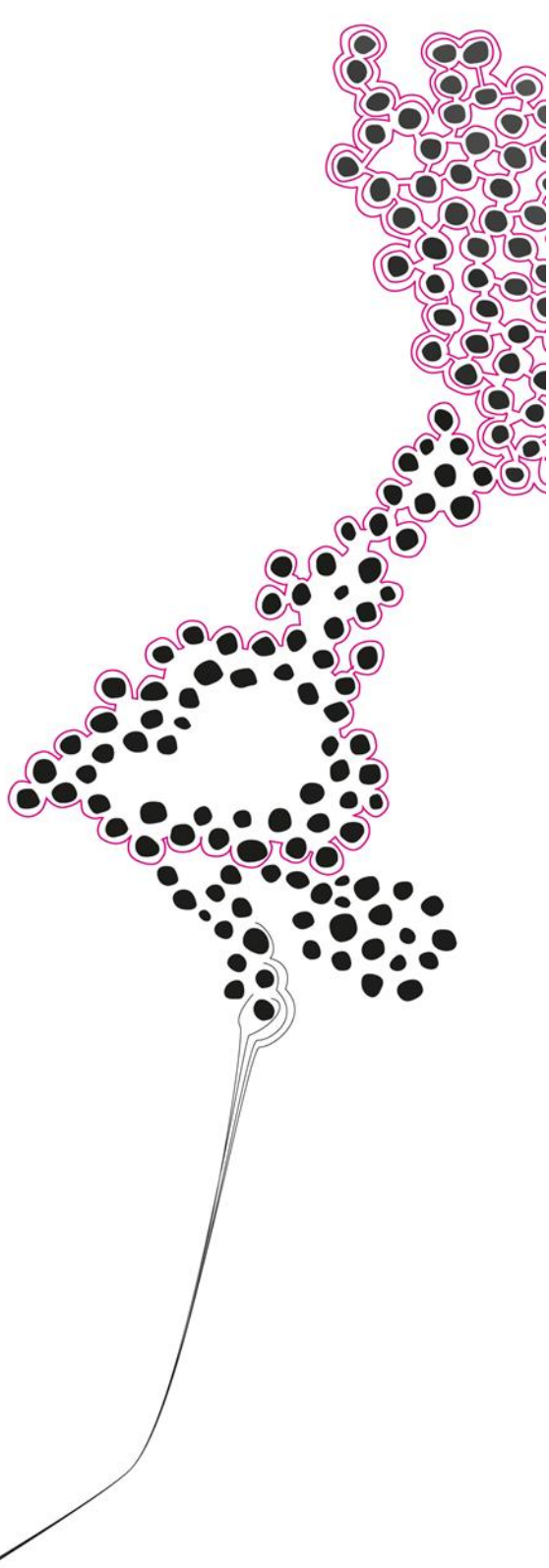


MASTER THESIS



Development and Evaluation of a Multi-Criteria Decision Framework in the Dutch Reimbursement Setting

J.T. van den Top

SCHOOL OF MANAGEMENT AND GOVERNANCE
MASTER HEALTH SCIENCES

EXAMINATION COMMITTEE

Dr. J.A. van Til
Dr. C.G.M. Groothuis-Oudshoorn

October 31th, 2014

Acknowledgements

This master thesis is the final result of my master's programme Health Sciences at the University of Twente. After six years of study at two different universities, my study period will finally come to an end. I would like to thank my supervisors Dr. J.A. van Til and Dr. C.G.M. Groothuis-Oudshoorn for their easy accessibility and their constructive feedback during the whole process. Furthermore, I would like to thank Karel Kroeze and Marieke Weernink for their support with the program LimeSurvey. Finally, I would like to thank my family and friends, and especially Emiel, for their encouragement and patience.

Jennifer van den Top

Apeldoorn, October 2014

Abstract

Background

In the Netherlands, the National Health Care Institute (ZiNL) has the responsibility to advise the Minister of Health Welfare and Sport (VWS) about what should be included in the basic health care package. The advisory process of ZiNL consist of four phases: scoping, assessment, appraisal, and final advice formalizing. The focus of this project was on the appraisal phase. In this phase the Advisory Committee Packet (ACP) assesses information from the different package criteria (effectiveness, cost-effectiveness, necessity, and feasibility). The ACP sent their recommendations to the Executive Board of ZiNL, who will decide whether to agree or disagree with these recommendations and sent their final advice to the Minister of VWS.

Objective

The objective of this study was to clarify and structure the current deliberative decision process of the ACP. It was explored whether this process could and should be structured with use of Multi-Criteria Decision Analysis (MCDA) and whether this contributes to the transparency and consistency of the process. In this study, there was a focus on three cases which were reviewed by the ACP. The three different cases were; alglucosidase alfa treatment for Pompe disease, the smoking cessation program, and the contraceptive pill.

Method

A basic framework was made in which the decision process was explained by use of the four package criteria, and completed with sub criteria found in the ACP meeting reports and documents of ZiNL. The SMART method was used to develop a questionnaire to clarify the following subjects: the relative importance of the achieved performance levels per treatment for each criterion, the weights that the members of the ACP would assign to the criteria per treatment, and the confidence of the members of the ACP about whether the given weights and values would result in the same advice as the initial advice. With the values and weights given the additive value function was calculated for every case and subsequently compared with the certainty of the members of the ACP in their advice.

Results

The criteria 'cost effectiveness' and 'ethical constraints' were not chosen by everyone in all cases, which was expected since these are part of the criteria mentioned by ZiNL. Overall, the criteria 'effectiveness', 'strength of evidence', burden of disease', 'predictable costs for

patient', and 'costs taken for own account' were repeatedly highly weighted. Moreover, there was found that the values and weights given differ between respondents and between cases. The additive value function showed that the respondents were most certain about the inclusion of the treatment of the classic form of the Pompe, followed by the non-classic form of the Pompe disease, the smoking cessation program and lastly the contraceptive pill.

Discussion/Conclusion

In general it can be stated that the relative weight of the main criterion 'necessity' is greater than the relative weight of 'effectiveness' and 'feasibility'. The lowest weights in these cases were unanimously given to the main criterion 'additional arguments'. The values and weights given to the criteria differ between respondents and between cases. In order to be consistent in future advices, relative weights for the criteria should be determined. A combination of the framework and the deliberative process would force DM to seriously think about and clearly express what they value and why they value it. Moreover, the addition of the framework to the deliberative process will lead to more transparency which is demanded by the general public, patients, patient advocacy groups, and other stakeholders.

Table of contents

Acknowledgements	II
Abstract	III
Table of contents.....	V
List of tables and figures	VII
Glossary of terms and abbreviations	VIII
1. Introduction.....	1
1.1 Background.....	1
1.2 Project.....	3
1.3 Research objective.....	3
1.4 Research questions.....	3
1.5 Readers guide	4
2. Methods	5
2.1 Cases	5
2.2 MCDA.....	5
2.3 Framework.....	6
2.3.1 Data collection	7
2.3.2 Development of framework.....	7
2.4 Questionnaire	7
2.4.1 Development of questionnaire	7
2.4.2 Study population.....	9
2.4.3 Distribution of questionnaire.....	9
2.5 Retrospective analysis	9
2.6 Statistical analysis.....	9
3. Results	10
3.1 Performance of the criteria	10

3.2 Weights reflecting the relative importance of the criteria	14
3.3 Overall value	16
3.4 Reflection on analysis	16
4. Discussion and conclusion	18
4.1 Discussion	18
4.2 Limitations	21
4.3 Recommendations.....	22
4.4 Conclusion	22
References.....	24
Appendices	26
Appendix I: Framework	26
Appendix II: Questionnaire	27
Appendix III: Performance values in the Pompe disease case	67
Appendix IV: Performance values in the smoking cessation program case.....	68
Appendix V: Performance values in the contraceptive pill case	69
Appendix VI: Weights in the Pompe disease case.....	70
Appendix VII: Weights in the smoking cessation program case	72
Appendix VIII: Weights in the contraceptive pill case	73
Appendix IX: Overall values for the three cases per respondent.....	74
Appendix X: Reflection on analyses per respondent.....	75

List of tables and figures

Tables

Table 1: Values for the performance of the criteria in the three cases.....	12
Table 2: Weights reflecting the relative importance of the criteria.....	14
Table 3: Additive value function for the three cases.....	16
Table 4a: Reflection on analysis in the Pompe treatment case.....	17
Table 4b: Reflection on analysis in the smoking cessation program case.....	17
Table 4c: Reflection on analysis in the contraceptive pill case.....	17

Figures

Figure 1: The funnel of Dunning.....	2
Figure 2: The additive model	4

Glossary of terms and abbreviations

ACP	Advisory Committee Packet
CFH	Commission Pharmaceutical Assistance
Confidence	Shows how certain a person is. In this case, whether the final advice is the 'right' advice.
CVZ	Health Care Insurance Board
DM	Decision maker(s)
HTA	Health Technology Assessment
HTSR	Health Technology and Services Research
MCDA	Multi Criteria Decision Analysis
Preference	A person's preferences shows the most desired 'option' of the available choices (Hunink, et al., 2011).
SMART	Simple Multi Attribute Rating Technique
VWS	Health Welfare and Sport
WAR	Scientific Advisory Committee
Weight	According to Diaby & Goeree (2014) a weight in MCDA is a number which expresses the relative importance of a criterion opposed on which alternatives are measured.
ZiNL	National Health Care Institute

1. Introduction

1.1 Background

Within reimbursement decision making priorities have to be set. Health expenditures are rising, which leads to a budget constraint. This directs to more strict priority setting within the reimbursement of healthcare interventions. Besides the budget constraint other criteria have to be taken into account in reimbursement decision making, such as expected benefits, costs, and disease severity. In the Netherlands, the former *College van Zorgverzekeringen* (CVZ, Health Care Insurance Board), which is called *Zorginstituut Nederland* (ZiNL, National Health Care Institute) since April 2014, has been appointed by the government to give their recommendations to the minister of *Volksgesondheid, Welzijn en Sport* (VWS, Health Welfare and Sport) regarding the content of the basic health care package.

ZiNL is an independent non-departmental governmental body, which deals with the problem of priority setting of health interventions for reimbursement. The organization holds an independent position amongst citizens, ministries and politicians, health insurers and care providers. ZiNL focuses on three pillars; quality, accessibility and affordability of care, which should be provided in a well-balanced manner in the basic healthcare package (Health Care Insurance Board, 2014). Insurance package management has to be carried out carefully, since it deals with the spending of collective resources (Moerkamp, 2013).

The advisory process of ZiNL consist of four phases: scoping, assessment, appraisal, and final advice formalizing. The scoping phase is an initial exploration to determine the problem, the scope, and the expected content of an intervention. In the assessment phase all relevant information is collected per package criterion (the package criteria will be further elaborated hereafter) which results in an assessment report. This report must be approved by the *Wetenschappelijke Adviesraad* (WAR, Scientific Advisory Committee) which consist of external experts who test whether the report conclusions fit with the underlying information. Furthermore, external parties like producers, patient organizations, and professional groups are asked to give their opinion. The assessment phase examines whether a treatment should be in the basic package, based on the *Zorgverzekeringswet* (ZvW, Health Insurance Act) and the *Algemene Wet Bijzondere Ziektekosten* (AWBZ, Exceptional Medical Expenses Act). This can end in two possible results, which are: there is convincing evidence that the treatment is effective or there is not. If there is no convincing

evidence or important societal implications are expected a next phase is started (Moerkamp, 2013).

The next phase is the appraisal phase. This phase is the main focus of this report. In the appraisal phase the *Adviescommissie Pakket* (ACP, Advisory Committee Packet) reassesses the information from the different package criteria. The members of the ACP are chosen by the Minister and are expected to assess the information from a societal perspective. The ACP uses multiple information sources in her deliberations; the assessment report, opinions of external parties about this report, and additional discussions during the ACP meetings. Moreover, the ACP is involved in antecedent phases to participate in the decision-making process. Finally, the ACP will send their recommendations to the Executive Board of ZiNL, who will decide whether to agree or disagree with these recommendations and send their final advice to the Minister of VWS (Moerkamp, 2013).

To assess the interventions that seem eligible under the basic package, four criteria have been developed in cooperation with relevant organizations in the field of health care and social service; necessity, effectiveness, cost-effectiveness and feasibility. The criteria are based on 'The funnel of Dunning', which is a funnel set up in 1991 by the commission Dunning to define which care facilities belong in the basic package (figure 1).

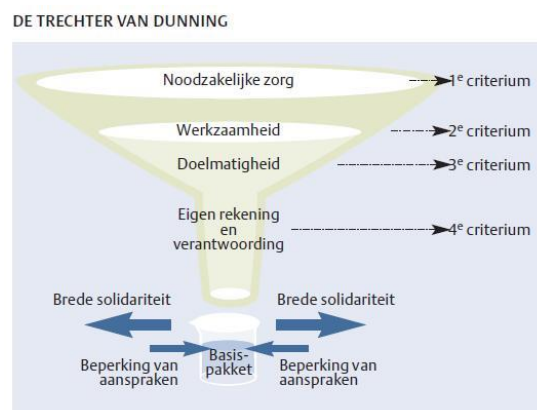


Figure 1: The funnel of Dunning (Moerkamp, 2013)

In 2012, the ACP advised that the medication for the Pompe disease should not be reimbursed through the basic health care package. This resulted in a discussion about the choices made regarding the restriction of certain treatments. The transparency and consistency of decision making in the reimbursement setting is under pressure. The general public, patients, patient advocacy groups, and different stakeholders gain influence and do

expect health care makers to motivate and communicate their choices (Groothuis-Oudshoorn, 2014).

The current decision process of the ACP is a deliberative process. However, there is chance that not all important aspects and values are taken into account (Thokola, 2011). Moreover, decision makers (DM) make, in many cases, ad hoc priority settings in which important information may be lost. According to Baltussen & Niessen (2006) this should be a rational priority setting in which all criteria are combined, such as with MCDA. MCDA methods help DM with organizing and synthesizing information in order to make them content with their decision; they can be confident that all criteria have been taken into account (Belton & Stewart, 2002). MCDA can be used to define criteria for priority setting. Defining priority setting criteria through MCDA makes the decision process more explicit and that increases the accountability and transparency of the process (Goetghebeur, et al., 2012), which is required by the general public, patients, patient advocacy groups, and other stakeholders whose influence is increased in the current societal changes.

In engineering, and environmental policy making MCDA is used in the decision process. However, in no appraisal committee in healthcare technology assessment (HTA) it is implemented in spite of the benefits of MCDA acknowledged by some regulatory agencies, like FDA, NICE and EMA (Groothuis-Oudshoorn, 2014). In this study MCDA is used to structure the decision process of the ACP.

