

Hørings svar fra Koalisjonen for sjeldne sykdommer

1. Innledning

Koalisjonen for sjeldne sykdommer avgir med dette et hørings svar til DMPs konseptforslag til vurdering av saker med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag i systemet for Nye metoder, datert 17. februar 2026. Koalisjonen består i dag av Takeda, Sanofi, Italfarmaco, Chiesi, BioMarin, Biogen, CSL, Lundbeck og Merck.

2. Koalisjonens posisjon

Koalisjonen for sjeldne sykdommer støtter konseptforslagets grunnleggende retning. At DMP anerkjenner behovet for et alternativt vurderingsverktøy der tradisjonelle kostnadseffektivitetsanalyser ikke er mulig eller hensiktsmessig, er et viktig og etterlengtet skritt. Inkluderingen av sjeldenhet som en selvstendig dimensjon i prismatrisen representerer en prinsipiell anerkjennelse Koalisjonen har arbeidet for i ti år.

Vi mener imidlertid at konseptforslaget har tre strukturelle svakheter som må løses for at det skal gi reell forbedring i tilgangen til behandling for pasienter med sjeldne sykdommer:

1. Vi mener at et verktøy som samler opp alle legemidler med svakt dokumentasjonsgrunnlag, uavhengig av årsak, vil bli for bredt til å fungere etter hensikten. DMP løfter selv spørsmålet om avgrensning i kapittel 5. Vårt klare råd er at sjeldenhet bør være inngangskriteriet. Det vil sikre at verktøyet blir en operativ løsning for sjeldne sykdommer, der begrenset dokumentasjon er en nødvendig konsekvens av få pasienter. Uten en slik avgrensning risikerer vi at verktøyet blir en generell usikkerhetsordning der sjeldenhetshensynet gradvis utvannes.
2. Prismatrisens fire sjeldenhetskategorier er for grove og bør erstattes av en kontinuerlig, gradert funksjon som bedre reflekterer den reelle variasjonen i pasientantall.
3. Forholdet til den eksisterende ordningen for særskilt små pasientgrupper er uavklart, noe som skaper risiko for to parallelle, ukoordinerte systemer.

Vi mener i tillegg at konseptforslaget må suppleres med to prinsipielle rammebetingelser:

4. Deltagelse i den skjønsmessige vurderingsordningen må være frivillig og to-sidig. Klassifiseringen av en sak som «uten troverdig IKER» har direkte konsekvenser, og kan ikke være en ensidig beslutning fra forvaltningen. Leverandøren må beholde retten til å bli vurdert gjennom ordinært spor dersom leverandøren mener å kunne levere en troverdig helseøkonomisk analyse.
5. Sjeldenhet bør hensyntas som en selvstendig dimensjon i prioriteringsbeslutninger uavhengig av vurderingsspor. Dersom sjeldenhet kun gir prisuttelling i den skjønsmessige ordningen, oppstår et paradoksalt insentiv der leverandører som investerer i bedre dokumentasjon, og dermed kvalifiserer for ordinært spor, mister sjeldenpremien. Det videre arbeidet bør inkludere en vurdering av hvordan sjeldenhet kan operasjonaliseres også i IKER-baserte vurderinger.

3. Omfang: Verktøyet må avgrenses til sjeldne sykdommer

3.1 Sjeldenhet som inngangskriterium

Konseptforslaget bruker «svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag» som inngangskriterium. Slik forslaget står nå, vil et onkologiprodukt med en svak fase II-studie i en vanlig kreftform kvalifisere på lik linje med en genterapi for en monogen sykdom som rammer to barn i året. DMP skriver selv at verktøyet «i de fleste tilfeller vil gjelde legemidler til sjeldne sykdommer». Vi mener dette bør formaliseres som et eksplisitt inngangskriterium.

Vi anerkjenner at begrenset dokumentasjon kan ha legitime årsaker også utenfor sjeldenfeltet, for eksempel akselererte godkjenninger grunnet manglende behandlingsalternativer, studier med komparatorer som ikke er relevante for norsk klinisk praksis, legemidler godkjent på surrogatendepunkter med kort oppfølgingstid, eller presisjonsmedisinske behandlinger der biomarkørseleksjon gjør studiepopulasjonen liten uten at selve sykdommen er sjelden. Men for sjeldne sykdommer er sammenhengen mellom få pasienter og begrenset dokumentasjon strukturell og uunngåelig. Det er denne strukturelle koblingen som begrunner et eget verktøy med egne rammer. Uten en avgrensning til sjeldne sykdommer risikerer man at verktøyet må balansere svært ulike hensyn, og at sjeldenhetsdimensjonen, som er det politisk og faglig nye ved forslaget, fortynnes.

