



VSOP

ALLIANTIE VOOR ERFELIJKHEIDSVRAAGSTUKKEN

Gelijke kansen voor zeldzame aandoeningen

Een praktische wegwijzer voor
patiëntenorganisaties



Colofon

Uitgave

Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties
betrokken bij erfelijkheidsvraagstukken (VSOP).

Koninginnelaan 23

3762 DA SOEST

Telefoon 035 603 40 40

Telefax 035 602 74 40

Website www.vsop.nl

Email vsop@vsop.nl

Bank Fortis 24.03.17.513

KvK 40506395, Amersfoort

Opmaak & layout

DouglasDesign, www.douglasdesign.nl

De handleiding *Zorgstandaarden voor zeldzame aandoeningen*.
Een handreiking voor actieve betrokkenheid van patiëntenorganisaties
werd mogelijk gemaakt door een financiële bijdrage van het Fonds
PGO in het kader van het programma Zekere Zorg.

De wegwijzer *Expertteams voor zeldzame aandoeningen*.
Een praktische wegwijzer voor patiëntenorganisaties werd mogelijk
gemaakt door financiële bijdragen van Agis Zorgverzekeringen en
de Stichting Dioraphte.

Niets uit deze uitgave mag worden vermenigvuldigd en/of openbaar
gemaakt worden door middel van druk, microfilm of op een andere
wijze zonder voorafgaande schriftelijke toestemming.

© VSOP, Soest, maart 2009



Inhoudsopgave Zorgstandaarden voor zeldzame aandoeningen

Voorwoord	5
1. Inleiding	7
1.2 Leeswijzer	7
2. Zeldzame aandoeningen	7
2.1 Algemeen	7
2.2 Kenmerken van de zorg voor mensen met een zeldzame aandoening	8
2.2.1 Onvoldoende kennis over zeldzame aandoening	8
2.2.2 Geen centraal aangeboden zorg	8
2.2.3 Geen instrumentaria voor professioneel handelen	8
2.2.4 Medische expertteams	8
2.2.5 Zorgbehoeften en -wensen	9
3. Instrumentaria voor professioneel handelen	9
3.1 Richtlijnen	9
3.1.1 Knelpunten bij gebruik van richtlijnen voor zorgstandaarden voor zeldzame aandoeningen	10
3.2 Behandelprogramma	10
3.3 Protocol	10
3.4 Best practice	10
3.5 Zorgstandaard	10
4. Procesbeschrijving van de totstandkoming van een zorgstandaard voor zeldzame aandoening; in 10 stappen naar een zorgstandaard	11
1. Inventarisatie mogelijkheden tot clustering van zeldzame aandoeningen en bestaan Standard of Care	12
2. Samenwerking met betrokken behandelaars opzetten	12
3. Draagvlak creëren	12
4. Knelpuntenanalyse	13
5. Formulering inhoud zorgstandaard	14
6. Commentaarronde en accordering door partijen	16
7. Overleg met zorgverzekeraars	17
8. Implementatie	18
9. Rol innemen bij zorginkoop	18
10. Actualisering zorgstandaard	18
5. Rol van de patiëntenorganisatie bij de totstandkoming van een zorgstandaard	18
6. Kwaliteitsbeoordeling	18
6.1 Algemeen	18
6.1.1 CQ-index	18
6.1.2 Kwaliteitsbewaking door de patiëntenorganisatie	18
7. Kwaliteitskeurmerken	19
8. Stappenplan voor de totstandkoming van een best practice voor een zeldzame aandoening	19
1. Inventariseren welk ziekenhuis expertise heeft	19
2. Bijeenkomst	19
3. Bespreking knelpunten ervaren kwaliteit	19
4. Uitwisseling ervaringen	19
5. Vastlegging behandeling	19
6. Verkrijgen van consensus	19
7. Best practice laten voorleggen aan beroepsgroep	19
8. Implementatie	19
9. Formulering kwaliteitscriteria voor goede zorg	21
<i>Bijlage 1 SMART formuleren</i>	22
<i>Bijlage 2 Geraadpleegde bronnen</i>	23
<i>Bijlage 3 Overzicht geïnterviewden</i>	24

1. Inleiding	27
1.1 Zorg voor Zeldzaam	27
1.2 Leeswijzer	27
2. Expertteams	28
2.1 Wat is een expertteam	28
2.2 Voor- en nadelen van behandeld worden door een expertteam	28
3. Als patiëntenorganisatie bijdragen aan het realiseren van een expertteam	30
3.1 In beeld brengen waar patiënten behoefte aan hebben	30
3.2 De mogelijkheden van de organisatie optimaliseren	30
3.3 Een plan van aanpak opstellen	31
3.4 Een gemotiveerde behandelaar zoeken	31
3.5 Minimale criteria opstellen	32
3.6 Steun en bekendheid geven aan het expertteam	32
4 Succesfactoren voor het welslagen van een expertteam	34
4.1 Succesfactoren waarop de patiëntenorganisatie invloed heeft	34
4.2 Overige succesfactoren	35
5 Faalfactoren voor het functioneren van expertteams	36
5.1 Gebrek aan financiën	36
5.2 Geen regie	38
5.3 Verkeerde uitgangspunten van patiëntenorganisaties of behandelaars	38
5.4 Overige faalfactoren	39
<i>Bijlage 1. Model expertteam (samenvatting H.2)</i>	<i>39</i>
<i>Bijlage 2. Stappenplan voor patiëntenorganisaties bij het helpen realiseren van expertteams (samenvatting H.3 en H.4)</i>	<i>40</i>
<i>Bijlage 3. Geraadpleegde bronnen</i>	<i>41</i>
<i>Websites</i>	<i>42</i>
<i>Bijlage 4. Begrippen en afkortingen</i>	<i>42</i>
<i>Bijlage 5. Begeleidingscommissie en geïnterviewden</i>	<i>43</i>



Voorwoord

Maakt het in Nederland iets uit of je een zeldzame of een veel voorkomende aandoening hebt? Helaas wel!

Zowel bij de diagnosestelling als bij de behandeling van zeldzame aandoeningen ervaren vele patiënten problemen. Zo duurt het vaak onnodig lang voordat de diagnose gesteld wordt. Ook wordt er nog veel te weinig wetenschappelijk onderzoek naar oorzaak en behandeling gedaan. De medische zorg beperkt zich daardoor noodgedwongen tot het behandelen van symptomen en het beperken van gezondheidsschade. Databanken met medische gegevens en biobanken voor onderzoek ontbreken of worden niet gedeeld tussen medische centra, behandelaars en onderzoekers.

De omvang van het probleem is niet gering. Een aandoening is volgens Europese regels zeldzaam als deze bij niet meer dan 5 op de 10.000 inwoners voorkomt. In Nederland betekent dat maximaal 8.000 patiënten per aandoening. Aangezien er echter duizenden zeldzame aandoeningen zijn, zijn er in Nederland naar schatting 1 miljoen mensen met zo'n aandoening. Door het erfelijk of aangeboren karakter van veel zeldzame aandoeningen betreft het veel kinderen. De impact op de overige gezinsleden is vaak groot.

De kwaliteit van de zorg voor mensen met een zeldzame aandoening moet daarom beter. Dat vinden zowel patiëntenorganisaties als de behandelaars. De invoering van marktwerking in de zorg kan de kwaliteit van de zorg voor zeldzame aandoeningen bedreigen, maar biedt ook kansen. Ook patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen kunnen nu een gelijkwaardige positie gaan innemen ten opzichte van zorgaanbieders en zorgverzekeraars. Hun bijdrage als gelijkwaardig partner is onmisbaar om de continuïteit, coördinatie en kwaliteit van de zorg voor zeldzame aandoeningen te verbeteren en te verankeren. Met de kennis onder hun achterban over de aandoening en de wensen op het terrein van onderzoek en zorg zijn zij dé partij om vanuit het patiëntenperspectief bij te dragen aan de kwaliteit en inrichting van onderzoek en zorg.

Het is echter niet zo eenvoudig voor patiëntenorganisaties betrokken bij zeldzame aandoeningen om deze rol in het zorgstelsel op te pakken. Met deze publicatie wil de VSOP hen een handreiking bieden om die uitdaging aan te gaan en het initiatief naar zich toe te trekken. Zowel bij de realisatie van zorgstandaarden -het eerste deel van deze publicatie, als bij het stimuleren van multidisciplinaire expertteams - het tweede deel.

Ik verwacht dat deze publicatie veel kan betekenen voor mensen met een zeldzame aandoening. Daarom van harte aanbevolen!

Els Borst-Eilers

Oud-minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport



Zorgstandaarden voor zeldzame aandoeningen

I. Inleiding

In Nederland hebben ruim een miljoen mensen een zeldzame aandoening. Het gaat dus om een omvangrijke groep. De ziektebeelden zijn zeer divers en het gaat in veel gevallen om invaliderende of letale aandoeningen. Behalve behandeling die zich richt op symptomen, is er doorgaans geen therapie. Geschat wordt dat 80% van alle zeldzame aandoeningen erfelijk is. Door de onbekendheid van de aandoeningen bij behandelaars worden mensen die lijden aan een zeldzame aandoening vaak geconfronteerd met een lange zoektocht naar onder andere de juiste diagnose, ongecoördineerde en ontoereikende zorg en gebrek aan informatie.

Binnen de nieuwe Zorgverzekeringswet die per 2006 van kracht werd, dienen patiëntenorganisaties een belangrijke rol te spelen in de triade zorgverzekeraars, zorgaanbieders en patiëntenorganisaties. Een aantal grotere patiëntenorganisaties heeft deze rol goed ingevuld. Zij hebben voor hun achterban collectieve zorgverzekeringen kunnen afsluiten met zorgverzekeraars en hebben afspraken kunnen maken over de gewenste kwaliteit van zorg.

Teneinde de continuïteit, coördinatie en professionaliteit te verankeren in de zorgketen voor zeldzame aandoeningen, zijn de patiëntenorganisaties dé partij om het patiëntenperspectief in te brengen bij de inrichting en ontwikkeling van de zorg voor hun achterban. Patiëntenorganisaties hebben de specifieke kennis omtrent de zorgbehoeften en -wensen vanuit hun achterban, en zijn derhalve een belangrijke partij in de triade zorgaanbieders, zorgfinanciers en zorgvragers.

Patiëntenorganisaties die zeldzame aandoeningen vertegenwoordigen zijn klein, met uitzondering van samenwerkingsverbanden zoals de Vereniging Spierziekten Nederland (VSN) en de Vereniging Volwassenen, Kinderen en Stofwisselingsziekten (VKS). Patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen hebben nog een lange weg te gaan om de gewenste rol binnen de triade adequaat in te nemen. Zij missen vaak de noodzakelijke menskracht, financiële middelen en professionaliteit om adequaat deze rol te vervullen. Teneinde hen in staat te stellen tóch hun rol te kunnen vervullen in de triade, zodanig dat zij de belangen kunnen behartigen van hun achterban en kunnen bijdragen aan de inkoop van goede zorg op grond van een zorgstandaard, heeft de VSOP het initiatief genomen te komen tot de onderhavige handleiding.

De invoering van marktwerking in de zorg en de diagnosebehandeling-combinaties (DBC's) maken het noodzakelijk dat patiëntenorganisaties hun rol oppakken als volwaardige marktpartij. Doelstelling hierbij is de continuïteit, coördinatie en professionaliteit van de zorg voor mensen met een zeldzame aandoening vanuit patiëntenperspectief te verbeteren en te waarborgen. Een zorgstandaard kan de basis zijn waarop men afspraken maakt en onderhandelt met de marktpartijen om te komen tot een goede kwaliteit van zorg.

Wanneer de zorg vastgelegd wordt in een zorgstandaard, is het belangrijk dat deze voldoet aan de kwaliteitseisen die vanuit het patiëntenperspectief geformuleerd zijn. Een zorgstandaard geeft weer aan welke

eisen goede zorg voor een specifieke aandoening zowel inhoudelijk als procesmatig moet voldoen. Voor patiënten is dit van belang omdat zij op grond hiervan weten welke eisen zij aan de geleverde zorg mogen stellen. Voor zorginstellingen is het belangrijk om te weten aan welke 'marktvraag' zij moeten voldoen. Voor zorgverzekeraars zijn zorgstandaarden van belang als instrument op grond waarvan zij hun inkoopbeleid kunnen baseren en kunnen meten welke kwaliteit door zorginstellingen geboden wordt.

Voor de totstandkoming van deze handleiding zijn professionals geïnterviewd die ervaring hebben met de totstandkoming van zorgstandaarden, richtlijnen en kwaliteitscriteria voor goede zorg. Verder is deze handleiding tot stand gekomen op grond van ervaringskennis en de meningen van patiënten(vertegenwoordigers) en professionals in het werkveld van de zorg voor mensen met een zeldzame aandoening. Aanvullend heeft een literatuurstudie plaatsgevonden.

Onderhavige handleiding is een zogenaamde 'levende handleiding'. Dit betekent dat hoofdstukken kunnen worden gewijzigd wanneer nieuwe ontwikkelingen daartoe aanleiding geven. Na een eerste gedrukte versie zal de VSOP tenminste eens per twee jaar bezien of aanpassingen noodzakelijk zijn. Op de website van de VSOP is de digitale versie van deze handleiding te downloaden en zal zichtbaar zijn wanneer de wijzigingen in deze handleiding hebben plaatsgevonden (www.vsop.nl).

1.2 Leeswijzer

Bij deze handleiding dient te worden opgemerkt dat niet alle stappen en/of adviezen relevant zullen zijn voor alle patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen. Onder hen bestaat een grote diversiteit in grootte, professionaliteit, financiële middelen, menskracht, ziektebeeld, betrokken behandelaars enzovoort. Deze handleiding geeft diverse stappen weer om te komen tot een zorgstandaard, maar meerdere variaties zijn hierop mogelijk. De exacte stappen bij de totstandkoming van een zorgstandaard kunnen per aandoening en per groep betrokkenen variëren. Iedere patiëntenorganisatie kan voor zichzelf beoordelen welke informatie relevant is.

2. Zeldzame aandoeningen

2.1 Algemeen

Zeldzame aandoeningen zijn aandoeningen met een prevalentie van maximaal 5 per 10.000 personen. Met een bevolkingsaantal van 16 miljoen mensen is er in Nederland sprake van een zeldzame aandoening, wanneer de aandoening voorkomt bij maximaal 8.000 mensen. In Nederland wordt het aantal mensen met een zeldzame aandoening geschat op 1 miljoen.

Er zijn wereldwijd naar schatting 6.000 tot 8.000 verschillende zeldzame aandoeningen, waarvan ongeveer 80% erfelijk is. Ook bij bekende ziekten zoals kanker kunnen zeldzame verschijningsvormen voorkomen.

Zeldzame aandoeningen zijn veelal invaliderend, zijn vaak levensbedreigend en kennen in veel gevallen een chronisch progressief beloop. Voor zeldzame aandoeningen is vaak geen op de ziekte gerichte behandeling mogelijk. Het gaat dan ook om de behandeling van symptomen, het bijhouden van het beloop van de aandoening, het verbeteren van de kwaliteit van leven en het voorkomen of beperken van onherstelbare gezondheidsschade.

Er komen steeds meer signalen, zowel vanuit de beroepsgroepen als vanuit patiëntenorganisaties, dat de zorg voor deze grote groep mensen niet goed geregeld is in Nederland. Met de huidige kennis en technologische ontwikkelingen zijn behandelaars steeds beter in staat mensen met een erfelijke aanleg voor bepaalde aandoeningen te identificeren. Ook is het steeds vaker mogelijk in een vroegtijdig stadium de diagnose te stellen en het zorgtraject hierop af te stellen. Echter, er blijken in de praktijk nog steeds grote lacunes te bestaan in de zorgverlening aan mensen met een zeldzame aandoening.

2.2 Kenmerken van de zorg voor mensen met een zeldzame aandoening

2.2.1 Onvoldoende kennis over zeldzame aandoeningen

Veel patiënten met een zeldzame aandoening hebben te maken met comorbiditeit of er zijn meerdere systemen aangedaan als gevolg van de aandoening.

Comorbiditeit betekent dat bij een patiënt sprake is van twee of meer stoornissen of aandoeningen. Dit maakt de zorg voor patiënten met een zeldzame aandoening nog complexer. Doordat vaak meerdere organensystemen zijn aangedaan, moeten ook meerdere behandelaars betrokken worden bij de zorg. Bovendien spelen ook psychosociale factoren een rol naast de medische factoren, aangezien meerdere gezinsleden erfelijk belast kunnen zijn met de aandoening.

Voor wat betreft de behandeling en begeleiding geeft 70% van de patiënten met een zeldzame aandoening aan dat de specifieke deskundigheid van de behandelaar te wensen overlaat¹⁾. Zowel huisartsen als specialisten hebben naar hun mening onvoldoende deskundigheid en zijn onvoldoende op de hoogte van wetenschappelijke literatuur. Door de zeldzaamheid van de aandoening ontbreekt bij huisartsen, maar ook bij veel specialisten in de periferie, de specifieke kennis en informatie over de diagnose, het beloop van de aandoening, de verschillende mogelijkheden voor behandeling, preventief onderzoek en de levensverwachting. Door dit gebrek aan kennis ervaren patiënten dat hun klachten niet altijd serieus genomen worden, en dat zij niet (tijdig) verwezen worden naar de juiste specialisten.

Het gebrek aan kennis over zeldzame aandoeningen resulteert veelal in verlies van veel tijd alvorens de diagnose gesteld wordt. In de meeste gevallen (ca. 33%)²⁾ gaan er meer dan twee jaar overheen. De diagnose wordt uiteindelijk in het merendeel gesteld door medisch specialisten, waarvan het grootste deel door kinderartsen (20%).

2.2.2 Geen centraal aangeboden zorg

De zorg voor mensen met een zeldzame aandoening vindt meestal plaats in academische ziekenhuizen. In de afgelopen jaren heeft veel

van deze zorg te lijden gehad onder het gewijzigde beleid van Raden van Bestuur. Veel ziekenhuizen kozen ervoor veelvoorkomende aandoeningen of nieuwe aandoeningen tot hun speerpuntenbeleid te formuleren. Hierdoor is het zorgaanbod voor mensen met een zeldzame aandoening nog meer versnipperd geraakt.

Wanneer patiënten met dezelfde zeldzame aandoening behandeld worden in verschillende ziekenhuizen, wordt er per ziekenhuis of per behandelaar een beperkt aantal patiënten behandeld. Een systematische manier om alle informatie over patiënten te bundelen in databases, eventueel gerelateerd aan biobanken, ontbreekt. Hierdoor wordt onvoldoende expertise opgebouwd voor behandeling en stagnert wetenschappelijk onderzoek.

2.2.3 Geen instrumentaria voor professioneel handelen

De zorg voor mensen met een zeldzame aandoening is complex omdat deze door verschillende disciplines moet worden geleverd. Voor de meeste zeldzame aandoeningen bestaan er geen causale of curatieve behandelingen en is er geen consensus binnen de beroepsgroep over de optimale behandeling. De zorg voor mensen met een zeldzame aandoening wordt vaak geboden op grond van over de jaren verzamelde kennis en kunde, maar dit zorgtraject is nauwelijks vastgelegd in instrumentaria voor professioneel handelen zoals richtlijnen, behandelprotocollen etc. Het aantal instrumentaria voor professioneel handelen bij de zorg voor zeldzame aandoeningen is dan ook zeer beperkt.

Van evidence based medicine is bij zeldzame aandoeningen vaak geen sprake, omdat patiëntengroepen hiervoor te klein zijn. Er is vaak weinig tot geen wetenschappelijke literatuur beschikbaar. De afwezigheid van evidence based medicine bemoeilijkt de totstandkoming van een (multidisciplinaire) richtlijn voor het professioneel handelen in de zorg voor zeldzame aandoeningen.

Nadat de diagnose is gesteld, treden problemen op rond de deskundigheid en bejegening door behandelaars. Voorbeelden zijn de onbekendheid van de aandoening, het onvoldoende tijd nemen, medische fouten, het niet serieus nemen van problemen, het gebrek aan steun en inzicht in de prognose of het beloop van de aandoening etc. Men heeft vaak met meerdere behandelaars te maken, die soms verschillende meningen hebben over het te bewandelen zorgtraject. Een aan het papier toevertrouwd document over de behandeling en begeleiding van een patiënt met een zeldzame aandoening, waarover consensus is binnen de beroepsgroep, ontbreekt veelal.

2.2.4 Medische expertteams

Voor een aantal (groepen van) zeldzame aandoeningen bestaan inmiddels speciale medische expertteams in academische ziekenhuizen. Deze zijn soms tot stand gekomen door inzet van de patiëntenorganisatie. Een medische expertteam heeft o.a. tot doel richtlijnen of best practice te ontwikkelen en aan te passen, en wel in samenwerking met patiëntenorganisaties. Hierdoor kan de zorg meer 'patient-centered' vormgegeven worden.

1 Nispen van R.M.A., Rijken P.M., Heijmans M.J.W.M. Leven met een zeldzame chronische aandoening. Ervaringen van patiënten in de zorg en het dagelijks leven, Nivel, 2003.

2 VSOP. Informatie voor mensen met een zeldzame aandoening. Een onderzoek naar de beschikbare informatie, knelpunten en oplossingen. Februari 2002



Een dergelijk expertteam heeft zich gespecialiseerd in de diagnostiek en behandeling van en onderzoek naar de betreffende aandoening. Hiermee kan de zorg voor patiënten met een zeldzame aandoening verbeterd worden. De meerwaarde van het centraliseren van de hieruit voortvloeiende expertise is bijvoorbeeld aangetoond bij Cystic Fibrosis (CF). De levensverwachting bij behandeling in een CF-centrum neemt met 5 jaar toe.

Inmiddels worden in Nederland initiatieven genomen om de totstandkoming van medische expertteams voor de behandeling en begeleiding van mensen met een zeldzame aandoening te bevorderen.

2.2.5 Zorgbehoeften en -wensen

Mensen met zeldzame aandoeningen hebben hun zorgbehoeften en hun wensen. In veel gevallen blijkt dat de gezondheidszorg in Nederland hierop onvoldoende afgestemd is. Een zorgstandaard is een belangrijk instrument om randvoorwaarden voor goede zorg in vast te leggen en waarmee patiënten invloed kunnen uitoefenen op de kwaliteit van zorg. Bij de ontwikkeling en uitwerking van zorgstandaarden dienen patiënten (zorggebruikers) dan ook een hoofdrol te hebben. Dit is een unieke kans om invulling te geven aan gezondheidsbeleid.

3. Instrumentaria voor professioneel handelen

Voor de totstandkoming van een zorgstandaard dient er medisch inhoudelijke informatie beschikbaar te zijn over de diagnose en behandeling van de betreffende aandoeningen. Voor vele (veelvoorkomende) aandoeningen bestaan hiervoor internationale en landelijke richtlijnen, protocollen etc.

Echter, de behandeling van zeldzame aandoeningen is grotendeels symptomatisch. Dit betekent dat bijvoorbeeld pijnklachten of ontstekingen worden behandeld met hoofdzakelijk bestaande medicijnen zoals pijnstillers, spierverslappers en antibiotica.

Door de geringe kennis en ervaring met de diagnose en behandeling van zeldzame aandoeningen is het aantal richtlijnen, protocollen etc. voor deze aandoeningen zeer beperkt.

Uit onderzoek is gebleken dat één van de methoden om de positie van mensen met zeldzame aandoeningen te verbeteren, het aanleveren of gezamenlijk opstellen van richtlijnen en protocollen is. Samen met behandelaars, onderzoekers en zorgverleners zou idealiter gewerkt moeten worden aan uniforme criteria, het bereiken van consensus over de ziekteoorzaak en mogelijke behandeling en de samenstelling van instrumentaria voor professioneel handelen. Uiteindelijk dient dit niet alleen te leiden tot kwalitatief goede zorg, maar ook tot primaire preventie en wetenschappelijk onderzoek naar echt effectieve therapie. Ook samenwerking tussen onderzoekers en patiënten bij het opzetten van registraties, databanken en biobanken, kan hieraan bijdragen.

Alvorens te komen tot ontwikkeling van een zorgstandaard is het zinvol te weten welke verschillen er zijn tussen diverse instrumentaria voor professioneel handelen.

