

Møde med Folketingets Sundhedsudvalg

30. marts 2021

Teknisk gennemgang vedr. Medicinrådets metodeændring ift. kategorisering af nye lægemidlers værdi, herunder betydning for vurderingen af lægemidler til sjældne sygdomme

Jørgen Schøler Kristensen og Steen Werner Hansen, formænd for Medicinrådet

Overblik over præsentationen

- Medicinrådets formål
- Metode til vurdering af nye lægemidler
- Ændring af metoden per 1. januar 2019
- Sjældne sygdomme
- Metodeændringen og sjældne sygdomme
- Omkostninger for lægemidler til sjældne og ikke-sjældne sygdomme
- Ny metode i Medicinrådet per 1. januar 2021

Medicinrådets formål

- Medicinrådet er et uafhængigt råd nedsat af Danske Regioner
- Medicinrådet skal
 - sikre hurtig og ensartet ibrugtagning af nye sygehuslægemidler
 - stille større krav til dokumentation af lægemidlers effekt
 - sikre et stærkere grundlag for prisforhandlinger og udbud

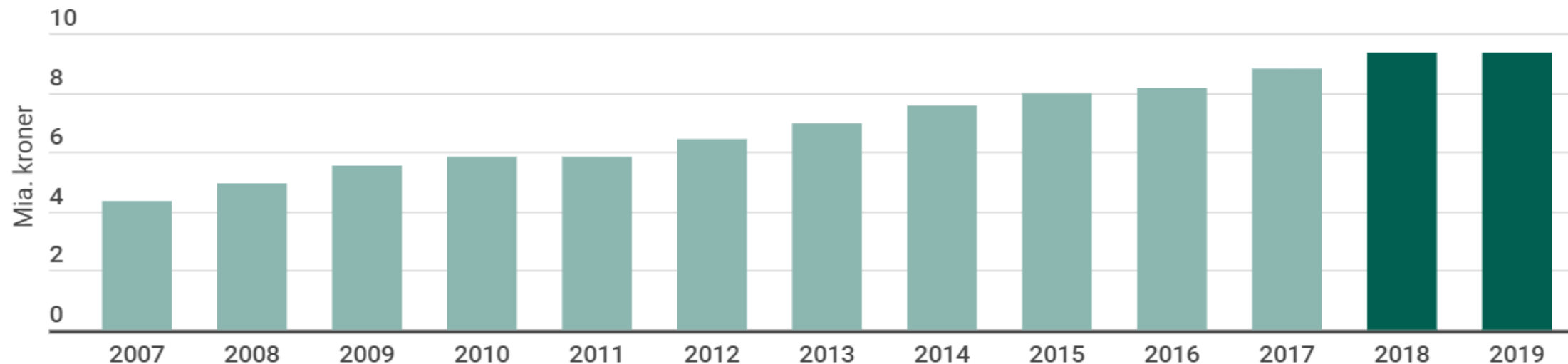
Kilde: Medicinrådets kommissorium



Medicinrådets formål

Udgifter til sygehuslægemidler

Udgifterne er opgjort i løbende priser (ikke korrigeret for prisudviklingen)



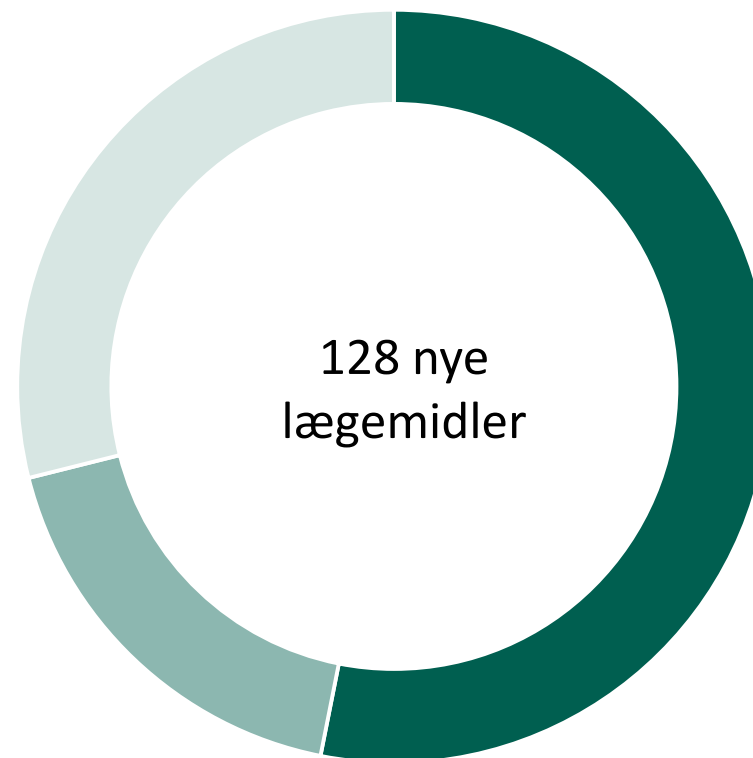
Medicinrådet kom med sin første anbefaling i oktober 2017. Derfor kan Rådets effekt på udgifterne tidligst aflæses ud af udgifterne fra 2018.