1.2 Project

This study is a part of the project 'A roadmap for uncertainty analysis in MCDA', which is financed by ZonMW and carried out by the University of Twente. The project aims to develop a software tool, which can be used in reimbursement settings, to visualize MCDA outcomes.

1.3 Research objective

The objective of this study is to clarify and structure the current decision process of the ACP. It will be explored whether this process could and should be structured with use of MCDA and whether this contributes to the transparency and consistency of the process.

1.4 Research questions

In order to achieve the objective the following research questions are formulated:

‘What is the relative weight of the criteria: necessity, effectiveness, feasibility, and additional arguments as used by the ACP advising on reimbursement to decide upon treatments within the Dutch basic package?’

- *Do decision makers use different criteria to evaluate an innovation?*
- *Are weights for the four criteria case dependent?*
- *Do decision makers differ in their judgment about the relative weight of the four criteria?*

‘How will the Pompe treatment, the smoking cessation program and the contraceptive pill be valued when a MCDA method is used by the ACP to structure the decision process?’

- *Does overall value correlate with confidence in the decision?*

1.5 Readers guide

In chapter 2, the research methods are presented and the different steps of the project are discussed in more detail. Furthermore, the results are presented in chapter 3 and finally the conclusions and discussion are presented in chapter 4.

2. Methods

2.1 Cases

In this study, there will be a focus on three cases which were reviewed by the ACP. The cases were selected during a meeting of the ACP. The three different cases are; alglucosidase alfa treatment for Pompe disease, the smoking cessation program, and the contraceptive pill.

Pompe disease is an uncommon, progressive muscle disease and is caused by a deficiency of α -glucosidase, and can be treated with alglucosidase alfa. There are two different forms of Pompe disease, the so-called classical form and non-classical form. A discussion arose about the treatment of Pompe disease because the costs of the drug are high but the effects are wide spread. The conclusion of the ACP was that the treatment should be paid out of collective resources. However, this should not be paid out of the basic package but by a separate financing system. In this financing system a clear indication assessment should be applied (Trouw & Zwaap, 2012).

The next case is the smoking cessation program. This program consist of behavioral support, such as the brief supportive interventions and intensive interventions focused on behavior. Behavioral support is also combined with pharmacological support in the form of nicotine replacement therapy, bupropion and nortriptyline. The initial advice of the ACP was that they had serious doubts about the suggestion from the assessment report to include the program in the basic package (Kroes & Mastenbroek, 2009).

The last case deals with the contraceptive pill. Contraceptives are usually prescribed to prevent pregnancy. However, there are medical conditions not related to pregnancy for which contraceptives are prescribed such as endometriosis, excessive vaginal bleeding, painful menstruation, irregular bleeding, long intervals between periods and acne. The conclusion of the ACP was to include the contraceptive pill for preventive purpose to women below the age of 21 and to exclude the contraceptives for preventive use for women of 21 and older. For medical purposes the contraceptives should be included in the basic package (Haan & Wit, 2010)

2.2 MCDA

It was already determined in the main project that a MCDA method would be used. MCDA methods help to make better choices when complex decisions have to be made. They are useful when 'hard data' has to be combined with subjective preferences (Dolan, 2010).

MCDAs take into account multiple criteria and are aimed at evaluating alternatives (Thokola, 2011). It was decided to use the Simple Multi Attribute Rating Technique (SMART). Interviews in an earlier stage of the project clarified that a relatively simple method, like SMART, would fit better than AHP, ELECTRE or MAUT, because time investment was an important criterion. SMART uses direct rating techniques and ranking to explicitly define criteria weights (Sullivan, 2012). Edwards (1977) identified several steps within SMART. The first few steps are about identifying the DM, the decision and the criteria. Belton & Stewart (2002) noted that the criteria used in MCDAs should have the following features: value relevance, understandability, measurability, non-redundancy, preferential independence and comprehensiveness. Furthermore, values have to be identified for the performance of the cases on the different criteria (Edwards, 1977), allowing identification of weaknesses and strengths (Tony, et al., 2011). The criteria have to be rank ordered and assigned with weights (Edwards, 1977), to allow DM to clarify their objectives and perspectives (Peacock, Mitton, Bate, McCoy, & Donaldson, 2009). Weights had to be given directly, so they were explicitly defined (Sullivan, 2012). In addition, all weights had to be transformed into percentages to ensure the comparability and interpretation of the results (Dolan, 2010). Finally, a weighted average had to be calculated with use of a marginal value function.

The most widely used form of the marginal value function is the additive model (figure 2) (Belton & Stewart, 2002). This model was used as it measured what was intended to be measured, because of this it contributes to the validity of the study.

$$V(a) = \sum_{i=1}^m w_i v_i(a)$$

$V(a)$ is the overall value of the alternative a

$v_i(a)$ is the value score reflecting alternative a 's performance on criterion i

w_i is the weight assigned to reflect the importance of criteria i

Figure 2: The additive model (Belton & Stewart, 2002)

2.3 Framework

A basic framework was made in which the decision process was explained by use of the four package criteria.

2.3.1 Data collection

Data was collected to support the framework by searching the ZiNL website for relevant documents. Multiple scientific databases were searched, such as PubMed and ScienceDirect, for MCDA methods and important concepts. In addition, some unpublished documents regarding ACP meetings were obtained through the secretary of the ACP. During the search through the documents all criteria were obtained which had to be taken into account following ZiNL and all the arguments which were mentioned during the ACP meetings.

2.3.2 Development of framework

All these arguments were classified by the four criteria and were processed in the framework (Appendix I). The main branches were based on the four criteria of ZiNL, which are necessity, effectiveness, cost-effectiveness, and feasibility. However, all criteria should be independent according to Belton & Stewart (2002) and effectiveness and cost-effectiveness overlap. Therefore, effectiveness was chosen as a main criterion and cost-effectiveness as a sub criterion. In addition to the three main criteria stated by ZiNL, the main criterion 'additional arguments' was added to create a place for additional arguments mentioned in the ACP meetings. The arguments found in the data were classified to the different main criteria and are called sub criteria.

2.4 Questionnaire

A questionnaire was set up, based on SMART.

2.4.1 Development of questionnaire

The development of the questionnaire started with a definition of the goal of the questionnaire. The questionnaire served to clarify the following subjects:

1. The relative importance of the achieved performance levels per treatment for each criterion.
2. The weights that the members of the ACP would assign to the criteria per treatment.
3. How confident the members of the ACP were about whether the given weights would result in the same advice as the initial advice.

In order to achieve these goals the questionnaire had to be comprehensive, valid and reliable. The first two goals were achieved by developing questions based on the additive model. This method helps constructing a number for each treatment which refers to the preference of the DM for that treatment. To use this method, there had to be preferential independence. This was realized by clearly operationalizing and specifying the criteria.

Furthermore, Belton & Stewart (2002) noted that the criteria used in MCDA should have the following features: value relevance, understandability, measurability, non-redundancy, independence and comprehensiveness. These features were taken into account. Because of the non-redundancy aspect the criteria effectiveness and cost-effectiveness were taken together, in order to prevent double counting within the effectiveness criterion. Furthermore, to fulfill the comprehensiveness feature an additional option was created in the list of arguments, supposing that the DM potentially could add arguments which they were missing.

The first question showed all the arguments to the DM, allowing them to choose the ones they think should be taken into account. The next step, which was the first step in the additive model, was to derive a value from the DM which reflected the performance of the treatment against all the criteria. This was the $v_i(a)$. This was realized by showing the performance of the treatments on all selected criteria and asking the DM to rate the treatment solely on this outcome. Performances were assessed on a scale from zero (certainly not include in the basic package) to hundred (certainly include in the basic package) (von Winterfeldt & Edwards, 1986). When assigning weights, DM clarify their preference. Preference can be measured with ranking, rating, and choice based methods (Hunink, et al., 2011). A directly assessed ratio scale was chosen, because this is the least time consuming, effective and practicable method. The scale was monotonically increasing which indicates that the highest value of the criteria is most preferred and the lowest value least preferred. With the direct assessment of the scale the scale is expected to be linear (Edwards, 1971). After valuing the performance of the treatments on the criteria, weights were obtained to show the relative importance of the criteria in the decision process, in order to achieve the second goal. The framework (Appendix I) shows that there are four branches which all have multiple leaves. In the questionnaire it was asked to rank the leaves and subsequently to assign weights to all the leaves at the same time, these were called the cumulative weights. With these weights, the relative weights of the leaves and the relative and cumulative weights of the branches were calculated.

The final question in the questionnaire, in order to accomplish the third goal, was about the confidence of the DM. Confidence was measured on a ratio scale. First it was asked how confident they were about the decision when they initially made it. Secondly, it was asked whether they would reimburse the treatment after filling in the questionnaire, and finally it was asked how confident they were that the answers given in the questionnaire would result

in the same advice as the initial advice. In the questionnaire these three steps were repeated for the three different cases; alglucosidase alfa treatment for Pompe disease, the smoking cessation program, and the contraceptive pill.

The questionnaire ended with an evaluative question about the use of MCDA to structure the decision process. When the questionnaire was completely developed on paper it was digitalized with use of the program LimeSurvey. This program was chosen because the University of Twente has a backup system for this programme which ensures that the data received from the questionnaires is not accessible for external parties, ensuring privacy.

2.4.2 Study population

The research population was small because it consisted of the six members of the ACP and the three members of the Executive Board who attend the ACP meetings. No more people could be included since no-one else holds this function.

2.4.3 Distribution of questionnaire

The questionnaire was pilot tested by the supervisors of this project and some other members of the Health Technology and Services Research (HTSR) department, in order to find out whether the questions were clear and logical. After the pilot test some additions were made. The questionnaire was sent to the six members of the ACP and the three members of the Executive Board, in the end of June.

2.5 Retrospective analysis

Finally, a retrospective analysis of the cases was performed by the use of the framework and the meeting reports of the ACP. For this analysis of decision making with use of the framework the results of the completed additive model for the three cases were compared with the certainty of the DM when they made the decisions.

2.6 Statistical analysis

The results of the questionnaires were analyzed with use of software package SPSS for statistical analysis. Per case the mean weight of the answers of the members of the ACP per criterion was calculated, where a weight of zero was inserted for the participants who did not select the criterion. Moreover, the mean was calculated for the performance of the criterion per case. The means were implemented in the framework and this way a different framework was made for every of the three cases.

The retrospective analysis was started by calculating per case the sum of the additive model, which resulted in a number per case. Normally in MCDA two or more alternatives are compared, where the best alternative will have the highest outcome. However, in this study this was not the case and here the MCDA method resulted in a single number, which was compared with the certainty of the DM when they initially made the decisions. The certainty was extracted from the ACP meeting reports and the answers given in the questionnaire. In order to compare the results of the additive model and the certainty of the DM, both items were rank ordered.

3. Results

Of the nine invited members of the ACP and the Executive Board, five respondents completed the first part of the questionnaire, three respondents the second and two respondents completed the whole questionnaire.

3.1 Performance of the criteria

The respondents selected the arguments that they believed should be taken into account and valued the performance of these criteria for the three different cases (table 1). In the questionnaire, the respondents had the possibility to add criteria which they were missing. In the Pompe disease case two arguments were added, which are 'Due to the spread of effects I would direct to a differentiation. This is not possible in a normal inclusion in the package, therefore, I would advise to exclude the treatment and argue for more research' and 'Effect measurement (6 minute walking test) was not properly and the advise of CFH/WAR sounded more positive as the advice of the CVZ to the ACP'. For the smoking cessation program no arguments were added and for the contraceptive pill case the argument 'Reasonably foreseeable costs that can come on patients own account, especially in times of recession and weighed against problems with a high burden of disease' was added.

In the Pompe disease case 21 criteria were selected, in the smoking cessation case 17 criteria were selected, and in the contraceptive pill case 14 criteria were selected. One criterion is selected in all three cases by all respondents, this criterion is 'burden of disease'. The criteria 'need for organisational adaptations due to advice', 'increased administrative burden due to advice', 'necessary modifications in legislation and regulation', and 'change in finance due to advice' which are all part of the main criteria 'feasibility' were not selected in all three cases.

In addition to these criteria, per case some criteria were selected by all respondents, and some criteria were unanimously not selected. The criteria 'effectiveness', 'strength of evidence', 'total healthcare costs', and 'total social care costs' were selected by all respondents in the Pompe disease case and no additional criteria were not selected by all respondents. For the smoking cessation programme case the list of criteria selected by all respondents is different. They are 'effectiveness', 'strength of evidence', 'cost-effectiveness', 'predictable costs for patients', 'cost taken for own account', and 'ethical constraints. Furthermore, 'changing healthcare consumption due to advice', and 'capital destruction or a signal effect due to advice' were not selected at all. In the case of the contraceptive pill the criteria 'predictable costs for patient', and 'cost taken for own account' are in addition selected by all respondents. The criteria 'treatment cost structural or single', 'usual care', 'precedent due to advice', 'public response', 'harm to others', and 'capital destruction or a signal effect due to advice' were not selected at all. Out of all the arguments the top three of most selected criteria in all cases is 'burden of disease', 'effectiveness', and 'strength of evidence'.

Table 1 shows the values given in the three cases. The performance of the effectiveness of the drug (0-90) and the strength of evidence (10-100) supporting this effectiveness in the non-classical form of Pompe disease are valued differently between respondents. On the other hand, the perceived burden of disease (80-100) is valued more equal between respondents. In the smoking cessation programme case differences range from 12-71 for the costs which can be taken for own account to 10-30 for the predictable costs for the patient. The values for the contraceptive pill case range from 7-58 for the cost which can be taken for own account to 30-44 for the perceived burden of disease.

