

Høringssvar til rapport om tilgang og prioritering

Innledning

Innledningsvis vil LMI takke for en grundig og gjennomarbeidet rapport fra ekspertgruppen. Rapporten gir en god beskrivelse av dagens system, prosesser og mange relevante problemstillinger knyttet til tilgang av nye metoder i Norge. Evalueringen av systemet for Nye metoder fra 2021 viste at systemet ikke er tilpasset den medisinske utviklingen og at innføring av spesielt persontilpasset medisin og behandlinger for sjeldne sykdommer er utfordrende. LMI er derfor glade for å se at ekspertgruppen har presentert flere konkrete anbefalinger som vil bli viktig for tilgang til nye behandlinger og videreutvikling av et system for prioriteringer.

LMI er positive og støtter de overordnede anbefalingene som er foreslått fra ekspertgruppen særlig økt bruk av alternative pris- og betalingsmodeller og anbefalingen om bruk av unntaksordningen etter en negativ beslutning. Samtidig vil vi påpeke at ekspertgruppen fokuserer mer på gode sikkerhetsnett i systemet for individuelle unntak av legemidler som ikke er offentlig refundert, enn å foreslå løsninger som er viktige for å redusere behovet for unntak. Det vil alltid være behov for å kunne gjøre individuelle unntak, men det er enda viktigere å sikre rask og bred tilgang til nye behandlinger og sørge for å ha en prioriteringsmelding som ikke er til hinder for innføring av nye kostnadseffektive behandlinger. Her mener LMI at ekspertgruppen ikke har svart ut noen helt sentrale punkter i dagens prioriteringsmelding, som vi vil redegjøre for under. Dette mener vi vil være viktig for norske pasienters tilgang til behandlinger i fremtiden.

I dette høringssvaret vil derfor LMI belyse punkter som vi mener ekspertgruppen ikke har svart ut godt nok for å kunne redusere behovet for unntak i systemet og hensynta den medisinske utviklingen mot mer persontilpasset medisin og behandlinger for sjeldne sykdommer. Her vil dagens negative vektning av usikkerhet og mangelfulle beskrivelse av håndtering av usikkerhet være helt essensielt. Vi mener at disse temaene tilhører ekspertgruppenes anbefaling om å målrette arbeidet med metodevurderinger og øke bruken av alternative prisavtaler for å håndtere usikkerhet om effekt og risiko. LMI vil derfor i mindre grad gi innspill på de øvrige anbefalingene.

Oppsummert mener LMI at en ny prioriteringsmelding må hensynta den medisinske utviklingen ved å håndtere usikkerhet på en bedre måte enn dagens praksis. Dagens negative vektning av usikkerhet må fjernes og det må være tydelige føringer for håndtering av usikkerhet i helseøkonomiske analyser, på lik linje som gjøres i andre sektorer. Dette vil være helt nødvendig for å kunne legge til rette for økt bruk av alternative prisavtaler.

Innspill til ekspertgruppens anbefalinger

Anbefaling om å øke bruken av alternative prisavtaler for å håndtere usikkerhet om effekt og risiko

LMI støtter ekspertgruppens anbefaling om økt bruk av alternative prisavtaler. Vier enige i at dette vil være et svært viktig tiltak for å kunne gi pasienter tilgang til nye behandlinger, spesielt i tilfeller hvor det er beslutningsusikkerhet og behov for å innhente mer dokumentasjon. I tillegg vil vi påpeke at det er viktig at denne anbefalingen også blir gjeldende for legemidler finansiert gjennom Folketrygden. Dette vil være relevant i de tilfellene hvor Direktoratet for medisinske produkter (DMP) har konkludert med at nytt legemiddel er kostnadseffektivt, men ikke kan innvilges refusjon grunnet usikkerhet rundt budsjettkonsekvens.

