

## Innspill ekspertgruppen om åpenhet og prioriteringer

Hva mener LMI er den viktigste problemstillingen som utvalget bør vurdere:

For å sikre legitimitet og tillit til prioriteringsbeslutninger er det nødvendig med større åpenhet og transparens av vurderings- og beslutningsprosesser for innføring av nye legemidler og andre tiltak i helsetjenesten. Prioriteringsbeslutningene om innføringen av nye legemidler har lenge vært omdiskutert. Evalueringen av Nye metoder viste at manglende tillit mellom systemaktørene og eksterne interessenter var en av hovedutfordringene til systemet og anbefalte å styrke transparens og medvirkning for å forbedre tilliten. Den viste også at flere aktører opplever at saksbehandlingsprosessen er «lukket» for innsyn og medvirkning. Det er uklart hvilke type innspill som publiseres og når i saksbehandlingsprosessen dette gjøres, noe som er av betydning for beslutningen. I tillegg viste evalueringen at enkelte sår tvil om Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverket (SLV) er balanserte i sine metodevurderingsrapporter som er grunnlag for beslutning. Dette medfører at systemet for Nye metoder som er et sentralt prioriteringsorgan oppleves som lite tilgjengelig, åpent og forståelig for eksterne aktører. Dette medfører manglende legitimitet og tillit til prioriteringsbeslutninger.

På bakgrunn av overnevnte mener LMI at ekspertgruppen bør vurdere hvilke prinsipper og tiltak som kan legges inn i ny prioriteringsmelding for å styrke åpenhet og transparens i vurderings- og beslutningsprosessene. LMI mener det er spesielt fire områder som må vurderes gitt den medisinske utviklingen:

### **1) Sikre åpenhet og transparens i hele vurderings- og beslutningsprosessen**

Prosessene og saksgangen for legemidler i Nye metoder oppleves som en «svart boks». Det er i dag uklart hvor et legemiddel er i systemet for Nye metoder, hvem som er involvert, hvem i systemet som har ansvaret for hva, hvilke vurderinger som er gjort, hvilke innspill som er gitt og når dette er gjennomført. Det er i tillegg tilfeldig hvilke innspill som publiseres og ikke. På bakgrunn av dette mener LMI at transparens og åpenhet må gjelde for alle vurderings- og beslutningsprosesser samt hvem og hvordan medvirkningens informasjon er håndtert og vurdert.

### **2) Tilrettelegging for bedre transparens og åpenhet i klinikermedvirkning**

Hvordan, hvem og på hvilken måte klinikere medvirker, og rollen de har i systemet for Nye metoder er i dag uklar. Etter evalueringen av Nye metoder er rollen til hvordan klinikere medvirker i systemet endret, ved at de nå i tillegg til å gi innspill til metodevurderingene også skal vurderer om et nytt legemiddel ikke har behov for en metodevurdering av SLV, men heller kan gå rett til prisforhandlinger og beslutning. Klinikerens vurderinger og innspill er derfor en sentral del av beslutningsgrunnlaget for en prioriteringsbeslutning. Utfordringen er at klinikerens vurderinger og hva som ligger til grunn for en beslutning ikke er transparente.

Det bør derfor gjøres tiltak for at beslutningsgrunnlaget for denne prosessen systematiseres og gjøres mer transparent for aktører i systemet og offentligheten. Dette omfatter både åpenhet i tidspunktet for medvirkningen (herunder metodebestilling, innspill til metodevurderingene, tidlig faglig vurdering av sammenlignbarhet), hvilke vurderinger som er gjort, og grunnlaget for vurderingene.

LMI har følgende forslag til konkrete tiltak for å øke transparens klinikerens rolle i vurdering- og beslutningsprosessen:

- Ekspertgruppen kan for eksempel se til inspirasjon til Danmark og Medicinrådet om hvordan en åpen prosess for klinikermedvirkning gjennomføres.<sup>1</sup>
- Skjema for sammenlignbarhet offentliggjøres, herunder LIS spesialistgruppens samlede vurdering offentliggjøres
- Spørsmål og svar fra klinikere som har medvirket i metodevurderingene offentliggjøres
- Hvordan klinikerinnspill har blitt/ikke blitt hensyntatt – og hvorfor
- En overordnet vurdering fra klinikere på metoden (medisinsk behov, nytte i klinisk praksis)

