

Danske Regioner
Dampfærgevej 21
2100 København Ø

E-mail: tad@regioner.dk

Høringsvar vedrørende metodevejledning og procesvejledning for vurdering af nye lægemidler i Medicinrådet

Danske Patienter takker for muligheden for at afgive kommentarer til det fremsendte udkast til ny metode- og procesvejledning for vurdering af nye lægemidler i Medicinrådet.

Danske Patienter har afgivet kommentarer til de to dokumenter via repræsentanter i hhv. arbejdsgruppen og Rådet. Dette høringssvar skal ses som supplement til de allerede indsendte kommentarer.

Generelle kommentarer

Danske Patienter er overordnet set positivt stemt overfor brugen af QALY i Medicinrådet, da det kan skabe større konsistens i de beslutninger, der træffes. QALY-metoden kan dog ikke stå alene. I forbindelse med beslutningen om at indføre den nye metode, pointerede Danske Regioner, at QALY ville blive brugt som beslutningsstøtte, hvilket også tidligere er blevet anbefalet af flere aktører, herunder Danske Patienter. I det fremsendte materiale fremstår QALY imidlertid som det bærende element i den analyse af effekt og sundhedsøkonomi, som Rådet skal træffe sin beslutning på baggrund af. Det er ikke i overensstemmelse med de tidligere udmeldinger fra Danske Regioner, og det er især problematisk for små patientpopulationer og for patientgrupper, hvor en medicin kan give små, men vigtige forbedringer, som ikke kan opfanges i de generiske redskaber, der anvendes til beregning af QALY.

Derfor må Danske Patienter endnu engang understrege vigtigheden af, at QALY udelukkende benyttes som et beslutningsstøttesystem, og at der fortsat lægges stor vægt på kliniske effekter og herunder vurderinger fra fagfolk og patientrepræsentanter i fagudvalgene.

Helt generelt mangler der retningslinjer for de processer, der foregår ud over virksomhedernes udarbejdelse af en ansøgning. På trods af, at der i indledningen til både metode- og procesvejledningen står, at dokumentet kan fungere som et arbejdsredskab for Medicinrådet, synes det primært at være henvendt til virksomhederne. Det er væsentligt for kvaliteten af Rådets anbefalinger, at der er opstillet nogle rammer for arbejdet.

Dato:
16. september 2020

Danske Patienter
Kompagnistræde 22, 1. sal
1208 København K

Tlf.: 33 41 47 60

www.danskepatienter.dk

E-mail:
jk@danskepatienter.dk

Cvr-nr: 31812976

Side 1/7

Det gælder både betingelserne for rådsmedlemmernes arbejde – for eksempel arbejdsmængde, tidsfrister, økonomisk kompensation mv. Og det gælder i særdeleshed guidelines for selve vurderingsprocessen, hvor det bl.a. skal beskrives:

Side 2/7

- Hvad der kan og ikke kan belyses fornuftigt via QALY og EQ-5D-5L (se også side 5-6 i høringssvaret).
- At Medicinrådet ikke skal arbejde med tærskelværdier, idet en række forhold om alvorlighed, sjældenhed, aldersdiskrimination mv. gør, at der ikke er – og ikke bør tilstræbes – en fast værdi.
- At der ikke må forventes økonomisk konsistens i Rådets beslutninger. I forlængelse heraf bør der også udarbejdes supplerende principper for, hvornår der især bør udvises større betalingsvillighed (ved særligt alvorlige sygdomme, ved præparater uden andre eksisterende behandlingsmuligheder, ved fremadskridende sygdomme, hvor udviklingen kan bremses, mv.). Dette kan ligeledes med fordel gøres til genstand for en samfundsmæssig dialog, så både befolkningen og de folkevalgte politikeres ønsker til prioritering kan anvendes som rettesnor for Rådet. Vi anfægter ikke rådsmedlemmernes faglige kompetence, men Rådet har ikke en repræsentativ sammensætning, og pt. er medlemmerne overladt til at træffe politiske beslutninger om prioritering ud fra personlige betragtninger om rimelighed.
- Hvordan anvendelsen af andre målemetoder end EQ-5D-5L, andre præferencevægte end de danske samt upublicerede data/RWD skal tillægges værdi. Erfaringen fra Medicinrådets arbejde viser, at det har været svært for virksomheder at komme igennem med alternative, mere kvalitative metoder som fx RWD. Det er imod intentionerne i metodevejledningen. Danske Patienter anbefaler derfor, at det understreges i et rammepapir eller i metodevejledningen, at anvendelsen af disse alternativer accepteres og tillægges værdi, når det er relevant.
- At Medicinrådet bør inddrage samfundsøkonomiske omkostninger og gevinster – ikke i vurderingen af enkeltpræparaters ibrugtagning, men i perspektivering af Medicinrådets samlede beslutninger. Omkostninger til medicin bør ikke kun ses som en udgift, men derimod som en investering, som i et bredere samfundsøkonomisk perspektiv kan frigøre ressourcer til behandling.

