

Innspill til Konseptforslag til vurdering av saker med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag i systemet for Nye metoder

Innledning

LMI viser til DMPs innspillsnotat av 17. februar 2026 og takker for muligheten til å gi innspill til konseptforslaget. LMI har satt stor pris på tidligere diskusjoner med DMP om håndtering av usikkerhet i metodevurderinger, og opplever at det over tid har vært gode og faglig relevante dialoger om dette temaet. På denne bakgrunn hadde LMI satt pris på tidligere involvering og dialog om dette konseptforslaget, nettopp i lys av de diskusjonene som allerede har funnet sted.

LMI deler ambisjonen om mer forutsigbare og transparente prosesser i systemet for Nye metoder. Samtidig vil vi være tydelige på at et slikt konsept har potensielt vidtrekkende konsekvenser for metodevurderingssystemet. Dette forutsetter derfor både tydelig avgrensning, klar forankring i etablerte prioriteringsprinsipper og en forsiktig, gradvis tilnærming.

LMI er betinget positive til konseptet, men allerede innledningsvis vil LMI understreke at et slikt konsept utelukkende kan være relevant for **sjeldne saker med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag**, at ordningen forutsetter **frivillig deltagelse fra leverandør**, og at konseptet må utformes og implementeres som en **tidsavgrenset forsøksordning (pilot)**. Uten en slik avgrensning er det en reell risiko for at konseptet i praksis fortrenger kvantitative vurderinger i langt flere saker enn tiltenkt.

Sammendrag

LMI støtter ambisjonen om å videreutvikle metodevurderingssystemet og ser under visse forutsetninger enkelte positive elementer i DMPs konseptforslag. Samtidig er det LMIs klare syn at hovedregelen fortsatt må være at kostnadseffektivitet beregnes og tallfestes – også når usikkerheten er stor. Konseptet må derfor avgrenses tydelig til «sjeldne saker» med et svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag, og ikke utvikle seg til et alternativ til ordinære metodevurderinger.

Dersom konseptet er ment å etablere kvalitative forventningsverdier i slike snevert avgrensede saker, kan dette representere et faglig fremskritt sammenlignet med dagens praksis, der høy usikkerhet i flere tilfeller konstateres uten at det gis tydelig faglig retning. Forutsetningen er imidlertid at usikkerhet ikke integreres i selve nyttevurderingen, men brukes til å vurdere behovet for ytterligere informasjon eller midlertidig innføring.

LMI mener konseptforslaget slik det foreligger har behov for tydeligere avgrensninger, flere presiseringer og enkelte vesentlige justeringer – særlig knyttet til anvendelsesområde, håndtering av usikkerhet og utforming av prismatrisen. Ordningen bør videre etableres eksplisitt som en pilot, med tydelig mandat, evaluering og mulighet for justering. Leverandør må også ha anledning til å anmode om at ordningen vurderes anvendt, og ha mulighet til å avvise bruk av ordningen dersom man mener en tradisjonell beregning av kostnadseffektivitet er best egnet.

Overordnet faglig utgangspunkt

LMI mener at kostnadseffektivitet som hovedregel bør beregnes, også når dokumentasjonsgrunnlaget er usikkert. I de fleste metodevurderinger vil det være mulig å etablere et beste anslag for IKER, supplert med scenario- og sensitivetsanalyser. Dette gir beslutningstakerne nødvendig faglig retning, samtidig som det gir et bedre grunnlag for prisforhandlinger i tråd med gjeldende prioriteringskriterier.

Usikkerhet er etter LMIs syn først og fremst relevant for å vurdere hvorvidt mer informasjon er beslutningsrelevant, og om verdien av å redusere usikkerheten står i rimelig forhold til kostnader, tidsbruk og praktisk gjennomførbarhet. Det er ikke et mål i seg selv å redusere usikkerhet i alle saker, og i mange tilfeller vil det være faglig riktig å fatte beslutninger basert på forventningsverdier.

Når konseptforslaget kan være et reelt fremskritt

LMI opplever at dagens praksis i saker som konseptet kan være aktuelt for i stor grad begrenser seg til å konstatere høy usikkerhet, uten å gi tydelig faglig retning for den videre vurderingen. Dette overlater mye av vurderingen til beslutningstaker, noe som er svært uheldig.

Dersom konseptforslaget er ment å etablere kvalitative forventningsverdier – for eksempel gjennom intervaller – kan dette ha noen positive effekter:

- Det gis en tydeligere faglig retning i vurderingen av dokumentasjonsgrunnlaget.
- Ansvar for å angi denne retningen legges til en tverrfaglig gruppe, fremfor å bli implisitt overlatt til beslutningstaker.
- Det kan bidra til mer konsistente vurderinger, økt transparens og et bedre grunnlag for prisdialog.
- Kortere og mer målrettede vurderinger i riktige saker kan frigjøre kapasitet til ordinære metodevurderinger.

Tolket på denne måten kan konseptet utgjøre et reelt supplement til dagens praksis – men kun i et svært begrenset antall saker.

Dersom hensikten med forslaget ikke er å etablere kvalitative forventningsverdier klassifisert i intervaller, så har LMI et betydelig antall bekymringer om konseptforslaget. Da oppfatter vi ikke at konseptforslaget har vesentlige positive elementer med tanke på utarbeidelse av et bedre, transparent og mer balansert beslutningsgrunnlag, og at man heller bør vurdere og utrede andre løsningsforslag.

