

PATIENT PARTICIPATION IN RESEARCH AND POLICY

*dr. H.C. Cees Smit, VSOP/EGAN, LUMC, dept Epidemiology
KCVG Werkconferentie Almere April 8, 2019*

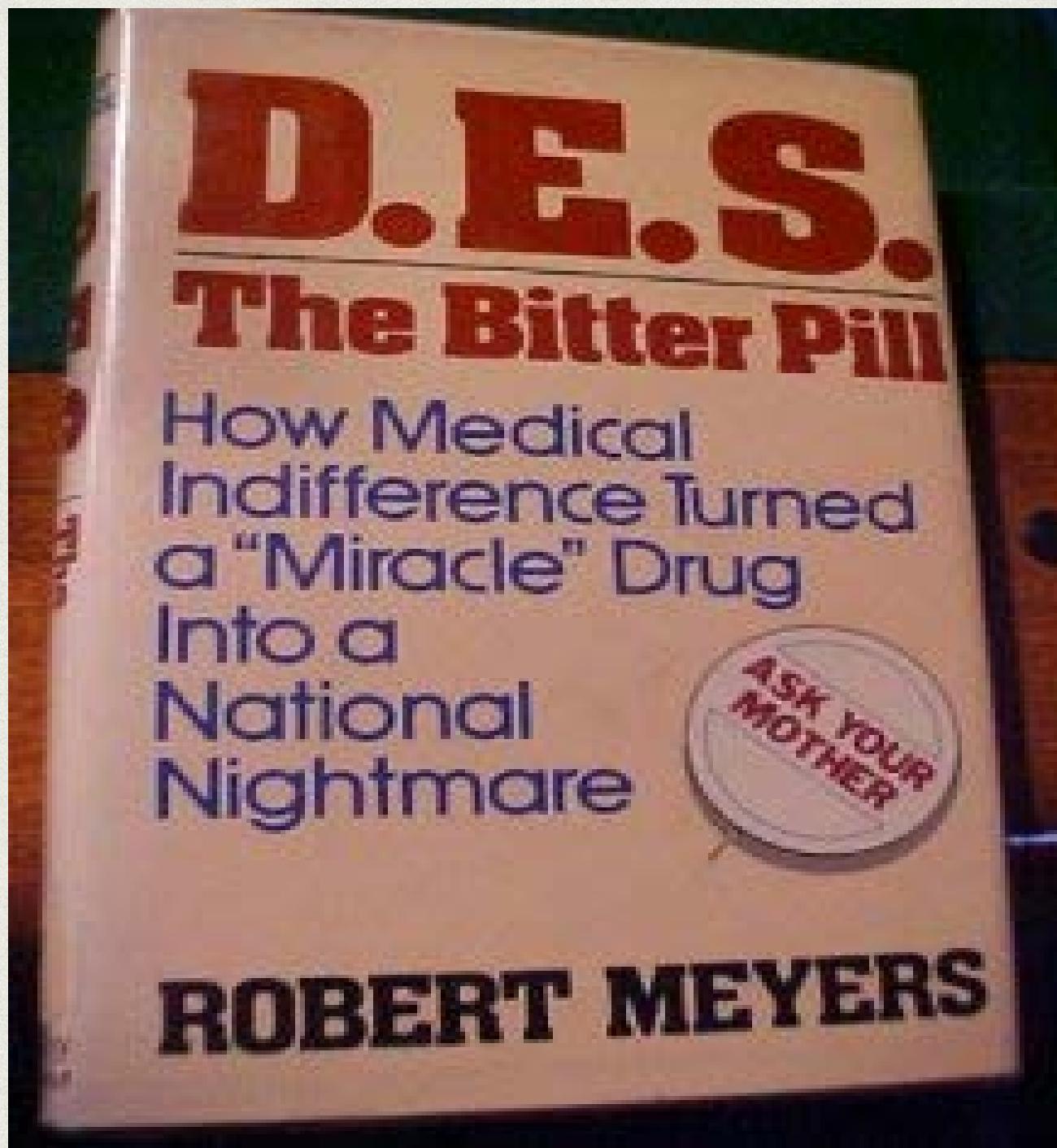
MY BACKGROUND

- **Patient with severe hemophilia and comorbidity (complex patient)**
- **45 years experience in the patient movement (inter-)national**
- **2013 - 2019, chair Policy Board Biobank RadboudUMC**
- **2008 - 2019, member TAS ZonMw (gene- and stem cell therapy)**
- **2008 - 2015, member Appraisal Committee Zorginstituut Nederland**
- **2012 - 2019, European Steering Committee Undernutrition, Platform Patiënt en Voeding**
- **1978 - 2019, Haemophilia in the Netherlands-project LUMC, dept. epidemiology**

HEMOPHILIA AS UNMET MEDICAL NEED (50'S)



RISK IF THERE IS NO TREATMENT AT ALL



What is Declaration of Helsinki?

- Set of ethical principles
- Developed by WMA for medical community – human experimentation
- Followed Nuremberg Code (1947)
- Regarded as cornerstone document of human research ethics
- Included within clinical trial protocols



www.myclinicalresearchbook.blogspot.com

MEDICAL PROGRESS IN HEMOPHILIA

1965



2015



2015



THE SAME PROGRESS IN

From 'unmet medical needs' → to 'effective treatments'

