

Medicinrådets procesvejledning for vurdering af nye lægemidler

Indholdsfortegnelse

Indledning.....	2
Om Medicinrådet	2
Medicinrådets fagudvalg	2
Medicinrådets sekretariat	3
Rådet.....	3
Medicinrådet udarbejder anbefalinger for sygehusforbeholdte lægemidler	3
1. Procesvejledningens opbygning	4
2. Anmodning om vurdering.....	4
3. Dialog inden ansøgning	5
4. Ansøgning	6
4.1 Validering af ansøgning	6
4.2 Supplerende data efter dag 0	6
5. Vurderingsrapport	7
5.1 Virksomhedens tilbagemelding på vurderingsrapporten.....	7
6. Forhandling.....	7
7. Beslutning om anbefaling	8
8. Sagsbehandlingstid og clock-stop.....	8
9. Tilbagetrækning af ansøgning	9
10. Proces for revurdering af en anbefaling.....	9
11. Transparens og offentlighed.....	9
12. Vurdering af nye lægemidler via behandlingsvejledning	10
12.1 Medicinrådets behandlingsvejledninger	10
12.2 Proces for vurdering af et nyt lægemiddel i en behandlingsvejledning	11
13. Procesvejledningens ikrafttrædelse	12
14. Ændring af processer	12
15. Versionslog	12

Indledning

Denne procesvejledning skal vejlede lægemiddelvirksomheder, som ønsker et nyt lægemiddel eller en indikationsudvidelse for et eksisterende lægemiddel vurderet i Medicinrådet. Procesvejledningen er også et arbejdsredskab for Medicinrådet, herunder rådsmedlemmer og fagudvalgsmedlemmer. Derudover kan procesvejledningen give øvrige interessenter indsigt i Medicinrådets proces for vurdering af nye lægemidler og indikationsudvidelser. I dette dokument anvendes begrebet ”nyt lægemiddel” om både nye lægemidler og indikationsudvidelser. Metoden for vurdering af nye lægemidler, herunder kravspecifikationer til ansøgninger til Medicinrådet, er beskrevet i Medicinrådets metodevejledning for vurdering af nye lægemidler. De to vejledninger udgør tilsammen grundlaget for Medicinrådets arbejde med vurdering af nye lægemidler.

Medicinrådets anbefaling vedrørende et lægemiddel tager udgangspunkt i en vurdering af, om lægemidlets effekt (målt i QALY) og sikkerhed står i et rimeligt forhold til omkostningerne ved ibrugtagning af lægemidlet. Arbejdet med at vurdere nye lægemidler sker inden for de politiske rammer af Folketingets syv overordnede principper for prioritering af sygehuslægemidler samt de to principper om forsigtighed og alvorlighed, som Medicinrådet i særlige tilfælde kan inddrage. Folketingets syv principper og en beskrivelse af, hvordan Medicinrådet anvender alvorlighedsprincippet, findes på Medicinrådets hjemmeside:

www.medicinraadet.dk.

Om Medicinrådet

Medicinrådet blev etableret den 1. januar 2017 af Danske Regioner. Medicinrådet udarbejder anbefalinger og vejledninger til regionerne om anvendelse af lægemidler. Medicinrådets kommissorium, forretningsorden mv. kan findes på Medicinrådets hjemmeside.

Medicinrådet består af tre enheder: fagudvalgene, sekretariatet og Rådet, som er nærmere beskrevet herunder.

Medicinrådets fagudvalg

Når Medicinrådet skal udarbejde anbefalinger vedrørende brug af lægemidler, etablerer Medicinrådet et fagudvalg bestående af medlemmer med specifik viden inden for den pågældende sygdom, herunder læger, sygeplejersker, farmaceuter, patienter m.fl. Fagudvalgene bistår Medicinrådet med lægefaglige, lægemiddelfaglige og patientorienterede vurderinger. Hvert fagudvalgs sammensætning og opgaver er beskrevet i fagudvalgets kommissorium, som godkendes af Rådet. En liste over alle fagudvalg og deres kommissorier kan ses på Medicinrådets hjemmeside. Fagudvalgene er stående udvalg, som bliver indkaldt efter behov. Fagudvalgsmedlemmer bliver udpeget for en periode på to år med mulighed for genudpegning. Fagudvalgsmedlemmer skal afgive oplysninger om habilitet i henhold til Medicinrådets habilitetspolitik.