I systemet Nye metoder er det allerede lagt til rette for bruk av alternative prisavtaler gjennom rammeverket for prisavtaler som ble vedtatt av Beslutningsforum i juni 2020. Likevel viser erfaring nesten fire år etter at det er et fåtall avtaler som er blitt inngått selv om dette er en ønsket utvikling fra både industri og myndigheter. LMI mener at årsaken til dette kan sees i direkte sammenheng med manglende håndtering av usikkerhet i metodevurderingene, som redegjort under:

- I flere tilfeller opplever leverandør at DMP ikke utfører helseøkonomiske analyser for å vurdere kostnadseffektivitet med begrunnelse stor usikkerhet. Dette vil si at IKER ikke blir etablert, og det vil føre til at både prisforhandlinger og tilgangsavtaler blir utfordrende eller umulige. I tilfeller hvor DMP har utført en helseøkonomisk analyse opplever leverandør likevel at vurderingene fra DMP ikke nødvendigvis får betydning for inngåelsen av en alternativ prisavtale. LMI mener det er helt nødvendig å ha forventningsrette estimater og en etablert IKER for å kunne komme fram til en pris ved inngåelse og for å avtalefeste prisjusteringen, spesielt i tilfeller hvor resultatbaserte avtaler er hensiktsmessige.
- Ettersom det i dagens Prioriteringsmelding (Meld. St 34) står at usikkerhet skal telle negativt, opplever leverandørene at underliggende etater forventer en prisreduksjon på opptil 90 % når det er usikkerhet i beslutningsgrunnlaget. Prisreduksjonen er ikke begrunnet med forventningsrette estimat eller verdien av å innhente mer informasjon. I tillegg er det uklart om usikkerheten i datagrunnlaget vil innebære en relevant beslutningsusikkerhet. Det er derfor veldig uforutsigbart for leverandørene, og gjør det vanskelig å enes om hva en rimelig prisjustering skal være når ytterligere dokumentasjon foreligger. Til sammenligning håndteres dette ulike i Danmark, hvor avtalepris settes i henhold til hva som er forventningsrett pris⁶, noe som gjør det mer forutsigbart for leverandør.

Dersom vi skal legges til rette for ekspertgruppens anbefaling om økt bruk av alternative prisavtaler må det derfor i en ny prioriteringsmelding legges tydelige føringer for hvordan usikkerhet skal håndteres.

Dagens negative vektning av usikkerhet i prioriteringsmeldingen bør fjernes.

Mange av de nye behandlingene muliggjør persontilpasset behandling med god effekt og færre bivirkninger for den enkelte pasient. Persontilpasset medisin og behandlinger for sjeldne sykdommer vil uunngåelig skape et mer usikkert beslutningsgrunnlag. Dette utfordrer dagens prioriteringsbeslutninger i Nye metoder, noe som gir seg utslag i tidsbruk, ressursbruk, konflikt i media og både sen og manglende

tilgang til nye behandlinger. LMI mener at en av de viktigste årsakene til at systemet Nye metoder har utfordringer med å tilgjengeliggjøre slike legemidler er både hvordan dagens prioriteringsmelding (Meld. St. 34) omtaler usikkerhet på, og hvordan DMP håndterer usikkerhet i de helseøkonomiske analysene. LMI mener at systemet i dag fokuserer mer på at usikkerhet alltid er negativt enn på best mulig beslutning.

I dagens prioriteringsmelding (Meld. St. 34) står det at "*Stor usikkerhet knyttet til dokumentasjon og beregningsmetoder skal, alt annet likt, gi lavere prioritet*". LMI mener dette er en betydelig utfordring i dag, og som fremover trolig vil øke ytterligere som følge av den medisinske utviklingen. Det er derfor viktig at den nye prioriteringsmeldingen setter føringer for at håndtering av usikkerhet ikke skal virke hemmende på en ellers ønsket medisinsk utvikling og norske pasienters tilgang til nye medisiner. En holdning om at usikkerhet i seg selv skal gi lavere prioritet, gjør nettopp det.

Vi vil påpeke at når ekspertgruppen anbefaler at en skal skille mellom data- og beslutningsusikkerhet, argumenterer de i realiteten for å fjerne den negative vektingen. LMI støtter skillet ekspertgruppen har gjort på data- og beslutningsusikkerhet. Usikkerhet som er beslutningsrelevant kan da vurderes nærmere innenfor det faglige rammeverket. DFØ sin veileder kaller det en realopsjonsverdi å kunne velge å utsette tiltak for å innhente mer informasjon.

«For at det skal være lønnsomt å ikke vente, må nåverdien av netto nytte ved å gjennomføre tiltaket straks være større enn opsjonsverdien ved å vente.»