Hieronder volgt een globale toelichting op diverse instrumentaria:

1. Richtlijnen
2. Behandelprogramma's
3. Protocollen
4. Best practice
5. Zorgstandaarden

3.1 Richtlijnen

Een richtlijn is een instrument ter verbetering van de kwaliteit van zorg. Richtlijnen hebben tot doel behandelaars en andere zorgverleners te ondersteunen bij de klinische besluitvorming. Het betreft een document voor en door zorgverleners, en doet aanbevelingen aan zorgverleners op het gebied van diagnostiek, behandeling en zorg voor patiënten met een specifieke aandoening. Er zijn twee soorten richtlijnen, namelijk de evidence based richtlijn en de consensus based richtlijn.

Een evidence based richtlijn biedt wetenschappelijk onderbouwde aanbevelingen aan zorgverleners, zoals huisartsen, medisch specialisten, fysiotherapeuten etc.

Volgens de definitie van het Kwaliteitsinstituut voor de Gezondheidszorg CBO is een **Evidence based** richtlijn een 'document met aanbevelingen ter ondersteuning van de besluitvorming door professionals in de zorg en patiënten, berustend op de resultaten van wetenschappelijk onderzoek met daarop gebaseerde discussie en aansluitende meningsvorming, gericht op het expliciteren van doeltreffend en doelmatig medisch handelen'. Het CBO ontwikkelt, in samenwerking met de andere partijen uit het werkveld, (multidisciplinaire) richtlijnen met landelijk geldende, zorginhoudelijke aanbevelingen voor goede en kosteneffectieve patiëntenzorg.

Een evidence based richtlijn wordt ontwikkeld op grond van een vaststaande methodiek, gebaseerd op een drietal bronnen van kennis:

1. het beste wetenschappelijk onderzoek dat beschikbaar is;
2. de mening van zorgverleners;
3. de kennis, ervaringen en voorkeuren van patiënten.

Een consensus based richtlijn is gebaseerd op expert opinions. De samenwerkingsrichtlijn Duchenne waarin uitspraken gedaan worden over de zorgorganisatie is zo'n consensus based richtlijn.

Evidence based richtlijnen worden opgesteld door een richtlijnwerkgroep. In deze werkgroep participeren zorgverleners, vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties en adviseurs van het CBO. Zorgverleners brengen hun specifieke kennis in ten aanzien van de aandoening. Patiëntenorganisaties brengen hun persoonlijke ervaring in, en de adviseurs van het CBO brengen hun expertise in ten aanzien van de methode van richtlijnontwikkeling.

Voor het ontwikkelen van een richtlijn is het wenselijk dat er draagvlak is bij de wetenschappelijke verenigingen van de zorgverleners die bij de aandoening betrokken zijn. Deze wetenschappelijke verenigingen dienen het idee om tot richtlijnontwikkeling over te gaan te ondersteunen.

Patiëntenorganisaties zijn van mening dat de totstandkoming van multidisciplinaire richtlijnen nog meer in samenwerking met hen moet plaatsvinden. In principe worden richtlijnen nu meestal geformuleerd voor en door de beroepsgroep, en zijn de betrokkenheid en invloed van patiëntenorganisaties nog te gering.

3.1.1 Knelpunten bij gebruik van richtlijnen voor zorgstandaarden voor zeldzame aandoeningen

Evidence based

Aanbevelingen in richtlijnen komen o.a. tot stand op grond van wetenschappelijke literatuur. Het ontbreekt bij zeldzame aandoeningen meestal aan wetenschappelijk onderzoek en literatuur. Uit onderzoek van de VSOP³⁾ blijkt dat 60% van de patiëntenorganisaties aangeeft dat er geen wetenschappelijk onderzoek wordt verricht naar hun aandoening (of dat men daarvan niet op de hoogte is). Wanneer dit wel plaatsvindt, betreft dit meestal de oorzaken van de aandoening. Wanneer hierover meer bekend is, wordt er pas onderzoek gedaan naar de behandelmogelijkheden.

Het gebrek aan wetenschappelijk onderbouwde kennis bemoeilijkt de totstandkoming van richtlijnen voor zeldzame aandoeningen.

Kosten

Het is gebleken dat de ontwikkeling van richtlijnen relatief duur is voor patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen. Het betreft veelal kleine patiëntenorganisaties met beperkte menskracht en financiële middelen, waardoor er voor hen geen rol als opdrachtgever weggelegd is.

Groot scala aan aandoeningen

Het is feitelijk onmogelijk om voor alle aandoeningen in Nederland richtlijnen te maken. Daarvoor zijn onvoldoende middelen (financiële middelen, professionele adviseurs etc.)

Langdurig proces

Het gehele ontwikkeltraject duurt minimaal 1,5 jaar. Er zijn gevallen bekend zoals de ontwikkeling van de Revalidatie richtlijn voor Ataxie van Friedreich van de Vereniging Spierziekten Nederland, tot stand gekomen in samenwerking met het CBO, waarmee 3 tot 4 jaar gemoeid is geweest (dit tijdsbestek is inclusief mandatering door de wetenschappelijke verenigingen). Dit werd o.a. veroorzaakt door het grote scala aan betrokken partijen met ieder hun eigen belangen en zienswijzen, waardoor consensus moeilijk tot stand kwam.

Implementatie

Het is gebleken dat het moeilijk is en veel tijd kost om richtlijnen in de praktijk te implementeren.

Voor meer informatie over de totstandkoming van richtlijnen wordt verwezen naar 'Richtlijnontwikkeling. Een praktische handleiding voor patiënten'. Deze handleiding kan worden gedownload van de website van het CBO (www.cbo.nl) en de NPCF (www.npcf.nl).

Er bestaat eveneens een uitgebreide handleiding 'Evidence based Richtlijnontwikkeling voor werkgroepleden'. Deze handleiding kan worden gedownload van de website van het CBO (http://www.cbo.nl/product/richtlijnen/handleiding_ebro/default_view).

3.2 Behandelprogramma

Een behandelprogramma is een beschrijving van een behandelaanbod voor een specifieke patiëntendoelgroep. Een behandelprogramma beslaat in tegenstelling tot een protocol altijd het hele revalidatieproces. Het beschrijft op hoofdlijnen 'wat' er gebeurt. De activiteiten kunnen in modules worden beschreven. Het is een beschrijving van een behandelaanbod voor een specifieke patiëntendoelgroep.

Een behandelprogramma heeft tot doel de behandeling van een specifieke patiëntendoelgroep in een instelling te structureren, te sturen en inzichtelijk te maken voor teamleden, patiënten, verwijzers en andere betrokkenen. In een behandelprogramma of in een module kan worden gerefereerd aan een protocol.

3.3 Protocol

Een protocol beschrijft veelal de aanpak van een bepaald probleem, al dan niet gekoppeld aan een bepaalde doelgroep, en beschrijft in veel gevallen 'hoe' iets gebeurt. Dit kan beslissingsondersteunend of taakvoorschrijvend zijn. Een protocol is dwingender dan een richtlijn: een richtlijn is een aanbeveling en een protocol is taakvoorschrijvend.

3.4 Best practice

Voor veel zeldzame aandoeningen ontbreekt het wetenschappelijke bewijs. Dit betekent dat veel patiënten met een zeldzame aandoening behandeld worden op grond van een best practice. Behandelars behandelen en begeleiden patiënten op grond van hun ervaring ofwel op grond van experience based medicine.

3.5 Zorgstandaard

Een zorgstandaard is een norm die aangeeft aan welke eisen, vanuit patiëntenperspectief, goede zorg moet voldoen. Zorgstandaarden onderscheiden zich van andere medische richtlijnen, protocollen, behandelkaders etc. door de zorg meer vanuit de vraagkant te benaderen; zorgstandaarden komen dan ook tot stand op initiatief van de zorgvragers. Richtlijnen, protocollen etc. zijn daarentegen vanuit de zorgaanbodkant opgesteld; voor en door de beroepsgroep.

Voorbeeld

De Hart&Vaatgroep is, in samenwerking met de Nederlandse Hartstichting, bezig met de ontwikkeling van een zorgstandaard voor het opsporen en behandelen van risicofactoren voor hart- en vaatziekten. Deze zorgstandaard is gebaseerd op de Richtlijn voor Cardiovasculair Risicomanagement. Hiernaar wordt veelvuldig verwezen. In deze zorgstandaard wordt weergegeven hoe de zorg rondom deze risicofactoren voor hart- en vaatziekten kan worden georganiseerd en aangepakt.

Patiënten zijn actief betrokken bij de totstandkoming van de zorgstandaard en krijgen een centrale rol bij de ontwikkeling van deze zorgstandaard. Hun behoeften en wensen, maar ook hun eigen rol ten aanzien van het voorkomen van hart- en vaatziekten is een belangrijk onderdeel van deze zorgstandaard.

³ VSOP, Informatie voor mensen met een zeldzame aandoening. Een onderzoek naar beschikbare informatie, knelpunten en oplossingen. Februari 2002.



In de zorgstandaard is o.a. een praktische invulling van de medisch inhoudelijke aspecten beschreven. Zo worden patiënten geadviseerd te stoppen met roken. Wanneer de patiënt hiertoe niet in staat is, wordt weergegeven waarnaar de behandelaar kan verwijzen. Verschillende opties worden dan geboden zoals acupunctuur of de poli voor rokers. Verder is er uitgebreid aandacht voor leefstijladvisering/-verandering en de rol van de patiënt.

4. Procesbeschrijving van de totstandkoming van een zorgstandaard voor zeldzame aandoeningen; in 10 stappen naar een zorgstandaard

Bij de totstandkoming van richtlijnen en zorgstandaarden betreft het tot nu toe meestal veelvoorkomende aandoeningen. In zo'n geval zijn er vele zorgaanbieders en behandelaars met ieder hun concurrentiegevoelens en belangen. Om alle neuzen dezelfde kant te laten uitwijzen, is vaak een langdurig en moeilijk proces.

Dit verschilt wezenlijk met zeldzame aandoeningen:

- Bij zeldzame aandoeningen betreft het vaak zeer **betrokken behandelaars**.
- Het betreft altijd een **beperkt aantal** behandelaars/zorgaanbieders.
- Er is meestal een zeer **goede en langdurige relatie** tussen behandelaar(s) en patiënt.
- Het betreft vaak **kleine patiëntenorganisaties**.

Dit onderscheid biedt een grote kans om te komen tot ontwikkeling van zorgstandaarden en kwaliteitsverbetering van de zorg. Juist omdat het bij zeldzame aandoeningen kleine patiëntengroepen en een beperkt aantal zorgaanbieders en behandelaars betreft, kan men veel slagvaardiger optreden.

Teneinde te kunnen komen tot een goed beschreven zorgtraject voor mensen met een zeldzame aandoening kan een aantal stappen genomen worden. De exacte stappen bij de totstandkoming van een zorgstandaard kunnen per aandoening en per groep betrokkenen variëren. Iedere patiëntenorganisatie kan voor zichzelf beoordelen welke informatie relevant is en/of welke stap prioriteit verdient.

Voor de ontwikkeling van een zorgstandaard, een instrumentarium voor professioneel handelen (protocol, best practice etc.) en van kwaliteitscriteria zijn de stappen op hoofdlijnen dezelfde:

- voorbereidende fase (werkgroep maken, draagvlak creëren, achtergrond info verzamelen)
- ontwikkelen conceptproduct
- commentaar op conceptproduct
- implementatie activiteiten

Idealiter ligt er aan de inhoud van een zorgstandaard een instrument voor professioneel handelen, in de vorm van een protocol, best

practice etc., en kwaliteitscriteria ten grondslag. Het instrument voor professioneel handelen is in zo'n geval de basis voor de medisch inhoudelijke informatie en geeft weer welke de beste behandelingsmethoden zijn. De kwaliteitscriteria beschrijven daarentegen aan welke zorgbehoeften en -wensen de zorg moet voldoen vanuit het patiëntenperspectief. Tezamen zouden zij een goede basis kunnen zijn om te komen tot een zorgstandaard.

Wanneer er echter geen consensusdocumenten en kwaliteitscriteria beschikbaar zijn, kan ook zonder deze documenten een zorgstandaard ontwikkeld worden. Voor veel patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen zal de ontwikkeling van zowel een zorgstandaard, behandelprotocol en kwaliteitscriteria niet haalbaar blijken te zijn. Mocht men er toch voor kiezen, dan is in hoofdstuk 8 een mogelijk stappenplan voor het vastleggen van een best practice beschreven en wordt in hoofdstuk 9 informatie over kwaliteitscriteria verstrekt.

Uiteindelijk zal de uitkomst van de voorbereidende fase uitgangspunt zijn voor de totstandkoming van de zorgstandaard, best practice en kwaliteitscriteria. Dit is weergegeven in schema 1.

Schema 1



De stappen om te komen tot een zorgstandaard zijn de volgende:

1. Inventarisatie mogelijkheden tot clustering van zeldzame aandoeningen en bestaan Standard of Care
2. Samenwerking met betrokken behandelaars opzetten
3. Draagvlak creëren
4. Knelpuntenanalyse patiënten
5. Formulering inhoud zorgstandaard
6. Commentaar ronde en accordering door partijen
7. Overleg met zorgverzekeraars
8. Implementatie door partijen
9. Rol innemen bij zorginkoop
10. Actualisering zorgstandaard

Vanaf stap 4 kunnen de uitkomsten en resultaten van deze voorbereidende fase gebruikt worden voor de ontwikkeling van een best practice of protocol (hoofdstuk 8) en voor de ontwikkeling van kwaliteitscriteria (hoofdstuk 9).

Stap 1 Inventarisatie mogelijkheden tot clustering van zeldzame aandoeningen en bestaan Standard of Care

Zoals reeds eerder aangegeven zijn er zo'n 8.000 zeldzame aandoeningen. De vraag is hoe zorgstandaarden tot stand kunnen komen voor het totaal aan zeldzame aandoeningen, waarvan vele zeer zeldzaam zijn met maar enkele of tientallen patiënten in Nederland.

In de voorbereidende fase van de ontwikkeling van een zorgstandaard is een mogelijke aanpak te inventariseren of het mogelijk is een aantal aandoeningen te clusteren. De zorg voor patiënten wordt dan bepaald op grond van een gezamenlijke zorgstandaard voor de desbetreffende aandoeningen. Immers, in gezamenlijkheid te opereren en de belangen te bundelen, kunnen uiteindelijk tot een groter rendement leiden.

Richtlijnen worden ook vaak ontwikkeld voor een cluster van aandoeningen, zoals bijvoorbeeld de richtlijn voor Vasculitis. Vasculitis is een cluster van 10 zeldzame syndromen.

Zo zijn mogelijkereveens clusters te vormen voor een aantal neuromusculaire aandoeningen (bijv. bij zorgorganisatorische richtlijnen), neurologische aandoeningen, gastrointestinale aandoeningen, oncologische aandoeningen, aandoeningen van immuunsysteem/infecties, stofwisselingsaandoeningen, genetisch/dysmorfische aandoeningen, artritis, dermatologische aandoeningen, nieraandoeningen en endocriene aandoeningen.

Per cluster is het mogelijk een zorgstandaard te ontwikkelen met daarin afspraken over diagnose, behandeling, coördinatie, informatie, ketenzorg etc.

Internationale Standard of Care

Het is mogelijk dat er internationaal al een (soort) zorgstandaard voor een zeldzame aandoening geformuleerd is. Vertaald naar het Nederlands kan deze zeer bruikbaar zijn in de totstandkoming van een Nederlandse zorgstandaard. Hiervoor dient echter wel draagvlak te zijn binnen de Nederlandse betrokken beroepsgroepen en patiëntenorganisaties. Het gebruik van internet voor het zoeken naar Standards of (Health) Care is bijzonder geschikt.

Stap 2 Samenwerking met betrokken behandelaars opzetten

Patiënten en behandelaars zijn aanvullend op elkaar. Beiden zijn partij in de zorg, bekijken de zorg vanuit hun eigen perspectief en hebben hun eigen inbreng. Door deze perspectieven samen te brengen, komt men tot kwalitatief betere en haalbare oplossingsrichtingen voor de verbetering van kwaliteit van zorg voor zeldzame aandoeningen. Vele patiëntenorganisaties achten het een belangrijke voorwaarde voor succes dat er een betrokken onderzoeker en/of behandelaar zich bindt aan de organisatie. Deze kan een adviserende rol spelen, bijdragen aan het draagvlak binnen de beroepsgroep, een bestuursfunctie bekleden en/of assisteren bij de totstandkoming van een expertteam.

Indien blijkt dat er nog geen instrumentaria voor professioneel handelen, zoals protocollen of best practices, beschikbaar zijn voor de aandoening waarvoor een zorgstandaard ontwikkeld moet worden, kan op zoek worden gegaan naar een behandelaar die daarbij wil assisteren. Dit kan de aan de patiëntenorganisatie verbonden behandelaar zijn. De meeste patiëntenorganisaties hebben banden met gepassioneerde, enthousiaste behandelaars. Informeer binnen de achterban met welke behandelaars en met welke van hen men goede banden en ervaringen heeft. Voer vervolgens oriënterende gesprekken om zo veel mogelijk inzichtelijk te krijgen welke behandelaars een toegevoegde waarde zouden kunnen hebben bij de totstandkoming van een zorgstandaard. Belangrijk hierbij is de inschatting of de behandelaar draagvlak heeft binnen het ziekenhuis en binnen zijn/haar professionele netwerk.

Patiëntenorganisaties moeten zich realiseren dat zij een toegevoegde waarde hebben in het werk- en krachtenveld. Zij kennen de zorgvraag van hun aangesloten leden en hebben de mogelijkheid patiënten naar gespecialiseerde zorgaanbieders te verwijzen. Zij weten hoe het is om de ziekte te hebben en wat voor de kwaliteit van leven belangrijk is. Ook kunnen zij hun aangesloten leden verzoeken aan wetenschappelijk klinisch onderzoek deel te nemen. De gehele totstandkoming van een zorgstandaard is voor alle partijen in het werkveld een win-win-situatie.

Kortom, zoek een behandelaar met beroepsmatige interesse voor de zeldzame aandoening, die samen met de patiëntenorganisatie, tijd en aandacht geeft aan diverse initiatieven ter verbetering van de kwaliteit van zorg. Benut de kennis, kunde en het netwerk van deze behandelaar. Onderhoud een goed (deskundigen)netwerk en stel, indien mogelijk, een medische adviesraad in die de patiëntenorganisatie gevraagd en ongevraagd kan adviseren op het terrein van de betreffende aandoening of cluster van aandoeningen.

Stap 3 Draagvlak creëren

Het is belangrijk om alle partijen die straks betrokken zijn bij de totstandkoming van de zorgstandaard te betrekken om draagvlak te creëren voor de uitvoering, implementatie en financiering ervan.

Draagvlak bij zorgaanbieders

Het is erg belangrijk te werken aan draagvlak bij zowel de beroepsgroepen als de raden van bestuur van zorginstellingen. Zeker in het geval van zeldzame aandoeningen, waar kennis en kunde over de aandoening niet algemeen aanwezig is binnen een bepaalde beroepsgroep, is het cruciaal professionals die de kennis wél hebben te betrekken, en al vroeg in een zorgstandaardtraject samen ervoor zorg te dragen dat hun stem en invloed als vertegenwoordigend voor een grotere beroepsgroep kan gelden.

Het vergt een grote professionaliteit van de patiëntenorganisatie om in gesprek te komen met een behandelaar en tezamen iets vorm te geven. Een van de valkuilen bij patiëntenorganisaties is dat men wel een behandelaar aan zich gebonden heeft, maar dat de betreffende behandelaar niets van de grond krijgt in het



ziekenhuis. Veel gehoorde klacht onder patiëntenorganisaties is dat zij wel een behandelaar vinden, maar het stapje verder niet kunnen maken. Enerzijds dient de patiëntenorganisatie te zorgen voor verbetering van de eigen professionaliteit. Anderzijds is het eveneens belangrijk dat de aan de patiëntenorganisatie verbonden behandelaar draagvlak heeft binnen het ziekenhuis.

Draagvlak bij beroepsverenigingen

De patiëntenorganisatie dient bij de totstandkoming van een zorgstandaard tijdig draagvlak bij de relevante beroepsgroepen te verkrijgen. De aan de patiëntenorganisatie verbonden behandelaar kan voor de patiëntenorganisatie inhoudelijk een grote toegevoegde waarde hebben. Echter, zonder draagvlak bij de beroepsorganisatie gaan noch raden van bestuur van (academische) ziekenhuizen noch zorgverzekeraars akkoord met de uiteindelijke implementatie van een zorgstandaard.

Binnen de zorgsector zijn er vele wetenschappelijke verenigingen actief. Voorbeelden zijn de Nederlandse Vereniging voor Kindergeneeskunde (NVK), het Nederlands Huisartsen Genootschap (NHG), Nederlandse Vereniging voor Cardiologie (NVVC) etc. Bij de totstandkoming van instrumentaria voor professioneel handelen dienen de wetenschappelijke verenigingen die betrokken zijn bij de behandeling van de betreffende aandoening gevraagd te worden het initiatief te steunen en te participeren in de hiertoe in het leven te roepen werkgroep.

De patiëntenorganisatie dient de wetenschappelijke verenigingen aan te schrijven. Aan hen moet worden voorgelegd dat behandelaars als expert bij de ontwikkeling van de zorgstandaard betrokken zullen worden. De wetenschappelijke vereniging moet worden gevraagd of zij ermee instemmen dat deze betrokken behandelaars de beroepsgroep vertegenwoordigen in dit traject. Op deze wijze wordt al in een vroeg stadium de betrokkenheid van de vereniging gewaarborgd.

Voor een uitgebreid overzicht van wetenschappelijke verenigingen en hun contactgegevens wordt verwezen naar de website van de Orde van Medisch Specialisten, <http://orde.artsennet.nl>.

Draagvlak bij zorgverzekeraars

Voor het verkrijgen van draagvlak voor de uiteindelijke implementatie van de zorgstandaard zullen ook zorgverzekeraars in een vroegtijdig stadium betrokken moeten worden bij het proces van totstandkoming. De zorgstandaard kan namelijk financiële gevolgen voor de zorgverzekeraar teweegbrengen. Zo is de zorg die verwoord is in de zorgstandaard van de Nederlandse Diabetes Federatie (NDF) duurder dan de zorg die in het verleden geleverd werd. Deze zorgstandaard bevat bijvoorbeeld meer periodieke controles dan voorheen, en heeft veel aandacht voor educatie. Deze meerkosten, tezamen met hogere overheadkosten voor het noodzakelijke overleg, de coördinatie en ICT, zijn meegenomen in de keten-DBC-diabetes.

Het is mogelijk dat zorgverzekeraars niet bij het gehele proces van totstandkoming van een zorgstandaard betrokken willen zijn. Het is dan raadzaam hen toch met regelmaat schriftelijk en/of mondeling van de voortgang op de hoogte te houden.

Voor een meer informatie omtrent de Zorgstandaard voor goede Diabeteszorg van de Nederlandse Diabetes Federatie wordt verwezen naar de website www.diabetesfederatie.nl/Adobe/Zorgstandaard.pdf.

Stap 4 Knelpuntenanalyse

Knelpuntenanalyse patiënten

De volgende stap die een patiëntenorganisatie moet nemen in het hele proces van de totstandkoming van een zorgstandaard, is een beeld krijgen van de zorgbehoefte van haar achterban. Een knelpuntenanalyse die de ervaren knelpunten in beeld brengt van zowel professionals als van patiënten is derhalve noodzaak. Een knelpuntenanalyse is een methode om inhoudelijke en/of organisatorische knelpunten in de zorg op te sporen. Het betreft dus een inventarisatie die inzicht geeft in waar de sterke en zwakke punten liggen in de ervaren kwaliteit van zorg en behandeling onder de leden van de patiëntenorganisatie, maar kan ook onder professionals plaatsvinden.

Teneinde de ervaren knelpunten, wensen en behoeften van de patiëntengroep inzichtelijk te krijgen, is het raadzaam dat de patiëntenorganisatie een bijeenkomst beleggt. Ter voorbereiding van zo'n bijeenkomst wordt achtergrondinformatie verkregen bijvoorbeeld door diepte-interviews met enkele patiënten en behandelaars. Ook diverse literatuurbronnen kunnen hierbij zinvol zijn.

