



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

1. Innledning

Sanofi takker for muligheten til å komme med innspill til DMPs konseptforslag for vurdering av saker med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag i systemet for Nye metoder.

Sanofi er positiv til at DMP utvikler et alternativt rammeverk for legemidler der kostnadseffektivitetsanalyse/IKER er vanskelig å etablere. Våre innspill handler om hvordan et rammeverk kan utformes for å sikre rettferdig tilgang til innovative legemidler på sjeldenområdet og for små pasientgrupper.

2. Innspill fra Sanofi

2.1. Sjeldenhet bør være inngangskriteriet til verktøyet

Konseptforslaget definerer verktøyets virkeområde som «legemidler med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag». DMP stiller selv spørsmålet i kapittel 5 om det bør settes et inngangskriterium basert på antall pasienter. Sanofi mener svaret på dette spørsmålet er avgjørende for hele konseptets innretning.

For en sykdom som rammer veldig få pasienter, er det sjelden realistisk å forvente et dokumentasjonsgrunnlag som kan bidra til en ordinær helseøkonomisk analyse. Begrenset dokumentasjon er ofte en konsekvens for legemidler til behandling av sjeldne sykdommer og derfor bør dette verktøyet avgrenses til sjeldne sykdommer.

Sanofi anbefaler å bruke EUs *Orphan Drug Status* som inngangskriterium for legemiddelet. En slik status utløser en rekke regulatoriske incentiver (regulatoriske, økonomiske og vitenskapelige) som skal kompensere for små pasientpopulasjoner og høy risiko. Det legges dermed til rette for innovasjon der markedet ellers ville sviktet. Innføring av dette konseptforslaget er derfor et objektivt, internasjonalt forankret kriterium som skiller sjeldne sykdommer fra andre tilstander med begrenset dokumentasjon, som også er i tråd med Meld. St. 21 2024–2025 (7.1.7.9 *Ordning for vurdering av metoder til særskilt små pasientgrupper*).

Sanofi mener forøvrig at leverandørene selv bør ha anledning til å anmode hvorvidt denne ordningen skal gjelde for det aktuelle sjeldenproduktet/"Orphan Drug" i anmodningsskjema.

2.2 Sammensetning av tverrfaglig gruppe DMP foreslår at det etableres en tverrfaglig gruppe, som skal bestå av faste medlemmer fra ulike etater, klinikere/fagpersoner og brukerrepresentanter. Disse skal gjennomføre skjønnsmessig vurderinger av nytte, alvorlighet og sjeldenhet for legemiddelet. Sanofi er positive til dette. Samtidig mener vi det er viktig at kliniske eksperter innenfor det aktuelle sykdomsområdet, som evalueres til enhver tid, er representert i den tverrfaglige gruppen.

Dette vil bidra til at den skjønnsmessige vurderingen i størst mulig grad iveretar og belyser de reelle kliniske forhold for det enkelte sykdomsområdet. En slik løsning vil gi økt legitimitet til beslutningene.

2.3 Prismatrisen har en strukturell svakhet som må korrigeres

I den foreslåtte prismatrisen gis det ved laveste nyttekategori ingen tillegg for hverken alvorlighet eller sjeldenhet. Dette opplever Sanofi som problematisk. Nettopp de legemidlene som har det svakeste dokumentasjonsgrunnlaget, ofte fordi pasientgruppen er svært liten, vil ha størst risiko for å havne i laveste nyttekategori slik konseptet er foreslått. Konsekvensen er at sjeldenhet, som er selve årsaken til den begrensede dokumentasjonen, ikke får noen kompensierende virkning på betalingsvilligheten. Dette undergraver både konseptets eget rasjonale og Stortingets signaler om å akseptere lavere dokumentasjonskrav for små pasientgrupper.

I prismatrisen bør sjeldenhet virke multiplikativt, ikke additivt. Når færre pasienter deler utviklingskostnadene for et legemiddel, øker kostnad per pasient proporsjonalt, ikke lineært. Et fast kronetillegg per sjeldenhetskategori kompenserer ikke for denne dynamikken. En skalering som øker med graden av sjeldenhet vil gi en mer riktig gjenspeiling av de faktiske kostnadsforholdene.

Dagens fire grove kategorier skaper dessuten vilkårlige terskeffekter: et legemiddel beregnet på 11 pasienter vil aksepteres til et vesentlig lavere prisnivå enn et beregnet på 9, selv om den reelle forskjellen er marginal. En mer gradert og kontinuerlig skala ville eliminert slike utslag.