Sjeldenhetsdimensjonen i prismatrisen er konseptforslagets viktigste nyvinning. Den representerer en implisitt anerkjennelse av at antall pasienter bør påvirke betalingsviljen, forankret i Meld. St. 21. Hvis verktøyet brukes bredt for alle typer

dokumentasjonsutfordringer, blir sjeldenhetstillegget bare én av mange justeringsfaktorer i en generell usikkerhetsordning. Da mister forslaget sin politiske og verdimeslige forankring, og vi står igjen med et verktøy som systematiserer dagens praksis fremfor å endre den.

Vår anbefaling: Etabler sjelden sykdom som eksplisitt inngangskriterium for verktøyet. Dette sikrer at verktøyet blir en sjeldenordning, ikke en generell usikkerhetsordning.

Formuleringsforslag:

«Vurderingsverktøyet gjelder legemidler til behandling av sjeldne sykdommer, definert som sykdommer med prevalens ≤ 5 per 10 000 innbyggere i tråd med europeisk definisjon (Regulation (EC) No. 141/2000), der dokumentasjonsgrunnlaget ikke er tilstrekkelig for en troverdig IKER.»

Inngangen til verktøyet bør være tolagd: Første lag er sykdomsnivå: sykdommen må oppfylle EUs sjeldenhetsdefinisjon (prevalens ≤ 5 per 10 000 innbyggere, tilsvarende ca. 2 800 personer i Norge). Dette er en binær port som sikrer at verktøyet forbeholdes sjeldne sykdommer, og forhindrer at legemidler for vanlige sykdommer kvalifiserer bare fordi de er indikasjonssnevret til en liten subpopulasjon. Andre lag er legemiddelnivå: antall behandlingsberettigede pasienter per år i Norge for det spesifikke legemiddelet (hele bruksområdet) bestemmer hvor på sjeldenhetsskalaen saken plasseres (se seksjon 4.1). Denne tolagde strukturen er nødvendig fordi sykdomsprevalens og behandlingsberettiget populasjon er vesentlig forskjellige størrelser, en sjelden sykdom med 2 000 prevalente pasienter kan ha 50–100 nye pasienter per år som er aktuelle for et spesifikt legemiddel.

3.2 Integrering med ordningen for særskilt små pasientgrupper

Konseptforslaget eksisterer parallelt med ordningen for særskilt små pasientgrupper, uten at forholdet mellom dem er avklart. To parallelle, ukoordinerte ordninger skaper risiko for at legemidler faller mellom to stoler, eller omvendt, at saker vurderes i begge spor uten klar prioritering.

Vi anbefaler at de to ordningene forstås som ett sammenhengende rammeverk. Sjeldenhetsdimensjonen i prismatrisen bør utformes slik at den gir gradvis økende betalingsvilje nedover i pasientantall. Økningen bør begynne å avta rundt det pasientantallet der den eksisterende ordningen for særskilt små pasientgrupper begynner å gjelde, men uten et hardt tak, slik at kurven fortsatt differensierer mellom for eksempel 50, 20 og 3 pasienter. I denne strukturen fungerer sjeldenhetsdimensjonen som et gulv: den gir en veiledende akseptabel årskostnad for sjeldne sykdommer over hele spekteret. Saker som i tillegg oppfyller alle tre kriteriene for den eksisterende ordningen (færre enn ca. 50 pasienter, APT over ca. 30 tapte

gode leveår, og forventet nytte over ca. 2 vunnet leveår) kan kvalifisere for ytterligere betalingsvilje utover det sjeldenhetsdimensjonen gir.

Denne strukturen løser tre problemer samtidig. For det første fanges saker med under 50 pasienter som ikke oppfyller alle tre kriteriene for den eksisterende ordningen opp av sjeldenhetsdimensjonen, dette er et gap i dagens system. For det andre unngår man to ukoordinerte parallellspor. For det tredje bevares den eksisterende ordningen som et tillegg for de mest eksepsjonelle sakene, uten at den erstattes eller undergraves.

