

Thomas Birk Andersen
tad@regioner.dk
Danske Regioner

16. september 2020

Lifs hørings svar til nye metode- og procesvejledninger i Medicinrådet

Lif vil gerne takke for muligheden for at kommentere på høringen af forslag til nye metode- og procesvejledninger for Medicinrådet, jf. Danske Regioners høringsbrev af 20. august 2020.

Indledningsvist skal det pointeres, at Lif finder, at følgegruppeprocessen har været værdifuld, og at vejledningerne på mange områder har fundet en klog balance. Lif ser dog fortsat med bekymring på en række forhold i vejledningerne, der ikke understøtter alle de sigtepunkter, som bør være en fælles interesse. Det gælder særligt:

- Holde en høj hastighed i evalueringsprocessen og overholde målet om maksimum 16 ugers sagsbehandlingstid.
- Øge gennemsigtigheden og forudsigeligheden i forhold til såvel vurderings- som beslutningsprocesserne. Konkret er der elementer af den samlede vurderingsproces, der med fordel kan beskrives nærmere, herunder prisforhandlingen (mellem Amgros og virksomheden) og vurderingsprocessen for ligestillede lægemidler, der skal direkte i en behandlingsvejledning.
- Sikre hensynet til små patientgrupper og sjældne diagnoser ved at tage særlige hensyn til det særlige for at sikre lige muligheder for alle.
- Holde vurderingerne inden for de regulatoriske rammer, herunder sikre mod off-label anbefalinger.
- Afklare bestående uklarheder.

Nedenfor fremgår Lifs konkrete kommentarer og forslag til de enkelte afsnit i henholdsvis procesvejledningen og metodevejledningen.

Procesvejledning

3. Dialog inden ansøgning

Virksomheden skal ifølge vejledningen forud for dialogmødet sende eventuelle spørgsmål til sekretariatet med henblik på, at sekretariatet kan forberede sig.

Lif vil opfordre til, at Medicinrådets sekretariat, som en integreret del af processen, drøfter spørgsmålene med det relevante fagudvalg i de tilfælde, hvor sekretariatet ikke umiddelbart selv kan svare.

4. Ansøgning

Det fremgår, at den sundhedsøkonomiske analyse og budgetkonsekvensanalysen skal indsendes i Excel-format. Det bør konsekvensrettes til "acceptabelt teknisk format", som det fremgår af afsnit 4.1 i vejledningen.

Udkast til ansøgningsskemaer sendes efter det oplyste til kommentering på et senere tidspunkt. Da ansøgningsskemaerne er afgørende for den måde, som ansørgervirksomhederne skal levere oplysninger på, og det er en integreret del af processen for såvel virksomheder som Medicinråd, havde det været meget relevant at kunne kommentere på ansøgningsskemaerne samtidig med vejledningerne. Overordnet vil Lif opfordre til, at ansøgningsskemaet er fleksibelt opbygget for at tage hensyn til, at datagrundlaget varierer mellem forskellige lægemidler. Det vil også lette den efterfølgende validering i Medicinrådets sekretariat og give en mere sammenhængende ansøgning.

4.1 Validering af ansøgning

Teknisk validering

Det er positivt, at det er klargjort i vejledningen, at der er tale om en *teknisk* validering, og at den *faglige* gennemgang af modelstruktur og inputs mv. først gennemføres senere i processen.

Det fremgår, at Medicinrådets sekretariat har op til 10 arbejdsdage fra indsendelse af ansøgning til at gennemføre den tekniske validering.

Lif finder det uklart, hvilke opgaver og processer der skal udføres i Medicinrådets sekretariat i forbindelse med den tekniske validering, der kan begrunde, at det tager 10 arbejdsdage. Af hensyn til tiden for den samlede vurdering synes 10 dage som meget lang tid for en ren teknisk validering.