Det er altså ikke usikkerhet i seg selv som avgjør om den skal vektlegges i beslutningen, men i noen saker er verdien av mer informasjon så høy at utsettelse av tiltak for å innhente mer informasjon er en enda bedre økonomisk beslutning. Dette er saksspesifikt, og det er derfor nødvendig med en eksplisitt vurdering av dette i hver sak.

LMI mener på bakgrunn av overnevnte at dagens negative vekting av usikkerhet i prioriteringsmeldingen må fjernes.

En ny prioriteringsmelding må legge føringer for håndtering av usikkerhet i helseøkonomiske analyser på lik linje som gjøres i andre sektorer

Ulik bruk av utredningsressurser

Ekspertgruppen anbefaler at det brukes mer ressurser på metodevurderinger der beslutningsusikkerheten er stor.

«Ekspertgruppen anbefaler at man søker å bedre prioritere mellom hvilke nye metoder det kan brukes mindre ressurser til metodevurdering på, hvilke metoder som bør være gjenstand for forenklede metodevurderinger og hvilke metoder som bør være gjenstand for mer omfattende metodevurderinger».

LMI er enig i denne anbefalingen. I en fremtid hvor forventningsgapet vil øke grunnet knappe ressurser er det viktig å prioritere og vurdere hvilke ressurser som skal brukes på hver metode. Beslutningsteorien gir føringer for dette, og enkelt sagt er det slik at små tiltak, hvor konsekvensen av feil beslutning er liten (lav beslutningsusikkerhet), kan i større grad besluttes på antagelser og mindre omfattende vurderinger. Større tiltak med større konsekvenser (stor beslutningsusikkerhet) nødvendiggjør mer informasjon og

mer omfattende vurderinger. Alle nye tiltak uavhengig av teknologi bør vurderes innenfor det samme rammeverket og med tanke på prioriteringskriteriene. Det bør med andre ord ikke være spesielt fokus på legemidler, men på best mulige beslutninger. LMI mener dette må være rettesnoren i en ny melding.

Store investeringer i teknologi og infrastruktur bør på lik linje som legemidler være gjenstand for en grundig analyse og vurdering om utsettelse for mer informasjon. Mindre tiltak med mindre budsjettvirkninger per år er derimot mer naturlig at ikke trenger betydelige utredningsressurser eller utsettelse for å innhente mer informasjon. Dette følger av at kostnadene ved å innhente ny informasjon i små saker ofte vil kunne forventes å overstige verdien av ny informasjon.

Metoder for å håndtere usikkerhet

Som nevnt tidligere er LMI svært positive til ekspertgruppens anbefaling om at usikkerhet skal beskrives ved å skille mellom data- og beslutningsusikkerhet. Dette vil gi nyttig informasjon for å kunne vurdere hvilke ressurser som skal brukes på metodevurderingen. Det finnes gode etablerte verktøy og modeller for å kunne beskrive usikkerhet på denne måten, blant annet gjennom ulike sensitivitetsanalyser som probabilistiske sensitivitetsanalyser. Dessverre anvendes ikke slike verktøy i de helseøkonomiske analysene utført av DMP i dag.

DFØ sin veileder i samfunnsøkonomisk analyse kap. 3.6 beskriver gjennomføring av usikkerhetsanalyse. Utgangspunktet for dette er en sentral referanse til Finansdepartementets rundskriv R-109/2021, punkt 8 der det står følgende:

«Virkningene av et tiltak er normalt usikre. [...] Det forutsettes at den samfunnsøkonomiske analysen bygger på forventningsrette estimater.»

Dette er i samsvar med grunnleggende beslutningsteori, som gjelder for all økonomisk teori, også helseøkonomisk teori. Det er med andre ord helt normalt å ha usikkerhet i tiltak som vurderes, og analysene som gjøres skal bygge på forventningsrette estimater. Dette gjelder generelt for økonomiske beslutningsgrunnlag for tiltak som fattes av Staten og vi ser ingen grunn for at helsetiltak generelt eller legemiddeltiltak spesielt skal avvike fra dette. Hensikten med rammeverket er å presentere et transparent beslutningsgrunnlag for å fatte best mulige beslutninger. Å avvike fra dette, f.eks. ved negativ vektning av usikkerhet, er å avvike fra å fatte best mulige beslutninger.