Patiënten en/of hun naasten zijn in staat goed weer te geven wat de knelpunten zijn in de verkregen zorg, welke zorgbehoeften zij hebben en wat goed liep in de verkregen zorg. Hierbij dient opgemerkt te worden dat patiënten oordelen over hun *ervaren* zorg en *verkregen* zorg. Het komt regelmatig voor dat patiënten tevreden zijn over de zorg, maar dat zij onderdelen van de zorg niet of niet op de juiste manier hebben verkregen. Zij weten ook niet dat zij die wel hadden moeten krijgen. De patiëntenorganisatie weet dit meestal wel en kan dat aanvullen. Vaak levert de knelpuntenanalyse met de behandelaars ook dit soort aanvullingen op.

De patiëntenorganisatie moet het initiatief nemen de knelpunten en zorgbehoeften boven tafel te krijgen, bijvoorbeeld tijdens een bijeenkomst. De vraag aan de deelnemers is wat de knelpunten (verbeterpunten) en behoeften zijn en wanneer en waarmee de patiënt en/of de naasten van de patiënt de zorg in de keten als goed ervaren.

Tijdens de bijeenkomst kunnen bijvoorbeeld focusgroepen geformeerd worden uit patiënten en/of naasten van patiënten. *Focusgroepen is een onderzoeksmethode om informatie te verzamelen waarbij mensen in kleine groepen over een bepaald onderwerp discussiëren.* Het biedt de patiëntenorganisatie de mogelijkheid informatie te verzamelen over de knelpunten, wensen en behoeften van de patiëntengroep. De hieruit voortgekomen informatie kan door de patiëntenorganisatie schriftelijk vastgelegd worden.

Knelpuntenanalyse behandelaars

Ook behandelaars moeten hun mening en visie geven over de knelpunten die zij ervaren in de behandeling en begeleiding van patiënten met een zeldzame aandoening. Uit een dergelijke analyse zullen hoogstwaarschijnlijk aspecten komen als de onbekendheid met de aandoening, de behoefte aan een richtlijn die inzicht geeft in het ziektebeeld, de verschijnselen, de behandelmogelijkheden en de medisch inhoudelijke aspecten (bijv. hiaten in de zorg). Ook het verwijzen naar juiste andere behandelaars wordt vaak als probleem gezien bij zeldzame aandoeningen.

De inventarisatie van knelpunten onder behandelaars kan plaatsvinden aan de hand van een enquête gericht aan een grotere groep of aan de hand van bijvoorbeeld een workshop.

De knelpunten, wensen en zorgbehoeften die blijken uit de verrichte knelpuntenanalyse kunnen dan vervolgens dienen als uitgangspunten voor het opstellen van:

1. een zorgstandaard,
2. een document voor professioneel handelen
3. kwaliteitscriteria

Op deze manier sluiten de instrumentaria zo goed mogelijk aan bij de wensen en behoeften van de patiëntengroep, en kan er sprake zijn van **goede zorg vanuit patiëntenperspectief**.

Multidisciplinair zorgaanbod

Bij een groot aantal patiëntenorganisaties is uit een dergelijke knelpuntenanalyse gebleken dat één van de belangrijkste voorwaarden voor goede zorg aan patiënten met een zeldzame aandoening een goed op elkaar afgestemd *multidisciplinair zorgaanbod* is. Een op elkaar afgestemd zorgaanbod en een goede coördinatie van zorg worden door vele patiënten als zeer belangrijk beschouwd. Ook de mogelijkheid alle noodzakelijke onderzoeken en/of controles op één dag(deel) te laten plaatsvinden wordt door vele patiënten zeer op prijs gesteld in verband met reistijden.

Onderstaand volgt een overzicht van aandachtspunten die voor patiënten belangrijk zijn en die eventueel aan de orde kunnen worden gesteld bij het leiden van de bijeenkomst en/of het samenstellen van een vragenlijst voor een eventuele enquête:

- multidisciplinair team;
- samenhangend zorgaanbod;
- goede coördinatie van zorg/ de beschikbaarheid van een zorgcoördinator;
- poli/ alle onderzoeken en controles op één dag;
- vaste behandelaars;
- kennis van de specifieke zeldzame aandoening;
- afstemming van academische zorg met de periferie;
- betrokkenheid van het multidisciplinaire team bij acute ziekenhuisopnames;
- afstemming van zorg en wetenschappelijk onderzoek.

Stap 5 Formulering inhoud zorgstandaard

De patiëntenorganisatie dient vervolgens het initiatief te nemen tot het formeren van een werkgroep waarin de betrokken stakeholders

zo veel mogelijk vertegenwoordigd zijn.

Voorzitterschap van de werkgroep kan een onafhankelijk externe zijn. Ook een vertegenwoordiger van de patiëntenorganisatie kan het voorzitterschap op zich nemen.

De werkgroep is verantwoordelijk voor de inhoud van de zorgstandaard.

Taken zijn ondermeer:

- aanleveren van teksten
- herzien van teksten
- adviseren
- terugkoppelen naar de achterban
- bewaken van de praktische haalbaarheid
- presenteren van de zorgstandaard tijdens consensusbijeenkomst.

Uit de ervaring van de diverse patiëntenorganisaties is gebleken dat het niet nuttig is voor patiëntenorganisaties het gehele proces van totstandkoming van een zorgstandaard bij te wonen. Het is raadzaam het patiëntenperspectief goed te definiëren en uit te leggen bij de start. Vervolgens kan men de beroepsgroep en/of een externe partij, mits de financiële middelen hiervoor toereikend zijn, het document professioneel laten uitwerken. Halverwege kan men weer aanschuiven om te beoordelen of het patiëntenperspectief voldoende uitgewerkt is. Tenslotte dient de patiëntenorganisatie aan het einde wederom het patiëntenperspectief onder de loep te nemen. Voor patiënten is het namelijk van belang dat zorgstandaarden niet alleen gaan over het medisch handelen maar ook over patiëntvriendelijk organiseren van zorg en het waarborgen van de zorgketen.

Mochten de financiële middelen niet toereikend zijn, dan zal de patiëntenorganisatie zelf de inhoud van de zorgstandaard moeten formuleren. Voor de ontwikkeling van de zorgstandaard kan de best practice of het behandelprotocol mogelijk als basis gebruikt worden voor de medische inhoudelijke informatie. Wanneer deze voor de betreffende zeldzame aandoening niet schriftelijk vastgelegd is, wordt verwezen naar hoofdstuk 8 van deze handleiding waarin mogelijke stappen verwoord zijn om te komen tot het vastleggen van medisch inhoudelijke informatie, bijv. in de vorm van een best practice. De basis voor de zorgstandaard vormt de knelpuntenanalyse die de patiëntenorganisatie heeft verricht.

Tips voor het schrijven van de zorgstandaard:

- De zorgstandaard dient SMART geformuleerd te worden (zie bijlage 1).
- Medisch inhoudelijke aspecten dienen in voor patiënten begrijpelijk taal geschreven te worden.
- Schrijf 'platte' tekst (niet opgemaakte teksten)
- Laat 'platte' tekst aanleveren
- Leg de conceptteksten in eerste instantie voor aan de leden van de werkgroep. Op grond hiervan kunnen inhoudelijke wijzigingen plaatsvinden.
- Teksten zijn idealiter gebaseerd op een instrument voor professioneel handelen, zoals een protocol of een best practice en op de kwaliteitscriteria.



Inhoud van de zorgstandaard

Een zorgstandaard bevat onder andere:

- inleidende hoofdstukken
- medisch-inhoudelijke informatie m.b.t. de vereiste zorg
- leefstijlfactoren
- preventie
- informatie en communicatie over de aandoening en behandeling
- organisatie en coördinatie van het zorgproces.

Inleidende hoofdstukken

Inleidend dient een aantal uitgangspunten in de zorgstandaard toegelicht te worden.

Geef in de zorgstandaard aan:

- de doelen van de zorgstandaard
- voor wie de zorgstandaard bestemd is
- hoe de totstandkoming van de zorgstandaard heeft plaatsgevonden
- door wie de zorgstandaard geaccordeerd of geaccrediteerd is
- welke literatuur gebruikt is.

Medisch inhoudelijke informatie

De reeds bestaande richtlijnen of protocollen liggen ten grondslag aan het medisch inhoudelijke deel van de zorgstandaard voor de (cluster van) zeldzame aandoeningen. Deze instrumentaria worden gehanteerd als zorginhoudelijk uitgangspunt voor o.a. de tijdige diagnosestelling, de behandeling en de noodzakelijke medische interventies, etc. Wanneer er voor de betreffende zeldzame aandoening nog geen instrumentarium voor professioneel handelen beschikbaar zijn, is in hoofdstuk 8 een stappenplan hiervoor weergegeven. Een formele richtlijn of consensusdocument is echter niet voorwaardelijk voor de totstandkoming van een zorgstandaard.

De volgende medisch inhoudelijke aspecten kunnen in de zorgstandaard worden beschreven:

- diagnostiek en behandeling
- welke terugkerende onderzoeken zijn aan de orde etc.

Leefstijlfactoren

Naast de medisch inhoudelijke informatie moet informatie gegeven worden over leefstijl- en sociale factoren. Voorbeelden van leefstijlfactoren die relevant kunnen zijn bij de behandeling van zeldzame aandoeningen zijn o.a. voeding, gewicht, sport en beweging, alcohol, roken, medicijngebruik, school, werk en gezin etc.

Aan de hand van deze leefstijlfactoren kunnen de patiënt en behandelaar gezamenlijk besluiten welke behandeling noodzakelijk is, passend bij de patiënt.

Preventie

Ook aspecten op het gebied van de preconceptiezorg, prenatale zorg, neonatale screening en vroege genetische diagnose kunnen binnen de zorgstandaard verwoord worden.

Informatie en communicatie

Voorlichting en informatie kunnen betrekking hebben op:

- preventie
- behandeling
- verwachtingen
- perinatale zorg
- informatievoorziening voor organisaties die patiënten helpen met praktische problemen.

Organisatie en coördinatie van zorg

Kwalitatief goede zorg aan mensen met een zeldzame aandoening vereist in de meeste gevallen een multidisciplinaire aanpak. Een multidisciplinair expertteam is dan voorwaarde.

De navolgende aspecten kunnen beschreven worden:

- samenstelling van het multidisciplinaire team
- verantwoordelijkheden
- coördinator
- bereikbaarheid
- individueel behandelingsplan
- structureel overleg huisarts en ziekenhuis
- afstemming/samenwerking specialisten en behandelaars/verwijzers in de periferie.

Zorg vanuit patiëntenperspectief kijkt naar de kwaliteit van leven en het zoveel mogelijk respecteren van de persoonlijke levenssfeer van de patiënten. De zorg moet derhalve afgestemd zijn op het leven dat iemand kan leiden. Aandacht voor de mens achter de ziekte, op de specifieke persoon gerichte bejegening en een adequate dienstverlening zijn zo een aantal ijkpunten rondom het maken van afspraken over de kwaliteit van zorg.

Voorbeeld

Een aantal patiëntenorganisaties dat zeldzame aandoeningen vertegenwoordigt is al langere tijd bezig met de ontwikkeling van richtlijnen en zorgstandaarden. Dit geldt bijvoorbeeld voor de Vereniging Spierziekten Nederland (VSN), de Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting (NCFS), en Volwassenen, Kinderen en Stofwisselingsziekten (VKS) en de Nederlandse Federatie van Kankerpatiëntenorganisaties (NFK).

De *Samenwerkingsrichtlijn voor multidisciplinaire zorg aan mensen met Duchenne Spierdystrofie* is een voorbeeld van een goede zorgstandaard die op grond van de input van patiënten en zorgverleners tot stand gekomen is. Knelpunten bij patiënten in de ervaren kwaliteit van zorg zijn geïnventariseerd en het patiëntenperspectief staat centraal. Opvallend is dat er beperkt aandacht is voor de medische implicaties van de aandoening, maar veel meer ook voor andere aspecten als opvoeding, schoolkeuze, de positie van het kind in het gezin, broers en zussen, persoonlijke autonomie en toenemende afhankelijkheid, sociale integratie etc. Voor jongeren met de aandoening komen aspecten als relaties en seksuele ontwikkeling, wonen, werk en vrijetijdsbesteding aan de orde. In de volwassen fase wordt aandacht besteed aan relaties, vriendschappen en maatschappelijke integratie en het levenseinde. De Duchenne samenwerkingsrichtlijn is gefocust op

het proces van zorgverlening en stelt de patiënt centraal. Volgens de definitie van 'Zorgstandaards' zoals Nyfer deze geformuleerd heeft, is bij de Duchenne richtlijn sprake van een zorgstandaard, meer dan van een medisch inhoudelijke richtlijn.

Stap 6 Commentaarroude en accordering door partijen

De concept-zorgstandaard dient ter becommentariëring voorgelegd te worden aan alle betrokken beroepsgroepen en de achterban van de patiëntenorganisatie. Het doorloopt hiermee een interne consultatie en goedkeuringstraject.

Het goedkeuringsproces is een traject waarmee vaak lange tijd gemoeid kan zijn. De beroepsgroep kan de zorgstandaard tijdens een bijeenkomst of conferentie bespreken, maar commentaar kan ook per mail of schriftelijk verzameld worden.

Een van de mogelijkheden om te komen tot goedkeuring is het organiseren van een consensusbijeenkomst. Tijdens een consensusbijeenkomst wordt door een of meer leden van de werkgroep de zorgstandaard gepresenteerd aan de aanwezigen. Doelstelling is consensus te verkrijgen op het voorliggende document.

Zo heeft de Vereniging Spierziekten Nederland de zogenaamde Delphi-methode gebruikt bij de totstandkoming van de Samenwerkingsrichtlijn voor multidisciplinaire zorg aan mensen met Duchenne Spierdystrofie.

De Delphi-methode is een methode die helpt om te komen tot gestructureerde meningsvorming via het terugkoppelen van informatie. Aan een groep van deskundigen, vaak in een panel, die anoniem zijn voor elkaar, wordt in een aantal ronden vragen gesteld. De respondenten kunnen kennis nemen van elkaars antwoorden, zonder dat zij met elkaar in contact komen. Na elke ronde worden de antwoorden van alle panelleden geanalyseerd, samengevat en teruggerapporteerd aan elk afzonderlijk panellid. Een andere methode om tot consensus te komen is het opzetten van focusgroepen. Dit is een onderzoeksmethode waarbij informatie wordt verzameld terwijl mensen in kleine groepen over een bepaald onderwerp discussiëren.

Na bijstelling op grond van de reacties, kan de zorgstandaard vastgesteld worden.

Voor meer informatie over onderzoeksmethoden en over de rol van patiëntenorganisaties in wetenschappelijk onderzoek wordt verwezen naar het 'Handboek patiëntenparticipatie in wetenschappelijk onderzoek'. Het is een gezamenlijke uitgave van ZonMw, de Reumapatiëntenbond en de VSOP (ISBN-10 90-5763-079-6, ISBN-13 978-90-5763-079-8). Dit handboek kan worden gedownload van de website van ZonMw (www.zonmw.nl).

Stap 7 Overleg met zorgverzekeraars

De uiteindelijke zorgstandaard voor een (cluster van) zeldzame aandoening(en) is een product dat door samenwerking tussen de patiëntenorganisatie en de zorgaanbieder tot stand komt. Samen geven zij hiermee aan waaraan goede zorg voor patiënten met de betreffende zeldzame aandoening moet voldoen.

Wanneer de zorgstandaard en de onderliggende kwaliteitscriteria vastliggen, is het van belang deze gezamenlijk aan de zorg-

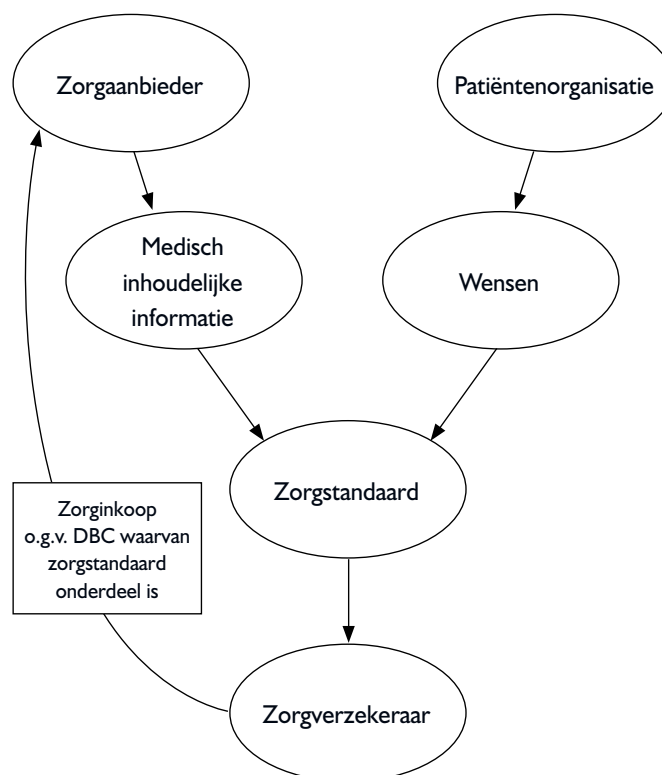
verzekeraars te presenteren. Zorgverzekeraars krijgen met de zorgstandaard de beschikking over kwaliteitscriteria op grond waarvan zij hun zorginkoop bij zorgaanbieders kunnen baseren. Bovendien biedt het hen de mogelijkheid de zorg hierop te toetsen. Kortom, zij kunnen de kwaliteitseisen en het beschreven zorgproces als uitgangspunt nemen voor hun zorgcontractering met zorgaanbieders.

Op grond van de zorgstandaard kunnen zij hun financiële middelen inzetten om tot kwaliteitsverbetering te komen conform de in de zorgstandaard verwoorde normen, en kunnen bovendien komen tot financiële prikkels. Zo werkt Agis Zorgverzekeringen met diabeteszorggroepen waarvoor de gehele zorg(keten) tegen een vast tarief vergoed wordt. Agis meet de resultaten en keert op basis hiervan een bonus uit als de zorg voor de patiënt een bepaald resultaat heeft opgeleverd.

Verder kunnen zorgverzekeraars richtinggevend optreden ten aanzien van na te streven kwaliteitsverbetering wanneer de zorg kwalitatief onvoldoende is. Bij gebleken onderprestatie in vergelijking met de normen binnen de zorgstandaard, kan de zorgverzekeraar de zorgaanbieder hierop aanspreken. Dit zou uiteindelijk kunnen resulteren in negatieve gevolgen in de zorgcontractering met zorgaanbieders.

In schema 2 wordt weergegeven hoe de totstandkoming van zorgstandaarden voor zeldzame aandoeningen plaatsvindt binnen de triade in de Zorgverzekeringswet.

Schema 2



Toelichting op schema:

Zorgaanbieders en zorggebruikers, vertegenwoordigd door de patiëntenorganisatie, komen **gezamenlijk** tot een zorgstandaard.

De *zorgaanbieders* zijn binnen de vraaggestuurde zorg verantwoordelijk voor de kwaliteit van zorg. Zij kunnen bestaande kennis over (een cluster van) zeldzame aandoeningen vastleggen in een instrument voor professioneel handelen, zoals richtlijnen, protocollen, best practice etc. Op grond van o.a. deze medisch inhoudelijk informatie is de zorgstandaard gebaseerd.

Bij de totstandkoming van een zorgstandaard is de patiënteninbreng onontbeerlijk. Patiëntenorganisaties brengen de zorgbehoeften en -wensen van hun achterban in (eventueel geformuleerd als kwaliteitseisen en kwaliteitscriteria).

De zorgstandaard leggen zij voor aan de *zorgverzekeraar*. Zorgverzekeraars kopen vervolgens met behulp van een zorgstandaard kwalitatief goede zorg in voor hun verzekerden bij de zorgaanbieder. Aan deze contractering ligt een diagnosebehandelingcombinatie (DBC) waarvan de zorgstandaard voor de zeldzame aandoening onderdeel uitmaakt, ten grondslag.

Zorgverzekeraars en zeldzame aandoeningen

In veel gevallen is de interesse van zorgverzekeraars in zeldzame aandoeningen zeer gering. Het financiële risico is voor hen gering, omdat een groot deel van de kosten uit de zogenaamde HogeKostenVerevening (HKV) vergoed zal worden en een ander deel vanuit de academische component. Het is daarom lastig om als patiëntenorganisatie voor zeldzame aandoeningen in onderhandeling te gaan met zorgverzekeraars. Samenwerking met de betrokken beroepsgroep(en) is derhalve voorwaarde teneinde als patiëntenorganisatie voor een zeldzame aandoening succesvol een rol te vervullen in de triade in de Zorgverzekeringswet.

Voor meer informatie over risicoverevening wordt verwezen naar de website van het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport, www.minvws.nl.

Stap 8 Implementatie

Kritische succesfactoren voor de implementatie van zorgstandaarden zijn :

- het commitment van de stakeholders en
- de financiering van de omschreven ketenzorg teneinde de vastgelegde en na te streven kwaliteit van zorg te kunnen bekostigen

Commitment van stakeholders

Op het commitment van de stakeholders is uitgebreid ingegaan in stap 4 van hoofdstuk 4.

Bij de totstandkoming van een zorgstandaard dienen alle stakeholders betrokken te zijn. Dit geldt voor de zorgaanbieders, patiënten en/of hun naasten, zorgverzekeraars. Hiermee wordt de acceptatie van de standaard verhoogd en wordt de implementatie vergemakkelijkt.

Het is daarom van belang in de zorgstandaard te vermelden op basis van welke gegevens de zorgstandaard is opgesteld, zoals bijv. literatuurgegevens, vermelding van de betrokkenen bij de totstandkoming, consensus van de beroepsgroep etc.

Financiering; verwachte ketenzorgfinanciering

Sinds de invoering van de DBC-systematiek is er een financierings-systeem van toepassing voor de zorg die door een behandelaar wordt geleverd aan een individuele patiënt. De prestatie wordt beschreven in termen van de zorgvraag, de typerende diagnose en de behandeling. Het ligt in de verwachting dat de DBC-systematiek in de toekomst zal aansluiten bij de toenemende multidisciplinaire behandeling van patiënten, waarbij meerdere specialismen betrokken zijn bij de diagnose en behandeling. Financiering hiervan zal dan plaatsvinden in de vorm van een keten-DBC voor *multidisciplinaire zorggroepen*.

Een keten-DBC is een nieuw financieringsinstrument voor de hele zorgketen die een patiënt met een bepaalde aandoening doorloopt. Nieuw is dat de zorg die door meerdere disciplines wordt geleverd als één product wordt gezien. De betrokken zorgverleners declareren dus niet meer ieder apart hun geleverde zorg, maar zorgverzekeraar en zorggroep onderhandelen over één totaalprijs. Het idee is dat de invoering van een vrij onderhandelbare keten-DBC een stimulans zal zijn om multidisciplinaire zorggroepen te vormen die ketenzorg leveren. Hiervoor zal er een hoofdaannemer in de groep benoemd moeten worden, die namens de groep onderhandelt met de zorgverzekeraar en ervoor zorgt dat zorgverplichtingen binnen de groep worden nagekomen.

Een zorgstandaard vormt dan de basis voor een dergelijke nieuwe keten-DBC. De erkende zorgstandaard vormt dan feitelijk de basis voor het zorgaanbod. Zo is de multidisciplinaire zorgstandaard van de Nederlandse Diabetes Federatie (NDF) de inhoudelijke basis voor de keten-DBC-diabetes.

Met het oog op een dergelijke ketenfinanciering worden door een aantal instanties zorgstandaarden ontwikkeld voor de meest voorkomende chronische ziekten: diabetes, COPD (Chronic Obstructive Pulmonary Disease), cardiovasculaire aandoeningen, depressie, kanker en ziekten van het bewegingsapparaat. Zo ontstaat er geleidelijk draagvlak voor het verder ontwikkelen van geïntegreerde zorgarrangementen, inclusief de financiering hiervan. Deze ontwikkelingen geven wellicht een aanknopingspunt voor een model voor zeldzame aandoeningen. Op initiatief van de VSOP worden vanaf 2008 op centraal niveau gesprekken gevoerd over de mogelijkheden om te komen tot een keten-DBC voor multidisciplinaire zorggroepen voor zeldzame aandoeningen.