Et fagudvalg består typisk af følgende medlemmer:

- En formand indstillet af Lægevidenskabelige Selskaber (LVS) og udpeget af Rådet
- Medlemmer udpeget af regionerne
- Medlemmer udpeget af relevante videnskabelige selskaber, herunder Dansk Selskab for Klinisk Farmakologi, Dansk Selskab for Sygehusapoteksledelse og det relevante videnskabelige selskab for det pågældende sygdomsområde
- En-to sygeplejersker udpeget af Dansk Sygepleje Selskab (DASYS)
- En-to patienter/patientrepræsentanter udpeget af Danske Patienter.

Herudover kan fagudvalgsformanden udpege medlemmer med særlige kompetencer eller viden, som er nødvendigt for fagudvalgets arbejde, f.eks. en fysioterapeut, diætist eller andet.

Patienterne/patientrepræsentanterne bidrager med bl.a. erfaringsbaseret viden fra deres eget sygdomsforløb og, når muligt, andre patienters erfaringer med sygdommen og de lægemidler, der bliver brugt i behandlingen. Se Medicinrådets hjemmeside for flere informationer om inddragelse af patienter i fagudvalgene.

Medicinrådets sekretariat

Sekretariatet betjener Rådet og fagudvalgene. Til hver vurdering er der tilknyttet en projektgruppe fra sekretariatet. Projektgruppen er proces- og metodeansvarlig for vurderingen og består af sundhedsvidenskabelige konsulenter og sundhedsøkonomer. Projektgruppen skal sikre, at virksomhedernes ansøgninger og analyser lever op til de standarder, som er beskrevet i Medicinrådets metodevejledning, og sikre, at vurderingsprocessen følger denne vejledning. Projektgruppen faciliterer fagudvalgenes arbejde ved fagudvalgsmøderne og udarbejder mødemateriale, herunder udkast til vurderingsrapporter. Sekretariatets biostatistikere og informationsspecialister er involveret i arbejdet med vurderingen ved behov. Projektgruppen varetager kontakten med Amgros og virksomheden undervejs i processen.

Rådet

Rådet udgør den øverste ledelse af Medicinrådet. Rådet beslutter, om det kan anbefale nye lægemidler og indikationsudvidelser som mulig standardbehandling på landets hospitaler på baggrund af et samlet beslutningsgrundlag, som fagudvalget, sekretariatet og Amgros forelægger Rådet.

Når Medicinrådet anbefaler et lægemiddel som mulig standardbehandling, betyder det, at Rådet vurderer, at lægemidlets samlede effekt står i et rimeligt forhold til omkostningerne og ulemperne forbundet med anvendelsen af lægemidlet. Implementering af Medicinrådets anbefalinger er et regionalt anliggende.

Rådets kommissorium og sammensætning samt information om tidligere og kommende rådsmøder findes på Medicinrådets hjemmeside.

Medicinrådet udarbejder anbefalinger for sygehusforbeholdte lægemidler

Virksomheder, der har søgt om tilladelse til at markedsføre et nyt lægemiddel eller en indikationsudvidelse i Danmark, kan kontakte Medicinrådet med henblik på at få vurderet, om Medicinrådet kan anbefale lægemidlet som mulig standardbehandling i Danmark. Medicinrådet vurderer lægemidler, som indgår eller forventes at indgå i en af disse udleveringsgrupper:

- BEGR: Lægemidler, der kun må udleveres til sygehuse.
- AP4BG: Lægemidler, der kun må udleveres til sygehuse og kun én gang efter samme recept.
- AP4NB: Lægemidler, der kun må udleveres til sygehuse eller efter ordination af udvalgte speciallæger.
- NBS: Lægemidler, der kun må udleveres til sygehuse eller efter anvisning af læger på sygehuse samt efter anvisning af nærmere bestemte speciallæger. Medicinrådet vurderer som udgangspunkt kun de lægemidler i denne gruppe, som kun må udleveres til sygehuse.

Medicinrådet kan desuden beslutte at vurdere lægemidler og indikationsudvidelser på eget initiativ, f.eks. på baggrund af et ønske fra en eller flere regioner. Det kan være lægemidler omfattet af ovennævnte udleveringsgrupper såvel som andre lægemidler.

1. Procesvejledningens opbygning

Medicinrådets proces for vurdering af nye lægemidler og indikationsudvidelser forløber overordnet i følgende trin:

- Anmodning om vurdering
- Dialog inden ansøgning
- Ansøgning
- Vurderingsrapport
- Forhandling
- Beslutning om anbefaling.

En sædvanlig proces varer op til 16 uger, fra den dag sekretariatet modtager en fyldestgørende ansøgning (dag 0), til der foreligger en anbefaling fra Medicinrådet.