Mange av avslagene i systemet Nye metoder i dag begrunnes med høy usikkerhet, men beslutningen tas ofte uten at DMP har gjennomført helseøkonomiske analyser og beskrevet usikkerheten, på tross av innlevert dokumentasjon fra leverandør. Det argumenteres ofte fra DMPs side at resultatet fra analysene er for usikre. I stedet for å legge til grunn *forventningsrette estimater* basert på best tilgjengelig kunnskap, og vurdere verdien av å innhente mer informasjon, forkastes hele analysen, og beslutninger tas på et forventningsskjev resultat. Dette kan føre til at pasientgruppen ikke får tilgang til den nye behandlingen som igjen kan medføre et helsetap for pasientene.

LMI mener på bakgrunn av overnevnte at en ny prioriteringsmelding må gi tydelige føringer for hva som forventes av en god beslutningsanalyse og et godt beslutningsgrunnlag. LMI mener dette innebærer bruk av forventningsrette estimater og en transparent og systematisk vurdering av beslutningsrelevant usikkerhet. Prinsippene må være i tråd med generelle faglige føringer som presentert i DFØ sin veileder.

Anbefaling om å øke pasienters mulighet for deltakelse i kliniske studier og legge til rette for «compassionate use» av legemidler for pasienter med forventet behandlingsvarighet under seks måneder

Pasienter kan få tilgang til legemidler før markedsføringstillatelse gjennom kliniske studier og compassionate use programmer (CUP) og compassionate use named patient.

LMI støtter anbefalingen om å øke pasienters mulighet for deltagelse i kliniske studier og spesielt oppfordringen til å se på ulike insentiver for å stimulere til flere slike studier i Norge, i lys av den betydelige internasjonale konkurransen om studier.

Ekspertgruppen refererer til allerede eksisterende og viktige satsninger og finansieringskilder, men LMI minner om at Handlingsplanens virkeperiode går ut i 2025 og det er behov for langvarig satsning med videreføring og videreutvikling på dette feltet. Vi er bekymret for den nedadgående trenden for kliniske studier og forskningsinvesteringer i Europa, noe som gjør det enda vanskeligere å tiltrekke studier til Norge. Vi opplever at det ikke er nok ressurser i helsetjenesten til å gjennomføre studier og den varslede mangel på helsepersonell fremover vil gjøre det enda vanskeligere å prioritere kliniske studier. Vi mener at prioriteringsmeldingen må adressere betydningen av ambisjonen fra Handlingsplanen om at kliniske studier skal være en integrert del av behandlingen.

Vi vil også påpeke at tilgang til legemidler kan påvirke mulighetene for kliniske studier i Norge når mangel på innføring av nye legemidler betyr at den valgte komparator i en studie ikke er tilgjengelig som behandling i Norge. I tillegg kan det oppleves som en risiko for sponsor og/eller for sykehuset/avdelingen å forplikte seg til kliniske studier med innovativ behandling fordi det er usikkerhet om tilgang på behandlingen etter studiens avslutning. Det bør foreligge en ordning som sikrer at pasienter som deltar i kliniske studier kan få mulighet til å fortsette med behandlingen etter studiens avslutning i påvente av nødvendige godkjenninger, uten at dette fører til ekstra belastning for sponsor eller klinikk.

LMI støtter også behovet for å legge til rette for «compassionate use» av legemidler for pasienter med forventet behandlingsvarighet under seks måneder, men stiller spørsmålstegn ved at ekspertgruppen «fraråder utstrakt bruk» for pasienter med forventet behandlingsvarighet over seks måneder. LMI mener at det er uklokt å fastsette slike konkrete tidsbegrensinger i prioriteringsmeldingen og unødvendig da kriteriene som ligger til grunn for hvilke pasienter som kan gå inn i et CUP program i seg selv er så strenge at de forhindrer «utstrakt bruk». En begrensing på seks måneder vil i praktisk si at CUP er begrenset til behandling av alvorlige akutte tilstander og begrense tilgjengeligheten for pasienter med genetiske/medfødte sykdommer. LMI mener det må legges til rette for større fleksibilitet for bruk av CUP innenfor sjeldne sykdommer nettopp gitt den begrensede pasientpopulasjonen og den begrensede tilgangen til kliniske studier.

Meldingen bør heller adressere mulighetene «compassionate use» gir for pasienter og gi aktørene handlingsrom til å utforme avtaler som ivaretar pasientenes, tjenestens og leverandørens interesser på en god måte.