



# VERSLAG WORK PACKAGE 5

## AANBEVELINGEN

## PATIËNTENKLANKBORD

|                                               |                                                                                                                                                                                    |
|-----------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Leidende partner van de Work Package</b>   | <b>VSOP</b>                                                                                                                                                                        |
| <b>WP nr. en titel</b>                        | WP5 Patiëntenbetrokkenheid en publieke bewustmaking                                                                                                                                |
| <b>Activiteitnr. en titel</b>                 | 5.1 Geconsolideerd zorgbeleid<br>5.2 Patiëntenbetrokkenheid bij medisch onderzoek<br>5.3 Zorgkwaliteit met betrekking tot grensoverschrijdende gezondheidszorg<br>5.5 Bewustmaking |
| <b>Verspreidingsniveau</b>                    | Openbaar                                                                                                                                                                           |
| <b>Leveringsdatum</b>                         | Maart 2020                                                                                                                                                                         |
| <b>Status</b>                                 | <i>Finale versie</i>                                                                                                                                                               |
| <b>Taal waarin het verslag beschikbaar is</b> | EN – FR – DE – NL                                                                                                                                                                  |



lead partner



Solidaris



VSOP



CHU de Liège



Maastricht UMC+



Maastricht University

**Interreg**  
Euregio Meuse-Rhine  
European Regional Development Fund



provincie  
limburg



Wallonie



Ministerium für Wirtschaft, Innovation,  
Digitalisierung und Energie  
des Landes Nordrhein-Westfalen



With the support of

# INHOUDSTAFEL

|                                                                   |    |
|-------------------------------------------------------------------|----|
| Lijst van auteurs .....                                           | 3  |
| Projectbeschrijving.....                                          | 4  |
| Juridische kwesties.....                                          | 4  |
| Synopsis .....                                                    | 5  |
| Inleiding.....                                                    | 6  |
| 1    Patiëntenklankbord.....                                      | 7  |
| 1.1    Bijeenkomsten .....                                        | 7  |
| 2    Aanbevelingen patiëntenklankbord.....                        | 7  |
| 2.1    EMR Zeldzameziektendag 2019 .....                          | 7  |
| 2.2    Nationale actieplannen voor zeldzame ziekten .....         | 8  |
| 2.3    Kwaliteitsdocumenten .....                                 | 10 |
| 2.4    Informatie over grensoverschrijdende gezondheidszorg ..... | 11 |
| 2.5    Patiëntenparticipatie aan medisch onderzoek .....          | 13 |
| 2.6    Feedback voor andere work packages.....                    | 13 |
| 2.7    Finale acties.....                                         | 13 |
| 3    Conclusies .....                                             | 14 |
| 4    Lijst van afkortingen.....                                   | 15 |

## LIJST VAN AUTEURS

| Naam/Voornaam         | Naam van instituut | Contact-e-mailadres  |
|-----------------------|--------------------|----------------------|
| <b>Hoofdauteur(s)</b> |                    |                      |
| Kim Karsenberg        | VSOP               |                      |
| Marèl Segers          | VSOP               |                      |
| <b>Co-auteur(s)</b>   |                    |                      |
| Cor Oosterwijk        | VSOP               | c.oosterwijk@vsop.nl |

Het EMRaDi-project, dat kadert in het Interreg V-A Euregio Maas-Rijn programma, wordt gesteund door de Europese Unie en het Europees Regionaal Ontwikkelingsfonds voor een bedrag van EUR 1.687.675.

Het Interreg V-A Euregio Maas-Rijn programma (EMR) investeert bijna EUR 100 miljoen in de ontwikkeling van de Interreg-regio tot 2020. Het gebied gaat van Leuven in het westen tot de grenzen van Keulen in het oosten, en van Eindhoven in het noorden omlaag tot aan de grens met Luxemburg. Dit grensoverschrijdende gebied - waar het beste van drie landen samensmelt in een ware Europese cultuur - telt meer dan 5,5 miljoen inwoners.

Door EU-fondsen te investeren in Interreg-projecten, investeert de Europese Unie direct in economische ontwikkeling, innovatie, territoriale ontwikkeling, sociale inclusie en onderwijs in deze regio.

*Met de steun van*



## PROJECTBESCHRIJVING

“EMRaDi” staat voor **Euregio Meuse-Rhine Rare Diseases** (Zeldzame ziekten in de Euregio Maas-Rijn). Het project ging van start op 1 oktober 2016 en eindigde op 31 maart 2020.

