



Onderzoek naar
werkstatus en welzijn van
PNH-patiënten
in 2017

door Stichting AA & PNH Contactgroep

Contact: A.E.M. Jansen
085-2100655
info@aaenpnh.nl

Inleiding

Behandeling van PNH-patiënten met eculizumab levert aanzienlijke maatschappelijke baten op. Er is een groeiende groep tijdig behandelde patiënten die een betaalde baan heeft, vaak voltijds. Deze “eculizumab-generatie” verschilt ook in andere activiteiten en in welzijn niet significant van de rest van de Nederlandse bevolking. Dit blijkt uit een landelijk onderzoek onder Nederlanders met Paroxismale Nachtelijke Hemoglobininurie (PNH) dat eind januari 2017 is gehouden.

De studie is een initiatief van de Stichting Contactgroep AA&PNH, die daarbij heeft samengewerkt met het landelijk PNH-expertisecentrum van het Radboudumc in Nijmegen. De patiëntenvereniging wil met het onderzoek bijdragen aan de discussie over vergoeding van eculizumab vanuit de zorgverzekering. De maatschappelijke waarde van een behandeling is daarbij een van de argumenten voor vergoeding. Eculizumab-gebruikers informeren producent Alexion via de internationale PNH-registratie halfjaarlijks over hun werkstatus, maar het bedrijf deelt deze resultaten niet.¹ Verder was er tot nu toe geen wetenschappelijke informatie over de werkstatus voorhanden.²

Het kader van het onderzoek

Eculizumab (merknaam *Soliris*) is op dit moment het enige effectieve medicijn tegen de invaliderende klachten van PNH. Het is een van de duurste medicijnen op de markt. Toediening is op dit moment voor het leven. De Adviescommissie Pakket van het Zorginstituut adviseert de minister om de behandeling niet langer te vergoeden uit de basisverzekering.³

De patiëntenorganisatie wil een permanente regeling van de vergoeding. Zij verwijst daarbij naar eerdere toezeggingen van het Zorginstituut en naar de door haar onderzoek aangetoonde hoge maatschappelijke waarde. Deze laatste weegt zwaar in het beleid van de minister van volksgezondheid. Een van haar beleidsdoelen is om de voorwaarden te scheppen waaronder chronisch zieken zoveel mogelijk complete en productieve levens kunnen leiden. Het onderzoek van de patiëntenvereniging laat zien dat dit beleidsdoel voor PNH-patiënten bereikt wordt met eculizumab.

¹ Mededeling van medewerkers van Alexion aan het bestuur van de Stichting Contactgroep AA&PNH op 9 december 2016 tijdens een presentatie over de Registry.

² Zorginstituut: Pakketadvies eculizumab bij behandeling van PNH-patiënten. 13 mei 2016. p. 13

³ Zorginstituut: Pakketadvies eculizumab bij behandeling van PNH-patiënten. 13 mei 2016. p. 1.

Tabel 1 Diagnose-jaar en arbeidsparticipatie

Diagnose-groep	Alle respondenten	Eculizumab gebruikers	Arbeids-participatie
1970 – 2006	24	16 (67%)	5 (31%)
2007 – heden	47	31 (67%)	18 (58%)

In 2007 is eculizumab beschikbaar gekomen en ook ingezet in bij de behandeling van PNH patiënten. In deze analyse hebben we twee groepen samengesteld op basis van hun diagnose-jaar. De eerste groep loopt van 1970 – 2006 en de tweede groep is de groep die na 2007 gediagnosticeerd is. De tweede groep staat model voor de patiënten die wij in de toekomst kunnen verwachten.

Gemiddelde diagnosejaar: 2004 (range: 1970 – 2016)

Gemiddelde diagnose leeftijd: 35 jaar (range: 12-71 jaar)

Voor de gemiddelde leeftijd per diagnosegroep zie de laatste tabel van dit rapport.

Opzet van de studie

De vragenlijst van de studie is samengesteld met het PNH Expertisecentrum in het Radboudumc in Nijmegen. Behalve naar de werkstatus in de ruimste zin wordt ook gevraagd naar de kwaliteit van leven, met en zonder eculizumab. Bij het meten van de levenskwaliteit is de standaard EuroQol's 5Q-5D-5L-methode gebruikt (contractnummer 152222). De vragenlijst is uitgezet via SurveyMonkey. Van de gediagnosticeerde 139 patiënten hadden er 28 aangegeven dat ze niet benaderd wilden worden. Het expertisecentrum heeft de overige 111 mensen op 20 januari de enquête toegestuurd, 81 digitaal en 30 op papier. De response kwam uit op 76 personen ofwel 69%. Van de per mail benaderde patiënten reageerden er 65, terwijl er 11 de papieren vragenlijst binnen de termijn inzonden. Van de geretourneerde vragenlijsten waren er 71 helemaal ingevuld. Van deze 71 personen gebruiken er 47 (67%) eculizumab.