Nye lægemidler/indikationsudvidelser

Medicinrådet har vurderet 128 lægemidler som mulig standardbehandling på sygehusene siden 1. januar 2017.

Medicinrådet har yderligere udarbejdet:

- 25 behandlingsvejledninger
 - 27 er på nuværende tidspunkt i proces
- 50 lægemiddelrekommandationer



■ 68 er blevet anbefalet

■ 23 er blevet delvist anbefalet

■ 37 er ikke blevet anbefalet

Folketingets syv principper for prioritering af sygehuslægemidler



De syv principper står ikke alene. Der er yderligere to principper, som kan tages i brug:

Alvorlighedsprincippet: Vi vil acceptere større omkostninger hvis det er meget alvorlig sygdom.

Forsigtighedsprincippet: Vi vil ikke acceptere væsentlige stigninger i samlede udgifter grundet én behandling.

Medicinrådets tidligere metode til vurdering af lægemidlers værdi

Metode frem til 1. januar 2021:

- Effekt og sikkerhed sammenlignes altid med den eksisterende behandling i Danmark
- Specifikke mål for effekt defineres i hver enkelt sag
- Medicinrådet kategoriserer lægemidlets værdi ved at se på størrelsen på effekt (i gennemsnit) og usikkerheden (herunder statistisk usikkerhed)
- Metoden er inspireret af IQWiG i Tyskland
- Per 1. januar 2021 er metoden ændret, så Medicinrådet fremover anvender kvalitetsjusterede leveår (QALY)

Metodeændringen 1. januar 2019

Formål og baggrund

- Kriterierne for at kategorisere lægemidlers værdi var ikke præcise nok.
- Metoden blev justeret i januar 2019 for at gøre kategoriseringen **mere præcis og skarpere defineret**
- Målet var en **mere ensartet og transparent** vurdering af lægemidlers værdi
- Metodeændringen var **ikke isoleret til lægemidler til sjældne sygdomme**, men generel for alle lægemidler
- Medicinrådet indførte muligheden for ikke at kategorisere lægemidlers værdi, hvis evidensen er meget sparsom.

Metodeændring 1. januar 2019

Tidligere metode (2017-2018)	Ændret metode (2019-2020)	
1. Stor merværdi	Stor merværdi	Merværdi af ukendt størrelse
2. Vigtig merværdi	Moderat merværdi	
3. Lille merværdi	Lille merværdi	
4. Ingen merværdi	Ingen dokumenteret merværdi	
5. Negativ merværdi	Negativ værdi	
6. Ikkedokumenterbar merværdi	-	
-	Samlet værdi "Kan ikke kategoriseres"	

Metodeændring 1. januar 2019

”Kan ikke kategoriseres”

- Denne konklusion bruges, når datagrundlaget ikke entydigt viser, om lægemidlet er bedre eller ej
- Når evidensen er meget sparsom, vurderer fagudvalget, om lægemidlet kan formodes at have en bedre effekt end eksisterende behandling eller ej
- Fagudvalget inddrager kliniske skøn og erfaringer i argumentationen
- Medicinrådet havde forventet, at lægemidler til sjældne sygdomme ville være vanskelige at kategorisere, fordi studierne af disse lægemidler ofte er meget små

Hvad kendetegner sjældne sygdomme?

- Der findes ikke én klar definition af ”sjældne sygdomme”
- Sundhedsstyrelsen:
 - *mindre end 1-2 ud af 10.000, dvs. højst 500-1000 patienter i DK. Definitionen dækker kun medfødte, arvelige, kroniske, komplekse, alvorlige sygdomme med behov for en særlig indsats og faglige/teknologiske ressourcer. Dækker ikke kræft og infektionssygdomme*
- EMA:
 - *færre end 5 ud af 10.000, dvs. 2500 til 3000 i personer i DK*

Hvad kendetegner sjældne sygdomme?

Medicinrådets opdeling af lægemidler ift. sjældenhed

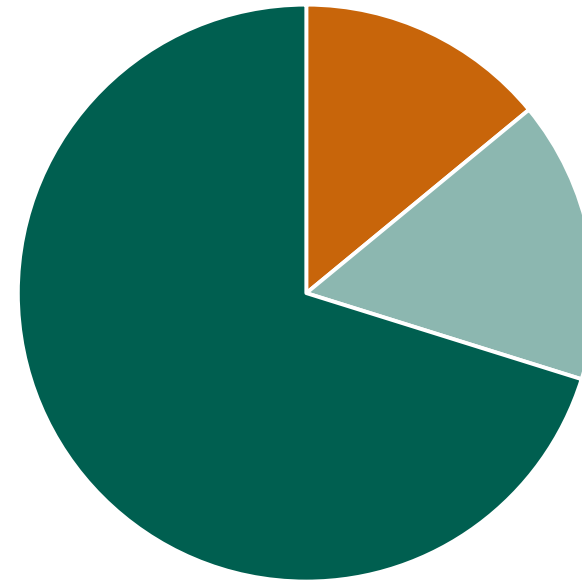
1. Lægemidler til sjældne sygdomme (jf. Sundhedsstyrelsens definition)
2. Lægemidler til sjældne kræftsygdomme (jf. fagudvalgets vurdering, < 50 patienter pr. år i Danmark)
3. Øvrige lægemidler (dvs. lægemidler som ikke opfylder definition 1 og 2)

Hvor ofte ser vi ”sjældent”?