Vi anbefaler at denne integreringen koordineres med Deloitte-evalueringen som ferdigstilles juni 2026.

4. Prismatrisen: Fra fire kategorier til gradert sjeldenhetsmodell

4.1 Sjeldenhetsdimensjonen må dekke hele det sjeldne spekteret

DMPs fire sjeldenhetskategorier (>50, 30–50, 10–29, <10 pasienter/år) har tre strukturelle svakheter som bør adresseres før verktøyet tas i bruk.

For det første skaper fire brede kategorier vilkårlige terskeeffekter. Et legemiddel med 11 pasienter og et med 29 pasienter havner i samme kategori, til tross for at forskjellen i markedsgrunnlag er enorm. Et legemiddel med 49 pasienter får sjeldenhetsuttelling, mens et med 51 ikke gjør det. Når DMP først velger å gjøre sjeldenhet til en gradert dimensjon, bør graderingen være fin nok til å reflektere reelle forskjeller i pasientgrunnlag.

For det andre dekker kategoriene et for smalt segment av det sjeldne spekteret. Dersom sjelden sykdom etableres som inngangskriterium slik vi foreslår i seksjon 3.1, oppstår det et vesentlig gap mellom inngangsporten og sjeldenhetsdimensjonen. EU-definisjonen av sjelden sykdom tilsvarer en prevalens på ≤ 5 per 10 000 innbyggere, altså ca. 2 800 personer i Norge. Mange av disse sykdommene har pasientgrupper på 100, 200 eller 400 behandlingsberettigede per år. DMPs sjeldenhetskategorier starter først ved 50 pasienter og gir ingen sjeldenhetsuttelling for legemidler med mer enn 50 pasienter per år. Det innebærer at en stor andel legemidler som kvalifiserer for verktøyet gjennom inngangskriteriet, ikke får noen sjeldenhetsuttelling i prismatrisen. Disse legemidlene vil da bli vurdert med full usikkerhetsrabatt på nytte og alvorlighet, men uten den kompenserende faktoren som sjeldenhetsdimensjonen er ment å gi. Sjeldenhetsdimensjonen bør reflektere hele spekteret av sjeldne sykdommer som kvalifiserer for verktøyet.

For det tredje bør sjeldenhet virke multiplikativt, ikke additivt. I DMPs prismatrise legges sjeldenhetsuttelling til som et fast kronebeløp uavhengig av nytte- og alvorlighetskategorisering. Denne additive strukturen innebærer at et legemiddel med høy nytte og høy alvorlighet for svært få pasienter får nøyaktig samme sjeldenhetstillegg som et legemiddel med lav nytte og lav alvorlighet for like få pasienter. Sjeldenhet bør i stedet forsterke den samlede vurderingen: et legemiddel som scorer høyt på nytte og alvorlighet fortjener proporsjonalt større sjeldenhetsuttelling, fordi det kommersielle grunnlaget for å utvikle og tilby legemiddelet er svakere jo færre pasienter det gjelder. En multiplikativ kobling mellom sjeldenhet og de øvrige dimensjonene ivaretar dette.

Illustrasjon: En mulig operasjonalisering som ivaretar alle tre prinsippene er en kontinuerlig, S-formet (logistisk) kurve der sjeldenhetsuttelling begynner allerede ved høyere pasientantall, men forblir marginal i den øvre delen av spekteret, og først gir vesentlig uttelling når pasientantallet kommer under et visst nivå. En slik kurve eliminerer terskeeffekter, dekker hele det sjeldne spekteret, og kan designes slik at økningen begynner å avta rundt det pasientantallet der den eksisterende ordningen for særskilt små pasientgrupper begynner å gjelde, uten at kurven når et hardt tak. Kurven fungerer som en multiplikator på nytte- og alvorlighetsgrunnlaget:

Strukturprinsipp:

Akseptabel årskostnad = (Nyttegrunnlag + Alvorlighetsgrunnlag) ×
Sjeldenfaktor(p)

der p er antall behandlingsberettigede pasienter per år i Norge (hele bruksområdet for legemiddelet).

Nyttegrunnlag og alvorlighetsgrunnlag fastsettes som kroneverdier per kategori, der kategori 1 = 0 for begge dimensjoner.