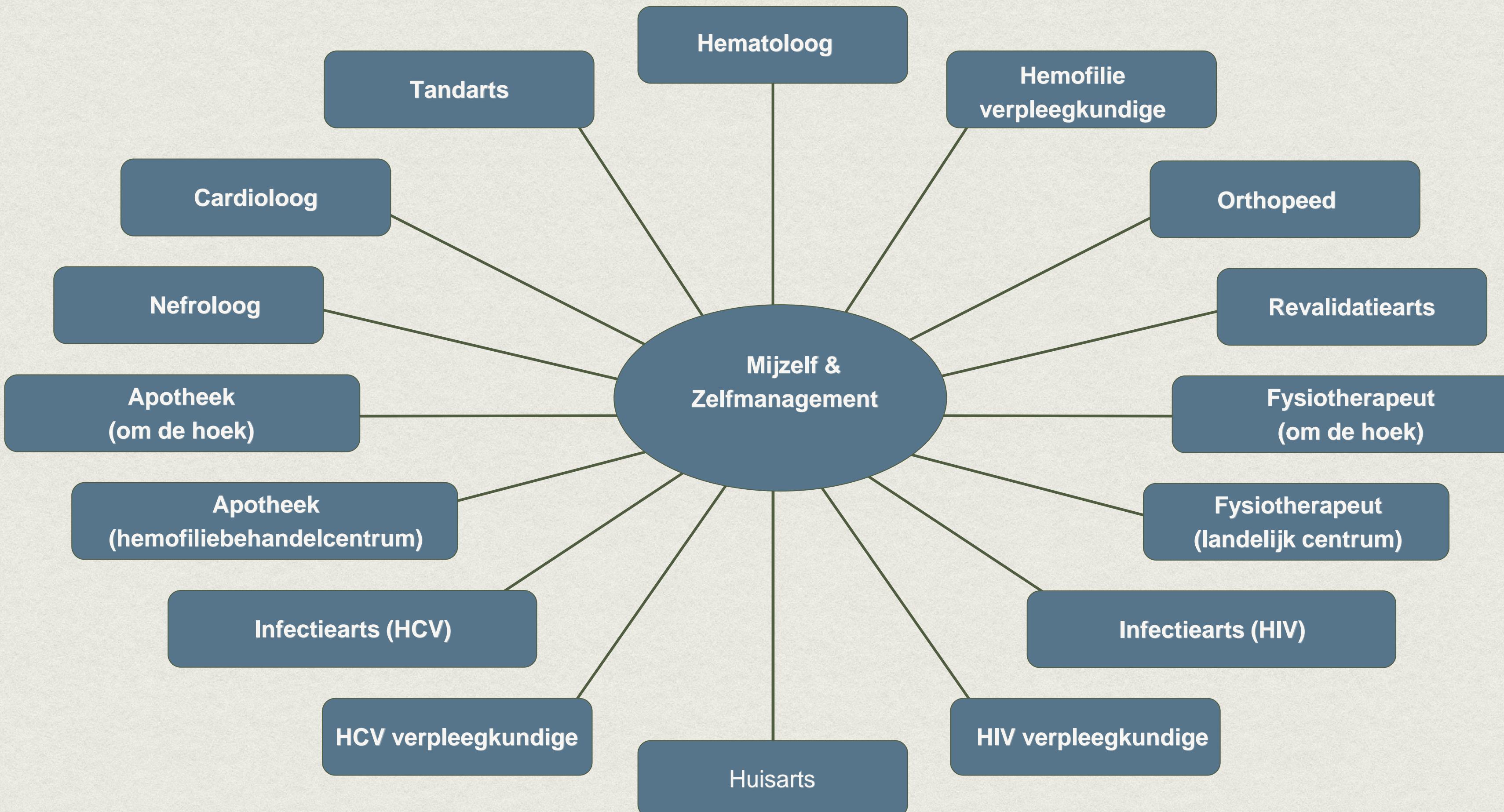
Hemophilia (70's)

HIV (90's)

HCV (2015)

Consequence: from paediatricians to care for the elderly

CIRCLE OF HEALTH CARE CONTACTS



Zorgverzekeraar,
sociale zekerheid en
gemeenten
(wmo/pgb)

De patiënt en zelf-management

Artsen, (para)-medici,
incl. verpleegkundigen

Mantelzorgers, familie,
vrienden, buren en
sociale omgeving

GESCHIEDENIS VAN HEMOFILIE (1971-2015/6)

1972 gestart als studentenproject in Leiden



Door een onzer redacteuren

LEIDEN, 20 sept. — In Nederland zijn ongeveer duizend patiënten die aan hemofylie lijden, de „bloederziekte”. Het is een erfelijke ziekte maar doordat de medische behandeling sedert 1965 sterk verbeterd is, is het sterftecijfer aanzienlijk gedaald. Hierdoor valt een toeneming van het aantal patiënten te verwachten, althans indien men niet probeert om overbrenging via nakomelingschap in te perken.



Leids Dagblad 1972

Hemophilia in The Netherlands: results of a survey on the medical, genetic and social situation of Dutch hemophiliacs. Acta Medica Scandinavica, 1974



V.l.n.r. de onderzoekers C. Smit, dr. E. Briët en F. Rosendaal. 'Meer voorlichting over hemofilie en aids is een bittere

tien dagen per jaar. En schoolverzuim ten gevolge van hemofilie daalde maar liefst van dertig naar acht dagen per jaar'.

