of de output van het HSS gebruiken, kan de scope verbreed worden. Om zo relevant mogelijk te zijn, moet het HS-proces flexibel toegepast kunnen worden, waarbij rekening wordt gehouden met de specifieke noden van de klanten. Daarom zijn een continue communicatie met de deelnemende landen en een regelmatige evaluatie van het HSS van groot belang.





## ■ AANBEVELINGEN

### *Voor de BeNeLuxA-samenwerking*

- Een centrale horizon scanning eenheid oprichten om de horizon scanning activiteiten voor de samenwerking uit te voeren. Dit kan een nieuwe op te richten eenheid zijn binnen een bestaand agentschap in één van de landen van de samenwerking, de uitbreiding van de HS-activiteiten van een bestaande HS-eenheid of een derde partij.
- De middelen voorzien om de activiteiten van de horizon scanning eenheid te ondersteunen.
- De voorgestelde methodologie aan een piloottest onderwerpen.
- Een evaluatiekader ontwikkelen voor het gezamenlijke horizon scanning systeem.
- Het horizon scanning systeem evalueren en aanpassingen doorvoeren waar nodig.

### *Voor de nationale beleidsmakers*

- De integratie van horizon scanning in de nationale besluitvorming ondersteunen.
- Een nationale horizon scanning expert aanstellen die optreedt als centraal aanspreekpunt in het land voor alles wat met horizon scanning te maken heeft en die instaat voor de coördinatie van het nationale prioriteringsproces en het overleg met de centrale horizon scanning eenheid.



## COLOFON

Titel:	Horizon scanning voor farmaceutische producten: voorstel voor de BeNeLuxA samenwerking – Synthese
Auteurs:	Isabelle Lepage-Nefkens (Panaxea), Karla Douw (University of Southern Denmark), Gertjan Mantjes (Panaxea), Gimón de Graaf (Panaxea), Roos Leroy (KCE), Irina Cleemput (KCE)
Project coordinator:	Sabine Stordeur (KCE)
Senior supervisor:	Irina Cleemput (KCE)
Redactie synthese:	Gudrun Briat (KCE); Karin Rondia (KCE)
Reviewers:	Frank Hulstaert (KCE), Raf Mertens (KCE), Lorena San Miguel (KCE)
Stakeholders:	Francis Arickx (RIZIV – INAMI, België), Anna Bergkvist (Region Skåne, Swedish Association of Local Authorities and Regions), Frederic Clais (Eli Lilly België), Helen Davis (UK Medicines information), Marie Harte (NIHR HSRIC, UK), Diane Kleinermans (Kabinet Minister van Volksgezondheid, België) Eveline Klein Lankhorst (Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport, Nederland), Joan McEntee (UK Medicines information), Luan Linden-Phillips (NIHR HSRIC, UK), Alain Maertens de Noordhout (BVN, België), Saimma Majothi (NIHR HSRIC, UK), Kathryn Miles (NIHR HSRIC, UK), Myriam Nechelput (NV Roche SA, België), Vincent Rest (Ministry of Health, Oostenrijk), Marc Schmit (Ministry of Health, Groothertogdom Luxemburg), Sue Simpson (NIHR HSRIC, UK), Walter van Dyck (Vlerick Business School, België), Herman Van Eeckhout (Pharma.be, België), Linda Van Saase (ZorgInstituut Nederland, Nederland), Fanny Verspeelt (Eli Lilly België), Anouk Waeytens (RIZIV – INAMI, België), Rene Westhovens (KBVR, België), Claudia Wild (Ludwig Boltzmann Institute Health Technology Assessment, Oostenrijk), Lieve Wollaert (AstraZeneca, België)
Externe validatoren:	Roberta Joppi (Mario Negri Laboratory of Drug Regulatory Policies, Italië), Marianne Klemp (Norwegian Knowledge Centre for the Health Services, Noorwegen), Claire Packer (Institute of Applied Health Research University of Birmingham, UK)
Acknowledgements:	Janne Mewes (Panaxea)
Andere gemelde belangen:	Lidmaatschap van een belangengroep op wie de resultaten van dit rapport een impact kunnen hebben: Marianne Klemp (EUnetHTA); Myriam Nechelput (employee by a pharmaceutical firm, i.e. Roche) Deelname aan een experiment of wetenschappelijke studie in de hoedanigheid van opdrachtgever, hoofdonderzoeker ('principal investigator') of onderzoeker: Claire Packer (UK NIHR Funder Horizon Scanning project) Consultancy of tewerkstelling voor een bedrijf, vereniging of organisatie die financieel kan winnen of verliezen door de resultaten van dit rapport: Myriam Nechelput (Employee by Roche)



Voorzitterschap of verantwoordelijke functie in een instelling, vereniging, afdeling of andere entiteit waarop de resultaten van dit rapport een impact kunnen hebben: Roberta Joppi (EuroScan International Network), Myriam Nechelpot (Market Access Director at Roche)

Layout:

Smals, Joyce Grijseels

**Disclaimer:**

- **De externe experts werden geraadpleegd over een (preliminaire) versie van het wetenschappelijke rapport. Hun opmerkingen werden tijdens vergaderingen besproken. Zij zijn geen coauteur van het wetenschappelijke rapport en gingen niet noodzakelijk akkoord met de inhoud ervan.**
- **Vervolgens werd een (finale) versie aan de validatoren voorgelegd. De validatie van het rapport volgt uit een consensus of een meerderheidsstem tussen de validatoren. Zij zijn geen coauteur van het wetenschappelijke rapport en gingen niet noodzakelijk alle drie akkoord met de inhoud ervan.**
- **Tot slot werd dit rapport unaniem goedgekeurd door de Raad van Bestuur (zie <http://kce.fgov.be/nl/content/de-raad-van-bestuur>).**
- **Alleen het KCE is verantwoordelijk voor de eventuele resterende vergissingen of onvolledigheden alsook voor de aanbevelingen aan de overheid.**

Publicatiedatum:

20 april 2017

Domein:

Health Services Research (HSR)

MeSH:

Awareness\*; Europe; Information Dissemination\*; International Cooperation; Technology Assessment, Biomedical\*; Costs and Cost Analysis; Health Policy; Policy Making/trends; Program Development; Economics, Pharmaceutical

NLM Classificatie:

QV 736

Taal:

English

Formaat:

Adobe® PDF™ (A4)

Wettelijk depot:

D/2017/10.273/12

ISSN:

2466-6459

Copyright:

De KCE-rapporten worden gepubliceerd onder de Licentie Creative Commons « by/nc/nd »  
<http://kce.fgov.be/nl/content/de-copyrights-van-de-kce-publicaties>





Hoe refereren naar dit document?

Lepage-Nefkens I, Douw K, Mantjes G, De Graaf G, Leroy R, Cleemput I. Horizon scanning voor farmaceutische producten: voorstel voor de BeNeLuxA samenwerking – Synthese. Health Services Research (HSR) Brussel: Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg (KCE). 2017. KCE Reports 283As.D/2017/10.273/12.

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