



Danske Regioner
Dampfærge 22
2100 København Ø

Sendt pr. e-mail til: Tad@regioner.dk

24. september 2019

Danske Regioners høring vedrørende ændring af Medicinrådet

Lif takker for muligheden for at kommentere på Danske Regioners oplæg til ændringer af Medicinrådet, jf. høringsbrev af 4. september 2019.

Vores høringssvar indeholder, efter en kort opsummering af vores kommentarer, uddybende bemærkninger til hver af de fremsendte syv ændringer. Indledningsvist finder vi dog grund til en generel bemærkning og opfordring vedrørende den kommende proces for ændringer af Medicinrådet.

Tæt inddragelse sikrer bedre overgang og samarbejde om ansøgninger

De foreslåede ændringer af Medicinrådets processer er så omfattende, at de radikalt vil ændre grundlaget for vurderingen af sygehuslægemidler i Danmark. Disse ændringer bør forberedes grundigt og med tæt inddragelse af de relevante interessenter. Lif foreslår derfor, at Danske Regioner nedsætter en bred, tværfaglig følgegruppe med henblik på sparring med Danske Regioner i udviklingen af de nye processer og metoder.

Lif ønsker at tage aktivt del i udviklingen af de nye metoder, processer mv. Lifs medlemskreds omfatter en række fagligt stærke, sundhedsøkonomiske kompetencer, der har både international og national erfaring med brugen af QALY fra ansøgersiden. En løbende og reel inddragelse af disse kompetencer kan mindske udfordringerne ved implementering og igangsættelse af de nye metoder. Det er samtidig vores vurdering, at et tæt initialt samarbejde kan smidiggøre og højne kvaliteten af det fremtidige samarbejde og dermed sikre en langtidsholdbar løsning.

Enighed om behovet for mere transparens

Lif er grundlæggende optaget af, at Medicinrådet er velfungerende med effektive og transparente processer og samtidig lever op til de mål og rammer, der er sat for rådets virke. Lif har som bekendt tidligere tilkendegivet, at vi ser visse udfordringer for rådet i den henseende og har også foreslået en række justeringer af rådets metoder mv. Med høringsskrivelsen kan vi konstatere, at også Danske Regioner – samtidig med tilkendegivelsen af, at rådet lever op til formål og rammebetingelser – ser behov for tiltag, der kan øge kvaliteten og transparensen.

Lif anerkender de tiltag, der foreslås af Danske Regioner for at sikre et bedre og mere transparent beslutnings- og evalueringsgrundlag, herunder:

- Anvendelse af relevante upublicerede data (data on file, abstracts og posters).
- En ændret opgørelse af sagsbehandlingstiden, der bedre afspejler de reelle sagsbehandlingsforløb.
- Etablering af en fast proces for (gen)udpegnings af medlemmer til rådet.

For at opnå en mere velfungerende og transparent model i Medicinrådet fremover er det dog afgørende, at Danske Regioner også sørger for, at:

- Interessentinddragelsen øges, og der etableres tidlig dialog mellem ansøger og faglig ekspertise fra fagudvalgene.
- Beslutningen om, hvilken metode der skal anvendes for det enkelte lægemiddel, tages i dialog mellem Medicinrådet og ansøger.
- Metoderne for vurdering af lægemidler til små og sjældne patientgrupper gennemtænkes og integreres samtidig med øvrige justeringer i metoderevisionen. Det vil ikke være tilfredsstillende, hvis disse lægemidler forbigås nu og henlægges til diskussion om 1½ år.

En detaljeret kommentering af de fremsendte ændringsforslag følger nedenfor.

1. Ændring af metodegrundlag for vurdering af nye lægemidler til QALY

Danske Regioner ønsker at indføre kvalitetsjusterede leveår (QALY) som et mål for effekterne af nye medicinske behandlinger i stedet for den merværdivurdering, der hidtil har været grundlaget for Medicinrådets samlede anbefaling af, hvorvidt et nyt lægemiddel skal være standardbehandling i Danmark.