Promotie onder belanghebbenden

Het is belangrijk dat alle partijen in het werkveld op de hoogte zijn van het bestaan en de inhoud van de zorgstandaard. Hiervoor dient een aantal publicitaire activiteiten plaats te vinden.

Beroepsgroep

Voorbeelden van promotie binnen de beroepsgroep:

- Samenvatting kan gepubliceerd worden in verenigings-tijdschriften.
- Nascholingsbijeenkomsten.

Patiënten

De patiëntenorganisatie dient de implementatie te stimuleren. Dit kan o.a. plaatsvinden door op de volgende wijze bekendheid te geven aan de zorgstandaard:

- nieuwsbrief
- website
- verspreiding onder de leden (brief)
- gegevens uit de zorgstandaard verwerken in patiëntenbrochures (te verstrekken in o.a. poli's).

Stap 9 Rol innemen bij zorginkoop

De rol van patiëntenorganisaties op grond van de Zorgverzekeringswet is als volgt.

Patiëntenorganisaties hebben een achterban die hen van informatie voorziet. Op grond van deze informatievoorziening kunnen zij de mening, wensen en kwaliteitseisen van hun achterban goed vertolken en inbrengen in deze triade. Hiermee kunnen zij het patiëntenperspectief inbrengen bij initiatieven ter verbetering van de kwaliteit van zorg en dus ook bij zorginkoop.

Stap 10 Actualisering zorgstandaard

Er kunnen zich ontwikkelingen voordoen op het gebied van biomedische en genetische kennis, behandelingen, medicatie etc. die een effect hebben op de inhoud van de zorgstandaard. Partijen bewaken de actualiteit van de zorgstandaard, en moeten, wanneer zich relevante ontwikkelingen voordoen, deze wijzigingen doorvoeren. Wijzigingen in de zorgstandaard dienen vervolgens beoordeeld te worden door de betrokken behandelaars en patiëntenorganisaties, en na becommentariëring en goedkeuring, verstrekt te worden aan alle relevante stakeholders.

5. Rol van patiëntenorganisaties bij de totstandkoming van een zorgstandaard

Patiëntenorganisaties kunnen bij het proces van de totstandkoming van een zorgstandaard een initiërende en sturende rol vervullen, maar ook een faciliterende rol.

De taken van patiëntenorganisatie kunnen in de totstandkoming van zorgstandaarden de navolgende zijn:

- initiator bij:
 - de totstandkoming van een instrument voor professioneel handelen
 - de ontwikkeling van kwaliteitscriteria
 - de totstandkoming van zorgstandaard
- voorzitter projectgroep (facultatief)
- coördinator
- trajectbewaker
- schrijver teksten (facultatief)
- stimulator van het gehele proces.
- waarborgen van de patiënteninbreng.

6. Kwaliteitsbeoordeling

6.1 Algemeen

Wanneer de zorgstandaard gereed is en de implementatie van start is gegaan, is het van belang dat er een procedurebewaking komt om ervoor te zorgen dat een zorgstandaard en de daarin vermelde normen ook daadwerkelijk wordt nageleefd.

De kwaliteit van zorg dient bewaakt en beoordeeld te worden. Dit kan plaatsvinden door een onafhankelijke partij of door de patiëntenorganisatie zelf. Toezicht op de naleving van de zorgstandaard kan op verschillende manieren plaatsvinden, bijvoorbeeld door toepassing van de CQ-Index of andere patiëntgebonden vragenlijsten, door meting van indicatoren, via spiegelbijeenkomsten, focusgroepen enz. De patiëntenorganisaties zelf kunnen bij deze monitoring een prominente rol spelen.

6.1.1 CQ-index

Zorgverzekeraars meten de kwaliteit van zorg onder meer met een CQ-Index. CQ-index staat voor Consumer Quality Index. Dit is een landelijke standaard waarmee de ervaringen van patiënten in de zorg gemeten worden. De CQ-Index meet onder andere de feitelijke ervaringen van patiënten. Het Centrum Klantervaring Zorg accrediteert meetorganisaties die onderzoek met de CQ-index mogen uitvoeren. Na 1 juli 2008 komt alleen onderzoek dat is uitgevoerd door geaccrediteerde meetbureaus nog in aanmerking voor het keurmerk CQ-index. Voor zeldzame aandoeningen zijn vooralsnog geen CQ-indexen ontwikkeld.

Voor meer informatie omtrent de CQ-Index wordt verwezen naar de website van het Centrum Klantervaring Zorg, www.centrum-klantervaringzorg.nl

6.1.2 Kwaliteitsbewaking door de patiëntenorganisatie

Onderstaand worden twee voorbeelden gegeven van initiatieven die erop gericht zijn de ervaren kwaliteit van zorg te meten. Bij beide initiatieven zijn patiëntenorganisaties betrokken.

Kwaliteitsmeter Regionaal Aanbod Schizofreniezorg

Ter verbetering van de schizofreniezorg heeft het Trimbos Instituut, in opdracht van en in samenwerking met de Schizofrenie Stichting Nederland een instrumentarium ontwikkeld waarmee de kwaliteit van het regionale zorgaanbod voor mensen met schizofrenie kan worden gemeten. Tijdens een bijeenkomst wordt op grond van een uitgebreide vragenlijst de ervaren kwaliteit van zorg door vier stakeholdersgroepen bevraagd: patiënten, naasten, hulpverleners en maatschappelijke organisaties. De kwaliteit wordt eveneens getoetst door een inter-institutionele visitatiecommissie. Op grond van de uitkomsten wordt een rapport met aanbevelingen voor de zorginstelling geformuleerd. Voor de deelnemende zorginstellingen verschaft deze kwaliteitstoetsing inzicht in de eigen vorderingen (sterke en zwakke kanten) op het gebied van de schizofreniezorg, hetgeen tevens aanknopingspunten voor verbeteringen oplevert.



De uitvoering van het kwaliteitsonderzoek wordt gefinancierd door projectsubsidies en eigen bijdragen van de zorginstellingen. De ontwikkeling van het instrument is mede tot stand gekomen in samenwerking met de patiëntenorganisatie AnoiKsis.

Monitor Borstkankerzorg

De BorstkankerVereniging Nederland (BVN) en het CBO zijn bezig met de ontwikkeling van de Monitor Borstkankerzorg. Hierin wordt o.a. de CQ- index mammacare opgenomen. Hierdoor wordt de kwaliteit van de behandeling van borstkanker in kaart gebracht. De monitor zal worden ingezet als meetinstrument in 15 ziekenhuizen. Doelstelling is om enerzijds een instrument te ontwikkelen dat kan dienen als feedbackinstrument naar de deelnemende ziekenhuizen, waarmee ze betrouwbare monitoring verkrijgen van de ervaren kwaliteit van zorg. Op grond hiervan kunnen zij concrete veranderingen doorvoeren. Anderzijds biedt de borstkankermonitor patiënten de mogelijkheid inzicht te krijgen in de geleverde kwaliteit van zorg en kunnen patiënten vervolgens hun keuze voor een zorginstelling hierop bepalen.

Voor meer informatie over de Monitor Borstkankerzorg wordt verwezen naar www.borstkanker.nl.

7. Kwaliteitskeurmerken

Een aantal patiëntenorganisaties werkt inmiddels met kwaliteitskeurmerken of kent zelf een keurmerk toe. Hiermee is het voor de patiënt duidelijk welke zorgaanbieder kwaliteit van zorg biedt. Een toegekend kwaliteitskeurmerk toont aan binnen welke zorginstelling voldaan wordt aan criteria en kwaliteitseisen die ten grondslag liggen aan de zorg zoals verwoord in de zorgstandaard.

De Vereniging Kind en Ziekenhuis kent zogenaamde Smiley's toe aan ziekenhuizen die zich positief onderscheiden door hun voorzichten op het gebied van kind- en gezinsgerichte zorg. Daarbij wordt onderscheid gemaakt tussen de neonatale zorg, de zorg op de kinderafdeling en de zorg in dagbehandeling. Verder reikt de Vereniging Kind en Ziekenhuis een Smiley-vlag uit aan ziekenhuizen die zowel voor de kinderafdeling als voor de dagbehandeling een Smiley hebben verkregen.

De website van de Vereniging Kind en Ziekenhuis biedt de mogelijkheid de kindgerichte zorg van ziekenhuizen onderling te vergelijken.

Voor meer informatie over keurmerken van de Vereniging Kind en Ziekenhuis wordt verwezen naar www.kindenziekenhuis.nl.

8. Stappenplan voor de totstandkoming van een best practice voor een zeldzame aandoening

Algemeen

Gezien de hoge kosten, ligt het niet in de verwachting dat veel patiëntenorganisaties opdracht kunnen geven voor de totstandkoming van richtlijnen. Het is echter niet noodzakelijk een dure richtlijn te ontwikkelen.

Omdat het bij zeldzame aandoeningen vaak kleine patiëntengroepen en een beperkt aantal zorgaanbieders en behandelaars betreft, kan men hierin veel slagvaardiger zijn dan bij veelvoorkomende aandoeningen. Bij veelvoorkomende aandoeningen is het veel lastiger om alle veldpartijen op dezelfde golflengte te krijgen en te houden.

Kennis van behandeling en zorg voor patiënten met een specifieke zeldzame aandoening is vaak beperkt tot slechts een gering aantal behandelaars. Met hun vertrek uit het ziekenhuis, bijvoorbeeld door pensionering, dreigt tevens het vertrek van kennis omtrent de behandeling. Daarom dient de kennis vastgelegd te worden, bij gebrek aan een evidenced based richtlijn, bijvoorbeeld in de vorm van een best practice.

Onderstaand volgt het stappenplan hoe te komen tot een best practice voor een zeldzame aandoening. Het onderstaande is een mogelijke aanpak en meerdere variaties hierop zijn mogelijk. De exacte stappen in dit traject kunnen per aandoening en per groep betrokkenen variëren. Het einddoel is het verkrijgen van landelijke consensus over de beste methode van behandeling.

Stap 1 Inventariseren welk ziekenhuis expertise heeft

De patiëntenorganisatie dient onder de achterban te inventariseren welke ziekenhuizen expertise hebben in de behandeling van een specifieke zeldzame aandoening of een cluster. Wanneer de patiëntenorganisatie overtuigd is van de expertise van één specifiek ziekenhuis of team, is het raadzaam eveneens de expertise van andere behandelaars te erkennen. Blijf in gesprek met alle betrokkenen. De patiëntenorganisatie kan problemen ervaren wanneer het 'partij kiest' voor één enkele zorgaanbieder. Het is echter niet wenselijk dat de relaties met andere zorgaanbieders of behandelaars hierdoor zouden beschadigen.

Stap 2 Bijeenkomst

Organiseer een bijeenkomst met alle betrokkenen. Nodig nooit slechts één ziekenhuis uit, maar breng allen bijeen. Maak het aantrekkelijk voor genodigden aanwezig te zijn. Kies een goed bereikbare, aantrekkelijke locatie, waarbij lunch, diner of borrel tot de mogelijkheden behoort.

Stap 3 Bespreking knelpunten ervaren kwaliteit van zorg en kwaliteitscriteria

De patiëntenorganisatie start de bijeenkomst met een presentatie van de knelpunten in de ervaren kwaliteit van zorg vanuit de achterban, m.a.w. de knelpunten vanuit patiëntenperspectief. Deze knelpunten komen voort uit de eerder verrichte knelpuntenanalyse.

Eventueel geeft de patiëntenorganisatie een overzicht van de voorgestelde kwaliteitscriteria en legt deze voor aan de aanwezige behandelaars. Wellicht hebben de aanwezigen aanvullende knelpunten. Het einddoel moet zijn dat men zich herkent in de knelpunten. Op grond hiervan kan men gezamenlijk werken aan een oplossing.

Stap 4 Uitwisselingen ervaringen

Vervolgens dient in het programma ruimte geboden te worden voor het uitwisselen van ervaringen tussen de betrokken behandelaars en de patiëntenorganisatie.

Stap 5 Vastlegging behandeling

De volgende stap in de bijeenkomst is het verzoek van de patiëntenorganisatie om de kennis van de behandelaars, zowel de eerste lijn als de tweede lijn, met betrekking tot de behandeling van de zeldzame aandoening vast te leggen, bijvoorbeeld in een protocol of best practice dat dient als aanbeveling voor medisch handelen. Het schrijven van dit document is in handen van de inhoudelijk deskundigen c.q. de behandelaars.

Stap 6 Verkrijgen van consensus

Er dient consensus bereikt te worden over de diagnosestelling en de behandelmogelijkheden op grond van de op schrift vastgelegde best practice of protocol. Dit geldt op landelijk niveau, maar idealiter ook op Europees of mondiaal niveau.

Het draagvlak dat de behandelaars hebben die betrokken zijn geweest bij de totstandkoming van het document, zowel binnen het eigen ziekenhuis als binnen de beroepsgroep, is hierbij cruciaal.

Stap 7 Best practice laten voorleggen aan beroepsgroep

Het verkrijgen van consensus binnen de beroepsgroep over de voorgestelde diagnose en behandeling van de zeldzame aandoening kan plaatsvinden door de betrokken behandelaars, maar ook op grond van een coördinerende rol door de patiëntenorganisatie.

Het is bij patiëntenorganisaties voorgekomen dat behandelaars geen consensus konden bereiken over een protocol en samenwerking, doordat men vasthield aan eigen zienswijzen en eigen afgebakende werkterreinen. In dat geval wordt aanbevolen beide methoden te beschrijven.

Stap 8 Implementatie

De beroepsgroep en de patiëntenorganisatie moeten vervolgens beiden bekendheid geven aan de best practice. Het is belangrijk dat alle partijen in het werkveld op de hoogte zijn van het bestaan en de inhoud van het document. Hiervoor kan een aantal publicitaire activiteiten plaatsvinden.

Beroepsgroep

Voorbeelden van promotie binnen de beroepsgroep:

- Samenvatting kan gepubliceerd worden in verenigingstijdschriften.
- Nascholingsbijeenkomsten.

Patiënten

De patiëntenorganisatie dient de implementatie te stimuleren. Dit kan o.a. plaatsvinden door op de volgende wijze bekendheid te geven aan het instrument:

- nieuwsbrief
- website
- verspreiding onder de leden (brief)
- medisch inhoudelijke gegevens verwerken in patiëntenbrochures (te verstrekken in o.a. poli's).

9. Formulering kwaliteitscriteria voor goede zorg

Naar aanleiding van de uitkomsten van knelpuntenanalyse (stap 4, hoofdstuk 4) kunnen kwaliteitscriteria worden geformuleerd. Bij de formulering van de kwaliteitscriteria dient de patiëntenorganisatie het voortouw te nemen. Bij voorkeur vindt dit plaats in samenwerking met bij het ziektebeeld betrokken (gepassioneerde) zorgverleners.

De Nederlandse Patiënten Consumenten Federatie (NPCF) en haar lidorganisaties hebben onderzoek gedaan naar criteria die voor patiënten belangrijk zijn in hun beoordeling van de kwaliteit van zorg. Op grond van dit onderzoek heeft de NPCF een aantal algemene kwaliteitscriteria geformuleerd voor goede zorg. Deze kwaliteitscriteria behelzen de navolgende aspecten:

- vakbekwaamheid
- informatie
- bejegening
- steun
- zelfstandigheid
- organisatie
- accommodatie
- evaluatie

Voor meer informatie over het formuleren van kwaliteitscriteria wordt verwezen naar 'Algemene Kwaliteitscriteria. De kwaliteit van de gezondheidszorg in patiëntenperspectief'. Dit document is te downloaden van de website van de Nederlandse Patiënten Consumenten Federatie (NPCF) (www.npcf.nl)

Aanvullend op de voorgestelde criteria van de NPCF volgt onderstaand een aantal kwaliteitscriteria voor goede zorg, specifiek van belang voor patiënten met zeldzame aandoeningen:

1. samenstelling en verantwoordelijkheden van het **multidisciplinaire expertteam**
2. **coördinatie** van het multidisciplinaire expertteam
3. **aandoeningsspecifieke kennis en kunde** van het multidisciplinaire expertteam
4. **informatie, voorlichting en communicatie**
5. **efficiency bevorderende criteria**
6. afstemming met (internationaal) **wetenschappelijk onderzoek**



Multidisciplinaire expertteam

Omdat de behandeling en begeleiding van een zeldzame aandoening in de meeste gevallen op een complexe zorgvraag berust, is de totstandkoming van een multidisciplinair expertteam voor een zeldzame aandoening of van een cluster van zeldzame aandoeningen zeer belangrijk. Dit expertteam biedt patiënten met een zeldzame aandoening tijdig een adequate medische behandeling en juiste begeleiding.

Coördinatie van zorg

Hoewel sommige patiënten met een zeldzame aandoening goed begeleid worden door hun huisarts of hun specialist, geven anderen aan één centrale persoon of zorgcoördinator te missen.

In een goed functionerend multidisciplinair team is de zorg goed gecoördineerd. Deze coördinatie is de verantwoordelijkheid van één persoon die onderdeel uitmaakt van het multidisciplinaire team.

Deze coördinator is verantwoordelijk voor:

- het functioneren van het team
- het bewaken van het zorgproces
- het bewaken van de kwaliteit van zorg
- het functioneren als centrale aanspreekpersoon voor patiënten binnen het multidisciplinaire team
- bereikbaarheid voor patiënten in noodgevallen.

Aandoeningsspecifieke kennis en kunde van het multidisciplinaire team

Veel patiënten ervaren de kennis over, en ervaring van behandelaars met een zeldzame aandoening als beperkt. Het is daarom van belang dat het multidisciplinaire team beschikt over kennis van de laatste ontwikkelingen over de betreffende zeldzame aandoening.

Dit blijkt uit de volgende aspecten:

- het zorgaanbod is conform de landelijke geaccepteerde richtlijnen of best practice en men is bekend met eventueel internationale instrumentaria voor professioneel handelen voor de betreffende zeldzame aandoening;
- het team is bekend met de nieuwste kennis en ontwikkelingen op het gebied van de betreffende zeldzame aandoening.
- binnen het team is er voldoende ervaring met de behandeling en begeleiding van patiënten. Jaarlijks ziet men alle, of tenminste 50 patiënten (afhankelijk van de aandoening).

Informatie, voorlichting en communicatie

Een goede communicatie met behandelaars is voor patiënten bepalend voor hoe men de kwaliteit van zorg ervaart. Belangrijke zaken die op het gebied van communicatie als criteria vastgelegd kunnen worden zijn de informatievoorziening naar patiënten en/of naasten van patiënten omtrent:

- de werkwijze van het multidisciplinaire team;
- het behandeltraject, de te verwachten resultaten/effecten, mogelijke bijwerkingen;
- de informatievoorziening buiten het 'reguliere' consult;
- hoe te handelen in noodgevallen, zoals botbreuken, longontsteking, narcose, infecties etc.
- informatievoorziening voor behandelaars en (para)medici buiten het team.

De behandelaar dient de informatie over de zeldzame aandoening, het beloop, behandelmogelijkheden, zwangerschap, erfelijkheid, de mogelijke gevolgen voor het dagelijks leven etc. in voor de patiënt begrijpelijk taal te verstrekken, en/of daarnaar te verwijzen.

Efficiency bevorderende criteria

Diverse organisatorische en materiële voorwaarden kunnen de zorg voor patiënten met een zeldzame aandoening makkelijker en efficiënter maken. Hierbij valt te denken aan:

- polibezoek voor controles vindt op één dag of dagdeel plaats, waardoor onnodige reistijd door de patiënt en naasten voorkomen wordt;
- mondelinge informatievoorziening over uitslagen en het geadviseerde behandelbeleid aan patiënten en/of hun naasten;
- wachttijden voor behandeling binnen het multidisciplinaire team zijn niet langer dan de zogenaamde Treeknormen⁴. Voor een overzicht van de Treeknormen wordt verwezen naar de website van het Rijksinstituut voor Volksgezondheid en Milieu (RIVM) (http://www.rivm.nl/vtv/object_document/o2302n29636.html).
- het ziekenhuis heeft de beschikking over de noodzakelijke materiële zaken (bijv. echo-apparatuur, scans, etc.)
- patiënten of hun naasten worden gewezen op het bestaan van een patiëntenorganisatie voor de betreffende zeldzame aandoening.

Afstemming met (internationaal) wetenschappelijk onderzoek

Een van de kwaliteitscriteria is wetenschappelijk onderzoek. Het is mogelijk dat er op internationaal niveau wetenschappelijk onderzoek wordt verricht naar de oorzaak en behandelmogelijkheden van een specifieke zeldzame aandoening. Afstemming hierover is noodzakelijk.

⁴ In 2000 zijn door de zorgsector, zorgverzekeraars en de overheid streefnormen voor aanvaardbare wachttijden opgesteld. Er zijn twee typen normen: de maximaal aanvaardbare wachttijd voor iedereen en de aanvaardbare wachttijd waarbinnen 80% van de patiëntengroep toegang moet hebben gekregen tot zorg.

Bijlage I

SMART

Formuleer een zorgstandaard en kwaliteitscriteria SMART

Doelen worden vaak te vaag of vrijblijvend geformuleerd en lijken hierdoor meer op wensen, intenties of goede voornemens. Maar om op een juiste, duidelijke wijze kwaliteitscriteria te formuleren, dienen ze richtinggevend te zijn. De kwaliteitscriteria dienen zogenaamd SMART geformuleerd te worden. SMART is de afkorting voor:

- specifiek
- meetbaar
- acceptabel
- realistisch
- tijdgebonden

Specifiek

Omschrijf de kwaliteitscriteria duidelijk en concreet. Het dient een waarneembare actie of resultaat te zijn waaraan een getal, percentage of ander kwantitatief gegeven gekoppeld kan worden.

Meetbaar

Hoeveel en hoe kan dat gemeten worden? Er dient een systeem, methode of procedure te zijn om te bepalen in welke mate de kwaliteitscriteria behaald worden.

Acceptabel

Voor de kwaliteitscriteria dient draagvlak te zijn bij alle betrokkenen.

Realistisch

De kwaliteitscriteria dienen haalbaar te zijn. Is het uitvoerbaar? Kunnen de betrokkenen voldoen aan de kwaliteitscriteria? Heeft men hiertoe de noodzakelijk kennis en kunde, capaciteit, financiële middelen en bevoegdheden? Onbereikbare kwaliteitscriteria zijn zinloos.

Tijdgebonden

Start en duur van bijvoorbeeld het implementatietraject kunnen benoemd worden.

Een aantal patiëntenorganisaties heeft ervoor gekozen bij de samenstelling van kwaliteitscriteria eerst het kwaliteitscriterium te beschrijven en vervolgens een toelichting hierop te geven vanuit patiëntenperspectief. Voorbeelden hiervan zijn onder andere de kwaliteitscriteria voor de diagnose en behandeling van de ziekte van Addison van de Nederlandse Vereniging Addison en Cushing Patiënten (NVACP) en voor zorg en behandeling van Schisis bij kinderen, opgesteld door de (jongeren)werkgroep van de BOSK, de Vereniging van Motorisch Gehandicapten en hun ouders.



