

# Høringsinnspill – Konseptforslag for vurdering av legemidler med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag

## 1. Innledning

Amgen Norge takker for muligheten til å gi innspill til Direktoratet for medisinske produkters konseptforslag. Vi deler vurderingen av at systemet for Nye metoder står overfor strukturelle utfordringer som følge av rask medisinsk og regulatorisk utvikling, herunder økt bruk av betinget markedsføringstillatelser, målrettede terapier og behandlinger for små og svært heterogene pasientgrupper. Vi ser det i tillegg som positivt at konseptforslaget har fokus på økt transparens og forutsigbarhet.

I dette innspillet kommenterer Amgen særlig behovet for transparens i skjønnsmessige vurderinger, håndtering av usikkerhet over tid, valg av modell for nyttevurdering og bruk av faglig ekspertise i prosessen.

## 2. Overordnet vurdering – behov for konsistens

Amgen støtter ambisjonen om å finne mer hensiktsmessige løsninger for saker der tradisjonelle kostnad-nytte-analyser ikke vurderes å gi et tilstrekkelig beslutningsrelevant resultat. Samtidig er det avgjørende at eventuelle nye verktøy ikke utvikles som et parallelt spor med egne vurderingslogikker, men inngår som en tydelig avgrenset forlengelse av dagens prioriteringsrammeverk.

Det er særlig viktig at tilføyelse av nye prosesser bidrar til økt forutsigbarhet og konsistens over tid, og at de understøtter tilliten til beslutningene, spesielt i saker preget av betydelig usikkerhet.

Amgen mener det kan være hensiktsmessig at et eventuelt nytt konsept innføres gradvis, for eksempel gjennom en avgrenset anvendelse i en innledende fase. En slik tilnærming kan bidra til erfaringslæring og justering av prosess og metodikk. Vi mener at det vil være viktig at det legges opp til en løpende evaluering fra industrien underveis. En slik evaluering vil gi rom for å justere konseptet slik at det har den funksjonen vi oppfatter at DMP ønsker konseptet skal ha.

## 3. Skjønnsmessige vurderinger – transparens og etterprøvbarehet

Amgen anerkjenner at skjønnsmessige vurderinger er uunngåelige når dokumentasjonsgrunnlaget er svært begrenset. Nettopp derfor er det avgjørende at skjønnnet utøves innenfor klare og avgrenset rammer som gjør vurderingene forståelige og etterprøvbare for alle aktører.

Den foreslåtte semi-kvantitative kategoriseringen av nytte og alvorlighet gir etter vårt syn et betydelig tolkningsrom. Uten tydelig dokumentasjon av hvilke hensyn som faktisk har vært

avgjørende, kan dette svekke transparensen og gjøre det krevende å lære av og sammenligne tidligere beslutninger.

Det er særlig viktig for å unngå at vurderingene i praksis blir svært kvalitative, uten tilstrekkelig transparens rundt hvilke faglige vurderinger som har vært utslagsgivende.

#### **4. Nyte, alvorlighet og håndtering av usikkerhet**

Amgen mener det er viktig å skille tydeligere mellom vurdering av forventet klinisk nytte og hvordan usikkerhet håndteres i beslutningsprosessen. Usikkerhet bør etter vårt syn ikke inngå som en del av selve nyttevurderingen. I stedet bør fokus være på om den tilgjengelige dokumentasjonen gir tilstrekkelig grunnlag for å vurdere forventet klinisk nytte. Usikkerhet knyttet til denne vurderingen bør derfor ikke inngå som et eget vurderingselement i konseptet.

Dersom man i en slik første vurdering konkluderer med at den tilgjengelige dokumentasjonen gir tilstrekkelig grunnlag for å vurdere forventet klinisk nytte, men at det samtidig knytter seg betydelig usikkerhet til varighet, størrelse eller overførbarhet av effekten, kan det være hensiktsmessig å adressere dette i en egen, påfølgende vurdering.