Het project gaf vorm aan een **grensoverschrijdende samenwerking** tussen ziekenfondsen, universitaire ziekenhuizen, patiëntenorganisaties en een universiteit in de Euregio Maas-Rijn. Het maakte deel uit van het INTERREG V-A Euregio Maas-Rijn programma van de Europese Unie.

Dankzij hun lange ervaring in grensoverschrijdende gezondheidszorg, hebben de projectpartners besloten hun krachten te bundelen in het specifieke domein van zeldzame ziekten. Dit EMRaDi-project was innovatief te noemen, in de zin dat het een patiëntgericht en sectoroverschrijdend project was. Tot het consortium van partners behoorden de grote gezondheidsactoren die patiënten met een zeldzame ziekte en hun familie ondersteunen in het dagelijkse zorgtraject van een patiënt met een zeldzame ziekte.

Via de **activiteiten van het project** wilde het EMRaDi-project:

- de behoeften en het aanbod/de beschikbaarheid van diensten met betrekking tot zeldzame ziekten in de EMR transparanter maken;
- EMR-modellen voor *zorgtrajecten bij zeldzame ziekten* ontwikkelen om patiëntgerichte aanbevelingen uit te werken, in synergie met nationale en Europese ontwikkelingen, en;
- het netwerk van zorgverleners, zorgverzekeraars en patiëntenorganisaties verbeteren en het (publieke) bewustmaking rond zeldzame ziekten aanscherpen.

De algemene langetermijndoelstelling bestond erin **de levenskwaliteit van de betrokken patiënten te verbeteren**.

[www.emradi.eu](http://www.emradi.eu)

## JURIDISCHE KWESTIES

Dit verslag werd opgesteld binnen de context van het EMRaDi-project. De auteurs zijn als enigen verantwoordelijk voor de feiten en meningen in deze publicatie.

## SYNOPSIS

Eén van de activiteiten in Work Package 5 (WP5) was de oprichting van een patiëntenklankbord (PKB). Het PKB was een adviserend orgaan samengesteld uit (patiënt)vertegenwoordigers van de geselecteerde zeldzame ziekten (Huntington, Duchenne, chronische myeloïde leukemie (CML), fenylketonurie (FKU) en Silver Russel). Tijdens drie bijeenkomsten van het PKB hebben de leden feedback gegeven en de volgende onderwerpen besproken:

- EMR Zeldzameziektendag 2019;
- Nationale plannen voor zeldzame ziekten;
- Kwaliteitsdocumenten;
- Informatie over grensoverschrijdende gezondheidszorg;
- Patiëntenparticipatie aan medisch onderzoek;
- Conceptversies van modellen en producten die ontwikkeld werden in andere EMRaDi work packages.

Dit document geeft een samenvatting van de in overleg gemaakte PKB-aanbevelingen over deze onderwerpen. Voor aanbevelingen is de voornaamste belanghebbende die als eerste moet worden aangesproken de EMRaDi-stuurgroep. Deze groep brengt ze vervolgens onder de aandacht van belanghebbenden zoals: Nationale contactpunten (ontwikkeling), zorgverzekeraars (in het algemeen), ziekenhuizen (gericht op zeldzame ziekten), patiëntenorganisaties (met inbegrip van hun overkoepelende organisaties) en beleidsmaker van de overheid op nationaal en EU-niveau. Hierna volgen de belangrijkste conclusies voor een selectie van de besproken onderwerpen:

**Nationale plannen voor zeldzame ziekten:** de prioritaire onderwerpen zijn:

- bewustmaking;
- kennis en educatie, waarbij de patiëntenorganisaties een belangrijke rol spelen;
- organisatie van zorg en zorgnetwerken (ook op psychosociaal gebied);
- beschikbaarheid van therapie (met inbegrip van gediagnosticeerde en niet-gediagnosticeerde patiënten);
- beleid met betrekking tot expertisecentra;
- kwaliteitsnormen.

**Kwaliteitsdocumenten:** volgens het PKB moeten kwaliteitsdocumenten voldoen aan de volgende criteria:

- Validatie/autorisatie door de relevante gezondheidswerker(s) en patiëntenorganisatie(s);
- transparantie (belangen/het belang, literatuur en belanghebbenden);
- versiebeheer;
- versleuteling om te voorkomen dat het document 'een eigen leven gaat leiden';
- opstelling in een 'lezersvriendelijke' taal.

Voor de 3 ZZ waarop het EMRaDi-project zich richt, werd een top 5 van kwaliteitsdocumenten opgemaakt.

Het PKB beveelt aan om bij de ontwikkeling van formele richtlijnen voor de behandeling van zeldzame ziekten voor zorgverleners, ook een versie voor patiënten op te nemen in het budget en te ontwikkelen.