Per 18. november 2020 havde MR vurderet 114 lægemidler:

- 16 var til sjældne sygdomme jf. SST definition
- 18 var til sjældne kræftsygdomme (dvs. hvor FU estimerer <50 patienter om året)
- 80 var ikke-sjældne sygdomme

Antal lægemidler fordelt på kategori

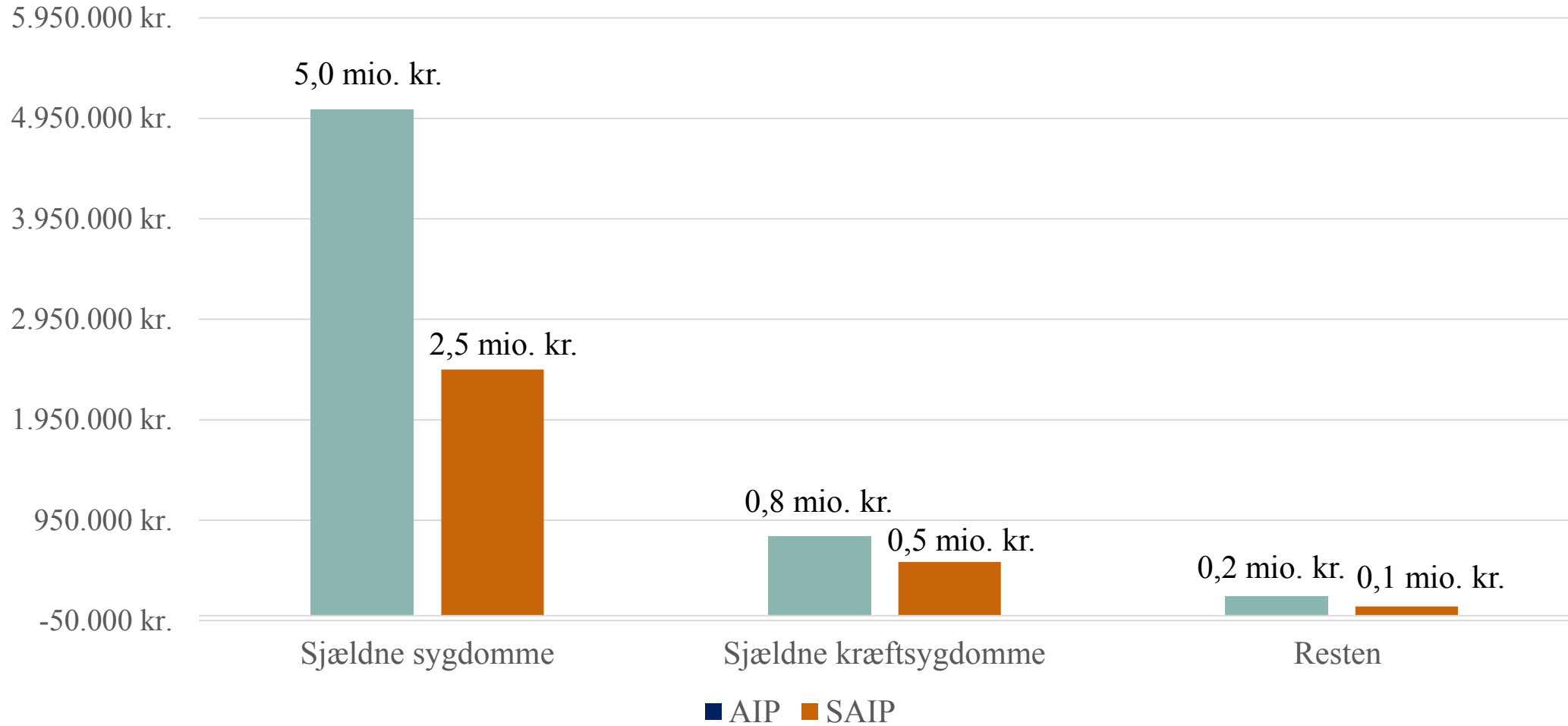


- Sjældne sygdomme
- Sjældne kræftsygdomme
- Ikke sjældne sygdomme

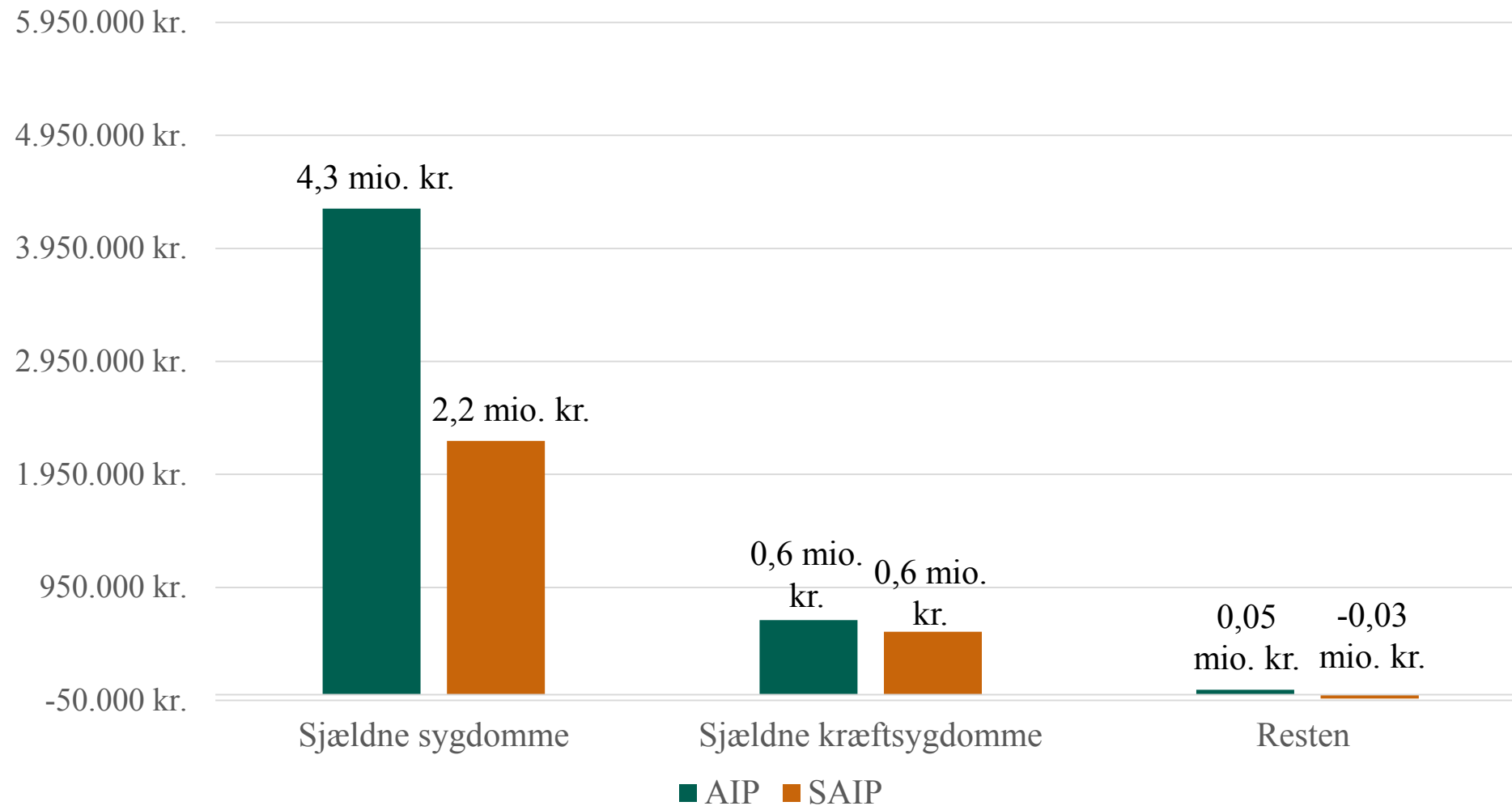
Metodeændringen og sjældne sygdomme

- Metodeændringens betydning for lægemidler til sjældne sygdomme blev analyseret i november 2020 - notat ligger på vores hjemmeside |
- Opgørelsen viste at:
 - **Alle** lægemidler til sjældne sygdomme kunne kategoriseres jf. den ændrede metode
 - 1 stor merværdi, 3 moderat merværdi, 5 merværdi af ukendt størrelse
 - Lægemidler til sjældne kræftsygdomme **kan ofte ikke kategoriseres (86 %)**
 - 1 lille merværdi, 1 merværdi af ukendt størrelse, 6 'kan ikke kategoriseres'
- Anbefalinger efter metodeændringen
 - 5 ud af 8 lægemidler til sjældne sygdomme er anbefalet eller delvist anbefalet
 - 2 ud af 6 lægemidler til sjældne kræftsygdomme er anbefalet eller delvist anbefalet

