

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

Funksjonshemmedes fellesorganisasjon (FFO) er paraplyorganisasjon for 90 organisasjoner av funksjonshemmede og kronisk syke. Over 30 av medlemsorganisasjonene våre representerer personer med sjeldne diagnoser og deres pårørende.

Vi takker for muligheten til å gi innspill til konseptforslaget for vurdering av saker med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag i Nye metoder. Det er behov for å tilpasse systemet i Nye metoder til å kunne vurdere behandling som kan gi flere gode leveår til diagnoser med svært små pasientpopulasjoner.

Overordnet vurdering av konseptforslaget

FFO støtter målet om mest mulig lik vurdering av metoder der det ikke er rimelig å forvente bedre kvalitet på dokumentasjonen på beslutningstidspunktet. Det er viktig for våre medlemmer at vi sikrer mer hensiktsmessige, forutsigbare og effektive prosesser. Riktig brukt kan dette konseptforslaget gi mer konsistente vurderinger, bedre grunnlag for prisdialog og mer effektiv ressursbruk i systemet.

Dette er særlig viktig når det gjelder sjeldne sykdommer der pasientgrunnlaget for rekruttering til kliniske studier er begrenset, samtidig som behovet for behandling er stort. Det er behov for et verktøy som både sikrer lik behandling av saker og beslutning innen rimelig tid. De fleste sjeldne diagnoser er genetiske og medfødte. Pasienter som skal leve hele livet med sammensatte og alvorlige tilstander, har ikke tid til å vente dersom en behandling med høy sannsynlighet kan gi god livskvalitet og mulighet til å delta i samfunnet.

For å tydeliggjøre formålet med konseptforslaget mener vi det bør komme fram at økt forutsigbarhet om prosess, vurderingsgrunnlag og rammer for prisenivå ikke bare er viktig for leverandørene, men også for pasienter med sjeldne diagnoser. Pasient- og brukerorganisasjoner som jobber for tilgang på behandling for sine medlemmer vil ha nytte av konseptnotatet, vi håper det også er en del av formålet.

FFO mener i tillegg at det bør presiseres om formålet primært er bedre beslutningsstøtte ved høy usikkerhet, sterkere vektlegging av alvorlighet og sjeldenhet, eller økt forutsigbarhet i pris- og beslutningsdialog. En slik avklaring er avgjørende for riktig innretning av både rammeverk og prosess.

Brukermedvirkning

FFO er støtter forslaget om å etablere en tverrfaglig vurderingsgruppe for saker med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag, og at det inkluderer brukerrepresentanter. Det er viktig å styrke pasientenes stemme i metodevurderingen. Vi vil påpeke viktigheten av at brukerrepresentantene foreslås fra brukerorganisasjoner, selv om gruppen skal oppnevnes av Beslutningsforum.

Det er også viktig at brukerrepresentantene representerer de sjeldne og små pasientgruppene det her er snakk om. Det innebærer at det er vesentlig med god opplæring og informasjonsdeling, samt at utgifter dekkes. Pasientorganisasjoner som representerer sjeldne diagnoser er svært opptatt av tilgang på ny behandling, men mye av arbeidet gjøres på frivillig basis fordi organisasjonene er små.

Den tverrfaglige vurderingsgruppen bør også bestå av klinikere med inngående kjennskap til aktuelt terapiområde og pasientforløp.

Hvilke saker kan inngå: sjeldenhet og avgrensning

Det er viktig at begrepene «sjeldne» og «svært begrenset dokumentasjon» defineres tydelig. I EU regnes en sykdom som sjelden dersom den rammer færre enn 5 per 10 000 personer i befolkningen.

Videre utvikling i dokumentasjonsgrunnlaget eller mulig utvidelse til flere indikasjoner bør ikke automatisk føre til at et legemiddel faller utenfor dette vurderingsløpet, ettersom tidligfasestudier ofte innebærer betydelig usikkerhet. En for streng forståelse av sjeldenhet kan i praksis føre til unødvendige forsinkelser i pasienttilgang, uten at beslutningsgrunnlaget reelt sett er forbedret. Vi mener derfor at vurderingen av sjeldenhet og dokumentasjonsgrad må være dynamisk og helhetlig.

Kvantitative analyser og håndtering av usikkerhet

FFO anerkjenner at tilgjengelige data bør utnyttes best mulig også i saker med begrenset dokumentasjon. Der det er faglig forsvarlig, bør kostnadseffektivitet inngå i beslutningsgrunnlaget, selv ved høy usikkerhet.

Samtidig må usikkerhet håndteres på en konsistent måte og ikke automatisk føre til redusert vurdert nytte. Usikkerhet bør primært benyttes til å vurdere behov for ytterligere datainnsamling, midlertidige løsninger eller alternative avtaler, for å unngå en systematisk «dobbelstraff» i vurderingen av sjeldne og alvorlige sykdommer.

Rammeverket – støtte for skjønn

FFO ser positivt på et semikvantitativt rammeverk som kan bidra til økt struktur og transparens, men understreker at det må anvendes veiledende og ikke mekanisk.

Alvorlighet og sjeldenhet må ha selvstendig betydning også ved lav eller usikker nytte, og rammeverket må suppleres med kvalitative vurderinger og faglig skjønn. Videreutvikling bør skje gradvis og basert på erfaring.

Oppsummert anbefaler FFO:

- Formålet med konseptet må presiseres tydelig og det bør komme fram at økt forutsigbarhet for pasienter med sjeldne diagnoser er et av formålene.
- Representanter fra brukerorganisasjoner må velges av organisasjoner som representere sjeldne eller små pasientgrupper.
- Det må avklares tydelig hva som kvalifiserer som «svært begrenset dokumentasjon».
- Usikkerhet må ikke bli brukt både som inngangskriterium og som reduksjonsfaktor i nyttevurderingen og dermed gi risiko for en «dobbeltraff», spesielt i sjeldne og alvorlige saker.
- Innretning, avgrensning og bruk må utvikles i tett samspill. Ordningen bør ses på som en forsøksordning som evalueres og justeres underveis.
- Parallelt må det jobbes videre med bedre håndtering av usikkerhet også i saker som ikke dekkes av konseptet.

Avslutning

Konseptforslaget adresserer viktige utfordringer i dagens system for Nye metoder. For å lykkes må formål, avgrensning og innretning tydeliggjøres, slik at rammeverket bidrar til mer konsistente, transparente og rettferdige beslutninger. Vi stiller oss positive til videre dialog og bidrar gjerne i den videre utviklingen.