

POLICYDOKUMENT

PASIENTTILGANGSAVtaler I NORGE

Dato: 06.05.2015

- For å bedre pasienters tilgang til nye medisiner, har mange land egne rammeverk for pasienttilgangsavtaler. Det har ikke Norge.
- Pasienttilgangsavtaler kan defineres som en avtale mellom innkjøper og leverandør som finansierer og sikrer pasienter tilgang til særskilt lovende nye medisiner. Dette for å regulere balansen mellom verdien og kostnaden ved bruk av et legemiddel til et nivå som er akseptabelt for begge parter.
- Disse medisinene følges da oftest videre opp når de har kommet på markedet. Faktisk kunnskap om nye legemidler i klinisk praksis er kun mulig å oppnå når legemidlet anvendes og tas i bruk på flere pasienter over lengre tid.
- LMI mener at innkjøpere og helsetjenesten har rett til å vurdere verdien av en ny medisin og gjøre seg opp en mening om prisen utgjør "verdi for pengene" - enten gjennom en vurdering av ekstra klinisk nytte eller en økonomisk vurdering som f.eks. en kostnadseffektivitetsvurdering.

Hva er pasienttilgangsavtaler?

Det er en økende anerkjennelse i samfunnet, hos myndigheter og politikere samt aktørene i helsetjenesten om viktigheten av å fremme innovasjon, å kunne gi pasienter rask tilgang til nye lovende medisiner og forbedret behandling, samtidig som man sikrer at dette gir en nytteverdi for pengene og en mer bærekraftig håndtering av helsetjenestens ressurser. Det er derfor en økende interesse rundt utviklingen av avtaler som i spesielle tilfeller gir pasientene effektiv tilgang til ny behandling og nye medisiner. Samtidig eksisterer det en bekymring for hva disse avtalene vil innebære for industrien, helsetjenesten og pasientene.

Pasienttilgangsavtaler er ofte referert til som «*Managed Entry Agreements (MEAs)*», og benyttes i økende grad i flere europeiske land. Pasienttilgangsavtaler kan defineres som en avtale mellom innkjøper og leverandør som finansierer og sikrer tilgang til nye medisiner i spesielle tilfeller. Medisiner som har vist svært god effekt i kliniske studier, men som foreløpig ikke er benyttet på store pasientgrupper over tid, kan være et eksempel på dette. Pasienttilgangsavtaler kan sikre at pasienter får tilgang til de lovende medisinene mens den vitenskapelige og finansielle usikkerheten undersøkes nærmere.

Hvorfor trenger vi pasienttilgangsavtaler?

Usikkerhet kan oppstå hvis vi ikke har all informasjon tilgjengelig når en beslutning skal tas. Usikkerheten dreier seg oftest omkring nytten den nye medisinen har for pasientene eller for helsetjenesten:

- *Om klinisk effekt og/eller kostnadseffektivitet*
- *Om riktig klinisk bruk*
- *Om budsjettmessige konsekvenser*

Betalere ønsker å minimere risiko ved usikkerhet og maksimere verdien før de gjør en investering. Dagens prissystemer og innkjøpsordninger er ikke tilstrekkelig tilpasset til å håndtere situasjoner der en ønsker å ta i bruk svært lovende medisiner før all kunnskap om et legemiddels effekt og potensielle bivirkninger i klinisk praksis er tilgjengelig. Det er derfor behov for å utvikle en mer fleksibel løsning som kan ta hensyn til et mer differensiert syn på nye medisiners merverdi, i et livsløpsperspektiv, inkludert hvilken verdi de tilfører samfunnet, og deres bidrag til håndtering av sykdommen på et overordnet nivå.

Pasienttilgangsavtaler kan være nyttige instrumenter for å kunne gi pasienter raskere og mer målrettet tilgang til innovative medisiner, samtidig som man adresserer usikkerhet om klinisk nytteverdi ved godkjenning, hvilken plass medisinen skal ha i pasientbehandlingen og potensielle budsjettmessige konsekvenser.

Når er pasienttilgangsavtaler hensiktsmessig?

