05-12-2016

 Sag nr. 16/1146

Bemærkninger til indkomne høringssvar over Medicinrådets faglige metoder og Amgros omkostningsanalyse

**Baggrund**

Som opfølgning på Danske Regioners beslutning om at nedsætte Medicinrådet fremsendte Danske Regioner den 6. oktober 2016 høring over:

* Forslag til metodehåndbog for udarbejdelse af fælles regionale vurderinger af nye lægemidlers og nye indikationers kliniske merværdi
* Forslag til metodehåndbog for udarbejdelse af fælles regionale behandlingsvejledninger for terapiområder
* Metodevejledning for Amgros omkostningsanalyser af nye lægemidler og indikationer i hospitalssektoren

Danske Regioner har i forbindelse med høringen modtaget 16 høringssvar, hvoraf en række af de hovedpunkter, som har været rejst i høringssvarene kommenteres nedenfor. Kommentarerne er samlet under følgende hovedemner.

* Generelle bemærkninger
* Overordnet struktur
* Medicinrådets lægefaglige metoder
* Amgros omkostningsanalyse

Danske Regioner er opmærksomme på, at der i høringssvarene - udover de i dette notat kommentere hovedpunkter – bl.a. er fremsendt flere konkrete kommentarer til metodehåndbøgerne. Disse kommentarer er ikke kommenteret her, men de indgår i det videre arbejde med at revidere metoderne. De reviderede forslag til metodehåndbøger skal drøftes i Danske Regioners bestyrelse den 15. december 2016. Det skal endvidere bemærkes, at der i høringssvarene er fremsendt konkrete forslag vedrørende en række praktiske forhold fx aflønning af læger og patienter. Medicinrådet vil se nærmere på forslagene umiddelbart efter oprettelsen 1. januar 2017.

**1. Generelle bemærkninger**

**Behandlingsråd fremfor Medicinråd**

Dansk Selskab for Almen Medicin har spurgt til, om Medicinrådet burde se på andre behandlingsformer end blot medicinske behandlinger.

Det er Danske Regioners hensigt, når man har opnået de første erfaringer med Medicinrådet at se på, om modellen kan anvendes på andre områder end medicin, fx medicinsk udstyr, screeninger og/eller ikke-medicinsk behandling.

**Anvendelse af patientrapporterede outcome-data (PRO)**

Lægevidenskabelige Selskaber, Danske Patienter og FNUG (Foreningen af unge med gigt, Foreningen for rygsøjlegigt Morbus Bechterew og Patientforeningen HS Danmark) har bedt om, at man overvejer, at PRO-data (patientrapporterede outcome-data) i så vidt muligt omfang kan indgå i vurderingen af de enkelte effektmål.

Medicinrådet vil anvende livskvalitetsdata i vurdering af nye lægemidler. Livskvalitet vil derfor indgå i merværdiskategoriseringen på samme vis som øvrige effektmål. Dermed vægtes livskvalitet ind i vurderingen, hvor det er relevant. Det betyder, som for de øvrige effektmål, at den relative effekt, den absolutte effekt og at evidensen kvalitet vurderes.

Data om livkvalitet opfanges ved en række metoder, der indeholder forskellige dimensioner. Fælles er, at data om livskvalitet er rapporteret direkte af patienter, der har indgået i studieafprøvninger af et lægemiddel, hvorfor livskvalitetsdata er patientrapporterede outcomes. Livskvalitetsdata er udtryk for patienters oplevelser af for eksempel bivirkningsrelaterede effekter, funktionsevne under behandlingen, smerteoplevelser, mentale påvirkninger osv. Det vil komme til at fremgå mere klart af de reviderede metodehåndbøger.

**Folketingets syv principper for prioritering af sygehuslægemidler**

Amgen og Lægemiddelindustriforeningen har i deres høringssvar påpeget, at det bør fremgå af metoderne, at Medicinrådet arbejder efter Folketingets syv principper for prioritering for prioritering af lægemidler.