Angst

Maar de realiteit is ook dat bijna dertig procent van de hemofilie-patiënten uit angst voor het aids-virus iets

re verkrijgbaar, toch blijven oomensen met een negatieve test-uitslag opvallend bang. „Hieruit blijkt dat méér voorlichting over hemofilie en aids bittere noodzaak is", zeggen de onderzoekers. Eenderde van de met aids-virus besmette hemofilie-patiënten gebruikt condooms. Van de hele groep do-

HiN-1 to HiN-6
Cross sectional studies
All patients with hemophilia

HemoNed

Patient registry
Long term follow up

1972 1978 1985 1992

2001

2016 - 2019



Questionnaires



Medical
records

National
Biobank



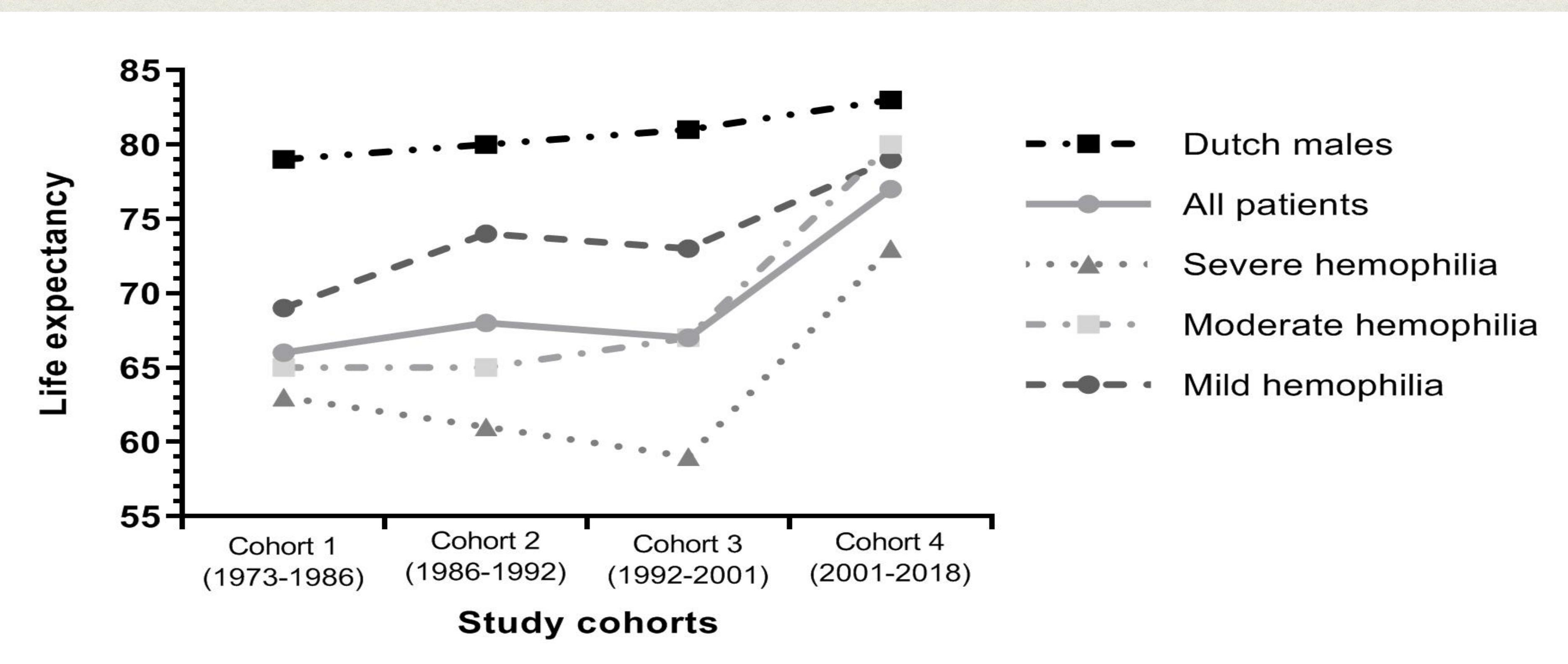
Digital
infusion
log



Adverse
events



HAEMOPHILIA LIFE-EXPECTANCY 1971 – 2018 (HIN-6, IN PRESS)



