

HELSE SØR-ØST RHF
Sekretariat Nye metoder
Postboks 404
2303 HAMAR

Deres ref.:
Vår ref.: 26/4688-2
Saksbehandler: Hege Wang
Dato: 14.04.2026

Innspill på konseptforslag

Høringsnotatet tar opp problemstillingen om hvordan legemidler med dårlig dokumentert nytte skal håndteres i Nye metoder-systemet. Det er et viktig notat som reiser en del prinsipielle spørsmål om prioritering i helsetjenesten, og verktøyet som foreslås kan muligens få konsekvenser ut over de tilfellene der man tenker seg at det er aktuelt å anvende.

Kriteriene alvorlighet og nytte ser ut til å kunne fungere i et slikt verktøy uten at dette får uheldige virkninger for resten av Nye metoder-systemet. Tilsynelatende foreslås det å innføre sjeldenhet som et nytt kriterium. Dette kan få uheldige og utilsiktede konsekvenser, og vi er undrende til om dette er i samsvar med vurderingene gjort i prioriteringsmeldingene.

Vi synes også man bør avvete evalueringen av ordningen for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand, som kom på plass etter Nordheimutvalget før man ferdigstiller dette arbeidet. Vår vurdering er at denne ordningen vil omfatte mange av tilfellene som man ønsker at det nye konseptet skal håndtere.

Vi savner en drøfting av om man ser for seg en lignende ordning for legemidler som finansieres av folketrygden. Selv om de fleste legemidlene til sjeldne sykdommer omfattes av RHFenes finansieringsansvar, så vil det nok være tilsvarende legemidler til små pasientgrupper med begrenset dokumentasjonsgrunnlag i folketrygden, og dermed har tilsvarende utfordringer knyttet til metodevurderinger/vurderinger av prioriteringskriterier. Det vil være uheldig dersom disse håndteres på en annen måte enn legemidler som finansieres i spesialisthelsetjenesten, da de samme prioriteringskriteriene skal gjelde for all offentlig finansiering av legemidler.

Oppsummert er dette konseptforslaget interessant, men det kan få utilsiktede uheldige konsekvenser hvis det innføres uten grundigere vurderinger og justeringer. Se vedlegg for mer detaljerte spørsmål og innspill til ulike deler av dokumentet.

Vennlig hilsen

Helsedirektoratet

Avdeling for fagutvikling i spesialisthelsetjenesten

Hege Wang

Postboks 220 Skøyen, 0213 OSLO • Besøksadresse: Vitaminveien 4 • Tlf.: (+47) 47 47 20 20

Org.nr.: 983 544 622 • postmottak@helsedir.no • www.helsedirektoratet.no

Marius Kurås Skram e.f.
avdelingsdirektør

Børge Myrlund Larsen
spesialrådgiver

Vedlegg:

Side 3 – om at dette er ment å omfatte et begrenset antall metoder

Hvordan sikre at ikke antallet metoder blir større enn det som strengt tatt var nødvendig? Mao. kan dette bli en spore til å ikke gjøre effektstudier også i tilfeller der slike kunne vært gjort? Dette er tema i kapittel 3.2 og i kapittel 4 i vurderingen av konseptforslaget, og også i kapittel 5 som punkter det må arbeides videre med. Det er bra at man er oppmerksom på mulige uheldige virkninger av et slikt verktøy.

Side 4 – Setningene: I slike tilfeller tas legemidler i bruk før fullstendig effekt- og sikkerhetsdokumentasjon foreligger. Ved betinget markedsføringstillatelse, er produsenten forpliktet til å levere mer data etter godkjenning.

Er det ikke risikabelt å ta i bruk før sikkerhetsdokumentasjon foreligger? Og er ikke dette dermed i stor grad å anse som forskning og utprøving for å fremskaffe mer data om legemidlenes effekt og sikkerhet? Burde det da i større grad vært finansiert som anvendt medisinsk forskning etter forskningskriterier og ikke som pasientbehandling i systemet Nye metoder?

Side 4 – Setningen: Mange aktører har etterlyst nye prosesser som kan bidra til en mer hensiktsmessig håndtering av slike saker i Nye metoder-systemet.

Jf. merknad om forskning over og hva som kanskje ikke er hensiktsmessig å håndtere i Nye metoder-systemet. Altså at en prinsipiell vurdering av om alle metoder uansett modenhetsgrad skal inn i Nye metoder systemet?

Side 5 – Setningene om formål med konseptforslaget: Presentere et konseptforslag til hvordan legemidler med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag kan håndteres i Nye metoder. Dette vil i de fleste tilfeller gjelde legemidler til sjeldne sykdommer eller sjeldne subpopulasjoner.