**Grensoverschrijdende gezondheidszorg (GOGZ):** Volgens het PKB moeten de voornaamste bronnen voor informatie over grensoverschrijdende gezondheidszorg de nationale contactpunten en Orphanet zijn. Alle andere belanghebbenden die betrokken zijn bij grensoverschrijdende gezondheidszorg en/of zeldzame ziekten zouden beroep moeten doen op deze organisaties voor informatie over grensoverschrijdende gezondheidszorg (nationale contactpunten) en zeldzame ziekten (Orphanet). De website van nationale contactpunten zouden moeten een pagina specifiek voor zeldzame ziekten ontwikkelen.

**Patiënten** zouden van bij het begin van het proces moeten **deelnemen** aan medisch onderzoek, bijvoorbeeld bij het opstellen van de onderzoeksagenda, het bepalen van de logistiek, het ontwerp, de meting van resultaten, enz.

## INLEIDING

Er werd een patiëntenklankbord (PKB) opgericht met patiëntvertegenwoordigers voor de volgende geselecteerde EMRaDi zeldzame ziekten:

- Ziekte van Huntington;
- Musculaire dystrofie van Duchenne;
- Chronische myeloïde leukemie (CML);
- Fenylketonurie (FKU);
- Silver-Russell syndroom.

De drie bijeenkomsten van het PKB werden ook bijgewoond door een vertegenwoordiger van RaDiOrg, de Belgische koepelvereniging voor zeldzame en genetische ziekten. Het doel was oorspronkelijk om één patiëntvertegenwoordiger te hebben voor elke ziekte in elke regio. Ondanks de vele inspanningen via nieuwsbrieven, websites, sociale media en persoonlijk contact is dit echter niet gelukt. Patiëntvertegenwoordigers zijn doorgaans drukbezette vrijwilligers die zelf beperkt zijn in hun mogelijkheden door hun eigen ziekte of de ziekte van hun kind. Daarom werden geen patiëntvertegenwoordigers in de EMR gevonden voor polycythaemia vera (PV), het syndroom van Rett en galactosemie type 1. Er waren drie vertegenwoordigers van België en drie van Nederland. Tijdens het EMRaDi-project werden verschillende pogingen ondernomen door verschillende belanghebbenden en projectpartners om Duitse vertegenwoordigers te zoeken. Voor de laatste PKB-bijeenkomst werd een Duitse vertegenwoordiger gevonden. Deze persoon heeft gewerkt aan het PKB-3 thuisopdrachten, maar kon de laatste PKB-bijeenkomst niet bijwonen.

Tijdens de drie bijeenkomsten werden verschillende onderwerpen besproken die belangrijk zijn voor het EMRaDi-project. Sommige onderwerpen werden tijdens meerdere bijeenkomsten besproken, andere tijdens één enkele bijeenkomst. De besproken onderwerpen zijn:

- EMR Zeldzameziektendag 2019;
- Nationale plannen voor zeldzame ziekten;
- Kwaliteitsdocumenten;
- Informatie over grensoverschrijdende gezondheidszorg;
- Patiëntenparticipatie aan medisch onderzoek;

- Modellen en producten die ontwikkeld werden in andere EMRaDi work packages.

Het PKB heeft input verstrekt over deze onderwerpen vanuit het gezichtspunt van de patiënt. Het PKB was als volgt georganiseerd: de deelnemers kregen “huiswerk” over enkele van de onderwerpen die tijdens de bijeenkomst besproken werden, opdat hun input zo compleet en goed voorbereid mogelijk zou zijn. Deze opdrachten werden ontwikkeld en voorbereid door de VSOP. De PKB-leden moesten hun opdracht(en) enkele weken voorafgaand aan de bijeenkomst inleveren, waarna de opdrachten verwerkt werden door de VSOP. De verwerkte opdrachten werden besproken tijdens de bijeenkomst, zodat iedereen zicht had op elkaars feedback en de bespreking op deze basis kon beginnen. Nadat het onderwerp tijdens één of meerdere bijeenkomsten was besproken, werden aanbevelingen geformuleerd voor de projectpartners of andere belanghebbenden.

Voor elke bijeenkomst werd een verslag opgemaakt. De verslagen zijn verkrijgbaar op aanvraag (alleen in het Engels).

## 1 PATIËNTENKLANKBORD

### 1.1 BIJEENKOMSTEN

In de loop van het EMRaDi-project werden in totaal drie PKB-bijeenkomsten georganiseerd. Het doel was één bijeenkomst per projectjaar. De eerste bijeenkomst werd enkele maanden uitgesteld omdat het extra tijd vergde om de juiste mensen te vinden die konden deelnemen aan het PKB.