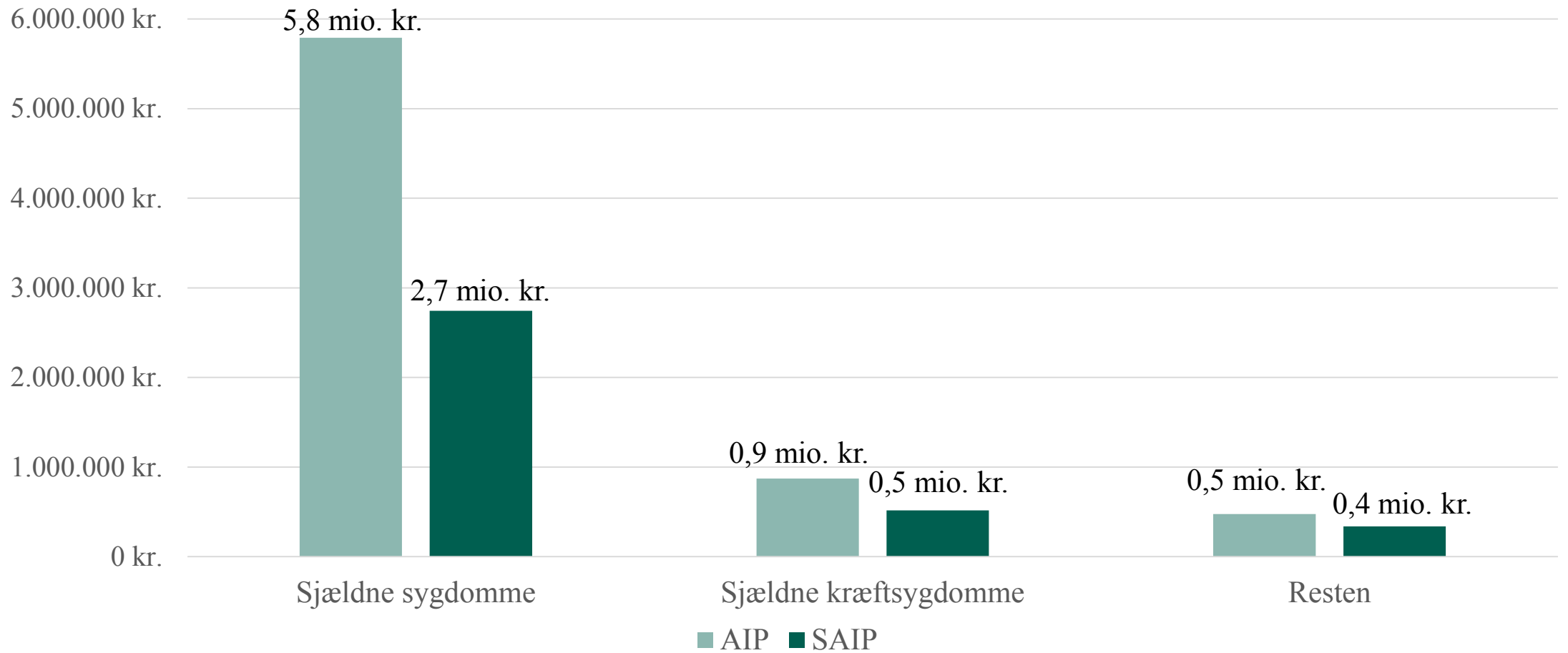
Gennemsnitlige meromkostninger (Alle ansøgninger)



Gennemsnitlige meromkostninger (anbefalede lægemidler)



Gennemsnitlige meromkostninger (Ikke anbefalede lægemidler)



Konklusioner vedr. omkostninger

- Medicinrådet bidrager til markant priskonkurrence blandt lægemidler til ikke-sjældne sygdomme
- Forskellene på AIP og SAIP viser, at Medicinrådet og Amgros sikrer betydelige rabatter på nye lægemidler
- Lægemidler til sjældne sygdomme medfører markant højere omkostninger end andre lægemidler
- Medicinrådet anbefaler som regel lægemidler til sjældne sygdomme på trods af høje omkostninger
- Når Medicinrådet ikke anbefaler lægemidler skyldes det ofte, at der er usikkerheder om effekten, som gør de høje omkostninger uacceptable

Ny metode (QALY) 1. januar 2021

- Medicinrådet er pr. 1/1-2021 overgået til en ny metode, hvor sundhedsgevinster opgøres i kvalitetsjusterede leveår (QALY)
- QALY ændrer ikke i sig selv på betydningen af usikkerheder – modellerne vil afspejle usikkerheder i de kliniske studier
- Der findes ikke en metode, som kan reducere de grundlæggende usikkerheder i evidensen
- Vi håber dog, at vi med modellerne bedre kan undersøge betydningen af usikkerheder for QALY-estimatet, og herved kvalificere Rådets diskussioner og beslutninger

Konklusioner

- Medicinrådet opdaterede metoden for at sikre ensartethed i kategoriseringer på tværs af lægemidler
- Lægemidler til sjældne sygdomme kan oftest kategoriseres på trods af, at vi skærpede kravene til dokumentationen ved metodeændringen
- Lægemidler til sjældne kræftsygdomme kan ofte ikke kategoriseres på grund af begrænsninger i datagrundlaget
- Medicinrådet inddrager altid både effekt, sikkerhed og omkostninger i den samlede vurdering af, om lægemidler skal anbefales som standardbehandling