Bijlage 2 Geraadpleegde bronnen

Schriftelijke bronnen

- Edgar, P.A.W., arts MBA. Maak normen in alle openheid. Richtlijnontwikkeling is niet alleen zaak van beroepsgroep. *Medisch Contact* 61, nr. 43, 27 oktober 2006, 1726-1727.
- Goudriaan, G., Goris A., *Naar een volwaardige marktpositie van patiëntenorganisaties. Visiedocument project 'Positionering patiëntenorganisaties als marktpartij'*.
- Kind en Ziekenhuis, Themanummer Good Practice, nummer 5, juli 2007
- Kind en Ziekenhuis, Themanummer Keten zorg, nummer 2, april 2008
- Kind en Ziekenhuis, Themanummer Zeldzame aandoeningen, nummer 2, juni 2000
- Kwaliteitsinstituut voor de gezondheidszorg CBO. 2003 *Revalidatie geneeskundige richtlijn, Ataxie van Friedreich*
- Kwaliteitsinstituut voor de gezondheidszorg CBO. *Consensus diagnostiek en behandeling van Cystic Fibrosis*, Utrecht, 1998
- Kwaliteitsinstituut voor de Gezondheidszorg CBO *Handleiding behandelprogramma's, in opdracht van de VRIN*, Utrecht, 2001
- Kwaliteitsinstituut voor de Gezondheidszorg CBO, Nederlandse Patiënten Consumenten Federatie (NPCF), *Richtlijnontwikkeling. Een praktische handleiding voor patiënten*, Utrecht, 2007
- Lips, Drs. P. De Paradox van protocollen. *Medisch Contact*, 61, nr. 48, 1 december 2006 1947-1950
- Nederlandse Diabetes Federatie. *Zorgstandaard voor goede diabeteszorg. Een eerste voorwaarde voor een nieuw financieringsmodel*. Amersfoort, 2003.
- Nederlandse Patiënten Consumenten Federatie (NPCF), Algemene Kwaliteitscriteria, *De kwaliteit van de gezondheidszorg in patiëntenperspectief*, Utrecht, 2006
- Nederlandse Vereniging voor Addison en Cushing Patiënten (NVACP), *Kwaliteitscriteria voor volwassenen met AGS*, 2004
- Nederlandse Vereniging Kindergeneeskunde, Sectie Erfelijke en Aangeboren Aandoeningen, *Leidraad Erfelijke en Aangeboren Aandoeningen*, 2000
- Nispen van R.M.A., Rijken P.M., Heijmans M.J.W.M. *Leven met een zeldzame chronische aandoening. Ervaringen van patiënten in de zorg en het dagelijks leven*, Nivel, Utrecht, 2003
- Nyfer, *Zorgstandaards, Instrument voor kwaliteit en transparantie in de gezondheidszorg*, Breukelen, 2006
- Stuurgroep Weesgeneesmiddelen. *Factsheet DBC en zeldzame aandoeningen*. Den Haag, 2005
- Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties. *Verslag workshop 'Expertteam voor Zeldzame Aandoeningen' d.d. 7 februari 2008 te Utrecht*
- Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties. *Verslag rondetafelgesprek Zeldzame Aandoeningen d.d. 29 februari 2008 te Den Haag*
- Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties. *Verslag workshop 'Zeldzame aandoeningen: van Zorgstandaard tot Expertteam' d.d. 16 juni 2008 te Amsterdam*
- Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties, *Informatie voor mensen met een zeldzame aandoening. Een onderzoek naar de beschikbare informatie, knelpunten en oplossingen*, Soestdijk, 2002
- Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties, *De patiënt aan het woord*, Soestdijk, 2005
- Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties, *De diagnose is slechts het begin; mogelijkheden voor continuïteit van zorg voor kinderen met een zeldzame aandoening*, Soestdijk, 1999
- Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties, *Expertteams voor zeldzame aandoeningen. Een praktische wegwijzer voor patiëntenorganisaties*, Soest, 2008
- Vereniging Spierziekten Nederland (VSN), *Samenwerkingsrichtlijn voor multidisciplinaire zorg aan mensen met Duchenne Spierdystrofie*, Baarn, 2002
- Vereniging Spierziekten Nederland (VSN), *Zorginkoopcriteria. Kinderen met een neuromusculaire aandoening in een academisch ziekenhuis*, Baarn, 2008
- Volwassen, Kinderen en Stofwisselingsziekten (VKS), *Onderzoeksverslag zorg voor neurodegeneratieve stofwisselingsziekten*, Zwolle, 2002

Bijlage 3 Overzicht geïnterviewden

Mevrouw J. Hopman, Vereniging voor Huntington

Mevrouw A. Noordzij, Nederlandse Vereniging Addison en Cushing patiënten (NVACP)

Mevrouw dr. A. Horemans, Vereniging Spierziekten Nederland (VSN)

Mevrouw H. Meutgeert, Vereniging Volwassenen en Kinderen en Stofwisselingsziekten (VKS)

Mevrouw drs. J.J. Noordhoek-van der Staay, Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting (NCFS)

De heer P. Gevaerts, Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting (NCFS)

Mevrouw M. de Booys, De Hart&Vaatgroep (voorheen: Stichting Hoofd Hart en Vaten)

De heer drs. H. van Veenendaal, Kwaliteitsinstituut voor de Gezondheidszorg CBO

Mevrouw drs. J. Huizer, Stuurgroep Weesgeneesmiddelen

Mevrouw F. de Wit, Vereniging Spierziekten Nederland (VSN)







Expertteams voor zeldzame aandoeningen

I. Inleiding

Een aandoening is zeldzaam wanneer niet meer dan vijf op de tienduizend inwoners de aandoening hebben. Dit betekent dat in Nederland een ziekte zeldzaam kan worden genoemd wanneer ongeveer 8000 patiënten eraan lijden. Naar schatting komen er 6000 tot 8000 zeldzame ziekten voor en bij elkaar zijn er in Nederland bijna een miljoen mensen met een zeldzame aandoening.

Van verschillende kanten, van zowel patiëntenorganisaties als van medici, komen steeds meer signalen dat de medische zorg voor deze grote groep mensen met zeldzame erfelijke ziekten niet afdoende is geregeld in Nederland. Hoewel de moderne geneeskunde steeds beter in staat is mensen met een erfelijke aanleg voor bepaalde ziekten te identificeren en het in principe mogelijk is vroegtijdig de diagnose te stellen en de behandeling en begeleiding in gang te zetten, blijken er in de praktijk echter nog steeds grote lacunes te bestaan in de zorg.

Problemen die zich voordoen bij de zorg voor zeldzame aandoeningen zijn de volgende.

- De zorg is complex. Doordat vaak meerdere orgaansystemen zijn aangedaan, moeten ook meerdere behandelaars worden betrokken bij de zorg. Verder spelen ook psychosociale factoren een rol naast de medische factoren, aangezien meerdere gezinsleden ziek kunnen zijn.
- Gebrek aan coördinatie. De afstemming van de diverse behandelingen bij de verschillende specialisten, soms in verschillende ziekenhuizen, vraagt veel coördinatie en in veel gevallen moeten de (verzorgers van) mensen met een zeldzame aandoening dit zelf doen.
- Specifieke kennis ontbreekt. Door de zeldzaamheid van de aandoeningen ontbreekt bij huisartsen, maar ook bij veel specialisten in de periferie, de specifieke kennis en informatie over de diagnose, het beloop van de ziekte, de verschillende mogelijkheden voor behandeling of preventief onderzoek en de levensverwachting.
- Onvoldoende bundeling van kennis en gegevens. Wanneer de patiënten verdeeld zijn over verschillende ziekenhuizen, worden er per ziekenhuis of per specialist slechts een beperkt aantal patiënten behandeld. Gegevens uit verschillende databestanden zijn vaak niet compatibel. Een systematische manier om alle informatie in één databank te verzamelen ontbreekt veelal. Hierdoor wordt niet voldoende expertise opgebouwd voor behandeling en stagneert wetenschappelijk onderzoek door gebrek aan gegevens.
- Geen instrumentaria voor professioneel handelen. Er bestaan nauwelijks richtlijnen en behandelprotocollen voor zeldzame aandoeningen, wegens gebrek aan consensus bij de behandelaars van zeldzame aandoeningen. Dit is te wijten aan het gebrek aan kennis en wetenschappelijk onderbouwde informatie.
- Desinteresse vanuit de farmaceutische industrie. Het ontwikkelen en testen van medicijnen is een langdurig en kostbaar proces. Bij een zeldzame ziekte wegen de kosten niet op tegen de baten.

I.1 Zorg voor Zeldzaam

Bovengenoemde problemen kunnen deels worden overwonnen wanneer zeldzame aandoeningen worden behandeld in multidisciplinaire expert- of behandelteams. Het effect van het centraliseren van expertise is bijvoorbeeld aangetoond bij cystic fibrosis (CF). Het blijkt dat de levensverwachting bij behandeling in een CF-centrum met 5 jaar toeneemt.

Met deze Wegwijzer biedt de VSOP (koepels van) patiëntenorganisaties een handreiking om zelf expertteams te helpen realiseren. De Wegwijzer maakt deel uit van het project Zorg voor Zeldzaam, dat de VSOP in 2008 heeft afgerond. Het doel van het project is breed bekendheid te geven aan de problematiek omtrent de zorg voor zeldzame aandoeningen en de noodzaak van expertteams, alsmede handreikingen te bieden aan patiëntenorganisaties om expertteams te helpen realiseren.

Voor de totstandkoming van deze Wegwijzer zijn 22 vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties en medici geïnterviewd die ervaring hebben met het werken in expertteams. Bovendien zijn aanvullende gesprekken gevoerd met verschillende deskundigen op dit gebied en is een literatuurstudie uitgevoerd. De volgende hoofdstukken zijn grotendeels gebaseerd op ervaringen van patiënten en medici die al langer te maken hebben met expertteams. De Wegwijzer geeft dan ook geen harde feiten, maar wel veel ervaringskennis en soms ook meningen van patiënten of medici. Patiëntenorganisaties kunnen hier, wanneer ze dit in gedachten houden, zeker hun voordeel mee doen.

Naast de VSOP pleit ook het Forum Biotechnologie en Genetica (FBG) voor integrale zorg met een multidisciplinaire karakter voor mensen met erfelijke ziekten met complexe symptomen, om daarmee onherstelbare gezondheidsschade te voorkomen en substantiële gezondheidswinst te realiseren. Er wordt gewerkt aan een plan van aanpak, waarmee de verschillende partijen zelf tot oplossingen kunnen komen voor goede multidisciplinaire zorg. Dit betreft niet alleen de patiëntenorganisaties, maar ook de beroepsgroepen en zorgverzekeraars. Het FBG-project sluit naadloos aan op het project Zorg voor Zeldzaam.

I.2 Leeswijzer

Hoofdstuk twee geeft uitleg over het begrip expertteam en beschrijft de verschillende aspecten van deze werkwijze. Het hoofdstuk is samengevat in bijlage 1, een model.

Hoofdstuk drie geeft adviezen en een aantal stappen die patiëntenorganisaties kunnen ondernemen om expertteams te helpen realiseren. Hierbij dient te worden opgemerkt dat niet alle stappen of adviezen relevant zullen zijn voor alle patiëntenorganisaties, gezien de diversiteit in grootte en professionaliteit, financiële middelen, ziektebeeld, betrokkenen enzovoort. Iedere patiëntenorganisatie kan voor zichzelf beoordelen welke informatie relevant of behulpzaam is of niet. Hoofdstuk drie is samengevat in bijlage 2, een stappenplan.

Hoofdstuk vier benoemt succesfactoren voor het welslagen van een team en hoofdstuk vijf beschrijft tenslotte de verschillende faalfactoren.

Deze Wegwijzer is een zogenaamde ‘levende handleiding’. Dit betekent dat hoofdstukken kunnen worden gewijzigd wanneer nieuwe ontwikkelingen daartoe aanleiding geven. Na deze eerste gedrukte versie zal de VSOP tenminste eens per twee jaar bezien of aanpassingen noodzakelijk zijn. Na actualisering zal op de website van de VSOP zichtbaar zijn wanneer de wijzigingen in deze Wegwijzer hebben plaatsgevonden (www.vsop.nl).

2 Expertteams

2.1 Wat is een expertteam

In een multidisciplinair expertteam werken medische en eventueel niet medische specialisten samen op het gebied van een aandoening. Een expertteam heeft een breder takenpakket dan alleen diagnose en behandeling. Voor veelvoorkomende aandoeningen die een multidisciplinaire aanpak vergen, bestaan vaak al expertteams. Een ideaal *expertteam* voor zeldzame aandoeningen verricht de volgende werkzaamheden.

- Het team ziet zoveel mogelijk patiënten met een specifieke zeldzame aandoening (of een aantal vergelijkbare zeldzame aandoeningen), hetzij voor behandeling, hetzij ter controle of preventief onderzoek, zodat het team ervaring en expertise krijgt.
- Het team vervult een coördinerende rol binnen Nederland en onderhoudt contacten met andere specialisten en behandelteams op dit gebied, zodat doorverwijzingen tijdig kunnen plaatsvinden en kennis wordt gebundeld. Ook coördinatie van eerste hulp speelt hierbij een rol.
- Het team maakt onderdeel uit van nationale en Europese netwerken, zodat kennis wordt opgebouwd, gedeeld en actueel blijft.
- Het team legt, in samenwerking met patiëntenorganisaties, databanken aan met genetische en klinische informatie en eventueel met lichaamsmateriaal en beheert deze.
- Het team voert wetenschappelijk onderzoek uit.
- Het team ontwikkelt richtlijnen en behandelprotocollen.
- Het team informeert patiënten, huisartsen en specialisten over de aandoening en de laatste ontwikkelingen.

Niet alle bestaande teams in Nederland verrichten echter al deze werkzaamheden. Expertteams zouden hieraan echter wel moeten voldoen om zich expertteam te mogen noemen. Overige minimale criteria hangen af van de aard en behandelbaarheid van de aandoening.

Een expertteam richt zich niet per definitie op maar één aandoening. Het is zelfs niet wenselijk en ook niet haalbaar voor de geschatte 7000 zeldzame aandoeningen afzonderlijke expertteams op te richten. Het is effectiever en realistischer wanneer het team zich richt op een cluster of groep van op elkaar lijkende of aan elkaar verwante aandoeningen. Dit heeft als voordeel dat het werkerrein groter wordt en meer patiënten worden gezien, waardoor expertise sneller wordt opgebouwd.

Een expertteam hoeft ook niet per definitie één team op één locatie te zijn. Dit hangt af van hoe zeldzaam de aandoening of hoe groot het cluster van aandoeningen is waarop het team zich richt. Voor wat

vaker voorkomende zeldzame aandoeningen kunnen er meerdere expertteams actief zijn in verschillende regio's, bij verschillende ziekenhuizen. De wachttijden moeten immers zo kort mogelijk blijven. Voorwaarde is wel dat deze subteams opereren als één team, goed samenwerken en protocollen, beleid en onderzoek onderling afstemmen, ter voorkoming van versnippering van kennis en ervaring. Er kan in dat geval ook worden gesproken van een **expertcentrum**.

Waar multidisciplinaire expertteams een brede taak hebben zoals boven beschreven, richten multidisciplinaire **behandelteams** zich voornamelijk op de daadwerkelijke zorg en behandeling van patiënten (wetenschappelijk onderzoek of andere activiteiten zijn natuurlijk niet uitgesloten). Ideaal is het wanneer de patiënt onder behandeling kan blijven bij een behandelteam of behandelaar in het eigen ziekenhuis en alleen voor periodieke controles of bij complicaties het expertteam bezoekt. In dat geval is het belangrijk dat de behandelaar en het expertteam alle relevante (onderzoeks)gegevens en materiaal uitwisselen. Hierover moeten goede afspraken worden gemaakt. Dit is echter niet voor alle aandoeningen een mogelijkheid. Er is vaak een zekere overlap tussen de termen expertteam en behandelteam, aangezien expertteams vaak ook patiënten onder behandeling hebben.

Anja Horemans, Vereniging Spierziekten Nederland: 'Eén van de doelstellingen van het ALS-centrum is de diagnostiek versnellen. Een expertcentrum trekt mensen uit het hele land aan, bijvoorbeeld voor een second opinion. Het centrum heeft echter niet als doel om mensen afkomstig uit andere regio's onder behandeling te nemen. Daarvoor hebben ze ook niet de capaciteit. Wat een centrum dan moet hebben, is een netwerk in het hele land waar, in goed overleg, de behandeling en begeleiding plaatsvinden.'

2.2 Voor- en nadelen van behandeld worden door een expertteam

Diegenen die te maken hebben met een expertteam of werken binnen een team zijn het er veelal over eens dat de voordelen ruimschoots opwegen tegen de nadelen. Echter, in sommige gevallen kunnen er wel nadelen aan verbonden zijn, of in ieder geval zo worden ervaren. Voor een zo objectief mogelijk beeld zijn ook deze beschreven.

Voordelen behandeling door een expertteam

Patiënten die worden behandeld door een team noemen onder meer de volgende voordelen, die echter niet allemaal zullen gelden voor alle teams.

- Doordat het expertteam veel mensen met een specifieke zeldzame aandoening ziet, is er zekerheid dat de behandelaars deskundig zijn, veel inhoudelijke kennis en ook veel ervaring hebben. Een expertteam heeft betere mogelijkheden om de laatste wetenschappelijke ontwikkelingen en informatie over nieuwe therapieën bij te houden, ook internationaal. Door deze bundeling van kennis en expertise is er geen tegenstrijdigheid in wat de behandelaars zeggen en is er geen onbegrip als een patiënt zelf nieuwe informatie heeft gelezen. Dit schept vertrouwen.
- Verder is het niet noodzakelijk dat de patiënt of verzorger zelf op zoek gaat naar verschillende specialisten met kennis en kunde van de aandoening en hiermee alle afspraken maakt. De coördi-



- natie van afspraken, onderzoeken en behandelingen vindt plaats binnen het team. Een team waarin de verschillende specialisten samenwerken maakt ketenzorg mogelijk.
- Doordat er veel expertise is, kan de juiste diagnose sneller worden gesteld, kunnen verkeerde diagnoses soms zelfs worden bijgesteld en kan er betere behandeling en begeleiding plaatsvinden. Een voorwaarde is dat de verwijzende huisarts of specialist al wel enig idee heeft in welke hoek de diagnose moet worden gezocht.
 - Vaak organiseren expertteams de behandeling zodanig, dat de patiënt op één dag meerdere specialisten kan zien en meerdere onderzoeken ondergaat, zodat de reis naar het ziekenhuis maar één keer hoeft te worden gemaakt. Dit is van groot belang aangezien er vaak veel tijd moet worden besteed aan controles en behandelingen.
 - De behandelaars hebben ook ervaring met de levensproblematiek en de familieproblematiek die de aandoening met zich meebrengt, dus hebben meer begrip en aandacht voor de situatie. Het contact is daardoor menselijker. De psychologische en maatschappelijke ondersteuning sluit beter aan bij de medische behandeling.
 - Door de concentratie van kennis en gegevens bij het team kan wetenschappelijk onderzoek worden uitgevoerd. Afzonderlijke specialisten of behandelteams hebben hiervoor niet altijd tijd en financiën. Onderzoek is wel van essentieel belang voor het ontwikkelen van medicijnen of behandelingen. Onderzoek kan tevens meer zicht geven op de gevolgen van de aandoening, op het lichamelijk functioneren, de activiteiten in het dagelijks leven en sociaal maatschappelijke participatie.

Relatieve nadelen behandeling door een expertteam

Sommige patiënten(organisaties) geven echter aan ook nadelen te ervaren bij behandeling door een expertteam.

- Als er maar één expertteam is in Nederland, moet men bijvoorbeeld soms verder reizen om het team te bereiken dan wanneer men naar het eigen ziekenhuis reist. Eén relatief verre reis naar een expertteam waar meerdere specialisten op één dag worden gezien en meerdere onderzoeken op één dag kunnen plaatsvinden, zal vaak echter opwegen tegen meerdere kortere reizen naar een ziekenhuis in de buurt. Ook is het bij sommige aandoeningen mogelijk onder behandeling te blijven bij de eigen specialist en alleen eens in de zoveel tijd op controle te komen bij het expertteam.
- Als de patiënt onder behandeling blijft bij de eigen behandelaar en af en toe wordt gecontroleerd door het expertteam, kan dit echter ervaren worden als overbodige en onnodige belasting en extra reistijd en ziekenhuisbezoek, terwijl dit al zo veel tijd en energie kost. Echter, door deze extra controles krijgt het expertteam niet alleen meer expertise en gegevens, zodat meer onderzoek en misschien een betere behandeling mogelijk worden. Door deze extra controles is de patiënt ook zelf verzekerd van de best mogelijke behandeling en begeleiding. Het team heeft immers de laatste inzichten, kennis en technieken in huis en kan de eigen behandelaar adviseren over de beste behandeling.

- Patiëntenorganisaties ervaren soms problemen met het 'partij kiezen' voor één centrum, waardoor de banden met andere ziekenhuizen of medici kunnen verslechteren. Objectiviteit is hierbij van belang. Wanneer de expertise van een team buiten kijf staat, is eerlijke informatie over zowel het team als expertise van andere specialisten van buitengewoon belang voor de leden van de patiëntenorganisatie.

Expertteams in Europa

De Europese Commissie (EC) heeft de problemen in de behandeling van zeldzame aandoeningen (h)erkend. Zowel binnen het Directoraat Generaal Gezondheid als binnen het Directoraat Generaal Onderzoek stimuleert men de vorming van Europese netwerken van nationale expertteams (centres of expertise) om de zorg te verbeteren. De Europese patiëntenkoepel voor zeldzame aandoeningen, Eurordis, draagt ervoor zorg dat de wensen en behoeften van patiënten in dit proces worden meegenomen. De Rare Disease Task Force (RDTF) is ingesteld om de EC te adviseren op het gebied van preventie, diagnose en behandeling van zeldzame aandoeningen.

Criteria voor benoemen van expertisecentra

Wat wordt verstaan onder een expertisecentrum, is per land en per aandoening verschillend. Het hangt af van de organisatie van de gezondheidszorg, de grootte van het land en het voorkomen van de aandoening. In de meeste Europese landen zijn expertisecentra te vinden, maar slechts in enkele landen worden ze ook officieel als zodanig aangemerkt (en aanvullend gefinancierd). In Nederland is dit niet het geval.

De RDTF definieert een expertisecentrum als een centrum waar multidisciplinaire zorg wordt verleend aan mensen met zeldzame aandoeningen en dat door een bevoegde instantie is aangemerkt als expertisecentrum. De RDTF beveelt aan dat de nationale overheden expertisecentra (laten) aanwijzen. De tweede aanbeveling is dat de nationale centra nauw samenwerken op Europees niveau in zogenaamde netwerken van expertisecentra.

Duidelijke criteria voor expertisecentra en Europese netwerken hiervan zijn onmisbaar en moeten op Europees niveau worden gehanteerd. In 2006 zijn enkele pilot-projecten gestart om het concept van Europese netwerken van expertisecentra te testen. Duidelijker moet nog worden op basis waarvan de centra en netwerken kunnen worden geïdentificeerd en benoemd en hoe de werkwijze kan worden geëvalueerd. Een knelpunt is de financiering.

Eurordis heeft in juli 2007 een Europese workshop georganiseerd voor met name vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties over netwerken van expertisecentra. Ook hier zijn criteria besproken op basis waarvan expertisecentra kunnen worden geïdentificeerd en benoemd.

Gemeenschappelijke criteria die zowel de RDTF als Eurordis noemen zijn:

- Veel expertise en ervaring, zowel klinisch als wetenschappelijk, af te leiden uit publicaties, prijzen et cetera.
- Multidisciplinaire werkwijze.
- Voldoende capaciteit voor diagnose en follow-up.
- Voldoende capaciteit om professionele richtlijnen en behandelprotocollen te ontwikkelen en te implementeren, alsmede voor evaluatie hiervan.
- Een bijdrage aan zowel gezondheidszorg als wetenschappelijk onderzoek (nationaal en internationaal).
- Bereidheid tot nauwe samenwerking en uitwisseling van informatie met andere specialisten op het gebied (nationaal en internationaal) en de coördinatie hiervan.
- Nauwe samenwerking met patiëntenorganisaties.
- Betrokkenheid bij patiëntenregistraties en databanken.
- Mogelijkheden tot educatie en informatievoorziening (burgers en professionals)
- Deze criteria moeten nog nader worden gespecificeerd en aangevuld.

Voor meer informatie zie www.ec.europa.eu/health, www.eurordis.org en www.rdtf.org.

3 Als patiëntenorganisatie bijdragen aan het realiseren van een expertteam

Voor sommige (clusters van) zeldzame aandoeningen bestaan in Nederland reeds expertteams of -centra. Voor veel aandoeningen echter nog niet.

Indien een patiëntenorganisatie of koepelorganisatie signaleert dat de zorg niet optimaal is, er geen expertteam bestaat voor de aandoening(en) van haar leden en van mening is dat een dergelijk team meerwaarde heeft, is het mogelijk een bijdrage te leveren aan het tot stand komen van een expertteam.

Hoe groot die bijdrage kan zijn, hangt af van veel factoren, zoals de aard van de aandoening, de behandelingsmogelijkheden, hoe de zorg momenteel geregeld is en hoe klein of groot de organisatie is. Niet alle onderstaande suggesties zijn haalbaar of nuttig voor alle patiëntenorganisaties of -koepels. Het is aan iedere organisatie zelf om te beoordelen welke stappen zinvol zijn en ondernomen kunnen worden.

