



## Vejledning

22-03-2024

EMN-2017-00578

1692587

Marie Christensen

Fælles principper for individuel vurdering af lægemidler, som ikke har været behandlet af Medicinrådet

### Baggrund

Regionerne modtager et stigende antal ansøgninger om ibrugtagning af medicin, der ikke har været behandlet eller er under behandling i Medicinrådet. For at sikre, at der sker en mere ensartet ibrugtagning af disse lægemidler i regionerne, har regionernes sundhedsdirektører besluttet, at Danske Regioners sekretariat med inddragelse af regionale repræsentanter skal supplere regionernes fælles "Vejledning om anvendelse af lægemidler, som ikke er godkendt af Medicinrådet", med en række principper for vurdering af lægemidler, som ikke har været behandlet af Medicinrådet.

### Principper for individuel ibrugtagning af lægemidler, som ikke er behandlet af Medicinrådet

Der er nedenfor opstillet fire fælles principper for regionernes sagsbehandling af ansøgninger om individuel ibrugtagning af lægemidler, herunder også til nye indikationer (i resten af papiret omfatter lægemidler derfor også evt. nye indikationer), som ikke er anbefalet af Medicinrådet.

Vurderingen vil bl.a. altid ske ud fra Folketingets 7 principper for sygehusmedicin og på baggrund af lægemidlets dokumentation, effekt, bivirkninger, omkostninger og sygdommens alvorlighed. Individuel ibrugtagning af lægemidler, som ikke er vurderet af Medicinrådet, bør altid ske protokolleret hvis muligt, men som minimum med opsamling af data på behandlingens effekt og bivirkninger.

Uanset nedennævnte fire principper, så har regionerne **altid** pligt til at foretage en konkret og individuel vurdering af enhver ansøgning om individuel ibrugtagning af et lægemiddel. Det betyder også, at et tilfælde hvor ibrugtagning ikke anbefales skal begrundes ift. den konkrete patient. Det er således ikke tilstrækkeligt at henvise til, at Medicinrådet endnu ikke har anbefalet, hvorvidt et lægemiddel skal tages i brug som standardbehandling eller ej.

### **1. Lægemidlet er ikke godkendt af Det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA)**

Det taler generelt for, at lægemidlet ikke anbefales til individuel ibrugtagning, hvis lægemidlet ikke er anbefalet af EMA. Regionerne kan undtagelsesvist og efter en konkret og individuel vurdering afvige dette, hvis der fx er tale om et lægemiddel til behandling af en alvorlig eller livstruende sygdom, hvor der ikke eksisterer anden behandling.

Markedsindehaveren af et lægemiddel vil i en række tilfælde vælge at stille et lægemiddel, som endnu ikke er godkendt af EMA, gratis til rådighed/til rådighed for en symbolsk betaling (compassionate use) for sundhedsvæsenet. Regionerne bør i sådanne tilfælde altid overveje de langsigtede konsekvenser, herunder økonomiske konsekvenser af, at anvende sådanne lægemidler, da der vil være en forventning om, at patienter kan fortsætte i behandling med lægemidlet, efter det er godkendt af EMA og markedsført og prissat på normale vilkår i Danmark. Når patienter sættes i behandling, så bør de derfor oplyses om, at der vil ske en ny vurdering af om behandlingen skal forsættes efter, at lægemidlet har opnået godkendelse hos EMA, og/eller lægemidlet har været vurderet af Medicinrådet.

Det taler for, at regionerne ekstraordinært og under hensyntagen til lægemidlets pris og sygdommens alvorlighed i udgangspunktet imødekommer ansøgninger om individuel ibrugtagning af et lægemiddel til en patient, som har været inkluderet i et "compassionate use program", og hvor patienten har opnået god effekt af behandling med lægemidlet.

### **2. Lægemidlet er godkendt af EMA, og markedsindehaveren har ansøgt - eller oplyst at man ønsker at ansøge - Medicinrådet om ibrugtagning**

Det taler som udgangspunkt for, at man bør afvente vurderingen i Medicinrådet, hvis markedsindehaveren har ansøgt Medicinrådet eller har tilkendegivet, at man ønsker at ansøge Medicinrådet om ibrugtagning som standardbehandling.