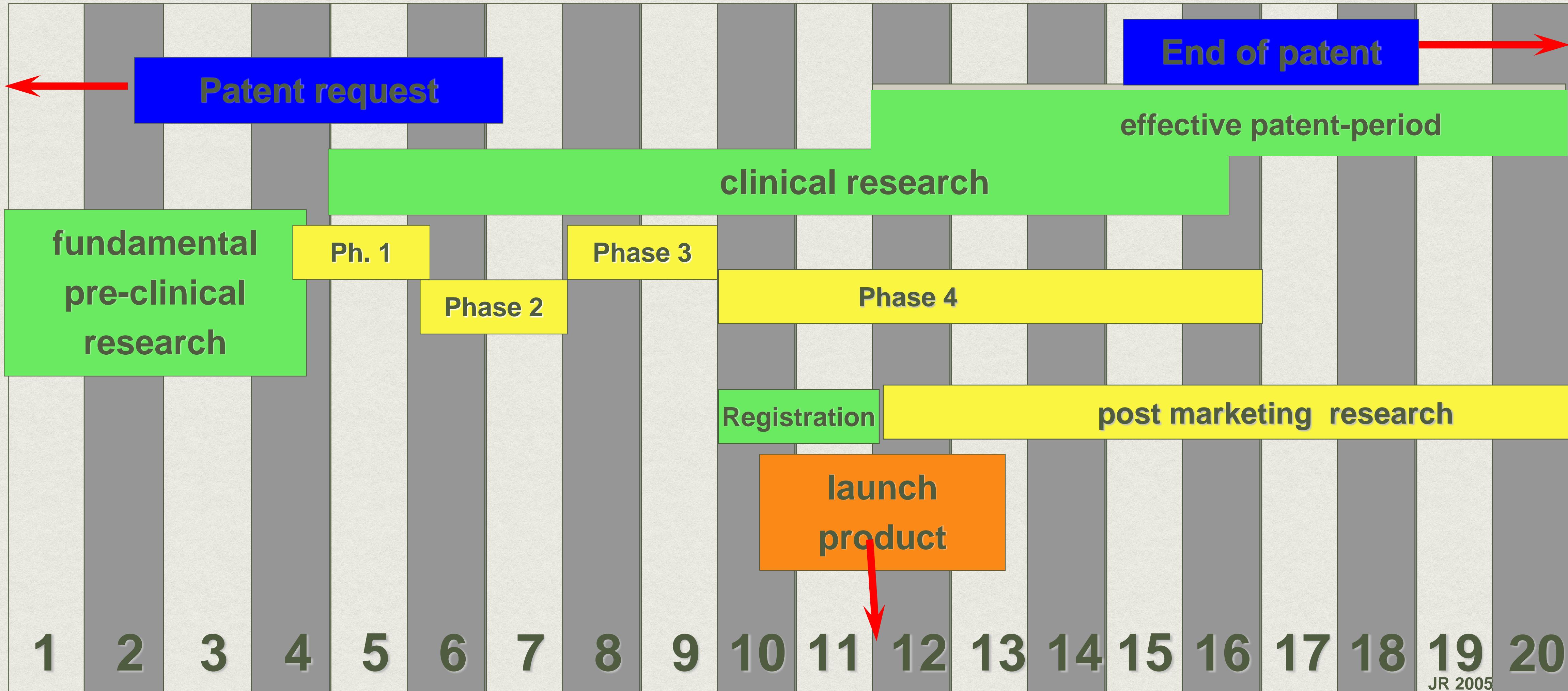
NCFS PIONEER IN NL WITH A REGISTER FOR 7 CENTRA



INNOVATIVE POWER OF PATIENT GROUPS

- To bring together patients and their body materials (DNA, data, etc.)
- Share data for research and the organisation of a research infrastructure (EuroBiobank.org in cooperation with RDConnect)