Lif anerkender Danske Regioners vurdering af, at et ændret metodegrundlag vil kunne skabe et mere ensartet beslutningsgrundlag, idet alle lægemidler dermed vurderes efter samme målestok. Det gør det – i det mindste i princippet – samtidig muligt at sammenligne omkostningseffektiviteten på tværs af sygdomsområder og dermed sikre en lige behandling af alle evaluerede produkter/sygdomsområder. Det er ikke tilfældet i dag.

Indførelsen af QALY som *måleenhed* i Medicinrådet må gennemføres i respekt for de forudsætninger og faldgruber, der må iagttages – hvilket både forudsætter dyb interessentinddragelse og god tid. QALY er på ingen måde en ufejlbarlig "løsning" på de svære prioriteringsproblemer, som Medicinrådet sidder med, men måleenheden kan, anvendt rigtigt, forhåbentligt øge gennemsigtigheden i Medicinrådets prioriteringsbeslutninger.

Den konkrete udmøntning og implementeringen af dette nybrud for vurderingen af merværdi for lægemidler i en dansk sygehuskontekst er afgørende. Lif skal derfor opfordre til omfattende interessentinddragelse, når det kommer til udarbejdelse af metodehåndbøger mv. og samtidig opfordre til, at der etableres en følgegruppe for udviklingen af metoderne i Medicinrådet. Lif ser en række grundforudsætninger for anvendelsen af QALY i Medicinrådet:

- Modellen med QALY skal afløse den nuværende merværdivurdering i Medicinrådet, dvs. de seks kategorier bortfalder.
- Opgørelsen af QALY er alene én del af det samlede beslutningsgrundlag – der må hverken direkte eller indirekte blive tale om, at (uofficielle) tærskelværdier dikterer beslutninger om ibrugtagning.
- Modellen med QALY skal inddrage brede samfundsøkonomiske omkostninger over den (individuel) relevante tidshorisont.
- Der skal afsættes tilstrækkelige ressourcer til at sikre både den kliniske og økonomiske faglighed i såvel sekretariatet som Medicinrådet.

- Det skal konkret og præcist specificeres, hvornår et produkt ikke skal vurderes efter modellen med QALY. Virksomheden skal inddrages i beslutningen om valg af sagsbehandlingsforløb.
- Processen fra ansøgning til beslutning fastlægges så effektivt som muligt, og den interne proces i sekretariatet strømlines, så den kliniske og økonomiske vurdering sker "simultant". Ansøgning fra virksomheder kan indsendes, og processen opstartes ved positiv CHMP vurdering.
- Der fastlægges en model for systematisk årlig evaluering af processer og beslutninger i Medicinrådet med henblik på vurdering af Medicinrådet. Vurderingen sker i forhold til Danske Regioners egne målsætninger, interessenternes ønsker og Folketingets syv principper for prioritering af sygehusmedicin.
- Modellen med QALY introduceres først, når modellen efter bred interessentinddragelse er velbeskrevet fra de overordnede strukturer til de detaljerede metoder og processer – og den rette og tilstrækkelige kompetence og træning er på plads.

Man må holde sig for øje, at det sundhedsøkonomiske resultat altid blot må udgøre ét element i et bredere og samlet beslutningsgrundlag. Ikke mindst skal den kliniske og sundhedsfaglige vurdering sammen med patientoplevelt kvalitet ligeledes inddrages særskilt.

Det fremgår, at Danske Regionerne ønsker, at Medicinrådet inddrager de langsigtede konsekvenser og fordele ved nye lægemidler. Lif er enig heri og ønsker, at Medicinrådet inddrager et *samfundsøkonomisk perspektiv* i vurderingen af nye lægemidler efter QALY-metoden.