Individuel ibrugtagning kan dog ekstraordinært anbefales i særlige situationer, eksempelvis når patienter oplever væsentligt dårligere prognose ved behandling med nuværende standardbehandling end med det ansøgte lægemiddel.

Lægemidlet kan også overvejes anbefalet ved alvorlig og/eller livstruende sygdom, når studier har vist ekstraordinær god effekt, og det samtidigt må forventes, at patientens prognose bliver væsentligt og uafvendelig forringet i den tid, der vil gå, mens Medicinrådet vurderer lægemidlet, eller når der ikke er nogen alternativ behandling.

### **3. Lægemidlet er godkendt af EMA, og markedsindehavere har ikke tilkendegivet, at man ønsker lægemidlet vurderet af Medicinrådet**

Det taler for, at nye dyre lægemidler, som er godkendt af EMA, men hvor markedsindehaverne ikke har ansøgt Medicinrådet til brug for standardbehandling, ikke anbefales til individuel ibrugtagning. Ved flere ansøgninger om individuel ibrugtagning i denne kategori bør der komme en opfordring til markedsføringsindehaverne om at ansøge Medicinrådet.

Anbefales sådanne lægemidler i større omfang, vil der ikke være grundlag for at have et Medicinråd, da markedsindehaveren af et lægemiddel ikke vil have incitament til at ansøge Medicinrådet om ibrugtagning. Regionerne kan helt undtagelsesvist under hensyn til bl.a. dokumentation, omkostninger, effekt, bivirkninger og sygdommens alvorlighed og hyppighed imødekomme en ansøgning om individuel ibrugtagning til en konkret patient.

#### **4. Indikationen er ikke godkendt af EMA, og der er ikke nogen forventning om, at der vil blive indsendt en ansøgning til EMA. Lægemidlet vil ofte være godkendt til en anden indikation**

Der er tilfælde, hvor en virksomhed ikke ansøger om godkendelse i EMA af en indikation, men hvor forskningsresultater eller data har vist, at der er god effekt af behandling med lægemidlet sammenlignet med den eksisterende standardbehandling. Det vil ofte være behandlinger af sjældne sygdomme, hvor virksomheden ikke har et økonomisk incitament til at ansøge EMA om godkendelse af indikationen.

De omhandlede indikationer vil typisk ikke blive forelagt Medicinrådet, da behandling med lægemidlet vil foregå uden for indikation (off-label). Det kan være relevant at behandle en patient med et sådant lægemiddel. I forbindelse med den konkrete vurdering af en ansøgning om individuel ibrugtagning bør regionerne lægge vægt på dokumentation, effekt, budgeteffekt, bivirkninger, omkostninger og sygdommens alvorlighed.

#### **Opfølgning på individuel ibrugtagning af lægemidler, som ikke har været behandlet af Medicinrådet**

Regionernes lægemiddelkomitéer følger løbende sygehusenes ibrugtagning af lægemidler, hvor en patient er tildelt individuel ibrugtagning af et lægemiddel, som ikke er vurderet – eller afvist som standardbehandling – af Medicinrådet. Dette sker med henblik på at sikre ensartethed på tværs af hospitaler og regioner. Herudover skal monitoreringen vise, om patienten har den forventede effekt af lægemidlet, og at ressourcerne anvendes hensigtsmæssigt. For at sikre, at der ikke opstår u hensigtsmæssige geografiske forskelle på tværs af regionerne i behandlingen af patienter med sådanne lægemidler, så følger Tværregionalt Forum for Koordination af Medicin ligeledes ibrugtagningen af lægemidlerne. Det kan desuden tilføjes, at regionerne videndeler om de konkrete ansøgninger for at sikre ensartethed.

I de tilfælde hvor regionernes lægemiddelkomitéer ikke anbefaler en ansøgning vedr. individuel ibrugtagning, skal der fremgå en konkret begrundelse herfor. Det er ikke

tilstrækkeligt blot at henvide til at lægemidlet ikke har været behandlet i Medicinrådet.