- Fundraising for biobanks and R&D (gene therapy, Fighting Blindness Ireland; also long-term AFM, Généthon)

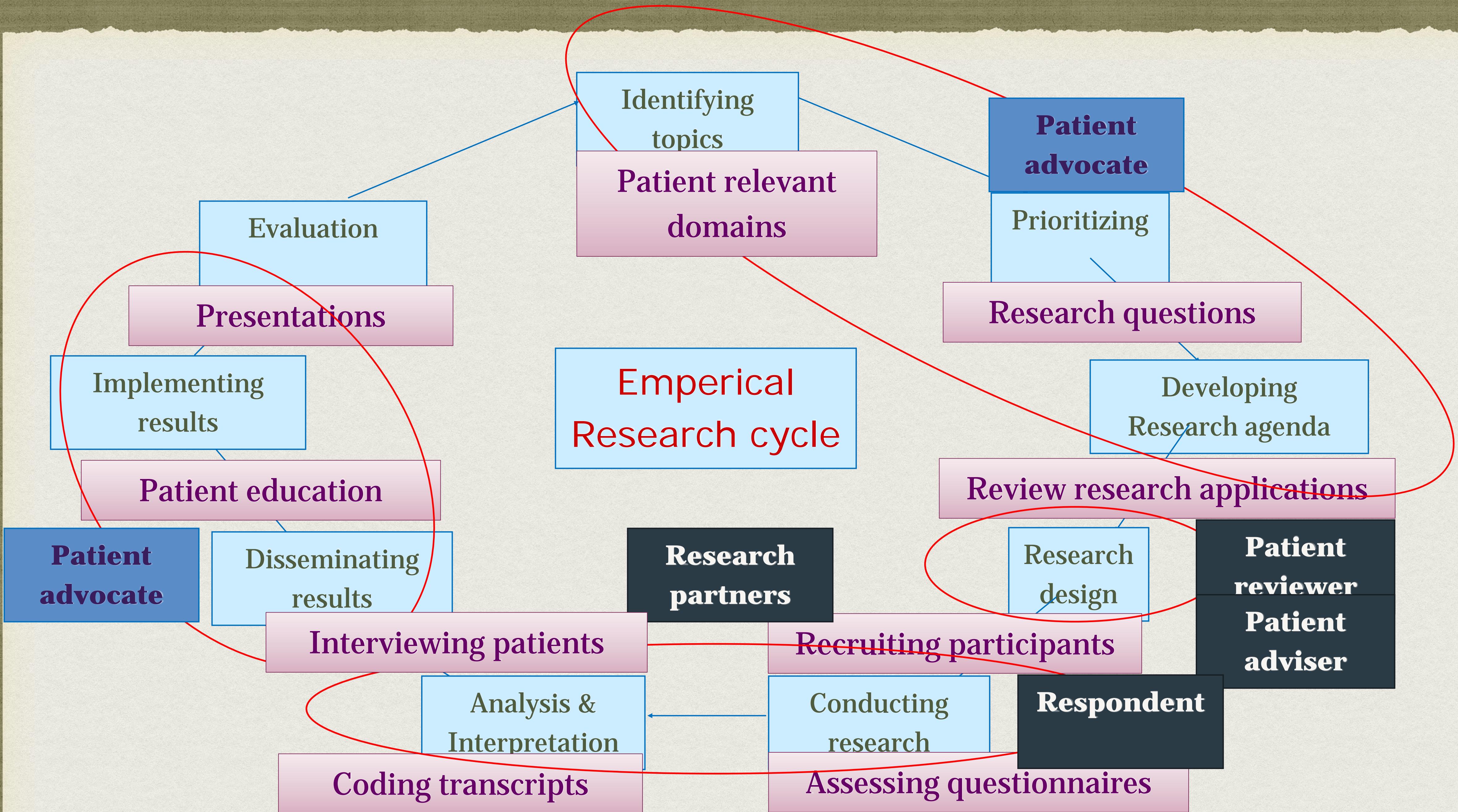
DRUG DEVELOPMENT PROCESS



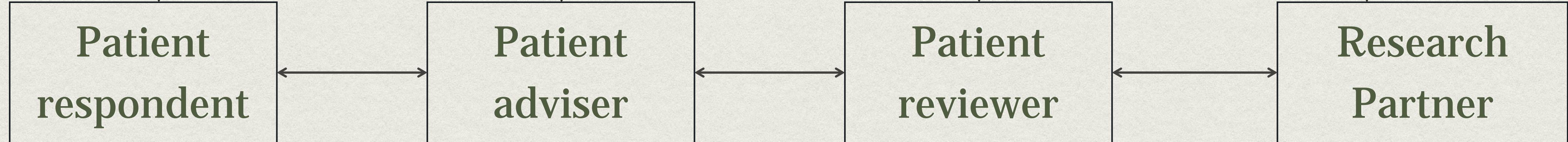
Years

Ref: Jan Raaijmakers (2005, UU)

