



UNIVERSITETET
I OSLO

Direktoratet for medisinske produkter, Nye metoder og Sykehusinnkjøp

Dato: 15. april 2026

Innspill til «Innspillsnotat: Konseptforslag til vurdering av saker med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag i systemet for nye metoder»

På vegne av forskningsgruppen Økonomisk evaluering av helsetiltak og forskningsgruppen Helseøkonomi og helsepolitikk ved Avdeling for helseledelse og helseøkonomi (Det medisinske fakultet ved Universitetet i Oslo) takker for muligheten til å gi innspill.

Med hilsen

Professor Eline Aas, PhD

Professor Jonas Kinge, PhD

På vegne av forskningsgruppen Økonomisk evaluering av helsetiltak og forskningsgruppen Helseøkonomi og helsepolitikk

Vedlegg: Innspill



Innspill til konseptforslag

Innspillsnotatet tar utgangspunkt i en økende andel av vurderinger varig finansiering for legemidler med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag. Utfordringen er særlig en utfordring ved vurdering av nye behandlinger for svært alvorlige sykdommer, samt for sjeldne sykdommer. Utfordringen slik den er presentert i notatet er relatert til at en økende andel legemidler oppnår markedsføringsgodkjennelse med begrenset dokumentasjon. Dette kombinert med at en markedsføringstillatelse krever annen dokumentasjon enn en beslutning om finansiering, da det i en markedsføringstillatelse kun skal vurderes om legemiddelet er sikkert, mens i en finansieringsbeslutning, verdien (i form av gode leveår/QALYs) og ressursbruken skal sammenliknes med dagens behandling.

I henhold til retningslinjer for prioritering, skal helseeffekten (gode leveår/QALYs), ressursbruk og alvorlighet vurderes. Vurdering av helseeffekt og ressursbruk/kostnader sammenstilles i en kostnadseffektivitetsanalyse og vurderes opp mot terskelverdien som avhenger av alvorlighet.

Konseptforslaget består av en alternativ metode, en prismatrise, for vurdering av et nytt legemiddel, når dokumentasjonsgrunnlaget er svært begrenset. Til grunn for prismatrisen er det utarbeidet en liste over komponenter som skal vurderes i forhold til nytte og ulike kategorier fra lav til høy grad av nytte.

I tillegg foreslås det en å etablere en tverrfaglig saksbehandlingsgruppe etter modell fra Sverige og Danmark, som kan bistå vurderinger. Slik vi leser dette forslaget, er det likheter med funksjonene som var lagt til Blåreseptnemda.

Her er noen innspill til konseptforslaget:

Utfordring med dokumentasjon

Vi støtter rapportens bekymring for manglende dokumentasjon i vurdering av nye legemidler. Sikre god bruk av samfunnets ressurser er viktig. Vi mener det her bør vurderes flere tiltak for å motvirke denne utviklingen. Her tror vi særlig tilgang på data fra registre er sentralt. Bruk av norske registerdata kan utnyttes i mye større grad enn det gjøres per i dag. Vi mener myndighetene bør ta en aktiv rolle med tilrettelegging for en økt bruk av helsedata i finansieringsbeslutninger av nye behandlinger.

Ved siden av rask tilgang på data, vil innhenting av flere kliniske variable være nødvendig for å kunne etablere gode kontrollkohorter. Innhenting av mer informasjon, kan medføre behov for endringer i lovverket. Dette kan være et viktig bidrag og bør vurderes av myndighetene. Et eksempel er informasjon om biomarkører for alle pasienter som behandles ved norske sykehus, uavhengig av om biomarkøren medført endring i behandling. Denne informasjonen kan være relevant for å etablere fremtidige kontrollkohorter som kan brukes til å sammenliknes med ny behandling fra enarmede studier.



Prismatrise i stedet for kostnadseffektivitetsanalyse

I konseptnotatet legges det opp til at for alle kategorier 1 til 4, skal rammeverket for kostnadseffektivitet forkastes, og i stede innføre en ny prismatrise.

Vi støtter at det i situasjoner hvor det ikke er noen tiltro til dokumentasjonen (kategori 1), må gjøres vurderinger med utgangspunkt i andre metoder. Her kan en prismodell være et alternativ. Dette kommenterer vi mer under neste punkt.