Amgen mener at systemet bør i en slik vurderingsfase, i større grad, legge til rette for løpende håndtering av usikkerhet, der faglige vurderinger kan oppdateres over tid i takt med ny kunnskap, heller enn at all usikkerhet forsøkes håndtert gjennom én samlet skjønnsmessig vurdering på et tidlig tidspunkt.

En tydeligere sekvensiell tilnærming kan bidra til økt transparens, bedre konsistens mellom saker og større forståelse for beslutningsgrunnlaget.

#### **5. Valg av modell for vurdering av nytte**

Innspillsnotatet skisserer to alternative modeller for skjønnsmessig vurdering av nytte, og legger selv størst vekt på alternativ 1 – en relativt fleksibel liste med relevante vurderingsmomenter. Amgen støtter denne tilnærmingen. Etter vårt syn er en slik modell bedre egnet til å håndtere den betydelige variasjonen som kjennetegner saker med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag.

Alternativ 2 kan fremstå betydelig mer forutsigbart, men innebærer etter vår vurdering en risiko for at komplekse vurderinger presses inn i forhåndsdefinerte kategorier som ikke fullt ut reflekterer den underliggende usikkerheten.

Samtidig er det viktig å være oppmerksom på at økt fleksibilitet også medfører økt behov for struktur. For at alternativ 1 skal fungere etter hensikten, mener vi at det bør stilles tydeligere krav til hvordan vurderingsmomentene anvendes, vektas og dokumenteres i den enkelte sak. Uten dette kan modellen bli krevende å praktisere konsistent, og det kan bli vanskelig å forstå hvilke faktorer som faktisk har vært utslagsgivende i vurderingen.

Amgen mener derfor at alternativ 1 bør videreutvikles gjennom tydeligere metodisk veiledning, systematisk bruk av fagekspertise og eksplisitt dokumentasjon av begrunnelsene bak valg av nyttekategori. Dette vil kunne styrke transparens, etterprøvnbarhet og læring over tid, uten å redusere nødvendig fleksibilitet i saker der datagrunnlaget er svakt eller heterogent.

## 6. Tverrfaglighet og faglig legitimitet

Forslaget om en tverrfaglig gruppe er et viktig grep for å styrke kvaliteten i vurderingene. For å sikre faglig legitimitet over tid mener Amgen at gruppens mandat, sammensetning og arbeidsform bør være tydelig definert og konsistent på tvers av saker.

Særlig bør bruken av kliniske fagekspertiser struktureres bedre, slik at deres bidrag integreres systematisk i beslutningsgrunnlaget, og ikke fremstår som ad hoc-innspill.

Erfaringer fra sammenlignbare nordiske modeller, som i Medicinrådet i Danmark med de tilhørende fagutvalgene, kan være relevante i denne sammenhengen. Særlig kan praksis der usikkerhet vurderes løpende gjennom strukturert involvering av fagekspertiser gi nyttige perspektiver.

## 7. Prismatrise – insentiver og systemeffekter

Koblingen mellom skjønnsmessige vurderinger og en prismatrise reiser viktige prinsipielle spørsmål. Selv om økt forutsigbarhet i prisdiskusjoner er et legitimt mål, er det en risiko for at en matrise kan oppfattes som mer presis enn beslutningsgrunnlaget tilsier.

Samtidig vil vi peke på at det kan være krevende å forholde seg til en prismatrise uten at de underliggende verdiene og forutsetningene er nærmere konkretisert, da dette kan gjøre anvendelsen av matrisen mindre forutsigbar i praksis.

## 8. Avsluttende bemerkninger

Amgen støtter behovet for å videreutvikle systemet for Nye metoder i møte med medisinsk innovasjon og økende usikkerhet. Samtidig mener vi at videre arbeid bør ha et tydelig system- og prinsippfokus, der transparens, konsistens og læring over tid står sentralt.

Vi bidrar gjerne videre i dialogen om hvordan systemet kan utvikles på en måte som ivaretar både pasientenes behov og helsetjenestens legitimitet.

Amgen viser for øvrig til Legemiddelindustriens (LMI) høringsinnspill, som vi mener utfyller våre kommentarer og bidrar med relevante perspektiver på den videre utviklingen av konseptet.