3.1 In beeld brengen waaraan patiënten behoefte hebben

De patiëntenorganisatie kan, bijvoorbeeld via een enquête onder de leden, nagaan hoe de leden de huidige zorg en behandeling in Nederland ervaren en of de leden behoefte hebben aan zorg door expertteams als deze er momenteel niet is. Het is hierbij van belang dat de leden goed worden geïnformeerd over de voor- en nadelen van een expertteam. Hiervoor kan deze Wegwijzer worden gebruikt. De vraag is of men bereid is eventueel verder te reizen of een extra controle te ondergaan. Het is belangrijk vooraf goed de behoeften

van de leden vast te stellen om misverstanden in een later stadium te voorkomen. Ook kan worden gevraagd welke problemen men in de praktijk ervaart en welke vragen men heeft. Dergelijke informatie kan een behandelaar mogelijk helpen overtuigen dat het opzetten van een expertteam belangrijk en noodzakelijk is. Kortom, het is belangrijk duidelijk te krijgen waar verbetering nodig is, waaraan patiënten behoefte hebben en wat hiervoor nodig is.

Daarnaast kan ook globaal advies worden ingewonnen over het opzetten van een expertteam bij wetenschappelijke verenigingen van de beroepsgroepen, zoals de Nederlandse Vereniging voor Kindergeneeskunde (NVK). Dit soort instanties heeft veel kennis over de huidige gang van zaken in Nederland en kunnen adviseren over een mogelijke aanpak. Het is ook mogelijk contact op te nemen met andere patiëntenorganisaties die ervaring hebben met het opzetten van, of betrokken raken bij, expertteams. De patiëntenorganisaties die hiermee ervaring hebben en bereid zijn deze ervaringen te delen zijn bereikbaar via de VSOP, secretariaat@vsop.nl. Een uitgebreid overzicht van de wetenschappelijke verenigingen, inclusief contactgegevens, is te vinden op de website van de Orde van Medisch Specialisten: www.orde.artsennet.nl.

3.2 De mogelijkheden van de organisatie optimaliseren

Grotere patiëntenorganisaties met meer middelen en menskracht zullen meer mogelijkheden hebben dan kleine organisaties, maar ook de laatste kunnen een bijdrage leveren. Kleine patiëntenorganisaties kunnen meer invloed krijgen door de krachten te bundelen en zich te verenigen binnen een cluster voor vergelijkbare of aanverwante aandoeningen. Gezamenlijk kan men pleiten voor het oprichten van een expertteam voor deze betreffende zeldzame aandoeningen. Door de krachten te bundelen is het ook makkelijker een professionaliseringsslag te maken en fondsen te werven; voorwaarden om verder te kunnen komen. Tenslotte kan men profiteren van goede (medische) adviseurs.

Het 'Handboek patiëntenparticipatie in wetenschappelijk onderzoek' biedt vele handige tips die van pas kunnen komen bij het optimaliseren van de mogelijkheden. Bijvoorbeeld op het gebied van netwerken, communiceren of het vinden van medici. Het handboek is gratis te downloaden via www.zonmw.nl/patiëntenperspectief.

Krachten bundelen

Kleine organisaties kunnen als ze samenwerken makkelijker invloed uitoefenen op de huidige structuur van de zorg, omdat ze gezamenlijk meer middelen en meer kennis in huis hebben. Ook is het beter haalbaar expertteams te realiseren voor clusters van aandoeningen. Patiëntenorganisaties voor aanverwante zeldzame aandoeningen kunnen zich verenigen binnen een koepelorganisatie in Nederland of Europa, of zich aansluiten bij bestaande samenwerkingsverbanden. De kans is groot gezamenlijk iemand in dienst te kunnen nemen, die zich fulltime kan richten op belangenbehartiging, waaronder het realiseren van expertteams in Nederland. Tenslotte is het ook belangrijk zo veel mogelijk leden te werven, eventueel ook uit omringende landen. Hoe meer mensen worden vertegenwoordigd, hoe sterker de organisatie staat in allerlei onderhandelingen.



De website www.aanpakken.nu helpt patiënten- en gehandicaptenorganisaties die willen samenwerken.

Professionaliseren

Kleine organisaties moeten verder een professionele vertaalslag maken en ook dit is beter haalbaar wanneer de krachten worden gebundeld. Bij toenemende professionaliteit realiseren specialisten, verzekeraars en overheid zich sneller dat samenwerking voordeel oplevert voor alle partijen. Financiële middelen, dus fondsenwerving, zijn hiervoor onontbeerlijk. Verschillende organisaties bieden ondersteuning of cursussen voor patiëntenorganisaties die willen professionaliseren. Niet alleen praktische vaardigheden (een reglement opstellen, financiële administratie, vergadertechnieken, netwerken), maar ook inhoudelijke kennis van de aandoening is van belang om een gelijkwaardige en begerenswaardige gesprekspartner te worden.

Een belangrijk aandachtspunt is het loslaten van het niveau van de eigen directe, emotionele betrokkenheid. Ook wanneer patiënten en verzorgers zelf de organisatie runnen, is objectiviteit, zakelijk optreden en het beteugelen van emoties van groot belang. Hoe moeilijk dat ook is, het is de enige manier om het doel te bereiken.

Cursussen en andere informatie met betrekking tot fondsenwerving en professionaliseren zijn te vinden op de volgende websites: www.desgevraagd.nl, www.odyssee-groep.nl, www.nigz.nl, www.fondspgo.nl, www.fondsenwerving.nl, www.subsidie.startpagina.nl.

Een medisch adviseur binden

Het in huis halen van professionals is voor kleine organisaties een belangrijke stap om een rol te kunnen spelen bij het realiseren van expertteams. Het is dan ook uitermate belangrijk in eerste instantie een medisch adviseur aan de organisatie te binden. Dit kan ook een betrokken behandelaar zijn. Deze adviseur kan bijdragen aan draagvlak binnen de beroepsgroep, eventueel een bestuursfunctie bekleden en helpen bij het ondernemen van verdere stappen om te komen tot expertteams.

Verder zijn, naast mensen die zelf direct of indirect ervaring hebben met de aandoening, bestuursleden en een goed netwerk van professionals nodig (een medische adviesraad) om de organisatie verder te helpen, zoals een directeur van een bedrijf, iemand uit de Raad van Bestuur van een ziekenhuis, iemand uit de zorg, een bedrijfseconoom enzovoort. Kortom, mensen die op hoog niveau kunnen onderhandelen en lobbyen, maar ook structureel beschikbaar zijn om continuïteit te waarborgen in geval van ziekte of ziekenhuisbezoek.

Hans Ploegmakers, Stichting Tubereuze Sclerose Nederland: 'Ik zie anderen wel verzeild raken in gigantische vergadercircuits om alles via formele kanalen en wegen van de grond te krijgen. Men is dan voortdurend in vergadering, maakt weinig vorderingen en weet eigenlijk steeds beter waarom dingen niet kunnen. Daarom blijft het belangrijkste voor mij netwerken: win-win situaties creëren, kijken wie sleutelfiguren zijn om iets te realiseren, relaties voortdurend koesteren en daarbij het eigen belang en de eigen rol goed in de gaten houden.'

3.3 Een plan van aanpak opstellen

De medisch adviseur die zich aan de organisatie heeft gebonden kan helpen bij het opstellen van een realistisch plan van aanpak voor het opzetten van een expertteam. Hierin kan worden opgenomen wat haalbaar is en bij welke ziekenhuizen misschien ingangen zijn, zoals medici die zich willen specialiseren in de aandoening(en). Uitvinden in welke ziekenhuizen men belangstelling heeft voor de zeldzame aandoening kan al een hele opgave zijn. Ook de doelstellingen, een tijdsplan en afspraken over het functioneren van het team kunnen worden opgenomen in het plan. Hierin wordt dan weergegeven wat de patiëntenorganisatie nodig heeft en verwacht van het team, en wat het team kan verwachten van de patiëntenorganisatie. Duidelijke afspraken kunnen misverstanden en teleurstelling voorkomen.

Indien mogelijk is het goed een begroting op te nemen in het plan van aanpak. Voor de begroting zijn vaak veel cijfers reeds bekend. De medisch adviseur kan nagaan hoeveel het team qua menskracht zou kosten binnen het ziekenhuis en kan de vergelijking maken met de huidige situatie. Er zijn echter ook specialisten op het gebied van kostencalculaties binnen de zorg. Extern iemand in de hand nemen om een realistische begroting op te stellen vraagt uiteraard de nodige financiën, maar het voordeel is dat het wordt opgesteld door een professional.

Ria Guijt, Gaucher Vereniging Nederland: 'Toen we met de vereniging begonnen, hebben we ook gekeken wie welke behandelaar had en wie daarvan bereid was in een medisch team plaats te nemen. Een grote rol voor de patiëntenorganisatie dus. Er waren maar weinig patiënten; twee families en twee ienkele patiënten. Niemand kende elkaar en ook de behandelaren kenden elkaar niet. Toen heeft iedereen zijn eigen behandelaar gevraagd of hij of zij deel wilde uitmaken van het team. De een was daartoe meer bereid dan de ander, maar zo is het team tot stand gekomen; wij hebben ze met elkaar in contact gebracht. Ze werken nu zelfstandig als team, maar hebben veel contact met de vereniging. Wij adviseren en informeren elkaar over en weer.'

3.4 Een gemotiveerde behandelaar zoeken

De beste kans van slagen heeft een expertteam wanneer een enthousiaste behandelaar die zich verder wil specialiseren in de aandoening, zich voor het team wil inzetten en tijd erin wil investeren. Het helpt wanneer de behandelaar voldoende autoriteit binnen het ziekenhuis heeft of steun heeft van het afdelingshoofd of de Raad van Bestuur.

De medisch adviseur kan een brug slaan tussen het ziekenhuis en de patiëntenorganisatie. Het is daarom belangrijk continu nauw samen te werken met de medisch adviseur bij het zoeken naar een behandelaar. De Wegwijzer kan worden gebruikt om de noodzaak van expertteams duidelijk te maken binnen het ziekenhuis.

Door eigen ervaringen en ervaringen van de aangesloten leden met specialisten binnen verschillende ziekenhuizen, is wellicht al bekend welke ziekenhuizen zich specialiseren in de betreffende zeldzame aandoeningen. Het is vaak makkelijker aan te

sluiten bij een bestaande structuur. Afdelingen klinische genetica of erfelijkheidsvraagstukken van de universitair medische centra kunnen eveneens ingangen bieden. Het hoofd van de afdeling zal in de meeste gevallen op weg kunnen helpen.

Objectiviteit is van belang tijdens oriënterende gesprekken, om een goed beeld te krijgen van wie betrokkenheid en expertise heeft en hoe de onderlinge verhoudingen tussen medici en ziekenhuizen zijn. Ook goede sociale vaardigheden zijn van groot belang bij het benaderen van medici. Goed overweg kunnen met de behandelaar, goed persoonlijk contact en een goede onderlinge chemie zijn wezenlijk. De specialisten moeten tenslotte bereid zijn met de patiëntenorganisatie op te trekken en samen te werken. Het is dan ook raadzaam oriënterende gesprekken altijd samen met de medisch adviseur te voeren.

Tijdens de gesprekken moet het de medici duidelijk worden dat de patiëntenorganisatie ook iets te bieden heeft. De organisatie kan een behandelaar of expertteam steunen en helpen om succesvol te worden. De patiëntenorganisatie heeft een grote troef in handen: de aangesloten leden. Hierdoor kan de organisatie bekendheid geven aan het expertteam, leden doorsturen naar het team en leden vragen mee te doen aan wetenschappelijke trials. Het ledenbestand biedt medici waardevolle informatie over de aandoeningen en de patiëntenorganisatie is hierdoor een interessante partij; zij kent de zorgvraag van de leden. Een goede tip is om altijd informatie over de organisatie mee te nemen en de medici, indien mogelijk, direct bij een concrete activiteit van de organisatie te betrekken. Uit de interactie zal verder moeten blijken welke weg te volgen bij het opzetten van een team.

Verscheidende bestaande databestanden kunnen dienen als hulpmiddel bij het zoeken naar specialisaties binnen ziekenhuizen en gemitigeerde behandelaars.

De Nederlandse Federatie van UMC's (NFU) stelt een catalogus samen waarin opgenomen is welke expertise in welke ziekenhuizen te vinden is. Deze catalogus zal in de loop van 2009 gereed zijn en is te downloaden via www.nfu.nl.

Ook Orphanet (www.orphanet.nl) biedt een overzicht van bestaande behandelcentra en professionele netwerken voor zeldzame aandoeningen.

Wim Patist, Stichting PHA Nederland (Pulmonale Arteriële Hypertensie): 'Een vertegenwoordiger van een patiëntenorganisatie moet eerst zelf heel goed weten wat het ziektebeeld inhoudt om een goede gesprekspartner te kunnen zijn. Het is erg belangrijk alle bestaande kennis over de aandoening te beheersen. Verder is organisatietalent belangrijk en het is eveneens van belang te weten hoe het er aan toegaat binnen een grote organisatie zoals een ziekenhuis. Hoe zit de organisatie in elkaar? Wat is mogelijk en wat niet? Welke specialisten houden zich bezig met welk ziektebeeld? Als een gesprek niet goed verloopt, is het beter niet eigenwijs te zijn en een ander die ook voldoende kennis heeft dat gesprek te laten voeren. Ik raad dan ook aan altijd met z'n tweeën te gaan, want twee horen en weten meer dan één.'

3.5 Minimale criteria opstellen

Bij de oprichting van een expertteam is het van belang consensus te hebben over diagnose, behandeling en overige aspecten die relevant zijn voor de werkwijze van een expertteam.

Ideaal is het wanneer er professionele richtlijnen of zorgstandaarden worden opgesteld. Voor slechts een zeer beperkt aantal zeldzame aandoeningen heeft de beroepsgroep reeds richtlijnen opgesteld, al dan niet in samenwerking met de patiëntenorganisatie. Voor de meeste zeldzame ziekten is dit echter niet het geval. Via de medisch adviseur kan de patiëntenorganisatie in overleg treden met de beroepsgroep en proberen samen richtlijnen of best practices voor diagnostiek en behandeling op te stellen. Op basis hiervan kan de patiëntenorganisatie vervolgens, samen met de beroepsgroep, op papier zetten waaraan goede zorg, geboden door het expertteam, moet voldoen (zorgstandaarden). Voor een aantal patiëntenorganisaties zal dit wellicht te hoog gegrepen zijn.

Als het opstellen van richtlijnen niet tot de directe mogelijkheden behoort, moet er in ieder geval een consensusdocument (best practice) worden opgesteld met de beroepsgroep, waarin staat aan welke minimale criteria en kwaliteitsnormen een expertteam moet voldoen. Er moeten protocollen worden opgenomen voor de werkwijze, zodat duidelijk is wat de zorg inhoudt en wat van een expertteam wordt verwacht. Soms is het mogelijk aan te sluiten bij bestaande behandelprotocollen of een internationaal model aan te passen voor Nederland.

Informatie over het opstellen van professionele richtlijnen is te vinden op de website van het Kwaliteitsinstituut voor de gezondheidszorg CBO: www.cbo.nl.

De publicatie 'Algemene kwaliteitscriteria; de kwaliteit van de gezondheidszorg in patiëntenperspectief' geeft een overzicht van de criteria voor kwaliteit van zorg die door de patiënt belangrijk worden gevonden. Deze is te downloaden via de website van de Nederlandse Patiënten en Consumenten Federatie: www.npcf.nl.

Informatie over modellen die in andere landen worden gehanteerd kan worden ingewonnen bij Eurordis, de Europese koepelorganisatie voor zeldzame aandoeningen: www.eurordis.org.

Mogelijke criteria

Het team moet aan een aantal kwaliteitscriteria of -eisen voldoen om daadwerkelijk verbetering te brengen in de situatie. Dit kan per aandoening verschillen. Criteria kunnen over het algemeen worden geformuleerd voor een aantal gebieden: vakbekwaamheid, informatievoorziening, bejegening, steun, zelfstandigheid, organisatie, accommodatie en evaluatie.

Hieronder staan enkele voorbeelden van kwaliteitscriteria voor expertteams die vaak worden genoemd door patiëntenorganisaties. De criteria zullen overigens per ziektebeeld variëren en gespecificeerd moeten worden naar aantal patiënten, specialismen, maximale wachttijden et cetera.

- Minimaal aantal patiënten.
- Korte wachttijden.
- Goede bereikbaarheid.
- Protocollen voor werkwijze (landelijk geaccepteerd) en vastgelegde verantwoordelijkheden.



- Multidisciplinair werken met alle voor de aandoening benodigde, vaste specialisten.
- Vaste overlegstructuur, nabespreking met het hele team.
- Goede patiëntenzorg leveren (waarbij bijvoorbeeld een behandeling geboden wordt waarbij op één dag meerdere specialisten worden gezien en onderzoeken plaatsvinden).
- Ontwikkeling van wetenschap, wetenschappelijk onderzoek uitvoeren, een onderzoekscentrum hebben.
- Opzetten van registratie, databestand (DNA-bank).
- Goede communicatie intern en extern:
 - patiënt en verzorgers informeren over werkwijze, behandeltraject, uitslagen, hoe te handelen in noodgevallen, het bestaan van de patiëntenorganisatie et cetera;
 - regelmatig contact met patiëntenorganisatie;
 - informatievoorziening aan behandelaars buiten het team.
- 24/7 bereikbaar zijn, duidelijkheid geven over waar mensen wanneer terecht kunnen, goed benaderbare behandelaars.
- Voldoende back up hebben, minstens twee specialisten per specialisme.
- Goede nazorg leveren.
- Controles vinden periodiek plaats (bijvoorbeeld eens per jaar), ook van patiënten die niet worden behandeld of waarvoor geen behandeling mogelijk is.
- Bijhouden van kennis, en kennis en ervaring bundelen.
- Internationale oriëntatie, internationaal ontwikkelingen op wetenschappelijk gebied bijhouden, aan medical trials meedoen, congressen bezoeken.
- Lokaal, regionaal en op verzoek landelijk lezingen geven aan geïnteresseerde collegae.
- Periodieke evaluatie.

Thijs Oorthuys, Contactgroep Marfan Nederland: 'Een van de belangrijkste kenmerken van de Marfan poliklinieken is, dat als er een patiënt binnenkomt, het volgens afspraak zo is geregeld dat hij alle specialisten die hij moet zien op één dag ziet. Dat heeft veel meerwaarde voor mensen die moeilijk ter been zijn, deels gehandicapt, snel moe, slecht zien.'

3.6 Steun en bekendheid geven aan het expertteam

Er zijn verschillende mogelijkheden om een expertteam te steunen bij het opstarten.

In de beginfase kan de patiëntenorganisatie ter ondersteuning een aantal activiteiten overnemen, zoals het bouwen van een website, het beantwoorden van vragen die het team binnenkrijgt, of de organisatie van een symposium.

Een andere manier is schriftelijk of mondeling steun aan het team te betuigen bij de Raad van Bestuur van het ziekenhuis of het ministerie, zorgverzekeraars enzovoort. De meerwaarde voor de patiëntenorganisatie kan onder de aandacht worden gebracht, evenals het feit dat een expertteam vaak regio-overstijgend, topklinisch en multidisciplinair is, passend binnen de doelstellingen van een academisch ziekenhuis.

Ook bij het breed bekendheid geven aan het team kan een grote rol zijn weggelegd voor de patiëntenorganisatie. Dit kan via een contactblad, nieuwsbrief, website, aparte folder of mond tot mond reclame. Eveneens is het nuttig het expertteam te introduceren op een landelijke (contact/thema)dag. Een andere mogelijkheid is het ontwikkelen van speciaal voorlichtingsmateriaal (informatiebrochure, Cd-rom). Hiernaast kan de patiëntenorganisatie redactionele aandacht vragen in bladen van bijvoorbeeld zorginstellingen of voorlichting geven op scholen.

Verder kan de patiëntenorganisatie het team helpen door de leden goed te informeren over de faciliteiten van het expertteam en de expertise, en kan zij de leden stimuleren het team te bezoeken. Ook kan actief worden doorverwezen naar het expertteam voor een second opinion, als men niet tevreden is in het eigen ziekenhuis. Doorverwijzen moet echter weloverwogen gebeuren, want in veel gevallen zullen specialisten in andere ziekenhuizen ook expertise hebben en het onderhouden van goede contacten met de andere ziekenhuizen waar patiënten worden behandeld is van groot belang.

4 Succesfactoren voor het welslagen van een expertteam

Als een expertteam of -centrum operationeel is, zijn er verschillende factoren die van invloed kunnen zijn op het succes hiervan. Op een deel ervan kan de patiëntenorganisatie zelf invloed uitoefenen.

4.1 Succesfactoren waarop de patiëntenorganisatie invloed heeft

Deze factoren zijn te lezen als een vervolg op hoofdstuk 3, Stappen om een bijdrage te leveren aan het realiseren van een team. Niet alle suggesties zullen noodzakelijk of zinvol zijn voor alle verschillende patiëntenorganisaties.

Volhardend zijn

Het realiseren van een expertteam is vaak een lange weg en vraagt veel energie, hard werken, tijd en waar mogelijk geld. Het is belangrijk dit te beseffen en door te zetten. Er is absoluut geen reden om zaken op zijn beloop te laten wanneer zorg en behandeling momenteel niet optimaal zijn. Patiënten hebben immers recht op goede beschikbare en bereikbare zorg, veiligheid, keuzemogelijkheden, medezeggenschap, informatie en afstemming tussen zorgverleners.

Het is gunstig dat in de loop der jaren grotere openheid is ontstaan vanuit specialisten naar patiënten. Men waardeert patiënteninbreng steeds meer. Bovendien begint de beroepsgroep steeds meer te beseffen dat zeldzame aandoeningen multidisciplinair moeten worden behandeld. Medici willen tenslotte zelf ook op de beste manier behandelen. Het is dus een opportuun moment expertteams te realiseren.

Contacten onderhouden

- Goed persoonlijk en informeel contact met het hoofd van het team is nodig, want samenwerking, wederzijds informeren en een teamgeest zijn van belang. Wanneer medici en patiënten samenwerken, opent dit deuren die anders gesloten blijven. De patiëntenorganisatie kan op de volgende manieren bij het team betrokken blijven.
- Door regelmatig aanwezig te zijn bij het overleg van het centrum of team, bijvoorbeeld een paar keer per jaar. Positieve en negatieve signalen uit de achterban kunnen worden teruggekoppeld. De organisatie is eigenlijk de oren en de ogen van de patiënt en kan aangeven wat er leeft onder de achterban en beoordelen of het team nog aansluit bij de behoeften. Ook kan de patiëntenorganisatie onderwerpen voor wetenschappelijk onderzoek inbrengen.
- Door teamleden, maar ook andere specialisten, bij de activiteiten van de organisatie te betrekken. Bijvoorbeeld door hen te vragen een artikel te schrijven voor het contactblad of een presentatie te geven tijdens landelijke (contact/thema)dagen, congressen of algemene ledenvergaderingen. Op die manier faciliteert de patiëntenorganisatie ook het uitwisselen van informatie en het leggen van contacten tussen specialisten van verschillende ziekenhuizen.
- Ook in contact blijven met de specialisten in andere ziekenhuizen en niet alleen de specialisten uit het expertteam is noodzakelijk. Gezamenlijke vergaderingen kunnen erg nuttig zijn, maar alleen als het overleg een doel dient en nut heeft, want specialisten haken af bij tijdrovende overleggen die voor hen zinloos lijken. Een ander aandachtspunt is niet in eindeloze vergadercircuits te verzanden, maar de eigen belangen in de gaten te houden.

Wetenschappelijk onderzoek stimuleren

Patiëntenorganisaties kunnen op verschillende manieren wetenschappelijk onderzoek binnen een expertteam proberen te stimuleren.

