

1. Algemeen

Projecttitel	Zeldzaam Nederland verbonden met Europa
Patiëntenorganisatie	VSOP
Naam contactpersoon	C. Oosterwijk
Email-adres	c.oosterwijk@vsop.nl
Telefoonnummer	035 6034031

2. Inleiding

Samenvatting

In geval van zeldzame aandoeningen is het vanwege de geringe aantallen patiënten noodzakelijk dat zorgverleners, onderzoekers en patiëntenorganisaties ook op Europees/internationaal niveau samenwerken, zowel onderling als gezamenlijk. Voor zorgverleners en onderzoekers heeft de Europese Commissie daarom 24 **Europese Referentie Netwerken (ERN's)** ingesteld waarin nationale **expertisecentra** voor zeldzame aandoeningen samenwerken. Deze Europese zorgnetwerken werken samen met patiëntvertegenwoordigers die op hun beurt georganiseerd zijn in 24 **European Patient Advisory Groups (ePAG's)**.

Het beleid van de ERN's en de ePAG's beïnvloedt in sterke mate de Nederlandse medisch-specialistische zorg voor 1 miljoen Nederlandse patiënten met zeldzame aandoeningen en daarmee hun kwaliteit van leven.

De VSOP heeft de Nederlandse ePAG-vertegenwoordigers samengebracht in een **ePAG-Overleg** dat enkele keren per jaar vergadert en via de VSOP de interactie aangaat met Nederlandse vertegenwoordigers van expertisecentra en ERN, alsmede NFU en VWS. De ePAG-vertegenwoordigers hebben onvoldoende middelen (tijd, financiën en instrumenten) om, niet alleen met hun eigen organisatie, maar ook met de vele andere Nederlandse patiëntenorganisaties in verbinding te staan waarvoor de ERN's van belang zijn. Dit projectvoorstel beoogt daarin te voorzien middels de ontwikkeling van een **Digitaal ePAG-Platform**.

Aanleiding en achtergrond

Expertisecentra

Nationale zorgteams voor zeldzame aandoeningen dienen als '*expertisecentrum*' door hun overheid erkend te worden om te kunnen aansluiten bij een ERN. *Nederlandse centra* worden als *expertisecentrum zeldzame aandoeningen* (ECZA) door de minister van VWS erkend om via hun instellingen (meestal umc's) aan te sluiten op een ERN. In de beoordeling van expertisecentra hebben patiëntenorganisaties een belangrijke stem via vragenlijsten die door de VSOP worden uitgezet. Patiëntenorganisaties beoordelen deze expertisecentra vanuit hun perspectief voor één of meerdere (groepen van) zeldzame aandoeningen. Hun oordeel is – samen met dat van medisch referenten - medebepalend of de minister een expertisecentrum al-dan-niet erkent.

Dit beoordelingstraject leidt in veel gevallen tot intensievere samenwerking tussen de inmiddels 350 Nederlandse expertisecentra en de momenteel ongeveer 100 beoordelende patiëntenorganisaties.

Expertisecentra & Europese Referentie Netwerken

De Europese ERN's zijn opgericht met het oog op schaalvergroting (grotere patiëntenpopulatie en gebundelde expertise). Ze zijn daarmee van groot belang voor de kwaliteit van de medisch-specialistische zorg ten behoeve van Nederlandse patiënten met een zeldzame aandoening en hun naasten. Zorgnetwerken binnen de EU. Duizenden verschillende zeldzame aandoeningen zijn binnen deze ERN's in 24 grote clusters ondergebracht op basis van de Orpha-nomenclatuur (<https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php?lng=NL>) :