De enkelte trin fremgår af nedenstående figur og gennemgås enkeltvis i vejledningens afsnit 2-7.

Proceslinje



I afsnit 8-11 beskrives retningslinjer for Medicinrådets sagsbehandlingstid og brug af clock-stops, virksomhedens muligheder for at trække en ansøgning tilbage, proces for revurdering af en anbefaling, samt hvilke informationer og dokumenter Medicinrådet offentliggør hvornår. I nogle tilfælde kan Medicinrådet vurdere nye lægemidler eller indikationsudvidelser ved at opdatere eller udarbejde en ny behandlingsvejledning. Dette er tilfældet, hvis lægemidlets effekt- og sikkerhedsprofil er sammenlignelig med eksisterende behandlingsmuligheder, og Medicinrådet derfor forventer at kunne ligestille lægemidlet med eksisterende lægemidler. Dette er beskrevet i afsnit 12. Ikrafttrædelsen af denne procesvejledning er beskrevet i afsnit 13.

2. Anmodning om vurdering

En virksomhed, der ønsker et lægemiddel vurderet i Medicinrådet, skal indsende en anmodning om vurdering til Medicinrådets sekretariat tidligst ved dag 120 i vurderingsprocessen hos European Medicines Agency (EMA) for nye lægemidler i normal godkendelsesprocedure i EMA og tidligst ved dag 1 for indikationsudvidelser og for nye lægemidler i accelereret godkendelsesprocedure i EMA.

Der skal bruges et skema, som hentes på Medicinrådets hjemmeside og sendes til Medicinrådets hovedpostkasse: medicinraadet@medicinraadet.dk.

Anmodningen tilkendegiver, at lægemiddelvirksomheden ønsker, at lægemidlet vurderes af Medicinrådet. Medicinrådets sekretariat anvender anmodningen til at gå i dialog med virksomheden om indholdet i deres ansøgning og planlægge vurderingsprocessen, herunder sikre at der er nedsat et fagudvalg.

I skemaet skal virksomheden udfylde oplysninger, der dækker:

- Navn på virksomheden
- Kontaktperson samt evt. fuldmagt, hvis virksomheden anvender en ekstern repræsentant.
- Lægemiddelinformationer (bl.a. ATC-kode, administrationsform, dosering)
- Forventet tidslinje for udstedelse af markedsføringstilladelse og for endelig ansøgning til Medicinrådet
- Kort om sygdommen og eksisterende behandling i Danmark
- Det nye lægemiddel
- Evt. relation til eksisterende behandlingsvejledning
- Evt. yderligere information beskrevet i afsnit 3. Dialog inden ansøgning.

Hvis der er behov for etablering af et nyt fagudvalg til at foretage vurderingen, påbegynder sekretariatet etablering af fagudvalget ved modtagelse af en anmodning om vurdering.

Når Medicinrådet har modtaget en anmodning om vurdering fra virksomheden, vil Medicinrådet offentliggøre virksomhedens navn, lægemidlets generiske navn og indikation. Der oprettes en procesindikator for vurderingen på Medicinrådets hjemmeside. Procesindikatoren opdateres løbende og angiver, hvor langt Medicinrådet er nået i sin vurdering af lægemidlet, samt hvornår det forventes, at Rådet tager stilling til anbefalingen. Se også afsnit 11 om transparens og offentlighed.

3. Dialog inden ansøgning

Når virksomheden har indsendt en anmodning om vurdering, kan den bede om et møde med sekretariatets projektgruppe, med henblik på at få rådgivning om ansøgningen og processen. Forud for mødet skal virksomheden sende eventuelle spørgsmål og gerne relevant materiale, så sekretariatet kan forberede sig bedst muligt og ved behov konferere med fagudvalgsmedlemmer om spørgsmål vedrørende sygdommen, behandlingen og dansk klinisk praksis. Det kan f.eks. være information om:

- Studiekarakteristika for relevante kliniske studier
- Resultater fra kliniske studier
- Forventet sundhedsøkonomisk analyse
- Igangværende studier
- Andre relevante oplysninger.

Hvis virksomheden allerede ved anmodningen om vurdering ved, at de ønsker dialog med sekretariatet om ansøgningen, kan virksomheden tilføje de nødvendige informationer og eventuelle spørgsmål i skemaet for anmodning om vurdering.

I nogle tilfælde kan sekretariatet og fagudvalgsformanden skønne, at det er nødvendigt at fagudvalgsformanden eller et fagudvalgsmedlem deltager i mødet med virksomheden. Det kan f.eks. være i tilfælde, hvor der kun er sparsom viden om sygdommen og/eller behandlingen i Danmark.

