



Til Indenrigs- og Sundhedsministeriet

Fremsendt pr. e-mail

09-08-2024

EMN-2017-00578

1714736

Marie Christensen

Danske Regioners bidrag til besvarelse af folketingsspørgsmål (SUU, alm. del spørgsmål 576-584 vedr. Medicinrådets håndtering af usikkerhed i forbindelse med vurdering af nye lægemidler)

Indenrigs- og Sundhedsministeriet har anmodet Danske Regioner om bidrag til besvarelse af ni folketingsspørgsmål, som omhandler Medicinrådets håndtering af usikkerhed i forbindelse med vurdering af nye lægemidler. I anmodningen fremgår det, at ministeriet ønsker, at bidraget skrives som et samlet svar, fremfor ni separate svar.

Danske Regioner har til brug for besvarelsen indhentet nedenstående bidrag fra Medicinrådet, som vi kan henholde os til:

Der spørges til, hvordan Medicinrådet håndterer usikkerhed i forbindelse med vurderinger af nye lægemidler, hvordan Medicinrådet balancerer usikkerhed ved langtidsdata mod umiddelbare fordele ved at give adgang til nye behandlinger, særligt når sammenlignelige lande har anbefalet det pågældende lægemiddel. Endvidere spørges der til, hvordan Medicinrådet sikrer lige adgang til nye behandlinger, når der har været forskelsbehandling i udvælgelsen til deltagelse i de kliniske forsøg, der ligger til grund.

Medicinrådet træffer beslutninger om anbefalinger af nye lægemidler som standardbehandling på sygehusene baseret på information om forholdet mellem behandlingens dokumenterede effekt, bivirkninger, patientens livskvalitet og samlede omkostninger ved at anbefale lægemidlet som standardbehandling, herunder den pris, som lægemiddelvirksomheden sætter på det danske marked. Usikkerheder om behandlingens effekt indgår som en væsentlig del af den samlede vurdering af lægemidlet.

I forhold til effekt lægger Rådet stor vægt på patienternes helbredelse, eller hvis behandlingen ikke er helbredende, om der er dokumenteret længere levetid af behandlingen, eller om behandlingen i stedet udskyder tiden til eventuelt

tilbagefald. Derudover spiller det en stor rolle, hvor mange af de behandlede der får effekt af behandlingen, samt hvor mange der får eventuelle bivirkninger. Det er særligt betydningsfuldt ved behandlinger, der gives til patienter, der i forvejen har en god prognose. Rådet træffer dermed sin endelige beslutning om anbefaling ud fra en samlet afvejning af mange forhold.

Som grundlag for en beslutning udarbejder Medicinrådets sekretariat i tæt samarbejde med fagudvalget på området en rapport, der indeholder grundige beskrivelser af netop effekt, bivirkninger, omkostninger og usikkerheder samt årsager til usikkerhederne, og hvilken betydning disse kan have for vurderingerne af resultaterne i rapporten.

Fagudvalgene består bl.a. af kliniske eksperter på det specifikke sygdomsområde og patientrepræsentanter og sikrer, at relevant viden om sygdom og behandling i dansk klinisk praksis inddrages i vurderingen af lægemidlet. Rapporterne offentliggøres på Medicinrådets hjemmeside, så der er transparens om Rådets beslutningsgrundlag. Endvidere vurderer fagudvalgene overførbarheden af de kliniske forsøg til danske patienter og dansk klinisk praksis.

Rapporterne indeholder således grundig evidensgennemgang og beskrivelse af usikkerheden for patienter og sundhedsvæsenet. Hvis der ikke er væsentlig usikkerhed om et lægemiddels forventede effekt, og der forventes en god effekt af behandlingen, vil Medicinrådet være tilbøjeligt til at anbefale lægemidlet, også selvom der er høje omkostninger forbundet med denne.

Er der stor usikkerhed om effekten, fx pga. manglende langtidsdata, og dermed om lægemidlet gavner patienterne i den forventede behandlingsperiode, vil Rådet være mindre tilbøjeligt til at acceptere høje omkostninger forbundet med lægemidlet. Hvis et lægemiddel, Rådet vurderer, har en potentiel gavnlige, men usikker, effekt, vil Rådet ofte opfordre virksomheden til at vende tilbage med en lavere pris, der tager højde for usikkerheden.