Table 1: *Values for the performance of the criteria in the three cases*

(0 = certainly not include treatment on the basis of this criterion, 100 = certainly include treatment on the basis of this criterion)

Criteria	Pompe			Smoking cessation program		Contraceptive pill	
	N (n=5)	Mean (Min.-Max.)		N (n=3)	Mean (Min.-Max.)	N (n=2)	Mean (Min.-Max.)
		C	NC			P	M
Effectiveness							
Effectiveness	5	91,2 (75,0-100,0)	39,0 (0,0-90,0)	3	30,7 (10,0-62,0)	1	25,0 (25,0-25,0)
Strength of evidence	5	54,6 (20,0-76,0)	56,0 (10,0-100,0)	3	40,7 (19,0-70,0)	1	24,0 (24,0-24,0)
Cost-effectiveness	3	28,3 (0,0-60,0)	6,7 (0,0-10,0)	3	56,7 (24,0-75,0)	1	24,0 (24,0-24,0)
Necessity							
Burden of disease	5	92,6 (80,0-100,0)	70,0 (10,0-100,0)	3	54,3 (24,0-76,0)	2	37,0 (30,0-44,0)
Care as formulated in the ZvW	4	91,3 (75,0-100,0)		2	56,0 (35,0-77,0)	1	76,0 (76,0-76,0) 23,0 (23,0-23,0)
Treatment costs structural or single	2	55,0 (10,0-100,0)		1	10,0 (10,0-10,0)	0	
Predictable costs for patient	3	94,7 (84,0-100,0)		3	20,3 (10,0-30,0)	2	36,0 (16,0-56,0)
Costs taken for own account	4	74, (10,0-100,0)		3	33,3 (12,0-71,0)	2	32,5 (7,0-58,0)
Savings which can compensate expenses	2	55,0 (10,0-100,0)		2	27,5 (20,0-35,0)	1	24,0 (24,0-24,0)
Usual care	3	64,7 (10,0-100,0)		2	37,5 (33,0-42,0)	0	
Changing health care consumption due to advice	2	87,0 (79,0-95,0)		0		1	28,0 (28,0-28,0)
Risk on substitution due to advice	1	100,0 (100,0-100,0)		1	31,0 (31,0-31,0)	1	10,0 (10,0-10,0)
Feasibility							
Ethical constraints	3	29,3 (0,0-78,0)		3	44,7 (34,0-63,0)	1	75,0 (75,0-75,0)
Total healthcare costs	5	68,4 (10,0-100,0)		2	51,5 (32,0-71,0)	1	20,0 (20,0-20,0)
Total social care costs	5	65,0 (20,0-100,0)		2	60,5 (51,0-70,0)	1	57,0 (57,0-57,0)
Need for organisational adaption due to advice	0			0		0	
Increased administrative burden due to advice	0			0		0	

Necessary modifications in legislation and regulation	0		0		0
Change in finance due to advice	0		0		0
Additional arguments					
Precedent due to advice	2	75,0 (50,0-100,0)	1	72,0 (72,0-72,0)	0
Public response	1	50,0 (50,0-50,0)	1	60,0 (60,0-60,0)	0
Harm to others	2	75,0 (50,0-100,0)	1	70,0 (70,0-70,0)	0
Capital destruction or a signal effect due to advice	2	76,5 (76,0-77,0)	0		0
Other:					
Due to the spread of effects I would direct to a differentiation. This is not possible in a normal inclusion in the package, therefore, I would advise to exclude the treatment and argue for more research.	1	0,0 (0,0-0,0)			
Effect measurement (6 minute walking test) was not properly and advise of CFH/WAR sounded more positive as the advice of the CVZ to the ACP.	1	91,0 (91,0-91,0)			
Reasonably foreseeable costs that can come on patients own account, especially in times of recession and weighed against problems with a high burden of disease				1	6,0 (6,0-6,0)
C = classic form of Pompe disease					
NC = Non-classic form of Pompe disease					
P = for birth preventive reason					
M = for medical reason					

3.2 Weights reflecting the relative importance of the criteria

The next step in the process consisted of obtaining weights which reflect the relative importance of the criteria in the decision for the three cases. The respondents ranked the criteria selected in the first part and assigned weights to the criteria they selected (table 2). In case a criterion was not selected by a respondent, the researcher assigned a weight of zero to this criterion in order to calculate a mean weight. Weights per respondent per case can be found in Appendices VI, VII and VIII.

Table 2: *Weights reflecting the relative importance of the criteria*

(0 = criterion is not important, 100 = criterion is very important)

Criteria	Pompe		Smoking cessation program		Contraceptive pill	
	N (n=5)	Mean (Min.-Max.)	N (n=3)	Mean (Min.-Max.)	N (n=2)	Mean (Min.-Max.)
Effectiveness						
Effectiveness	5	99,4 (97,00-100,00)	3	89,3 (78,0-100,0)	1	50,0 (0,0-100,0)
Strength of evidence	5	92,2 (84,0-100,0)	3	82,7 (77,0-91,0)	1	30,5 (0,0-61,0)
Cost-effectiveness	3	55,6 (0,0-100,0)	3	67,3 (39,0-100,0)	1	29,5 (0,0-59,0)
Necessity						
Burden of disease	5	97,2 (90,0-100,0)	3	83,3 (71,0-100,0)	2	57,0 (14,0-100,0)
Care as formulated in the ZvW	4	75,2 (0,0-100,0)	2	39,3 (0,0-78,0)	1	50,0 (0,0-100,0)
Treatment costs structural or single	2	25,2 (0,0-70,0)	1	26,3 (0,0-79,0)	0	
Predictable costs for patient	3	29,4 (0,0-98,0)	3	88,0 (81,0-100,0)	2	88,5 (77,0-100,0)
Costs taken for own account	4	70,6 (0,0-100,0)	3	87,8 (75,0-100,0)	2	70,5 (41,0-100,0)
Savings which can compensate expenses	2	20,4 (0,0-52,0)	2	46,0 (0,0-97,0)	1	15,5 (0,0-31,0)
Usual care	3	36,8 (0,0-90,0)	2	34,0 (0,0-61,0)		
Changing health care consumption due to advice	2	24,2 (0,0-88,0)	0		1	16,0 (0,0-32,0)
Risk on substitution due to advice	1	14,0 (0,0-70,0)	1	26,7 (0,0-80,0)	1	15,0 (0,0-30,0)
Feasibility						
Ethical constraints	3	55,0 (0,0-100,0)	3	67,3 (40,0-82,0)	1	38,0 (0,0-76,0)
Total healthcare costs	5	40,2 (20,0-75,0)	2	38,3 (0,0-75,0)	1	50,0 (0,0-100,0)
Total social care costs	5	53,8 (20,0-100,0)	2	39,0 (0,0-77,0)	1	50,0 (0,0-100,0)
Need for organizational adaption due to advice	0		0		0	
Increased administrative burden due to advice	0		0		0	
Necessary modifications in legislation and regulation	0		0		0	
Change in finance due to advice	0		0		0	
Additional arguments						
Precedent due to advice	2	12,0 (0,0-50,0)	1	26,7 (0,0-80,0)	0	

Public response	1	7,0 (0,0-28,0)	1	11,3 (0,0-34,0)	0
Harm to others	2	17,6 (0,0-78,0)	1	26,7 (0,0-80,0)	0
Capital destruction or a signal effect due to advice	2	26,0 (0,0-100,0)	0		0
Other:			0		0
Due to the spread of effects I would direct to a differentiation. This is not possible in a normal inclusion in the package, therefore, I would advise to exclude the treatment and argue for more research.	1	20,0 (0,0-100,0)			
Effect measurement (6 minute walking test) was not properly and advise of CFH/WAR sounded more positive as the advice of the CVZ to the ACP.	1	20,0 (0,0-100,0)			
Reasonably foreseeable costs that can come on patients own account, especially in times of recession and weighed against problems with a high burden of disease				1	50,0 (0,0-100,0)

The weights given differ per respondent. In case of the Pompe treatment weights vary between zero and 100 for 'cost-effectiveness', 'care as formulated in the ZvW', 'costs taken for own account', 'ethical constraints', and 'capital destruction or a signal effect due to advice'. For the smoking cessation program it varies from zero to 97 for 'savings which can compensate expenses', and from zero to 80 for 'risk on substitution due to advice', and 'precedent due to advice'. And from zero to 100 for 'effectiveness', 'care as formulated in the ZvW', 'total healthcare costs', and 'total social care costs' in the contraceptive pill case.

Table 2 also shows that mean weights differ between cases. The criterion reflecting the perceived burden of disease is weighted by all respondents in all cases and receives a mean weight of 57 in the contraceptive pill case and a mean weight of 97 in the Pompe disease case. The difference in means is the smallest for the criterion 'total healthcare costs'. The five highest rated criteria based on their mean weights in the Pompe disease case are: 'effectiveness', 'burden of disease', 'strength of evidence', 'care as formulated in the ZvW', and 'costs taken for own account'. For the smoking cessation program these are 'effectiveness', 'predictable costs for patients', 'costs taken for own account', 'burden of

disease', and 'strength of evidence'. For the contraceptive pill these are 'predictable costs for patient', 'costs taken for own account', 'burden of disease', and the following four criteria received even points 'effectiveness', 'care as formulated in the ZvW', 'total healthcare costs', and 'total social care costs'. The criteria: 'effectiveness', 'strength of evidence', 'burden of disease', 'predictable costs for patient', and 'costs taken for own account' received in multiple cases high weights.

Weights also differ between persons within cases (Appendices VI, VII, and VIII). For example respondent 1 gives no weight to 'effectiveness', which counts as a weight of zero, in the contraceptive pill case and a weight of 100 to the same criterion in the Pompe disease case. On the other hand, weights are sometimes alike. Respondent 2 gives the criteria 'effectiveness' and 'burden of disease' in all cases a weight of 100.

3.3 Overall value

With use of the additive model (figure 2) an overall value was calculated for each of the cases (table 3).

Table 3: *Additive value function for the three cases*

	Pompe		Smoking cessation program	Contraceptive pill	
	C	NC		P	M
	Mean (Min.-Max.)	Mean (Min.-Max.)	Mean (Min.-Max.)	Mean (Min.-Max.)	Mean (Min.-Max.)
Overall value	69,8 (40,8-94,2)	58,9 (20,5-90,4)	40,4 (20,3-61,3)	29,5 (13,0-46,0)	26,3 (13,0-39,5)

Table 3 shows that the treatment of the classic form of the Pompe disease receives most points which indicates that the respondents are most certain about inclusion of this treatment into the basic package compared to the other treatments. Furthermore, they are less certain about inclusion of the treatment of the non-classic form of the Pompe disease, and the smoking cessation program and least certain about inclusion of the contraceptive pill compared with the other treatments.

3.4 Reflection on analysis

Table 4a, 4b and 4c show that using the framework the respondents feel most certain about the inclusion of the Pompe treatment, thereafter the contraceptive pill and least certain about inclusion of the smoking cessation program.

The data show a different order in certainty about whether the chosen values and weights during the questionnaire will result in this advice. The respondents are most certain that the answers given in the questionnaire will result in the same advice in the contraceptive pill case, closely followed by the Pompe treatment and least certain about the smoking cessation program.

About the certainty of the correctness of the initial advice, the data show the same ranking order as with the certainty about the inclusion of the treatments. Highest in rank order is the Pompe treatment, followed by the contraceptive pill, and finally the smoking cessation program.

Table 4a: *Reflection on analysis in the Pompe treatment case*

	Pompe	
	N	Mean (Min.-Max.)
Certainty correctness advice at that time (0=uncertain/ 100=certain)	5	87,0 (62,0-100,0)
Opinion about inclusion on the basis of this analysis (0=not include/ 100=include)	5	65,8 (0,0-100,0)
Certainty about if this analysis will lead to this advice (0=uncertain/ 100=certain)	5	79,6 (46,0-100,0)

Table 4b: *Reflection on analysis in the smoking cessation program case*

	Smoking cessation program	
	N	Mean (Min.-Max.)
Certainty correctness advice at that time (0= uncertain/ 100=certain)	3	80,0 (75,0-85,0)
Opinion about inclusion on the basis of this analysis (0=not include/ 100=include)	3	48,3 (20,0-70,0)
Certainty about if this analysis will lead to this advice (0=uncertain/ 100=certain)	3	48,3 (20,0-70,0)

Table 4c: *Reflection on analysis in the contraceptive pill case*

	Contraceptive pill	
	N	Mean (Min.-Max.)
Certainty correctness advice at that time (0=uncertain/ 100=certain)	2	82,5 (80,0-85,0)
Opinion about inclusion on the basis of this analysis (0=not include/ 100=include)	2	50,00 (20,0-50,0)
Certainty about if this analysis will lead to this advice (0=uncertain/ 100=certain)	2	85,00 (80,0-90,0)

4. Discussion and conclusion

4.1 Discussion

The current decision making process of the ACP is a deliberative process. In this study it is explored whether this process could and should be structured with use of MCDA. This was done by the use of a framework in which all criteria of the deliberative process were combined for three already assessed cases in a questionnaire. The three cases were the reimbursement of; the treatment for the Pompe disease, the smoking cessation program and the use of the contraceptive pill. For all three cases respondents were asked to select the criteria of which they believed should be taken into account from a list of arguments, or in case they missed an argument to add it. Three arguments were added. However, it is thought that the three added arguments could be placed under the criteria 'effectiveness', 'strength of evidence', 'predictable costs for patient' and 'costs taken for own account'. Therefore, it can be assumed that the framework is not missing any criteria. However, more reasons can exist for not adding more criteria. For example it is possible that the list of arguments was not clear to the respondents or that the respondents were unmotivated and accordingly did not add other criteria. This problem would be solved when the framework would be used in addition to the deliberative process, and a discussion would arise about the added arguments. Moreover, it clarifies a weak spot of the MCDA procedure. It gives the respondents the opportunity to influence the final outcome in their interest.

The criterion 'burden of disease' was the only criterion which was selected by all respondents in all three cases, after that the criteria 'effectiveness', and 'strength of evidence' were mostly selected out of all arguments. These criteria are therefore referred to as important criteria. It was expected that these criteria would be mostly selected, since they are often mentioned in the ACP meeting reports and they are part of the package criteria developed by ZiNL. In the Pompe disease case two of the five respondents did not select the arguments 'cost-effectiveness' and 'ethical constraints', this is remarkable since these are part of the list of criteria developed by ZiNL. Moreover, in the contraceptive pill case only one of the two respondents selected the arguments belonging to the main criteria effectiveness and the argument 'ethical constraints'. Because effectiveness is one of the main criteria, and multiple ethical constraints were discussed during the ACP meetings it was expected that all respondents would select these criteria. The first sub question focused on whether the respondents use different criteria to base their advice on. There is shown that this is the case. Furthermore, the sub criteria which belong to the main criterion 'additional

arguments' are now based on the three assessed cases, because of this it is possible that when the framework is used in future decisions about other treatments, other additional arguments should be added.

The next step in the questionnaire was the valuation of the performance of the treatments on the criteria. Differences and similarities in the same case were found in the values given. No conclusions can be drawn from the values given for the performances of the criteria between the cases. Differences may be due to the differences in performance. However, values differed also between respondents. Since there is no agreement within the Dutch society about which ethical principle (efficiency or equity) should have the main focus within the reimbursement setting (Moerkamp, 2013), it was expected that this would be reflected in the opinions of the respondents. A potential information bias can occur in the question about the values. There is a chance that the respondents gave little or many points to a performance in order to influence the final advice rather than to really value the performance.

Furthermore, respondents were asked to rank the criteria in order of importance and to assign weights which reflect their relative importance. Differences were found in the mean weights given per case. The second sub question focused on whether weights do depend on the case, this can be confirmed since the results suggest that weights do actually depend on the case. Overall, the criteria 'effectiveness', 'strength of evidence', 'burden of disease', 'predictable costs for patient', and 'costs taken for own account' were repeatedly highly weighted and therefore considered important criteria.

