

Danske Regioner
Dampfærgevej 21
2100 København Ø

E-mail: tad@regioner.dk

Høringsvar vedr. evaluering af Medicinrådet

Danske Patienter takker for muligheden for at kommentere på den fremsendte evaluering af Medicinrådet. Vi kunne overordnet set have ønsket os, at evalueringen var foretaget ud fra en mere analytisk tilgang end det er tilfældet i den foreliggende rapport. I nogle tilfælde synes konklusionerne at være nået på baggrund af få respondenters udtalelser og vurderinger. For eksempel baseres konklusionen om, at Medicinrådet har medført et stærkere grundlag for prisforhandling udelukkende på "vurderinger", "oplevelser" og "opfattelser" fra Amgros, mens egentlige prisanalyser udebliver. Omvendt fremhæves andre udtalelser som "ikke-verificerbare", hvis de ikke kan genfindes hos størstedelen af respondenterne. Mere analytisk stringens i konklusionsgrundlaget og større fokus på forbedringspotentialer havde styrket evalueringen.

På den baggrund vil vi opfordre til, at man også inddrager de betragtninger, VIVE har gjort ved at følge Medicinrådets arbejde over det seneste år, som en del af det samlede evalueringsgrundlag. Derudover finder vi det hensigtsmæssigt, hvis Danske Regioner sender overvejelser om eventuelle ændringer i Medicinrådets arbejde i høring inden der træffes endelig beslutning herom.

Der er en række problemstillinger, som vi ikke finder tilstrækkeligt belyst i evalueringen. Rapporten peger imidlertid også på mange af de forhold, som Danske Patienter – på baggrund af deltagelse i Rådet og fagudvalg – anser som afgørende for at forbedre både beslutningsgrundlag og effekterne af Medicinrådet. Konkrete tiltag, som skal prioriteres i det kommende arbejde i Medicinrådet, beskrives i det følgende.

Tag højde for små grupper i metodebog og sagsbehandling

På rapportens side 43 beskrives det, hvordan "patientorganisationer holder fast i ønske om, at lægemidlet anbefales til ibrugtagning [selvom] der ikke er evidens for, at lægemidlet giver merværdi for patienten". For udenforstående kan patientorganisationernes vedholdenhed ses som udtryk for manglende realitetssans og et ønske om, at alle præparater skal godkendes uden skæven til hverken effekt eller pris. Det er imidlertid ikke tilfæl-

Dato:
11. juni 2019

Danske Patienter
Kompagnistræde 22, 1. sal
1208 København K

Tlf.: 33 41 47 60

www.danskepatienter.dk

E-mail:
jk@danskepatienter.dk

Cvr-nr: 31812976

Side 1/8

det. Ønsket om ibrugtagning skyldes, at metodehåndbøgerne er sammen-sat på en måde, som ikke er hensigtsmæssige for store dele af de præpa-rater, der vurderes.

De kriterier for kategorisering, der jf. metodehåndbøgerne arbejdes efter, er hverken egnet til at vurdere medicin til sjældne sygdomme eller mo-derne medicin. Små studier medfører automatisk stor statistisk usikker-hed, lille klinisk merværdi og dermed lille mulighed for godkendelse. Det er ikke holdbart i en tid, hvor medicin bliver mere og mere målrettet. Man bør i forlængelse heraf også kigge på muligheden for at indføre mere flek-sible prismodeller, især for de små populationer. Vi anbefaler, at Læge-middelstyrelsen sætter sig i spidsen for et sådant arbejde.

Små patientgrupper betyder ofte brede konfidensintervaller. Samtidig be-tyder små/sjældne patientgrupper ofte, at det er vanskeligere/umuligt at lave videnskabelige undersøgelser af meget høj kvalitet. Det betyder at evidensens kvalitet af fagudvalg og Medicinråd ofte vurderes som "meget lav" - hvilket påvirker Medicinrådets samlede vurdering.

Det er vores opfattelse, at der fremover skal lægges mere vægt på punkt-estimatet frem for konfidensintervallerne i kategoriseringerne, så den sta-tistiske usikkerhed, der opstår på baggrund af de små testgrupper, ikke får uforholdsmæssigt stor betydning. Store konfidensintervaller skal selvfølgelig tages i betragtning, men bør ikke være afgørende for kategoriseringen af et lægemiddel. Samtidig mener vi, at det bør indgå i vurderingen, om det i sagens natur er vanskeligt at lave videnskabelige undersøgelser med stor evidens. Det vil forbedre muligheden for at få godkendt lægemidler til små populationer.