På mødet kan virksomheden få generel rådgivning. Sekretariatet kan ikke udtale sig bindende om den konkrete sag. Indhold og valg i ansøgningen er til enhver tid virksomhedens ansvar.

Ud over mødet kan virksomheden løbende rette henvendelse til projektgruppen i sekretariatet, hvis der er yderligere spørgsmål.

4. Ansøgning

Virksomheden kan indsende en ansøgning til Medicinrådet, når EMAs Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) har givet en positiv udtalelse (positive opinion). Ansøgningsskema findes på Medicinrådets hjemmeside, og kravspecifikationer til ansøgninger fremgår af Medicinrådets metodevejledning

En ansøgning til Medicinrådet omfatter et udfyldt ansøgningsskema, en sundhedsøkonomisk analyse samt en budgetkonsekvensanalyse. Den sundhedsøkonomiske analyse og budgetkonsekvensanalysen skal indsendes i excel-format.

Ansøgningsmaterialet skal sendes til Medicinrådets hovedpostkasse (medicinraadet@medicinraadet.dk).

Sekretariatet tilrettelægger vurderingsprocessen efter den dato for indsendelse af ansøgning, som virksomheden har angivet i den tidligere indsendte anmodning. Hvis ansøgningen ikke indsendes på det tidspunkt, som virksomheden har aftalt med sekretariatet, vil det kunne betyde længere sagsbehandling, og dermed at Rådets beslutning om anbefaling må udskydes til et senere møde. Se også afsnit 8 om sagsbehandlingstid og clock-stop.

4.1 Validering af ansøgning

Sekretariatet foretager en teknisk validering af ansøgningen ved at gennemgå ansøgningsmaterialet for at sikre, at alle kravspecifikationer er opfyldt. Valideringen omfatter blandt andet kontrol af, om ansøgningsskemaet er korrekt udfyldt med relevante oplysninger og kildehenvisninger, og om den sundhedsøkonomiske analyse er leveret i excel-format med mulighed for at ændre relevante parametre. Alle input i modellen skal være fuldt manipulerbare, og ved ændringer skal modellen automatisk opdatere alle resultater, følsomhedsanalyser etc.

Virksomheden får besked om, hvorvidt ansøgningen kan accepteres og betragtes som fyldestgørende hurtigst muligt, dog senest inden for 10 arbejdsdage, såfremt ansøgningen er indsendt på det aftalte tidspunkt. Hvis ansøgningen ikke accepteres, medfølger en kort begrundelse. Virksomheden skal hurtigst muligt give besked om, hvornår de forventer at sende en ny/opdateret ansøgning af hensyn til planlægningen i sekretariatet og fagudvalget. Når virksomheden sender en justeret ansøgning, starter sekretariatets validering på ny.

Dag 0 er den dag, Medicinrådet modtager en ansøgning, som i valideringen bliver vurderet fyldestgørende.

4.2 Supplerende data efter dag 0

Hvis virksomheden efter dag 0 får adgang til yderligere data, som ikke er indeholdt i den oprindelige ansøgning, og som ændrer væsentligt på analysen, kan disse sendes til sekretariatet i form af et bilag til den oprindelige ansøgning og en opdateret sundhedsøkonomisk analyse. Nye data, som indsendes efter dag 0, kan medføre, at fagudvalget skal inddrages på ny, og at vurderingsrapporten skal justeres. Hvis der indsendes supplerende data efter dag 0, vil det kunne betyde længere sagsbehandling, og dermed at Rådets beslutning om anbefaling må udskydes til et senere møde.

5. Vurderingsrapport

Sekretariatet og fagudvalget samarbejder om at gennemgå og vurdere virksomhedens ansøgningsmateriale. Vurderingsrapporten indeholder en beskrivelse og vurdering af de kliniske studier, lægemidlets effekt og sikkerhed i forhold til komparator(er) samt en beskrivelse og vurdering af virksomhedens sundhedsøkonomiske analyse. Resultaterne fra de kliniske studier og fra den sundhedsøkonomiske analyse samt de væsentligste usikkerheder præsenteres i rapporten. Fagudvalgets kliniske vurderinger og kommentarer til de estimerede resultater og væsentligste usikkerheder vil fremgå af rapporten.