Konklusioner

- Medicinrådet anbefaler ofte lægemidler til sjældne sygdomme, på trods af markant højere omkostninger for disse lægemidler
- Medicinrådet er skiftet til ny metode per 1. januar 2021, hvor effekt måles i kvalitetsjusterede leveår (QALY)
- Vi vil se et stigende antal lægemidler til små undergrupper af kræftsygdomme i fremtiden. Det er især her vi har udfordringer med meget sparsomme data
- Vi forventer også at se flere lægemidler til sjældne sygdomme (ikke-kræft)
- Forekomsten af sager med sparsomme data og høje omkostninger forventes at være stigende i fremtiden

SPØRGSMÅL

EKSTRA SLIDES

Oversigt over anbefalinger før og efter metodeændringen

	Anbefalinger i alt (114 lægemidler)		'Anbefalet'		'Delvist anbefalet'		'Ikke anbefalet'	
	Tidligere metoder	Ændret metode	Tidligere metoder	Ændret metode	Tidligere metode	Ændret metode	Tidligere metode	Ændret metode
Sjældne sygdomme	10	6	4 (40 %)	4 (67 %)	3 (30 %)	1 (17 %)	3 (30 %)	1 (17 %)
Sjældne kræft-sygdomme	13	5	9 (69 %)	1 (20 %)	0 (0 %)	0 (0 %)	4 (31 %)	4 (80 %)
Øvrige sygdomme	49	31	27 (55 %)	17 (59 %)	10 (20 %)	4 (13 %)	12 (24 %)	10 (32 %)
Alle lægemidler	72	42	40 (56 %)	21 (52 %)	13 (18 %)	4 (10 %)	19 (26 %)	15 (38 %)

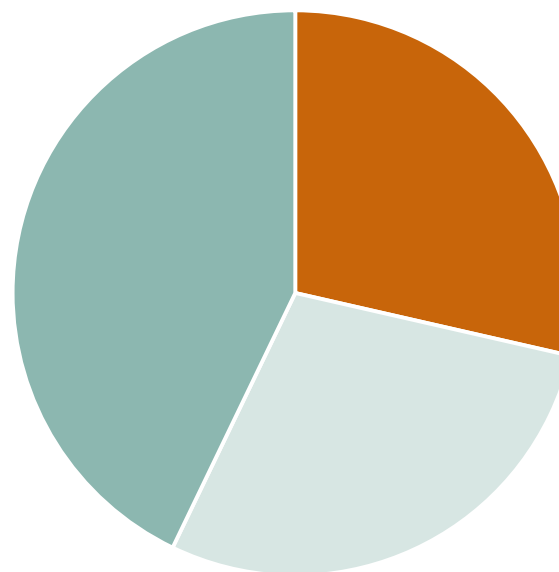
(Tallene er opgjort 18. november 2020)

Alvorlighedsprincippet

Alvorlighedsprincippet er pr. 18.11.20
blevet brugt i 7 sager

- 2 gange i sager, der ikke er defineret som "sjældne sygdomme" eller sjælden kræft
- 2 gange til sjældne kræftformer (< 50 ptt om året i DK)
- 3 gange til sjældne sygdomme (jf. SST definition)

Antal sager, hvor alvorlighedsprincippet er
benyttet fordelt på kategori



- Ikke sjældne sygdomme
- Sjældne kræftsygdomme
- Sjældne sygdomme

Udfordringer som særligt har betydning for Medicinrådets arbejde

- Patientgruppen er typisk meget lille, eventuelt heterogen
- Det kan være vanskeligt at udføre kliniske studier med tilstrækkelig styrke og lang nok opfølgningstid
- Der er få danske kliniske eksperter
- Lægemidlerne er ofte markant dyrere end lægemidler til mere almindelige sygdomme

Den generelle viden om sygdommene kan være begrænset

- Der kan være begrænset viden om sygdommens spontanforløb og karakteristika i den videnskabelige litteratur
- Der kan være meget begrænset erfaring med behandling i Danmark
- Det kan give udfordringer i Medicinrådets arbejde, når kliniske studier skal tolkes og anvendeligheden af sundhedsøkonomiske modeller skal vurderes
- Derfor spiller fagudvalgene og deres erfaringsbaserede vurderinger en meget vigtig rolle ved vurderingen af disse lægemidler

De kliniske studier har ofte begrænsninger

- Antallet af inkluderede patienter kan være meget begrænset
- Opfølgningstiden i studierne er ofte begrænset, mens sygdommene ofte udvikler sig over mange år
- Effektmål - Der kan mangle validerede effektmål som fagudvalget har kendskab til. Ved surrogatmål kan der mangle evidens for korrelation til direkte effektmål (dødelighed og overlevelse)

Medicinrådets arbejde med sjældne sygdomme

- Afvejning mellem effekt og omkostninger
- Effekten er ofte usikker, især langtidseffekter og hårde endepunkter
- Når der er meget sparsom evidens, baseres de samlede vurderinger af effekt i høj grad på de vurderinger som fagudvalgenes kliniske eksperter foretager
- Prisen kan være meget høj
- Ud fra en konkret vurdering kan alvorlighedsprincippet tages i anvendelse

