

Stockholm 14.April 2026

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

Innledning:

Sobi vil med dette takke for den åpne innspillsrunden og muligheten for å påvirke dette sentrale, nye konseptet i Nye Metoder.

Sobi (Swedish Orphan Biovitrum) er et globalt legemiddelselskap med hovedkontor i Stockholm og vi har lang erfaring innen sjeldne sykdommer der vi over tid har sett behov for innovasjon innen dette området i Nye Metoder.

Vi kjenner godt igjen situasjonsbeskrivelsen for Norge i kapittel 2 og de utfordringer som beskrives der. Det er dessverre flere eksempler i Sobi der pasientene har tilgang til våre orphan drugs i Sverige, Danmark og Finland, men ikke i Norge.

WAIT indeksen og andre indikatorer viser også at Norge er det Nordiske landet som har lavest andel av Orphan Drugs som er tilgjengeliggjort for pasientene i det offentlige helsevesenet.

Vi vil derfor først gi honnør til initiativet med et nytt konsept for vurdering av offentlig finansiering av godkjente medikamenter med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag.

Våre innspill:

1. En ønsket offentlig strategi

Europeiske myndigheter innførte Orphan Drug designation i EMA i 2000. Her ble det gitt incentiver til legemiddelindustrien for å forske på og utvikle legemidler for sjeldne diagnoser.

Disse incentivene inkluderte raskere og enklere regulatorisk saksbehandling, forenklete krav til dokumentasjon som reflekterer det faktum at det per definisjon er færre pasienter tilgjengelig for en sjelden diagnose og man kan som firma få lengre patenttider. Noen av disse incentivene (som f eks aksept for en-armede studier, betinget markedsføringstillatelse etc) har samtidig blitt en utfordring når man etter EU kommisjonens godkjenning skal forhandle med hvert enkelt lands myndighet / helseforetak rundt offentlig finansiering (Market Access).

Drøye 25 år etter at EMA innførte Orphan Drugs designation har man nå mye bedre kunnskap rundt sjeldne diagnoser og en stor mengde nye medikamenter som har blitt utviklet for sjeldne diagnoser. Det er derfor på høy tid at man også oppdaterer Nye Metoder til å bedre reflektere denne ønskede myndighets-strategien for å tilgjengeliggjøre flere medikamenter for pasienter med sjeldne diagnoser.

Vi opplever at hoveddrammene og forslagene for et nytt konsept reflekterer disse behovene for innovasjon innenfor market access i Norge.

Sobi slutter seg til de overordnede forslagene som en stor forbedring for vurdering av legemidler med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag.

2. Sjeldenhet og sjeldne sub-populasjoner

Sobi synes det er fornuftig at man definerer det nye konseptet til å gjelde legemidler til sjeldne sykdommer eller sjeldne sub-populasjoner. Vi støtter også at man har skjønnsmessige vurderinger i bunn og at man vurderer nytte etter den mer pragmatiske modell 1.

3. Definisjon på sjeldenhet

I den norske strategien for Sjeldne diagnoser, så definerer Regjeringen en sjelden diagnose på samme måte som i EU:

«En sjelden tilstand defineres som en helsetilstand med lav prevalens dvs. med veiledende forekomst færre enn 5 av 10.000 innbyggere i tråd med Europaparlamentets og -rådets beslutning nr. 1295/1999/EG av den 29. april 1999». Definisjonen omfatter sjeldne diagnoser, sykdommer eller tilstander uavhengig om de er medfødt eller ervervet

Innen fagmiljøene brukes hyppig betegnelsen ultrasjeldne diagnoser om diagnoser og tilstander som opptrer svært sjeldent. Det finnes ingen internasjonal enighet om hvor ofte ultrasjeldne diagnoser opptrer, men forholdstallet 1 av 50 000 innbyggere benyttes ofte, andre bruker 1 av 100 000. Dette tilsier inntil ca. 100 eller 50 personer totalt sett i Norge»

(<https://www.regjeringen.no/no/dokumenter/nasjonalt-strategi-for-sjeldne-diagnoser/id2867121/?ch=3>)

Sobi vil derfor påpeke som en stor svakhet i konseptforslaget at man har satt innslagspunktet for sjeldenhet på 50 pasienter. Dette er da i tråd med en konservativ definisjon av «ultra-sjeldenhet» og ikke «sjeldenhet» som vil være drøye 2.500 pasienter i Norge.

Vi har samtidig forståelse for at man ved en sjelden diagnose med f.eks. over 1.000 pasienter i et lite land som Norge kan forvente et godt dokumentasjonsgrunnlag til en helseøkonomisk analyse.

Sobi vil samtidig anbefale at man justerer de 4 kategoriene slik at kategori 1 er > 100 pasienter i Norge med tilsvarende justeringer for kategori 2 (50-100), kategori 3 (30-50) og 4 (<30 pasienter).