### 3) Tilrettelegge for økt transparens i håndtering av usikkerhet i beslutningsgrunnlaget

Den medisinske utviklingen medfører flere nye behandlinger med begrenset dokumentasjon og høyere grad av usikkerhet. Det vil derfor være nødvendig med transparente prosesser for hvordan usikkerhet håndteres ved innføring.. Det er enighet mellom aktørene om at det er behov for å utvikle bedre og systematiserte måter å håndtere usikkerhet på. Det er nødvendig å belyse og formidle hva som er usikkert i de helseøkonomiske analysene og hvordan usikkerhet skal vektlegges i prioriteringsbeslutningene.

LMI mener at ekspertgruppen bør være oppmerksomme på at det ikke er usikkerhet i seg selv som skal ha konsekvenser for beslutningene som fattes, men hvorvidt valget om å innhente mer informasjon er en enda bedre beslutning (opsjonsverdien). Dagens praksis med å synliggjøre hvor det er datausikkerhet, er ikke ensbetydende med at det er beslutningsusikkerhet. At noe er usikkert, er ikke i seg selv god beslutningsstøtte. Ekspertgruppen bør derfor vurdere følgende for å sikre transparente prosesser for håndtering av usikkerhet:

- Hvordan bør usikkerhet i datagrunnlaget estimeres og beskrives systematisk, transparent og mest mulig forståelig for alle aktører?
- Hvordan bør den følgende beslutningsusikkerheten tallfestes/beskrives kvantitativt og kvalitativt for å best formidle et objektivt beslutningsgrunnlag til alle parter inkludert beslutningstakere?

LMI mener at ekspertgruppen bør peke på retning og prinsipper for håndtering av usikkerhet, slik at systemaktørene kan videreutvikle systemet innenfor disse rammene. Det finnes i dag allerede gode retningslinjer for dette som ekspertgruppen bør se hen til, bl.a. bruk av forventningsrette estimat i beslutningsgrunnlag ved sannsynlighetsvektede eller probabilistiske analyser. Veilederen til DFØ, Rundskriv R-109/21 og tidligere NOUer (bl.a. NOU 2012:16, NOU 1998:16 og NOU 1997:27) gir klare føringer og økonomiske verktøy som med fordel kan brukes systematisk i utarbeidelsen av beslutningsgrunnlag for prioriteringer i helsesektoren.

### 4) Tilrettelegge for økt transparens innenfor Folketrygden.

For legemidler som blir rammet av fullmaktsgrensen kreves Stortingets samtykke for å innvilge forhåndsgodkjent refusjon. Det er ikke en åpen og forutsigbar prosess rundt hva som skjer med legemidler som er ender over fullmaktsgrensen. Hvor lang tid dette vil ta og de ulike stegene for at Stortinget skal bevilge finansiering er ikke forutsigbart for verken myndigheter, pasienter eller legemiddelleverandører. LMI mener at ekspertgruppen bør vurdere hvordan det kan sikres bedre forutsigbarhet, transparens og raskere saksbehandling for legemidler som overskrider fullmaktsgrensen.

Er det noe ekspertgruppen spesielt bør være oppmerksomme på

#### **Konfidensialitet av enhetspriser**

LMI mener at ekspertgruppen bør være oppmerksomme på konsekvenser ved åpenhet om priser og prisdannelse, herunder oversikt over utviklingskostnader jmf. problemstilling én i mandatet. LMI

---

<sup>1</sup> [Behandlingsvejledninger og lægemiddelrekommandationer \(medicinraadet.dk\)](https://www.medicinraadet.dk)

ønsker å forsterke viktigheten av å se hen til internasjonale initiativ, og ikke lage særnorske prinsipper. Under vil vi redegjøre for viktigheten av konfidensielle enhetspriser og åpenhet av FoU kostnader.