Eculizumab en werk

Van alle PNH-patiënten in de survey hebben er 32 (45%) betaald werk. Dit gemiddelde wordt nog sterk omhooggetrokken door de al genoemde eculizumab-generatie. Deze patiënten zijn gediagnosticeerd na 2007, het jaar waarin eculizumab in Nederland beschikbaar kwam. Zij hebben het middel tijdig kunnen krijgen, zodat ze geen blijvende schade hebben geleden aan hun lichaam of hun loopbaan. De arbeidsparticipatie van dit cohort gebruikers ligt op het landelijk gemiddelde voor de beroepsbevolking van 58%. Dit is aanzienlijk hoger dan bij de niet-eculizumabgebruikers en degenen die hun diagnose kregen in de periode 1970-2006. "Als eculizumab eerder toegediend zou zijn, had ik waarschijnlijk mijn baan kunnen behouden," constateert een van de respondenten. "Ook was de kans op een CVA veel kleiner geweest."

Tabel 2 Eculizumab-gebruikers & arbeidsparticipatie

De vragenlijst is door 71 mensen volledig ingevuld.

- 47 mensen hebben hun diagnose in 2007 gekregen of later.
 - 16 mensen gebruiken geen eculizumab
 - 31 mensen gebruiken eculizumab
 - 13 mensen hebben geen betaald werk
 - 18 mensen hebben betaald werk (58 %)
- Bij het Centraal Bureau voor de Statistiek (CBS) wordt aangegeven dat de gemiddelde arbeidsparticipatie onder 15-65 jarigen over de periode 2014 tot en met het 3^e kwartaal 2016 58 % is. Vergelijking met het overeenkomstige eerste kwartaal in 2016 geeft 59% voor Nederland (zie: <http://statline.cbs.nl/Statweb/publication/?DM=SLNL&PA=82309ned&D1=2-10.23&D2=0&D3=2&D4=1&D5=54-67&HDR=G1.G2.G3.T&STB=C4&YW=T>).
- ❖ **De arbeidsparticipatie van eculizumab-gebruikers, die in 2007 of later zijn gediagnosticeerd, is gelijk aan de arbeidsparticipatie van Nederland (58%/59%).**

De vraag naar de aard van het beroep levert een divers beeld op. Veel patiënten werken in een administratieve functie zoals organisatieadviseur, directiesecretaresse, boekhouder en marketing manager. Andere leden hebben fysiek belastend werk zoals de tandarts, de schoonmaker, de winkelier en de conciërge. Een van de scholieren in de studie hoopt deze zomer te starten met de vooropleiding van de politie.

Tabel 3 Overzicht dagelijkse activiteiten van eculizumab-gebruikers

	Diagnose 1970-2006 Eculizumab-gebruikers (16)	Diagnose 2007-heden Eculizumab-gebruikers (31)
Studeer	0 (0%)	5 (16.1%)
Loondienst	3 (18.8%)	12 (38.7%)
ZZP-er	2 (12.5%)	5 (16.1%)
Huisman/vrouw	1 (6.3%)	4 (12.9%)
Werkloos	0 (0%)	0 (0%)
Arbeidsongeschikt tgv PNH	3 (18.8%)	5 (16.1%)
Arbeidsongeschikt tgv andere oorzaak	2 (12.5%)	0 (0%)
(pre)pensioen	6 (37.5%)	5 (16.1%)
Vrijwilligerswerk	3 (18.8%)	2 (6.5%)
Anders	1 (6.3%)	3 (9.7%)

Achtergrondinformatie:

Het totaal van de antwoorden is meer dan 47, men kon hier meerdere antwoorden geven. Zo zijn er bijvoorbeeld mensen die hebben aangegeven dat zij ZZP-er zijn én vrijwilligerswerk doen of arbeidsongeschikt zijn én huisman/vrouw zijn. Van de arbeidsongeschikten geeft niemand aan vrijwilligerswerk te doen.

- ❖ **Het cohort dat de diagnose heeft gekregen van 2007 tot heden, dus in een tijd dat eculizumab beschikbaar was, is actiever dan het cohort dat de diagnose eerder heeft gekregen.**

Leven met en zonder eculizumab

Het positieve effect van eculizumab blijkt behalve uit de werkstatus ook uit de beleving van de patiënten. “Ik heb geprobeerd (te werken) zonder eculizumab, maar dat ging niet,” schrijft een respondent die nu weer fulltime aan de slag is. Een andere patiënt kan zonder het medicijn “nog volledig werken. Ik wil natuurlijk graag dat er, indien nodig, een medicijn beschikbaar is waarmee ik mijn leven zoveel mogelijk kan voortzetten.”

Van de werkende gebruikers vrezen er 9 (35%) dat zij zonder eculizumab moeten stoppen met betaald werk. Nog eens 13 (50%) verwachten terug te moeten in aantal gewerkte uren. Maar een heel kleine groep, 4 personen (15%), denkt zonder eculizumab net zoveel te kunnen werken als met.

Tabel 4 Als ik geen eculizumab meer zou krijgen, betekent dat voor mijn huidige werk.....

- ik heb geen betaald werk
 - 21 (45%)
- dat ik gewoon onveranderd door kan gaan met mijn betaalde werk
 - 4 (9% van de eculizumabgebruikers, 15% van de werkende eculizumabgebruikers)
- dat het lastiger wordt, dan kan ik minder tijd aan mijn betaalde werk besteden
 - 13 (28% van de eculizumabgebruikers, 50% van de werkende eculizumabgebruikers)
- dat ik geheel zal moeten stoppen met mijn betaalde werk
 - 9 (19% van de eculizumabgebruikers, 35% van de werkende eculizumabgebruikers)

❖ **Als de eculizumab-gebruikers geen eculizumab meer zouden krijgen verwacht een groot deel (85%) dat hun werksituatie zal veranderen. 50% verwacht minder te moeten gaan werken en 35% verwacht zelfs te moeten stoppen met werken.**

De angst dat stopzetting van eculizumab negatieve gevolgen heeft is in de hele groep gebruikers sterk aanwezig. Zij voorzien een sterke daling van hun levenskwaliteit. Waar de gemiddelde kwaliteitsindex EQ-5D-5L nu op .796 staat, is de verwachte stand zonder medicijn .510. Het landelijk gemiddelde is .896.

Tabel 5 Kwaliteit van leven: Wat als ik geen eculizumab zou krijgen?

47 eculizumab gebruikers	Nu	Wat als	NL
VAS-Score* (0-100)	67.6	41.3	80.6
EQ-5D-5L index value* (0-1)	.796	.510	.896

De VAS-Score (Visual-Analogue-Scale) geeft de antwoorden op de vraag hoe goed of slecht uw gezondheid is op een schaal van nul (de slechtste gezondheid die u zich kunt voorstellen) tot honderd (de beste gezondheid die u zich kunt voorstellen). EQ-5D-5L is een gestandaardiseerde vragenlijst om de kwaliteit van leven te meten. De index loopt van 0 tot 1 (beste gezondheid). Beide scores zijn ons aangeraden door het IMTA aan de Erasmus Universiteit. Met EuroQol hebben we contract nr. 15222 afgesloten om de vragenlijst in licentie te mogen gebruiken voor de Nu-situatie.

Een respondent patiënt vertelt dat hij zich dankzij eculizumab "kan focussen op de belangrijke zaken in mijn leven. Mijn dochter bijvoorbeeld en mijn werk. Zonder eculizumab zou ik mij zorgen maken over de toekomst."

Tabel 6 Samenvatting van de resultaten in drie cohorten op basis van datum diagnose

Diagnose-groep	Respondenten	Eculizumab gebruikers	Gem. leeftijd	Arbeids-participatie	5Q-5D Nu	5Q-5D Wat als
1970 – 2004	21	16 (82%)	55.6	5 (32%)	.824	.454
2005 – 2009	18	11 (61 %)	49.9	5 (45%)	.712	.435
2010 – heden	32	20 (63%)	38.9	13 (65%)	.821	.597

- De cohorten zijn op advies van het PNH Expertisecentrum opgesteld.
- 1970 - 2004: naar verwachting is dit de zwaarst beschadigde groep, weinig arbeidsparticipatie, deze groep is ouder.
- * 2005 - 2009: na de trial in 2005 kwam eculizumab in 2007 op de Nederlandse markt. We zien nu een wat hogere arbeidsparticipatie.
- * 2010 - heden: voor deze hele groep kan het gebruik van eculizumab relatief op tijd worden ingezet. Derhalve zien wij een hogere arbeidsparticipatie.

Methodologische verantwoording

De beperking van het onderzoek tot Nederland en de aard van de ziekte leidt ertoe dat de onderzoeksgroep klein is. De vermelde percentages zijn daarom indicatief bedoeld. Omdat de onderzoekspopulatie een groot deel van de patiëntenpopulatie omvat, geeft de studie wel een helder en compleet beeld van deze groep. De verwachting is gerechtvaardigd dat toekomstige studies in het buitenland en recente informatie uit het PNH-Registry de conclusies van onze studie zullen bevestigen.