In addition to the different weights per case, interpersonal differences were found as well. According to Tony et al. (2011) this is logical while individual perspectives are gained, which are expected to vary among individuals. In addition, Bots & Hulshof (2000) mention that no consensus should be forced, and that when there are differences between respondents these should be acknowledged, rather than kept hidden. The third sub question was focusing on whether DM differentiate in their judgment. This is shown to be the case, since the weights differ between cases and between respondents. Therefore, no fixed relative weights can be attributed to the main criteria. However, in general it can be stated that the relative weight of the main criterion 'necessity' is greater than the relative weight of 'effectiveness' and 'feasibility'. The lowest weights in these cases were unanimously given to the main criterion 'additional arguments'. However, this does not necessarily indicates that the

respondents believe that the main criterion 'necessity' is more important as the main criterion 'effectiveness'. A reason for this difference could be that the amount of sub criteria is not the same for every main criterion. The more sub criteria per main criterion, the larger the chance to receive the highest relative weight. Despite the generic fact of the order in relative weights, weights vary between cases. According to Tony et al. (2011) this is not appropriate. They indicate that in order to be consistent throughout appraisals weights should be attributed at once and be used in all appraisals.

With the values and weights given, the additive value function was calculated for every case. This resulted in a rank order which does not correspond to the rank order of inclusion when the decisions were initially made. These results do also not correspond with the confidence of the DM in this analysis. The third sub question which questioned whether overall value correlated with confidence in the decision can therefore be answered negatively. Multiple reasons can be responsible for this difference, like the low response rate, and an unclear method of questioning. Furthermore, the validity of the measurement of the values for the performance of the criteria might have had an effect. It could be possible that respondents valued the performance of some criteria high or low, while they were familiar with the fact it might have an effect on the final outcome. Moreover, it is difficult to say whether the advice order with the framework really is the same or different compared with the deliberative process. When the decisions were made the ACP was most certain about inclusion of the contraceptive pill for medical purposes and for preventive purposes for woman below the age of 21. About the smoking cessation program they had serious doubts, and the advice for the Pompe treatment was to exclude it from the basic package. However, of the three cases the ACP members were most certain about that the Pompe treatment should be paid out of collective resources, although out of a separate financing system. This option was not possible to select within the framework, and could be an explanation for the high additive value score for the Pompe treatment. The same explanation might apply for the rank order of the treatments based on the confidence of the respondents in this analysis with use of MCDA. These results indicate that the deliberative decision process of the ACP can not be replaced by a framework, because there has to be an opportunity to make exceptions.

The disadvantages of the current process of the ACP are that it is not completely transparent and consistent, which is in contrast with societal needs. When the current deliberative process would be replaced by a framework based on MCDA some advantages and disadvantages will become clear. The main advantages are that it provides a clear structure

and combines evidence with judgments of clinical relevance (European Medicines Agency, 2012). Moreover, it forces the DM to seriously think about and clearly express what they value, and how they value it (Tony, et al., 2011), and to learn DM about their priority setting (Peacock, Mitton, Bate, McCoy, & Donaldson, 2009). Decisions can be reproduced and be demonstrated transparent to interested parties, and everyone's opinion is equally weighted. Furthermore, the framework can be used to exclude treatments which are now in the basic package, which is very useful in this time of budget cuts in healthcare. With use of MCDA one can compare the additive value function of multiple treatments for the same disease and mere admit the one with the highest value. Some disadvantages are the possibility of missing arguments in certain cases, when the framework is not actively discussed. Moreover, no exceptions can be made, which are sometimes necessary when deciding on such an important good as a person's health. It is believed that replacing the deliberative process by a framework based on MCDA is not the best solution. The framework should not be used prescriptive but in addition to the deliberative process in order to make the process more systematic and subsequently more likely to result in more equitable advices (Tony, et al., 2011) (Giacomini, 2007).

4.2 Limitations

Some limitations of the study have to be mentioned. First of all the low response rate. Unfortunately, of the nine invited DM only five responded on the first part of the questionnaire which was about the treatment of Pompe disease, only three answered the second part which was about the smoking cessation program, and only two filled in the last part which was about the contraceptive pill. Many reminders did not had the desired effect of stimulating the DM. Due to this low response rate, the values and weights and the reflection on the analysis in the last two cases may not be representative for the average opinion of the ACP members. Because of that, the comparison between the cases might be invalid. Moreover, a potential bias is incorporated in the question to the DM about their confidence in the initial decision. Afterwards there is a higher chance that they were certain about the decision in comparison to the situation in which the question was asked when the initial decision was made. Furthermore, the questionnaire is based on the criteria mentioned in the ACP meeting reports. It is possible that the meeting reports did not contain all criteria mentioned during the meetings and therefore it might be that some criteria are missing.

4.3 Recommendations

Large differences were found between respondents in the values and weights given to the performances of the criteria and the criteria themselves. It is believed that this is natural and might even be necessary in a group of DM who represent society. All DM have different backgrounds and a different opinion, similar to the differences in society. Moreover, different ranking orders were found in the questions about the reflection of the analysis. In future research regarding this subject different types of uncertainty which have an effect on the decision process should be taken into account. For example, uncertainty between DM, uncertainty about the performance of criteria, uncertainty about how to score the performance of criteria and uncertainty about the weights given to the criteria. The performance of a sensitivity analysis would be of added value to this subject. Moreover, the differences found in weights between the cases should be discussed within the ACP. In order to be consistent weights should be the same in all appraisals.

According to the researcher the three additional arguments mentioned by the respondents could be covered by the original list of criteria. In the future such overlapping arguments can be discussed during the decision process, in order to prevent double counting. It is therefore advised to discuss with the ACP members in a deliberative process about the criteria.

The last question of the reflection on the analysis deals with the certainty of the respondent about the answers given in the questionnaire resulting in certain advice. In other words, how do the respondents think about the face-validity of the analysis. Some low values were given. It is recommended to investigate in further research why some of the respondents do not have confidence in this analysis in order to make adaptations to the framework.

4.4 Conclusion

No fixed relative weights were given to the main criteria which are used by the ACP to decide upon advices about reimbursement for treatments within the Dutch basic package, because weights differed between cases and between DM. However, in general it can be stated that the relative weight of the main criterion 'necessity' is greater than the relative weight of 'effectiveness' and 'feasibility'. The lowest weights were unanimously given to the main criterion 'additional arguments'. In order to be consistent in future advices, relative weights for the criteria should be determined. Moreover, how the three treatments would be valued when the framework is used to structure the decision process of the ACP can not be concluded based on this report. However, with use of MCDA the chance that the

treatment of the classic form of the Pompe disease would be included in the basic health care package is larger than the chance that the medical use of the contraceptive pill would be included. It is advised to not replace the deliberative process by the framework, but to use the framework in addition to the deliberative process. A combination of the framework and the deliberative process would force DM to seriously think about and clearly express what they value and why they value it. Moreover, the addition of the framework to the deliberative process will lead to more transparency which is demanded by the general public, patients, patient advocacy groups, and other stakeholders.

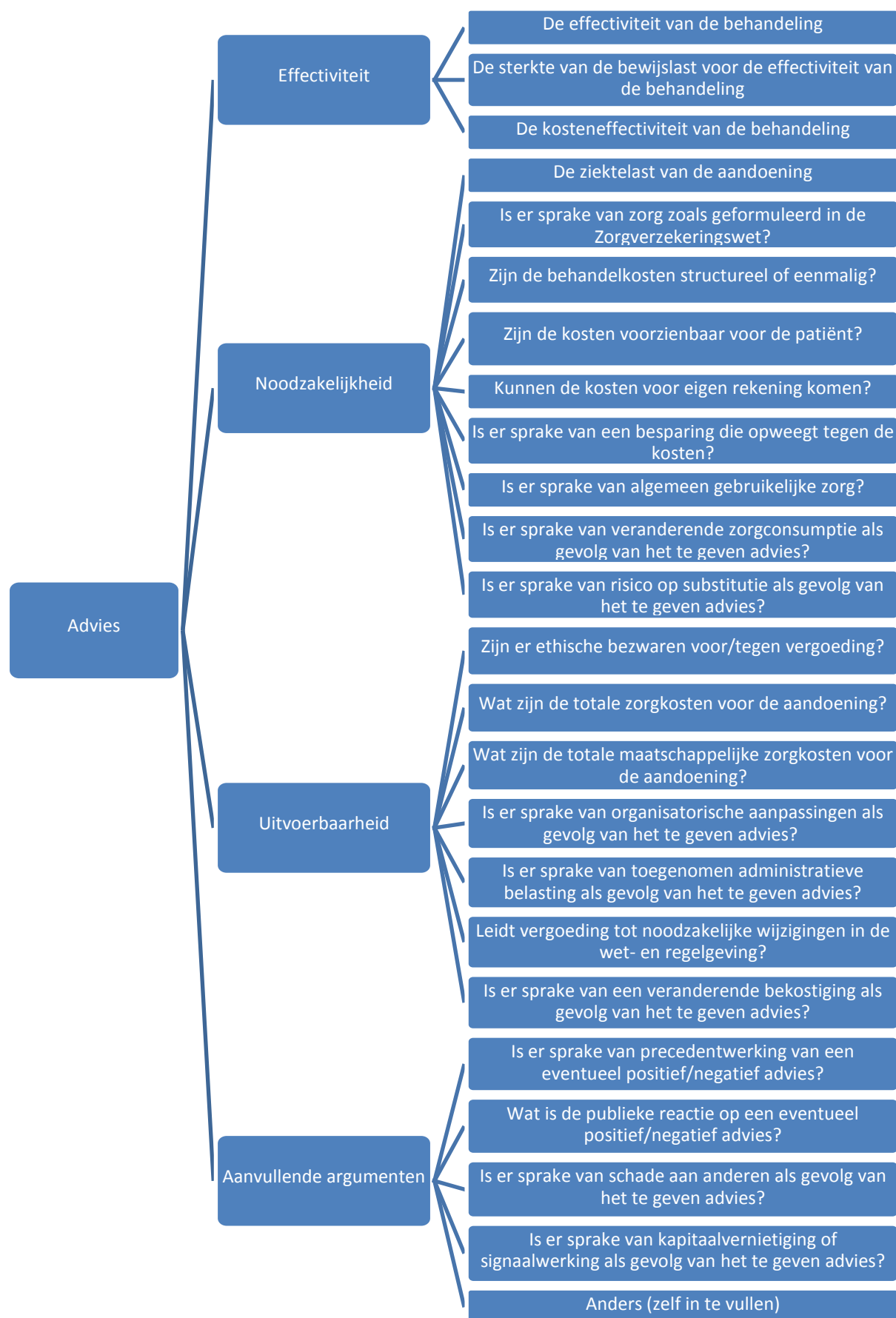
References

- Baltussen, R., & Niessen, L. (2006). Priority setting of health interventions: the need for multi-criteria decision analysis. *Cost Effectiveness and Resource Allocation*, 4:14.
- Belton, V., & Stewart, T. (2002). *Multiple criteria decision analysis : an integrated approach*. Boston, MA: Kluwer Academic Publishers.
- Bots, P. W., & Hulshof, J. A. (2000). Designing Multi-Criteria Decision Analysis Processes for Priority Setting in Health Policy. *Journal of Multi-Criteria Decision Analysis*, 56-75.
- Diaby, V., & Goeree, R. (2014). How to use multi-criteria decision analysis methods for reimbursement decision-making in healthcare: a step-by-step guide. *Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research*, 81-99.
- Dolan, J. G. (2010). Multi-Criteria Clinical Decision Support. A Primer on the Use of Multiple-Criteria Decision-Making Methods to Promote Evidence-Based, Patient-Centered Healthcare. *Patient*, 229-248.
- Edwards, W. (1971). Social utilities. *The Engineering Economist, Summer Symposium Series*, 119-129.
- Edwards, W. (1977). How to use multiattribute utility measurement for social decisionmaking. *IEEE Transactions on Systems, Man, and Cybernetics*, 326-340.
- European Medicines Agency. (2012). *Benefit-risk methodology project. Work package 4 report: benefit-risk tools and processes*. London.
- Giacomini, M. (2007). How Good Is Good Enough? Standards in Policy Decisions to Cover New Health Technologies. *Health Policy*, 91-101.
- Goetghebeur, M. M., Wagner, M., Khoury, H., Levitt, R. J., Erickson, L. J., & Rindress, D. (2012). Bridging Health Technology Assessment (HTA) and Efficient Health Care Decision Making with Multicriteria Decision Analysis (MCDA): Applying the EVIDEM Framework to Medicines Appraisal. *Medical decision making*, 376-388.
- Groothuis-Oudshoorn, C. (2014, July 7). *Project: A roadmap for uncertainty analysis in MCDA*. Retrieved from ZonMW: <http://www.zonmw.nl/nl/projecten/project-detail/a-roadmap-for-uncertainty-analysis-in-mcda/samenvatting/>
- Haan, M. d., & Wit, J. d. (2010). *Pakketadvies 2010*. Diemen: CVZ.

- Health Care Insurance Board. (2014, July). *Taking care of good healthcare*. Retrieved February 12, 2014, from CVZ: <https://www.cvz.nl/binaries/content/documents/zinl-www/documenten/rubrieken/organisatie/1307-health-care-insurance-board-taking-care-of-good-health-care/Health+Care+Insurance+Board+%28Taking+care+of+good+health+care%29.pdf>. 12-2-14
- Hunink, M., Glasziou, P., Siegel, J., Weeks, J., Pliskin, J., Elstein, A., & Weinstein, M. (2011). *Decision making in health and medicine*. Cambridge: University Press.
- Kroes, M. E., & Mastenbroek, C. G. (2009). *Stoppen-met-rokenprogramma: te verzekeren zorg!* Diemen: CVZ.
- Moerkamp, A. (2013, October 14). *Pakketbeheer in de praktijk deel 3*. Retrieved February 20, 2014, from CVZ: <http://www.cvz.nl/binaries/content/documents/zinl-www/documenten/publicaties/rapporten-en-standpunten/2013/1310-pakketbeheer-in-de-praktijk-deel-3/Pakketbeheer+in+de+Praktijk+%28deel+3%29.pdf>
- Peacock, S., Mitton, C., Bate, A., McCoy, B., & Donaldson, C. (2009). Overcoming barriers to priority setting using interdisciplinary methods. *Health Policy*, 124-132.
- Sullivan, T. (2012, October). *Using MCDA (Multi-Criteria Decision Analysis) to prioritise publicly-funded health care (Thesis, Doctor of Philosophy)*. Retrieved March 4, 2014, from University of Otago: <http://hdl.handle.net/10523/2651>
- Thokola, P. (2011). *Multiple criteria decision analysis for health technology assessment*. University of Sheffield, UK: School of Health and Related Research.
- Tony, M., Wagner, M., Khoury, H., Rindress, D., Papastavros, T., Oh, P., & Goetghebeur, M. M. (2011). Bridging Health Technology Assessment (HTA) with multicriteria decision analysis (MCDA): field testing of the EVIDEM framework for coverage decisions by a public payer in Canada. *BMC Health Services Research*.
- Trouw, H. J., & Zwaap, J. (2012). *Verslag van ACP 33: Vergadering Adviescommissie Pakket CVZ d.d. 21 september 2012*. Diemen: CVZ.
- von Winterfeldt, D., & Edwards, W. (1986). *Decision analysis and behavioral research*. Cambridge: Cambridge University Press.
- WHO. (2000). *The world health report 2000. Health Systems: Improving Performance*. Switzerland: World Health Organization.