En anden mulighed er, at virksomheden kan tilbyde at indgå en effektbaseret pris aftale, hvor der kun betales, hvis patienten har effekt af behandlingen. Her deles usikkerheden vedrørende effekten således mellem virksomhed og betaler, og patienterne får muligheden for at afprøve behandlingen. Et eksempel herpå er genterapien Hemgenix til behandling af blødersygdom, hvor Rådet har anbefalet behandlingen, efter virksomheden tilbød en aftale, hvor sygehusene kun betaler, så længe patienten har dokumenterbar effekt af genterapien.

Medicinrådet vil nogle gange kunne anbefale et lægemiddel, hvor der er usikkerhed om effekten af behandlingen, og hvor de samlede omkostninger ved

lægemidlet er relativt høje. Her vil Rådet ofte opfordre til, at der bliver indsamlet data fra de behandlede patienter, og behandle sagen igen efter en periode. Et eksempel på dette er trastuzumab deruxtecan til brystkræft.

Medicinrådets anbefalinger og behandlingsvejledninger er rettet mod alle fem regioner, og de støtter dermed lige behandling på tværs af landet. Det er væsentligt for patienterne på tværs af alle sygdomsområder, at regionerne ibrugtager medicin, som med rimelig sikkerhed har en gavnlig effekt for patienterne. Samtidig er det vigtigt, at omkostningsniveauet på lægemidlerne er rimelig i forhold til den dokumenterede effekt, så pengene i sundhedsvæsenet bruges bedst muligt til gavn for patienter på tværs af sygdomsområder.

Medicinrådet har ikke indflydelse på rekruttering af patienter til kliniske studier og kan derfor ikke svare på, hvorvidt nogle patienter oplever forskelsbehandling i specifikke studier. I de lande, Danmark normalt sammenligner sig med, kan der være forskelle på, hvordan nye lægemidler vurderes. I Danmark sammenligner Medicinrådet et nyt lægemiddel med den behandling, der er standardbehandling i dansk klinisk praksis. Andre lande kan have en anden klinisk praksis, hvorfor sammenligningen kan blive en anden i de lande. Derudover er lægemiddelpriserne fortrolige og vil ofte være prissat forskelligt fra land til land. Derfor kan balancen mellem usikkerheder om effekt og pris se anderledes ud i andre lande.

I Danmark bliver lægemidlerne hurtigt tilgængelige på hospitalerne, efter Medicinrådet har anbefalet en behandling, mens det ikke er tilfældet i flere andre lande. Det gør også sammenligninger med andre lande vanskelige.

Der spørges endvidere ind til, hvorvidt en sygdoms alvorlighed og manglen på andre muligheder for behandling spiller ind på Medicinrådets beslutninger. Der spørges dernæst ind til, hvordan Medicinrådets beslutninger afspejler en uafhængig vurdering af danske forhold og ikke udelukkende baseres på eksterne rapporter som FINOSE.

Medicinrådets anbefalinger baserer sig altid på en helhedsvurdering. Sygdommens alvorlighed og behovet for nye behandlinger til patientgruppen indgår altid i Medicinrådets vurdering og Rådets overvejelser ift. anbefaling. Vurdering af alvorlighed er oftest en vurdering af grad af alvorlighed, da sygdomme er alvorlige i forskellig grad.

På Medicinrådets møde den 22. maj 2024 anbefalede Rådet avapritinib til behandling af kræftsygdommen gastrointestinal stromal tumor (GIST) med en særlig mutation, hvor sygdommen er inoperabel eller metastatisk. Avapritinib er en dyr behandling, men Rådet vurderede, at de samlede omkostninger ved

behandlingen var acceptable i forhold til den sandsynliggjorte effekt af behandlingen, hvor Rådet tog i betragtning, at patienterne ikke havde andre behandlingsmuligheder. Her var der også stor usikkerhed om effekten, da der er tale om en meget sjælden sygdom, og det kliniske studie tager derfor udgangspunkt i meget få patienter, hvilket giver en høj usikkerhed.

