

Muskelsvindfondens hørings svar til metodevejledning for vurdering af nye lægemidler.

Muskelsvindfonden hilser det grundlæggende velkomment, at der med indførelsen af QALY er kommet et større fokus på både gennemskuelighed i vurderingsprocessen af nye lægemidler, og at livskvalitet medtænkes som betydningsfuldt for vurderingen af et medikaments effekt.

Ligeledes er det positivt, at man fortsat vil basere sin vurdering på nogle grundlæggende principper, der blandt andet skal sikre lige adgang for store og små diagnosegrupper og hensyntagen til en sygdoms alvorsgrad.

Imidlertid er det ikke vores opfattelse, at disse 7 principper for prioritering af sygehuslægemidler og to tillægsprincipper om forsigtighed og alvorlighed hidtil har ydet fyldestgørende retfærdighed til blandt andet mennesker med muskelsvind.

I lighed med tidligere metodevejledninger er det også i aktuelle udkast til metodevejledning for vurdering af nye lægemidler nævnt, at ex. kliniske ekspertvurderinger kan spille en større rolle, hvor datamaterialet er sparsomt.

Dette anser vi for godt, relevant og vigtigt. Vi opfordrer derfor til, at Medicinrådet er meget opmærksomt på denne mulighed, når medicin til små diagnosegrupper skal vurderes.

Der er i oplægget lagt op til, at nye lægemidler skal sammenlignes med forskellige komparatorer.

Indenfor muskelsvindsspektret har der hidtil ikke været behandlingsalternativer for langt de fleste diagnosers vedkommende. Det er derfor vigtigt, at man tager muligheden for at vurdere effekten af ny medicin på et andet og mere kvalitativt grundlag meget alvorligt og rent faktisk også benytter sig af denne mulighed i praksis.

Som grundlag for beregningen af QALY nævnes gængse analysemetoder.

Med forbehold for at disse kan justeres og tilpasses et langt stykke hen ad vejen, tvivler Muskelsvindfonden dog på, om disse metoder med tilpas stor sensibilitet vil opfange små tegn på forbedringer, der ikke desto mindre for den enkelte vil opleves som en stor merværdi.

Eksempler kunne være en smule mere muskelstyrke, der gør den syge i stand til at kunne trække sit vejr selv eller kunne betjene en smartphone eller tablet og dermed tage del i sine omgivelser. Lige som også ophold i en forventelig progression af en sygdom kan opfattes som væsentlig ved denne type meget invaliderende og alvorlige handicap.

En kilde til usikkerhed er samtidig, at der ofte er stor variation af sygdomsbillede, -udvikling og -sværhedsgrad indenfor selv samme muskelsvinddiagnose og type.

Dette gør det komplekst og svært præcist at forudsige effekten af et givent lægemiddel for det enkelte individ på forhånd.

Og nødvendiggør kun i endnu større grad behovet for at vægte ekspertvurderinger og patientinddragelse forholdsvis højere, end tilfældet er i dag.

Stort set alle muskelsvindsdiagnoser er sjældne. Det vil derfor i sagens natur være forholdsvis dyrere at udvikle og prisfastsætte medicin til denne type sygdomme.

Der bør derfor tænkes i andre baner end de gængse, når man skal vurdere prisen til en sjælden diagnose, og en større betalingsvillighed må kunne forventes.

Ligesom man også kan overveje andre finansierings- og aftalemetoder. Eksempler kunne være puljefinansiering, no cure-no pay-modellen, protokolleret ibrugtagning over længere tid, m.m.

Opsummerende opfordrer vi til, at følgende medtænkes, når ny medicin til sjældne diagnoser - herunder muskelsvind - skal vurderes:

- **Ofte eksisterer ingen behandlingsalternativer.**
- **Stort set alle muskelsvindsdiagnoser er sjældne og alvorlige.**
- **Stor variabilitet indenfor samme diagnosegruppe og -type.**
- **Ophold i progression og små forbedringstegn kan være et succeskriterie.**
- **Lighed i adgangen til medicin.**
- **Større vægt på kliniske vurderinger.**
- **Større betalingsvillighed og måske andre metoder til finansiering.**

På vegne af Muskelsvindfonden

Sundhedspolitisk konsulent

Berit Byg

beby@muskelsvindfonden.dk

+45 2265 2461