Det sentrale er ikke hvilken spesifikk matematisk funksjon som velges, men at den ivaretar egenskapene over. De konkrete designvalgene, ved hvilket pasientantall kurven begynner å gi merkbar uttelling, stigningsrate, og i hvilken grad kurven flater ut i det nedre sjiktet, bør utredes i det videre arbeidet og forankres i beslutningspraksis i nye metoder.

Formuleringsforslag:

Vi anbefaler at sjeldenhetsdimensjonen i prismatrisen utredes videre med sikte på å:

- Erstatte de fire sjeldenhetskategoriene med en kontinuerlig eller vesentlig mer finmasket gradering som eliminerer vilkårlige terskeeffekter.

- Utvide sjeldenhetsdimensjonens nedslagsfelt slik at den gir uttelling over hele spekteret av sjeldne sykdommer som kvalifiserer for verktøyet, ikke bare for pasientgrupper under 50 per år.
- Endre sjeldenhetstilleggets struktur fra additivt til multiplikativt, slik at sjeldenhet forsterker nytte- og alvorlighetsvurderingen fremfor å virke uavhengig av den.
- Sikre at sjeldenhetsdimensjonen kobler naturlig til ordningen for særskilt små pasientgrupper, slik at de to ordningene fungerer som ett sammenhengende rammeverk.

Vi merker oss at den underliggende logikken, at sjeldenhet medfører høyere enhetskostnad uavhengig av dokumentasjonskvalitet, har implikasjoner utover det semi-kvantitative verktøyet. Vi kommer tilbake til dette i seksjon 6.

4.2 Transparens i prismatrisen

Konseptforslaget sier at «prismatrisen (med verdier) bør være unntatt offentlighet». Samtidig er et av de tre erklærte formålene «økt forutsigbarhet for leverandørene om [...] rammer for prisnivå». Disse to målene er direkte motstridende.

Vår anbefaling: Vi forstår at absolutte prisnivåer kan være kommersielt sensitive. Men den relative vekten mellom kategoriene må være transparent. Uten kjennskap til forholdet mellom nyttekategoriene, f.eks. at springet fra kategori 2 til 3 gir X % økning, er matrisen ubrukelig som planleggingsverktøy. Sveriges TLV publiserer tidvis sine enkeltbeslutninger med tilhørende kostnadseffektivitetsvurderinger og alvorlighetsklassifisering, noe som over tid gjør det mulig for aktørene å utlede implisitte terskelverdier. Det er nettopp denne transparensten i beslutningspraksis som gjør systemet funksjonelt.

Formuleringsforslag:

«Den relative vekten mellom kategoriene i prismatrisen offentliggjøres for å sikre forutsigbarhet for leverandørene. Absolutte prisnivåer kan unntas offentlighet.»

4.3 Engangsterapier

Prismatrisen opererer med årskostnad, men et voksende antall legemidler for sjeldne sykdommer er engangsterapier. Vi anbefaler at DMP utarbeider standardiserte retningslinjer for beregning av ekvivalent årskostnad, inkludert forutsetninger for effektvarighet og diskontering. Resultatbaserte betalingsmodeller bør integreres som verktøy.

4.4 Nullregelen ved nyttekategori 1

I den foreslåtte modellen gir nyttekategori 1 verdien null. Det betyr at et legemiddel uten demonstrert nytte ikke genererer betalingsvilje, uavhengig av alvorlighet og sjeldenhet. Vi støtter dette prinsippet. Det er den viktigste sikringsmekanismen mot innvendingen om at verktøyet «betaler for sjeldenhet alene», og det sikrer at sjeldenfaktoren aldri opererer i et vakuum uten faglig begrunnelse for at legemiddelet har en positiv effekt.

Vi er bekymret for at legemidler for svært alvorlige og sjeldne tilstander kan havne i nyttekategori 1 på grunn av dokumentasjonsbegrensninger heller enn faktisk lav nytte. Løsningen på dette er imidlertid ikke å gi betalingsvilje ved nyttekategori 1, men å sikre at nyttevurderingen gjøres korrekt. Som beskrevet i seksjon 7.1 anbefaler vi at den tverrfaglige gruppen eksplisitt skiller mellom sannsynlig effektstørrelse og tillit til estimatet. Dersom nyttevurderingen gjøres på denne måten, vil et legemiddel med sannsynlig positiv nytte aldri plasseres i kategori 1 utelukkende fordi dokumentasjonen er usikker. Kategori 1 betyr da genuint «ingen overbevisende grunn til å forvente at dette legemiddelet har en positiv effekt», og da er det riktig at systemet ikke genererer betalingsvilje.