1. Endo-ERN: ERN voor endocriene aandoeningen
2. ERKNet: ERN voor nierziekten
3. ERN BOND: ERN voor botziekten
4. ERN CRANIO: ERN voor craniofaciale afwijkingen en kno-afwijkingen
5. ERN EpiCARE: ERN voor epilepsie
6. ERN EURACAN: ERN voor kanker bij volwassenen (solide tumoren)
7. ERN EuroBloodNet: ERN voor hematologische ziekten
8. ERN eUROGEN: ERN voor urogenitale ziekten en aandoeningen
9. ERN EURO-NMD: ERN voor neuromusculaire ziekten
10. ERN EYE: ERN voor oogandoeningen
11. ERN GENTURIS: ERN voor erfelijke tumorsyndromen
12. ERN GUARD-HEART: ERN voor hartziekten
13. ERNICA: ERN voor erfelijke en aangeboren afwijkingen
14. ERN ITHACA: ERN voor aangeboren afwijkingen en zeldzame intellectuele achterstand
15. ERN LUNG: ERN voor luchtwegaandoeningen
16. ERN PaedCan: ERN voor pediatrische kanker (hemato-oncologie)
17. ERN RARE-LIVER: ERN voor leverziekten
18. ERN ReCONNET: ERN voor bindweefsel- en musculoskeletale aandoeningen
19. ERN RITA: ERN voor immunodeficiëntie, auto-inflammatoire en auto-immuunziekten
20. ERN-RND: ERN voor neurologische aandoeningen
21. ERN Skin: ERN voor huidziekten
22. ERN TRANSPLANT-CHILD: ERN voor transplantatie bij kinderen
23. MetabERN: ERN voor erfelijke stofwisselingsstoornissen
24. VASCERN: ERN voor multisystemische vaatziekten

De Europese Commissie ondersteunt deze ERN's voor zeldzame en complexe aandoeningen op basis van de "Richtlijn inzake patiëntenrechten bij grensoverschrijdende gezondheidszorg". De ERN's hebben dan ook als belangrijke doelstelling grensoverschrijdende zorg te faciliteren, maar ook kennisdeling, ontwikkeling en/of harmonisatie van richtlijnen, samenwerking in onderzoek, Health Technology Assessment (HTA), eHealth en delen van gezondheidsdata via de European Health Data Space.

De uitgangspunten voor integratie van de ERN's in de zorgstelsels van de lidstaten staan beschreven in de ook door Nederland ondertekende *Verklaring van de ERN-bestuursraad van lidstaten over de integratie van de Europese referentienetwerken in de gezondheidszorgstelsels van de lidstaten*: https://ec.europa.eu/health/sites/default/files/ern/docs/integration_healthcaresystems_nl.pdf.

De meeste Nederlandse expertisecentra voor zeldzame aandoeningen zijn onderdeel van één van de 24 ERN's. Zeven ervan worden zelfs vanuit Nederland geleid.

Europese Referentie Netwerken & European Patient Advisory Groups

De Europese Commissie heeft, op initiatief van patiëntenkoepel EURORDIS, speciaal voor de aansluiting op de ERN's zogenaamde ePAG's ingesteld: European Patient Advisory Groups (www.eurordis.org/content/epags, https://ec.europa.eu/health/ern_nl). De leden, ofwel ePAG-vertegenwoordigers, zetten zich in voor cocreatie op het terrein van de medisch-specialistische vanuit een integrale visie op de zorg voor mensen met zeldzame aandoeningen waar ook het leven met de aandoening (eigen regie, empowerment, participatie) onderdeel van is.

De meeste nationale patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen zijn lid van een Europese en/of wereldwijde equivalent. Beide type organisaties zijn vertegenwoordigd in de ePAG's.

De VSOP neemt actief deel aan een werkgroep van EURORDIS die als doel heeft de betrokkenheid van patiënten(organisaties) bij de ERN's en ePAG's te vergroten.

European Patient Advisory Groups & Het Nederlandse ePAG Overleg

Ongeveer 25 Nederlandse patiëntvertegenwoordigers zijn via de ePAG's actief betrokken bij de wisselwerking tussen Europa en Nederland op het terrein van de medisch-specialistische zorg voor zeldzame aandoeningen. Zij werken samen in het 'ePAG-Overleg' dat in 2019 met steun van ZonMw door de VSOP is opgericht en nu blijvend door de VSOP wordt gefaciliteerd. De samenstelling ervan is breder dan de VSOP-leden. Men wisselt ervaringen uit, stelt prioriteiten vast en realiseert de Nederlandse belangenbehartiging vanuit het Overleg via de VSOP.

Twee deelnemers aan het ePAG-Overleg, een ePAG-vertegenwoordiger en de directeur VSOP, zijn vertegenwoordigd in de ZonMw-*National Mirror Group* van het *European Joint Programme Rare Diseases* (EJP-RD).