Hvis der på forhånd er en forståelse mellem Medicinrådets sekretariat og virksomheden om, hvornår ansøgningen indsendes, og virksomheden holder Medicinrådets sekretariat orienteret om forventet dato for ansøgning, bør det være muligt at planlægge efter og foretage den tekniske validering på maksimalt 5 dage.

Det skal også ses i lyset af, at processen starter forfra, hvis valideringen fører til en afvisning af ansøgningen. For at undgå forsinkelser af den samlede sagsbehandlingstid bør den tekniske validering derfor håndteres så hurtigt som muligt.

Change log

Lif vil opfordre til, at der indføres en "change log" i de tilfælde, hvor en virksomhed bliver bedt om at ændre signifikant i ansøgningen. Det betyder, at ansøgningen leveres tilbage med "track changes" med henblik på at gøre det tydeligt, hvad baggrunden for indhold og ændringer i ansøgningen er.

Definition af "dag 0"

Det fremgår, at "dag 0" er den dag, Medicinrådet modtager en ansøgning, som i den tekniske validering bliver vurderet som fyldestgørende.

Lif antager, at for ansøgninger, hvor der ikke er påkrævet ændringer, er "dag 0" den dag, ansøgningen er modtaget, og *ikke* den dag sekretariatet har gennemført den tekniske validering.

Der kan være tilfælde, hvor der kommer nye data efter "dag 0". Det er i alles interesse, at disse data inkluderes i vurderingen af hensyn til at sikre det bedst mulige datagrundlag for vurderingen. I Sverige og Norge håndteres dette ved, at virksomheden indsender et appendiks med opdateret data samt tilhørende opdaterede sundhedsøkonomiske resultater.

5. Vurderingsrapport

I den nuværende proces fungerer det rigtig godt, at der er løbende og åben dialog mellem ansøger og sekretariat. Dette er værd at holde fast i, fordi det bidrager til en hurtigere og mere effektiv proces, hvor spørgsmål håndteres løbende.

Medicinrådets sekretariat skal have mulighed for at stille spørgsmål til ansøger, når de opstår. Det skaber det bedste flow. Lif vil derfor opfordre til en fortsat fleksibel ramme omkring dialogen mellem ansøger og sekretariat.

6. Forhandling

Det fremgår, at sekretariatet og fagudvalg udarbejder vurderingsrapporten, som Amgros forhandler prisen på lægemidlet på baggrund af. Selve forhandlingsprocessen er dog ikke beskrevet, og der henvises i materialet i den forbindelse blot til Amgros.

Prisforhandlingen er en afgørende del af den samlede sagsbehandling og burde være en integreret del af vurderingsprocessen. Derfor bør prisforhandlingen mellem Amgros og virksomheden også allerede nu være beskrevet med henblik på at give et samlet billede af sammenhængen med de øvrige elementer i vurderingsprocessen.

Der udestår således en helt fundamental beskrivelse af, hvordan der sikres koordinering mellem Amgros, Medicinrådet og Medicinrådets sekretariat, ud over hvad der fremgår af vurderingsrapporten. Og der mangler svar på afgørende spørgsmål som: Hvilket mandat Amgros forhandler på baggrund af? Hvilke elementer indgår i Amgros' forhandlingsnotat? Er Amgros forpligtet til en genforhandling, hvis der er indgået en aftale mellem Amgros og en virksomhed, men Medicinrådet afviser at anbefale til standardbehandling? Og hvad er tidsrammerne for en genforhandling?

I forbindelse med prisforhandlingerne vil Lif stærkt opfordre til, at der sikres gensidig videndeling mellem Amgros og Medicinrådets sekretariat. Det kan blandt andet ske ved, at en eller flere repræsentanter fra Medicinrådets sekretariat deltager i prisforhandlingerne. Formålet er dels at sikre bedre indsigt i det produkt, der forhandles om; dels at understøtte at den sundhedsøkonomiske rapportering inddrages i forhandlingerne; og dels at understøtte at aftaler mellem Amgros og virksomheder også potentielt kan føre til en godkendelse i Medicinrådet.