Lif er endvidere enig i, at ikke *alle* nye lægemidler nødvendigvis skal igennem en QALY-model, jf. særligt de udfordringer, der vil være for små og sjældne sygdomsområder. Det skal imidlertid bemærkes, at der ikke teknisk a priori er noget til hinder for, at lægemidler til små og sjældne sygdomme ligeledes kan vurderes med udgangspunkt i en QALY-model. Givet, at der ofte vil være færre data tilgængelige, er det dog nødvendigt med en pragmatisk tilgang til den sundhedsøkonomiske analysemetode.

Dialogmøder med ansøgvirksomheder centrale

Da der med QALY-modellen ikke skal foretages en eksplicit, separat vurdering af nye lægemidlers merværdi, foreslår Lif, at virksomhederne ikke længere skal indsende *foreløbige* ansøgninger, og at der ikke udarbejdes *protokoller*. Vi anbefaler dog kraftigt, at rådet bibeholder det indledende dialogmøde som i dag, så virksomhederne og Medicinrådet har mulighed for at afklare eventuelle krav til at præsentere data, diskutere valg af sammenligningsgrundlag og andre relevante spørgsmål i forhold til den konkrete model.

Ud over dialogmødet må Medicinrådet fremover være indstillet på en øget dialog efter virksomhedernes indsendelse af ansøgning. Dialogen mellem ansøgvirksomheden og sekretariat/fagudvalg vil skulle minde mere om den, der i dag foregår mellem virksomhed og Amgros, hvor virksomhedens modelantagelser mv. primært diskuteres efter indsendelse. Dette kendes allerede i dag fra andre lande, hvor man anvender en form for QALY-model i vurderingen af lægemidler.

Der er behov for fleksibilitet og agilitet. Det vil være en fordel for både virksomhederne og Medicinrådet, at dialogen ikke fastlægges i rigide rammer med fx faste spørgsmålsrunder og svartider. Virksomhederne oplever det langt mere effektivt, hvis Medicinrådets sekretariat stiller spørgsmål, når de opstår, og virksomheden derefter svarer inden for en rimelig tidsfrist.

Fagudvalgenes rolles

Indførslen af QALY er en ganske radikal ændring af hele Medicinrådets metodemæssige fundament og vil derfor kræve en revurdering af arbejdsgangene i Medicinrådets processer, herunder helt særligt i forhold til *armslængdeprincippet* mellem Amgros og Medicinrådets fagudvalg. Der vil blive behov for en anden struktur for sekretariatsbetjeningen.

Med henblik på at sikre en stærk klinisk-faglig forankring anbefaler Lif, at både fagudvalget og Medicinrådets sekretariat (sundhedsøkonomerne) er repræsenteret ved det tidlige dialogmøde, og at fagudvalget løbende er i dialog med Medicinrådet og Amgros i vurderingen. Når der ikke længere udarbejdes to separate vurderinger af henholdsvis merværdi og økonomi, finder Lif det relevant at samle sekretariatet i enten Medicinrådet eller Amgros i stedet for at opretholde to selvstændige enheder. Lif formoder også, at det vil sikre en bedre anvendelse af Medicinrådets samlede ressourcer.

Sagsbehandlingstid på 16 uger?

Lif har vanskeligt ved at forstå rationale bag en forlængelse af sagsbehandlingstiderne til 16 uger, idet den mest betydelige arbejdsbyrde ved den nye model vil ligge hos de ansøgende virksomheder. Fra Lifs side anbefaler vi derfor, at rådet bestræber sig på at holde sig inden for den nuværende målsætning for sagsbehandlingstid (12 uger).

Uanset om de 16 uger fastholdes som det maksimale loft over sagsbehandlingstiderne, skal Lif opfordre til, at det bliver muligt med en tidligere fremsendelse af ansøgningerne. Lif foreslår således, at virksomhederne får mulighed for at indsende ansøgning ved *positive opinion* fra "Committee for Medicinal Products for Human Use" (CHMP). I det tilfælde vil den forlængede sagsbehandling på op til 16 uger ikke nødvendigvis føre til senere beslutningstagning end i dag, hvor den endelige ansøgning først kan indsendes efter Europakommissionens godkendelse.