Relevantie en impact

De impact en het bereik van de ePAG-vertegenwoordigers kunnen veel groter zijn dan nu het geval is. De meeste leden van het ePAG-Overleg hebben noodgedwongen slechts contact met hun eigen organisatie en achterban. Dat alleen al kost hen erg veel tijd, naast hun overige (vrijwilligers-) werkzaamheden voor de organisatie. Daardoor worden veel andere patiëntenorganisaties van aanpalende aandoeningen momenteel niet betrokken bij de ook voor hen belangrijke ERN's en ePAG's.

Uit een onderzoek onder de leden van het ePAG-Overleg bleek dan ook dat men graag een veel bredere doelgroep van Nederlandse patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen zou willen bereiken. Er bleek grote behoefte aan een werkzaam model voor informatie, communicatie en interactie. Dit kan leiden tot een substantiële opschaling van kennis, impact en bereik van de Nederlandse ePAG-vertegenwoordigers onder Nederlandse patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen. Het ePAG-Overleg steunt het voorliggende projectvoorstel dan ook van harte.

Ook meerdere patiëntenorganisaties zonder ePAG-vertegenwoordiger hebben bevestigd dat zij behoefte hebben aan die verbinding met de ERN's via de ePAG's om op Europees niveau geïnformeerd en vertegenwoordigd te zijn en inbreng hebben. Als zij de ERN's en ePAG's ook voor hun achterbannen kunnen benutten, worden impact en bereik ervan enorm vergoot, terwijl hun expertise ook Europese patiëntenorganisaties ten goede kan komen. Het feit dat de geclusterde indeling van de zeldzame aandoeningen binnen de ERN's de basis vormt, zal ook leiden tot meer onderlinge afstemming en samenwerking binnen het Nederlandse patiëntenveld.

Het project biedt belangrijke kansen voor patiëntenparticipatie in relatie tot het Europese zorg- en beleidsveld.

Ook de Nederlandse expertisecentra, NFU en VWS raken steeds nauwer betrokken bij het Europese beleid t.a.v. de zeldzame aandoeningen en onderschrijven dat bredere Nederlandse patiëntenparticipatie daarvoor van belang is.

3. Toelichting

Doelstelling

Dit project heeft als doelstelling de interactie te faciliteren en te bevorderen tussen ePAG-vertegenwoordigers enerzijds, en zoveel mogelijk gerelateerde patiëntenorganisaties anderzijds.

De ePAG-vertegenwoordigers zijn hierdoor in staat veel meer aandoeningen in ePAG-verband te vertegenwoordigen dan die van hun eigen organisatie en zijn zo voor veel meer Nederlandse patiënten van betekenis.

Uitwisseling van informatie, ervaringen en patiëntenbelangen tussen deze partijen draagt bij aan betere, patiëntgerichte medisch-specialistische zorg, aan samen beslissen en aan de juiste zorg op de juiste plek.