- Door te vragen naar de laatste onderzoeksresultaten en daarmee te prikkelen.
- Door publicaties te zoeken die medici niet snel zullen vinden, bijvoorbeeld via internet en deze onder de aandacht te brengen. Hiervoor zijn kennis en tijd nodig.
- Door de leden te vragen mee te doen aan wetenschappelijke trials. Het ledenbestand is in feite een grote, aselecte onderzoekspopulatie verspreid over Nederland en dus waardevolle onderzoeksinformatie voor de beroepsgroep. Het is mogelijk vanaf de intake mensen aan te bieden mee te doen aan onderzoek. Een aandachtspunt is kritisch te kijken naar de onderzoeken waarin de patiëntenorganisatie participeert, de gevolgen ervan en eventueel ander onderzoek dat plaatsvindt en vragen te stellen bij onduidelijkheden en ook zelf ideeën aan te dragen. Een ander aandachtspunt is dat bij sommige aandoeningen medici niet zeker zijn van de diagnose als ze gebruik maken van het ledenbestand van de patiëntenorganisatie en daardoor liever alleen hun eigen patiënten gebruiken. Tenslotte is het belangrijk te benadrukken dat de keuze om wel of niet te participeren altijd vrij is. Zowel de frequentie als aard van het onderzoek moet aansluiten bij de persoonlijke wensen en overtuigingen van de patiënten. Men moet nooit het gevoel krijgen dat het een vereiste of morele verplichting is.

- Door het expertteam te helpen bij het opzetten van een goede registratie of data- of biobank. Het ledenbestand is in feite al een databestand dat kan dienen als basis en kan worden aangevuld met medische en overige gegevens. Een koepelorganisatie kan de databank ook beheren voor het expertteam en gegevens en materiaal beschikbaar stellen aan andere onderzoekers. Dit is echter complexe materie.
- Door geld in te zamelen wanneer de patiëntenorganisatie zelf een onderzoeksvraag heeft. Een groot voordeel is dat het dan mogelijk wordt onderzoek te prioriteren en patiëntenparticipatie een rol te laten spelen. Ook kunnen lopende onderzoeken worden gesteund. Het is echter niet eenvoudig dergelijke bedragen te genereren zonder een medewerker te hebben die belast is met fondsenwerving. Ook als er voldoende geld ingezameld is, is het niet eenvoudig onderzoek te initiëren. Hiervoor is een medewerker nodig die bij voorkeur zelf gepromoveerd is en inhoudelijk goed op de hoogte is.

Jacqueline Noordhoek, Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting (NCFS): 'De NCFS werft fondsen voor het financieren van onderzoek en heeft hiermee tevens een onderzoeksmedewerker aangesteld. Deze heeft al het onderzoek in Nederland geïnventariseerd en alle verantwoordelijken voor dat onderzoek bij elkaar geroepen in een platform. Ook de onderzoekers zelf hadden meteen al iets aan deze inventarisatie en onze feedback hierop. Hiernaast zijn de onderzoeksplannen geïnventariseerd, want bij het financieren van onderzoek is het belangrijk te weten wat er op stapel staat. De NCFS is verder beheerder van een databank. Wij betalen de CF-centra voor import van de gegevens. Er wordt aangepaste software van de Amerikaanse CF Foundation gebruikt. Ieder CF team voert de gegevens in na toestemming van de patiënten. Er komen veel juridische zaken bij kijken.'

4.2 Overige succesfactoren

Sommige succesfactoren hangen meer samen met de samenstelling en de werkwijze van het expertteam, dan met de activiteiten van de patiëntenorganisatie. Het enige dat de patiëntenorganisatie in dat geval kan doen is de teamleden hierop wijzen en deze factoren onder de aandacht brengen.

Bekendheid

Er is voldoende publiciteit, promotie en bekendheid. Naast de patiëntenorganisatie kan ook het team zelf hiertoe verschillende activiteiten ondernemen:

- Een mailing versturen binnen het ziekenhuis.
- Een artikel schrijven voor het tijdschrift van het UMC (en andere UMC's)
- Een brief versturen naar overige specialisten en huisartsen met goede uitleg.
- Het organiseren van bijeenkomsten voor huisartsen of perifere specialisten. Kinderartsen (of de afdeling klinische genetica) zullen in veel gevallen de patiënt doorverwijzen, dus zij zijn een belangrijke doelgroep.



- Presentaties of lezingen geven bij de specialistenorganisaties en wetenschappelijke verenigingen of (inter)nationale symposia.
- Studiedagen verzorgen.
- Goede en toegankelijke informatie plaatsen op de website van het ziekenhuis.
- Aandacht geven aan het team en de problematiek via de landelijke media, zoals tv-spotjes of posters, eventueel met behulp van een journalist.
- Een informatieve brief uitsturen naar alle bekende patiënten met de vraag of men opgeroepen wil worden.

Betrokkenheid, samenwerking en respect

- Het team werkt in samenwerking met de patiëntenorganisatie een brengt patiënten op de hoogte van het bestaan van de patiëntenorganisatie, bijvoorbeeld via de website.
- Deelnemende behandelaars hebben intrinsieke motivatie en betrokkenheid.
- Het team draagt kennis uit en maakt voldoende medici enthousiast, zodat er een bredere basis van specialisten is, die expert kunnen worden.
- Het team (hoofd) is altijd bereid patiënten te woord te staan, telefonisch of per e-mail en is geïnteresseerd in wat er onder de patiënten leeft.
- Het team heeft mogelijkheden voor consult op afstand via de e-mail. Dit biedt voordelen voor patiënten met relatief eenvoudige vragen voor wie het reizen zwaar valt. Een aandachtspunt is dat dit juridisch goed moet worden afgebakend.
- Wanneer het team over meerdere ziekenhuizen is verspreid (centrum), komt men structureel, bijvoorbeeld eens per twee maanden, bijeen om onder meer protocollen, beleid, onderzoek en deelname aan trials af te stemmen. Wanneer verschillende teams van een centrum er verschillende werkwijzen op na houden, is dit moeilijk uit te leggen aan de patiënten. Ook in dit verband zijn richtlijnen van belang.
- Er is goede samenwerking en overleg tussen de medici en ziekenhuizen met wederzijds vertrouwen en respect. Het team (hoofd) informeert en onderhoudt goede contacten met andere behandelaars en huisartsen, zodat ook zij de patiënt goed kunnen informeren. Men is ook bereid collega's van andere ziekenhuizen te woord te staan, te helpen en om behandelpunten af te stemmen wanneer de patiënt onder behandeling blijft bij de eigen behandelaar.

Organisatorische coördinatie

Een individu is verantwoordelijk voor de organisatorische coördinatie van het team. Dit kan een gespecialiseerd verpleegkundige zijn of een gespecialiseerde secretaresse, nurse practitioner, case manager, verpleegkundig consultant of een andere deskundige die spin in het web is. Deze deskundige stemt alle onderlinge agenda's af, maakt de afspraken, is verantwoordelijk voor de communicatie binnen het team, informeert patiënten, familieleden en huisartsen, is aanspreekbaar bij acute hulpvragen van bijvoorbeeld de huisarts, kan aanspreekpunt zijn voor de patiëntenorganisatie en is ook goed be-

reikbaar voor patiënten en is in staat hen met persoonlijke vragen te woord te staan. Hij/zij draagt zorg voor de continuïteit van zorg.

Kwaliteitsbewaking

Er vindt kwaliteitsbewaking en -beoordeling plaats. Het team verantwoordt zich en er is openheid wat betreft de werkwijze. Het team wordt geëvalueerd, bij voorkeur door een onafhankelijke partij, mogelijk door of in samenwerking met de patiëntenorganisatie. De evaluatie kan plaatsvinden op basis van de vastgestelde (minimale) kwaliteitscriteria waaraan het team moet voldoen (prestatie-indicatoren).

5 Faalfactoren voor het functioneren van expertteams

Naast factoren die er aan kunnen bijdragen dat het expertteam goed kan functioneren, zijn er ook factoren die het functioneren van een team bemoeilijken. In sommige gevallen zelfs zodanig dat de oprichting of het voortbestaan van een team in gevaar komt. Soms kan het team of de patiëntenorganisatie zelf uitkomst bieden. In andere gevallen blijkt dit niet mogelijk, en zullen partijen zoals de overheid, beroepsgroepen, zorgverzekeraars of grote koepelorganisaties uitkomst moeten bieden.

5.1 Gebrek aan financiën

Bestaande expertteams worden momenteel op veel verschillende manieren gefinancierd. Soms wordt er een aparte stichting in het leven geroepen die fondsen werft, soms heeft de overheid in de beginfase budget vrijgemaakt, of stellen besturen van ziekenhuizen (extra) geld ter beschikking. Vaak declareren de deelnemende specialisten hun afzonderlijke consulten (DBC's) zoals gebruikelijk, of ze nu in teamverband werken of individueel. Echter, op die manier is er geen aanvullende financiering voor de werkzaamheden die een expertteam uitvoert of wil uitvoeren die niet onder diagnose of behandeling vallen, zoals het opzetten van een databank, het uitvoeren van wetenschappelijk onderzoek, informatievoorziening, coördinatie enzovoort (zie hoofdstuk 1). Het is erg moeilijk om multidisciplinaire expertteams volledig te financieren, omdat deze zorg (nog) niet past binnen de DBC-structuur en nog niet als geheel te declareren is. De overheid en de zorgverzekeraars zullen in de toekomst een belangrijke rol krijgen bij het financieren van expertcentra. Het ligt in de verwachting dat multidisciplinaire behandeling van patiënten in de toekomst zal worden gefinancierd in de vorm van een keten-DBC voor zorggroepen.

Gebrek aan structureel beschikbare financiën leidt momenteel tot verschillende problemen.

Gebrek aan continuïteit

Wanneer het team niet structureel is ingebed in de organisatie door gebrek aan structurele inkomsten, hangt het voortbestaan van het team af van het initiatief en doorzettingsvermogen van de betrokken, enthousiaste specialisten. Wanneer het hoofd van het team met pensioen gaat of een andere baan vindt, maar ook bij ziekte, is er vaak geen achtervang en gaat kennis verloren.

Wanneer er wel budgettaire ruimte is binnen het ziekenhuis, zijn er voor het team verschillende mogelijkheden om zeker te stellen dat er medici met voldoende expertise beschikbaar zijn, die indien nodig, het team kunnen voortzetten of versterken. Ideaal is wanneer voor ieder specialisme twee specialisten in het team vertegenwoordigd zijn. In ieder geval moeten voldoende mensen worden opgeleid. Scholing van opvolgers binnen het team is van belang, want het kost tijd voordat een behandelaar voldoende kennis en ervaring heeft. Een andere invalshoek is om als team te clusteren met andere teams voor aanverwante zeldzame aandoeningen. Door een grotere omvang is het afbreukrisico in een dergelijk geval geringer.

Geen organisatorische coördinatie

Voor de coördinatie van het team is het noodzakelijk een deskundig verpleegkundige in dienst te nemen. Als niemand verantwoordelijk is voor de coördinatie van het team, is het moeilijk de medici bij elkaar te houden, het team draaiende te houden en soms om onderlinge wrijving te voorkomen. Ook hierdoor kan de continuïteit in gevaar komen.

Geen inhoudelijke coördinatie

Ook de inhoudelijke coördinatie van contacten met behandelaars in de rest van het land vraagt tijd en geld, meestal van het hoofd van het team. Voor veel zeldzame aandoeningen is er een regionaal of landelijk netwerk nodig, waar behandeling en begeleiding plaatsvinden. Een team heeft immers een maximum aan behandelcapaciteit en in veel gevallen is het wenselijk dat de patiënt onder behandeling van de eigen behandelaar blijft.

Gebrek aan motivatie

Werken binnen een multidisciplinair team brengt extra kosten met zich mee omdat het consult gemiddeld vaak langer is en een behandelaar alleen per consult kan declareren, onafhankelijk van de duur van het consult. Een behandelaar heeft dan relatief weinig inkomsten per dagdeel terwijl het ziekenhuis de behandelaar en ook de poliklinische ondersteuning moet financieren. In veel gevallen valt een aantal werkzaamheden, zoals gezamenlijke nabesprekingen, zelfs buiten werktijd. Als hiervoor geen financiële compensatie beschikbaar is, kan de motivatie van de teamleden of bestuursleden van het ziekenhuis na verloop van tijd afnemen.

Bezuinigingen

Als een expertteam niet past binnen de speerpunten van het ziekenhuisbeleid en er geen extra geld beschikbaar is, is de kans aanwezig dat het wordt 'wegbezuinigd'. Zeldzame aandoeningen hebben in de meeste gevallen binnen het ziekenhuisbeleid beperkte prioriteit, onder andere door de beeldvorming (onbekend en beperkte prestige) en omdat men vaak niet of nauwelijks hierover kan publiceren. Een expertteam is vaak een klein project met een onduidelijke uitkomst en academische ziekenhuizen worden afgerekend op de output. Zorg voor zeldzame aandoeningen kost veel geld. Wanneer het ziekenhuis bedrijfsmatig handelt, zijn 'gemiddelde' patiënten beter voor het rendement.

Een aandachtspunt is dat volgens de Wet op de Geneeskundige Behandelingsovereenkomst een behandelingsovereenkomst tussen behandelaar en patiënt niet zonder goede reden mag worden opgezegd.

Zie de website www.wgbo.nl voor meer informatie over de rechten van de patiënt binnen een behandelingsovereenkomst.

Geen preventief onderzoek

Preventief onderzoek, een belangrijke taak van een expertteam, valt niet binnen een DBC en financiering is dus vaak een probleem. Zorgverzekeraars vinden preventie niet interessant omdat het op korte termijn te veel geld kost, waardoor de premie omhoog moet en klanten kunnen gaan overstappen naar een andere verzekeraar. Preventie zal echter op lange termijn geld besparen, maar dit is bij gebrek aan gegevens moeilijk aan te tonen.

Preventief monitoren van patiënten is in veel gevallen essentieel om erger te voorkomen. Ook als er nog geen behandeling is, kunnen ondersteunende maatregelen van groot belang zijn, onder meer voor de kwaliteit van leven. Hiernaast kunnen monitoren en periodiek onderzoeken leiden tot nieuwe behandelingen en geneeswijzen.

Geen budget voor dure geneesmiddelen

Voor veel zeldzame aandoeningen is geen behandeling mogelijk. Wanneer wel behandeling mogelijk is, betreft het vaak dure geneesmiddelen of weesgeneesmiddelen. Voor weesgeneesmiddelen is per 1 januari 2006 een aparte beleidsregel ingevoerd. Academische ziekenhuizen krijgen honderd procent budgetcompensatie voor de kosten van de weesgeneesmiddelen die op de lijst van deze beleidsregel staan. Voor dure geneesmiddelen wordt vanaf 2006 tachtig procent van de kosten additioneel in de ziekenhuisbudgetten gecompenseerd. Voor de resterende twintig procent moeten de ziekenhuizen dus nog dekking vinden in het reguliere budget. De kosten voor geneesmiddelen voor een expertteam kunnen hierdoor hoog oplopen.

Zie voor meer informatie over dure en weesgeneesmiddelen de website van de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen www.weesgeneesmiddelen.nl.

DBC-problematiek

Diagnose Behandeling Combinatie

De Diagnose Behandeling Combinatie (DBC) is de basis van het betalingssysteem voor de zorg in ziekenhuizen (sinds 2006) en de geneeskundige geestelijke gezondheidszorg (2008). Een DBC is een administratieve code van 14 cijfers die de diagnose en totale behandeling van een patiënt weergeeft. Voor bijna elke diagnose zijn de mogelijke behandelingen en de kosten daarvan in kaart gebracht door VWS en de zorgverleners. Vervolgens is voor elke DBC een gemiddeld tarief vastgesteld. Elke DBC heeft dus een eigen prijskaartje op basis van een gemiddelde behandeling.



Na afloop van de gehele behandeling stuurt de zorgverlener de rekening. Als de klachten terugkomen start een nieuw behandeltraject met een DBC voor een 'vervolgbehandeling'. Als iemand een chronische aandoening heeft en langer dan een jaar wordt behandeld, stuurt de zorgverlener na afloop van het kalenderjaar de rekening.

Voor negentig procent van de ziekenhuiszorg zijn de tarieven landelijk vastgesteld en voor tien procent van de zorg kunnen de zorgverzekeraars met de ziekenhuizen onderhandelen over de prijs en de kwaliteit. Dit is sinds 2008 uitgebreid tot twintig procent. DBC's zijn voor de verzekeraars een hulpmiddel bij het onderhandelen en dus gekoppeld aan de marktwerking in de zorg.

DBC's voor zeldzame aandoeningen

Het gebruik van DBC's is echter complex en niet alle diagnoses en behandelingen zijn tot nu toe ondergebracht binnen een DBC. Zo zijn er voor de meeste zeldzame aandoeningen en dure of weesgeneesmiddelen momenteel geen DBC's. Hiervoor zijn verschillende redenen.

De kleinschaligheid en diversiteit van deze aandoeningen. DBC's worden gebaseerd op een gemiddelde en er is geen gemiddelde te bepalen als het een kleine groep patiënten betreft met een ziekte die onvoorspelbaar is en veel variatie vertoont.

De complexiteit en het multidisciplinaire karakter van de zorg. Er zijn momenteel nog geen DBC's voor multidisciplinaire zorg, waardoor iedere specialist die bij de behandeling betrokken is een nieuwe DBC moet openen voor zijn of haar specifieke verrichtingen. Een keten-DBC kan een oplossing bieden in de toekomst. Het ontbreken van voldoende gegevens. Gegevens over zeldzame aandoeningen worden niet uniform geregistreerd. ICD codes, in ziekenhuizen gebruikte medisch diagnostische codes, zijn niet specifiek genoeg voor zeldzame aandoeningen. Om eventueel aan te haken bij DBC's moeten wel specifieke codes worden ontwikkeld. Er is momenteel bij de WHO een speciale adviesgroep voor zeldzame aandoeningen, die bij het ontwikkelen van de ICD 11 zullen worden meegenomen (concept in 2010).

Voor sommige groepen van zeldzame aandoeningen is het zeer onwaarschijnlijk dat DBC's kunnen worden ontwikkeld. De bekostiging hiervan moet waarschijnlijk op een andere manier gaan verlopen. Voor andere groepen van zeldzame ziekten is dit misschien wel mogelijk, maar alleen als er voldoende informatie beschikbaar is.

Nieuwe DBC's ontwikkelen

DBC-Onderhoud is in Nederland verantwoordelijk voor een goed werkende DBC-systematiek. Voor de inhoud van de DBC overlegt men met de zorgsector, de patiënten, de zorgverzekeraars en de overheid. Bij het opnemen van zorginnovaties in het DBC-systeem spelen hiernaast ook De Nederlandse Zorgautoriteit (NZa) en het College voor Zorgverzekeringen (CVZ) een rol. Het opnemen van nieuwe DBC's is momenteel echter nog een nieuw proces waarmee de betrokkenen nog ervaring moeten opdoen.

Keten-DBC

Het ligt in de verwachting dat multidisciplinaire behandeling van patiënten in de toekomst zal worden gefinancierd in de vorm van een keten-DBC. Dit is een financieringsinstrument voor de gehele zorgketen die een patiënt doorloopt. De zorg die door meerdere disciplines wordt geleverd, wordt dan gezien als één product. Hiervoor zal een 'hoofdaannemer' in de groep moeten worden benoemd, die afspraken maakt met de zorgverzekeraar.

Voor meer informatie over DBC's en het opnemen van nieuwe DBC's zie de volgende websites: www.minvws.nl/dossiers/dbc, www.dbconderhoud.nl, www.nza.nl, www.cvz.nl en www.werkenmetdbcs.nl.

5.2 Geen regie

Er is geen verantwoordelijke instantie of organisatie in Nederland die zorg draagt voor ten eerste het aanwijzen of certificeren van expertteams voor zeldzame aandoeningen en ten tweede de verdeling van deze expertteams over de verschillende ziekenhuizen.

Het ontbreken van een instantie die bepaalt wat een expertteam voor zeldzame aandoeningen is en dit benoemt of certificeert, heeft tot gevolg dat ieder multidisciplinair behandelteam zich in feite expertteam kan noemen. Bestaande expertteams worden dan ook regelmatig niet erkend door andere medici of ziekenhuizen, waardoor geen (optimale) samenwerking plaatsvindt en het team niet naar behoren kan functioneren.

Het gebrek aan coördinatie van de verdeling leidt in de huidige situatie tot verschillende problemen, waaronder het veelal geheel ontbreken van expertteams voor de meeste zeldzame aandoeningen. Om landelijke dekking van expertteams voor alle (clusters van) zeldzame aandoeningen te verkrijgen is er, naast certificering, dus ook regie nodig voor de verdeling van de duizenden aandoeningen over de ziekenhuizen. Een probleem bij bestaande teams is dat het oprichten van een expertteam voor een specifieke aandoening in een ziekenhuis, vaak wegens gebrek aan ruimte, geld of prioriteit ten koste gaat van de mogelijkheid tot het oprichten van een ander team.

Geen erkenning of samenwerking tussen medici en ziekenhuizen

Zowel door patiënten als door medici wordt het probleem aangekaart dat ziekenhuizen of individuele behandelaars een expertteam niet altijd erkennen, of bij erkenning van expertise toch niet altijd bereid zijn de patiënten of gegevens door te sturen, al is het maar eenmalig. Het niet erkennen vloeit voort uit het ontbreken van certificering. Verder worden hiervoor in de huidige situatie verschillende aanvullende verklaringen gegeven:

- Een belangrijke faalfactor is gebrek aan communicatie en afstemming met andere behandelaars en ziekenhuizen. Wanneer een team in overleg met de patiëntenorganisatie bereid is zich meer te verdiepen in het onderwerp om uiteindelijk een expertteam te worden, overlegt men hierover niet altijd voldoende met specialisten in andere ziekenhuizen. Een team als donderslag

bij heldere hemel expertteam te noemen, of een brief rond te sturen met daarin een voldongen feit, roept weerstand op bij collega's en andere ziekenhuizen.

- Een ander knelpunt is dat sommige behandelaars, indien mogelijk, expertise zelf willen houden en moeilijke of interessante behandelingen zelf willen uitvoeren. Men ziet het behandelen van een zeldzame aandoening vaak als een uitdaging. Soms wil men expertise niet ter beschikking stellen. Ook schamen behandelaars zich soms om iets niet te weten en vragen te stellen aan een team.
- Verder zijn behandelaars en onderzoekers soms niet bereid gegevens uit te wisselen of vrij beschikbaar te stellen voor een registratie, databestand, of biobank.
- Hiernaast komt het voor dat een ziekenhuis zelf een team wil oprichten. Ook in dat geval wil men liever niet doorverwijzen. Er zijn gevallen waarbij men niet alleen niet samenwerkt, maar elkaar probeert te ontmoedigen of vertekende of onjuiste cijfers over het eigen team naar buiten brengt.

Samenwerking verloopt beter wanneer het expertteam vanaf het begin in contact blijft met specialisten uit andere ziekenhuizen en overlegt over de bedoeling van het team en de mogelijkheden tot coördinatie en samenwerking.

Samenwerking verloopt ook beter wanneer, indien mogelijk, de patiënt onder behandeling van de eigen specialist blijft en het team bijvoorbeeld alleen bezoekt voor de diagnosestelling, periodieke controles, of wanneer de eigen behandelaar het expertteam om advies vraagt. In dergelijke situaties is het team aanvullend en zal het door andere behandelaars en ziekenhuizen worden gezien als een service en niet als competitie.

5.3 Verkeerde uitgangspunten van patiëntenorganisaties of behandelaars

Sommige patiëntenorganisaties zijn opgericht vanuit onvrede over een bepaalde situatie en zetten zich vooral af tegen de behandelaars. Vanuit deze achtergrond is men soms geneigd kritiek te leveren en te corrigeren wat misgaat, zonder hierover in overleg te treden. Men wil zich overal in mengen en laat niets aan de behandelaar over. Hiermee geeft men blijk van een groot gebrek aan vertrouwen. Dit mondt uit in een machtsstrijd in plaats van samenwerking.

Bij sommige patiëntenorganisaties speelt ook een rol dat er geen geld beschikbaar is voor betaalde medewerkers. De medewerkers zijn veelal zeer betrokken vrijwilligers zoals patiënten of naasten van patiënten, waardoor op diverse werkterreinen de kennis en kunde onvoldoende zijn. Door de hoge mate van persoonlijke betrokkenheid is het moeilijk om los te laten.