Forslaget skal ses i sammenhæng med, at det er muligt for virksomheder at ansøge ved positiv CHMP vurdering i både Sverige og Norge, samt når der søges om medicintilskud i Lægemiddelstyrelsen i Danmark. Dermed vil en sådan ændring sikre samme praksis på tværs af lande og sektorer og dermed være med til at opfylde det politiske fastlagte mål om en hurtig adgang for patienterne til nye lægemidler.

Tærskelværdier

Danske Regioner har oplyst, at man ikke vil anvende tærskelværdier i QALY-modellen.

Lif finder denne beslutning positiv.

Der er grund til at holde særlig opmærksomhed på dette spørgsmål, idet beskrivelser af andre landes anvendelse af QALY-modeller ofte giver indtryk af, at der i et eller andet omfang i realiteten udvikles (uofficielle) tærskelværdier trods eventuelle tilkendegivelser om det modsatte.

Det er under alle omstændigheder væsentligt at understrege, at i en QALY-model må en eventuel implicit og uofficiel tærskelværdi aldrig diktere beslutningen om ibrugtagning eller ej, men kun indgå som en del i det samlede beslutningsgrundlag. Det er afgørende, at den medicinske og klinisk-faglige vurdering fortsat har en central plads i ansøgningen og vurderingen.

Introduktionen af en QALY-model

Efter Lifs opfattelse er der behov for en samlende beskrivelse af den fremtidige model for Medicinrådets arbejde, når det gælder de strukturelle linjer og de mere detaljerede metoder og processer. Bælt af erfaringerne fra introduktionen af Medicinrådet er det afgørende vigtigt med aktørinddragelse tidligt og løbende i denne proces, ligesom processen bør gives den nødvendige tid.

Lif stiller sig som repræsentant for den innovative del af lægemiddelbranchen til rådighed for videre dialog og ekspertbistand i arbejdet med at udvikle og konkretisere den fremtidige model for vurderingen af nye sygehuslægemidler. Konkret foreslå vi, at der etableres en følgegruppe for arbejdet med deltagelse af repræsentanter fra Lif, herunder medlemsvirksomheder og andre relevante aktører.

Lif har noteret sig, at Danske Regioners bestyrelse forventer, at QALY-modellen kan introduceres fra august 2020. Ændringerne er ikke trivielle, og vi opfordrer til, at der ikke bliver gået på kompromis med indholdet – forstået som den samlede forberedelse, herunder sikringen af de rette specialkompetencer og den rette træning i sekretariatet – blot for at overholde det annoncerede introduktionstidspunkt.

2. Medicinrådet får fuld kompetence til at beslutte sagsbehandlingsforløb

Danske Regioners bestyrelse lægger op til, at det alene er Medicinrådet, der skal beslutte, om et givent nyt lægemiddel skal vurderes efter QALY-modellen eller en anden og mere kvalitativ metode. På samme måde er det også Medicinrådet, der skal beslutte, om et nyt lægemiddel kan indplaceres direkte i en behandlingsvejledning.

Dette er en markant ændring i forhold til Medicinrådets nuværende praksis, idet Medicinrådet dermed uden virksomhedsinddragelse vil kunne træffe beslutning om, at et nyt lægemiddel ikke har nogen merværdi, og dermed skal vurderes i en kort proces. Denne beslutning vil blive truffet inden, der foreligger en ansøgning og dermed på et ufuldstændigt og ikke-transparent datagrundlag. Problemstillingen forstærkes af, at virksomhederne efter gældende regler ikke har mulighed for at klage over beslutningen.

Lif er af den opfattelse, at en sådan vurdering og beslutning *kun* bør ske efter dialog og enighed mellem Medicinrådet og de enkelte virksomheder.

3. Medicinrådet skal øge antallet af behandlingsvejledninger

Danske Regioner har besluttet, at antallet af behandlingsvejledninger fra Medicinrådet skal øges.