JR 2005



Patient panel



Giving information

Not time consuming

Requires first hand experience with the condition or disease

Giving advise

Two-way communication

Often single involvement

Making an assessment

Direct influence on the aims and design of the study

Often single involvement

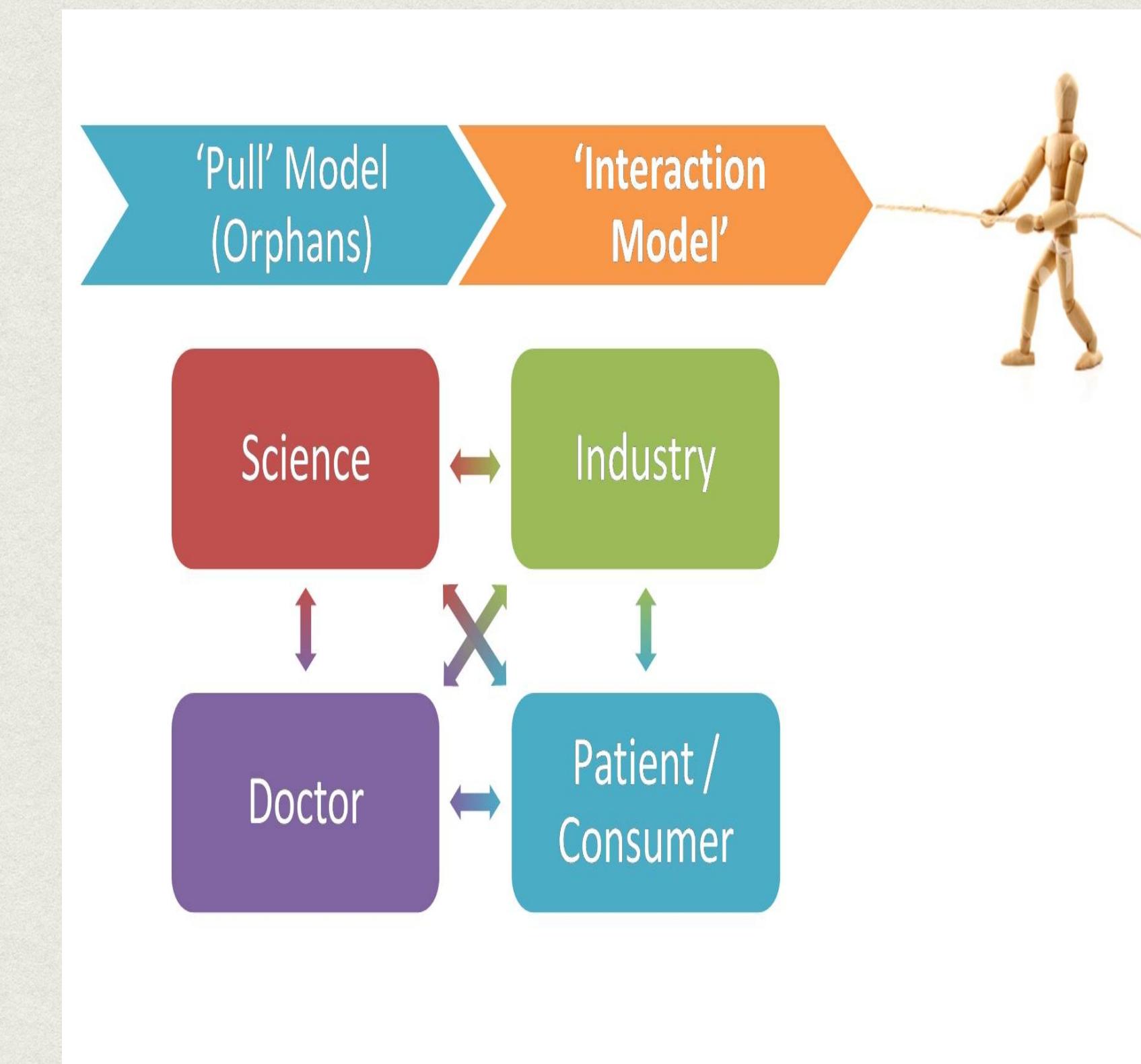
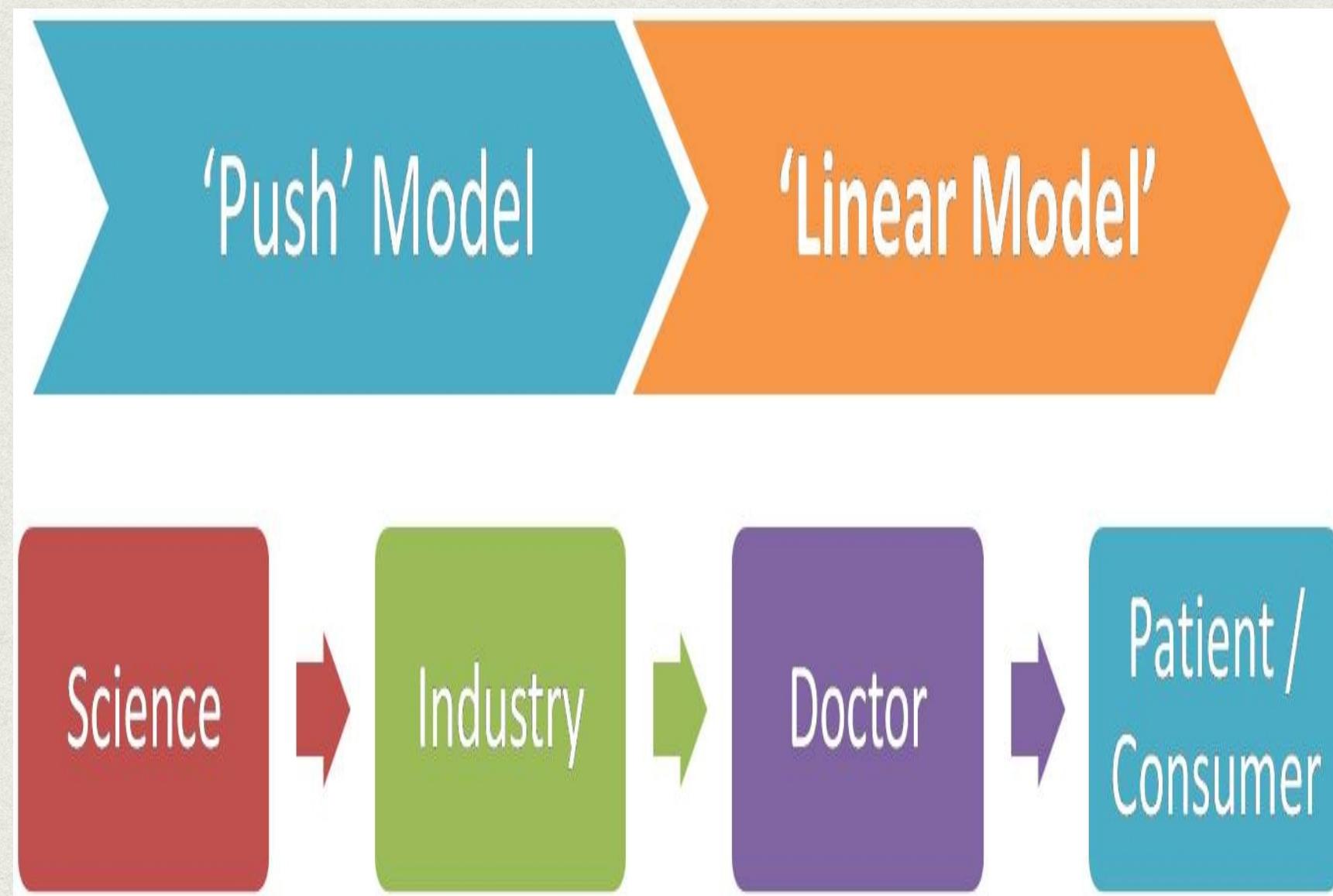
Collaboration throughout the life cycle of the research