LMI mener at konfidensielle enhetspriser er helt nødvendig for å sikre gode anskaffelser på legemiddelområdet. Dette er også tidligere vurdert av Stortinget som vedtok at legemiddelpriser fortsatt skal unntas offentligheten da dette var til behandling i 2019.<sup>2</sup> I denne saken advarte også Konkurransetilsynet sterkt mot å åpne legemiddelpriser, og viste til andre sektorer hvor offentliggjøring førte til økte priser.<sup>3</sup> Legemiddelpriser er ansett som forretningshemmeligheter, og er unntatt offentligheten i henhold til forvaltningsloven § 13. I 2016 vedtok Sykehusinnkjøp at enhetspriser for legemidler skal unntas offentlighet, i likhet med alle andre varer og tjenester. I Norge er det en fast og langvarig forvaltningspraksis for at enhetspriser som er konkurranseutsatt, er av konkurransemessig betydning å hemmeligholde. Legemidler står ikke i noen annen rettslig stilling enn øvrige varer og tjenester som helsetjenesten kjøper inn. Tidligere praksis hos Legemiddelinnkjøpssamarbeid (LIS) om offentliggjøring av alle enhetspriser var ikke i tråd med regelverket for offentlige anskaffelser. Praksis ble derfor endret ved etableringen av Sykehusinnkjøp HF.

De konfidensielle enhetsprisene for legemidler er kjent for alle som har et tjenstlig behov, og som skal ta prioriteringsbeslutninger. Videre vil det være slik at offentligheten har kjennskap til legemiddelutgifter på et aggregert gruppenivå, selv om prisene for den enkelte pakning er konfidensiell. Etter LMIs mening vil det i en prioriteringsmessig sammenheng gi mer mening å drøfte ressursbruk på gruppe/terapiområde nivå enn på enkeltpakkenivå.

Ekspertgruppen er bedt om å vurdere konsekvenser av økt åpenhet og LMI vil påpeke at åpenhet av enhetspriser kan ha en rekke utilsiktede konsekvenser som b.la. økte kostnader og redusert tilgang til nye legemidler grunnet sannsynligheten for høyere enhetspriser i land som krever full transparens, sammenlignet med land som har konfidensielle priser. Dette er understøttet i flere rapporter.<sup>4</sup> Det er viktig at vi ikke lager særegne nasjonale prinsipper for en global industri, da dette kan ha konsekvenser for norske pasienter.

### **Verdibasert prising**

Prissetting på legemidler er vanskelig, fordi det er veldig høy risiko, mange produkter mislykkes før de når markedet, og det er lange investeringsløp. Derfor har vi et system for verdibasert prising som er basert på prinsippet om at prisen skal reflektere verdien et nytt legemiddel tilfører pasienter, helsetjenesten og samfunnet. Det er industrien som tar risikoen ved å investere store beløp i et risikofyllt utviklingsløp, og de skal kun få betalt for verdien legemiddelet har for samfunnet, uavhengig av investeringsbeløp og hvor lang tid det tar for å bringe legemiddelet på markedet. Dette er det enighet om i Europa og USA, og i Europa arbeides det nå med en felles europeisk *Health Technology Assessment* som skal innføres fra 2025, det legemiddelmyndighetene i Europa skal gå sammen om å fastsette relativ effekt på hvert legemiddel. Dette gjør de for at hvert enkelt land skal spare tid og ressurser på å gjøre denne vurderingen.

### **Forskning og utvikling av legemidler**

Utviklingen av nye legemidler er en svært tid- og kapitalkrevende prosess med høy risiko. For hvert legemiddel som mottar en markedsføringstillatelse er det flere substanser som har mislykket på veien. Ettersom utviklingen av nye legemidler har stor betydning for den enkelte pasient, pårørende og samfunnet, er legemiddelindustrien opptatt av å sikre god kunnskap om utviklingsløpet til et

<sup>2</sup> <https://www.stortinget.no/no/Saker-og-publikasjoner/Vedtak/Vedtak/Sak/?p=73514>

<sup>3</sup> <https://www.dagensmedisin.no/hemmelige-priser/konkurransetilsynet-advare-sterkt-mot-apne-medisinpriser/368496>