Danske Regioner vil sikre, at det er helt klart, at Medicinrådet arbejder efter Folketingets syv principper.

**Medicinrådets beslutningsgrundlag for ibrugtagning af lægemidler**

Der er i flere høringssvar bl.a. fra Lægemiddelindustriforeningen og Danske Patienter peget på, at der ikke er redegjort for den egentlige beslutningsmekanisme – dvs. koblingen mellem omkostninger og lægemidlers merværdi – i metoderne.

Medicinrådets beslutningsgrundlag er ikke omtalt i metoderne, da det hverken er en del af den faglige metode eller omkostningsanalysen.

Det kan oplyses, at Amgros i prisforhandlingen med leverandøren af et nyt lægemiddel tager udgangspunkt i Medicinrådets kliniske merværdikategorisering af lægemidlet, omkostningsanalysen, et estimat over budgetkonsekvenserne samt en vurdering af den usikkerhed, som er forbundet med alle tre elementer. Når prisforhandlingen er afsluttet, sender Amgros et beslutningsgrundlag til Medicinrådet, som vurderer, om lægemidlet skal anbefales ibrugtaget som standardbehandling. Til brug for beslutningen om ibrugtagning tager Medicinrådet udgangspunkt i Amgros beslutningsgrundlag, og inddrager desuden overvejelser vedrørende Folketingets 7 principper for prioritering af sygehuslægemidler. Medicinrådet kan i særlige tilfælde også inddrage overvejelser om alvorlighed og forsigtighed i sin anbefaling om ibrugtagning af et lægemiddel som standardbehandling.

**2. Overordnet struktur**

**Manglende uafhængighed**

Dansk Selskab for Almen Medicin har påpeget, at der kan stilles spørgsmål ved armslængden i Medicinrådets beslutninger, idet det er Danske Regioner, der har nedsat Medicinrådet og udformet kommissoriet.

Danske Regioner kan oplyse, at det sammen med Kammeradvokaten har været undersøgt, om Medicinrådet kunne blive etableret fuldstændigt uafhængigt af Danske Regioner eksempelvis som et kapitalselskab, en forening, et interessentskab eller en fond. Konklusionen var, at de øvrige konstruktioner i sidste ende ville ende med mindre armslængde end den valgte model, idet alle de nævnte alternativer ville kræve en bestyrelse, som ville stå over selve Rådet.

For at sikre armslængden i beslutningerne og sagsbehandlingen i Medicinrådet, er det tydeligt beskrevet i kommissoriet, at Danske Regioner ingen instruktionsbeføjelser har over for Medicinrådet – ej heller overfor sekretariatet.

**Faglighed i Medicinrådet**

Lægevidenskabelige Selskaber og Lægemiddelindustriforeningen har udtrykt bekymring for, om for mange af de faglige opgaver vil blive placeret i sekretariatet.

Medicinrådet vil komme til at stå for høj faglighed i dets beslutninger. Alle lægefaglige beslutninger vil således blive foretaget af Rådet efter indstilling fra fagudvalg/faglige fora, der foretager vurderingerne. Sekretariatet bistår fagudvalgene/faglige fora/Rådet i arbejdet efter nøje beskrevne procedurer i metodehåndbøgerne, men de faglige vurderinger og beslutninger træffes alene af fagudvalgene, faglige fora og Rådet.

**Udpegning af patientrepræsentanter i fagudvalg**

Danske Handicaporganisationer har spurgt til, hvordan udvælgelsen af patientrepræsentanter til fagudvalgene finder sted.

Udvælgelsen sker ved, at Medicinrådet anmoder Danske Patienter om at indstille patientrepræsentanter til fagudvalg/fagligt forum under Medicinrådet. Danske Patienter forpligtes til at inddrage de relevante patientorganisationer - fx Danske Handicaporganisationer - når Danske Patienter ikke selv dækker den relevante medlemsorganisation.

**Hvordan håndterer Medicinrådet uenighed**

Sundhedsstyrelsen og Danske Patienter har spurgt til, hvorledes eventuelle uenigheder i Medicinrådet skal håndteres.