Lif er enig i, at Medicinrådet skal opprioritere arbejdet med behandlingsvejledningerne, da det særligt er via behandlingsvejledningerne, at patienterne reelt sikres adgang til behandling med et givent lægemiddel. Lægemiddelvirksomhederne oplever således, at selvom Medicinrådet har anbefalet et produkt som standardbehandling, bliver det ikke nødvendigvis taget i brug, såfremt det ikke er nævnt i den relevante behandlingsvejledning.

Lif har tidligere anført, at så snart Medicinrådet har vurderet et lægemiddel, bør det indføres i behandlingsvejledningen med bemærkninger om, at det fx er vurderet som mulig standardbehandling. Det vil skabe et bedre overblik over alle relevante behandlingsmuligheder for lægerne i det kliniske arbejde.

Det er således positivt, at der afsættes ressourcer til udarbejdelsen af flere behandlingsvejledninger. Det er samtidig vigtigt, at det ikke betyder en nedprioritering af vurderingen af nye lægemidler.

Samtidig vil Lif opfordre til, at det præciseres, hvordan brugen af QALY vil skulle håndteres i forbindelse med indplacering af et nyt lægemiddel i en behandlingsvejledning og efterfølgende Amgros udbud.

4. Anvendelse af relevante upublicerede data

Danske Regioner lægger op til, at Medicinrådet kan anvende ikke-publicerede data med det forbehold, at de publiceres efter et år.

Lif hilser muligheden for at anvende upublicerede data (data-on-file, posters og abstracts) velkommen og finder også generelt betingelsen om offentliggørelse efter ét år fornuftig. Lif finder, at Medicinrådet altid skal inddrage upublicerede data, hvis fagudvalgene vurderer dem relevante og brugbare.

Der kan dog være helt særlige omstændigheder, hvor en offentliggørelse af data kan være problematisk selv efter et år, hvorfor det bør overvejes i helt særlige tilfælde at kunne afvige fra den generelle regel og tillade, at der først offentliggøres efter minimum tre år.

5. Vurdering af lægemidler til sjældne sygdomme

Danske Regioner oplyser, at Medicinrådet ved årsskiftet 2019 justerede sin metode for vurdering af nye lægemidler, så der tages særlige hensyn i vurderingen af lægemidler til små og sjældne sygdomme. Rådet skal ultimo 2020 udarbejde et notat til Danske Regioner om metodeændringens effekter.

Lif har peget på nødvendigheden af en særlig model for vurdering og ibrugtagning af lægemidler til små patientgrupper og sjældne sygdomme, idet de nuværende metoder ikke i tilstrækkeligt omfang tager hensyn til de særlige forhold omkring disse produkter. Herudover er der ofte tale om patientgrupper uden eksisterende mulighed for behandling, og der kan derfor være et særligt hensyn til at sikre adgang til behandling. Lif er derfor enig i, der er behov for en særlig metode og proces for vurdering af disse lægemidler – hvilket i øvrigt kendes fra en række andre lande.

Vi har dog vanskeligt ved at genkende, at Medicinrådet fra årsskiftet 2019 har ændret metoden for vurderingen af lægemidler til små og sjældne patientgrupper og skal derfor opfordre til, at Medicinrådet allerede nu præciserer, hvilke produkter og hvilke elementer der indgår i den kvalitative model for vurdering af lægemidler til små og sjældne sygdomme.

På grund af sjældenheden har lægemidler til små patientgrupper særlige karakteristika – ikke mindst i forhold til karakteren af evidens- og datagrundlaget. Det forudsætter en vis fleksibilitet i vurderingen af såvel effekt som økonomi. Derudover bør en model for disse lægemidler eksplicit tage stilling til brugen af alvorlighedsprincippet, da det ofte er særligt relevant for disse patientgrupper. Endelig bør protokolleret ibrugtagning i langt højere grad anvendes for disse lægemidler, jf. nedenfor.