Vi er usikre på, hvorvidt Danske Regioner/Medicinrådets sekretariat påtænker at udarbejde et sådant rammedokument. Det er vores klare anbefaling, at det sker. Dette dokument bør sendes i høring og drøftes grundigt i Rådet, så der er konsensus omkring det arbejde, der udføres.

Derudover anbefaler vi, at Danske Regioner vurderer, om Rådets sammensætning bør justeres i forhold til den nye opgave der foreligger, idet der med fordel kan være en tungere vægt af eksperter i QALY, sundhedsøkonomi og livskvalitetsmåling.

Metodevejledningen

Overordnet set svarer metodevejledningen til de internationale anbefalinger i relation til både effektstudier og den sundhedsøkonomiske del. Dette er positivt og bidrager til transparens.

Side 3/7

Lægemidler med sparsomme data

Muligheden for at gøre brug af alternative målemetoder og datakilder er til stede med den nye metodevejledning, men der er ikke i nævneværdig grad taget højde for små populationer og den statistiske usikkerhed, det medfører. Medicinrådet bør ikke alene på grund af usikkerhed omkring et lægemiddels effekt som følge af sparsomme data kunne afvise et lægemiddel. På den anden side bør Medicinrådet have mulighed for at afvise et lægemiddel med sparsomme data, hvis der ikke er saglige grunde hertil – medmindre virksomheden er indstillet på at medvirke til at skabe en større sikkerhed for effekt/bivirkninger mm.

I vejledningen står, at der i ansøgninger med begrænset data (hvilket kan være tilfældet i forbindelse med lægemidler til små sygdomsgrupper, herunder sjældne sygdomme), skal virksomheden præsentere den kliniske evidens som for andre lægemidler. Det er uklart, hvad der definerer "sjældne sygdomme". En definition bør sættes ind, så det er tydeligt, hvornår en ansøgning falder i denne kategori. Det er samtidig vigtigt, at Medicinrådets sekretariat forholder sig til, at personlig medicin vil medføre, at mange ansøgninger i fremtiden vil relatere sig til subgrupper af patienter med specifikke genmutationer. Dette bør være indeholdt i metodevejledningen.

Der kan inkluderes ekspertvurderinger i tilfælde med sparsomme data. Der er ofte sparsomme data, så dette kan ofte komme i spil. Det bør anføres i metodevejledningen, hvad der kendetegner en ekspert, og virksomheden bør tydeligt anføre, hvordan de har udvalgt eksperten (fx ift. habilitet, erfaring og kendskab til dansk klinisk praksis). Herudover bør det tydeligt fremgå hvilke kriterier, der lægges til grund for rimeligheden af at benytte eksperter.

Det bør være muligt at eksemplificere, hvornår det ikke er muligt eller fornuftigt at udføre en cost-utility analyse. Dette vil bidrage til større transparens. Det er uklart, hvad der adskiller, om det er muligt og fornuftigt at ansøge Medicinrådet om en vurdering på trods af, at data er mangelfulde, og hvornår ansøgningen blot vil blive afvist.

Beskrivelse af lægemidlet og det terapeutiske område

Virksomheden skal beskrive eksisterende standardbehandling i Danmark med referencer, og hvis der ikke findes danske retningslinjer, kan virksomheden benytte internationale retningslinjer. Dette bør snævreres ind/prioriteres, så der for eksempel først og fremmest bruges nordiske og dernæst vesteuropæiske retningslinjer. Det skal sikre, at den standardbehandling der henvises til, med rimelighed kan antages at ville ligne dansk praksis.

I forhold til valg af komparator er det anført, at ansøger skal vælge komparator, som afspejler gældende dansk klinisk praksis, dvs. reelle alternativer og gældende standardbehandling. Det er uklart, om ”gældende standardbehandling” betyder, at komparator er anbefalet af Medicinrådet, eller om der henvises til en national klinisk retningslinje eller national behandlingsvejledning. Det samme gælder i forhold til betydningen af reelle alternativer – er det nok, at virksomheden har bedt en enkelt kliniker vurdere gængs praksis nationalt i de tilfælde, hvor der ikke findes en national behandlingsvejledning eller retningslinje?