Behov for tydelig avgrensning – sjeldenfeltet

Selv om konseptforslaget er ment å etablere kvalitative forventningsverdier, er det viktig å unngå at kvantitative vurderinger fortrenses i saker der de faktisk er gjennomførbare. Konseptets anvendelsesområde må derfor avgrenses langt tydeligere enn det som fremgår i høringsutkastet. Hovedregelen må fortsatt være at kostnadseffektivitet beregnes.

Konseptet bør derfor forbeholdes «sjeldne saker» med et «svært begrenset» dokumentasjonsgrunnlag. Det innebærer blant annet at:

- I pilotfasen bør konseptet kun gjelde saker med formell orphan-designation i EMA.
- «Sjelden» må defineres tydelig.
- Kriteriene for hva som menes med «svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag» må presiseres.

LMI er bekymret for at anvendelsesområdet slik det nå er beskrevet i praksis kan bli betydelig bredere enn sjeldenfeltet. Dette vil innebære en omfattende og etter LMIs syn uheldig omlegging av dagens evalueringssystem. LMI foreslår derfor å ikke inkludere andre saker der det også er å forvente at det er svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag. Disse sakene med usikkert datagrunnlag har også behov for en bedre og mer systematisk evaluering enn slik det fungerer i dag. Disse sakene kan vurderes inkludert i konseptet etter at en pilotfase er gjennomført og evaluert, men prinsipielt mener LMI at de fortrinnsvis bør evalueres og håndteres gjennom normal saksbehandling og utredning der IKER tallfestes og usikkerheten håndteres ved standard HTA-metodologi.

Usikkerhet og nyttevurdering

LMI er særlig kritisk til at usikkerhet i konseptforslaget ser ut til å inngå som en del av selve nyttevurderingen. Etter grunnleggende helseøkonomiske prinsipper hører usikkerhet hjemme i vurderingen av:

- om det er rimelig å etterspørre mer data
- om midlertidig innføring kan være aktuelt

Usikkerhet bør derimot ikke redusere den forventede nytten i seg selv. Når inklusjonskriteriet for ordningen nettopp er høy usikkerhet, vil det være inkonsistent dersom denne usikkerheten i tillegg brukes til å trekke nyttevurderingen ned. Dette innebærer i realiteten en «dobbeltraff» for usikkerhet.

Formålet med ordningen bør være å angi en faglig retning for forventet effekt – positiv, negativ eller nøytral – også når usikkerheten er betydelig.

Prismatrise – behov for videre faglig avklaring

LMI støtter at en prismatrise kan brukes som beslutningsstøtte i sjeldne saker, herunder ved midlertidig innføring. Samtidig reiser den foreslåtte prismatrisen flere prinsipielle og faglige spørsmål som etter LMIs vurdering må utredes nærmere.

Det fremstår særlig problematisk at betalingsvilje for alvorlighet og sjeldenhet nullstilles i laveste nyttekategori. Dette innebærer at prioriteringskriteriene ikke vurderes samlet, noe som er krevende å forsvare nettopp for sjeldne og alvorlige sykdommer.

Videre savner LMI en tydelig faglig begrunnelse for valg av en additiv modell for prismatrisen, og mener en multiplikativ modell, der betalingsviljen for de mest sjeldne og alvorlige tilfellene økes eksponentielt, vil være bedre egnet. LMI forutsetter at verdiene i matrisen uansett ikke medfører en reduksjon av betalingsvilje for den respektive alvorlighetsgraden, og savner en redegjørelse for hvilke implikasjoner prismatrisen og momentene som inngår er ment å ha for samlet betalingsvilje.

Avsluttende merknader og anbefalte presiseringer

LMI er positive til å videreutvikle et rammeverk for de få sakene der full helseøkonomisk analyse ikke er hensiktsmessig. Samtidig er det avgjørende at hovedregelen ligger fast: **der det kan regnes, bør det regnes.**

For å styrke konseptforslaget mener LMI det er nødvendig at:

- inngangskriterier og avgrensning tydeliggjøres, i pilotfasen foreslår LMI at konseptet avgrenses til saker som har formell orphan-designation i EMA.
- det presiseres eksplisitt at usikkerhet ikke inngår i nyttevurderingen.
- det klargjøres hvordan verdien av å redusere beslutningsusikkerhet vurderes opp mot kostnadene i et kvalitativt rammeverk.
- verdiene i prismatrisen ikke medfører en reduksjon i betalingsvilje for den respektive alvorlighetsgraden.
- mandat og sammensetning av den tverrfaglige gruppen beskrives tydelig.
- ordningen etableres som en tidsavgrenset forsøksordning (pilot) med evaluering.

- leverandør gis anledning til å anmode om at ordningen vurderes anvendt, og ha mulighet til å avvise bruk av ordningen dersom man mener en tradisjonell beregning av kostnadseffektivitet er best egnet.
- en diskusjon av implikasjoner av JCA-prosessene for konseptet bør også inkluderes i videre arbeid med konseptet.

Med slike presiseringer mener LMI at konseptet kan bli et nyttig og målrettet supplement som gir bedre faglig retning i vurderingen av sjeldne sykdommer med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag – uten å undergrave etablerte prinsipper i metodevurderingssystemet.