LMI mener at innkjøpere og helsetjenesten bør vurdere verdien av en ny medisin og gjøre seg opp en mening om prisen utgjør "verdi for pengene". Dette gjøres gjennom en vurdering av kliniske og økonomiske konsekvenser ved bruk og finansiering av legemidlet.

Legemiddelutvikling kjennetegnes ved at når et legemiddel kommer på markedet eksisterer oftest data kun i form av randomiserte kliniske studier (RCTer). Disse studiene har høy intern validitet, men medfører at verdien et nytt legemiddel har i klinisk praksis ikke er fullt ut kartlagt basert på tilgjengelige data ved lansering.

De regulatoriske godkjenningsordningene i Europa har flere virkemidler for å fremme innovasjon, forskning og utvikling av nye legemidler på områder der det er et stort medisinsk behov. Et av insentivene kan være at man for særskilt lovende medisiner kan oppnå en raskere markedstilgang med mindre dokumentasjon sammenlignet med andre medisiner. For enkelte medisiner kan det derfor være større usikkerhet om hvordan disse vil fungerer i klinisk praksis første gang de blir godkjent på det norske markedet. Disse medisinene følges oftest videre opp når de har kommet på markedet.

Innføring av pasienttilgangsavtaler er motivert av at det eksisterer mer usikkerhet enn det som er vanlig, og spesielt også hvis denne usikkerheten kan innebære en betydelig budsjettpåvirkning.

Eksempler på typer av usikkerhet kan være:

- Usikkerhet om hvilke pasientgrupper som kommer til å få mest nytte av den nye behandlingen
- Usikkerhet om overførbarhet av resultater fra kliniske studier til klinisk praksis i et spesifikt nasjonalt helsesystem

Mange nye medisiner kommer imidlertid på markedet uten at det er vesentlig usikkerhet. I slike tilfeller er de eksisterende pris- og finansieringsordningene som regulerer tilgang til legemidler dekkende og det er da heller ikke behov for særskilte pasienttilgangsavtaler.

Hva bør man få svar på i løpet av en pasienttilgangsavtale?

LMI mener at drivkraften bak pasienttilgangsavtaler er usikkerheten omkring verddivurderingen. Det er mange mulige årsaker til usikkerhet, som:

- **Vitenskapelig usikkerhet**
Endrer nytte-risiko seg over livsløpet til medisinen?
Hvilken effektivitet har medisinen i klinisk praksis
Hvilke pasienter vil få mest nytte av medisinen - hvem responderer?
- **Finansiell usikkerhet**
Er eksakt behandlingsdose fastlagt?
Hvor lenge varer behandlingen
Er det behov for kombinasjoner?
Er det behov for annen støttebehandling?
Hva er samlet budsjettinnvirkning?
- **Usikkerhet omkring bruk**
Er helsepersonell og forskrivere i stand til å rette bruk av medisinen til de pasientene hvor medisinen er blitt dokumentert?
Vil pasientene følge behandlingen?

Utforming og varighet av pasienttilgangsavtaler må ses i sammenheng med den usikkerhet avtalene er ment å håndtere.

Når pasienttilgangsavtaler forsøker å samle ytterligere dokumentasjon på verdien av nye medisiner i klinisk praksis gjennom helseregistre, observasjonsstudier og/eller lignende ordninger, er det ønskelig at også produsenten får tilgang til alle nødvendige og relevante data.

Hvordan gjøres dette i resten av Europa?

De siste årene er det utformet en rekke pasienttilgangsavtaler mellom legemiddelprodusenter og ulike betalere i Europa. Det er stor variasjon i hvordan slike ordninger gjennomføres basert på nivået på usikkerhet, hvilken mulighet det er til å samle inn data, egenskapene til den nye medisinen, hvilket terapeutisk område dette berører, pasientpopulasjonen, behov og forventninger til betaler. Dette mangfoldet gjenspeiles også ved at det har oppstått ulike navn og terminologi, som «risikodelingsavtaler», «resultatbasertbetaling», «utfallsgarantier» eller «finansiering gitt innhenting av videre dokumentasjon» etc.