Lif antager, at virksomhederne naturligvis ikke er bundet af en aftale med Amgros, hvis Medicinrådet beslutter ikke at anbefale lægemidlet til standardbehandling. Lif vil i forlængelse heraf anbefale, at det tydeliggøres i procesvejledningen, at de forhandlede priser er betingede af Medicinrådets anbefaling.

Der udestår en afklaring af mulighederne for anbefaling af protokolleret ibrugtagning og for anvendelse af innovative prisaftaler, herunder risikodelingsaftaler. Begge dele vil for en række lægemidler, herunder til små patientgrupper og sjældne diagnoser, være meget relevante for at håndtere usikkerhed om behandlingsværdi og budgeteffekt. Samtidig kan begge løsninger bidrage til at øge datagrundlaget, der initialt kan være begrænset for lægemidler til små patientgrupper og sjældne diagnoser på grund af det lille patientantal.

8. Sagsbehandlingstid og clock-stop

I udkastet til procesvejledning fremgår det, at Medicinrådet ved særlige faglige problemstillinger kan benytte *udvidet clock-stop*.

Lif finder, at udvidet clock-stop kun skal kunne finde sted helt undtagelsesvist, og at kriterierne herfor af transparenhensyn bør beskrives nærmere. Samtidig bør forskellen mellem clock-stop og *udvidet* clock-stop beskrives, idet forskellen er uklar, som det fremstår nu. Det bør med andre ord klart beskrives, hvilke årsager der kan begrunde henholdsvis et clock-stop og et udvidet clock-stop, og hvordan de tænkes anvendt.

Udgangspunktet må være, at vurderingen af nye lægemidler sker inden for de 16 uger, der er fastsat som maksimalgrænse. Det er en grænse, der er sat af hensyn til patienterne. Derfor bør et clock-stop være en absolut undtagelse og udelukkende være initieret af virksomhederne, for eksempel hvis en virksomhed ikke kan besvare sekretariatets eller fagudvalgets spørgsmål inden for den givne frist. Lif vil i den forbindelse opfordre til, at der afsættes fem hverdage til, at virksomhederne kan svare på spørgsmål.

Tidsperspektivet i sagsbehandlingen er centralt, og Lif vil derfor opfordre til, at Danske Regioner måler, løbende evaluerer og følger op på anvendelsen af clock-stop og udvidet clock-stop.

11. Transparens og offentlighed

Lif vil opfordre til, at det tydeliggøres, at den sundhedsøkonomiske model, tekniske dokumenter og fortrolige oplysninger, fx i Amgros' forhandlingsnotat, ikke offentliggøres – heller ikke efter et år.

12.2 Proces for vurdering af et nyt lægemiddel i en behandlingsvejledning

Lif finder det positivt, at det er muligt for et nyt *ligestillet* lægemiddel at komme direkte i en behandlingsvejledning. Det vil sikre større konkurrence og hurtigere adgang til den nye behandling for patienter.

De positive gevinster forudsætter imidlertid, at der beskrives en proces herfor, herunder med krav til sagsbehandlingstiden svarende til standardprocessen på maksimalt 16 uger. Det bør således ikke være en ulempe rent tidsmæssigt, at et lægemiddel skal direkte i en behandlingsvejledning.

Det skal desuden beskrives tydeligt, hvordan det afgøres, at et nyt lægemiddel kan ligestilles med eksisterende standardbehandling, det vil sige, hvilke faglige kriterier og dokumentation der ligger til grund for vurderingen af ligestilling.

Selve beslutningen om, hvorvidt et nyt lægemiddel skal direkte ind i en behandlingsvejledning – om det er ligestillet – bør alene kunne træffes efter dialog og i enighed med ansøgers virksomheden. Virksomhederne bør således sikres, at de kan få en fuld og reel vurdering af et nyt lægemiddel, såfremt det ønskes.