Medicinrådet har mandat af Danske Regioner til at inddrage et alvorlighedsprincip i særlige tilfælde. Her vil der kunne accepteres særligt høje omkostninger ved behandlingen. Det kan eksempelvis være ved særlig alvorlig eller livstruende sygdom hos børn og unge, hvor det er dokumenteret, at den nye behandling har en stor sygdomsmodificerende eller kurerende effekt. Alvorlighedsprincippet er anvendt seks gange i de godt 280 anbefalinger, Medicinrådet har udarbejdet indtil nu.

Medicinrådet tilsluttede sig den 10. maj 2023 det nordiske HTA-samarbejde FINOSE, som for nyligt har skiftet navn til Joint Nordic HTA Bodies (JNHB). I JNHB arbejder de nordiske lande sammen om at vurdere nye lægemidlers kliniske effekt, sikkerhed og den sundhedsøkonomiske model, der er inkluderet i ansøgningen. Når der udarbejdes fælles vurderingsrapporter under JNHB, er Medicinrådets fagudvalg inden for sygdomsområdet involveret i vurderingen af det pågældende lægemiddel, og den fælles nordiske rapport inddrager dermed dansk klinisk praksis. Derudover er der også et nationalt appendiks til JNHB-rapporten, der afspejler danske forhold. Det er altid Medicinrådet, der efterfølgende træffer beslutning om anbefaling af lægemidlet i Danmark, hvor dansk klinisk praksis indgår som element i vurderingerne.

Endelig spørges der til, hvordan samarbejdet i fagudvalget foregår, særligt i forhold til inddragelsen af patientrepræsentanter. For en nærmere beskrivelse af patienternes rolle i fagudvalgene henvises der til beskrivelsen af patientinddragelse på Medicinrådets hjemmeside.

Når Medicinrådet skal vurdere nye lægemidler og indikationer eller udarbejde behandlingsvejledninger og lægemiddelrekommandationer for flere lægemidler inden for samme terapiområde, indkalder Medicinrådet fagudvalg, som er eksperter i det pågældende sygdomsområde. I hvert af Medicinrådets fagudvalg udpeges der en til to patientrepræsentanter, som skal bidrage med deres viden og erfaringer i vurderingerne af nye lægemidler og terapiområder. Ved særlige behov kan der udpeges flere patienter eller patientrepræsentanter. Det er Danske Patienter, der sammen med en relevant patientforening udpeger patientrepræsentanterne. Patienterne er derudover repræsenteret i Rådet af to patientrepræsentanter, som også er udpeget af Danske Patienter.

Når Rådet skal træffe sin endelige anbefaling, sker det pba. den endelige rapport samt et sagsoverblik, som Rådet modtager forud for rådsmødet. Sagsoverblikket indeholder en kort opsummering samt opmærksomhedspunkter ved sagen. Fagudvalget har mulighed for at få skrevet eventuelle bemærkninger til vurderingsrapporten ind i sagsoverblikket til Rådet. Det er forpersonen for fagudvalget, der godkender teksten i sagsoverblikket.

Det materiale, der gennemgås på fagudvalgets møder, er som udgangspunkt indsendt af den ansøgende lægemiddelvirksomhed. Hvis fagudvalgets medlemmer ønsker at diskutere andet materiale, bør det forelægges sekretariatet forud for fagudvalgsmødet for at sikre, at alle deltagere har mulighed for at forberede sig til mødet. Der sendes som udgangspunkt materiale ud pr. mail til hele fagudvalget en uge før fagudvalgsmødet.

Patientrepræsentanterne i Medicinrådets fagudvalg indgår i fagudvalgene på lige vilkår med de øvrige medlemmer. Der er ikke særlige retningslinjer for varighed og omfang for patientinddragelse under fagudvalgsmøderne. Patientrepræsentanterne er som udgangspunkt til stede under hele fagudvalgsmødet.

Medicinrådet evaluerer løbende modellen for inddragelse af patienter i samarbejde med patienter fra fagudvalgene for at få viden om, hvordan patientinddragelsen i fagudvalgene fungerer og få idéer til forbedring og videreudvikling af, hvordan patienter bedst kan inddrages i Medicinrådets arbejde inden for de rammer, der er for Rådets arbejde. Medicinrådet er i samarbejde med VIBIS (Videns- og Kompetencecenter for Brugerinddragelse i Sundhedsvæsenet), som hører under Danske Patienter, i gang med at evaluere patientinddragelse i Medicinrådets fagudvalg.

Med venlig hilsen
Marie Christensen