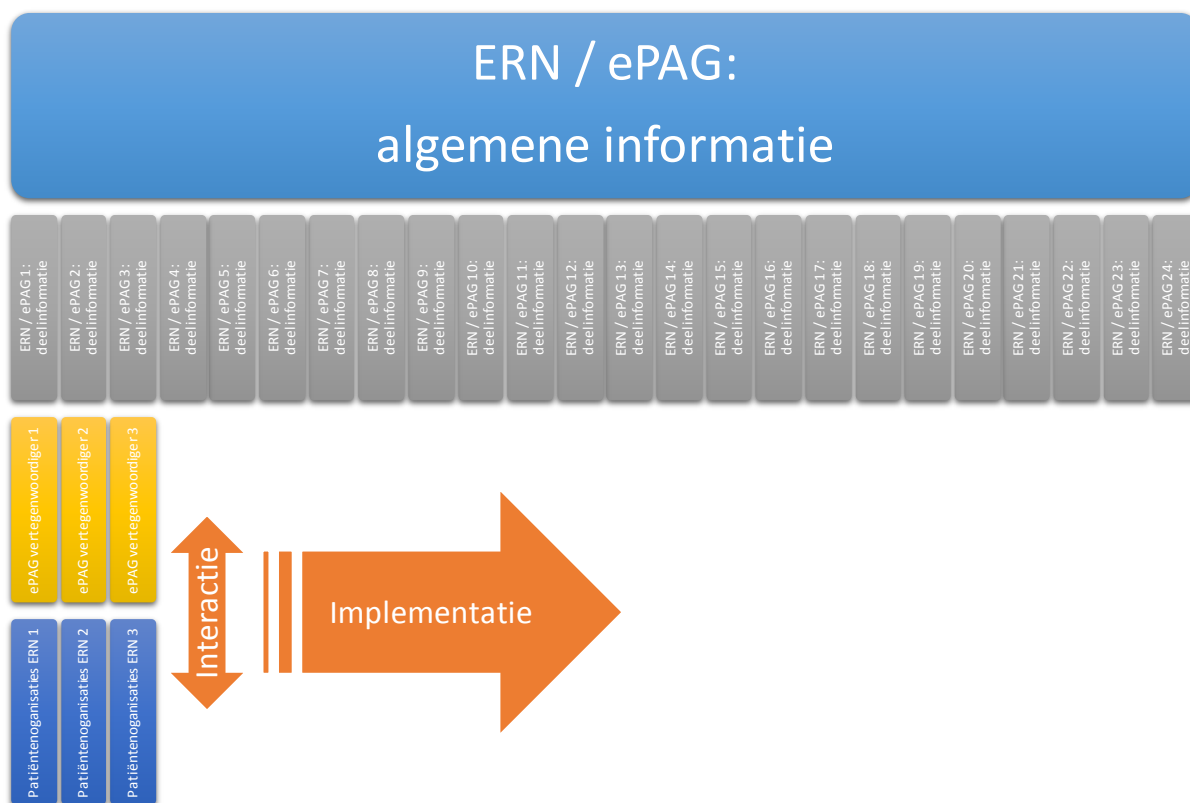
Resultaten van het project

Dit project resulteert in een Digitaal ePAG-Platform dat zorgt voor de aansluiting van (zoveel mogelijk) Nederlandse patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen op de voor hen relevante ERN's / ePAG's. Hierdoor worden zij op de hoogte gehouden van de activiteiten binnen het ERN / ePAG, in staat gesteld invloed uit te oefenen en uitkomsten te benutten.

In essentie bevordert dit project de juiste (medisch-specialistische) zorg op de juiste plek doordat Nederlandse patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen in nauwere verbinding komen te staan met hun expertisecentra, hun ePAG-vertegenwoordigers en de ERN's.

Om dit te realiseren wordt een Digitaal ePAG-Platform ontwikkeld voor ePAG-vertegenwoordigers en patiëntenorganisaties. Onderstaande schema geeft dit weer. Het Platform biedt algemene en actuele informatie over taken en beleid van zowel de ERN's en ePAG's in het algemeen, als deelinformatie specifiek voor ieder van de 24 afzonderlijke ERN's / ePAG's: de grote lichtblauwe rechthoek en de onderliggende grijze rechthoeken

Met deze informatie als basis en verwijsmogelijkheid, zullen vervolgens ook de communicatie en interactie tussen ePAG-vertegenwoordigers en patiëntenorganisaties worden ingericht: de gele en donkerblauwe rechthoeken. (Overigens is de omvang van de rechthoeken geen indicatie voor de omvang van de informatie of van het proces.).



1

De precieze vorming van dit Digitale ePAG Platform maakt onderdeel uit van een consultatiefase. De algemene informatie en de informatie per ERN zullen als (onderdeel van een) reguliere website worden vormgegeven. Bestaande (Engelstalige) informatie op de websites van de Europese Commissie, EURORDIS en de ERN's zal door de VSOP letterlijk en figuurlijk worden vertaald naar de Nederlandse situatie en afgestemd op de informatiebehoefte van de patiëntenorganisaties.

Het interactieve deel staat met deze webinformatie in verbinding. Tijdens deze contacten delen de ePAG-vertegenwoordigers actuele ontwikkelingen binnen de, bijvoorbeeld betreffende overleggen, projecten, etc. Patiëntenorganisaties dragen hun onderwerpen aan die binnen ERN's en ePAG's aan de orde kunnen worden gesteld. Als dit gerealiseerd kan worden middels bestaande middelen voor online communicatie, heeft het de voorkeur.

