



Vurderingen af 'klinisk merværdi'

Der er et metodisk problem, når studier for behandling af 'Sjældne Diagnoser' skal vurderes:

- Få patienter, typisk over kortere tid, hvilket gør det svært at opnå 'stor/vigtig merværdi'
- men det betyder ikke, at behandlingen ikke har effekt

Hvad er 'merværdi' v. Sjælden diagnose?

Medicinrådet:

Lille merværdi:
Moderat forbedring,
f.eks. reduktion i ikke-
alvorlige
sygdomssymptomer
eller fravær af
bivirkninger.



EX. På opnået klinisk effekt ved behandling af SMA:

Forbedret evne til at kunne:
Rulle, kravle, sidde og gå hos
børn som ellers ikke ville
udvikle sig normalt

Således anerkender
Medicinrådet ikke disse
funktioner som alvorlige og
dermed opnås kun kategorien
'lille merværdi' trods stor
betydning for patient og
forældre....

Forslag: justering af krav til vurderingen af 'klinisk merværdi' for en behandling af en 'sjælden diagnose'

- Alvorlige sygdoms-symptomer er mere end død.
- Case-baseret evidens skal også tillægges værdi.
- Internationalt anerkendte redskaber (peer reviewed og videnskabeligt offentliggjort) til vurdering af effekt skal anerkendes og respekteres i de danske fagudvalg.

Amgros' prisramme

- Opdelt efter kategoriseringen af 'merværdi'
- = 'ingen merværdi'/'ikke-dokumenterbar merværdi' = 0 kr. Lille merværdi = 'få kr. ''
- Terapiområde underordnet: pris pr patient pr år, 'mere end i dag' alt efter merværdi :

Stort metodisk problem, når et 'Sjælden Diagnose'-lægemiddel:

Er første og eneste behandling: ingen standardbehandling at sammenligne med

Og derfor ikke kan modregnes en udgift til standardbehandling

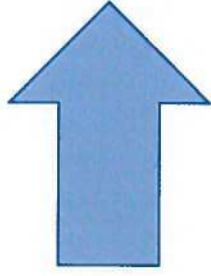
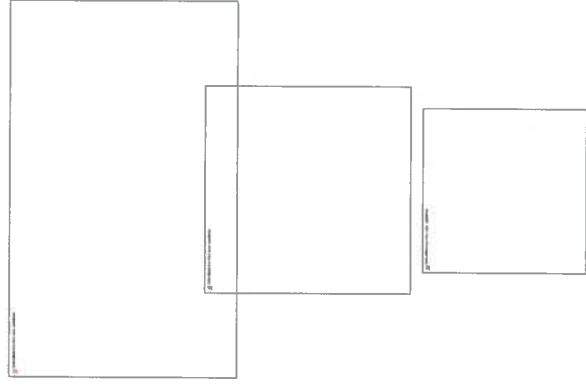
Og endnu ikke har peer reviewed sundhedsøkonomisk dokumentation for de udgifter, som behandlingen afværger ved at have effekt på sygdommen.



Forslag: justering af prisrammen som Amgros forhandler ud fra

- Udgiften til en behandling af en Sjælden Diagnose skal vurderes på et andet grundlag
- Prisrammerne for kategorierne af merværdi skal være højere for Sjældne Diagnoser end etablerede behandlingsområder (med mange patienter og flere behandlingsmuligheder)

Proceduren for forhandling



JA

Nej

Forslag: proceduren for forhandling

- Tilbuddet til AMGROS bør ikke være bindende, men være under forudsætning af en patientpopulation = Reel forhandling af pris vs. volumen
- Læg prisrammerne frem = transparens = Selskabernes HQ kan forstå, hvad prisen i DK må være.
- Differentiér mellem Sjældne diagnoser og andre Terapiområder



Den politiske konsekvens af 'ingen anbefaling'

Article 24

1. States Parties recognize the right of the child to the enjoyment of the highest attainable standard of health and to facilities for the treatment of illness and rehabilitation of health. States Parties shall strive to ensure that no child is deprived of his or her right of access to such health care services.

2. States Parties shall pursue full implementation of this right and, in particular, shall take appropriate measures:

(a) To diminish infant and child mortality;

(b) To ensure the provision of necessary medical assistance and health care to all children with emphasis on the development of primary health care;

(c) To combat disease and malnutrition, including within the framework of primary health care, through, inter alia, the application of readily available technology and through the provision of adequate nutritious foods and clean drinking-water, taking into consideration the dangers and risks of environmental pollution;

(d) To ensure appropriate pre-natal and post-natal health care for mothers;