- De eerste bijeenkomst vond plaats op 14 juni 2018 van 11:00 tot 14:00 in het Maastricht UMC+.
- De tweede bijeenkomst vond plaats op 8 november 2018 van 10:30 tot 14:00 in het Maastricht UMC+.
- De derde bijeenkomst vond plaats op 23 mei 2019 van 10:30 tot 14:00 in het Maastricht UMC+.

PKB-leden die een bijeenkomst niet konden bijwonen, bereidden een thuisopdracht voor. Op deze manier kon hun input en feedback worden gebruikt en gedeeld tijdens de volgende bijeenkomst.

## 2 AANBEVELINGEN PATIËNTENKLANKBORD

### 2.1 EMR ZELDZAMEZIEKTENDAG 2019

Eén van de onderwerpen die tijdens de eerste PKB-bijeenkomst werd besproken, was het programma van de EMR Zeldzameziektendag 2019 (EMR-ZZD 2019) die werd georganiseerd door de EMRaDi-projectpartners. De meest relevante aanbevelingen voor dit onderwerp waren de volgende:

- De formele datum van de internationale Zeldzameziektendag, namelijk 28 februari, kon een probleem vormen. Er waren heel wat lokale activiteiten diezelfde dag. Daardoor was het mogelijk dat niet alle belangstellenden - inclusief enkele interessante sprekers - aanwezig konden zijn.
- Het zou interessant zijn om ministers van de drie aangrenzende landen/regio's/gemeenten uit te nodigen. Later werd voorgesteld dat een ministeriële vertegenwoordiging beter zou passen bij het politieke evenement in 2020, of bij de laatste bijeenkomst ter afsluiting.

- De wijze waarop regionale grensoverschrijdende gezondheidszorg gerelateerd is aan de Europese referentienetwerken (ERN's) zou moeten deel uitmaken van het programma. Daarnaast zou het in de loop van de dag mogelijk moeten zijn om onder de drie landen ervaringen en kennis te delen over zorg voor zeldzame ziekten.
- Het is belangrijk om vertegenwoordigers van de verschillende ERN's persoonlijk uit te nodigen.
- Het PKB steunt het voorstel om tijdens de dag een moderator te voorzien.
- Het PKB steunt ook het voorstel om succesvolle voorbeelden van samenwerking tussen verschillende partijen in de regio naar voren te brengen tijdens de EMR ZD.
- Het PKB beveelt aan om de onderwerpen van de drie gedeelde presentaties te koppelen aan de workshops/rondetafelgesprekken.
- 

## 2.2 NATIONALE ACTIEPLANNEN VOOR ZELDZAME ZIEKTEN

De nationale plannen van de drie regionale landen (Nederland, België en Duitsland) werden besproken tijdens de eerste en tweede PKB-bijeenkomst. Tijdens de eerste bijeenkomst werden de drie nationale plannen vergeleken, en werden zes onderwerpen geselecteerd als prioritair. Het betreft de volgende onderwerpen:

- Bewustmaking;
- Kennis en educatie waarbij de patiëntenorganisaties een belangrijke rol spelen;
- Organisatie van zorg en zorgnetwerken (ook op psychosociaal gebied);
- Beschikbaarheid van therapie (met inbegrip van gediagnosticeerde en niet-gediagnosticeerde patiënten);
- Beleid met betrekking tot expertisecentra;
- Kwaliteitsnormen.

Ter voorbereiding van de tweede PKB-bijeenkomst maakten de patiëntenvertegenwoordigers een zogenaamde 'analyse van de ernst'. Uit deze analyse kwamen de volgende aanbevelingen voor de nationale plannen naar voren:

**Bewustmaking:** Meer bewustmaking van zeldzame ziekten door huisartsen (HA) en specialisten in de 2e en 3e lijn van de gezondheidszorg te informeren. Het betreft informatie over expertisecentra in de regio, grensoverschrijdende samenwerking, informatie over het belang van een buikgevoel bij ongewone gevallen, snelle diagnose en snelle doorverwijzing. Een centraal loket voor ongediagnosticeerde patiënten dat verbonden is met alle expertisecentra, zou ideaal zijn.

Aanbeveling: Een soort norm (HA) ontwikkelen op basis van symptomatologie, met een boomdiagram voor besluitvorming die het zorgtraject toont voor huisartsen die het gevoel hebben dat er iets mis is.