Appendices

Appendix I: Framework



Appendix II: Questionnaire

Inzichtelijk maken beslisproces ACP

Geacht lid van de Advies Commissie Pakket,

Wij willen u vragen, aan de hand van een gestructureerd stappenplan, het besluitvormingsproces voor 3 eerdere adviezen te herhalen. Het gaat hier om de vergoeding van (a) alglucosidase alfa bij de ziekte van Pompe, (b) het stoppen-met-rokenprogramma en (c) de orale hormonale anticonceptiemiddelen. Het stappenplan is gebaseerd op gegevens uit de eerder afgenomen interviews, verschillende documenten van het CVZ en de notulen van de ACP vergaderingen.

Het stappenplan bestaat uit 3 onderdelen en wordt voor elk advies herhaald.

1. U selecteert de argumenten/vragen aan de behandeling die volgens u relevant zijn in het beslisproces en waardeert vervolgens de behandeling voor elk criterium.
2. U rangschikt de criteria op volgorde van belangrijkheid en beoordeelt in hoeverre elk van deze criteria voor u meespeelt in het te geven advies.
3. U geeft uw advies.

Tijdens het invullen van het stappenplan wordt u gevraagd een maatschappelijk perspectief te hanteren.

Aan het eind van de vragenlijst wordt u gevraagd naar uw oordeel over de meerwaarde en beperkingen van deze methode om het besluitvormingsproces van de ACP te ondersteunen.

Het invullen van de vragenlijst zal +/- 30 minuten in beslag nemen. U kunt tussentijds stoppen en op een later tijdstip op hetzelfde punt de vragenlijst hervatten.

Wanneer u de lettergrootte aan de kleine kant vindt, kunt u het beeld vergroten door op uw toetsenbord 'Ctrl' en '+' in te drukken.

We hopen op een snelle reactie. Bij voorbaat dank.

Met vriendelijke groet,

Karin Groothuis,
Janine van Til,
Jennifer van den Top

Selecteren argumenten/vragen: ziekte van Pompe

De ziekte van Pompe is een niet veel voorkomende, progressieve spierziekte en wordt veroorzaakt door een tekort aan α -glucosidase. De te beoordelen behandeling is α -glucosidase alfa. Er zijn twee verschillende vormen van de ziekte van Pompe, namelijk de klassieke en de niet-klassieke vorm. De beoordeling wordt apart uitgevoerd voor deze twee vormen.

De ACP is gevraagd advies te geven over de continuering van de voorlopige opname van α -glucosidase alfa voor de indicatie 'ziekte van Pompe'.

De voorlopige conclusie van het CVZ is om de behandeling van de klassieke vorm van de ziekte van Pompe te handhaven en de behandeling van de niet-klassieke vorm uit het basispakket te halen met daarbij uitgezonderd patiënten die tijdens hun eerste levensjaar symptomen vertonen van tekorten waarbij niet met zekerheid bepaald kan worden of zij de klassieke vorm van de ziekte van Pompe hebben. Voor de patiënten met de niet-klassieke vorm die nu al behandeld worden moet een overgangsmaatregel getroffen worden. Daarnaast wordt er geadviseerd om een transparanter systeem te organiseren voor het toepassen van start- en stopcriteria en te onderhandelen met de fabrikant over een kostenreductie.

Hieronder ziet u alle argumenten/vragen. Allereerst is het de bedoeling dat u de argumenten/vragen selecteert die volgens u een rol moeten spelen in het beslisproces. Vervolgens waardeert u de prestatie van de behandeling van de ziekte van Pompe met α -glucosidase alfa per criteria.

Hier kunt u de argumenten/vragen selecteren die volgens u een rol spelen in het beslisproces.

- ☐ De effectiviteit van de behandeling
- ☐ De sterkte van de bewijslast voor de effectiviteit van de behandeling
- ☐ De kosteneffectiviteit van de behandeling
- ☐ De ziektelast van de aandoening
- ☐ Is er sprake van zorg zoals geformuleerd in de Zorgverzekeringswet?
- ☐ Zijn de kosten voorzienbaar voor de patiënt?
- ☐ Kunnen de kosten voor eigen rekening komen?
- ☐ Is er sprake van een besparing die opweegt tegen de kosten?
- ☐ Is er sprake van algemeen gebruikelijke zorg?
- ☐ Zijn er ethische bezwaren voor/tegen vergoeding?
- ☐ Is er sprake van veranderende zorgconsumptie als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Wat zijn de totale zorgkosten voor de aandoening?
- ☐ Wat zijn de totale maatschappelijke zorgkosten voor de aandoening?
- ☐ Is er sprake van organisatorische aanpassingen als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Is er sprake van toegenomen administratieve belasting als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Is er sprake van risico op substitutie als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Leidt vergoeding tot noodzakelijke wijzigingen in de wet- en regelgeving?
- ☐ Is er sprake van een veranderende bekostiging als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Is er sprake van precedentwerking van een eventueel positief/negatief advies?
- ☐ Wat is de publieke reactie op een eventueel positief/negatief advies?
- ☐ Is er sprake van schade aan anderen als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Is er sprake van kapitaalvernietiging of signaalwerking als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Zijn de behandelkosten structureel of eenmalig?
- ☐ Andere:

Prestatie waardering: klassieke vorm ziekte van Pompe

Hier kunt u de prestatie van de behandeling van de klassieke vorm van de ziekte van Pompe met alglucosidase alfa per criterium waarderen.

U kunt de schuifbalk verplaatsen door deze aan te klikken en te verschuiven. Wanneer u dit doet zal boven de schuifbalk zichtbaar worden op welk getal u staat.

Effectiviteit bij de klassieke vorm

“De behandeling met alglucosidase alfa bij patiënten met de klassieke vorm van de ziekte van Pompe wijzen op een verlenging van de levensduur. Na 36 maanden behandelen was 49% van de behandelde patiënten en 2% van de onbehandelde patiënten nog in leven. De gemiddelde overlevingswinst is circa 2 jaar na 36 maanden behandelen. Verder was er een sterke verbetering van de mate van cardiomyopathie en bij een kwart van de patiënten ontwikkelde de motoriek zich dusdanig dat deze patiënten zelfstandig konden lopen.”

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- | Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

De bewijslast voor de klassieke vorm

Klassieke vorm:

Soort onderzoek	N	Follow-up duur
Extensie van de open-label AGLU 1602 gerandomiseerde studie (C, PP)	16	Tot 3 jaar
Multicenter, open-label studie (B, PP)	20	52-120 weken
Retrospectieve studie (C)	21	Mediaan 31 maanden
Retrospectieve studie van dossiers	168	n.v.t.
Prospectieve, open-label studie (C, ITT)	12	Niet gegeven

Klassieke en niet klassieke vorm

Soort onderzoek	N	Follow-up duur
Prospectieve, open-label studie (C, ITT)	99	Mediaan 6 jaar (0,5 tot 9)

A2 = Gerandomiseerd, dubbelblind vergelijkend klinisch onderzoek van goede kwaliteit en voldoende omvang

PP= per protocol

ITT = intention to treat

B = vergelijkend onderzoek

C = niet vergelijkend onderzoek

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Kosteneffectiviteit bij de klassieke vorm

Bij de klassieke vorm zijn de kosten tussen de €300.000 en €900.000 per gewonnen QALY (afhankelijk van de gegeven dosering).

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Ziektelast bij de klassieke vorm

De ziektebelasting wordt uitgedrukt in een getal tussen de 0 (laag) en de 1 (hoog).

Bij patiënten met de klassieke vorm is er bijna geen α -glucosidase activiteit. Zonder behandeling met α -glucosidase alfa (Myozyme®) overlijden deze patiënten over het algemeen in het eerste levensjaar. De ziektebelasting bij de klassieke vorm is 0,90 of hoger.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Prestatie waardering: niet-klassieke vorm ziekte van Pompe

Hier kunt u de prestatie van de behandeling van de niet-klassieke vorm van de ziekte van Pompe met alglucosidase alfa per criterium waarderen.

U kunt de schuifbalk verplaatsen door deze aan te klikken en te verschuiven. Wanneer u dit doet zal boven de schuifbalk zichtbaar worden op welk getal u staat.

Effectiviteit bij de niet-klassieke vorm van de ziekte van Pompe

“Bij de niet-klassieke vorm van de ziekte van Pompe zijn de resultaten van de behandeling met alglucosidase alfa (Myozyme®) over het algemeen beperkt. De geëxtrapoleerde data van het Nederlandse uitkomstenonderzoek dat patiënten met de niet-klassieke vorm die behandeld worden met alglucosidase alfa (Myozyme®) beschreef, concludeert dat zij gemiddeld 0,25 jaar langer leven dan onbehandelde patiënten bij een tijdshorizon van 15 jaar (of te wel na maximaal 15 jaar behandelen).

De kwaliteit van leven voor de start van de studie en aan het einde van de studie veranderde niet bij behandelde en onbehandelde patiënten.

In dezelfde tijd nam het gemiddeld aantal meters dat binnen 6 minuten afgelegd werd toe van 332 ± 127 naar 358 ± 141 meter (gemiddelde verschil = 25 meters (95% BI: 10 tot 40)). Bij onbehandelde patiënten bleef het afgelegde aantal meters stabiel (gemiddelde verschil = -3 meter (95% BI: -24 tot 18)). De gemiddelde geforceerde vitale capaciteit (FVC; een maat voor de longfunctie) nam bij behandelde patiënten toe van $55,4\% \pm 14,4\%$ naar $56,7\% \pm 16,3\%$ (gemiddeld verschil = 1,2% (95% BI: -0,2 tot 2,6)). Bij onbehandelde patiënten nam deze af van $53,0\% \pm 15,7\%$ naar $50,7\% \pm 14,9\%$ (gemiddelde verschil -2,2% (95% BI: -4,1 tot -0,3)). “

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen | ☐ Zeker wel opnemen

De bewijslijst voor de niet-klassieke vorm

Niet-klassieke vorm:

Soort onderzoek	N	Follow-up duur
RCT (A2)	90	78 weken
Prospectieve, open-label studie (C, ITT)	5	3 jaar
Open-label extensieve studie van AGLU 2704 (C)	81	26-52 weken
Investigator-initiated open-label studie (C, PP)	44	1 jaar
Retrospectieve studie (C, PP)	268 v.d. 303	Niet gegeven
Prospectieve, open-label studie (C, ITT)	16 kinderen	6 jaar (0,1- 11)
Prospectieve, open-label studie (C, ITT)	71 volwassenen	Niet gegeven

Prospectieve studie	145	3 jaar
Retrospectieve en prospectieve studie (B)	271 uit 412	2002-2011

Klassieke en niet klassieke vorm

Soort onderzoek	N	Follow-up duur
Prospectieve, open-label studie (C, ITT)	99	Mediaan 6 jaar (0,5 tot 9)

A2 = Gerandomiseerd, dubbelblind vergelijkend klinisch onderzoek van goede kwaliteit en voldoende omvang

PP= per protocol

ITT = intention to treat

B = vergelijkend onderzoek

C = niet vergelijkend onderzoek

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Kosteneffectiviteit bij de niet-klassieke vorm

Bij de niet-klassieke vorm zijn de kosten €15 miljoen per gewonnen QALY.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Ziektelast bij de niet-klassieke vorm

Bij de niet-klassieke vorm is de mate van enzymactiviteit variabel. Bij onbehandelde patiënten met de niet-klassieke vorm van de ziekte van Pompe is de mediane leeftijd bij overlijden 55 jaar (range: 23 tot 77 jaar). De ziektelast bij de niet-klassieke vorm ligt tussen de 0,28 en 0,52.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Prestatie waardering: ziekte van Pompe

Hier kunt u de prestatie van de behandeling van de ziekte van Pompe met alglucosidase alfa per criterium waarderen.

U kunt de schuifbalk verplaatsen door deze aan te klikken en te verschuiven. Wanneer u dit doet zal boven de schuifbalk zichtbaar worden op welk getal u staat.