Det er indskrevet i kommissoriet, at Rådet så vidt muligt skal træffe beslutninger efter opnået enighed. Kan Rådet ikke nå til enighed, træffes der beslutning ved afstemning med simpelt flertal. Der vil også her være åbenhed om Rådets arbejde.

**Mulighed for andre end leverandører til at tage sager om ibrugtagning af nye lægemidler op**

Lægeforeningen og Danske Patienter har stillet spørgsmål ved, om andre end leverandører kan tage sager op i Medicinrådet. Lægemiddelindustriforeningen har endvidere spurgt til, hvad der sker, hvis en virksomhed ikke ansøger om ibrugtagning.

Det kan oplyses, at det følger af kommissoriet for Medicinrådet, at Rådet kan tage sager op på eget initiativ. Det er således muligt for Medicinrådet at behandle nye lægemidler, selvom producenten måtte vælge ikke selv at søge om godkendelse. Det indebærer også, at det vil være muligt for fx patientforeningen og/eller klinikere at rette henvendelse til Rådet, og bede Rådet om at tage et lægemiddel/behandlingsområde op. Det vil derefter være op til Rådet at beslutte, om man vil igangsætte en proces.

**Er Medicinrådets anbefalinger bindende for regionerne**

Danske Patienter har spurgt til, om Medicinrådets kliniske retningslinjer vil være vejledende eller bindende for regionerne.

Medicinrådets anbefalinger om ibrugtagning samt vejledninger er ikke bindende for regionerne. Medicinrådet har således ikke bemyndigelse til at træffe beslutninger, der er bindende for regionerne. Det er i sidste ende op til den enkelte region at beslutte, om og hvordan regionen vælger at implementere en anbefaling/vejledning udarbejdet af Medicinrådet. Det forventes dog, at regionerne vil vælge at implementere Medicinrådets anbefalinger og vejledninger.

**Manglende høring/klagemulighed over Medicinrådets anbefalinger**

Amgen, Bristol-Myers Squibb og Lægemiddelindustriforeningen har stillet spørgsmål angående, at der ikke oprettes en administrativ klageinstans, samt at der ikke er lagt op til at partshøre ansøgervirksomheder, inden Medicinrådet træffes beslutninger. Lægemiddelindustriforeningen har endvidere tilkendegivet, at de er af den overbevisning, at Medicinrådets beslutninger er forvaltningsretlige afgørelser.

Eftersom Medicinrådets anbefalinger og vejledninger ikke er bindende for regionerne, så er der ikke tale om forvaltningsretlige afgørelser. Dette fremgår af kommissoriet, ligesom det fremgår, at der ikke er nogen administrativ klageinstans. Danske Regioner har haft spurgt Kammeradvokaten om dennes holdning til spørgsmålet, og Kammeradvokaten har udtalt, at denne også finder, at der ikke er tale om forvaltningsretlige afgørelser i forbindelse med, at Medicinrådet udstedelser anbefalinger og vejledninger. Denne opfattelse har endvidere været forelagt for Sundheds- og Ældreministeriet i forbindelse med, at Danske Regioner har orienteret ministeriet om Medicinrådets oprettelse jf. sundhedslovens bestemmelser.

Da Medicinrådet som nævnt ikke træffer forvaltningsretlige afgørelser, er der heller ikke krav om forvaltningsretlige parthøringer. Medicinrådet inddrager lægemiddelproducenterne i det omfang, det sikrer en høj faglig proces i Medicinrådets arbejde. Graden af inddragelsen er beskrevet i metoderne.

**3. Medicinrådets lægefaglige metoder**

**Vil det være muligt for Medicinrådet at overholde de udmeldte tidsfrister**

Lægevidenskabelige Selskaber, Sundhedsstyrelsen, Danske Patienter, Amgen, Otsuka og Lægemiddelindustriforeningen har alle rejst spørgsmål om, hvorvidt de udmeldte tidsplaner og tidsfrister er realistiske.