**Kennis en educatie:** bewustmaking is de basis voor kennis en educatie. Er is al veel informatie en kennis beschikbaar, maar die is niet altijd gericht op de patiënt.

Aanbevelingen:

Bestaande kennis overbrengen waar nodig door patiëntgerichte informatie of een patiëntenversie van richtlijnen met afbeeldingen en tekeningen te ontwikkelen. Goede voorbeelden hiervan zijn:

- Voor CML: [CMyLife](#) werd ontwikkeld voor CML (door Radboudumc Nijmegen, Nederland) om patiënten te helpen met zelfbeheer. De website bevat informatie over therapietrouw, resultaten en vragen die patiënten kunnen stellen aan hun arts.
- Voor Huntington: Naast de websites van de nationale patiëntenorganisaties is er nuttige documentatie in meerdere talen beschikbaar op verschillende Europese websites, zoals het European Huntington's Disease Network EHDN), de Huntington's Disease Youth Organization (HDYO) en de European Huntington Association (EHA).
- Orphanet Frankrijk beschikt over belangrijke informatie voor patiënten, maar alleen in het Frans. Dit is niet zo voor de andere nationale Orphanet-websites.
- De Nederlandse Connect-projecten<sup>1</sup> verbinden expertisecentra via een gemeenschappelijk digitaal platform om een expertisenetwerk te vormen. Voor de acht ziekten in de EMR-regio zouden varianten van dit formaat kunnen worden ontwikkeld voor een expertisenetwerk.

### **Organisatie van zorg en zorgnetwerken:**

#### Aanbevelingen:

- Inzicht verstrekken over waar gespecialiseerde (expertisecentra) zorg (in de regio) beschikbaar is voor ten minste de acht ziekten. Het betreft de naam en het adres van het multidisciplinaire team, niet de individuele zorgverlener. Dit kan worden duidelijk gemaakt met een enquête.
- Inzicht verstrekken over waar gespecialiseerde langetermijnzorg (regionaal) beschikbaar is voor ten minste de acht ziekten.
- Uitwisseling van kennis tussen EC en tussen EC en patiënten.

### **Beschikbaarheid van behandeling:**

#### Aanbevelingen:

- Door meer bewustmaking, kan meer fondsenwerving volgen.
- Duidelijk maken welke (paramedische) netwerken bestaan (in de regio), zodat duidelijk is wat kan worden gedaan om zo lang mogelijk een goede levenskwaliteit te behouden.
- Inzicht verstrekken in de organisatie van zorg en de wijze waarop dit verband houdt met het begeleiding van de patiënt bij het maken van keuzes (gedeelde besluitvorming) in verschillende fasen van het zorgtraject (met inbegrip van psychosociale aspecten).

### **Beleid met betrekking tot expertisecentra:**

#### Aanbevelingen:

- Duidelijk maken waar de expertisecentra voor de betreffende ziekten zijn.
- Een nationale beoordeling van de expertisecentra, het Nederlands model, met evaluaties van patiëntenorganisaties, kan een startpunt zijn.
- Expertisecentra moeten deel uitmaken van het zorgnetwerk (in de regio).

<sup>1</sup> De projecten Connect en Connect Extended worden gecoördineerd door VSOP en de Nederlandse patiëntenorganisatie voor neuromusculaire ziekten. In deze projecten stellen nationaal aangewezen expertisecentra voor dezelfde (groep van zeldzame) ziekte(en) zichzelf voor via een gemeenschappelijke website met specifieke informatie over zorg, doorverwijzing en onderzoek voor zowel zorgverleners als patiënten.

## Kwaliteitsnormen:

### Aanbevelingen:

- Normen voor zorgkwaliteit ontwikkelen in samenwerking met de betreffende patiëntenorganisatie, en patiëntenversies maken van deze kwaliteitsnormen.

## 2.3 KWALITEITSDOCUMENTEN

Het onderwerp 'kwaliteitsdocumenten' werd besproken tijdens de drie PKB-bijeenkomsten. Tijdens elke bijeenkomst werd een ander element van kwaliteitsdocumenten besproken.

De eerste bijeenkomst was gericht op de vraag: 'wat is een kwaliteitsdocument?' Volgens de PKB-leden, zijn kwaliteitsdocumenten:

- gevalideerd/geautoriseerd door de relevante gezondheidswerker(s) en patiëntenorganisatie(s);
- Transparant (belangen/het belang, literatuur en belanghebbenden);
- Voorzien van versiebeheer en versleuteld om te voorkomen dat het document 'een eigen leven gaat leiden';
- Geschreven in een 'lezersvriendelijke' taal. Het PKB beveelt dus aan om een patiëntenversie te maken van kwaliteitsdocumenten zoals richtlijnen en richtlijnen voor goede klinische praktijk. Zo is informatie beschikbaar in toegankelijke taal en in een formaat dat het lezen waard is.