Kapitaalvernietiging en signaalwerking

Er is kapitaalvernietiging van de tientallen jaren onderzoek die in Nederland is besteed. Bovendien gaat er in het geval van niet vergoeden ook een slechte signaalwerking naar aanstaande arts/onderzoekers, spin-off bedrijven van academische ziekenhuizen, investeerders en bedrijfsleven.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Totale maatschappelijke zorgkosten

De totale maatschappelijke zorgkosten zijn niet bekend.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Totale zorgkosten

In 2009, het ijkjaar, was de omzet van alglucosidase alfa voor de indicatie ziekte van Pompe €36 miljoen en in 2010 €44 miljoen. Het ligt niet in de lijn der verwachtingen dat de budgetimpact in de toekomst (sterk) zal dalen.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

|Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Veranderende zorgconsumptie

Aangezien er tijdens het eerste levensjaar moeilijk een onderscheid gemaakt kan worden tussen patiënten met de klassieke en niet-klassieke vorm, zullen bij bekostiging van alleen de klassieke vorm alle infantiele patiënten de klassieke diagnose krijgen om behandeld te worden. Dit zal geen grote gevolgen hebben, aangezien hier weinig patiënten onder vallen.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Wijzigingen in wet- en regelgeving

Er zijn geen wijzigingen nodig in de wet- en regelgeving.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Ethische bezwaren

Tijdens de vergaderingen kwamen de volgende argumenten aan de orde:

- Is het ethisch verantwoord om een behandeling die er is niet te vergoeden?
- Is het ethisch om een eindig budget te spenderen aan een kleine groep terwijl dit mogelijk de gezondheidswinst voor anderen beperkt?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Veranderende bekostiging

De bekostiging zal voor als nog niet veranderen.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Administratieve belasting

De administratieve belasting zal zwaarder worden wanneer er een onderscheid gemaakt wordt tussen de klassieke en niet-klassieke vorm van de ziekte van Pompe.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Organisatorische aanpassingen

Er zijn geen organisatorische aanpassingen nodig.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Behandelmkosten zijn structureel of eenmalig

De behandelkosten zijn structureel.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Besparingen die opwegen tegen kosten op individueel niveau

Er zijn voor een individuele patiënt geen relevante besparingen die opwegen tegen de kosten van een behandeling.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Kosten voor eigen rekening

De gemiddelde jaarlijkse kosten per patiënt met de klassieke vorm van de ziekte van Pompe ligt rond €0,7 miljoen. De gemiddelde jaarlijkse kosten per patiënt met de niet-klassieke vorm ligt rond €0,4 miljoen.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Kosten voorzienbaar voor patiënt

De kosten zijn niet voorzienbaar voor deze patiënten.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Zorg zoals geformuleerd in de Zorgverzekeringswet (ZVW)

Geneeskundige zorg is één van de te verzekeren prestaties ingevolge de Zvw. Die zorg omvat onder meer zorg zoals medisch specialisten plegen te bieden (artikel 2.4, lid 1, Bzv). Alglucosidase alfa bij de indicatie 'ziekte van Pompe' valt onder de noemer 'zorg zoals medisch specialisten plegen te bieden'.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Is er sprake van algemeen gebruikelijke zorg?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Vul uw antwoord hier in:

Is er sprake van algemeen gebruikelijke zorg?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Is er sprake van risico op substitutie als gevolg van het te geven advies?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Vul uw antwoord hier in:

Is er sprake van risico op substitutie als gevolg van het te geven advies?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Is er sprake van precedentwerking van een eventueel positief/negatief advies?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Vul uw antwoord hier in:

Is er sprake van precedentwerking van een eventueel positief/negatief advies?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Wat is de publieke reactie op een eventueel positief/negatief advies?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Vul uw antwoord hier in:

Wat is de publieke reactie op een eventueel positief/negatief advies?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Is er sprake van schade aan anderen als gevolg van het te geven advies?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Vul uw antwoord hier in:

Is er sprake van schade aan anderen als gevolg van het te geven advies?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Andere (zelf in te vullen)

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Vul uw antwoord hier in:

Andere (zelf in te vullen)

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Rangschikken criteria: ziekte van Pompe

In de vorige stap heeft u uw oordeel gegeven over de performance van de behandeling op een aantal criteria. In deze stap willen wij u vragen het relatieve belang van de criteria aan te geven. Deze stap is opgedeeld in twee deeltappen.

Hier rangschikt u de criteria van meest belangrijk naar minst belangrijk.

Rangschikken van de criteria

- De effectiviteit van de behandeling
- De sterkte van de bewijslast voor de effectiviteit van de behandeling
- De kosteneffectiviteit van de behandeling
- De ziektelast van de aandoening
- Is er sprake van zorg zoals geformuleerd in de Zorgverzekeringswet?
- Zijn de kosten voorzienbaar voor de patiënt?
- Kunnen de kosten voor eigen rekening komen?
- Is er sprake van een besparing die opweegt tegen de kosten?
- Is er sprake van algemeen gebruikelijke zorg?
- Zijn er ethische bezwaren voor/tegen vergoeding?
- Is er sprake van veranderende zorgconsumptie als gevolg van het te geven advies?
- Wat zijn de totale zorgkosten voor de aandoening?
- Wat zijn de totale maatschappelijke zorgkosten voor de aandoening?
- Is er sprake van organisatorische aanpassingen als gevolg van het te geven advies?
- Is er sprake van toegenomen administratieve belasting als gevolg van het te geven advies?
- Is er sprake van risico op substitutie als gevolg van het te geven advies?
- Leidt vergoeding tot noodzakelijke wijzigingen in de wet- en regelgeving?
- Is er sprake van een veranderende bekostiging als gevolg van het te geven advies?
- Is er sprake van precedentwerking van een eventueel positief/negatief advies?
- Wat is de publieke reactie op een eventueel positief/negatief advies?

- Is er sprake van schade aan anderen als gevolg van het te geven advies?
- Is er sprake van kapitaalvernietiging of signaalwerking als gevolg van het te geven advies?
- Zijn de behandelkosten structureel of eenmalig?
- {criteria_pompe_other.NAOK}

Waarderen criteria: ziekte van Pompe

Hier kunt u achter elk criterium met de schuifbalk aangeven in welke mate dit criterium meespeelt in uw advies. De waarderingen die u hier aan de criteria geeft, worden uiteindelijk omgezet in een procentuele verdeling.

(Hier werd de gerankte lijst weergegeven)

- | Criterium telt niet mee | Criterium telt zwaar mee

Uw advies: ziekte van Pompe

In 2012 kwam de ACP tot het volgende oordeel over de vergoeding van alglucosidase alfa voor de ziekte van Pompe.

“De Commissie acht het wenselijk dat de behandeling van weesziekten als deze een bijzondere (financiële) regeling krijgt. Doeltreffende en doelmatige behandeling, juiste selectie van patiënten, het urgentie onderzoek, de daarvoor noodzakelijke patiëntregistratie en de bundeling/focus van expertise: al die zaken zijn daarmee gebaat. De Commissie bepleit daarnaast gericht beleid op de ontwikkeling, levering en prijsstelling van weesgeneesmiddelen. Er is voor dit type problemen nu eenmaal meer “maatwerk in beleid” nodig. Dan wordt het beter mogelijk het individuele zorgbelang van mensen met zeldzame ziekten en het algemene publieke belang te verenigen.”

Hoe zeker was u destijds over de juistheid van het advies over de vergoeding van de behandeling van de ziekte van Pompe met alglucosidase alfa?

- |Onzeker | Zeker

U heeft zojuist de wenselijkheid van de opname van de behandeling van de ziekte van Pompe met alglucosidase alfa in het basispakket beoordeeld op een aantal criteria en het onderlinge belang van deze criteria in uw advies gewogen.

Wat is op basis van deze analyse uw oordeel over opname van voor de ziekte van Pompe in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Hoe zeker bent u dat uw nu ingevulde waarderingen tot bovenstaand advies zullen leiden?

- |Onzeker | Zeker

Selecteren argumenten/vragen: Stoppen met rokenprogramma

Tabaksafhankelijkheid (roken) is een verslavingsziekte. Nicotine is vergelijkbaar met heroïne en cocaïne wat betreft effecten op de hersenen. Verslaving aan nicotine en tabak treedt al snel na het beginnen met roken op. Door dit verslavende effect treden bij het stoppen met roken ontwenningsverschijnselen op, die twee tot acht weken kunnen aanhouden. Hierdoor is stoppen met roken moeilijk. Het stoppen-met-roken-proces wordt vaak meerdere keren doorlopen voordat de roker er uiteindelijk in slaagt blijvend te stoppen. Het stoppen-met-rokenprogramma bestaat op dit moment uit: gedragsmatige ondersteuning, zoals de korte ondersteunende interventies of de intensieve op gedragsverandering gerichte interventies of gedragsmatige ondersteuning in combinatie met farmacotherapeutische ondersteuning met nicotine vervangende geneesmiddelen, nortriptyline en bupropion.

De ACP is gevraagd advies te geven over de opname van het stoppen-met-rokenprogramma in het basispakket.

De voorlopige conclusie van het CVZ is om het stoppen-met-rokenprogramma onderdeel te laten uitmaken van de verzekerde aanspraken.

Hieronder ziet u alle argumenten/vragen. Allereerst is het de bedoeling dat u de argumenten/vragen selecteert die volgens u een rol moeten spelen in het beslisproces. Vervolgens waardeert u de prestatie van het stoppen met rokenprogramma per criteria.

Hier kunt u de argumenten/vragen selecteren die volgens u een rol spelen in het beslisproces.

- ☐ De effectiviteit van de behandeling
- ☐ De sterkte van de bewijslast voor de effectiviteit van de behandeling
- ☐ De kosteneffectiviteit van de behandeling
- ☐ De ziektelast van de aandoening
- ☐ Is er sprake van zorg zoals geformuleerd in de Zorgverzekeringswet?
- ☐ Zijn de kosten voorzienbaar voor de patiënt?
- ☐ Kunnen de kosten voor eigen rekening komen?
- ☐ Is er sprake van een besparing die opweegt tegen de kosten?
- ☐ Is er sprake van algemeen gebruikelijke zorg?
- ☐ Zijn er ethische bezwaren voor/tegen vergoeding?
- ☐ Is er sprake van veranderende zorgconsumptie als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Wat zijn de totale zorgkosten voor de aandoening?
- ☐ Wat zijn de totale maatschappelijke zorgkosten voor de aandoening?
- ☐ Is er sprake van organisatorische aanpassingen als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Is er sprake van toegenomen administratieve belasting als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Is er sprake van risico op substitutie als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Leidt vergoeding tot noodzakelijke wijzigingen in de wet- en regelgeving?
- ☐ Is er sprake van een veranderende bekostiging als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Is er sprake van precedentwerking van een eventueel positief/negatief advies?
- ☐ Wat is de publieke reactie op een eventueel positief/negatief advies?
- ☐ Is er sprake van schade aan anderen als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Is er sprake van kapitaalvernietiging of signaalwerking als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Zijn de behandelkosten structureel of eenmalig?

- ☐Andere:

Prestatie waardering: Stoppen met rokenprogramma

Hier kunt u de prestatie van het stoppen met rokenprogramma per criterium waarderen.

U kunt de schuifbalk verplaatsen door deze aan te klikken en te verschuiven. Wanneer u dit doet zal boven de schuifbalk zichtbaar worden op welk getal u staat.

Effectiviteit

De gecombineerde behandeling heeft een slagingskans van 20%, dit is een verviervoudiging t.o.v. geen begeleiding. Tijdens de laatste vergadering van de ACP over dit onderwerp werd duidelijk dat de ACP niet overtuigd was van de evidence waarop deze effectiviteit is gebaseerd. De voorzitter van de Raad van Bestuur is wel overtuigd van deze evidence.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Bewijslast

Als bewijslast worden er twee artikelen genoemd. Allereerst het artikel 'Effectiveness and safety of nicotine replacement therapy assisted reduction to stop smoking: systematic review and meta-analysis'. In dit systematische review zijn de volgende randomized controlled trials meegenomen:

N	Interventie	Follow-up duur
363	Kauwgom	13 maanden
400	Inhalator	24 maanden
193	Kauwgom	12 maanden
429	Inhalator	15 maanden
411	Kauwgom	24 maanden
436	Kauwgom	15 maanden
923	Vrije keuze voor: Kauwgom, inhalator of pleister	26 maanden

Met als conclusie: "Available trials indicate that nicotine replacement therapy is an effective intervention in achieving sustained smoking abstinence for smokers who have no intention or are unable to attempt an abrupt quit. Most of the evidence, however, comes from trials with regular behavioural support and monitoring and it is unclear whether using nicotine replacement therapy without regular contact would be as effective."

Daarnaast is in de vergadering van de ACP door de heer Mastenbroek vermeld dat de effectiviteit van de gecombineerde behandeling in een één na laatste recente publicatie van de Archives of Internal Medicine uit februari 2009, dusdanig is bewezen dat geadviseerd wordt de gecombineerde behandeling zo snel mogelijk in te voeren.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Kosteneffectiviteit

De kosteneffectiviteit bedraagt €19.000,-/QALY. Dit is inclusief indirecte kosten. Wanneer er alleen naar de directe kosten wordt gekeken, bedraagt de kosteneffectiviteit € 7700,-/QALY.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Ziektelast

Roken leidt tot verlies aan kwaliteit van leven. Roken is volgens het RIVM de determinant die de meeste ziektebelasting in de Nederlandse bevolking tot gevolg heeft. De ziektebelasting wordt uitgedrukt in DALY's ('Disability-Adjusted Life-Years'). De DALY kwantificeert gezondheidsverlies en is opgebouwd uit twee componenten: de jaren verloren door vroegtijdige sterfte en de jaren geleefd met ziekte. Rokers verliezen 4,1 jaar aan verwachte levensjaren en 4,6 jaar aan gezonde levensjaren.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Zorg zoals geformuleerd in de Zvw

Artikel 10 onder a en c van de Zvw bepaalt dat het te verzekeren risico de behoefte aan geneeskundige zorg en farmaceutische zorg is. Behoefte aan geneeskundige zorg kan ontstaan en ontstaat ook als er sprake is van een verhoogd risico op het verkrijgen van een ziekte.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Algemeen gebruikelijke zorg

De ACP vindt het geen algemeen gebruikelijk zorg. Hierdoor kan zorg worden verdrongen die wellicht meer noodzakelijk te verzekeren is.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Kosten voorzienbaar voor patiënt

De ACP is van mening dat de kosten voorzienbaar zijn. Dit is de eigen verantwoordelijkheid van de patiënt.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Kosten voor eigen rekening

De gemiddelde kosten liggen tussen de €40 en €256 per stoppoging.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Besparingen die opwegen tegen kosten op individueel niveau

De ACP is van mening dat van de besparing van de pakjes sigaretten de behandeling kan worden betaald.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Ethische bezwaren

Het is aannemelijk dat bij groepen met lage sociale status bij niet vergoeden weinig bereidheid is om te stoppen. Het besparingsmotief is hier minder effectief.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Veranderende zorgconsumptie

De verwachting is dat er tien procent meer stoppogingen zullen worden gedaan.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Totale zorgkosten

De totale zorgkosten liggen tussen de €20 miljoen en €33 miljoen.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Schade aan anderen

In het geval van roken kan er ‘meegerookt’ worden. In dit geval is er schade aan anderen rondom de roker. Het aantal meerokers met grote kans op het ontwikkelen van aan roken gerelateerde ziekten, blijft onverminderd hoog en daarmee ook de ziektekosten.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Precedentwerking

De ACP heeft moeite met het argument om deze verslaving in het pakket te stoppen, omdat de andere verslavingen er ook in zitten; dat geldt ook niet voor alle ziektes.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Reacties in tijd van bezuinigingen

De ACP denkt dat dat het vergoeden van het stoppen-met-rokenprogramma tot veel reacties zal leiden in de maatschappij in deze tijden van aangekondigde bezuinigingen.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Is er sprake van risico op substitutie als gevolg van het te geven advies?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Is er sprake van risico op substitutie als gevolg van het te geven advies?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Zijn de behandelkosten structureel of eenmalig?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Zijn de behandelkosten structureel of eenmalig?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Wat zijn de totale maatschappelijke zorgkosten voor de aandoening?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Wat zijn de totale maatschappelijke zorgkosten?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Is er sprake van organisatorische aanpassingen als gevolg van het te geven advies?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Is er sprake van organisatorische aanpassingen als gevolg van het te geven advies?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Is er sprake van toegenomen administratieve belasting als gevolg van het te geven advies?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Is er sprake van toegenomen administratieve belasting als gevolg van het te geven advies?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Leidt vergoeding tot noodzakelijke wijzigingen in de wet- en regelgeving?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Leidt vergoeding tot noodzakelijke wijzigingen in de wet- en regelgeving?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Is er sprake van een veranderende bekostiging als gevolg van het te geven advies?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Is er sprake van een veranderende bekostiging als gevolg van het te geven advies?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Is er sprake van kapitaalvernietiging of signaalwerking als gevolg van het te geven advies?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Is er sprake van kapitaalvernietiging of signaalwerking als gevolg van het te geven advies?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Andere (zelf in te vullen)

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Andere (zelf in te vullen)

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Rangschikken criteria: Stoppen met rokenprogramma

In de vorige stap heeft u uw oordeel gegeven over de performance van de behandeling op een aantal criteria. In deze stap willen wij u vragen het relatieve belang van de criteria aan te geven. Deze stap is opgedeeld in twee deelstappen.