Partnership based on equality

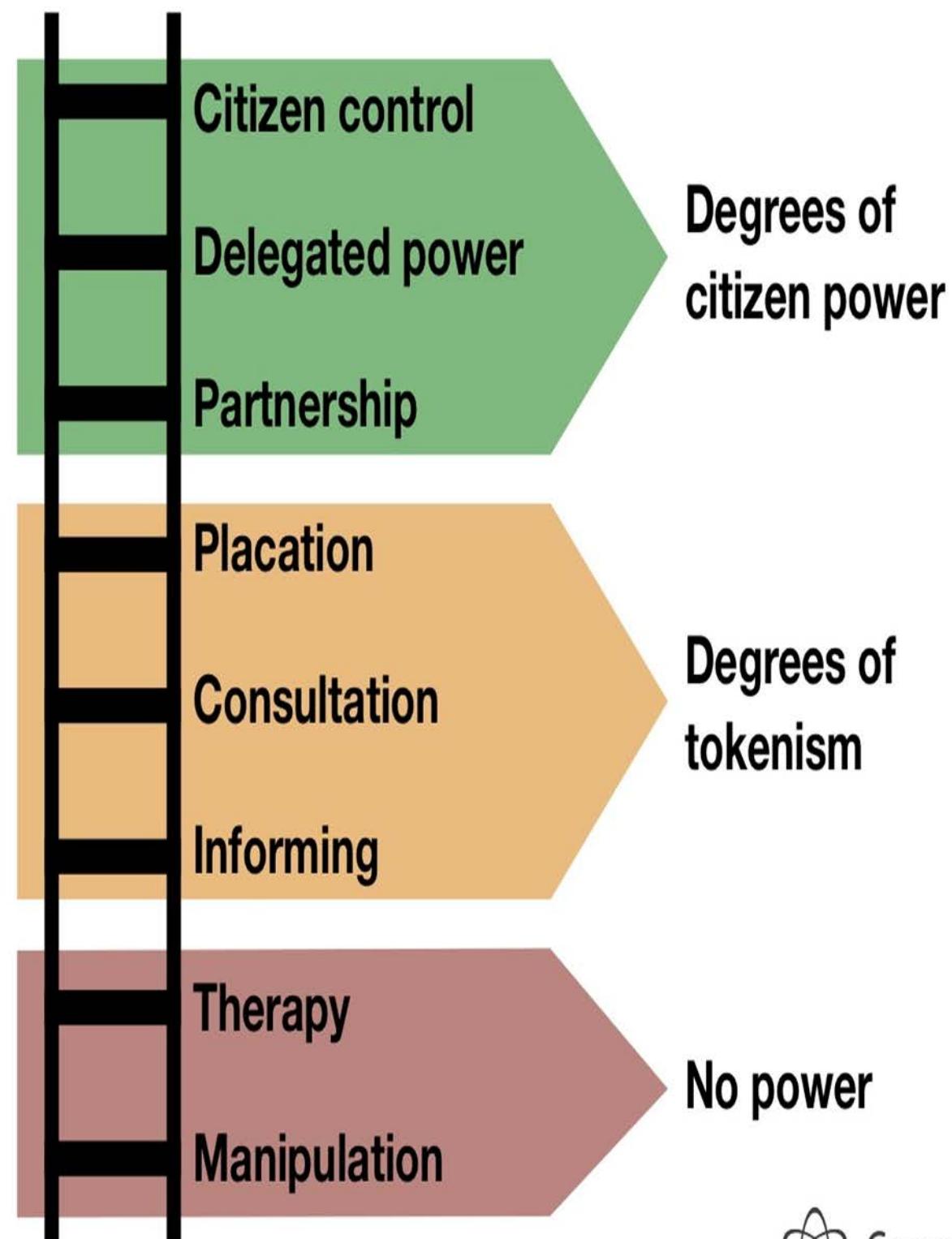
Time consuming

May require substantial education and/or support

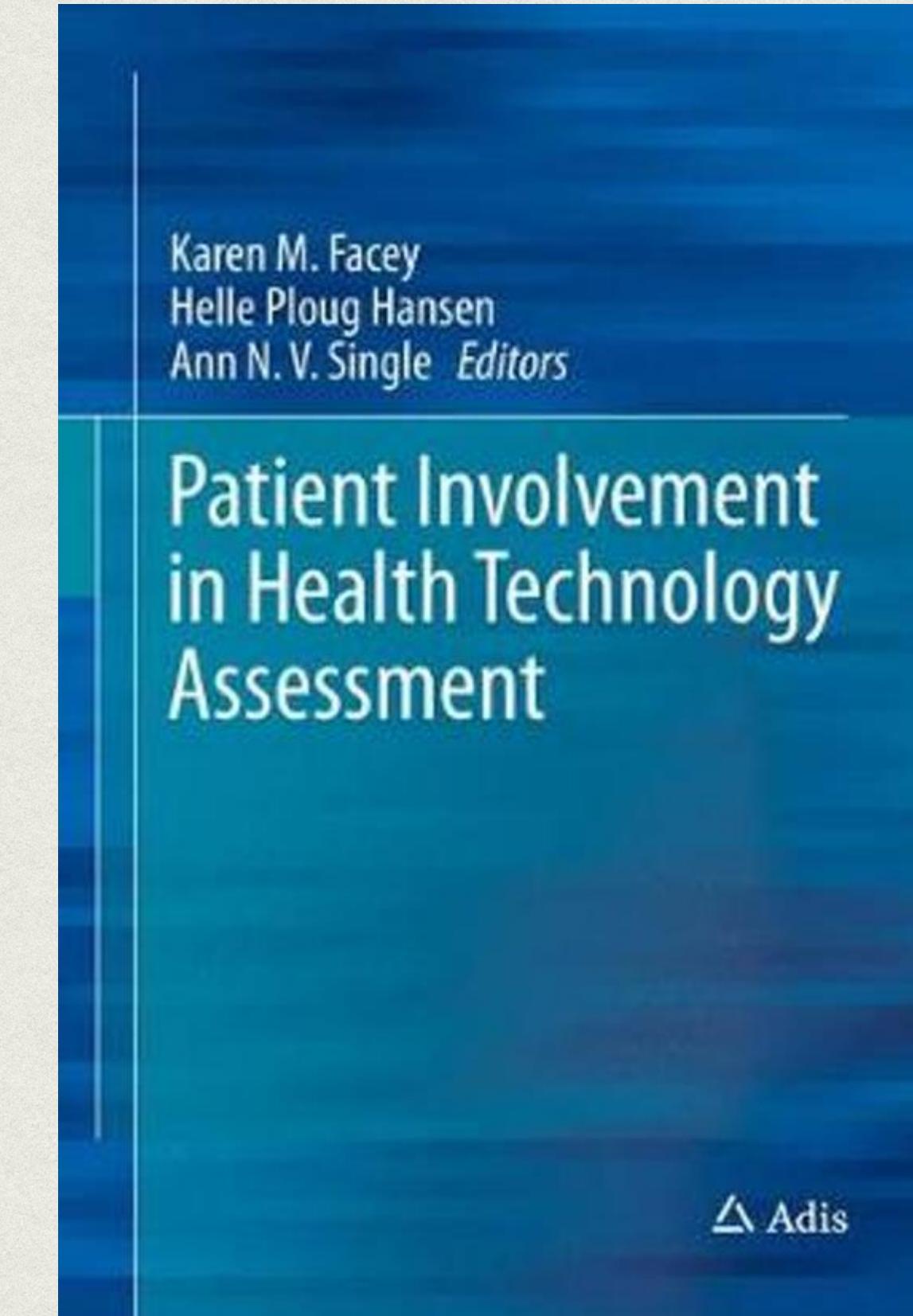
'PUSH' VERSUS 'PULL' MODEL



Arnstein (1969) Ladder of citizen participation



LITERATURE PATIENT PARTICIPATION



THE DONOR AS PARTNER



OSCAR WESTBROEK & LENNART THY

INTERVIEW | Oscar Westbroek (21), leukemiepatiënt op zoek naar een stamceldonor

'Opgeven? Nooit! Ik blijf hoop houden'

Oscar Westbroek (21) uit Amersfoort zoekt een stamceldonor. Hij heeft leukemie en wordt behandeld met chemotherapie. De beste kans op genezing is echter via een stamceltransplantatie, maar de kans om een geschikte donor te vinden is slechts 1 op 50.000. Daarom roept Oscar iedereen op om stamceldonor te worden. „Ik blijf vechten en houd mezelf vast aan elk sprankje hoop.”