4.5 Alvorlighetskategoriene

Konseptforslagets fire alvorlighetskategorier (0–10, 11–20, 21–30, >30 tapte gode leveår) representerer en vesentlig omstrukturering av alvorlighetsdimensjonen sammenlignet med det eksisterende rammeverket. Magnussen-trappen, som ligger til grunn for dagens prioriteringspraksis, opererer med seks trinn av ca. 4 QALY, med et tak ved 20 tapte gode leveår. Vi har to merknader.

For det første støtter vi at DMPs skala strekker seg til >30 tapte gode leveår, forbi Magnussen-trappens tak ved 20. Mange sjeldne sykdommer har et absolutt prognosetap som langt overstiger 30, og en alvorlighetsdifferensiering i dette området er nødvendig for at verktøyet skal fungere etter hensikten. Vi merker oss at DMPs øverste kategori (>30) korresponderer nært med alvorlighetsgrensen for den eksisterende ordningen for særskilt små pasientgrupper (minimum cirka 30 tapte gode leveår). Denne implisitte koblingen bør gjøres eksplisitt og koordineres med Deloitte-evalueringen.

For det andre er intervallbredden i det lave og midtre området ujevn i forhold til sykdomsbildet verktøyet skal dekke. Magnussen-trappen differensierer med ca. 4 QALY per trinn mellom 0 og 20 tapte gode leveår, et område der mange sjeldne sykdommer befinner seg. DMPs forslag komprimerer dette til to kategorier med 10 QALY bredde hver. Det betyr at et legemiddel rettet mot en tilstand med 11 tapte gode leveår og et med 20 havner i samme kategori, selv om dagens system ville

plassert dem tre trinn fra hverandre. Vi anbefaler at DMP vurderer om intervallene i området 0–20 APT bør smalnes, for eksempel ved å dele de to laveste kategoriene i fire (0–5, 6–10, 11–15, 16–20) og beholde de to øverste (21–30, >30). Dette ville gi seks kategorier totalt, nærmere Magnussen-trappens granularitet i det området der differensieringen betyr mest, uten å øke kompleksiteten i det øvre sjiktet der usikkerheten uansett er størst.

Vi merker oss videre at den tverrfaglige gruppen skal plassere saker i alvorlighetskategorier uten at kvantifisert absolutt prognosetap normalt vil foreligge. For at dette skal fungere konsistent anbefaler vi at DMP utarbeider en referansedatabase med APT-beregninger fra tidligere metodevurderinger, organisert etter sykdomsgruppe, som den tverrfaglige gruppen kan bruke som sammenligningsgrunnlag.

5. Valg av vurderingsspor: Frivillig og to-sidig deltagelse

Konseptforslaget forutsetter at vurderingsverktøyet skal brukes «der det ikke er mulig eller hensiktsmessig å gjøre en helseøkonomisk analyse» (kap. 3.1). Koalisjonen støtter dette utgangspunktet, men påpeker at forslaget ikke avklarer hvem som avgjør at dokumentasjonsgrunnlaget er utilstrekkelig for en troverdig IKER, og hva som skjer dersom leverandør og forvaltning er uenige om dette.

Klassifiseringen av en sak som «uten troverdig IKER» er ikke en nøytral metodologisk vurdering. Den har direkte konsekvenser for prisrammen leverandøren forhandler innenfor. Dersom forvaltningen ensidig kan avgjøre at en leverandørs dokumentasjon er utilstrekkelig for helseøkonomisk analyse, flyttes saken inn i et spor der en prismatrise, ikke en IKER-basert vurdering, setter rammen for akseptabel pris. I praksis innebærer dette at en metodologisk vurdering blir en prissettingsmekanisme.

For å ivareta forutsigbarhet og rettferdig prosess bør deltagelse i den skjønnsmessige vurderingsordningen være frivillig og to-sidig: både leverandør og forvaltning må være enige om at saken egner seg for det semi-kvantitative verktøyet. Dersom leverandøren mener å kunne levere dokumentasjon som muliggjør en troverdig IKER, må leverandøren beholde retten til å bli vurdert gjennom ordinært spor.