Implementering af QALY og Medicinrådets nye metodevejledning

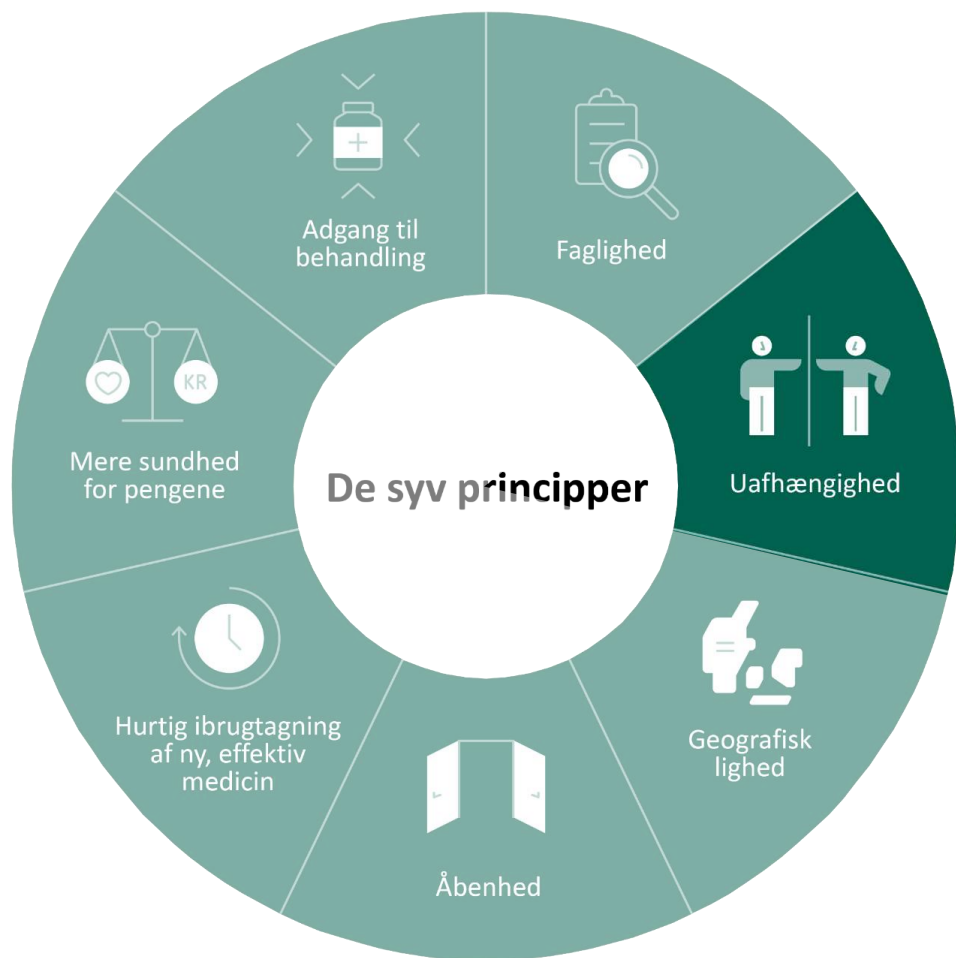
- Lægemidler til sjældne sygdomme skal vurderes ud fra samme metodiske ramme som andre lægemidler
- Der findes ikke en metode som kan fjerne usikkerheder i datagrundlaget og derved gøre Medicinrådet mere sikker i sine vurderinger, når der skal træffes beslutning om anbefaling
- Derfor spiller fagudvalgene også fortsat en stor rolle når Medicinrådet skal vurdere lægemidler
- Medicinrådet kan fortsat bruge alvorlighedsprincippet og vil stadig foretage en konkret vurdering af, om usikkerhederne er acceptable, når effektstørrelser og omkostninger tages i betragtning

Folketingets syv principper for prioritering af sygehuslægemidler



Faglighed: Ved vurdering af lægemidler skal der ske en grundig og systematisk vurdering af den behandlingsmæssige gevinst for patienterne samt den dokumentation, der ligger til grund herfor. Ved vurderingen af lægemidler skal der inddrages den nødvendige og tilstrækkelige faglige ekspertise.