Derudover bør der beskrives en proces for *ikke ligestillede* nye lægemidler, som vurderes i standardprocessen, og som efterfølgende skal inkluderes i en behandlingsvejledning. Med det begrænsede antal lægemidler, der indtil nu er skrevet ind i behandlingsvejledninger i regi af Medicinrådet, synes der at mangle en incitamentsstruktur i Medicinrådet for, at det sker. Det er ikke håndteret med forslaget til den nye procesvejledning, og der bør derfor formuleres klare mål for denne proces, herunder en samlet tidsramme for tiden fra ansøgning til et lægemiddel er indskrevet i en behandlingsvejledning og reelt kan bruges som standardbehandling.

Metodevejledning

Indledning

Som nævnt ovenfor bør det konsekvent fremgå, at den sundhedsøkonomiske analyse og budgetkonsekvensanalysen skal indsendes i et "acceptabelt teknisk format", jf. afsnit 4.1 i Procesvejledningen.

Lægemidler med sparsomme data

På trods af Danske Regioners bestyrelses beslutning om, at den ny metodevejledning skal "*indeholde en analysemetode for vurdering af nye lægemidler til fx sjældne sygdomme, som ikke egner sig til at blive vurderet med QALY*", er det ikke tilfældet med udkastet til metodevejledning.

Det er positivt, at der med udkastet til vejledning er anerkendt og delvist taget højde for, at der ikke altid meningsfuldt kan gennemføres en cost-utility-analyse for lægemidler til små patientgrupper og sjældne sygdomme. Disse lægemidler egner sig ikke altid til at blive vurderet alene med QALY, og der er behov for en mere fleksibel tilgang.

Der mangler imidlertid en beskrivelse af vurderingsprocessen, når et lægemiddel afviger fra standardprocessen. Lif vil opfordre til, at det fremstår transparent for alle interessenter – ikke mindst Medicinrådet, patienter og virksomheder – på hvilket grundlag vurderingen af lægemidler med sparsomme data sker, og beslutningen i Rådet træffes. Dermed bør det også være klart, hvad konsekvensen er ved ikke at kunne benytte standardprocessen.

Ren metodisk bør der være en accept af flere *antagelser* for eksempel i forhold til fremskrivninger og modellering samt større usikkerheder på både effekt- og omkostningssiden på grund af, at der er tale om små patientgrupper.

I relation til selve vurderingen bør Rådet ved beslutning om anbefaling systematisk inddrage hensyn til *alvorlighed, sjældenhed og adgang til eksisterende behandling*. Uden en anerkendelse af disse grundlæggende karakteristika ved små og sjældne patientgrupper vil konsekvensen være en automatisk nedgradering af værdien af disse lægemidler.

Der mangler således en tydelig anerkendelse af de særlige karakteristika for små patientgrupper og sjældne sygdomme, som forudsætter særlige hensyn for at sikre lige adgang til behandling.

Det er positivt, at betydningen for pårørende ifølge vejledningen kan beskrives og inddrages. Særligt for lægemidler til små patientgrupper og sjældne sygdomme, herunder til børn, er der ofte store konsekvenser for de pårørende. Der savnes dog en beskrivelse af, hvordan betydningen for pårørende inddrages og vægtes i selve vurderingen.

I forhold til den specifikke problemstilling er nedenfor kort beskrevet en konkret case, der har til hensigt at illustrere, hvor det på baggrund af de fremsendte vejledninger er uklart, hvad der skal indgå i ansøgningen, og hvordan Medicinrådet vil vurdere lægemidlet. I dette eksempel kan der ikke umiddelbart beregnes QALY, da behandlingen er målrettet meget få og små børn.