Det har været afgørende for Danske Regioner, at Danmark også efter oprettelsen af Medicinrådet fortsat er et af de lande, som først tager ny effektiv medicin i brug. Der er derfor planlagt en proces, hvor det vurderes at Medicinrådet vil kunne træffe afgørelse ca. 3 måneder efter, at en virksomhed har sendt den endelige ansøgning. Medicinrådet vil have stor fokus på at overholde tidfristen.

**Tidlig – men ikke for tidlig dialog med virksomheder**

Lægevidenskabelige Selskaber, Lægemiddelstyrelsen og Lægemiddelindustriforeningen har alle kommenteret på Medicinrådets mulighed for at indgå i dialog med lægemiddelproducenterne. Der er modsatrettede hensyn, idet Lægemiddelindustriforeningen og deres medlemsvirksomheder ønsker en så tidlig dialog som mulig, mens de øvrige aktører har peget på, om det er formålstjenligt at starte op inden, at der foreligger en positive opinion fra Det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA).

Danske Regioner fastholder forslaget om, at Medicinrådet kan starte op 150 dage inde i EMA’s godkendelsesprocedure.

**Bagatelgrænse, valg mellem ”Nye Lægemidler” vs. ”Terapiområder”, sjældne sygdomme**

Lægemiddelindustriforeningen, Amgen, Bristol-Myers Squibb, Danske Patienter, Sjældne Diagnoser, Cystisk Fibrose Forening, Otsuka og Danske Handicaporganisationer har alle i varierende grad spurgt til, om der er en bagatelgrænse for, hvornår et nyt lægemiddel/ny indikation ikke skal igennem Medicinrådets procedure for nye lægemidler.

Udgangspunktet er, at alle nye lægemidler skal vurderes efter metoden for nye lægemidler Det er for at sikre, at Medicinrådet kan komme med en endelig anbefaling efter 3 måneder. Processen for fælles regionale behandlingsvejledninger er et større arbejde, som tager længere tid at gennemføre.

Det kan i nogle tilfælde være hensigtsmæssigt, at et nyt lægemiddel i stedet vurderes efter den faglige metode for vurdering af terapiområder, hvis der er enighed mellem Medicinrådet og lægemiddelvirksomheder herom. Det vil oftest være i de tilfælde, hvor det vurderes, at lægemidlet ikke tilfører yderligere klinisk merværdi end eksisterende lægemidler. Praksis for, hvordan lægemidler kan indgå direkte i et terapiområde, vil udvikle sig i takt med, at Medicinrådet opnår mere erfaring.

Det anerkendes samtidig, at studier af behandling af sjældne sygdomme kan være behæftet med større usikkerhed. Dertil er det Medicinrådets erklærede opgave, at medtage de af Folketinget vedtagne principper for prioritering, i deres beslutningstagning. Deraf fremgår det tydeligt, at der skal sikres adgang til behandling for både små og store patientgrupper samt for både patienter med sjældne og mere gængse lidelser.

**Mulighed for at anvende lægemidler der ikke er godkendt til standardbehandling**

Lægemiddelindustriforeningen har spurgt til, hvordan retningslinjerne bliver for at anvende lægemidler, der ikke opnår godkendelse som standardbehandling.

Når et lægemiddel ikke bliver anbefalet som standardbehandling skyldes det, at lægemidlet har negativ klinisk merværdi, og/eller at den kliniske merværdi ikke er stor nok til at retfærdiggøre det nye lægemiddels omkostninger sammenlignet med eksisterende standardbehandling.

Medicinrådet og regionerne vil imidlertid leve op til Folketingets principper for prioritering af sygehusmedicin, herunder princippet om, at det skal være muligt ud fra en konkret lægefaglig vurdering at behandle med lægemidler, som er afvist til standardbehandling.

Det vil derfor også fortsat være op til den enkelte læge at vurdere, hvilken medicin der er bedst for den enkelte patient. Lægen skal dog have en særlig faglig begrundelse for at afvige fra Medicinrådets faglige anbefalinger.