Fagudvalget skal vurdere de kliniske studiers resultater og kvalitet samt vurdere, hvorvidt studiepopulationer og komparator(er) svarer til dansk klinisk praksis. Sekretariatets projektgruppe har ansvaret for den tekniske gennemgang af de metoder, som er anvendt i de kliniske og sundhedsøkonomiske analyser. Sekretariatet identificerer de dele af den sundhedsøkonomiske analyse og budgetkonsekvensanalyse, som fagudvalget skal vurdere, for at sikre at disse korrekt afspejler danske kliniske forhold.

Fagudvalget og projektgruppen mødes og udarbejder vurderingsrapporten på et og eventuelt flere fagudvalgsmøder.

Hvis fagudvalget eller sekretariatet i processen opdager fejl, ønsker ændringer i ansøgningen, mangler væsentlige informationer eller har spørgsmål til virksomheden, sammenfattes disse i en henvendelse til virksomheden. Se mere herom i afsnit 8 om sagsbehandlingstid og clock-stop.

Når fagudvalget og sekretariatet har færdiggjort vurderingsrapporten, sendes den til virksomheden og Amgros. Dette sker som udgangspunkt 12 uger efter dag 0.

5.1 Virksomhedens tilbagemelding på vurderingsrapporten

Virksomheden anmodes om at gennemse udkastet til vurderingsrapporten for faktuelle fejl og kontrollere, at alle informationer, de betragter som fortrolige, er markerede i rapporten. Virksomheden har desuden mulighed for at skrive et to-siders notat, som lægges ved vurderingsrapporten, når Rådet skal behandle sagen. Her kan virksomheden anføre supplerende information, som de ønsker, at Rådet skal oplyses om. Notatet må ikke indeholde nye data, som ikke er anvendt i virksomhedens ansøgning. Notatet offentliggøres med blanding af eventuelle fortrolige oplysninger. Virksomheden har 10 dage til at indsende deres eventuelle kommentarer og notat.

6. Forhandling

På baggrund af vurderingsrapporten forhandler Amgros med virksomheden om prisen på lægemidlet. Forhandlingen med Amgros finder sted samtidig med, at virksomheden har udkastet til vurderingsrapporten til gennemlæsning. En medarbejder fra sekretariatet kan deltage som observatør ved Amgros' forhandlinger med virksomheder.

Når forhandlingen er afsluttet, sender Amgros et forhandlingsnotat til sekretariatet med de forhandlede priser.

Sekretariatet opdaterer vurderingsrapporten på baggrund af aftalepriserne fra Amgros.

Hvis der opstår forsinkelse i forhandlingen, som følge af forhold i virksomheden, kan Amgros give sekretariatet besked om, at der bør udløses et clock-stop. Rådets beslutning om anbefaling vil i så fald blive udskudt til et senere rådsmøde. Se også afsnit 8 om sagsbehandlingstid og clock-stop.

For yderligere informationer om forhandlingsprocessen henviser Medicinrådet til Amgros.

7. Beslutning om anbefaling

Sekretariatet udarbejder et beslutningsgrundlag til Rådet på baggrund af vurderingsrapporten samt Amgros' forhandlingsnotat.

Rådet præsenteres, af repræsentanter fra fagudvalget og projektgruppen, for vurderingsrapporten. Fokus i præsentationen vil være på resultaterne fra de primære kliniske studier, den sundhedsøkonomiske analyse samt de væsentligste usikkerheder, som Rådet skal være opmærksomme på. Rådet kan efterfølgende stille spørgsmål til repræsentanterne fra fagudvalget og sekretariatet. Amgros præsenterer forhandlingsnotatet og svarer ligeledes på eventuelle spørgsmål fra Rådet. Det er alene Rådet, der træffer beslutning om anbefaling.

Når Rådet skal beslutte, om lægemidlet skal anbefales som mulig standardbehandling, vurderer det, om lægemidlets effekt og sikkerhed står i et rimeligt forhold til omkostningerne ved ibrugtagning af lægemidlet. Denne vurdering sker med udgangspunkt i Folketingets syv overordnede principper for prioritering af sygehuslægemidler samt principperne om forsigtighed og alvorlighed. I vurderingen af, om usikkerhederne kan accepteres, kan Rådet inddrage overvejelser om patientgruppens størrelse, og hvorvidt man med rimelighed kunne have forventet mere eller bedre data for lægemidlets effekt. Folketingets syv principper og en beskrivelse, af hvordan Medicinrådet anvender alvorlighedsprincippet, findes på Medicinrådets hjemmeside: www.medicinraadet.dk.