Særlig sagsgang for visse præparater

Det er ikke kun kategoriseringskriterierne, der er problematiske i forhold til de mindre populationer. Flere dele af processen hindrer således ibrug-tagning af medicin målrettet små grupper af patienter.

Vi kan derfor støtte anbefalingen i afsnit 6.6, side 46-47, hvorefter nogle lægemidler ikke behandles efter samme tunge proces, men hvor der i nogle tilfælde gennemføres en hurtigere sagsgang. Specifikt nævnes læge-midler for hvilke der kun findes meget tynde data, men hvor mere solide data er på vej. Det er typisk tilfældet for lægemidler til sjældne syg-domme, hvor lægemidlet har opnået markedsgodkendelse på særlige vil-kår og hvor godkendelsen indebærer en forpligtelse for producenten til at indsamle supplerende "real-world" data over en årrække. Sagsgangen for denne type lægemidler bør tilrettelægges på basis af markedsgodkendel-sen og under hensyntagen til de vilkår, som markedsgodkendelsen er ba-seret på, evt. i form af protokolleret ibrugtagning. Dataindsamling for denne type lægemidler bør ikke undergives krav om publicering for at kunne anvendes i vurderingen af lægemidlets effekt. Det nuværende krav om publicering kan medføre, at denne type lægemidler tages senere i brug i Danmark end i andre lande. Ved tilrettelæggelsen af en forenklet proce-

dure for disse lægemidler vil der kunne indhentes erfaringer fra andre europæiske lande. Ved tilrettelæggelsen af sagsgangen vil der skulle fastlægges kriterier for hvilke lægemidler til sjældne sygdomme eller små patientgrupper, som skal omfattes af den hurtigere og tilpassede sagsgang. Monitoreringen vil eventuelt kunne ske i et fagudvalg indrettet til formålet og sikret faglig deltagelse af den ofte sparsomme ekspertise.

Vi har i øvrigt bemærket, at der i fodnote 19 (side 13) er en ikke-korrekt beskrivelse af, hvad det betyder at have status som "Orphan Drug". Status som Orphan Drug gives af EU-Kommissionen efter anbefaling af EMA og kan efter særlige kriterier gives til medicin, som anvendes til diagnosticering, forebyggelse eller behandling af sjældne sygdomme, som er livstruende eller kronisk invaliderende. I EU er en sygdom defineret som sjælden, hvis den rammer færre end 5 ud af 10.000 personer i EU. Orphan-status giver adgang til særlige fordele som protokolbistand og reducerede afgifter (graderet efter virksomheds størrelse) samt 10 års markedsbeskyttelse efter opnået markedsgodkendelse¹.

Samfundsøkonomiske gevinster som en del af beslutningsgrundlaget

Danske Patienter mener, at der bør inddrages samfundsøkonomiske perspektiver i den sundhedsøkonomiske analyse af et nyt lægemiddel. Dette er en væsentlig udfordring, som desværre ikke adresseres i evalueringen.

Flere sygdomme medfører nedsat funktionsevne og har derfor omkostninger i form af fx frafald fra arbejdsmarkedet, behov for praktisk hjælp i hjemmet, pleje, hjælpemidler mm. Disse omkostninger vil kunne nedbringes væsentligt, hvis patienterne modtager den rette behandling i rette tid, hvilket de sundhedsøkonomiske analyser på nuværende tidspunkt ikke tager højde for. Vi er klar over, at det er vanskeligt at inddrage samfundsøkonomiske gevinster direkte i den økonomiske analyse – for eksempel hvis en behandling fører til levetidsforlængelse, hvor udgifterne udskydes (ikke-spires) – og at inddragelse af samfundsøkonomiske betragtninger vil favorisere medicin til patienter på arbejdsmarkedet. Men i kommunikationen om beslutningen bør det være en del af perspektiveringen, så medicin ikke alene opfattes som en udgift i samfundsdebatten.