Et meget lille antal børn i Danmark lider af samme meget sjældne sygdom. Livskvalitet indgår i beregning af QALY, men den kan ikke opgøres for de ramte børn. Kan påvirkningen af pårørendes livskvalitet, her forældrenes livskvalitet, anvendes som proxy, da der ikke kan beregnes en QALY med udgangspunkt i barnets livskvalitet? Skal ansørgervirksomhed undlade at forsøge at opgøre livskvalitet? I dette eksempel vil behandling kunne betyde en forskel i forhold til et livsvarigt handicap, hvor man er

tilsluttet en maskine halvdelen af døgnet eller ej. Men forbedringen målt i QALY ved behandlingen er svær at opgøre, da QALY er drevet af livskvalitet, som ikke kan måles.

For en behandling som i dette eksempel vil der være en temmelig stor budgeteffekt i sygehusvæsenet. Disse opvejes af besparelser i kommunalt regi, som dog ikke skal medindregnes i budgetkonsekvensanalysen, ligesom forældrenes eventuelle produktionstab heller ikke kan medregnes.

Eksemplet illustrerer nogle af de spørgsmål, virksomheder såvel som Medicinrådet kommer til at stå overfor. Det er Lifs indstilling, at disse spørgsmål bør være afklaret inden implementeringen af QALY.

Brug af eksperter

Det er helt afgørende, at såvel virksomhedernes ansøgninger, som Medicinrådets vurderinger bygger på ekspertvurderinger af højeste faglige kvalitet. Balancen i Medicinrådets habilitetspolitik bør sikre, at danske eksperter helt naturligt kan bidrage med deres indsigt ved forespørgsel fra virksomhederne. Sundhedspersoner bør generelt ikke være begrænset i at rådgive på deres ekspertområder. På områder, hvor antallet af eksperter er særligt begrænset, er dette yderligere evident.

Det er problematisk, at eksperter, der er anvendt som rådgivere af den ansøgende virksomhed, ikke kan indgå i en efterfølgende behandling i fagudvalget. Det fremstår som en væsentlig ændring i forhold til nuværende praksis, hvor et fagudvalgsmedlem godt kan bidrage med input til den økonomiske del af virksomhedens ansøgning. Den type oplysninger, eksperter typisk spørges ind til, vedrører dansk klinisk praksis, behandlingsforløb mv., hvor udenlandske data ikke er gode nok.

Den nuværende praksis for ekspertudsagn bør fastholdes, og Lif foreslår, at Medicinrådet præciserer, at der ikke med de nye vejledninger er tale om stramninger i forhold til nuværende praksis for inddragelse af eksperter i de sundhedsøkonomiske vurderinger, herunder at der ikke er tale om stramninger i Medicinrådets nuværende habilitetspolitik.

Det er essentielt, at relevante eksperter fortsat kan inddrages, for de sikrer, at de antagelser, som cost effectiveness-modellen bygger på, stemmer overens med dansk klinisk praksis.

Herudover kan det – ikke mindst for små og sjældne sygdomsområder – være meget svært at finde andre ekspertkilder end medlemmer af Medicinrådets fagudvalg. Ofte vil der på små sygdomsområder blot være én eller to danske eksperter. Lif vil derfor opfordre til, at der findes en løsning på denne problemstilling for at sikre kvaliteten af ansøgninger.

Helt overordnet foreslår Lif, at det bør være muligt for virksomhederne at kunne stille fagligt relevante spørgsmål til medlemmer af fagudvalget. Konkret foreslås en løsning, hvor eventuelle spørgsmål kan gå igennem Medicinrådets sekretariat.

Endvidere vil Lif opfordre til, at der ses på den særskilte problemstilling i forhold til habilitet inden for små og sjældne behandlingsområder, der kan betyde, at der opstår udfordringer i forhold til at sikre danske kliniske eksperter på området i fagudvalgene.

2.3 Patientpopulationen

Vejledningen stiller omfattede krav til virksomhederne om at beskrive patientpopulationen.