Tijdens de tweede en derde PKB-bijeenkomsten hebben de PKB-leden een top vijf opgesteld van de kwaliteitsdocumenten die volgens hen het meest relevant zijn voor hun ziekte. Om zo volledig mogelijk te zijn, werd aan de PKB-leden gevraagd om de patiëntengroepen (zogenaamde EPBG) in ERN aan te spreken en te vragen om de lijst van kwaliteitsdocumenten aan te vullen. De VSOP heeft de EPBG-leden van Duitsland, België en Nederland aangesproken, maar ze konden geen documenten toevoegen aan de lijst voor redenen zoals 'niet de juiste ziekten', 'de lijst voor hun specifieke ziekte was al volledig', enz.

Tijdens de derde PKB-bijeenkomst voor PKU, CML en Huntington werd een top vijf van kwaliteitsdocumenten opgesteld en besproken:

### PKU

1. Huisartsbrochure voor fenyلكetonurie
2. Dieetinformatie voor de behandeling van fenyلكetonurie
3. Fenyلكetonurie (FKU): wat nu?
4. Screening van het grote publiek (Vlaamse overheid)
5. Europese richtlijnen voor PKU (drie richtlijnen)

### CML

1. Behandelingsrichtlijn (Cmylife)
2. Behandelingsrichtlijn (Onkopedia)
3. Patiëntenboekje over CML
4. Behandelingsrichtlijn (Leukaemie-hilfe)
5. Nederlandse richtlijnen voor CML (Hematologie Nederland)

### Huntington

1. Huisartsbrochure over Huntington
2. Spraak- en communicatiebeheer
3. Slikproblemen en voeding (drie internationale richtlijnen)
4. Fysiotherapie (vijf internationale richtlijnen)

Tijdens de bijeenkomst werd duidelijk dat extra inspanningen om deze documenten te delen onder de patiëntenorganisaties in Nederland, Duitsland en België niet nodig zijn. Deze patiëntenorganisatie delen (en vertalen) dit type documenten nu al, niet alleen onder de drie landen, maar ook op een ruimer Europees/internationaal niveau. Het enige aandachtspunt van het PKB voor de SG is dat België momenteel niet vertegenwoordigd is op Europees/internationaal niveau voor CML en Silver Russel. Dit moet worden aangemoedigd.

Het PKB beveelt aan dat iedereen, zowel funders als zorgverleners, die betrokken is bij de ontwikkeling van professionele kwaliteitsnormen en behandelingsrichtlijnen voor zeldzame ziekten, altijd een versie voor patiënten maakt en het nodige budget daartoe voorziet. Bovendien zouden patiënten toegang moeten krijgen tot informatie op maat van patiënten over expertisecentra.

Voor wat betreft het EMRaDi-project kan dit principe ook van toepassing zijn voor de lijst met waarschuwingstekens. De patiëntenversie kan een digitaal document zijn dat ter beschikking wordt gesteld via de websites van de drie nationale overkoepelden patiëntenorganisaties voor zeldzame ziekten. Dit document kan opgesteld zijn in de landstalen en indien mogelijk ook in het Engels zodat het kan worden gedeeld op Europees en internationaal niveau.

## 2.4 INFORMATIE OVER GRENSOVERSCHRIJDENDE GEZONDHEIDSZORG

Eén van de doelstellingen van het EMRaDi-project is verdere verbetering van grensoverschrijdende gezondheidszorg tussen de drie EMR-landen. Patiënten met een zeldzame ziekte in de EMR-regio moeten meer steun en gecoördineerde toegang tot relevante expertise(centra) krijgen. Tijdens twee van de drie PKB-bijeenkomsten werd het onderwerp 'informatie over grensoverschrijdende gezondheidszorg' besproken. Tijdens de tweede PKB-bijeenkomst hebben de leden gedefinieerd welke vragen moeten worden gesteld met betrekking tot informatie over grensoverschrijdende gezondheidszorg. Ter voorbereiding van de derde PKB-bijeenkomst hebben de PKB-leden met deze vragen in gedachte gekeken naar de websites van relevante belanghebbenden. Tijdens de derde en laatste PKB-bijeenkomst werden de resultaten besproken en aanbevelingen gedaan.