Soms is de patiëntenorganisatie wel gericht op samenwerking, maar is het beeld dat de behandelaar heeft, nog steeds het negatieve beeld van de klagende patiënt die niet objectief is en het niveau van de eigen betrokkenheid niet kan loslaten. Dit komt gelukkig steeds minder voor. Specialisten staan meer open voor samenwerking met patiënten dan tien jaar geleden omdat zij zelf ook daarvan de vruchten plukken. Het is echter nog steeds van invloed op de onderlinge relaties. Behandelaars willen in dat geval niet graag samenwerken met de patiëntenorganisatie, omdat men een gevoel heeft van on-

gelijkwaardigheid. Hierbij speelt ook een rol dat sommige behandelaars bang zijn voor ingewikkelde of emotionele vragen. Men wil niet dat de patiënt van de gelegenheid gebruik maakt om een extra behandelijd van de specialist te vragen. Sommige specialisten hebben ook negatieve ervaringen met patiënten en zijn van mening dat sommigen de oplossing in samenwerking zoeken voor problemen waar dit niet de oplossing is, zoals het niet geaccepteerd hebben van de aandoening of de aandoening van een kind. Tenslotte zijn er ook behandelaars die menen dat patiënten echt niets kunnen bijdragen, omdat ze hiertoe niet capabel zijn.

5.4 Overige faalfactoren

Er zijn meerdere (patiënten)organisaties actief

Soms zijn er meerdere kleine organisaties actief voor eenzelfde aandoening, waardoor de rolverdeling niet duidelijk is. Dit moet uitkristalliseren en vraagt tijd en energie. Men moet onderling afspraken maken over de rolverdeling (samenwerken of taken verdelen) met al die organisaties en iemand moet dat coördineren. Alleen als één organisatie (of samenwerkingsverband) het merendeel van de patiënten vertegenwoordigt, is het mogelijk verder te komen.

Het team is niet volledig

Het ontbreken van voldoende met name psychosociale ondersteuning en maatschappelijk werkers, maar ook bijvoorbeeld fysiotherapie en logopedie worden vaak genoemd als een tekortkoming. Een probleem is dat het aanstellen van een psycholoog voor het ziekenhuis niet declareerbaar is. Een psycholoog die buiten het ziekenhuis werkt kan zijn kosten wel declareren.

Geen of onjuiste diagnostiek

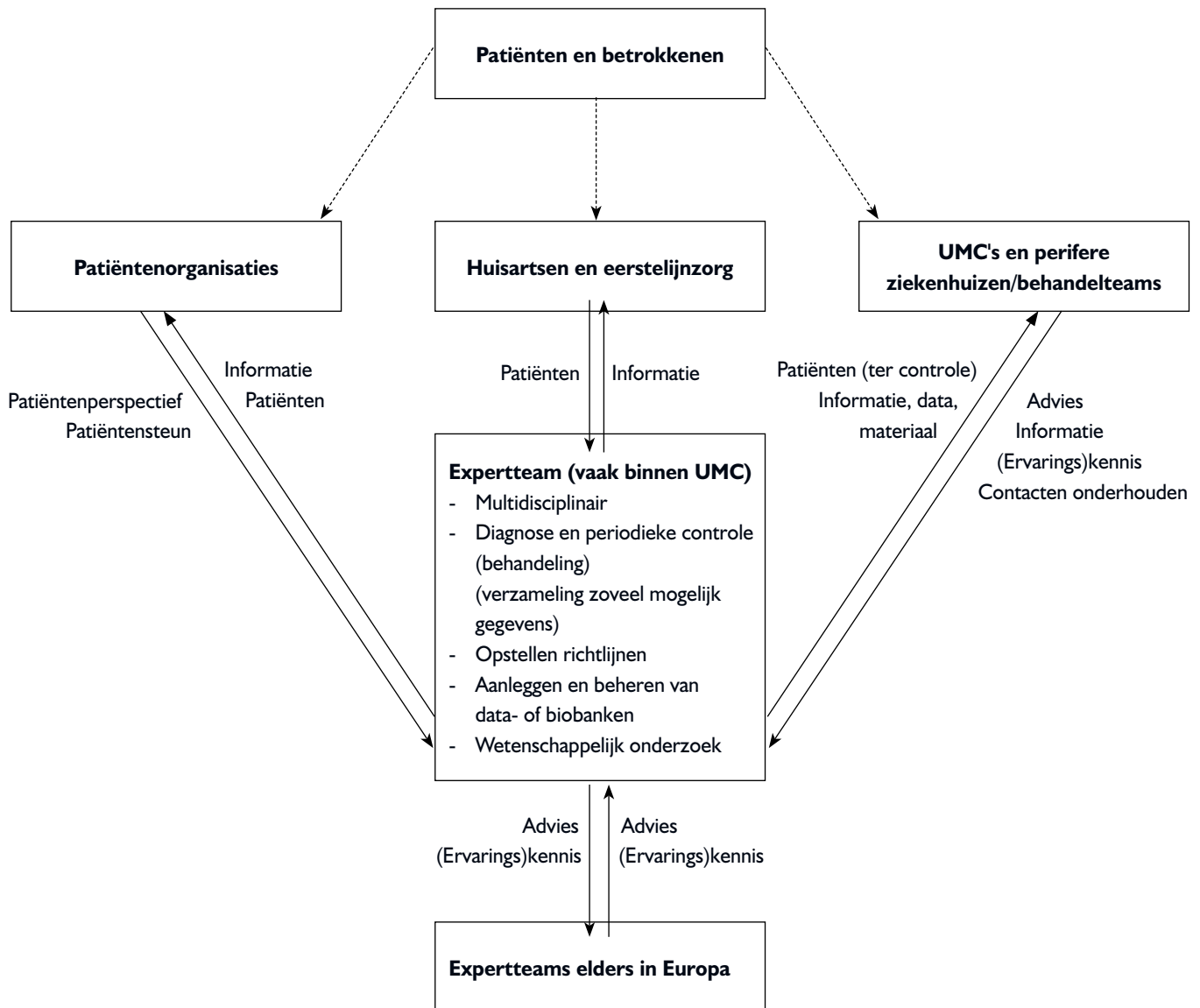
In geval van een zeldzame aandoening, is het voor een huisarts of specialist niet altijd duidelijk in welke richting moet worden gezocht naar de juiste diagnose. Wanneer men geen of de verkeerde aanknopingspunten vindt voor de diagnose, kan niet worden doorverwezen naar het juiste expertteam dat wel de diagnose zou kunnen stellen. Patiënten krijgen dan te laat de diagnose en eventuele behandeling, waardoor soms al gezondheidsschade is ontstaan die niet meer terug te draaien is.

Onduidelijke rechtspersoon

Niet altijd is een expertteam ondergebracht bij een ziekenhuis. In dat geval is vaak onduidelijk welke rechtspersoon of organisatievorm aan de orde is, bij wie teamleden in dienst zijn of wie eindverantwoordelijk is.



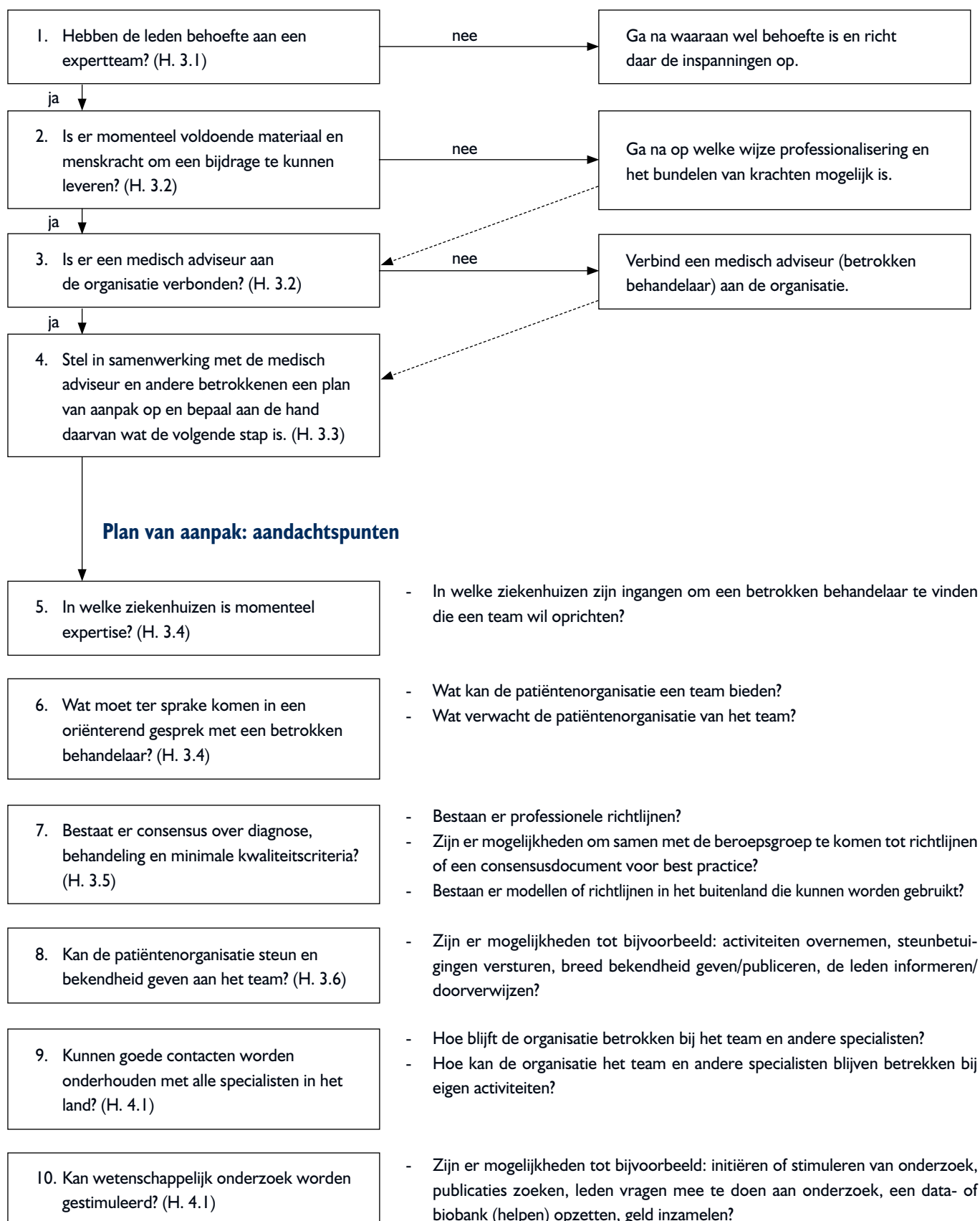
Bijlage I. Model expertteam (Samenvatting H. 2)



Aandachtspunten, waar mogelijk:

- Korte wachttijden.
- Goede bereikbaarheid.
- Meerdere specialisten en onderzoeken op één dag.
- Voldoende capaciteit, back up.
- Periodieke evaluatie.
- Monitoren van patiënten die niet worden behandeld.

Bijlage 2. Stappenplan voor patiëntenorganisaties bij het helpen realiseren van expertteams (Samenvatting H. 3 en 4)



Bijlage 3. Geraadpleegde bronnen

Schriftelijke bronnen

- Boonstra A. (2007). Pulmonale hypertensie divers van oorsprong. *Mednet Magazine*, 16, 27.
- Borstlap R. (2003). Downsyndroom Team. *Down + Up*, 64, 50-52.
- Borstlap R., Hogeman P. (2005). Het Downsyndroom team; medische en praktische begeleiding bij kinderen met Downsyndroom is teamwork. *Logopedie en Foniatrie*, 77, nr. 12.
- Brinkman, A. (2008). Op de bres voor complexe zorg in DBC's. *Mednet Magazine*, 4, 12-14.
- Consensuspanel TSC, Cambridge, bewerkt door Kuipers L., expertiseteam TSC en gedrag en Ploegmakers H. (2006). *Leidraad TSC; leidraad voor het beoordelen van cognitieve en gedragsproblemen bij Tubereuze Sclerose Complex*. STSN.
- Crommentuyn R. (2006). Zoeken naar de uitgang; specialisten en ziekenhuizen willen alternatief DBC-systeem. *Medisch Contact*, 61 nr. 9, 356-358.
- Eurordis (2007). Verslag *European workshop on centres of expertise and reference networks for rare diseases*.
- Forum Biotechnologie en Genetica (2006). Signalement *Integrale zorg voor mensen met erfelijke aandoeningen met complexe symptomen*
- Forum Biotechnologie en Genetica (2007). *Plan van aanpak Integrale zorg bij erfelijke aandoeningen met complexe symptomen*, versie 16-11-07.
- Hellema H. (2007) Longvaten met weerstand. *Triakel*, 4, 30-31.
- Huizer J. (2002). De meerwaarde van teamzorg; kinderen met een zeldzame aandoening. *Kind en Ziekenhuis*, 25 nr. 3, 87-91.
- Kreis R. (2006). Een rammelend systeem; DBC's zijn ongeschikt voor gecompliceerde en multidisciplinaire zorg. *Medisch Contact*, 61 nr. 4, 160-163.
- Legemaate J. (2008). Mogelijkheden tot verbetering rechtspositie patiënt. *Medisch Contact*, 63 nr. 5, 217.
- Ministerie van VWS (2007). *Beschrijving van het risicovereveningssysteem van de Zorgverzekeringswet*. Ministerie van VWS.
- Ministerie van VWS (2007). Nieuwsbericht *Kosten dure ziekenhuisgeneesmiddelen verdubbeld*.
- Nederlandse Patiënten Consumenten Federatie (2006). *Algemene kwaliteitscriteria; de kwaliteit van de gezondheidszorg in patiëntenperspectief*. NPCF.
- Rare Diseases Task Force of the European Commission (2006). Rapport *Centres of reference for rare diseases in Europe; state-of-the-art in 2006 and recommendations of the Rare Disease Task Force*.
- Reumapatiëntenbond, Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties en ZonMw (2006). *Handboek patiëntenparticipatie in wetenschappelijk onderzoek*. ZonMw.
- Spierings E. (2006). Samen kijken naar Marfan. *Cicero*, 6, 16.
- Stuurgroep Weesgeneesmiddelen (2005). Factsheet *DBC en zeldzame aandoeningen*.
- Stuurgroep Weesgeneesmiddelen (2006). Factsheet *Zorgverzekeringen en zeldzame ziekten*.
- Stuurgroep Weesgeneesmiddelen (2007). Factsheet *Registratie van zeldzame ziekten*.
- Stuurgroep Weesgeneesmiddelen (2007). *Wegwijzer Weesgeneesmiddelen voor patiënten*. M-Power Projects ®.
- Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties (1999). *De diagnose is nog maar het begin; mogelijkheden voor continuïteit van zorg voor kinderen met een zeldzame aandoening*.
- Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties (2002), *Informatie voor mensen met een zeldzame aandoening. Een onderzoek naar de beschikbare informatie, knelpunten en oplossingen*.
- Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties (2007). *Verslag Invitational Conference Expertise Centra Zeldzame Aandoeningen* d.d. 11 april 2007 te Den Haag.
- Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties. *Verslag Workshop 'Expertteam voor Zeldzame Aandoeningen'* d.d. 7 februari 2008 te Utrecht.
- Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties (2008). *Verslag Rondetafelgesprek Zeldzame Aandoeningen* d.d. 29 februari 2008 te Den Haag.
- Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties (2008). *Verslag Workshop 'Zeldzame aandoeningen: van Zorgstandaard tot Expertteam'* d.d. 16 juni 2008 te Amsterdam.
- Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties (2008). *Zorgstandaarden voor zeldzame aandoeningen. Een handreiking voor actieve betrokkenheid van patiëntenorganisaties*.
- Vermeer K. (2007). Europese zorgstelsels vergeleken; de internationale zorg. *Mednet Magazine*, 16, 14-16.
- Wijzen, B. (2008). De financiering van ketenzorg. *Kind en Ziekenhuis*, april 2008, 64-66.

Websites

www.aanpakken.nu
www.cbo.nl
www.cg-raad.nl
www.cvz.nl
www.dbconderhoud.nl
www.desgevraagd.nl
www.ec.europa.eu/health
www.eurordis.org
www.fbg.nl
www.fondsenwerving.nl
www.fondspgo.nl
www.minvws.nl
www.minvws.nl/dossiers/dbc
www.nfu.nl
www.nigz.nl
www.npcf.nl
www.nza.nl
www.odyssee-groep.nl
www.orphanet.nl
www.rdtf.org
www.subsidie.startpagina.nl
www.vsop.nl
www.weesgeneesmiddelen.nl
www.werkenmetdbcs.nl
www.wgbo.nl
www.zonmw.nl

Bijlage 4. Begrippen en afkortingen

Behandelteam	Een multidisciplinair team van (niet-) medische specialisten dat zich voornamelijk (niet uitsluitend) richt op zorg en behandeling van een aandoening.
DNA- of Biobank	Een voor behandeling of wetenschappelijke doeleinden bijeengebrachte verzameling lichaamsmateriaal met daaraan gekoppeld medische/genetische/genealogische of andere gegevens van de donor.
CBO	Nederlands kwaliteitsinstituut voor de gezondheidszorg.
CF	Cystic Fibrosis of taaislijmziekte.
DBC	Diagnose Behandeling Combinatie. Administratieve code die de basis is van het betalingssysteem voor de zorg in ziekenhuizen.
EC	Europese Commissie.
Expertcentrum	Een expertteam verdeeld over meerdere locaties.
Expertteam	Een multidisciplinair team van (niet-) medische specialisten die samenwerken op het gebied van een aandoening, breder dan diagnose en behandeling.
FBG	Forum Biotechnologie en Genetica.
NFU	Nederlandse Federatie van UMC's.
NPCF	Nederlandse Patiënten en Consumenten Federatie.
NVK	Nederlandse Vereniging voor Kindergeneeskunde.
RDTF	Rare Disease Task Force.
Richtlijn	Een instrument ter verbetering van de kwaliteit van zorg, dat wetenschappelijk onderbouwde aanbevelingen doet aan zorgverleners op gebied van diagnostiek, behandeling en zorg.
UMC	Universitair Medisch Centrum.
Weesgeneesmiddel	Een geneesmiddel voor een zeldzame aandoening.
WGBO	Wet op de Geneeskundige Behandelingsovereenkomst.
Zeldzame aandoening	Een aandoening die bij niet meer dan vijf van de tienduizend mensen voorkomt.
Zorgstandaard	Een norm die aangeeft aan welke eisen goede zorg moet voldoen vanuit patiëntenperspectief.



Bijlage 5. Begeleidingscommissie en geïnterviewden

Leden begeleidingscommissie

Mevrouw De Booys, De Hart&Vaatgroep (voorheen: Stichting Hoofd Hart en Vaten)
 De heer Crasborn, AGIS zorgverzekeringen
 De heer Engel, Nederlandse Federatie van UMC's
 Mevrouw Hegger, RIVM (vanaf januari 2008)
 Mevrouw Huizer, Stuurgroep Weesgeneesmiddelen
 Mevrouw Noordhoek, Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting
 De heer Oosterwijk, VSOP (meelezend lid)
 Mevrouw Schrande-Stumpel, VSOP hoogleraar klinische genetica, Maastricht
 Mevrouw Siderius, kinderarts
 De heer De Wijer, Stichting BETER
 Mevrouw Van Zoelen, VSOP (projectcoördinator)

Geïnterviewde vertegenwoordigers patiëntenorganisaties

De heer Aarts, Neurofibromatose Vereniging Nederland
 De heer Beijer, Laposa
 De heer Borstlap, Stichting Downsyndroom
 De heer De Graaf, Stichting Downsyndroom
 Mevrouw Guijt, Gaucher Vereniging Nederland
 Mevrouw Horemans, Vereniging Spierziekten Nederland
 De heer De Jong, Belangengroep M.E.N.
 De heer Koster, Stichting Shwachman Syndroom Support Holland
 Mevrouw Koster, Stichting Shwachman Syndroom Support Holland
 Mevrouw Noordhoek, Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting
 De heer Oorthuys, Contactgroep Marfan Nederland
 De heer Patist, Pulmonale Hypertensie Associatie
 De heer Ploegmakers, Stichting Tubereuze Sclerosis Nederland

Geïnterviewde medici

De heer Van Adrichem, Erasmus Medisch Centrum, Rotterdam
 Mevrouw Appel, Erasmus Medisch Centrum, Rotterdam
 De heer Bolz, Elkerliekziekenhuis, Helmond
 De heer Boonstra, Vrije Universiteit Medisch Centrum, Amsterdam
 De heer Heijerman, HagaZiekenhuis, Den Haag
 Mevrouw Hilhorst-Hofstee, Leids Universitair Medisch Centrum
 Mevrouw Hollak, Academisch Medisch Centrum, Amsterdam
 De heer Janssen, Elkerliekziekenhuis, Helmond
 De heer Schelhaas, Universitair Medisch Centrum St. Radboud, Nijmegen
 Mevrouw Schrande, Academisch Ziekenhuis Maastricht
 De heer Zonnenberg, Universitair Medisch Centrum Utrecht

Lidorganisaties VSOP

ADCA-Vereniging Nederland · Stichting voor Afweerstoornissen (SAS) · Vereniging van Allergie Patiënten · Nederlandse Vereniging voor Erfelijk Angio-oedeem en Quincke's oedeem (HAE en QE) · Anosmie Vereniging · Vereniging Anusatresie · Belangenvereniging Syndroom van Beckwith-Wiedemann Nederlandse Vereniging van Blinden en Slechtienden · Borstkanker Vereniging Nederland (BVN) · Belangenvereniging Van Kleine Mensen (BVKM) · Galactosemie Vereniging Nederland (kandidaatlid) · Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting (NCFS) · DEBRA Nederland · Stichting Down's Syndroom (SDS) · Nederlandse Vereniging van Dystoniepatiënten · Vereniging van Ehlers-Danlos Patiënten (VED) · Vereniging van Patiënten met Erythropoëtische Protoporphyrurie · Fabry Support & Informatie Groep Nederland · FOP Stichting Nederland (Fybrodysplasia Ossificans Progressiva) · FODOK - Nederlandse Federatie van Organisaties van Ouders van Dove Kinderen · Gaucher Vereniging Nederland · HAND-vereniging · Nederlandse Vereniging van Hemoflie Patiënten (NVHP) · Hemochromatose Vereniging Nederland (HVN) · Stichting Hernia Diafragmatica · Belangenvereniging Von Hippel-Lindau · Vereniging Ziekte van Hirschsprung · Vereniging van Huntington (NvH) · Nederlandse Klinefelter Vereniging · Vereniging Oudergroep Klompvoetjes · LAPOSA - Landelijke Patiënten- en Oudervereniging voor Schedel- en Aangezichtsafwijkingen · Vereniging voor mensen met het 'Van Lohuizen syndroom' (CMTc) · Macula Degeneratie Vereniging · Contactgroep Marfan Nederland · Stichting MSS Research Foundation (Marshall-Smith syndroom) · Stichting MRK-vrouwen (Mayer-Rokitansky-Kuster syndroom) · Belangengroep M.E.N. · Vereniging Morquio · Nephcure International (Sectie Zeldzame Aandoeningen) · NeuroFibromatose Vereniging Nederland · Stichting Noonan Syndroom Nederland · Nederlandse Vereniging voor Addison en Cushing Patiënten (NVACP) · Nederlandse Obesitas Vereniging · Stichting DOS 'De Ontbrekende Schakel' · OSCAR Holland, multi-etnische stichting voor patiënten en dragers van sikkelcelanemie en thalassemie · Vereniging Osteogenesis Imperfecta (VOI) · Stichting PHA Nederland (Pulmonaire Hypertensie Associatie) · Nederlandse Phenylketonurie Vereniging · Prader-Willi/Angelman Vereniging · Stichting Primaire Ciliaire Dyskinesia Belangengroep (PCD Belangengroep) · Retina Nederland · Stichting Rubinstein-Taybi Syndroom · Schildklierstichting Nederland · Stichting Shwachman Syndroom Support Holland · Vereniging voor Ouderen en Kinderen met een Slokdarmafsluiting (VOKS) · Vereniging Spierziekten Nederland (VSN) · Volwassenen, Kinderen en Stofwisselingsziekten (VKS) · Stichting Tubereuze Sclerosis Nederland (STSN) · Friedrich Wegener Stichting (FWS) ·