JELLE VEENSTRA

Oktober, 2015. Met een goede vriendin gaat Oscar een avondje op stap in Amsterdam. Hij voelt zich goed deze avond en geniet van een dansende en hossende menigte. De volgende dag, vrijdagavond, krijgt hij koorts en last van zijn nek. Een griepje, vermoedt hij. Voor de zekerheid gaat Oscar zaterdagmorgen naar de huisartsenpost. Een virus, stelt de huisarts.



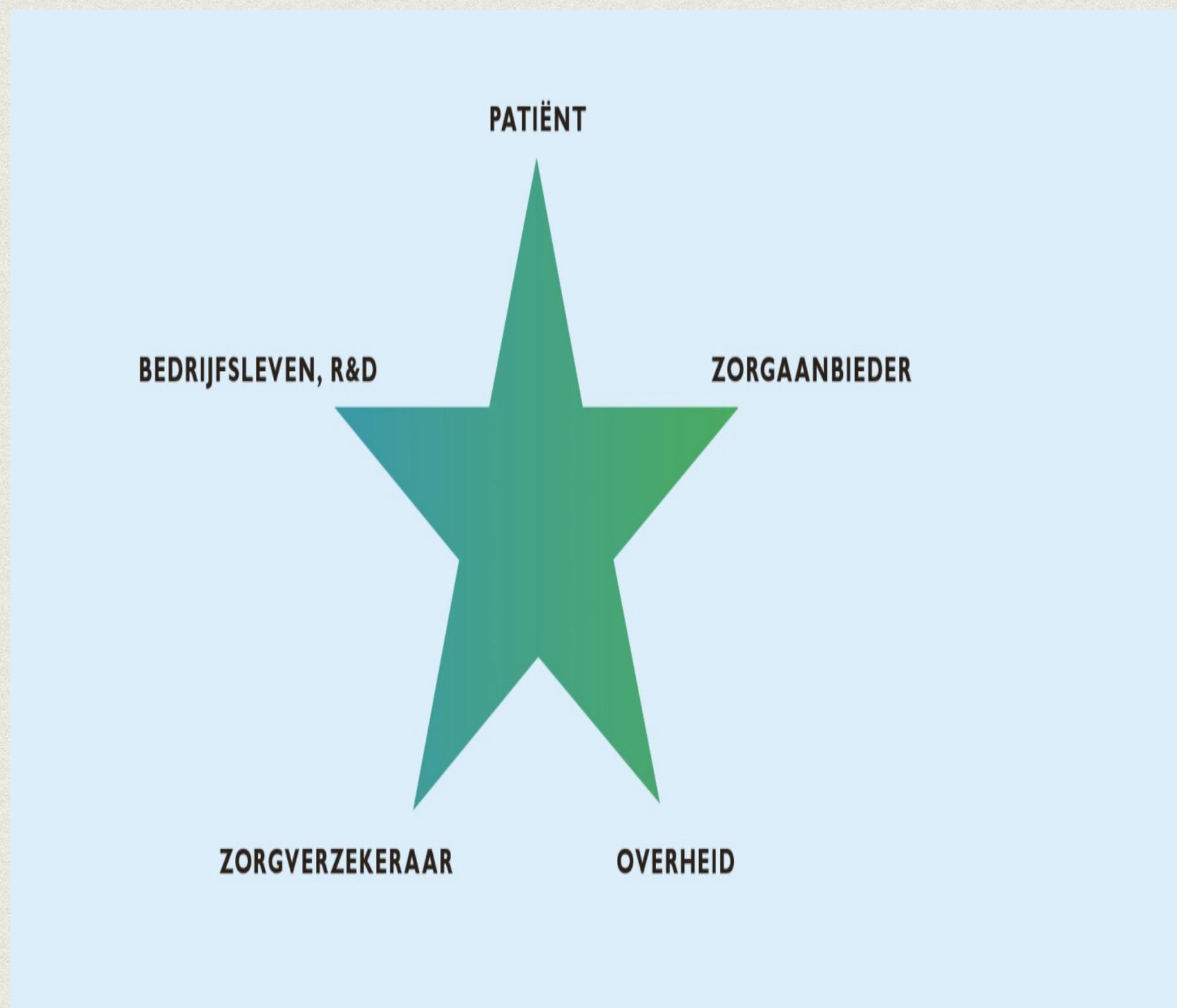
SEUN ADEBIYI, INSPIRE2LIVE, 9 FEBRUARI 2018, AMSTERDAM



POLICY WORK

- **Ontwikkeling richtlijnen en zorgstandaarden (NPCF en VSOP)**
- **Inbreng patiëntenperspectief in het werk van geneesmiddelengoedkeuring (MEB/CBG en EMA)**
- **Inbreng patiëntenperspectief bij besluiten Zorginstituut (ACP)**
- **Vroeger: Breed Platform Verzekerden en Werk (BPV&W), helaas wegbezuinigd**
- **Nu veel losse initiatieven op het terrein van chronische ziekten en werk**
- **Zelf bezorgd over positie chronisch arbeidsbeperkten i.v.m. flexibilisering arbeid**

DE POSITIE VAN DE PATIENTENBEWEGING



DE PATIËNT

Van derde naar vijfde partij

Diversiteit versus eenheid (sterkte – zwakte)

**Onafhankelijke financiering blijft probleem
Single-issue successen, maar geen erkenning
'Countervailing power' landelijk ontbreekt**

Decentralisatie, hoe krijg je iedereen 'lokaal' gehoord?

Preventie (voeding) en leefstijl
Bezuinigen (Manifest 'zinnig en zuinig',)

PATIËNTENPERSPECTIEF 2021

**De stem van
de patiënten
en hun
organisaties
gehoord**

DRIE PLEIDOOIEN AAN DE POLITIEK VAN RUIM
5 MILJOEN MENSEN MET EEN AANDOENING

VISIEDOCUMENT

MORE INFORMATION

info@smitvisch.nl
www.smitvisch.nl