Rådet kan i forbindelse med anbefalingen opfordre til, at der bliver indsamlet yderligere data, f.eks. om lægemidlets effekt blandt danske patienter, inden for en defineret tidsperiode, med henblik på evt. at revurdere anbefalingen, når der er tilstrækkelige nye data. Det kan f.eks. være i vurderinger, hvor det tilgængelige datagrundlag er behæftet med væsentlig usikkerhed, eller hvor Rådet ønsker at se bivirkningsdata efter en tidsperiode.

Rådet formulerer sin anbefaling, og Medicinrådet offentliggør anbefalingen umiddelbart derefter.

8. Sagsbehandlingstid og clock-stop

Medicinrådet skal vurdere nye lægemidler på 16 uger fra den dag, sekretariatet modtager en fyldestgørende ansøgning (dag 0), til der foreligger en anbefaling.

Hvis der undervejs i processen opstår udskydelser fra virksomhedens side, f.eks. hvis virksomheden indsender en ansøgning senere end aftalt, eller der opstår forsinkelser i forhandlingen med Amgros som følge af forhold hos virksomheden, vil disse ikke tælle med i sagsbehandlingstiden.

Hvis sekretariatet, fagudvalget eller Rådet i processen mangler væsentlige informationer, anmoder om ændringer i analyserne eller har spørgsmål til virksomheden, sammenfattes disse i en henvendelse til virksomheden. Virksomheden vil få tre arbejdsdage til at besvare spørgsmålene. Hvis virksomheden har brug for mere end tre dage til at levere de efterspurgte informationer, sættes vurderingsprocessen på pause (clock-stop), indtil sekretariatet har modtaget informationerne. Virksomheden skal hurtigst muligt give sekretariatet besked om, hvornår de forventer at indsende et svar af hensyn til den videre planlægning.

Medicinrådet har mulighed for at foretage et udvidet clock-stop i helt særlige sager, hvor der opstår uforudsigelige faglige problemstillinger i forbindelse med Rådets vurdering af et lægemiddel. I de sager kan

Rådet have behov for at indhente nye oplysninger eller kvalificere data yderligere for at kunne vurdere sagen. Med det udvidede clock-stop opnår Medicinrådet blandt andet mulighed for at have en uddybende dialog med et fagudvalg eller at drøfte en sag på endnu et møde i Rådet. Udvidet clock-stop vil betyde en forsinkelse af processen.

9. Tilbagetrækning af ansøgning

En virksomhed kan til enhver tid i processen trække sin ansøgning tilbage ved skriftligt at meddele sekretariatet herom. Idet Medicinrådet kan tage sager op af egen drift, kan Rådet vælge at lade sagsbehandlingen af den tilbagetrukne ansøgning fortsætte. Medicinrådet kan lade allerede indsendte dokumenter fra virksomhedens side indgå i den videre behandling. Medicinrådet kan offentliggøre dokumenter på hjemmesiden i samme omfang, som hvis ansøgningen ikke var trukket tilbage. Se nærmere om håndtering af fortrolige oplysninger i afsnit 11.

10. Proces for revurdering af en anbefaling

Virksomheder kan anmode Medicinrådet om at revurdere en anbefaling. Medicinrådet vil som udgangspunkt være positivt indstillet overfor dette, hvis der foreligger nye informationer, der viser betydende ændring i den kliniske effekt og sikkerhed og/eller i resultatet af den sundhedsøkonomiske analyse.

Virksomheden skal opdatere ansøgningen med de nye informationer og indsende ansøgningen på ny med tydelig markering af ændringer i forhold til den oprindelige version. På baggrund af de nye informationer informerer sekretariatet Rådet om, at der foreligger nye informationer, som ændrer på resultaterne i vurderingsrapporten. Rådet tager på den baggrund stilling til, om det bør revurdere anbefalingen. Medicinrådet har i denne proces mulighed for at revurdere alle elementer af ansøgningen.

Medicinrådet kan desuden revurdere en anbefaling, hvis virksomheden ønsker at reducere prisen væsentligt på lægemidlet. I det tilfælde får sekretariatet besked fra Amgros om, at prisen er ændret væsentligt, og opdaterer den sundhedsøkonomiske analyse med den nye lægemiddelpriis. På baggrund af den nye pris og en opdateret analyse vurderer Rådet, om anbefalingen bør revurderes. Medicinrådet har også i denne proces mulighed for at revurdere alle elementer af ansøgningen.

Medicinrådet kan også af egen drift, f.eks. på baggrund af henvendelser fra faglige selskaber om nye informationer om lægemidlet eller sygdomsområdet, beslutte at gennemføre en revurdering af en anbefaling.

11. Transparens og offentlighed

For at sikre transparens i processen med vurdering af nye lægemidler og indikationsudvidelser offentliggør Medicinrådet løbende relevante oplysninger.

