

Stellingen behorend bij het proefschrift

Health technology assessment of orphan drugs

The example of Pompe disease

1. De ziektelast als gevolg van de ziekte van Pompe is substantieel voor zowel patiënten, mantelzorgers als de maatschappij als geheel. *(dit proefschrift)*
2. Ondanks het relatief kleine aantal patiënten, zijn kosteneffectiviteitsstudies voor weesgeneesmiddelen niet per definitie onmogelijk. *(dit proefschrift)*
3. Enzymtherapie voor de behandeling van de ziekte van Pompe leidt tot een grote overlevingswinst, maar brengt ook hoge kosten met zich mee. *(dit proefschrift)*
4. Zelfs bij een halvering van de huidige prijs zal de kosteneffectiviteit van ERT niet onder de gangbare kosteneffectiviteitsdrempels uitkomen. *(dit proefschrift)*
5. Criteria zoals budget impact, zeldzaamheid, leeftijd, identificeerbaarheid van patiënten en beschikbaarheid van alternatieve middelen spelen een rol bij vergoedingsbeslissingen van weesgeneesmiddelen naast de reguliere criteria. *(dit proefschrift)*
6. Het opzetten van een patiëntenregistratie nog voordat een weesgeneesmiddel op de markt komt is essentieel voor het verzamelen van informatie over de vergelijkende behandeling ten behoeve van kosteneffectiviteitsanalyses.
7. Ondanks de tekortkomingen van observationele studies zijn deze cruciaal voor onderzoek in weesgeneesmiddelen.
8. Prikkel voor de ontwikkeling en prijsstelling van weesgeneesmiddelen moeten worden aangepast om het systeem houdbaar te houden.
9. Beleidsmakers moeten rekening houden met verdringingseffecten bij het nemen van vergoedingsbeslissingen.
10. Ten opzichte van het inbrengen van een normale hartritmemonitor is het inbrengen van miniatuur versie minder invasief, sneller en kan het plaatsvinden buiten een operatiekamer.
11. "One good thing about music, when it hits, you feel no pain" *(Bob Marley)*