### De vijf meest relevante vragen om te stellen over grensoverschrijdende gezondheidszorg zijn:

- Welk type informatie is nodig over grensoverschrijdende gezondheidszorg?
- Waar moet deze informatie beschikbaar zijn?
- Wie moet deze informatie verstrekken?
- Hoe kan deze informatie aangeboden worden?
- In welke mate moet informatie over grensoverschrijdende gezondheidszorg verband houden met de nationaal aangewezen expertisecentra?

Het PBK heeft voor elk van de deelnemende landen (België, Duitsland en Nederland) op the websites of relevant stakeholders: zorgverzekeraars, ziekenhuizen en nationale contactpunten.

#### Overzicht van de aanbevelingen van het PKB:

- De aanbeveling luidt dat de websites van ziekenhuizen moeten verwijzen naar Orphanet en de nationale contactpunten voor informatie over zeldzame ziekten en grensoverschrijdende gezondheidszorg. Daarnaast moeten de websites van ziekenhuizen/expertisecentra enkel bijkomende informatie bevatten die specifiek is voor het ziekenhuis zelf en/of de betreffende zeldzame ziekte (de uitzonderingen op de regel). Dit is om te verhinderen dat informatie herhaald wordt of niet actueel is.
- Voor wat betreft de nationaal contactpunten moet de informatie worden aangeboden in delen, moet ze toegankelijk zijn voor de gemiddelde lezer en moet extra informatie worden aangeboden via een link voor lezers die meer willen weten.
- Er is momenteel geen algemene informatie beschikbaar over zeldzame ziekten op de websites van de nationale contactpunten. De PKB-leden menen dat dit onderwerp een afzonderlijke rubriek moet krijgen op de webpagina's.
- Het is aanbevolen dat zorgverzekeraars informatie aanbieden in meerdere talen. Voor Belgische zorgverzekeraars luidt het advies om de informatie te verstrekken in het Frans, Nederlands, Duits en Engels. Voor Nederlandse en Duitse zorgverzekeraars luidt het advies om de informatie ook te verstrekken in het Engels naast het Nederlands en/of Duits.

#### Advies voor de stuurgroep (SG):

- Onderzoeken hoe de SG artsen in de betrokken academische ziekenhuizen kan aanmoedigen om deel te nemen aan een nationale evaluatieprocedure.
- Bekijken hoe de SG deze artsen kan aanmoedigen om door te verwijzen naar expertisecentra in de regio als het ziekenhuis niet beschikt over expertise over een zeldzame ziekte, in plaats van de patiënt door te verwijzen naar een verder gelegen expertisecentrum elders in het land.
- De beschikbare informatie op Orphanet gebruiken en geen afzonderlijk overzicht van de expertisecentra in de regio maken. Dit zou ook implementatie op lange termijn bevorderen in andere grensregio's.
- Contact opnemen met nationaal contactpunten en overkoepelende patiëntenorganisaties voor zeldzame ziekten om het eerder vermelde advies te bespreken en te bekijken hoe het verstrekken van informatie over grensoverschrijdende gezondheidszorg verder kan verbeteren.
- Bekijken hoe het verstrekken van informatie over grensoverschrijdende gezondheidszorg door zorgverzekeraars verder kan verbeteren.

Naast deze aanbevelingen voor de websites van de eerder vermelde belanghebbenden, beveelt het PKB ook het volgende aan:

- De website van de betreffende patiëntenorganisaties (koepelorganisaties) zou informatie moeten verstrekken over expertisecentra met een link naar Orphanet, en instructies om nationaal aangewezen expertisecentra voor zeldzame ziekten te vinden.
- Nationale overkoepelende patiëntenorganisaties zouden een formele nationale procedure moeten hebben voor de evaluatie van kandidaat-expertisecentra, met inbegrip van evaluatie vanuit het oogpunt van de patiënt als dit nog niet bestaat. Vervolgens zouden

patiëntenorganisaties de relevante ziekenhuizen/centra voor hun ziekte moeten aanmoedigen om deel te nemen aan deze nationale evaluatieprocedure<sup>2</sup>. In de toekomst zou een goedkeuring via een dergelijke procedure de enige manier mogen zijn waarop ziekenhuizen/centra deel kunnen uitmaken van een ERN.

## 2.5 PATIËNTENPARTICIPATIE AAN MEDISCH ONDERZOEK

In de context van het project werd onder de projectpartners een stand van zaken opgemaakt over patiëntenparticipatie aan wetenschappelijk onderzoek, en hoe deze participatie gebeurde.