Hier rangschikt u de criteria van meest belangrijk naar minst belangrijk.

- De effectiviteit van de behandeling
- De sterkte van de bewijslast voor de effectiviteit van de behandeling
- De kosteneffectiviteit van de behandeling
- De ziektelast van de aandoening
- Is er sprake van zorg zoals geformuleerd in de Zorgverzekeringswet?
- Zijn de kosten voorzienbaar voor de patiënt?
- Kunnen de kosten voor eigen rekening komen?
- Is er sprake van een besparing die opweegt tegen de kosten?
- Is er sprake van algemeen gebruikelijke zorg?
- Zijn er ethische bezwaren voor/tegen vergoeding?
- Is er sprake van veranderende zorgconsumptie als gevolg van het te geven advies?
- Wat zijn de totale zorgkosten voor de aandoening?
- Wat zijn de totale maatschappelijke zorgkosten voor de aandoening?
- Is er sprake van organisatorische aanpassingen als gevolg van het te geven advies?
- Is er sprake van toegenomen administratieve belasting als gevolg van het te geven advies?
- Is er sprake van risico op substitutie als gevolg van het te geven advies?
- Leidt vergoeding tot noodzakelijke wijzigingen in de wet- en regelgeving?
- Is er sprake van een veranderende bekostiging als gevolg van het te geven advies?
- Is er sprake van precedentwerking van een eventueel positief/negatief advies?
- Wat is de publieke reactie op een eventueel positief/negatief advies?
- Is er sprake van schade aan anderen als gevolg van het te geven advies?
- Is er sprake van kapitaalvernietiging of signaalwerking als gevolg van het te geven advies?
- Zijn de behandelkosten structureel of eenmalig?
- Anders; zelf in te vullen

Waarderen criteria: Stoppen met rokenprogramma

Hier kunt u achter elk criterium met de schuifbalk aangeven in welke mate dit criterium meespeelt in uw advies. De waarderingen die u hier aan de criteria geeft, worden uiteindelijk omgezet in een procentuele verdeling.

Uw advies: Stoppen met rokenprogramma

In 2009 kwam de ACP tot het volgende oordeel over de vergoeding van het stoppen met roken programma.

"De ACP houdt belangrijke twijfels bij het voorstel van het CVZ om de integrale interventie als zodanig op te nemen in het pakket. De commissie heeft in de discussie de argumenten om de voorgestelde interventie niet in het pakket op te nemen (kan voor eigen rekening en verantwoording komen gelet op de besparingen op aanschaf van sigaretten; andere verslavingen zijn meer invaliderend; tijdsgewricht waarin de economie momenteel verkeert; debat over effectiviteit) en de argumenten om de interventie wel in het pakket op te nemen (schade door roken aan anderen kan reduceren, dat er gezondheidswinst kan worden geboekt en dat wellicht door het aanbieden van een dergelijk programma meer en betere resultaten kunnen worden geboekt bij rokers met een lagere sociaal economische status) hierbij afgewogen."

Hoe zeker was u destijds over de juistheid van het advies over de vergoeding van over het stoppen-met-rokenprogramma?

- |Onzeker | Zeker

U heeft zojuist de wenselijkheid van de opname van het stoppen-met-rokenprogramma in het basispakket beoordeeld op een aantal criteria en het onderlinge belang van deze criteria in uw advies gewogen.

Wat is op basis van deze analyse uw oordeel over opname van het stoppen-met-rokenprogramma in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Hoe zeker bent u dat uw nu ingevulde waarderingen tot bovenstaand advies zullen leiden?

- |Onzeker | Zeker

Selecteren argumenten/vragen: Orale hormonale anticonceptiva

Van de vrouwen in de leeftijdscategorie 18 tot 45 jaar slikt 40 procent orale hormonale anticonceptiva. Anticonceptiva worden niet alleen voorgeschreven ter voorkoming van zwangerschap. Er zijn aandoeningen waarvoor anticonceptiva conform standaarden en richtlijnen worden voorgeschreven zoals bijvoorbeeld endometriose, overmatig vaginaal bloedverlies, pijn bij de menstruatie, onregelmatig bloedverlies, lang interval tussen menstruaties en acne. Gebruik voor deze doeleinden is niet goed na te gaan, maar zal naar verwachting een beperkt aandeel hebben vergeleken met het gebruik voor voorkoming van zwangerschap.

De voorlopige conclusie van het CVZ is om het voor behoeden van zwangerschap niet langer te vergoeden vanuit het basispakket omdat dit doel niet binnen het domein van de Zvw valt. Dat geldt dus ook voor vrouwen onder 21 jaar. Veel middelen die gebruikt worden voor voorbehoeding van zwangerschap dienen een dubbel doel, namelijk anticonceptie enerzijds en behandeling van medische aandoeningen en klachten anderzijds. Wanneer een van deze middelen voor het laatstgenoemde doel wordt toegepast, valt dit wel onder het bereik van de Zvw. Het CVZ adviseert echter om deze middelen toch uit te sluiten van vergoeding in het kader van de basisverzekering.

Hieronder ziet u alle criteria. Allereerst is het de bedoeling dat u de criteria selecteert die volgens u een rol moeten spelen in het beslisproces. Vervolgens waardeert u de performance van het stoppen met rokenprogramma per criteria.

Hier kunt u de argumenten/vragen selecteren die volgens u een rol spelen in het beslisproces.

- ☐ De effectiviteit van de behandeling
- ☐ De sterkte van de bewijslast voor de effectiviteit van de behandeling
- ☐ De kosteneffectiviteit van de behandeling
- ☐ De ziektelast van de aandoening
- ☐ Is er sprake van zorg zoals geformuleerd in de Zorgverzekeringswet?
- ☐ Zijn de kosten voorzienbaar voor de patiënt?
- ☐ Kunnen de kosten voor eigen rekening komen?
- ☐ Is er sprake van een besparing die opweegt tegen de kosten?
- ☐ Is er sprake van algemeen gebruikelijke zorg?
- ☐ Zijn er ethische bezwaren voor/tegen vergoeding?
- ☐ Is er sprake van veranderende zorgconsumptie als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Wat zijn de totale zorgkosten voor de aandoening?
- ☐ Wat zijn de totale maatschappelijke zorgkosten voor de aandoening?
- ☐ Is er sprake van organisatorische aanpassingen als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Is er sprake van toegenomen administratieve belasting als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Is er sprake van risico op substitutie als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Leidt vergoeding tot noodzakelijke wijzigingen in de wet- en regelgeving?
- ☐ Is er sprake van een veranderende bekostiging als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Is er sprake van precedentwerking van een eventueel positief/negatief advies?
- ☐ Wat is de publieke reactie op een eventueel positief/negatief advies?
- ☐ Is er sprake van schade aan anderen als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Is er sprake van kapitaalvernietiging of signaalwerking als gevolg van het te geven advies?
- ☐ Zijn de behandelkosten structureel of eenmalig?
- ☐ Andere:

Prestatie waardering: Orale hormonale anticonceptiva

Hier kunt u de prestatie van orale hormonale anticonceptiva per criterium waarderen.

U kunt de schuifbalk verplaatsen door deze aan te klikken en te verschuiven. Wanneer u dit doet zal boven de schuifbalk zichtbaar worden op welk getal u staat.

Effectiviteit

Het CVZ gaat er van uit dat hier aan voldaan wordt, maar heeft dit niet uitgezocht.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen | ☐ Zeker wel opnemen

Sterkte bewijslast voor de effectiviteit

Het CVZ gaat er van uit dat hieraan voldaan wordt.

- ☐ Zeker niet opnemen | ☐ Zeker wel opnemen

Kosteneffectiviteit

Het CVZ gaat er van uit dat hier aan voldaan wordt, maar heeft dit niet uitgezocht.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen | ☐ Zeker wel opnemen

Zorg zoals geformuleerd in de Zvw in het geval van voor behoeden

Het CVZ stelt vast dat het voor behoeden van zwangerschap doorgaans voorziet in een sociale en maatschappelijke behoefte van individuen en paren. Het gaat daarbij om 'family-planning' en niet om een behoefte aan geneeskundige zorg. Het voor behoeden van zwangerschap en de zorg die daarmee gepaard gaat vallen daarmee dus niet onder het domein van de Zvw.

De ACP is van mening dat anticonceptie wel een geneeskundig doel dient, omdat een ongeplande en doorgaans ongewenste zwangerschap mogelijk tot problemen kan leiden. In dit kader kan het vergoeden van anticonceptie als preventieve maatregel worden gezien.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen | ☐ Zeker wel opnemen

Zorg zoals geformuleerd in de Zvw in het geval van medische indicatie

Het CVZ gaat er vanuit dat de aandoeningen die leiden tot de medische indicaties zoals deze worden genoemd in richtlijnen en standaarden van de medische professionals behoren tot het domein van de Zvw en voorzien in een behoefte aan geneeskundige zorg.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Ziektelast

Er is een sterk wisselende ziektebelasting. Deze valt hierdoor niet te bepalen.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Kosten voor eigen rekening

Alle middelen kunnen op jaarbasis voor eigen rekening komen.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Risico op substitutie

Het CVZ schat het risico van substitutie niet erg hoog in. (Huis)artsen zijn verantwoordelijk genoeg om geen onnodig zware middelen voor te schrijven en patiënten zullen evenmin snel geneigd zijn om wegens geringe kosten op een suboptimaal middel aan te dringen.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Organisatorische aanpassingen

Wanneer er een onderscheid zou worden gemaakt tussen een medisch doel en anticonceptief doel zou dit organisatorisch lastig zijn, omdat de meeste patiënten met een medisch doel het ook anticonceptief gebruiken.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Ethische bezwaren

Het niet vergoeden van orale hormonale anticonceptiva zal de sociale ongelijkheid op het gebied van seksuele gezondheid voorspelbaar vergroten.

Daarnaast is het CVZ van mening dat bij vrouwen boven de 21 het aantal abortussen niet zal toenemen. Bij vrouwen onder de 21 jaar is dit niet bewezen. Er is geen aanwijsbaar verband tussen ongewenste zwangerschappen en wel/niet vergoeden van anticonceptiva.

De ACP wil vanwege de reactie van de Rutgers Nisso Groep, dat bij het afschaffen van de vergoeding van de anticonceptie in de groep 21 tot 25 jarigen het aantal abortussen als gevolg van een ongewenste zwangerschap zal toenemen, in overweging nemen om de leeftijdsgrens (van 21 jaar) te verhogen.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Totale zorgkosten

Voor de orale hormonale middelen was dit in 2008 € 58.394.000. Hierbij moet nog rekening worden gehouden met de eigen bijdrage.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Signaalwerking

Nederlandse status als gidsland wordt aangetast; Nederland kent een hoge standaard op het gebied van seksuele en reproductieve gezondheid.

Wat is, op basis van enkel deze uitkomst, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Zijn de behandelkosten structureel of eenmalig?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Zijn de behandelkosten structureel of eenmalig?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Zijn de kosten voorzienbaar voor de patiënt?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Zijn de kosten voorzienbaar voor de patiënt?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Is er sprake van een besparing die opweegt tegen de kosten?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Is er sprake van een besparing die opweegt tegen de kosten?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Is er sprake van algemeen gebruikelijke zorg?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Is er sprake van algemeen gebruikelijke zorg?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Is er sprake van veranderende zorgconsumptie als gevolg van het te geven advies?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Is er sprake van veranderende zorgconsumptie als gevolg van het te geven advies?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Wat zijn de totale maatschappelijke zorgkosten?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Wat zijn de totale maatschappelijke zorgkosten?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Is er sprake van toegenomen administratieve belasting als gevolg van het te geven advies?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Is er sprake van toegenomen administratieve belasting als gevolg van het te geven advies?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Leidt vergoeding tot noodzakelijke wijzigingen in de wet- en regelgeving?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Leidt vergoeding tot noodzakelijke wijzigingen in de wet- en regelgeving?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Is er sprake van een veranderende bekostiging als gevolg van het te geven advies?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Is er sprake van een veranderende bekostiging als gevolg van het te geven advies?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Is er sprake van precedentwerking van een eventueel positief/negatief advies?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Is er sprake van precedentwerking van een eventueel positief/negatief advies?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Wat is de publieke reactie op een eventueel positief/negatief advies?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Wat is de publieke reactie op een eventueel positief/negatief advies?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

Is er sprake van schade aan anderen als gevolg van het te geven advies?

Dit criterium is tijdens de vergaderingen niet aan de orde geweest.

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

Is er sprake van schade aan anderen als gevolg van het te geven advies?

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- ☐ Zeker niet opnemen ☐ Zeker wel opnemen

{711816X5045X81628other}

Wat zijn uw argumenten om deze behandeling op basis van dit criterium wel of niet te vergoeden?

{711816X5045X81628other}

Wat is, op basis van enkel deze argumenten, uw oordeel over opname in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Rangschikken criteria: Orale hormonale anticonceptiva

In de vorige stap heeft u uw oordeel gegeven over de performance van de behandeling op een aantal criteria. In deze stap willen wij u vragen het relatieve belang van de criteria aan te geven. Deze stap is opgedeeld in twee deeltappen.

Hier rangschikt u de criteria van meest belangrijk naar minst belangrijk.