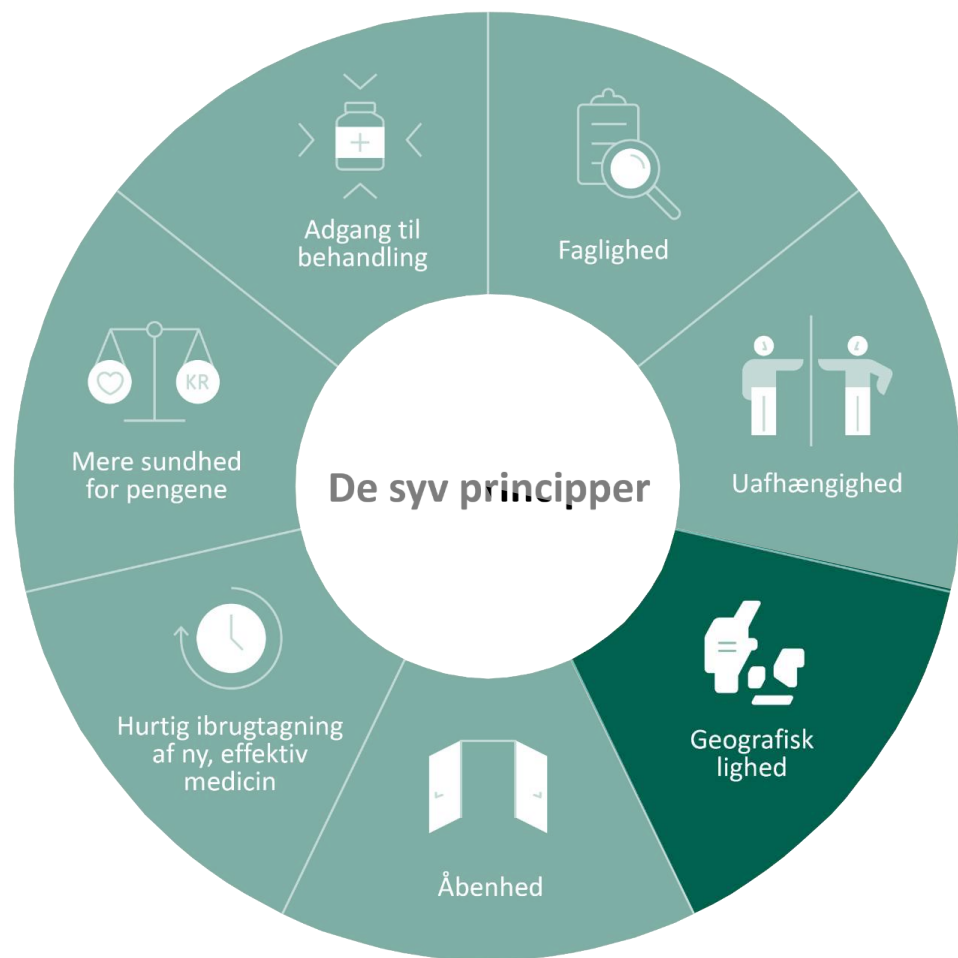
Folketingets syv principper for prioritering af sygehuslægemidler



Uafhængighed: Vurdering af lægemidler skal ske ud fra objektive kriterier og på baggrund af faglige vurderinger, således at der sikres et uafhængigt udarbejdet beslutningsgrundlag og derved armslængde til det politiske niveau.

*Yderligere principper:
alvorlighed og forsigtighed*

Folketingets syv principper for prioritering af sygehuslægemidler



Geografisk lighed: Der skal ske en ensartet ibrugtagning og anvendelse af lægemidler på tværs af hele landet. Der skal desuden være entydighed i, hvordan de forskellige regioner og sygehuse håndterer de tilfælde, hvor lægemidler afvises til ibrugtagning som standardbehandling.

Folketingets syv principper for prioritering af sygehuslægemidler



Åbenhed: Der skal være størst mulig åbenhed i vurderingen af lægemidler. Dvs. at der skal være åbenhed om både processer, metoder, kriterier og det materiale, der udarbejdes i forbindelse med vurderingen af lægemidler. Det skal således være muligt for alle at se grundlaget og begrundelserne for at til- eller fravælge nye lægemidler, jf. også Transparensdirektivets krav i forhold til objektivitet og gennemsigtighed. Åbenheden har også til formål at facilitere en offentlig debat.

Folketingets syv principper for prioritering af sygehuslægemidler



Hurtig ibrugtagning af ny, effektiv medicin: Patienter skal have gavn af behandlingsmæssige fremskridt. Danmark skal fortsat være et af de lande, der hurtigst ibrugtager nye lægemidler, hvor der er dokumenteret mereeffekt.

Folketingets syv principper for prioritering af sygehuslægemidler



Mere sundhed for pengene: Midlerne i sundhedsvæsenet, herunder til sygehuslægemidler, skal bruges med omtanke, da det ellers kan få konsekvenser for forebyggelse, behandling eller pleje i andre dele af sundhedsvæsenet. Nye lægemidler, som har en veldokumenteret mereeffekt skal ikke afvises alene på grund af økonomi. Såfremt et nyt lægemiddel skal være standardbehandling, skal der således være et rimeligt forhold mellem prisen på det nye lægemiddel og den merværdi, som lægemidlet vurderes at kunne tilbyde sammenlignet med eksisterende standardbehandling.

Folketingets syv principper for prioritering af sygehuslægemidler



Adgang til behandling: Der skal sikres lige adgang for både store og små patientgrupper og tages højde for patienters individuelle behov. Det skal være muligt ud fra en konkret lægefaglig vurdering at behandle med lægemidler, som er afvist til standardbehandling. Det gælder eksempelvis i forhold til at kunne yde behandling af høj kvalitet til patienter med sjældne sygdomme eller i forhold til at kunne behandle for at undgå funktionsnedsættelse.