Het PKB adviseert om patiëntenorganisaties meer te betrekken bij wetenschappelijk onderzoek, vooral bij aanvang van een proces, bijvoorbeeld bij het opmaken van de onderzoeksagenda, het bepalen van de logistiek, het ontwerp, enz. Uit deze stand van zaken kwam de wijze waarop patiëntenbetrokkenheid is gestructureerd in internationaal onderzoek naar Duchenne naar voren als 'best practice'. Het PKB adviseert om volgens dit model te werken en de ervaring met Duchenne te gebruiken om een stapsgewijs actieplan te ontwikkelen voor een betere betrokkenheid van patiënten bij het onderzoeksproces, te beginnen bij de acht geselecteerde ziekten. Een dergelijk actieplan moet echter gekoppeld zijn aan de onderzoekscontext buiten de EMR-regio, aangezien alle studies over zeldzame ziekten precies door hun zeldzaamheid moeten verspreid zijn over meerdere centra en landen. Het PKB adviseert dat funders van onderzoek naar zeldzame ziekten patiëntenbetrokkenheid integreren in hun voorstel voor een projectoproep, en zo specifiek mogelijk zijn: Hoe en wanneer wordt de patiënt betrokken, en hoe wordt deze participatie gefinancierd? Het PKB adviseert ook dat ERN hiervoor moeten zorgen.

## 2.6 FEEDBACK VOOR ANDERE WORK PACKAGES

Tijdens twee van de PKB-bijeenkomsten hebben de PKB-leden ook feedback gegeven over de output van andere work packages van het EMRaDi-project. Dit betrof:

- WP3: conceptmodel voor de organisatie van zorg;
- WP4: lijst met waarschuwingstekens van zeldzame ziekten.

Aangezien deze aanbevelingen specifiek waren voor de output en werden geïntegreerd in de volgende versies van de twee eindresultaten, worden ze in dit verslag niet nader beschreven.

## 2.7 FINALE ACTIES

Tijdens de laatste maanden van de projecten, zal de VSOP voortwerken aan (aanbevelingen voor) informatie over grensoverschrijdende gezondheidszorg aangepast aan de verschillende behoeften van nationale contactpunten, zorgverzekeraars en expertisecentra. Daarnaast zal een specifieke richtlijn voor expertisecentra worden ontwikkeld op basis van de bestaande richtlijnen voor

<sup>2</sup> België heeft momenteel geen nationale evaluatieprocedure voor de aanwijzing van expertisecentra. Er is een nationaal en regionaal beleid, en de regionale overheid wordt ook als een federale entiteit beschouwd.

patiëntenparticipatie aan onderzoek. Voor de ontwikkeling van producten voor expertisecentra zal de VSOP zich aansluiten bij het expertisecentrum voor Kabuki (WP4) van Maastricht.

### 3 CONCLUSIES

De aanbevelingen vanuit het oogpunt van de patiënten die het PKB heeft verstrekt via de VSOP, en van de VSOP zelf, waren bijzonder belangrijk voor het EMRaDi-project. Het praktisch advies voor de EMR Zeldzameziektendag 2019 werd toegepast voor zover dit organisatorisch mogelijk was, en verschillende work packages hebben de aanbeveling van het PKB benut voor hun eindresultaten.

De eerder vermelde aanbevelingen voor de EMR-regio met betrekking tot nationale plannen, kwaliteitsdocumenten, informatie over grensoverschrijdende gezondheidszorg en patiëntenparticipatie aan medisch onderzoek hebben een prominente plaats gekregen tijdens het politieke evenement (5 december 2019, Brussel), het slotevenement (17 februari 2020, Luik) en de opvolging van het project.

## 4 LIJST VAN AFKORTINGEN

|               |                                                          |
|---------------|----------------------------------------------------------|
| <b>GOGZ</b>   | Grensoverschrijdende gezondheidszorg                     |
| <b>CML</b>    | Chronische myeloïde leukemie                             |
| <b>EC</b>     | Expertisecentrum                                         |
| <b>EMRaDi</b> | Euregio Meuse-Rhine Rare Diseases                        |
| <b>EMR</b>    | Euregio Maas-Rijn                                        |
| <b>ERN</b>    | Europees referentienetwerk                               |
| <b>EPBG</b>   | Europese patiëntenbelangengroepen                        |
| <b>HA</b>     | Huisarts                                                 |
| <b>NCP</b>    | Nationaal contactpunt                                    |
| <b>PKU</b>    | Fenylketonurie                                           |
| <b>PKB</b>    | Patiëntenklankbord                                       |
| <b>PV</b>     | Polycythaemia vera                                       |
| <b>ZZD</b>    | Zeldzameziektendag                                       |
| <b>SG</b>     | Stuurgroep                                               |
| <b>VSOP</b>   | Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties |