

<http://hdl.handle.net/1765/129372>

Erasmus MC

Universitair Medisch Centrum Rotterdam



Summary

Samenvatting

SUMMARY

When exactly is a health care technology *necessary* and how do we determine this on a collective level? Just how far should the collective solidarity stretch? These questions are answered every time a health care coverage decision is made. The Dutch National Health Care Institute (in Dutch: *Zorginstituut Nederland*, in this text: the Institute) is an arm's length body tasked with advising the Minister of Health on these decisions, which specify the contents of the basic benefits basket. The basic benefits basket contains all health care technologies covered by the collective health insurance Dutch citizens are obliged to take out. The Institute uses four specific formalised criteria to formulate their health care coverage advice, namely effectiveness, cost-effectiveness, feasibility, and necessity. This final criterion has been defined or operationalised in different ways over the years since the influential Dunning Committee report on Choices in Health Care first suggested it, nearly 30 years ago. It has, however, also long been considered “non-uniform” and “problematic” by scholars. This dissertation provides a fresh operationalisation of the necessity criterion by answering the question: how is the necessity criterion used in practice?

In this dissertation, I argue that the necessity criterion has, in the past, been operationalised too narrowly, primarily following a well-established tendency at the Institute (and further afield) to guarantee the rationality of decisions through strong adherence to well-explicated decision criteria. This tendency has obscured what this notion of necessity is there to achieve: that an advised decision is not made without explicit reference to the societal context. This reference to the societal context, then, happens in Dutch coverage decision-making practice by using necessity *argumentations*, which are the form the necessity criterion takes in practice. These argumentations, I show, are far broader than the formalised tenets of the necessity criterion as visible in the most recent instalments of relevant policy documentation.

The **Introduction** gives an overview of three cornerstones of this study: first, the most important policy reports, starting with the Dunning Committee report; second, the primarily inductive Health Services Research (HSR) literatures on coverage decision making; and third, the relevant Science and Technology Studies (STS) literatures on expert advice. The policy reports that have dealt with the necessity criterion highlight two things: first, the necessity criterion has been operationalised in many ways, but over the years it seems to have moved from a broad definition to a highly specific one, with elements of severity of illness and reference to the context, whether societal or institutional in terms of insurance, relatively permanent. Second, the location of using the necessity criterion has almost always been in deliberation, and specifically, in the appraisal phase (which is generally defined as a setting for contextualisation or societal weighing and as following the assessment phase, where the scientific input regarding, e.g., effectiveness and cost-effectiveness is established).

The section on HSR zooms in on how health care coverage decisions are made in practice, generally focusing on the deliberative setting. It describes how the field first exhibited an appreciation of making these decisions *not* according to general rules or criteria, as they were seen as too rigid.

Instead, decision makers' personal preferences were described as vital for good decisions. This has evolved to showing expertise in such decisions as doing both-and; the application of criteria, which often comprised using scientific knowledge, and following procedures is combined with local or contextual knowledge, displaying human-ness. Combining these elements well is described as displaying pragmatic rationality, whereby the expertise needed to do so guarantees the quality of the decision.

The STS literatures referenced do not focus on the deliberations only but showcase the role such deliberations and decisions may play in a wider political decision-making process. Here, also, pragmatic rationalism is referenced, but in this case, it is defined as being able to produce a robust outcome in certain contexts. Robustness is described in terms of the ability to withstand pressure 'out there', but also as deriving from substantive input wider and more varied than technical expertise. This focus on what happens to a decision afterwards highlights the importance of a good decision justification or rationale.

Chapter 1 starts with providing an overview of twenty necessity argumentation types derived from scholarly literatures through a realist review. Such a review aims to provide insight into what works, for whom, and in what context. We use it to identify these twenty argumentation types (which include but are not limited to, the morbidity and need as experienced by the patient, availability of alternative treatments, the financial cost per individual patient, and compassion with vulnerable groups such as children or small numbers of patients generally) and examine in what context and by whom they are used to argue in favour of, or against, coverage of the health care technology in question. We conclude that the context wherein a necessity argumentation is used affects its use and outcome in several ways. The use of necessity argumentations thus depends on the outcome of the decision (different argumentation types are used to argue in favour of or against coverage); the person who is arguing in favour of or against coverage (patients, authors, members of the public, and the media use a wider variety of argumentation types than policy makers and insurance companies, and when a member of the public or a patient sets the decision on the agenda the outcome is more likely to be positive); and sometimes on the country where it is used (some countries appear to have very specific argumentation type preferences).

In **Chapter 2**, my co-authors and I report on a cross-country comparison on the use of contextual factors (i.e., necessity argumentations) between Belgium, England, Germany, and the Netherlands. We follow Asdal and Moser in defining contextual factors as situation-specific and compare the countries' use of contextual factors generally based on interviews, and the documentation reporting the justification/rationale of four decisions taken in all four countries. Most interestingly, all four countries do use contextual factors thus operationalised, and the relevant factors are established in deliberation, *around the table*. The Netherlands employs a relatively wide variety of factors and has a high level of formalisation of the necessity criterion compared to Belgium, England, and Germany. Notably, similar contextual factor patterns led to similar decisions across the countries, suggesting patterning of argumentations as an interesting avenue for further research. A significant number of decisions lacked a public justification, raising questions on legitimacy.

Chapter 3 homes in on what happens around the table in the Netherlands, specifically the appraisal phase of four distinct health care coverage decisions, namely eculizumab, front teeth replacement therapy, maternity care, and paracetamol-vitamin D tablets. The appraisal committee (in Dutch: *Adviescommissie Pakket, ACP*) is tasked with the ‘societal weighing’ of these decisions and regarded as a primary place for establishing, or ‘constructing’, necessity. Through analysis of observations and audio-recordings of appraisal meetings, enriched by interviews with committee members and Institute employees, we show how necessity is constructed in the four phases of appraisal. These four phases are first, the contributions of the Institute employee; second, the contributions of patients and/or their representatives; third, deliberations of the committee; and fourth, taking the final decision. These phases highlight four ways of constructing necessity: 1) allowing explicit criteria to steer the process; 2) allowing patient (representative) contributions to challenge the process; 3) bringing in new argumentations and weaving them together; 4) formulating recommendations. These correspond to four elements of societal weighing expertise, of which the latter two are most distinct, as they show how argumentations from society are actively used and how the decision outcome is embedded in society by the committee.

Chapter 4 derives a three-step model for making robust coverage decisions from Science and Technology Studies literatures on controversy and re-examines some of the data from the previous chapter to illustrate this model. The model conceptualises (advised) decisions as networks as elements and comprises three steps: 1) identifying elements, which include findings, arguments, and values; 2) designing networks of elements, which entails articulating links, broadening the scope of networks, and sometimes black-boxing links; and 3) testing these networks and choosing one. This yields a clear additional rationale for engaging patients and members of the public (as they might contribute different and different types of elements, positively affecting decision network strength) as well as an appreciation of the tacit expertise brought to bear by the committee.

The **Discussion** showcases the contribution of this study by first, summarising how the necessity criterion is used in practice, thus answering the research question, and second, by specifying how societal weighing is achieved through contextualisation practices and delineating how this contributes to HSR and STS literatures.

The necessity criterion takes the form of argumentations in favour of, or against, coverage of the health care technology under consideration, and their perceived validity, and hence their selection differs per case. Many countries use necessity argumentations in coverage decisions, but they generally have formalised these argumentations to differing degrees, with the Netherlands serving as a country with a relatively high level of formalisation. Necessity argumentations are generally established in patterns in a deliberative setting. The Dutch appraisal thus serves as an interesting site for further study, and this is where the societal weighing is achieved.

Societal weighing entails first, ‘bringing the outside in’, and second, ‘placing the decision back outside’. The outside is actively brought in through the presence of patients, their representatives, and/or other stakeholders, who are here for this decision only but steer and guide the deliberations in vital ways and through committee members referencing outside sources such as newspapers

and adding these considerations to decisions. The decision is placed back outside through the way the committee carefully brings lots of argumentations together with producing a robust, that is, able to withstand pressure in outside settings, decision in mind, and through the addition of recommendations relevant for specific outside settings. This adds to HSR and STS literatures as it showcases what makes societal weighing distinct, namely the contextualisation practices, through which the outside, that is, the relevant contexts, affects the processes, contents, and outcomes of the deliberations. This results in different ‘types’ of societal weighing that may happen around the table, which is not problematic but in fact guarantees the quality of the decision. The deliberations, decisions, and justifications or rationales are of high quality as they display this specific set of contextualisation practices: bringing the outside in and placing the decision back outside in a careful, appropriate, and well-legitimated manner, sensitive to the specific outside contexts that are considered relevant.

I use the metaphor of *weaving necessity* to evoke the art of the decision-making process, wherein the many, case-specific, and patterned necessity argumentations are brought together to help delineate the extent of our collective solidarity appropriately and robustly.

SAMENVATTING

Wanneer is een zorgtechnologie precies noodzakelijk en hoe bepalen we dit op collectief niveau? Hoe ver moet de collectieve solidariteit precies gaan? Deze vragen worden beantwoord op het moment dat er een beslissing wordt genomen over de vergoeding van gezondheidszorg. Zorginstituut Nederland (in deze tekst: het Instituut) is een overheidsinstantie belast met het adviseren van de Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport over deze beslissingen, waarmee de inhoud van het basispakket van de zorgverzekering wordt gespecificeerd. Het basispakket bevat alle zorgtechnologieën die worden gedekt door de collectieve basisverzekering, die alle Nederlandse burgers verplicht zijn af te sluiten. Het Instituut gebruikt vier specifieke, geformaliseerde criteria om zulk vergoedingsadvies te formuleren, namelijk effectiviteit, kosteneffectiviteit, uitvoerbaarheid en noodzakelijkheid. Sinds het bijna 30 jaar geleden voor het eerst werd voorgesteld in het invloedrijke rapport van de commissie-Dunning, *'Kiezen En Delen, Rapport van de Commissie Keuzen in de Zorg'*, is het laatste criterium, noodzakelijkheid, op verschillende manieren gedefinieerd en geoperationaliseerd. Het noodzakelijkheids criterium wordt echter ook al lang door wetenschappers als “niet-uniform” en “problematisch” beschouwd. In dit proefschrift bied ik een nieuwe operationalisering van dit criterium door de volgende vraag te beantwoorden: hoe wordt het noodzakelijkheids criterium in de praktijk gebruikt?

In dit proefschrift beargumenteer ik dat het noodzakelijkheids criterium in het verleden te krap is geoperationaliseerd. De voornaamste reden hiervoor is de sterke neiging bij het Instituut (en daarbuiten) om de rationaliteit van beslissingen te garanderen door middel van rechtlijnig gebruik van duidelijk omschreven beslissingscriteria. Deze neiging verboemde wat deze noodzakelijkheidsnotie in staat is te bewerkstelligen, namelijk dat een geadviseerde beslissing niet wordt genomen zonder te verwijzen naar de maatschappelijke context. Het noodzakelijkheids criterium neemt in de praktijk de vorm aan van argumenten deze argumenten worden gebruikt in de Nederlandse beslissingspraktijk voor deze verwijzing naar de maatschappelijke context. Ik laat zien dat deze argumenten veel breder zijn dan de geformaliseerde principes van het noodzakelijkheids criterium zoals beschreven in de meest recente relevante beleidsdocumentatie.

De **Inleiding** geeft een overzicht van de drie pijlers van deze studie: ten eerste, de belangrijkste beleidsdocumentatie sinds het rapport van de commissie-Dunning; ten tweede, relevante literatuur over Gezondheidswetenschappen (*Health Services Research*, HSR) over vergoedingsbesluitvorming; en ten derde de relevante Wetenschaps- en Technologiëstudies (*Science and Technology Studies*, STS) over advies van deskundigen. De beleidsdocumentatie waarin het noodzakelijkheids criterium is behandeld benadrukt twee dingen: ten eerste is het noodzakelijkheids criterium op vele manieren geoperationaliseerd, maar door de jaren heen lijkt de overgang te zijn gemaakt van een relatief brede definitie naar een specifiekere. Hierin lijken elementen van ziektebelasting en verwijzing naar de context, de maatschappelijke context dan wel de geïnstitutionaliseerde context in termen van verzekering, relatief permanent. Ten tweede is het gebruik van het noodzakelijkheids criterium bijna altijd gelokaliseerd in deliberatie. in de *appraisal* fase om precies te zijn, die over het algemeen

wordt gedefinieerd als de setting voor contextualisering of maatschappelijke weging en als volgend op de *assessment* fase, waar de wetenschappelijke input, onder andere de effectiviteit en kosteneffectiviteit, wordt vastgesteld.

Het gedeelte over HSR zoomt in op hoe beslissingen over de vergoeding van de gezondheidszorg in de praktijk worden genomen, waarbij de nadruk meestal ligt op de setting waarin de deliberatie plaatsvindt. Ik beschrijf daarin hoe het veld startte vanuit een waardering voor het nemen van zulke beslissingen zonder algemene regels of criteria te volgen, omdat deze als te rigide werden beschouwd. In plaats daarvan werden de persoonlijke voorkeuren van besluitvormers beschreven als essentieel voor goede beslissingen. Dit is geëvolueerd naar het beschrijven van expertise in beslissingen die beide dingen doen, namelijk zowel het toepassen van criteria, wat vaak het gebruik van wetenschappelijke kennis en het volgen van procedures omvat, als het in acht nemen van lokale of contextuele kennis, waarin de menselijkheid van de commissie wordt getoond. Het goed combineren van deze elementen wordt omschreven als het demonstreren van pragmatische rationaliteit, waarbij de benodigde expertise de kwaliteit van de beslissing garandeert.

De STS-literatuur die ik behandel richt zich niet alleen op de deliberatie, maar onderstreept vooral de rol die dergelijke beraadslagingen en beslissingen kunnen spelen in een breder politiek besluitvormingsproces. Ook hier wordt de term pragmatisch rationalisme gebruikt, maar in dit geval wordt het gedefinieerd als het in staat zijn om een robuust resultaat te produceren in bepaalde contexten. Robuustheid wordt beschreven in termen van het vermogen om druk van 'buiten' te weerstaan, maar wordt ook afgeleid uit inhoudelijke input, die breder en gevarieerder is dan alleen technische expertise. Deze focus op wat er met een beslissing gebeurt als deze eenmaal is genomen onderstreept het belang van een goede motivering van een beslissing.

Hoofdstuk 1 begint met een overzicht van twintig noodzakelijkheidsargumentatietypen afgeleid van wetenschappelijke literatuur door middel van een *realist review*. Dit type review is bedoeld om inzicht te geven in wat werkt, voor wie en in welke context. We hebben deze methode gebruikt om deze twintig argumentatietypes (waaronder de morbiditeit en behoeftes van de patiënt, de beschikbaarheid van alternatieve behandelingen, de financiële kosten per individuele patiënt en compassie met kwetsbare groepen zoals kinderen of kleine aantallen patiënten) te identificeren. We onderzoeken vervolgens in welke context en door wie ze worden gebruikt om te pleiten voor, of tegen, vergoeding van de technologie in kwestie. We concluderen dat de context waarin een noodzakelijkheidargumentatie wordt gebruikt op verschillende manieren invloed heeft op het gebruik en de uitkomst van de beslissing. Het gebruik van noodzakelijkheidsargumenten hangt dus af van de uitkomst van de beslissing (verschillende argumentatietypes worden gebruikt om voor of tegen vergoeding te pleiten); van de persoon (patiënten, auteurs, burgers en de media gebruiken een breder scala aan argumentatietypes dan beleidsmakers en verzekeringsmaatschappijen, en wanneer een burger of patiënt het besluit op de agenda plaatst, is het resultaat eerder positief); en soms van het land waar het wordt gebruikt (sommige landen lijken zeer specifieke voorkeuren voor argumentatietypes te hebben).

In **Hoofdstuk 2** rapporteren mijn coauteurs en ik over het gebruik van contextuele factoren (d.w.z. noodzakelijkheidargumenten) in een vergelijking tussen België, Duitsland, Engeland en Nederland. We volgen Asdal en Moser in het definiëren van contextuele factoren als situatie-specifiek. We vergelijken het gebruik van contextuele factoren in het algemeen in deze landen op basis van interviews, en specifiek op basis van documentatie die de motivering van vier specifieke beslissingen in alle vier de landen rapporteert. Het meest interessante is dat alle landen dergelijke contextuele factoren gebruiken, en de relevante factoren worden in overleg, rond de tafel, vastgesteld. Nederland hanteert een relatief grote verscheidenheid aan factoren en kent een hoge mate van formalisering van het noodzakelijkheids criterium in vergelijking met België, Duitsland, en Engeland. Vergelijkbare contextuele factorpatronen leiden tot vergelijkbare beslissingen in de verschillende landen, wat suggereert dat argumentatie in patronen wordt gevormd, wat interessant zou kunnen zijn voor verder onderzoek. Een aanzienlijk aantal beslissingen bevatte geen openbare motivering, wat vragen oproept over de legitimiteit van deze beslissingen.

In **Hoofdstuk 3** wordt ingegaan op wat er in Nederland om de tafel gebeurt, met name in de *appraisal* fase, in vier verschillende vergoedingsbesluiten, namelijk eculizumab, fronttandvervanging, kraamzorg en paracetamol-vitamine D-tabletten. De Adviescommissie Pakket (ACP, in deze tekst: *appraisal* commissie) is belast met de ‘maatschappelijke weging’ van deze beslissingen en wordt beschouwd als de primaire plaats voor het vaststellen of ‘construeren’ van noodzakelijkheid. Door analyse van observaties en audio-opnames van commissievergaderingen, verrijkt met behulp van interviews met commissieleden en medewerkers van het Instituut, laten we zien hoe noodzakelijkheid wordt geconstrueerd in vier fasen van de *appraisal* vergadering. Deze vier fasen zijn: ten eerste, de bijdragen van de medewerker van het Instituut; ten tweede, de bijdragen van patiënten en/of hun vertegenwoordigers; ten derde, de beraadslagingen van de commissie; en ten vierde, het nemen van de definitieve beslissing. Deze fasen belichten vier manieren om noodzakelijkheid te construeren: 1) toelaten dat expliciete criteria het proces sturen; 2) toelaten dat bijdragen van patiënten of hun vertegenwoordigers het proces uitdagen; 3) nieuwe argumentaties inbrengen en deze combineren; en 4) formuleren van aanbevelingen. Deze vier manieren komen overeen met vier elementen van deskundigheid op het gebied van maatschappelijke weging, waarvan de laatste twee het meest specifiek zijn omdat ze laten zien hoe argumentaties uit de samenleving actief worden gebruikt en laten zien hoe het besluit door de commissie in de samenleving wordt ingebed.

In **Hoofdstuk 4** beschrijven we een driestappenmodel voor het nemen van robuuste vergoedingsbesluiten op basis van STS-literatuur over controversie, geïllustreerd met behulp van data uit het vorige hoofdstuk. Wij conceptualiseren (geadviseerde) beslissingen als netwerken van elementen en het model om deze te bereiken bestaat uit de volgende drie stappen: 1) het identificeren van elementen, waaronder bevindingen, argumenten en waarden; 2) het ontwerpen van netwerken van elementen, waaronder verbindingen tussen elementen leggen, het verbreden van de reikwijdte van netwerken, en soms het ‘black-boxen’ van verbindingen; en 3) deze netwerken testen en er een kiezen. Dit levert een duidelijke (aanvullende) reden op om patiënten en burgers te betrekken (omdat ze verschillende en verschillende soorten elementen kunnen bijdragen, die de sterkte van

het beslissingsnetwerk positief beïnvloeden), alsook een waardering van de expertise van de commissie.

In de **Discussie** expliciteer ik de bijdrage van deze studie door eerst samen te vatten hoe het noodzakelijkheids criterium in de praktijk wordt gebruikt en daarmee de onderzoeksvraag te beantwoorden, en ten tweede door te specificeren hoe een maatschappelijke weging wordt bereikt door middel van 'contextualiseringspraktijken', en duidelijk te maken hoe dit bijdraagt aan HSR- en STS-literatuur.

Het noodzakelijkheids criterium neemt de vorm aan van argumenten voor of tegen vergoeding van een bepaalde medische technologie. De geldigheid van deze argumenten, en dus hun selectie, verschilt per geval. Veel landen gebruiken noodzakelijkheidsargumentaties in vergoedingsbesluiten, maar ze hebben deze argumentaties in verschillende mate geformaliseerd. Nederland is duidelijk een land met een relatief hoog formaliseringsniveau. In de setting van de deliberatie worden noodzakelijkheidargumenten meestal in patronen gebruikt. De Nederlandse *appraisal* dient dus als een interessante plek voor verder onderzoek omdat juist hier de maatschappelijke weging plaatsvindt.

Maatschappelijk wegen omvat ten eerste, 'het buiten binnen brengen', en ten tweede 'de beslissing terug naar buiten brengen'. Het buiten wordt actief binnengebracht door de aanwezigheid van patiënten, hun vertegenwoordigers en/of andere stakeholders, die alleen voor deze beslissing aanwezig zijn en de beraadslagingen op cruciale manieren sturen en begeleiden, en door de commissieleden die gebruik maken van externe bronnen zoals kranten en deze overwegingen aan beslissingen toevoegen. De beslissing wordt terug naar buiten gebracht door de manier waarop de commissie zorgvuldig een veelheid aan argumentaties combineert met als doel het produceren van een robuuste beslissing, dat wil zeggen, een beslissing die bestand tegen druk van situaties buiten. Hetzelfde gebeurt door de toevoeging van aanbevelingen die relevant zijn voor specifieke externe instellingen. Dit draagt bij aan HSR- en STS-literatuur omdat het laat zien wat maatschappelijk wegen onderscheidt, namelijk de contextualiseringspraktijken, waardoor het buiten, dat wil zeggen de relevante contexten, de processen, inhoud en resultaten van de beraadslagingen beïnvloedt. Dit resulteert in verschillende 'soorten' maatschappelijk wegen die rond de tafel kunnen plaatsvinden. Dit is echter niet problematisch, maar garandeert in feite de kwaliteit van de beslissing. De beraadslagingen, beslissingen en motivaties zijn van hoge kwaliteit omdat ze deze specifieke set van contextualiseringspraktijken laten zien: het buiten binnenbrengen en de beslissing terug naar buiten brengen op een zorgvuldige, passende en goed onderbouwde manier die gevoelig is voor de specifieke contexten die als relevant worden beschouwd.

Ik gebruik de metafoer van het weven van noodzakelijkheid om de kunst van het besluitvormingsproces op te roepen, waarbij de vele, casus-specifieke noodzakelijkheidargumenten in een patroon worden samengebracht om onze collectieve solidariteit op een passende en robuuste manier te helpen afbakenen.