Rangschikken van de criteria

- De effectiviteit van de behandeling
- De sterkte van de bewijslast voor de effectiviteit van de behandeling
- De kosteneffectiviteit van de behandeling
- De ziektelast van de aandoening
- Is er sprake van zorg zoals geformuleerd in de Zorgverzekeringswet?
- Zijn de kosten voorzienbaar voor de patiënt?
- Kunnen de kosten voor eigen rekening komen?
- Is er sprake van een besparing die opweegt tegen de kosten?
- Is er sprake van algemeen gebruikelijke zorg?
- Zijn er ethische bezwaren voor/tegen vergoeding?
- Is er sprake van veranderende zorgconsumptie als gevolg van het te geven advies?
- Wat zijn de totale zorgkosten voor de aandoening?
- Wat zijn de totale maatschappelijke zorgkosten voor de aandoening?
- Is er sprake van organisatorische aanpassingen als gevolg van het te geven advies?
- Is er sprake van toegenomen administratieve belasting als gevolg van het te geven advies?
- Is er sprake van risico op substitutie als gevolg van het te geven advies?
- Leidt vergoeding tot noodzakelijke wijzigingen in de wet- en regelgeving?
- Is er sprake van een veranderende bekostiging als gevolg van het te geven advies?
- Is er sprake van precedentwerking van een eventueel positief/negatief advies?
- Wat is de publieke reactie op een eventueel positief/negatief advies?
- Is er sprake van schade aan anderen als gevolg van het te geven advies?
- Is er sprake van kapitaalvernietiging of signaalwerking als gevolg van het te geven advies?
- Zijn de behandelkosten structureel of eenmalig?
- {Selecteren_OHA_other.NAOK}

Waarderen criteria: Orale hormonale anticonceptiva

Hier kunt u achter elk criterium met de schuifbalk aangeven in welke mate dit criterium meespeelt in uw advies. De waarderingen die u hier aan de criteria geeft, worden uiteindelijk omgezet in een procentuele verdeling.

Uw advies: Orale hormonale anticonceptiva

In 2010 kwam de ACP tot het volgende oordeel over de vergoeding van orale hormonale anticonceptiemiddelen.

“ De ACP adviseert de RvB van het CVZ negatief over de algehele uitsluiting van de anticonceptie in het pakket. Voor de uitsluiting van een bepaalde leeftijdscategorie en op grond van de pakketcriteria zijn verdeelde argumenten. Wanneer de anticonceptie uit het pakket gaat, zou dit niet moeten gelden voor het voorschrijven voor behandeling van medische aandoeningen. Hierover zouden afspraken met de beroepsgroep moeten worden gemaakt waarbij nadrukkelijk gekeken dient te worden wat de effecten van deze uitstroom zijn, met betrekking tot het versterken van (sociale) ongelijkheid.”

Hoe zeker was u destijds over de juistheid van het advies over de vergoeding van orale hormonale anticonceptiemiddelen?

- |Onzeker | Zeker

U heeft zojuist de wenselijkheid van de opname van orale hormonale anticonceptiemiddelen in het basispakket beoordeeld op een aantal criteria en het onderlinge belang van deze criteria in uw advies gewogen.

Wat is op basis van deze analyse uw oordeel over opname van orale hormonale anticonceptiemiddelen in het basispakket?

- |Zeker niet opnemen | Zeker wel opnemen

Hoe zeker bent u dat uw nu ingevulde waarderingen tot bovenstaand advies zullen leiden?

- |Onzeker | Zeker

Evaluatie

Als afsluiting zouden we graag uw mening horen over de meerwaarde en beperkingen van deze MCDA methode om het besluitvormingsproces van de ACP te ondersteunen.

Hieronder vindt u een aantal stellingen over de waarde van een dergelijk stappenplan bij het ondersteunen van de besluitvorming. Geeft u bij elke stelling aan in hoeverre u het hiermee eens bent.

Als laatste is er een open vraag waar u uw aanvullende op- en aanmerkingen kwijt kunt.

Hieronder vindt u een aantal stellingen over de waarde van een MCDA stappenplan bij het ondersteunen van de besluitvorming. Geeft u bij elke stelling aan in hoeverre u het hiermee eens bent.

Het gebruik van een dergelijk stappenplan ter ondersteuning van besluitvorming kan leiden tot:

Een beter inzicht in de meerwaarde van de innovatie

- ☐ Helemaal niet mee eens ☐ Helemaal mee eens

Een beter inzicht in de belangrijke argumenten voor of tegen opname in het basispakket

- ☐ Helemaal niet mee eens ☐ Helemaal mee eens

Een verbeterde transparantie van de beslissingen naar extern

- ☐ Helemaal niet mee eens ☐ Helemaal mee eens

Hieronder kunt u uw eventuele aanvullende op- en aanmerkingen kwijt.

Bedankt voor het invullen van de vragenlijst!

Bedankt voor uw deelname aan deze enquête.

Appendix III: Performance values in the Pompe disease case

Values for the performance of the criteria in the Pompe disease case

(0 = certainly not include treatment on the basis of this argument, 100 = certainly include treatment on the basis of this argument)

Criteria	Respondent									
	1		2		3		4		5	
	C	NC	C	NC	C	NC	C	NC	C	NC
Effectiveness										
Effectiveness	97	90	75	10	84	20	100	0	100	75
Strength of evidence	76	75	51	10	50	20	20	100	76	75
Cost-effectiveness			25	10	60	10	0	0		
Necessity										
Burden of disease	97	90	80	10	86	50	100	100	100	100
Care as formulated in the ZvW	90		75				100		100	
Treatment costs structural or single			10				100			
Predictable costs for patient	84						100		100	
Costs taken for own account	87		10				100		100	
Savings which can compensate expenses			10				100			
Usual care	84		10				100			
Changing health care consumption due to advice	79								95	
Risk on substitution due to advice							100			
Feasibility										
Ethical constraints	78		10				0			
Total healthcare costs	77		10		64		100		91	
Total social care costs	76		49		20		100		80	
Need for organisational adaptations due to advice										
Increased administrative burden due to advice										
Necessary modifications in legislation and regulation										
Change in finance due to advice										
Additional arguments										
Precedent due to advice					50		100			
Public response					50					
Harm to others					50		100			
Capital destruction or a signal effect due to advice	77								76	
Other:										
Due to the spread of effects I would direct to a differentiation. This is not possible in a normal inclusion in the package, therefore, I would advise to exclude the treatment and argue for more research.							0			
Effect measurement (6 minute walking test) was not properly and advise of CFH/WAR sounded more positive as the advice of the CVZ to the ACP.	91									

C = classic form of Pompe disease

NC = Non-classic form of Pompe disease

Appendix IV: Performance values in the smoking cessation program case

Values for the performance of the criteria in the smoking cessation program case

(0 = certainly not include treatment on the basis of this argument, 100 = certainly include treatment on the basis of this argument)

	Respondent		
	1	2	3
Criteria			
Effectiveness			
Effectiveness	20	10	62
Strength of evidence	19	33	70
Cost-effectiveness	24	75	71
Necessity			
Burden of disease	24	76	63
Care as formulated in the ZvW	35	77	
Treatment costs structural or single		10	
Predictable costs for patient	21	10	30
Costs taken for own account	17	12	71
Savings which can compensate expenses	20		35
Usual care	33		42
Changing health care consumption due to advice			
Risk on substitution due to advice		31	
Feasibility			
Ethical constraints	34	37	63
Total healthcare costs		32	71
Total social care costs		51	70
Need for organisational adaptations due to advice			
Increased administrative burden due to advice			
Necessary modifications in legislation and regulation			
Change in finance due to advice			
Additional arguments			
Precedent due to advice			72
Public response			60
Harm to others			70
Capital destruction or a signal effect due to advice			

Appendix V: Performance values in the contraceptive pill case

Values for the performance of the criteria in the contraceptive pill case

(0 = certainly not include treatment on the basis of this argument, 100 = certainly include treatment on the basis of this argument)

Criteria	Respondent			
	1		2	
	P	M	P	M
Effectiveness				
Effectiveness				25
Strength of evidence				24
Cost-effectiveness				24
Necessity				
Burden of disease		33		44
Care as formulated in the ZvW			76	23
Treatment costs structural or single				
Predictable costs for patient		16		56
Costs taken for own account		7		58
Savings which can compensate expenses		24		
Usual care				
Changing health care consumption due to advice		28		
Risk on substitution due to advice		10		
Feasibility				
Ethical constraints				75
Total healthcare costs				20
Total social care costs				57
Need for organisational adaption due to advice				
Increased administrative burden due to advice				
Necessary modifications in legislation and regulation				
Change in finance due to advice				
Additional arguments				
Precedent due to advice				
Public response				
Harm to others				
Capital destruction or a signal effect due to advice				
Other:				
Reasonably foreseeable costs that can come on patients own account, especially in times of recession and weighed against problems with a high burden of disease		6		

P = for birth preventive reason

M = for medical reason

Appendix VI: Weights in the Pompe disease case

Weights reflecting the relative importance of the criteria in the Pompe disease case

(0 = criterion is not important, 100 = criterion is very important)

Criteria	Respondent									
	1	2	3	4	5					
	Weig ht	% of total	Weig ht	% of total	Weig ht	% of total	Weig ht	% of total	Weig ht	% of total
Effectiveness										
Effectiveness	100	8,9%	100	11,0%	97	15,9%	100	8,9%	100	14,6%
Strength of evidence	96	8,5%	84	9,2%	96	15,7%	100	8,9%	85	12,4%
Cost-effectiveness			100	11,0%	78	12,8%	100	8,9%		
Necessity										
Burden of disease	100	8,9%	100	11,0%	96	15,7%	90	8,0%	100	14,6%
Care as formulated in the ZvW	87	7,7%	100	11,0%			90	8,0%	99	14,4%
Treatment costs structural or single			56	6,2%			70	6,3%		
Predictable costs for patient	98	8,7%					20	1,8%	29	4,2%
Costs taken for own account	97	8,6%	56	6,2%			100	8,9%	100	14,6%
Savings which can compensate expenses			52	5,7%			50	4,5%		
Usual care	85	7,6%	9	1,0%			90	8,0%		
Changing health care consumption due to advice	33	2,9%							88	12,8%
Risk on substitution due to advice							70	6,3%		
Feasibility										
Ethical constraints	95	8,5%	100	11,0%			80	7,1%		
Total healthcare costs	33	2,9%	75	8,2%	45	7,4%	20	1,8%	28	4,1%
Total social care costs	100	8,9%	78	8,6%	43	7,0%	20	1,8%	28	4,1%
Need for organisational adaptations due to advice										
Increased administrative burden due to advice										
Necessary modifications in legislation and regulation										
Change in finance due to advice										
Additional arguments										
Precedent due to advice					50	8,2%	10	0,9%		
Public response					28	4,6%				
Harm to others					78	12,8%	10	0,9%		
Capital destruction or a signal effect due to advice	100	8,9%							30	
Other:										

Due to the spread of effects I would direct to a differentiation. This is not possible in a normal inclusion in the package, therefore, I would advise to exclude the treatment and argue for more research.	100	8,9%
Effect measurement (6 minute walking test) was not properly and advise of CFH/WAR sounded more positive as the advice of the CVZ to the ACP.	100	8,9%

Appendix VII: Weights in the smoking cessation program case

Weights reflecting the relative importance of the criteria in the smoking cessation program case

(0 = criterion is not important, 100 = criterion is very important)

Criteria	Respondent					
	1		2		3	
	Weight	% of total	Weight	% of total	Weight	% of total
Effectiveness						
Effectiveness	78	10,2%	100	10,8%	90	9,5%
Strength of evidence	80	10,4%	77	8,3%	91	9,6%
Cost-effectiveness	39	5,1%	100	10,8%	63	6,6%
Necessity						
Burden of disease	71	9,3%	100	10,8%	79	8,3%
Care as formulated in the ZvW	40	5,2%	78	8,4%		
Treatment costs structural or single			79	8,5%		
Predictable costs for patient	100	13,1%	83	9,0%	81	8,5%
Costs taken for own account	100	13,1%	75	8,1%	88	9,3%
Savings which can compensate expenses	97	12,7%			41	4,3%
Usual care	41	5,4%			61	6,4%
Changing health care consumption due to advice						
Risk on substitution due to advice	80	10,4%				
Feasibility						
Ethical constraints	40	5,2%	82	8,9%	80	8,4%
Total healthcare costs			75	8,1%	40	4,2%
Total social care costs			77	8,3%	40	4,2%
Need for organisational adaptations due to advice						
Increased administrative burden due to advice						
Necessary modifications in legislation and regulation						
Change in finance due to advice						
Additional arguments						
Precedent due to advice					80	8,4%
Public response					34	3,6%
Harm to others					80	8,4%
Capital destruction or a signal effect due to advice						

Appendix VIII: Weights in the contraceptive pill case

Weights reflecting the relative importance of the criteria in the contraceptive pill case

(0 = criterion is not important, 100 = criterion is very important)

Criteria	Respondent			
	1		2	
	Weight	% of total	Weight	% of total
Effectiveness				
Effectiveness			100	12,3%
Strength of evidence			61	7,5%
Cost-effectiveness			59	7,2%
Necessity				
Burden of disease	14	3,4%	100	12,3%
Care as formulated in the ZvW			100	12,3%
Treatment costs structural or single				
Predictable costs for patient	100	24,6%	77	9,5%
Costs taken for own account	100	24,6%	41	5,0%
Savings which can compensate expenses	31	7,6%		
Usual care				
Changing health care consumption due to advice	32	7,9%		
Risk on substitution due to advice	30	7,4%		
Feasibility				
Ethical constraints			76	9,3%
Total healthcare costs			100	12,3%
Total social care costs			100	12,3%
Need for organisational adaptations due to advice				
Increased administrative burden due to advice				
Necessary modifications in legislation and regulation				
Change in finance due to advice				
Additional arguments				
Precedent due to advice				
Public response				
Harm to others				
Capital destruction or a signal effect due to advice				
Other:				
Reasonably foreseeable costs that can come on patients own account, especially in times of recession and weighed against problems with a high burden of disease	100	24,6%		

Appendix IX: Overall values for the three cases per respondent

Additive value function for the three cases per respondent

	Respondent				
	1	2	3	4	5
Pompe C	84,8	40,8	61,3	67,9	90,8
Pompe NC	83,5	20,5	34,3	66,1	87,1
Smoking cessation program	20,3	39,4	61,3		
Contraceptive pill P	13,0	46,0			
Contraceptive pill M	13,0	39,5			

C = classic form of Pompe disease

NC = non-classic form of Pompe disease

P = for birth preventive reason

M = for medical reason

Appendix X: Reflection on analyses per respondent

Reflection on analyses per respondent

	Respondent				
	1	2	3	4	5
Pompe					
Certainty correctness advice at that time (0=uncertain/ 100=certain)	100	62	73	100	100
Opinion about inclusion on the basis of this analysis (0=not include/ 100=include)	100	75	54	0	100
Certainty about if this analysis will lead to this advice (0=uncertain/ 100=certain)	100	52	46	100	100
Smoking cessation program					
Certainty correctness advice at that time (0=uncertain/ 100=certain)	85	80	75		
Opinion about inclusion on the basis of this analysis (0=not include/ 100=include)	20	55	70		
Certainty about if this analysis will lead to this advice (0=uncertain/ 100=certain)	20	55	70		
Contraceptive pill					
Certainty correctness advice at that time (0=uncertain/ 100=certain)	85	80			
Opinion about inclusion on the basis of this analysis (0=not include/ 100=include)	20	80			
Certainty about if this analysis will lead to this advice (0=uncertain/ 100=certain)	90	80			