QALY som del af beslutningsgrundlag – uden tærskelværdi

Danske Patienter er enige i rapportens anbefaling om at anvende QALY som et grundlag for at træffe beslutning om, hvorvidt der er et rimeligt forhold mellem merværdi og omkostninger. Det er vores opfattelse, at Rådets beslutning i dag i alt for høj grad træffes på baggrund af de enkelte medlemmers afvejning af forskellige forhold – og her kan QALY være et redskab til mere kvalificerede drøftelser i Rådet.

¹ <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation/overview>

Vi skal dog understrege, at indførslen af QALY ikke må medføre en tærskelværdi, som det for eksempel er tilfældet i England og Norge. QALY skal alene fungere som et redskab til at sikre gennemsigtighed i beslutningerne; ikke som det egentlige beslutningsgrundlag. Det skyldes blandt andet det forhold, at *livskvalitet* fortsat er et svært begreb at definere og måle.

Side 4/8

Samtidig skal vi gøre opmærksom på, at der særligt i forhold til mindre patientgrupper kan være udfordringer forbundet med at udregne QALY. Derfor opfordrer vi til, at man trækker på internationale erfaringer med for eksempel særlige QALY-værdier eller QALY-tillæg til små grupper, når man beregner QALY-værdier.

Transparens

Evalueringsrapporten konkluderer, at der overordnet set er en høj grad af gennemsigtighed i Medicinrådets arbejde, men at der er begrænset gennemsigtighed når det kommer til den endelige beslutning om en anbefaling i rådet. Vi er enige i, at der er gennemsigtighed i processen hen imod den endelige afgørelse, men at selve afgørelsens grundlag er uklart. Gennemsigtighed i beslutningerne er især vigtigt i de sager, hvor Medicinrådet afviser ibrugtagning af et lægemiddel som standardbehandling, på trods af at det har en klinisk merværdi for patienterne i forhold til andre lægemidler eller placebo. Et eksempel er sagen om Ocrevus til patienter med primær progressiv multipel sclerose, hvor Medicinrådet traf afgørelsen at lægemidlet ikke skulle anbefales til patientgruppen op til 55 år – dette på trods af, at der ikke i forvejen eksisterede et godkendt lægemiddel til denne gruppe, at fagudvalget vurderede at lægemidlet havde en klinisk merværdi for denne patientgruppe, samt at Amgros vurderede at effekten stod mål med omkostningen. Medicinrådets vurdering gik imod Amgros' anbefaling uden yderligere forklaring.

Det stiller patienter i et urimeligt dilemma, når potentielt virksom medicin afvises uden en egentlig begrundelse. En større grad af gennemsigtighed har også potentiale til at give et bedre indblik i og evt. også forståelse for de beslutninger, der træffes. Det er derfor vigtigt, at alle argumenter, der fører til en beslutning i Medicinrådet, bliver ført til referat.

Anvendelse af alvorlighedsprincippet

I forlængelse heraf bør det også være mere gennemsigtigt hvordan Medicinrådet anvender alvorlighedsprincippet, ud over at de kan vælge at inddrage det. Ifølge evalueringen har alvorlighedsprincippet været taget i brug få gange, men det er usikkert, hvad der ligger til grund for anvendelsen af princippet. Dette berøres ikke i evalueringen, men bør blive belyst.

Prioritering af behandlingsvejledninger

De helt store besparelser, effektiviseringer i lægemiddelforbruget og forbedringer for patienterne fås ved at lave behandlingsvejledninger og dertilhørende udbud. Imidlertid har arbejdet med at tage stilling til ansøgninger om nye lægemidler betydet, at Medicinrådet ikke har kunnet lave så mange vejledninger som tidligere (og som ønsket). Det bør derfor overvejes, hvordan denne opgave bedre kan prioriteres eller sikres de nødvendige ressourcer. Det kan bl.a. være ved at lade fagudvalg eller klinikere vurdere relevansen af et præparat, før det evt. forelægges Rådet.

Side 5/8

Samspil mellem Råd og fagudvalg

Der skal ifølge rapporten arbejdes på at styrke dialogen mellem Råd og fagudvalg, og det bakker vi op om. Men der bør også sættes fokus på det problematiske i, at Rådet i nogle situationer underkender fagudvalgets vurderinger.