Op basis van de uitkomst van de consultatiefase wordt een eerste functioneel ontwerp qua inhoud en vormgeving uitgetest in drie pilots in samenwerking met drie e-PAG-vertegenwoordigers. Vervolgens wordt dit uitgerold naar de overige ERN's waarin Nederlandse ePAG-vertegenwoordigers actief zijn.

De VSOP zal de continuïteit van het platform borgen, zowel technisch als wat betreft de brede deelname van het patiëntenveld, en zal het platform blijven onderhouden en ondersteunen.

¹ Tekst in grijze blokken: 'ERN/ePAG 1: deel informatie', etc.

Tekst in gele blokken: 'ePAG-vertegenwoordiger 1', etc.

Tekst in donkerblauwe blokken: 'Patiëntenorganisaties ERN 1', etc

Kansrijkheid

Het project is inhoudelijk gezien kansrijk omdat het is gebaseerd op bewezen behoeften van de deelnemers en doelgroepen. Ook kan het rekenen op support en medewerking van zorgprofessionals binnen de expertisecentra, alsmede van NFU en VWS.

Voor de consultaties aan het begin van dit project zal gebruik worden gemaakt van het ePAG-Overleg, alsmede de VSOP-infrastructuur voor raadplegingen, en de uitstekende relatie met het Nederlandse veld van expertisecentra en ERN's.

Er zal nauw worden samengewerkt met de Nederlandse ePAG-vertegenwoordigers en de patiëntenorganisaties die hen afvaardigen. Hun rol als intermediair tussen de ERN's en de patiëntenorganisaties is van cruciaal belang.

De samenwerking met Nederlandse zorgprofessionals die verbonden zijn aan een ERN, rechtstreeks als ERN-coördinator of indirect via een door VWS erkend expertisecentrum, is zowel tijdens als na afloop van het project op basis van vrijwilligheid, *in kind*.

Soortgelijke projecten

Er loopt bij de VSOP momenteel geen soortgelijke project. Wel is de rol van de VSOP in de jaarlijkse beoordelingsronde van kandidaat-expertisecentra noemenswaardig. Daardoor bezit de VSOP inmiddels over een bestand van meer dan 200 Nederlandse patiëntenorganisaties die zeldzame aandoeningen vertegenwoordigen, gekoppeld aan internationale Orpha-codes, erkende expertisecentra en ERN's.

In 2022 worden deze Orpha-codes via de ICD-11 opgenomen in de Dutch Hospital Database. Dit zal voor het eerst goede informatie leveren over het aantal personen met een bepaalde zeldzame aandoening in Nederland. De verkregen informatie is zeer belangrijk om samen met kundige ePAG-vertegenwoordigers te werken aan kwaliteit, inzicht en doelmatigheid voor de medisch-specialistische zorg voor zeldzame aandoeningen.

4. Projectaanpak

Looptijd

Geplande start van het project: 01 - 01 - 2022

Gepland einde van het project: 31 - 12 - 2022

Fasering en beschrijving van de projectactiviteiten

Projectgroep

Er zal een projectgroep worden ingericht bestaande uit diverse VSOP-medewerkers; enkele ePAG-vertegenwoordigers van het ePAG-Overleg en een adviseur, te weten prof. dr. Wendy van Zelst-Stams: hoogleraar 'Zorg voor zeldzaam Radboudumc'; lid van de Europese Board of Member States (het orgaan van de Europese Commissie dat toeziet op de ERN's) en coördinator van de beoordelingsprocedure van kandidaat-expertisecentra, een opdracht van VWS aan NFU en VSOP.

Fasering

Het project omvat drie (niet strikt gescheiden) fasen:

I. Consultatie

De consultatiefase bestrijkt naar verwachting de eerste 3 maanden van het project. De behoefte aan informatie en interactie van alle partijen wordt zo concreet mogelijk in kaart gebracht en hun adviezen krijgen een plek in de uitwerking.