På lidt længere sigt skal modellen (metoder mv.) for vurdering af disse lægemidler naturligvis beskrives konkret i det nye set-up med QALY-modellen. Idet Lif naturligvis har noteret sig, at Danske Regioner har tilkendegivet, at disse produkter netop ikke skal omfattes af den generelle QALY-model. Vi

skal dog bemærke, at der ikke teknisk er noget til hinder for, at lægemidler til små og sjældne sygdomme vurderes efter en QALY-model.

Protokolleret ibrugtagning

Danske Regioner nævner afslutningsvist under punktet ”Øvrige forslag som Medicinrådet skal arbejde videre med” muligheden for at ”anvende protokolleret ibrugtagning i en tidsbegrænset periode på områder, hvor der er behov for at indsamle data fx i forhold til lægemidler til små sygdomsgrupper/sjældne sygdomme”.

Det er en god måde til at opnå viden i en dansk kontekst, idet det naturligvis forudsættes, at aftalen om protokolleret ibrugtagning sker i samarbejde med virksomhederne. Det kan være aftaler med opfølgning på start- og stop-kriterier, patientantal, effekt mv., eller via risikodelingsaftaler (outcome-baserede eller pris-volumen mv.) med henblik på at følge op på effekt i klinikken og give budgetsikkerhed for sundhedsvæsenet. I forlængelse heraf bør Amgros have udvidet mulighed for at forhandle innovative aftaler.

Forsat habilitetsudfordringer

Lifs medlemmer oplever forsat, at de særlige habilitetskrav i Medicinrådet kan gøre det vanskeligt at besætte posterne i fagudvalgene. Lif vil derfor opfordre til, at der inden for små og sjældne sygdomme anvendes en mere lempelig praksis. Habilitetsudfordringer på dette område bør kunne håndteres ved åbenhed og opmærksomhed. Der må tages højde for situationer, hvor der kun findes meget få kliniske eksperter, og hvor udfordringer med at udpege en ekspert til fagudvalgene ellers fører til forsinkelser i vurderingen og adgangen til ny medicin.

6. Opgørelse af sagsbehandlingstid og frist for endelig ansøgning

Danske Regioner har besluttet, at Medicinrådet skal sikre en opgørelse af sagsbehandlingstiden, der skaber transparens om Medicinrådets faktiske samlede sagsbehandlingstid.

Lif ser meget positivt på forslaget, der gør op med den nuværende praksis, hvor opgørelsen over Medicinrådets behandlingstider alene sker med udgangspunkt i det tidspunkt, hvor Medicinrådet har modtaget og valideret virksomhedernes endelige ansøgning.

Lif er således enig i behovet for en større gennemsigtighed i sagsbehandlingstiderne i forløbet og har forståelse for, at der kan være flere forklaringer på forsinkelserne i de enkelte dele af den samlede proces. Samtidig anbefaler Lif, at der med udgangspunkt i en metode- og procesændring ved anvendelse af en QALY-model gives mulighed for, at virksomhederne kan sende ansøgning ved ”positive opinion” fra CHMP, og at det er herfra, sagsbehandlingstiden måles.

7. Løbende (gen)udpegning af Medicinrådets medlemmer

Danske Regioner har besluttet, at 1/3 af Medicinrådets medlemmer skal udskiftes eller genudpeges hvert år.

Lif finder det som udgangspunkt hensigtsmæssigt med en løbende udskiftning, så længe Medicinrådet bevarer den fornødne kadence i behandling af sagerne. Hvis der indføres en QALY-model, bør Danske Regioner desuden overveje en lidt anderledes sammensætning af rådet, så der er flere rådsmedlemmer med sundhedsøkonomisk indsigt og ekspertise.

Lif står som altid gerne til rådighed for videre dialog og ser frem til det videre arbejde med udvikling af Medicinrådet.

Venlig hilsen

A handwritten signature in black ink, appearing to read 'H. Vestergaard'.

Henrik Vestergaard
Viceadm. direktør