Vil det ikke da være rimelig å "finne igjen" kriteriene for svært små pasientgrupper i pkt 2.4 over som en av kategoriene i konseptforslaget under? En slik kategori kan i så tilfelle fungere som et utgangspunkt for å oppnå mer konsistente prioriteringsvurderinger. Eller er det slik at kravet om færre enn 50 pasienter nå er vurdert til å være for lite strengt, og at færre enn 10 pasienter er "riktigere" å anvende i prioriteringsbeslutninger i Nye metoder-systemet? DFØ har i sin metodikk for samfunnsøkonomiske analyser anbefalt å anvende en verdimatrise for ikke-prissatte/ikke-kvantifiserbare virkninger der skjønnsmessige vurderinger gjerne blir nødvendig å ty til. Men i anvendelse av denne verdimatrisemetodikken er det anbefalt å gjøre vurderingskriteriene mest mulig konsistente og sammenlignbare med hvordan de prissatte virkningene inngår og vektlegges. Dette for i størst mulig grad å stimulere til kvantifisering og prissetting. En tilsvarende tenkning kan trolig med fordel legges til grunn når Nye metoder-systemet her vurderes utvidet med mer systematisk tilnærming til prioritering av metoder som er vanskelig å prioritere etter de etablerte kriteriene.

Side 6 – Setningen: Det foreslåtte vurderingsverktøyet kan bidra til en mer systematisk bruk og operasjonalisering av skjønnsmessige vurderinger i denne sammenhengen.

Isolert sett er dette bra, men skjønnsmessige vurderinger må ikke gå på bekostning av vedtatte kriterier og avveiningen/vektningen av disse. Det vil i tilfelle kunne bidra til en utvanning av disse og åpne for en vilkårlighet som Nye metoder-systemet var laget for å unngå.

Side 6 – Setningen: Konseptet legger til grunn at de to prioriteringskriteriene nytte og alvorlighet skal inngå i vurderingen, men foreslår også å legge til kriteriet sjeldenhet,...

Sjeldenhet er ikke et selvstendig kriterium, jf. tidligere prioriteringsmeldinger. Holder det ikke å inkludere en vurdering av antall pasienter på tilsvarende måte som det gjøres i ordningen for svært små pasientgrupper? Hvis sjeldenhet skal inkluderes i dette verktøyet på lik linje med de politisk vedtatte kriteriene alvorlighet og nytte krever det en svært god begrunnelse. Og eventuelt en ny politisk behandling. Det er bra at sjeldenhet er nevnt i kapittel 3.2 om hvilke saker som kan inngå og hva det bør arbeides videre med. I videre arbeid er det viktig at man baserer seg på siste prioriteringsmelding mht. hvilke prioriteringskriterier som skal vektlegges. *Side 6 om vurdering av alvorlighet. Setningen: Rapportene fra DMP vil beskrive prognosetapet kvalitativt. For den tverrfaglige gruppen, vil det i tillegg være relevant å se hen til alvorlighetsberegninger for tilstander med et lignende symptombilde og forventet levetid for å kategorisere alvorlighet i aktuelle saker.*

OK. Dette vil trolig kunne fungere tilfredsstillende for dette formålet.

Side 7 om vurdering av nytte. Setningene: Likevel er det mulig å identifisere flere momenter som bør inngå i en slik vurdering. For å vurdere nytten for det enkelte legemiddel kan ikke hvert moment vurderes separat, men må inngå i en totalvurdering. Videre bør enkelte momenter veie tyngre enn andre. Effektstørrelse og kvalitet på dokumentasjonsgrunnlaget bør vektlegges mest.

OK. Den systematiske tilnærmingen det legges opp til synes å kunne fange opp det mest vesentlige.

Side 10-11 setningen: Alternativ 2 kan framstå som enklere å bruke, og som mer transparent og forutsigbart. Det er imidlertid en bekymring at denne tilnærmingen kan begrense handlingsrommet for de som skal gjøre den skjønnsmessige vurderingen, ved at muligheten til å kombinere ulike momenter i en helhetlig vurdering reduseres. Dette kan føre til skjevheter i enkeltsaker, for eksempel dersom et moment som egentlig ikke bør tillegges vekt likevel får betydning fordi det inngår i en bestemt kategori.

Hensikten med vurderingen er å plassere et legemiddel i en nyttekategori. Da vil det være både hensiktsmessig og nødvendig å gi en beskrivelse av hva som skal til for at et legemiddel blir plassert i de ulike kategoriene. Alternativ 2 gir en slik beskrivelse. Hvis det er enighet om at dette er en relevant beskrivelse for formålet, men at et legemiddel ikke nødvendigvis ut fra alle relevante karakteristika ikke kan plasseres i en bestemt kategori, må det gjøres en vurdering av hvor godt det passer i de kategoriene som er mest treffende. Her vil det kreves skjønnsmessige avveininger og vektning av ulike kriterier som må begrunnes faglig, som det for så vidt legges opp til i alternativ 1. Det kan se ut som en kombinasjon av alternativ 2s beskrivelse av kategorier kan være nødvendig av konsistenshensyn samtidig som man ikke kommer utenom en faglig vurdering av hvor treffende de ulike kategoriene er for det enkelte legemiddel. At tester har vist at man ofte havner i kategori 1 eller 4, behøver vel ikke bety at kategori 2 og 3 er irrelevante? Da må man i tilfelle gå tilbake å se på i hvilken grad de valgte kategoriene er relevante for formålet.