<sup>4</sup> [https://repository.vlerick.com/bitstream/handle/20.500.12127/6616/Van\\_Dyck\\_W\\_RR\\_Consequences%20of%20Net%20Price%20Transparency%20in%20Europe.pdf?sequence=3&isAllowed=y](https://repository.vlerick.com/bitstream/handle/20.500.12127/6616/Van_Dyck_W_RR_Consequences%20of%20Net%20Price%20Transparency%20in%20Europe.pdf?sequence=3&isAllowed=y)

legemiddel, samt hva som kreves av totale FoU investeringer. I dag er det allerede åpenhet om hvor stor andel et selskap investerer i FoU. Det er også åpenhet om FoU bidrag fra offentlig finansierte institusjoner og informasjon om offentlige forskningsmidler som bidrar til utviklingen av nye legemidler.<sup>5</sup>

Det er derimot svært vanskelig å estimere FoU kostnader for hvert enkelt legemiddel, grunnet utviklingsløpet til et legemiddel. Dette vil bli enda vanskeligere i en fremtid preget av persontilpasset medisin og behandlinger mot sjeldne sykdommer.

#### Utfordringer ved å estimere produkt spesifikke FoU kostnader

- **Det finnes ikke en omforent metode for å estimere produkt spesifikke FoU kostnader**, og bruk av ulike metoder vil medføre ulike resultater. Slike kostnadsøvelser gir svært usikre og vilkårlige estimater som igjen ikke egner seg for et godt beslutningsgrunnlag. Ser man til litteraturen hvor en har forsøkt å estimere FoU-kostnadene for et nytt legemiddel er det store variasjoner i kostnadsestimater, selv innenfor et konkret terapeutisk område.<sup>6</sup>
- **Vanskelig å beregne FoU- kostnader for alle substanser som ikke har lykkes, men som har vært medvirkende for å få ett nytt legemiddel godkjent.** Det finnes ikke en omforent metode for hvordan kostnader for avsluttede forskningsprosjekter kan kvantifiseres og inkluderes i FoU estimater for et legemiddel. Avsluttende forskningsprosjekter har i mange tilfeller generert nødvendig kunnskap som kan overføres til andre områder hvor en har lykkes med å utvikle en behandling. Disse bør derfor inkluderes i det FoU-kostnadsbilde.
- **Kapitalkostnader er av stor betydning for utvikling av nye legemidler, men er vanskelig å estimere.** Som nevnt over foregår legemiddelutviklingen over flere år og krever store kapitalinvesteringer for å lykkes. Ettersom risikoen i utviklingsprosessen er stor og varierer over tid vil også kapitalkostnaden variere. Estimater av kapitalkostnaden for FoU-investeringer er utfordrende å beregne og vil være gjenstand for stor usikkerhet. I likhet med kostnader for avsluttede forskningsprosjekter vil kapitalkostnaden knyttet til utviklingen av et nytt legemiddel være gjenstand for stor usikkerhet.

Overnevnte er kun noen av utfordringene ved å estimere produkt spesifikke FoU-kostnader, og ettersom det er stor usikkerhet knyttet til både metodikk og faktorer som skal inngå vil estimater baseres kun på antakelser og være gjenstand for stor usikkerhet. Produktspesifikke kostnadsoverslag er derfor ikke et grunnlag for å fastsette priser.

#### Utsiktede konsekvenser ved bruk av FoU kostnader i prissetting

Bruk av FoU – kostnadsestimater i prissetting vil kunne skape ugunstige insentiver ved at det blir lønnsomt å investere i nye legemidler med høy kostnad, men mindre medisinsk verdi. Dersom prisene skal baseres på FoU-kostnader og ikke reflektere den kliniske verdien for pasienter og samfunn kan det insentivere investeringer i ulønnsomme forskningsprosjekter som har rask vei til markedet og lav risiko for å mislykkes. Dette kan medføre at vi får færre nye legemidler som dekker et stort medisinsk behov.

Det er derfor viktig at vi bevarer verdibasert prising som belønner den faktiske verdien som legemiddelet tilfører pasienten og samfunnet. Et prissystem basert på FoU-kostnader vil insentivere dyr og ineffektiv forskning uavhengig av sluttverdien legemiddelet har for pasienten.

<sup>5</sup> <https://www.imi.europa.eu/about-imi/imi-funding-model>

<sup>6</sup> Wouters, O.J., McKee, M. & Luyten, J., 2020. Estimates Research and Development Investment Needed to Bring a New Medicine to Market, 2009 – 2018. JAMA, 323(9), pp.844-853 23