Det er imidlertid sjældent, at virksomhederne har så detaljerede oplysninger om antal, patientkarakteristika og sygdomsspecifikke oplysninger om danske patienter, som der lægges op til. Modsat har

fagudvalgenes eksperter netop indsigten fra den kliniske hverdag til at kunne vurdere, i hvilket omgang de kliniske studier er relevante for dansk klinisk praksis. Det vil derfor kunne lette og kvalificere processen, hvis det er muligt at stille fagudvalget konkrete spørgsmål i forhold til patientpopulationen.

2.4.1 Flere komparatorer

Der lægges op til, at Medicinrådet potentielt kan stille krav om et meget stort antal analyser mod en lang række komparatorer.

Lif foreslår, at der alene stilles krav om én analyse mod den relevante komparator, nuværende klinisk praksis og allerhøjest tre repræsentative komparatorer. Der vil i modsat fald blive tale om et meget stort antal indirekte analyser, som Medicinrådets sekretariat og fagudvalg skal bruge tid på at gennemgå.

Lif vil kraftigt anbefale, at relevant komparator aftales tidligt i processen for at sikre en effektiv vurderingsproces.

I forhold til grupperede behandlingsalternativer som komparator kan der også være andre eksempler end "investigator's choice", hvor det er relevant *ikke* at opgøre behandlingsalternativerne enkeltvis. Eksempelvis kunne dette være et enkeltarmet studie, hvor komparatoren kommer fra en historisk kohorte baseret på registerdata. Det bør derfor være muligt at argumentere sag for sag, hvis virksomhederne ikke opgør komparatorerne enkeltvis.

Off-label

Det skal tydeligt fremgå af metodevejledningen, at der naturligvis *ikke* kan foretages sammenligninger eller anbefalinger af lægemidler uden for den godkendte indikation eller i uoverensstemmelse med det af Lægemiddelstyrelsen godkendte produktresumé, off-label.

Tilsvarende skal det fremgå, at en virksomhed af patientsikkerhedsmæssige (og regulatoriske) grunde aldrig kan blive pålagt at sammenligne med off-label komparator.

2.4.2 Hvis komparator ikke tidligere er vurderet af Medicinrådet

Hvis komparator ikke tidligere er vurderet af Medicinrådet, fremgår det, at ansøgers virksomhed skal vurdere omkostningseffektiviteten af eksisterende behandling, det vil sige gældende klinisk praksis.

Det virker uhensigtsmæssigt at gøre denne vurdering til virksomhedernes opgave i forbindelse med en ansøgning om standardbehandling. En sådan analyse vil potentielt sætte spørgsmålstejn ved eksisterende behandlingspraksis og dermed bidrage til at skabe usikkerhed for danske patienter om adgang til behandling.

Det er samtidigt uklart, hvad der præcist menes med en *omkostningseffektiv komparator*, og derfor er det også uklart, hvordan ansøgers virksomhed skal kunne fastslå, hvilken komparator Medicinrådet kunne tænke sig en analyse for.

Det er desuden uklart, hvem der træffer beslutning om, hvilken komparator der vurderes at være omkostningseffektiv. Det fremgår, at "*virksomheden skal drøfte sådanne sager med Medicinrådets sekretariat inden ansøgning*". Det må betyde, at sekretariatet har mulighed for at give en *bindende* udmelding i forhold til en yderligere omkostningseffektiv komparator på et meget tidligt tidspunkt i processen. Det skal være forudsætningen.

Endelig forstår Lif vejledningen således, at en behandlingsvejledning udarbejdet af Medicinrådet kan regnes som "vurdering og anbefaling", og at der dermed *ikke* skal foretages yderligere analyser mod en omkostningseffektiv komparator, hvis der findes en behandlingsvejledning på området.

3.1.1 Dokumentation af litteratursøgning og -udvælgelse

Ansørgervirksomheden vil sædvanligvis udarbejde en liste over igangværende studier inden for den relevante indikation og søge i clinicaltrials.gov. Men det sker ikke som led i litteratursøgningen.