På Medicinrådets hjemmeside bliver en procesindikator løbende opdateret, fra Medicinrådet modtager virksomhedens anmodning om vurdering, til Rådet har besluttet, om det vil anbefale lægemidlet som mulig standardbehandling.

Medicinrådet offentliggør følgende informationer på procesindikatoren:

- Virksomhedens navn, lægemidlets generiske navn og indikation. Medicinrådet offentliggør disse oplysninger, når virksomheden indsender en anmodning om vurdering, dvs. tidligst ved EMA dag 120 for nye lægemidler i normal godkendelsesprocedure i EMA og tidligst ved dag 1 for indikationsudvidelser og for nye lægemidler i accelereret godkendelsesprocedure i EMA. Medicinrådet offentliggør ikke virksomhedens anmodning om vurdering.
- Dato for dag 0. Medicinrådet offentliggør datoen, når ansøgningen er accepteret.
- Dato, hvor vurderingsrapporten er sendt til Amgros og virksomheden.
- Dato, hvor Amgros har sendt resultat af forhandlingen til sekretariatet.
- Dato for Medicinrådets beslutning om anbefaling.
- Eventuelle clock-stops.

Medicinrådet offentliggør følgende dokumenter i forbindelse med Medicinrådets anbefaling:

- Medicinrådets anbefaling
- Medicinrådets vurderingsrapport
- Virksomhedens ansøgning samt evt. to-siders notat til Rådet
(Medicinrådet offentliggør ikke virksomhedens sundhedsøkonomiske model, som er indsendt i Excel, og eventuelt tekniske dokument, som medfølger)
- Amgros' forhandlingsnotat (fortrolige oplysninger blændes).

Som beskrevet i Medicinrådets fortrolighedspolitik kan virksomheder ønske, at Medicinrådet holder oplysninger fortrolige, der er delt med Medicinrådet. Virksomheden bør gøre opmærksom på dette, når den fremsender dokumenter til Medicinrådet, ved tydeligt at markere, hvilke oplysninger der er fortrolige. Idet Medicinrådets anbefalinger bygger på transparens, vil data, der ligger til grund for vurderingen af det nye lægemiddel eller indikationsudvidelsen, som udgangspunkt blive offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside, når Medicinrådet offentliggør vurderingsrapporten. Der kan dog jf. Medicinrådets kriteriepapir vedr. upublicerede data være tilfælde, hvor data først kan offentliggøres senest efter 1 år.

12. Vurdering af nye lægemidler via behandlingsvejledning

I nogle tilfælde kan Medicinrådet vurdere nye lægemidler, indikationsudvidelser eller nye formuleringer af kendte lægemidler ved at opdatere en eksisterende behandlingsvejledning udarbejdet efter Medicinrådets metoder eller udarbejde en ny behandlingsvejledning. Dette er tilfældet, hvis lægemidlets effekt- og sikkerhedsprofil er sammenlignelig med eksisterende behandlingsmuligheder, og Medicinrådet derfor forventer at kunne ligestille lægemidlet med eksisterende behandlingsmuligheder.

12.1 Medicinrådets behandlingsvejledninger

Medicinrådet udarbejder fælles regionale behandlingsvejledninger, som beskrevet i Metodehåndbog for Medicinrådets vurdering af flere lægemidler inden for samme terapiområde. I en behandlingsvejledning har Medicinrådet vurderet flere lægemidler inden for samme sygdomsområde. Når to eller flere lægemidler er vurderet at have sammenlignelig effekt og sikkerhed til en patientgruppe, kan Medicinrådet vælge at ligestille dem. Ved en ligestilling forventer Medicinrådet, at hovedparten af patienterne opnår samme effekt af behandlingen, uanset hvilke af de ligestillede lægemidler de får.

Medicinrådet udarbejder omkostningsanalyser for ligestillede lægemidler, hvilket danner grundlag for en udbudsrunde i Amgros. På baggrund af udbudsrundens resultat og omkostningsanalyserne udarbejder Medicinrådet en lægemiddelrekommandation, hvor det lægemiddel, som er forbundet med de laveste samlede omkostninger for regionerne, er anbefalet som førstevalg. Behandlingsvejledninger kan derved skabe øget konkurrence, når flere lægemidler med ensartet klinisk virkning bliver tilgængelige på markedet.

