



Høringsinnspill fra Takeda – Konseptforslag til vurdering av saker med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag.

Asker, 14. April 2026

Takeda takker for muligheten til å gi innspill til konseptforslaget for vurdering av legemidler med begrenset dokumentasjon. Vi mener initiativet adresserer et reelt behov i dagens metodevurderingssystem, hvor flere innovative behandlinger – særlig innen sjeldne og alvorlige sykdommer – ikke kan vurderes med tradisjonelle helseøkonomiske verktøy.

Forslaget oppfattes som et positivt steg for å sikre tilgang til behandling for pasienter med høyt medisinsk behov. Den foreslåtte strukturen med tydelige vurderingsmomenter og tre overordnede akser (nytte, alvorlighet og sjeldenhet) fremstår som et godt utgangspunkt.

Forslaget adresserer utfordringene ved legemidler med begrenset eller umoden dokumentasjon. Med riktig utforming har forslaget potensiale til å bidra til en ryddig og mer transparent vurderingsstruktur som kan effektivisere metodevurderingsprosesser. I tillegg oppfatter vi intensjonen med initiativet å være i samsvar med politiske føringer om prioritering og likeverdig tilgang for små og alvorlig syke pasientgrupper. Det er viktig og riktig at Norge etablerer et tydelig spor for disse produktene, slik at pasienter med alvorlige og sjeldne tilstander ikke stenges ute fra innovative behandlingsmuligheter på grunn av metodiske hindringer.

Utfordringer ved forslaget

Takeda ønsker å påpeke noen vesentlige utfordringer ved forslaget:

- **Klare avgrensninger for omfanget**

Det er vesentlig med klare avgrensninger for hvilke produkter som kvalifiserer for ordningen, slik at man unngår gråsoner mellom denne modellen og tradisjonell HTA. Vi ber om en tydeligere definisjon av når et legemiddel anses å ha «begrenset dokumentasjon» i den forstand at en tradisjonell helseøkonomisk analyse ikke kan gjennomføres på forsvarlig grunnlag. Det er særlig viktig å unngå en «gråsoner» der produkter faller mellom «ikke kvalifisert for begrenset-dokumentasjons-spolet» og samtidig «uegnet for tradisjonell metodevurdering». Takeda mener at alle produkter med orphan designation bør defineres som in scope for konseptet. Her anbefaler vi at myndighetene etablerer klare kriterier og mulighet for tidlig avklaring, for eksempel gjennom en formalisert prosess for tidlig dialog.

- **Frivillig deltagelse**

Et sentralt premiss for det foreslåtte konseptet er at leverandør bør kunne anmode om bruk av ordningen og at både DMP og leverandør bør være enige om å bruke denne typen vurdering i hvert enkelt tilfelle. Om det skulle oppstå saker hvor leverandør opplever at DMP gjennomfører en mer skjønnsmessig vurdering i en sak hvor leverandøren selv mener det er grunnlag for en tradisjonell HTA-vurdering, kan det være kontraproduktivt og bidra til å svekke tilliten mellom DMP og leverandører.

- **Konsistens i gjennomføring**

Vi forstår og støtter behovet for fleksibilitet, slik det fremgår i konseptets anbefaling av «Alternativ 1». Fleksibilitet er nødvendig for å fange medisinsk kompleksitet i små populasjoner. Samtidig ønsker vi å uttrykke en bekymring for potensiell variasjon i praksis mellom ulike vurderingsgrupper eller over tid. For å redusere risikoen for inkonsistens foreslår vi:

- utvikling av veiledning med eksempler og kalibreringsmateriell
- regelmessig opplæring og tverrfaglige workshops for vurderingsgruppene

- løpende evaluering av interrater-variasjon

Et mest mulig robust rammeverk vil styrke tilliten til metoden og bidra til en mer stabil og forutsigbar vurderingsprosess.

- **Vurdering av usikkerhet og nytte**

Takeda er enig med DMP om at alternativ 1 anses som mest egnet, men den bør videreutvikles noe. For eksempel vektet usikkerhet negativt til tross for at ordningen i seg selv er utformet nettopp for å fange opp behandlinger med usikkerhet. I og med at ordningen er allerede ment for sjeldne med begrenset dokumentasjonsgrunnlag der det ikke er naturlig eller mulig å forvente å samle inn mer data enn det som foreligger, bør ikke dette vektet negativt i vurderingen av nytte. I motsatt fall vil alternativ 1 virke mot sin hensikt, nemlig vurdering av sjeldne sykdommer med begrenset dokumentasjon.