Anvendelsen af ikke-anbefalede lægemidler vil blive fulgt i de regionale lægemiddelkomiteer og på tværs af regionerne med henblik på at sikre alle patienter ensartet og lige adgang til lægemidler.

**Høring af andre leverandører end den ansøgende virksomhed/offentlig høring**

Lægevidenskabelige Selskaber, Sundhedsstyrelsen, Lægeforeningen og Biogen har spurgt til, om høringsprocessen bør justeres, så andre virksomheder end ansøger høres i forhold til den foreløbige kategorisering af lægemidlets kliniske merværdi. Der er også blevet spurgt til, om virksomhederne kan få udkast til Medicinrådets behandlingsvejledninger i høring.

Danske Regioner har af hensyn til patienternes forventning om hurtig ibrugtagning af nye lægemidler valgt, at det alene er den ansøgende virksomhed som høres. Såfremt der er usikkerhed om de oplysninger, som den ansøgende virksomhed har fremsendt om komparator (den standardbehandling det ansøgende produkt sammenlignes med), kan Medicinrådet vælge at også at høre den virksomhed, der har markedsføringstilladelsen til komparatorproduktet.

**Anvendelse af GRADE-metoden i Medicinrådet**

Lægevidenskabelige Selskaber og Sundhedsstyrelsen og Lægeforeningen har alle spurgt ind til Medicinrådets metodevalg, studiedesigns mv.

Det kan oplyses, at Medicinrådets primære fokus vil være randomiserede kontrollerede studier. Dette er i tråd med GRADE-metoden, da man her primært lader anbefalinger bero på det højest mulige evidensniveau. Medicinrådet vil inkludere andre typer af studiedesigns i sin vurdering i de tilfælde hvor der ikke findes (tilstrækkelig) information fra randomiserede studier.

**Undtagelse om vurdering af merværdi for biosimilære lægemidler**

Danske Patienter er bekymrede for, at der er lagt op til, at Medicinrådet ikke skal vurdere nye biosimilære lægemidler, da studier ifølge Danske Patienter har vist, at skifte til et biosimilært lægemiddel kan føre til effekttab samt flere bivirkninger. Foreningen finder derfor, at de biosimilære lægemidler bør være omfattet af Medicinrådets anbefalinger.

Medicinrådet foretager overordnet set to typer af vurderinger; vurdering af nye lægemidler (eksklusiv generika og biosimilære lægemidler), og vurdering af flere lægemidler indenfor samme terapiområde (inklusiv generika og biosimilære lægemidler). Der er således lagt op til, at Medicinrådet ikke skal vurdere merværdien af nye biosimilære lægemidler efter metoden for nye lægemidler, da de indeholder samme aktive stof som det originale biologiske produkt. Processen for vurdering af nye biosimilære lægemidler vil i stedet ske efter den praksis, som RADS hidtil har anlagt.

**Medicinrådet skal overveje muligheden for også at skifte velbehandlede patienter**

Danske Patienter, FNUG (Foreningen af unge med gigt, Foreningen for rygsøjlegigt Morbus Bechterew og Patientforeningen HS Danmark), Biogen og Lægemiddelindustriforeningen udtrykker alle bekymring for, at Medicinrådet skal overveje muligheden for skift af velbehandlede patienter.

Et skift mellem analoge lægemidler (lægemidler med forskelligt indholdsstof) hos omhyggeligt udvalgte patienter, der allerede er i behandling, vil naturligvis kun blive foretaget, hvis det vurderes at være lægefagligt forsvarligt.

**Er det gavnligt med en øvre grænse for konfidensintervaller**

Biogen beder om, at man genovervejer gavnligheden en øvre grænse på konfidensintervallet (sikkerhedsgrænse), når patienters gavn af én behandling frem for en anden evalueres.