Side 11 om vurdering av sjeldenhet. Setningen: Sjeldenhet er ikke et prioriteringskriterium. Det er imidlertid noen argumenter som taler for at betalingsvilligheten kan økes ved sjeldne sykdommer, og at antall pasienter derfor er relevant å inkludere i verktøyet.

Hvis sjeldenhet er vurdert til ikke å være et prioriteringskriterium. For eksempel i tidligere prioriteringsmeldinger. Hvorfor skal det da likevel inkluderes i dette verktøyet?

Side 12 om omfanget av saker. Setningen: Omfanget av hvilke saker som kan inngå, er imidlertid et av punktene som det bør arbeides videre med. For eksempel om aktuelle saker skal

avgrenses ytterligere, basert på sjeldenhet, om saker hvor det finnes et «prisanker» i form av allerede innførte legemidler er aktuelle, og eventuelt om ordningen for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig sykdom skal inkluderes (kapittel 2.4). Dette er diskutert nærmere i kapittel 0.

Ja, dette er det viktig å arbeide videre med. Å se dette i sammenheng med ordningen for særskilt små pasientgrupper er viktig. Jf. også kommentarer over der det er vist til at det bør være samsvar og konsistens mellom dette verktøyet og denne ordningen.

Side 13 om prismatrise. For hver nyttekategori defineres et utgangspunkt for pris (årskostnad) og det kan gis ekstra poeng knyttet til alvorlighet og sjeldenhet, som gir et tillegg i akseptabel årskostnad.

Jf. vurderinger om sjeldenhet over. Hvis det gis ekstra betalingsvillighet for sjeldenhet i dette verktøyet, vil det da kunne gi insentiver for produsentene til ikke å vurdere nytte og alvorlighet slik at legemiddelet kan inngå i vanlige vurderingsløp? Det bør vurderes om slik vektning kan slå uheldig ut, men også i hvilken grad dette faktisk er i motstrid til vedtatte prioriteringskriterier.

Side 14 setningen: Prismatrisen (med verdier) bør være unntatt offentlighet.

Den bør vel ikke det? Et normativt utsagn? Men gitt dagens praksis, er det vel p.t. ikke mulig å gjøre noe annet for dette verktøyet enn slik det ellers praktiseres i Nye metoder-systemet. Se for eksempel merknad om vurdering av informasjon til aktører og offentligheten om priser under.

Side 14 setningene: Det er viktig at det foreslåtte vurderingsverktøyet ikke anvendes i saker hvor det er rimelig å forvente at leverandøren burde kunne fremskaffe bedre data og levere en helseøkonomisk analyse. Verktøyet må derfor utformes og benyttes på en slik måte at leverandørene har insentiv til å gjennomføre gode og relevante kliniske studier og levere helseøkonomiske analyser der det er mulig.

Det gis full tilslutning til dette. Og da bør kanskje ikke sjeldenhet innføres som et nytt prioriteringskriterium i dette verktøyet, hvis dette medfører svekkede insentiver til å levere helseøkonomiske studier der det er mulig.

Side 14 om mulige utfordringer og begrensninger. Punktene: - Vurderingsverktøyet kan bidra til at leverandørene får mindre insentiv til å framskaffe gode data og levere helseøkonomiske analyser da det finnes en mulighet for innføring på et svakere dokumentasjonsgrunnlag – Økt betalingsvillighet for legemidler med usikker nyttegevinst til mindre pasientgrupper, kan føre til at andre offentlig finansierte initiativer med tilsvarende eller større nytte blir fortrent.

Disse to punktene er det spesielt viktig å få vurdert skikkelig og forsøke å redusere risiko for. Da blir det viktig både å sørge for at sjeldenhet ikke blir tillagt en vekt det ikke skal ha iht. vedtatte kriterier for prioritering. Og det blir viktig å se verktøyet i sammenheng med betalingsvillighet for andre tiltak i helsetjenesten. Betalingsvillighet for legemidler med usikker nyttegevinst bør være betydelig lavere enn for legemidler med dokumentert nyttegevinst. Og dette bør kommuniseres til produsenter og andre interessenter slik at insentiver til å fremskaffe dokumentasjon opprettholdes. [Dokumentet er godkjent elektronisk](#)