4. Angående Tabell 1 Forslag til skjønsmessig vurdering av alvorlighet, nytte og sjeldenhet (pasientantall).

Denne tabellen er ikke så enkel å forstå mht. hvordan den skal brukes i praksis. Det kan f.eks. se ut som man som pasientgruppe må treffe på alle tre kriteriene for å komme i kategori 4 (alvorlighet > 30, nytte 4 og sjeldenhet <10).

I definisjonene i dagens ordning for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand, så er innslagspunktene mindre enn 50 pasienter (ny kategori 2), alvorlighetsgrad > 30 tapte leveår (ny kategori 4) og forventet nytte > 2 vunnet gode leveår (ny kategori 2).

Sobi vil heller foreslå et poengscoring-system for den enkelte pasientgruppe/sjeldne diagnose og behandling innenfor samme matrise.

Kategori 4 kan f.eks. gi 4 poeng og kategori 1 gi ett poeng per dimensjon. Da kan man få maks 12 poeng i en skjønsmessig score og minimum 3. Denne score kan man så bruke som intervaller i nytte og betalingsvilje-tabellen.

Det bør også nevnes at alvorlighet fortsatt defineres som tapte gode leveår (QALY) – noe man ofte ikke kan gi gode estimat for med lite data tilgjengelighet rundt en sjelden diagnose, spesielt på pasientenes livskvalitet.

Man bør også kunne gjøre skjønsmessige vurderinger der den tverrfaglige gruppen også kan prioritere svært alvorlige sykdommer som ofte rammer i voksen alder. Det har nylig vært oppmerksomhet i Norge rundt at DMP i en metodevurdering ikke definerte ALS som en svært alvorlig sykdom. Dette strider mot den allmenne oppfatningen og noe som man i en skjønsmessig vurdering bør kunne se på i hvert eksempel.

I tillegg vil vi minne om at legemiddels livssyklus ofte vil inneholde indikasjonsutvidelser og samtidig forventede prisreduksjoner over tid (via referanseprising samt økt konkurranse over tid). Vi anbefaler at den nye modellen ser på indikasjonene en og en og i den rekkefølge de godkjennes av EMA og med de krav til ytterligere evidens som skal genereres. En skjønsmessig vurdering må gjerne skjele til disse dynamikkene,

men innen sjeldne diagnoser er det ofte ingen behandlingsalternativer tilgjengelige før første indikasjon godkjennes. Man bør derfor ikke trekke konklusjoner utover første indikasjon når første indikasjon vurderes.

5. Forslag til prismatrise

Tabellen er god som konsept, men det er ikke intuitivt å forstå hva den betyr i praksis. Det nye konseptets suksess og anvendelighet vil avhenge mye av hvordan denne utformes i praksis.

Sobi er kritiske til at man tenker at denne modellen skal unntas offentlighet. Vi minner om at Magnussen-trappa som omtales er offentlig tilgjengelig, det samme er den norske betalingsviljen per IKER og man trenger ikke gå lenger enn til TLV i Sverige for å finne den særegne betalingsviljen for sjeldne diagnoser. Det er vanskelig å forstå rasjonale for å ha en slik tabell som er unntatt offentligheten.

Sobi er enige i vurderingen under:

«Det bør ikke være noen beslutningsautomatikk knyttet til matrisens veiledende kostnadsnivåer, men matrisen skal kunne tjene som et verktøy knyttet til den totalvurdering som gjøres av beslutningstagerne i hver enkelt sak.»

Sobi støtter også konseptet med at man har tilleggsfaktorer ved økt nytte, økt alvorlighet og sjeldenhet.

6. Forslag til prosess

Vi støtter forslaget om at saker som er aktuelle for det foreslåtte vurderingsverktøyet kan følge vanlig prosess for anmodning, egnethetsvurdering og bestilling og at anmodningsskjemaet oppdateres i tråd med dette. Man kan se for seg at det er minst tre alternativer å krysse for:

- a. Helseøkonomisk vurdering med forslag til modell (Cost/effectiveness, Cost/min etc)
- b. Ny rute med semi-kvantitativt verktøy for skjønsmessig vurdering for legemidler med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag

Dette vil også kunne underbygge Nye Metoders mål om forenkling og effektiv ressursbruk i systemet.

Igjen, takk for godt konseptforslag og takk for muligheten for innspill.

Björn Berglund
Vice President & General Manager, NorBalt

Mobile: +46 70 312 85 10
e-mail: bjorn.berglund@sobi.com
Swedish Orphan Biovitrum AB
Postal address: SE-112 76 Stockholm, Sweden
Visitor address: Norra Stationsgatan 93A
Web site: www.sobi.com