2.4 Usikkerhet må skilles fra nyttevurderingen

Konseptforslagets nyttevurdering vektet både effektstørrelse og kvaliteten på dokumentasjonsgrunnlaget. Sanofi støtter DMPs anbefaling av Alternativ 1, den fleksible momentlisten. Vi mener imidlertid at det er avgjørende å skille mellom to ulike årsaker til svakheter i dokumentasjonen:

Dersom sjeldenhet etableres som inngangskriterium, har systemet allerede akseptert et premiss: dette legemiddelet vurderes gjennom dette verktøyet, fordi pasientpopulasjonen er for liten til å danne det dokumentasjonsgrunnlaget en kostnadseffektivitetsanalyse krever. Da kan ikke den samme begrensningen samtidig brukes til å trekke ned nytte kategorien. Få pasienter i studien, brede konfidensintervaller, manglende kontrollgruppe, kort oppfølgingstid og bruk av surrogatendepunkter kan ofte være en konsekvens av sjeldenhet.

Dokumentasjonsbegrensninger som følger direkte av sjeldenhet kunne i stedet håndteres gjennom betinget innføring med systematisk revurdering når nye data foreligger. Dette skiller reell usikkerhet, som bør påvirke innføringsvilkårene, fra effektstørrelsen, som bør påvirke nytte kategorien.

2.5 Forutsigbarhet krever transparens om prismatrisen

Et av konseptforslagets uttrykte formål er «økt forutsigbarhet for leverandørene om prosess, vurderingsgrunnlag og rammer for prisnivå». Sanofi deler dette målet og mener det er sentralt for konseptets legitimitet og funksjon.

Konseptforslaget anbefaler imidlertid at prismatrisen med konkrete verdier bør være unntatt offentlighet. Vi forstår at det kan være gode grunner for dette, men vil påpeke at det ikke er med på å bidra til økt forutsigbarhet. Dersom leverandører ikke kjenner rammene for akseptabelt prisnivå før de går inn i prisforhandlinger, vil konseptet i praksis ikke gi den forutsigbarheten den lover. Konsekvensen vil være at de langvarige og krevende prisforhandlingene som konseptet er ment å redusere, fortsetter i ny innpakning.

Sanofi mener det bør vurderes løsninger som ivaretar begge hensyn. Matrisens struktur og relative vektning mellom nytte, alvorlighet og sjeldenhet bør offentliggjøres, slik at alle aktører forstår logikken i systemet. De konkrete kronebeløpene kan deles konfidensielt med leverandør som del av prisforhandlingsprosessen, slik at selskapet kan vurdere om et prisnivå er oppnåelig før en forhandling igangsettes. Uten en slik løsning vil det også være vanskelig for leverandører å argumentere internt i sine organisasjoner for det prisnivået som er nødvendig for godkjenning i Norge, en utfordring DMP selv identifiserer i konseptforslaget.

2.6 Forholdet til ordningen for særskilt små pasientgrupper må avklares

Konseptforslaget anerkjenner at det kan «berøre eller overlape med» ordningen for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand, men avstår fra å ta stilling til dette forholdet. Sanofi mener det er avgjørende at dette avklares før konseptet implementeres.

Dersom det nye vurderingsverktøyet implementeres parallelt med den eksisterende ordningen uten en tydelig avgrensning, risikerer man at leverandører og beslutningstakere møter to ulike rammeverk for delvis overlappende pasientgrupper. Det vil motvirke målet om forutsigbarhet og kan skape inkonsistens i beslutningspraksis.

Regjeringen har gjennom oppdragsdokumentet TOD2025-7 (Evaluering av ordningen for sjeldne sykdommer) gitt de regionale helseforetakene i oppdrag å evaluere om ordningen for særskilt små pasientgrupper fungerer etter hensikten. Sanofi anbefaler at resultatene av denne evalueringen ses i direkte sammenheng med det videre arbeidet med konseptforslaget. Målet bør være et sammenhengende og konsistent rammeverk for vurdering av legemidler til sjeldne sykdommer, der det nye verktøyet og den eksisterende ordningen fungerer som deler av et integrert system med klare grenseflater, ikke som to parallelle spor med uklar avgrensning.

2 Avslutning

Sanofi støtter intensjonen bak DMPs konseptforslag og ønsker å bidra konstruktivt til det videre arbeidet. Vi mener konseptet har potensial til å gjøre Nye metoder-systemet bedre tilpasset de reelle utfordringene som følger av sjeldne sykdommer, men at de seks punktene vi har løftet i dette innspillet bør adresseres for at verktøyet skal fungere etter hensikten.

Norge har mulighet til å være et foregangsland, og utvikle et system som både ivaretar ansvarlig ressursbruk og sikrer at pasienter med sjeldne sykdommer får tilgang til nye behandlinger på en rettferdig og forutsigbar måte.