En slik mekanisme er ikke til hinder for at DMP i egnethetsvurderingen kan anbefale det semi-kvantitative sporet, eller at Bestillerforum kan ta stilling til valg av spor. Poenget er at leverandøren ikke kan tvinges inn i en ordning som setter prisrammen, uten å ha hatt reell mulighet til å demonstrere at en fullverdig helseøkonomisk analyse er gjennomførbar. Dersom leverandøren velger ordinært spor og ikke lykkes med å etablere en troverdig IKER, kan saken overføres til det semi-kvantitative verktøyet på et senere tidspunkt.

To-sidig frivillighet styrker også insentivene konseptforslaget selv fremhever i kapittel 4: leverandører som investerer i å framskaffe best mulig dokumentasjon, skal ikke straffes for det ved å bli plassert i et spor med lavere prisuttelling. Og motsatt: en leverandør som frivillig aksepterer det semi-kvantitative sporet, har implisitt anerkjent at dokumentasjonsgrunlaget er utilstrekkelig for IKER. Denne gjensidige anerkjennelsen forsterker legitimiteten til den påfølgende skjønnsmessige vurderingen.

Formuleringsforslag:

«Deltagelse i den skjønnsmessige vurderingsordningen skal være basert på enighet mellom leverandør og forvaltning. Leverandøren skal ha rett til å få sin dokumentasjon vurdert gjennom ordinært spor med helseøkonomisk analyse dersom leverandøren mener dette er gjennomførbart. DMP kan i egnethetsvurderingen anbefale bruk av det semi-kvantitative verktøyet, men den endelige beslutningen om valg av spor bør fattes av Bestillerforum etter dialog med leverandøren.»

6. Systemisk anbefaling: Sjeldenhet uavhengig av vurderingsspor

Konseptforslaget inkluderer sjeldenhet som en selvstendig dimensjon i prismatrisen for saker der en troverdig IKER ikke kan etableres. Koalisjonen støtter dette prinsippet, men mener det er avgjørende at sjeldenhet ikke begrenses til den skjønnsmessige vurderingsordningen alene. Denne anbefalingen er rettet til Helse- og omsorgsdepartementet.

De strukturelle forholdene som begrunner økt betalingsvillighet ved sjeldenhet, begrenset pasientgrunnlag, høyere utviklingskostnad per pasient, lavere forskrivningsvolum, er uavhengige av dokumentasjonskvaliteten. Disse forholdene gjør seg like sterkt gjeldende for et legemiddel mot en sjelden sykdom der det foreligger tilstrekkelig dokumentasjon for en helseøkonomisk analyse, som for et legemiddel der slik dokumentasjon ikke er tilgjengelig. Meld. St. 21 (2024–2025) anerkjenner at «for små pasientgrupper med sjeldne og alvorlige tilstander kan lavere dokumentasjonskrav og høyere ressursbruk aksepteres». Behovet for høyere ressursbruk er ikke betinget av lavere dokumentasjonskrav, det følger av den samme underliggende realiteten: få pasienter.

Dersom sjeldenhet kun gir prisuttelling i den skjønnsmessige ordningen, oppstår et paradoksalt insentivproblem. En leverandør som investerer i å framskaffe robust klinisk dokumentasjon, inkludert randomiserte studier, lengre oppfølgingstid, eller validerte surrogatendepunkter, vil kvalifisere for ordinært IKER-spor, men miste

sjeldenpremien. Den leverandøren som leverer svakere dokumentasjon, beholder den. Dette straffer nettopp den atferden konseptforslaget selv ønsker å oppmuntre, og som Meld. St. 21 forutsetter som utgangspunkt for metodevurdering.