Det som har kjennetegnet disse avtalene er at de har hatt som formål å enten/eller:

- Holde en budsjettgrense fastsatt av myndigheter / betalere (pris-volum-avtaler), slik som for eksempel i Frankrike
- Ha en plass innenfor et system med grenseverdier for kostnadseffektivitet (inkrementell kostnadseffektivitet ratio (ICER)) slik som i Storbritannia
- Sikre at den estimerte verdien av et produkt også leveres i klinisk praksis (risikodeling eller helseresultatgaranti)

Pasienttilgangsavtaler har også blitt foreslått som en mekanisme for å bedre tilgang til nye medisiner i Europa på grunnlag av forskjeller i landenes betalingsevne. Offentlige beslutningstakere har diskutert hvordan ulik betalingsevne kan reflekteres i differensierte legemiddelpriser. I dag har ikke legemiddelselskaper mulighet til å differensiere pris ved ulik betalingsevne i Europa på grunn av de mange internasjonale referanseprissystemene og prinsipper om parallellhandel. For å fungere i praksis, må derfor slike pasienttilgangsavtaler beskyttes mot ekstraterritoriale effekter. I denne politiske diskusjonen må man også være villig til å se på den iboende konflikten mellom åpenhet og effektivitet. OECDs rapport fra 2008 om global prispolitikk (NR) foreslår at pasienttilgangsavtaler – basert på pris og bruk (= volum) - ses på som en naturlig videreutviklingen av verdibasert prising. De sier også at konfidensialiteten av avtaler er en hjørnestein for vellykkede kontrakter.

Pasienttilgangsavtaler er fortsatt i sin spede begynnelse i Europa. LMI mener at tilnærminger for å strengt regulere disse vil virke mot sin hensikt, men at en diskusjon på europeisk nivå med tanke på å søke enighet om vilkår (nomenklatur) og gode prinsipper for slike avtaler vil være viktig.

Prinsipper for pasienttilgangsavtaler

Formålet med pasienttilgangsavtaler er å sikre at riktige pasienter får tilgang til effektiv legemiddelbehandling som dekker medisinske behov innenfor akseptable kostnadsrammer. LMI mener at enkelte forhold øke muligheten for suksessfylt inngåelse og gjennomføring av slike avtaler, som f.eks.:

1. *Flexibilitet i og klarhet om* hvorfor en avtale er nødvendig, og under hvilke omstendigheter en ordning kan gjelde.
2. Innkjøpere og helsetjenesten må arbeide for bedre tilgang til data og samarbeide med industrien for å utvikle og vedlikeholde datainnsamling og systemer for dette
3. Klare *avtaler* om hva som skal måles og hvem som har ansvar for hva (hvilke resultater er nødvendige, spesifiserte tidsperioder for gjennomgang, kriterier og eventuelt datainnsamling).
4. Avtalene skal ikke føre til at det blir et stadig høyere krav til å demonstrere verdien eller fremskaffe data for nye medisiner
5. Innkjøpere bør akseptere data fra ulike kilder, og fra andre land (f.eks. både fase IV-studier og observasjons / epidemiologiske studier.)
6. Innkjøpere bør sikre tilstrekkelig infrastruktur og ekspertise slik at avtaler kan utføres og evalueres
7. Avtalene skal ikke benyttes som en «ad hoc»-mekanisme for å kutte kostnader

LMI mener at følgende faktorer vil være viktige i videre diskusjoner om bruk av pasienttilgangsavtaler

- Identifisere konkrete suksessfaktorer (inkl. juridiske, regulatoriske og helsepolitiske faktorer) for gode avtaleordninger, se på eksisterende eksempler og definere generelle vilkår for å sikre at ordninger er tydelige, rettfærdige og gir en effektiv og rask tilgang til nye medisiner for pasientene.
- Vurdere tiltak som kan bidra til bedre, mer hensiktsmessig og effektiv innsamling av data fra klinisk praksis på nasjonalt og europeisk nivå.