Hvis komparator ikke tidligere er vurderet af Medicinrådet, lægges der op til, at ansøger skal lave analyse i forhold til såvel dansk klinisk praksis som placebo (eller anden komparator, der med rimelighed kan antages at være omkostningseffektiv). Det er uhensigtsmæssigt at drøftelse af eventuel klinisk praksis af ikke-omkostningseffektiv behandling sker i forbindelse med ansøgning om indførelse af et andet lægemiddel. Det foreslås i stedet, at Medicinrådet af egen drift skal analysere og vurdere områder, hvor Rådet antager, at der foregår ikke-omkostningseffektiv behandling – og på den baggrund kan beslutte sig for, hvilke konsekvenser det måtte have for den fortsatte behandling.

For en række diagnoser/patientgrupper eksisterer der ikke alternative behandlingsmuligheder. Dette mener vi ikke, at der er taget tilstrækkeligt højde for i metodevejledningen, hvor det gentagne gange nævnes, at ansøger skal redegøre for komparatorer.

Datakilder til den sundhedsøkonomiske analyse

Her anføres det, at Medicinrådet foretrækker danske omkostningsstudier. Det er svært at se, at andet kan være muligt. Internationale data vil ikke give et retvisende billede af omkostningerne i et dansk sundhedsvæsen. Det anbefales, at vejledningen strammes på dette punkt.

Dokumentation af effektforskelle

I afsnit 5.2 står, at virksomheden kan/skal/bør udføre indirekte sammenligninger, hvor det er muligt, såfremt data ikke tillader direkte sammenligning. Hvorfor både kan/skal/bør – kan der ikke bare stå skal?

I afsnit 5.4 står indirekte, at RWD kan anvendes til at belyse effekt og sikkerhed af en historisk kontrolgruppe. Men det fremgår ikke direkte af teksten, hvad RWD kan ikke og kan bruges til.

Sundhedsøkonomisk analyse

Det er uklart, hvad ”et begrænset samfundsperspektiv” (s. 16) dækker over. På den ene side står, at alle behandlingsrelaterede omkostninger skal inddrages – på den anden, at hospitalsrelaterede omkostninger, omkostninger dækket af den offentlige sygesikring, behandlingsrelaterede omkostninger afholdt af patienten, kommunale omkostninger, transportomkostninger og tidsforbrug for patienten samt omkostninger

forbundet med pårørendes plejetid kan inkluderes. Dette stemmer ikke overens med listen over effekter og omkostninger, der skal inkluderes.

Det anføres, at fremtidige sundhedsomkostninger, som ikke er relateret til den aktuelle sygdomstilstand, aldrig skal inkluderes. Betyder det, at fx plejehjemsudgifter ikke skal medtages, fordi en patient overlever sin sygdom så længe, at vedkommende senere kommer på plejehjem?

Det anføres, at momsudgifter ikke skal inkluderes. Men hvis regionerne fortsat selv betaler moms gennem en puljeordning er det relevant at medregne den. Alternativt kunne man argumentere for, at kun nettoløn- (efter skat)-omkostningsdelen skulle medtages, når man indregner personaleomkostningerne.

Danske Patienter anbefaler, at effekter på pårørende inkluderes, når dette er relevant. Dette kan bl.a. være den effekt, som et barn med handicap kan have på en familie, for eksempel målt på livskvalitet.

Instrument til måling af sundhedsrelateret livskvalitet

Det er velkendt, at EQ-5D-5L er et meget in-sensitivt spørgeskema, og det anbefales derfor ofte anvendt i forbindelse med sygdomsspecifikke livskvalitetsinstrumenter i kliniske studier. Man vil ofte have svært ved at detektere en statistisk signifikant forskel mellem de grupper der sammenlignes (intervention vs. kontrol), og særligt i head-to-head studier, som ifølge metodevejledningen er idealet, er det svært. Det er derfor relevant, at virksomhederne benytter sig af mere følsomme livskvalitetsskalaer – men også forståeligt, at Medicinrådet er nødsaget til at anvende en generisk skala for at generere et ensartet estimat af QALY på tværs af vurderinger.

Danske Patienter anbefaler, at det fremhæves, at der altid bør måles på de symptomer, som er specielle og meningsfulde for den pågældende patientgruppe, og hvor ændringerne ikke tillægges tilstrækkelig værdi med præferencevægte baseret på EQ-5D-5L. Det kan for eksempel være i tilfælde, hvor et præparat medfører små, men vigtige forbedringer, medfører en langsommere progression af sygdommen end ellers forventet, eller hvor symptomer fluktuerer over tid og præ-post-målinger derfor ikke fanger det fulde billede af patientens tilstand over en periode. Hvad angår små patientgrupper findes sådanne måleredskaber typisk ikke. Derfor bør livskvalitetsparametre i disse tilfælde identificeres ved interviews og efterfølgende tillægges særlig vægt ved valg af måleinstrument. Der kan være store problemer ved valg af konverteringsmodel af de målte livskvalitetsresultater, og det bør derfor eksplicit fremgå, at konverteringsmodel skal tages med et stort forbehold.