Problemet er ikke hypotetisk. Flere sjeldne sykdommer har legemidler med tilstrekkelig dokumentasjonsgrunnlag for en troverdig helseøkonomisk analyse. Men selv med fullverdig dokumentasjon må leverandøren kreve en pris per pasient som er høy nok til å dekke utviklings- og produksjonskostnader fordelt på et lite volum. Denne prisen, satt inn i en IKER-beregning, gir en kost per QALY som overstiger dagens betalingsvilje, selv når effekten er godt dokumentert og sykdommen er alvorlig. I dagens system behandles disse sakene uten noen form for sjeldenhetsjustering, og legemidlene risikerer å bli avslått eller forhandlet ned til prisnivåer som ikke er kommersielt bærekraftige. Konseptforslaget løser ikke dette, det etablerer en sjeldenordning som per definisjon ekskluderer de best dokumenterte legemidlene.

Koalisjonen ber derfor om at det videre arbeidet med konseptforslaget sees i sammenheng med en bredere gjennomgang av hvordan sjeldenhet kan hensyntas også i ordinære metodevurderinger, for eksempel gjennom en sjeldenfaktor i IKER-baserte vurderinger. Det semi-kvantitative verktøyet og ordinært spor bør gi konsistent sjeldenhetsuttelling, slik at valg av vurderingsspor avgjøres av dokumentasjonsgrunnlaget og ikke av hvilken ordning som gir høyest pris.

Formuleringsforslag (rettet til HOD):

«Sjeldenhet bør hensyntas som en selvstendig dimensjon i prioriteringsbeslutninger uavhengig av om saken vurderes gjennom det semi-kvantitative verktøyet eller gjennom en ordinær metodevurdering med helseøkonomisk analyse. Departementet bør gi DMP i oppdrag å utrede hvordan sjeldenhet kan operasjonaliseres som faktor også i IKER-baserte vurderinger, for å sikre konsistens mellom de to sporene og opprettholde leverandørenes insentiv til å framskaffe best mulig dokumentasjon.»

7. Implementering

7.1 Nyttevurderingen: Skill effekt fra usikkerhet

Vi støtter DMPs anbefaling av Alternativ 1 (fleksibel momentliste). Vi mener imidlertid at nyttevurderingen må ses i sammenheng med spørsmålet om inngangskriterium.

Dersom sjeldenhet etableres som inngangskriterium, slik vi anbefaler i seksjon 3.1, har systemet akseptert et premiss: dette legemiddelet vurderes gjennom dette verktøyet fordi pasientpopulasjonen er for liten til å generere det dokumentasjonsgrunnlaget en

tradisjonell IKER krever. Da kan ikke den samme begrensningen samtidig brukes til å trekke ned nyttekategorien. Få pasienter i studien, brede konfidensintervaller, manglende kontrollgruppe, kort oppfølgingstid og bruk av surrogatendepunkter er konsekvenser av sjeldenhet, ikke av leverandørens valg. Å la disse begrensningene trekke ned nyttekategorien ville være logisk inkonsistent med premisset inngangskriteriet har etablert.

Prinsippet om to-sidig frivillighet i valg av vurderingsspor (se seksjon 5) forsterker denne logikken. Når begge parter har vurdert at saken egner seg for det semi-kvantitative sporet, hviler den påfølgende vurderingen på et felles premiss om at dokumentasjonsgrunlaget ikke tillater en troverdig IKER. Denne gjensidige anerkjennelsen gjør det logisk inkonsistent å la de samme dokumentasjonsbegrensningene trekke ned nyttekategorien i den påfølgende vurderingen.

Dokumentasjonsbegrensninger som følger direkte av sjeldenhet bør i stedet håndteres gjennom betinget innføring med systematisk revurdering når nye data foreligger.

Vi har tre konkrete anbefalinger til utformingen av momentlisten under Alternativ 1.

For det første bør den tverrfaglige gruppens begrunnelse for valg av nyttekategori eksplisitt skille mellom vurdering av sannsynlig effektstørrelse og vurdering av tillit til estimatet. Et legemiddel kan i dagens forslag havne i nyttekategori 1 både fordi effekten sannsynligvis er liten, og fordi studiedesignet ikke tillater en sikker konklusjon. Disse to situasjonene har helt ulike implikasjoner. Lav sannsynlig effekt bør gi lav betalingsvilje. Høy usikkerhet bør gi betinget innføring med revurdering, ikke lavere nyttekategori. Vi foreslår at dette formaliseres som et krav til begrunnelsesformatet.