5.6 Vurdering af evidensens kvalitet

Vejledningen bør beskrive, hvordan kvaliteten af den samlede evidens, vurderet ved hjælp af GRADE, inddrages i selve vurderingen af et nyt lægemiddel. Dette er således ikke en tilgang, der anvendes af andre prioriteringsinstitutter, da GRADE er udviklet til et andet formål.

6.7 Perspektiv

Det fremgår, at produktionstab/-gevinster (productivity costs) *aldrig* skal inkluderes i analysen af omkostninger. Dette er på trods af, at Medicinrådets anbefalinger kan have stor betydning for andre sektorer i samfundet, og at produktionstab er en relevant oplysning i forhold til at kunne vurdere de samlede konsekvenser af ibrugtagning af et nyt lægemiddel.

Lif anerkender, at der er etiske overvejelser i forhold til ikke at gøre forskel på grupper af patienter, der er i arbejde, og grupper der står uden for arbejdsmarkedet. Derfor er det også Lif's opfordring, at der som minimum gives mulighed for at belyse produktionstab i en følsomhedsanalyse for netop at sikre en relevant perspektivering af konsekvenserne af at tage en ny behandling i brug – også ud over konsekvenserne i sundhedsvæsenet, men uden at det indgår direkte i beslutningsgrundlaget.

Der er i afsnittet inkonsistens i forhold til inddragelse af patient- og transportomkostninger. I andet afsnit fremgår det, at de *kan* inkluderes, længere nede står der, at de *skal* inkluderes.

7.1 Instrument til måling af sundhedsrelateret livskvalitet

Virksomhederne er først for nyligt gået over til at anvende EQ-5D-5L i deres fase 3 studier. Tidligere anvendtes EQ-5D-3L, og der kan gå noget tid, før 5L versionen er tilgængelig i studierne.

NICE anbefaler ikke at anvende de publicerede engelske EQ-5D-5L vægte, men kræver i stedet en mapping til EQ-5D-3L. Det må derfor forventes, at mange studier fortsat vil anvende EQ-5D-3L. Det er dermed afgørende, at Medicinrådet har en pragmatisk holdning til at anvende den livskvalitetsdata, der er indsamlet i de kliniske studier. Se evt. <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/technology-appraisal-guidance/eq-5d-5l>.

NICE har diskuteret mapping i DSU dokumentet, COMPARING THE EQ-5D-3L AND 5L VERSIONS. WHAT ARE THE IMPLICATIONS FOR COST EFFECTIVENESS ESTIMATES? (http://nicedsu.org.uk/wp-content/uploads/2017/05/DSU_3L-to-5L-FINAL.pdf).

Overgangen fra 3L til 5L vurderes i den forbindelse ikke at blive helt enkel. NICE skriver: "It is clear from the work presented here that EQ-5D-3L and 5L versions do produce substantially different estimates of cost *effectiveness*."

Det er derfor Lif's forslag, at der udarbejdes en sensitivitsanalyse baseret på ujusterede EQ-5D-3L data som supplement til justerede resultater baseret på mapping af EQ-5D-3L til EQ-5D-5L med henblik på at belyse ovenstående problematik.

7.2 Præferencevægte

Lif foreslår, at muligheden for at anvende QALYs fra litteraturen for nogle sundhedstilstande præciseres. Det gælder for eksempel fremtidige tilstande, der forebygges, og som der ikke altid kan måles QALY på i selve det kliniske studie.

Den foreslåede rækkefølge i metodevejledningen, hvor EQ-5D data beskrives først, dernæst muligheden for brug af litteraturbaserede nytteværdier og herefter et afsnit om præferencevægte, kan virke ulogisk, jf. ovenstående, at litteraturbaserede QALYs ikke vil være mulige at præferencevægte.

Lif står som altid til rådighed for videre og uddybende dialog og ser frem til det videre arbejde med at sikre et robust grundlag for Medicinrådets arbejde.

Venlig hilsen



Henrik Vestergaard
Viceadministrerende direktør, Lif