Væsentlighedskriterierne og dermed anvendelse af konfidensintervallets øverste grænse udgør kun en del af den samlede bedømmelse af et lægemiddels merværdi. Der er dermed ikke tale om, at konfidensintervallets øvre grænse alene er det der afgør, hvilken kategori et lægemiddel indplaceres i. Punktestimatet (resultatet fra studiet) vil også indgå i vurderingen.

Når man har valgt at anvende internationalt anerkendte væsentlighedskriterier og den øverste grænse for konfidensintervallet er det for at skabe sikkerhed for, at den sande værdi af effekten er lig eller bedre end væsentlighedskriteriet. Det sikrer også at anvendte estimater er statistik signifikante. Væsentlighedskriterierne er generiske.

I vurderingen af et lægemiddels merværdi sammenlignet med den eksisterende standardbehandling indgår derudover en række forskellige faktorer:

* Vægtning af effektmål – hvilke effektmål er centrale for det givne sygdomsområde. Denne afvejning sker under indflydelse af både fagudvalgets kliniske eksperter, samt patientrepræsentanten under hensyntagen til den konkrete sygdom.
* Vurdering af lægemidlets absolutte effekt sammenholdt med de klinisk relevante forskelle.
* Vurdering af evidensens kvalitet.

**Den ansøgende virksomhed skal fremsende materiale vedrørende komparator**

Amgen stiller spørgsmålstegn ved det hensigtsmæssige i, at det er den ansøgende virksomhed, som skal fremsende dokumentation for det lægemiddel, som Medicinrådet finder virksomhedens nye lægemiddel skal vurderes i forhold til.

Da Medicinrådet i udgangspunktet baserer sig på publicerede data, bør det være muligt for den ansøgende virksomhed at finde de relevante kliniske data for komparator.

**4. Amgros omkostningsanalyse**

**Amgros der udfører omkostningsanalyse**

Lægemiddelindustriforeningen foreslår, at det er Medicinrådet i stedet for Amgros, som skal gennemføre de økonomiske omkostningsanalyser.

Modellen er konstrueret, så det er Amgros, der har den fornødne ekspertise inden for sundhedsøkonomien, forestår valideringen af omkostningsanalysen. Dermed kan Medicinrådet fokusere på de klinisk faglige spørgsmål, herunder kategoriseringen af merværdi for nye lægemidler samt klinisk-faglig effekt og sammenlignelighed for terapiområder. Amgros vil i det omfang, det er nødvendigt som en del af valideringsprocessen, konsultere ekstern faglig ekspertise, der skal sikre, at de elementer der inddrages i omkostningsanalyserne svarer til dansk klinisk praksis.

**Ønske om udvidet omkostningsanalyse**

Danske Patienter, Danske Handicaporganisationer, Biogen og Lægemiddelindustriforeningen er som udgangspunkt positive overfor, at Danske Regioner har lagt op til, at inddrage et bredere økonomisk perspektiv end hidtil i vurderingen af sygehusmedicin. Parterne ser dog gerne at endnu flere omkostninger kan inddrages

Der lægges op til et samfundsøkonomisk perspektiv med begrænsninger. Dermed medregnes ikke alle samfundsøkonomiske omkostninger og eksempelvis ikke produktionstab og gevinster. Det primære hensyn er her, at undgå diskrimination i forhold til arbejdsmarkedstilknytning og dermed implicit aldersdiskrimination. Der medregnes omkostninger i eksempelvis den kommunale sektor, såfremt disse kan dokumenteres. Det kan være plejeomkostninger eller lignende.

**Behandlingsværdi/-omkostninger over helt sygdomsforløb**

Danske Handicaporganisationer, Lægemiddelindustriforening og Biogen peger så gerne, at der i metoderne anlægges en længere økonomisk tidshorisont, end der er lagt op til i metoden for omkostningsanalysen.

Der skal som udgangspunkt være samme tidshorisont for vurderingen af lægemidlets merværdi og i omkostningsanalysen. Ved validering af omkostningsanalysen tager Amgros udgangspunkt i den tidshorisont Medicinrådet har fundet relevant ved vurderingen af merværdien.