I vurderingen av nytte savner vi også et kriterie om hvorvidt pasientene med relevant diagnose har tilgang til annen god behandling. Dersom et nytt behandlingsalternativ kommer på et område hvor pasientene ikke har tilgang til målrettet og god behandling fra tidligere bør det vektet positivt eller opp i nyttevurderingen.

- **Vurdering av «sjeldenhet» som kriterie**

Gjennom prioriteringsmeldingene har Stortinget gitt et tydelig signal om å hensynta pasientgrupper med sjeldne sykdommer. Det er påfallende diskrepans mellom Stortingets formulering «For små pasientgrupper med sjeldne og alvorlige tilstander kan lavere dokumentasjonskrav og høyere ressursbruk aksepteres.» – kontra vurderingen i både DMPs «særskilt små pasientgrupper-ordning» og konseptforslaget, hvor sjeldenhet avgrenses til under 50 pasienter i Norge.

Definisjonen av sjeldne sykdommer i Norge og EU er sykdommer som rammer færre enn én av 2000 personer. Med dagens befolkningstall tilsvarer dette omlag 2800 pasienter. En grense på 50 pasienter tilsvarer derimot den strengeste definisjonen av «ultrasjeldne sykdommer».

Vi anbefaler en ny vurdering av innslagspunkt for kriteriet «sjeldenhet» som i større grad også ivaretar sjeldne diagnoser og små pasientgrupper ut over 50 pasienter.

- **Avgrensning til ordningen for «særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand»**

DMP har siden 2017 hatt en egen ordning for «særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand». Formålet med ordningen har vært å kunne akseptere lavere dokumentasjonskrav og høyere ressursbruk for behandlinger som møter tydelige kriterier for alvorlighet, sjeldenhet og behandlingens effekt. Denne ordningen er nå til evaluering etter at Stortinget har bedt om en vurdering av om denne ordningen fungerer etter hensikten.

Det er uklart hvordan man ser for seg at konseptforslaget skal avgrenses mot denne eksisterende ordningen. I tillegg er det en utfordring at ordningen samtidig er under evaluering, slik at det er usikkerhet rundt hvilket omfang og etter hvilke kriterier ordningen skal fungere i fremtiden. Vi mener det er avgjørende at konseptforslaget vurderes grundig opp mot ordningen for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand etter at denne ordningen er evaluert og eventuelt justert.

- **Behov for klarhet rundt prisrammer og bruk av prissatte matriser**

Vi anerkjenner at pris- og forhandlingsdimensjonen ligger utenfor den faglige vurderingen og har behov for konfidensialitet. Samtidig er koblingen mellom kategorisering i vurderingsverktøyet og prisspenn et sentralt element for leverandører. Vi anbefaler derfor:

- økt transparens om prinsippene bak prisspennet selv om konkrete tall ikke publiseres
- at prisspennet utformes med et realistisk forhold til kostnader, risiko og utviklingsløp for legemidler til små og svært syke pasientgrupper
- at det etableres en mekanisme for re-evaluering av prisspenn over tid
- at prisspennet justeres årlig i tråd med prisinflasjon

Det er positivt at konseptforslaget nevner muligheten for midlertidig godkjenning i påvente av endelig beslutning i saker der det er behov for å samle data fra klinisk praksis for å redusere usikkerheten rundt effekt og/eller sikkerhet. Takeda er positive til en slik løsning når midlertidig pris er en rimelig risikodeling mellom partene.

- **Implementering og evaluering**

Et nytt konsept vil kreve tid for innarbeidelse, samt forbedring og videreutvikling. For å sikre effektiv implementering foreslår vi:

- pilotering med et begrenset antall saker før full utrulling
- etablering av tydelige frister for hver del av prosessen
- mulighet for evaluering og justering etter 1–2 års drift

Dette vil kunne bidra til gode erfaringer, forankring hos involverte parter og stabile prosesser for alle involverte aktører.

Oppsummering

Vi mener konseptet har potensiale til å styrke likeverdig tilgang til behandling for pasienter med sjeldne sykdommer, øke systemets robusthet og bidra til økt legitimitet og transparens i beslutninger i situasjoner der tradisjonell dokumentasjon ikke lar seg fremskaffe. Med noen vesentlige justeringer kan dette være et relevant supplement til dagens metodevurderingsregime. Takeda ser frem til videre konstruktiv dialog og ønsker å bidra aktivt i utviklingen av et system som ivaretar både pasientenes behov og samfunnets prioriteringsprinsipper.