Til forskel fra processen for vurdering af nye lægemidler og indikationsudvidelser beskrevet i afsnit 4-7 er det sekretariatet og fagudvalgene og ikke virksomhederne, der udfører litteratursøgning, dataekstraktion og analyser. Det er også sekretariatet, der udarbejder omkostningsanalyserne. Undervejs i processen kan Medicinrådet inddrage virksomhederne og bede om supplerende oplysninger og bidrag til bestemte problemstillinger.

12.2 Proces for vurdering af et nyt lægemiddel i en behandlingsvejledning

Virksomheder kan anmode Medicinrådet om at vurdere et nyt lægemiddel direkte i en behandlingsvejledning, hvis virksomheden vurderer, at lægemidlets effekt og sikkerhed hverken er bedre eller dårligere end eksisterende lægemidler. Virksomheden angiver dette i deres anmodning om vurdering, beskrevet i afsnit 2.

Hvis fagudvalget og Rådet er enige i, at Medicinrådet bør vurdere lægemidlet i en behandlingsvejledning, kan virksomheden undlade at følge standardprocessen beskrevet i afsnit 4-7. Formålet med at vurdere lægemidlet direkte i en behandlingsvejledning er at opnå en hurtigere indplacering af det nye lægemiddel i den relevante behandlingsvejledning og lægemiddelrekommandation. Opdatering af en Medicinrådets behandlingsvejledning skal som udgangspunkt ske inden for 16 uger. Hvis Medicinrådet vurderer, at behandlingsvejledningen ikke kan opdateres inden for cirka 16 uger, kan Medicinrådet beslutte at vurdere lægemidlet i en standardproces for vurdering af nye lægemidler.

Vurdering af nye lægemidler og indikationsudvidelser i forbindelse med en behandlingsvejledning forløber efter følgende proces:

1. I anmodningen om vurdering angiver virksomheden, at det nye lægemiddel eller indikationsudvidelsen angiveligt kan ligestilles med eksisterende lægemidler, og at virksomheden ønsker, at Medicinrådet vurderer lægemidlet ved at udarbejde eller opdatere en behandlingsvejledning. Anmodningen skal indeholde passende dokumentation for, at lægemidlerne har ensartet effekt og sikkerhed i form af en sammenligning af det nye lægemiddel og relevante komparatorer på centrale effekt- og sikkerhedsparametre inden for sygdomsområdet.
2. På baggrund af virksomhedens anmodning vurderer fagudvalget, om de er enige med virksomheden i, at lægemidlet ser ud til at være ligeværdigt med eksisterende lægemidler. Hvis det er tilfældet, indstiller fagudvalget og sekretariatet til Rådet, at Medicinrådet skal vurdere lægemidlet ved at udarbejde eller opdatere en behandlingsvejledning.
3. Medicinrådet udarbejder en behandlingsvejledning eller opdaterer den eksisterende behandlingsvejledning. Rådet godkender herefter behandlingsvejledningen.
4. Medicinrådet udarbejder eller opdaterer et udvidet sammenligningsgrundlag. Rådet godkender herefter sammenligningsgrundlaget.
5. Amgros orienterer sekretariatet om nye priser. Amgros opnår nye priser enten via forhandling eller ved publicering af et udbud.
6. Sekretariatet opdaterer eller udarbejder lægemiddelrekommandationen, som Rådet efterfølgende godkender.

Hvis fagudvalget og Rådet finder det dokumenteret, at lægemidlet er ligeværdigt med eksisterende behandlinger, kan Rådet beslutte, at et lægemiddel vurderes i denne proces, selvom virksomheden ikke har anmodet om det.

13. Procesvejledningens ikrafttrædelse

Denne procesvejledning erstatter sammen med Medicinrådets metodevejledning for vurdering af nye lægemidler den tidligere Håndbog for Medicinrådets proces og metode vedr. nye lægemidler og indikationsudvidelser. Denne vejledning er gældende for alle ansøgninger til Medicinrådet, hvor en anmodning om vurdering er indsendt til Medicinrådet per den 1. januar 2021. Sager, hvor der inden den 1. januar 2021 har været indsendt en foreløbig ansøgning i tråd med Medicinrådets tidligere proces, bliver som udgangspunkt færdiggjort efter proces og metode beskrevet i Håndbog for Medicinrådets proces og metode vedr. nye lægemidler og indikationsudvidelser.

14. Ændring af processer

Medicinrådet offentliggør ændringer til processer beskrevet i denne vejledning på Medicinrådets hjemmeside og opdaterer vejledningen (se versionslog). Sekretariatet orienterer virksomhederne om eventuelle ændringer i forbindelse med en ansøgningsproces.

15. Versionslog

Version til høring	19. august 2020
Version til Danske Regioners bestyrelse	28. oktober 2020