Voornamelijk via digitale consultaties worden geconsulteerd:

- De Nederlandse ePAG-vertegenwoordigers
- Patiëntenorganisaties waarmee ePAG-vertegenwoordigers in verbinding staan.
- Patiëntenorganisaties waarmee ePAG-vertegenwoordigers (nog) niet in verbinding staan.
- Nederlandse ERN-coördinatoren en een aantal aan ERN's verbonden expertisecentra.
- Het patiëntenpanel op www.zeldzaaminzicht.nl, VSOP-Ledenpanel en het VSOP-Platform 'Kwaliteit en organisatie van zorg'

Zij worden bevraagd op:

- Behoefte aan algemene informatie
- Behoefte aan informatie vanuit de specifieke ERN's.
- Behoefte aan informatie betreffende de deelthema's van de ERN's.
- Behoefte aan onderlinge informatie-uitwisseling, samenwerking en communicatie.
- Functionaliteiten van het Digitaal ePAG-Platform om in het voorgaande te voorzien.
- Hoe patiëntenorganisaties te clusteren voor gezamenlijke interactie met een ePAG-vertegenwoordiger.

II. Realisatie

Deze fase bestrijkt naar verwachting 6 maanden. Het betreft de realisatie van:

1. Een functioneel ontwerp van het Digitale ePAG-Platform.
2. Een drietal ERN/ePAG gerelateerde pilots voor bijstelling van het functioneel ontwerp, met name betreffende de interactie tussen de patiëntenorganisaties en de ePAG-vertegenwoordigers, de ePAG-vertegenwoordigers onderling en de coördineerde rol van de VSOP.
3. Een operationeel Digitale ePAG-Platform.

III. Implementatie

De implementatiefase bestrijkt naar verwachting de laatste 3 maanden van het project

1. Het resultaat wordt toegelicht en aangeboden aan de overige ePAG-vertegenwoordigers.
2. Contacten tussen nog niet betrokken patiëntenorganisaties en ePAG-vertegenwoordigers worden gestimuleerd.
3. Er worden Nederlandse ePAG-vertegenwoordigers geworven voor ERN's waar deze nog ontbreken.

Zie voor verdere details onderstaande tabel

Periode (2022)	Fase	Uit te voeren activiteiten	Resultaten
Van: januari T/m: maart	<u>Consulatie</u>	<ul style="list-style-type: none"> - Hybride start / consultatiebijeenkomst met i.i.g. de leden van het ePAG-Overleg en diverse patiëntenorganisaties. - Doelgroep-specifieke raadplegingen zoals hierboven beschreven. - URL reserveren. - Vaststellen functionaliteit. - Vaststellen web-content. 	<ol style="list-style-type: none"> 1. Inhoudsopgave web-content. 2. Functioneel ontwerp Digitale ePAG platform. 3. Werkplan voor uitvoering pilots.
Van: april T/m: september	<u>Realisatie</u>	<ul style="list-style-type: none"> - Verzamelen content. - Uitvoering drie ERN / ePAG gerelateerde pilots. - Tussentijdse terugkoppeling concepten naar betrokken partijen. - Afspraken maken over vraagafhandeling. - Aanpassen functioneel ontwerp Digitaal ePAG Platform. - Bugfixing. - Stylen . - Instellen van een gebruikersgroep met kennis van het CMS. - Web-content uitbreiden naar overige ERN's en de daaraan verbonden ePAG-vertegenwoordigers. 	<ol style="list-style-type: none"> 4. Operationeel Digitaal ePAG Platform. 5. Geïntegreerde tool voor interactie ePAG-vertegenwoordigers en patiëntenorganisaties.
Van: oktober T/m: december	<u>Implementatie</u>	<ul style="list-style-type: none"> - Afronden web-content completeren - Promotie via communicatiekanalen VSOP en die van betrokken ePAG-vertegenwoordigers en patiëntenorganisaties - Inventarisatie ervaringen betrokkenen (o.b.v. korte survey) - Monitoring gebruikers-statistieken 	<ol style="list-style-type: none"> 6. Zoveel mogelijk ePAG-vertegenwoordigers gebruiken het Digitale ePAG-platform. 7. Zoveel mogelijk patiëntenorganisaties staan via het digitale platform in verbinding met een ePAG / ERN. 8. Opname in E-book KIDZ (indien relevant).