For det andre inkluderer DMPs momentliste effektstørrelse, endepunkter, overførbarhet, sikkerhet og administrasjon, men ikke graden av udekket medisinsk behov. For mange sjeldne sykdommer finnes det ingen eksisterende behandling. Nyttan av moderat effekt der alternativet er ingen behandling er kvalitativt forskjellig fra moderat effekt der det finnes et alternativ. Vi anbefaler at udekket medisinsk behov inkluderes som et selvstendig vurderingsmoment.

For det tredje bør heterogenitet i sjeldenpopulasjoner håndteres etter samme prinsipp som andre dokumentasjonsbegrensninger som følger av sjeldenhet: gjennom innføringsbetingelser, ikke gjennom nyttekategorien. Sjeldne sykdommer er ofte heterogene, én diagnose kan omfatte flere genetiske varianter, ulik alvorlighetsgrad, ulik alder ved debut og ulik komorbiditetsprofil. I små populasjoner

kan ikke kliniske studier dekke hele denne variasjonen, og subgruppeanalyser har utilstrekkelig statistisk styrke. Dette er en strukturell egenskap ved sjeldenfeltet, ikke en metodologisk svakhet leverandøren kan løse gjennom større studier. Når momentene «overførbarhet», «sykdommens naturlforløp» og hvorvidt «effekten er drevet av en subpopulasjon» anvendes på en sjeldenpopulasjon, må heterogenitet derfor ikke automatisk trekke ned nyttekategorien. Samtidig er heterogenitet en reell egenskap ved populasjonen som påvirker hvor sikker man kan være på effekten for en gitt enkeltpasient. Den naturlige håndteringen er strukturert datainnsamling etter innføring, gjennom registerdata, biomarkørbasert pasientseleksjon, eller midlertidig innføring med revurdering når flere pasienter er behandlet.

Formuleringsforslag: *«Den tverrfaglige gruppens begrunnelse for nyttekategori skal eksplisitt skille mellom vurdering av sannsynlig effektstørrelse og vurdering av tillit til estimatet. Udekket medisinsk behov inkluderes som selvstendig vurderingsmoment»*

Formuleringsforslag: *«Usikkerhet i dokumentasjonsgrunnlaget håndteres gjennom innføringsbetingelser, ikke gjennom nyttekategorien. Den tverrfaglige gruppen angir for hver sak om den anbefales for ordinær innføring, innføring med krav om systematisk datainnsamling, midlertidig innføring med avtalt reforhandlingstidspunkt, eller avslag grunnet utilstrekkelig datagrunnlag.»*

Vi understreker at denne tilnærmingen, der usikkerhet håndteres gjennom innføringsbetingelser og ikke gjennom nyttekategorien, også er konsistent med vår systemiske anbefaling om at sjeldenhet bør hensyntas uavhengig av vurderingsspor (se seksjon 6). En leverandør som lykkes med å redusere usikkerheten tilstrekkelig til å kvalifisere for ordinært IKER-spor, bør ikke tape sjeldenhetsuttelling som konsekvens. Konsistens mellom de to sporene krever at god dokumentasjonsinnsats belønnes, ikke straffes.

7.2 Tverrfaglig gruppe

Vi støtter etableringen av en tverrfaglig gruppe. Vi anbefaler at begrunnelsen for kategoriseringen offentliggjøres sak for sak, slik at det over tid bygges en presedensdatabase som gir forutsigbarhet. Leverandøren bør gis mulighet til å presentere sin dokumentasjon for gruppen før kategorisering. Vi merker oss at det danske Medicinrådet inkluderer en observatør fra Lægemedielindustriforeningen.

7.3 Koordinering med Deloitte-evalueringen

Deloitte's evaluering av ordningen for særskilt små pasientgrupper ventes juni 2026, to måneder etter denne innspillsfristen. Vi anbefaler at DMP/HOD koordinerer den videre utformingen av konseptforslaget med resultatene fra Deloitte før endelig beslutning. Evalueringen bør også informere to spørsmål som dette høringssvaret reiser: for det første den konkrete integreringen mellom sjeldenfaktoren og ordningen

for særskilt små pasientgrupper (se seksjon 3.2), og for det andre det bredere spørsmålet om hvordan sjeldenhet kan hensyntas som faktor også i ordinære metodevurderinger (se seksjon 6). En samlet behandling av disse spørsmålene vil sikre at Norge utvikler ett sammenhengende rammeverk for sjeldne sykdommer, ikke flere fragmenterte ordninger.