Jf. ovenfor bør det fremgå af metodevejledningen, hvornår det kan være hensigtsmæssigt ikke at anvende EQ-5D-5L. Konkrete eksempler vil gøre det mere transparent hvad Medicinrådet vil og bør acceptere som hensigtsmæssig anvendelse af andre livskvalitetsskalaer.

Det samme gælder for brug af præferencevægte. Igen står det nævnt, at der kan være situationer, hvor det ikke vil være hensigtsmæssigt med danske præferencevægte, men det er ikke specificeret nærmere. Det må i øvrigt antages, at præferencevægte for patienter med alvorlig sygdom vil være anderledes end præferencevægte for normalbefolkningen. De præferencevægte, der anvendes i den danske model, bygger på normalbefolkningen. Det bør beskrives af virksomhed, fagudvalg og sekretariat, når der er plausible grunde til, at præferencevægte fra normalbefolkningen ikke direkte kan overføres på specifikke patientgrupper.

Usikkerhed i den sundhedsøkonomiske analyse

Den usikkerhed der er i den sundhedsøkonomiske analyse betyder, at det er nødvendigt med følsomhedsanalyser. I høringsmaterialet lægges op til, at det er virksomheden selv, der skal vælge forskellige scenarier. Medicinrådet (herunder fagudvalg) bør have mulighed for at udpege scenarier, der skal analyseres, så beslutningen ikke alene overlades til virksomheden.

Procesvejledningen

Om Medicinrådet

Det anføres, at der i fagudvalget skal være 1-2 sygeplejersker. Måske skulle man i stedet anføre, at der også kunne være andre – for eksempel fysioterapeuter, psykologer, bioanalytikere mv.

Det anføres, at fagudvalgsformanden kan udpege medlemmer med særlig kompetence. Det anbefales, at det alene er Medicinrådet, der kan udpege medlemmer til fagudvalg.

Det anføres, at Rådet udgør den øverste ledelse af Medicinrådet. Det er ikke tilfældet i dag. Budget, ansættelser mv. behandles ikke af Rådet, men af formandskabet og efter delegation af direktøren. Det bør overvejes, om ændringen er tilsigtet.

Det anføres, at Medicinrådet udarbejder anbefalinger for sygehusforbeholdte lægemidler, og det er konkret specificeret, hvilke lægemiddelgrupper Medicinrådet beskæftiger sig med. Det er en klar indskrænkning i forhold til i dag, hvor Rådet (i hvert fald i behandlingsvejledninger) har behandlet lægemidler i andre udleveringsgrupper. Det er en uheldig indskrænkning af aktiviteten, og det foreslås derfor at det præciseres, at Medicinrådet i behandlingsvejledninger eller af egen drift i øvrigt kan komme med anbefalinger for alle lægemidler.

Dialog inden ansøgning

Arbejdet med at lave en protokol ophæves her. Det indebærer, at Medicinrådet og fagudvalg ikke får formuleret relevante kliniske

spørgsmål, som man forventer at få svar på ved virksomhedens ansøgning. Hvis relevante kliniske spørgsmål ikke er besvaret, øges risikoen for at fagudvalget eller Rådet må udsætte konklusionen på ansøgningen – eller at ansøgningen behandles på et ufuldstændigt grundlag. Det foreslås, at man medtager muligheden for at fagudvalg/Rådet kan formulere eventuelle kliniske spørgsmål, som der ønskes svar på i forbindelse med ansøgningen.

Hermed ophæves også overvejelserne om Mindste Relevante Kliniske Forskel (MRKF). Efter vores opfattelse er disse overvejelser stadig relevante – både når effekten er mindre end MRKF og lægemidlet alligevel står til en positiv anbefaling, og omvendt.

Virksomhedens tilbagemelding

Afsnittet om virksomhedens mulighed for at vedlægge et to-siders notat er lidt kryptisk. Det er uklart, hvorfor denne mulighed indføres og hvorfor notatet lige skal være to sider.

Beslutning om anbefaling

For mange patienter og patientorganisationer er det afgørende at få en vurdering af de kliniske fordele og ulemper af et nyt lægemiddel. Tilsvarende kan det være en fordel for de læger, der i dagligdagen anvender lægemidlet, at der findes en samlet klinisk vurdering. Derfor bør det anføres, at vurderingsrapporten vil indeholde en sammenfattende klinisk vurdering af det nye lægemiddel.

Proces for revurdering af en anbefaling

Det er fint, at virksomheder kan anmode Medicinrådet om at revurdere en anbefaling, men hvorfor er det kun virksomheder? Det kan være lige så relevant at for eksempel LVS, en patientforening eller en region anmoder om revurdering, hvis de kan dokumentere, at det er relevant.

Med venlig hilsen



Morten Freil
Direktør