Vi mener at for kategori 2 til 4 (Tabell 2) bør rammeverket for kostnadseffektivitet videreføres. Slik konseptnotatet er utformet, vil det for disse kategoriene være indikasjoner om en positiv effekt av ny behandling, men at det i varierende grad (fra kategori 2 til 4) er bekymring for skjevhet i estimatene. Vi støtter bekymringen for skjeve estimater, men mener dette best håndteres innenfor rammeverket for kostnadseffektivitetsanalyser og prioriteringsforskriften. Vi er bekymret for introduksjon av en matrise som ikke fullt ut følger prioriteringskriteriene. Det er flere årsaker til dette ved at rammeverket for kostnadseffektivitetsanalyser:

- Forutsigbart verktøy
- Er et gjennomarbeidet og vel utprøvd rammeverk med etablerte verktøy for å sikre transparens og etterprøvbarehet
- Beskrives begge (alle) alternativer detaljert, systematisk vurdering av alle relevante konsekvenser som skal inkluderes både med hensyn til helse og ressursbruk
- Identifiserer eksplisitt hvilke faktorer som er drivere for resultatene
- Håndterer usikkerhet i alle parametere simultant (ved forventningsverdi og variasjon)
- Håndtere strukturell usikkerhet
- Vurdere hvorvidt usikkerhet i parametere og struktur har betydning for beslutningsusikkerhet
- Utforske konsekvenser av skjeve estimater i analysene, se på konsekvenser på IKER (inkrementell kostnadseffektivitets ratio)
- Danne grunnlag for prisforhandlinger. Gitt kategori 2 til 4, så er det en forventning om helseeffekt (med varierende grad av skjevhet), som da vil komme til uttrykk i resultatene fra kostnadseffektivitetsanalysen. Ved inkludering av usikkerhet og håndtering av skjeve estimat, danner dette et grunnlag for å diskutere pris, deling av risiko, konsistent med prioriteringskriteriene, og inkludering av at det er en forventet effekt

For å oppsummere: Når det er forventning om effekt (også liten), mener vi at det bør estimeres en IKER, og diskutere konsekvenser av skjevhet innenfor dette rammeverket.

Kategori 1 til 4

Vi synes at det er nyttig og hensiktsmessig med en beskrivelse av hvilken type data som kan bidra til usikkerhet i dokumentasjonsgrunnlaget, slik som beskrevet i notatet. Samtidig tror vi at en slik liste ikke fjerner arbeid og diskusjon knyttet til hvilken dokumentasjonskategori og skjevhet et legemiddel vil tilhøre. Det kan derfor fortsatt bli mye arbeid knyttet til å bli enige om kategori og tillit til dokumentasjon.



Spesifikke innspill til prismatriseforslaget

I utviklingen av prismatrisen, er det uklart hvorfor det ikke er tatt utgangspunkt i ulike prismodeller. I Manders et al (2025) er det er oversikt over litteraturen og ulike modeller (*Manders EA, Berg S van den, Visser, SJ de, Hollak CEM. Drug pricing models, no 'one-size-fits-all' approach: a systematic review and critical evaluation of pricing models in an evolving pharmaceutical landscape. The European Journal of Health Economics (2025) 26:683–696. <https://doi.org/10.1007/s10198-024-01731-w>.*)

I noen av disse modellene legges faktorer som investering i forskning og utvikling, produksjonskostnader, kostnader knyttet til administrasjon og profitt til grunn.

For prismatrisen som er foreslått, må det fremskaffes vektorer for hvordan de ulike faktorene skal vurderes opp mot hverandre. Det er uklart hvordan dette skal gjøres, og om det er vurdert at det skal gjøres en studie for å avgjøre vektene. Terskelverdien for svært alvorlig er 825 000 kr i henhold til «Magnussen-trappa». Dette kan være et rimelig utgangspunkt for terskelverdien.

Sjeldenhet

Vi tenker at sjeldenhet kan skjønsmessig gis vekt for alle kategorier. For kategori 2 – 4, kan sjeldenhet, som alvorlighet, vektet skjønsmessig inn i en endret/økt terskelverdi.

Tverrfaglig saksbehandlingsgruppe:

Vi støtter en vurdering av en slik gruppe. En slik gruppe behøver ikke være involvert i alle saker, men i saker som er særlig utfordrende og/eller er prinsipielle ved at noe nytt belyses. Dette kan være knyttet til metode- (kostnadseffektivitet), etiske og finansielle utfordringer.