Vi har set eksempler på, at beslutninger udsættes adskillige gange, fordi Rådet ikke er enige i fagudvalgets vurdering af klinisk merværdi. I evalueringsrapporten fremgår det, at medlemmer af Rådet ønsker at lave deres egen faglige vurdering, og at medlemmer efterspørger en højere grad af faglig kvalitetssikring af fagudvalgets arbejde, inden det forelægges Rådet. Dette vidner om, at Rådet i en vis udstrækning ikke vurderer, at fagudvalgene er kompetente eller saglige nok til at foretage den faglige vurdering. Dette kan undre, eftersom fagudvalgene netop består af eksperter inden for de enkelte sygdomsområder. Derfor opfordrer vi til, at man arbejder på at etablere processer for dialog mellem Rådet og fagudvalg, som kan føre til konsensus mellem de to organer.

Rådets uvildighed

I rapportens afsnit 2.2 (*uafhængighed, objektivitet og armslængde*) konkluderes det, at Medicinrådet træffer beslutninger uden at være pålagt bestemte holdninger fra regionerne. Dette er på trods af, at knap hver tredje adspurgte *ikke* har erklæret sig enig i denne påstand.

Vi oplever, at der fx blandt repræsentanter i fagudvalgene bliver stillet spørgsmålstejn ved, om beslutningerne i Rådet bliver truffet uden skelen til de regionale budgetter – bl.a. fordi størstedelen af rådsmedlemmerne er regionale ledere, herunder flere med dagligt budgetansvar. Derfor er det værd at overveje, om de ovenfor nævnte uoverensstemmelser mellem fagudvalg og Råd kan være begrundet i den nuværende sammensætning af Rådet.

Adgang til og anvendelse af medicin har samfundsøkonomiske konsekvenser og perspektiver, der rækker videre end regionerne. Derfor mener Danske Patienter, at man bør overveje en sammensætning, som i højere grad afspejler dette, således at der er en mere balanceret repræsentation af de forskellige fagligheder og perspektiver.

Off-label

I dag er det ikke tilladt for fagudvalgene at inddrage evidens fra et andet medikament, som bruges off-label, ligesom det ikke er tilladt for Rådet at komme med anbefalinger for off-label brug af præparater.

Side 6/8

Denne restriktion beskytter i højere grad industrien end patienterne, og derfor mener vi, at man bør løsne op på området. For eksempel bør det være muligt for fagudvalgene at kigge på erfaringer fra studier med andre patientgrupper, hvor der er lignende mekanismer i spil, ligesom lægernes praksiserfaring bør kunne inddrages – både i forhold til effekt og bivirkninger. Muligheden for anbefaling af off-label brug fra Rådet bør også afprøves.

Repræsentation i fagudvalgene

Det fremgår af evalueringen, at patientrepræsentanterne udelukkende er med i fagudvalg for at bidrage med erfaringer fra eget patientforløb. Vi mener ikke at dette er en tilstrækkelig beskrivelse af patientrepræsentanternes rolle, og det er en uambitiøs udlægning af patientrepræsentanternes bidrag til fagudvalgenes arbejde. Mange patienter og -repræsentanter har en stor viden om deres sygdom, om den nyeste forskning på området, om behandling mv. Derudover kan patientrepræsentanter bruge deres netværk – f.eks. via patientforeningerne – til at indhente bred viden om patientgruppens holdninger, ønsker og præferencer når det kommer til medicin. Det er også vores opfattelse, at det i praksis har haft en positiv betydning for fagudvalgenes arbejde, når patientperspektivet er blevet inddraget på ordentlig vis. Dette kunne breddes ud og sættes mere i spil – særligt hvis sekretariatspersoner og fagudvalgsformænd blev klædt bedre på til at inddrage patienter og patientrepræsentanter. I tråd med dette mangler der klare retningslinjer for, hvordan systematisk indsamlet/publiseret viden om patientpræferencer kan bringes i spil.

Inhabilitet

Vi har desuden svært ved at genkende konklusionen om, at der ikke længere er habilitetsproblemer forbundet med udpegning af fagpersoner til fagudvalgene.

Vi har bl.a. set eksempler på, at fagudvalg skal gennemføre deres arbejde uden inddragelse af den nødvendige ekspertise og lægefaglige viden. Det har betydet, at de faglige vurderinger – og i forlængelse heraf også Medicinrådets anbefaling – træffes på forkert grundlag. På den måde får sammensætningen af og arbejdsprocessen i fagudvalgene stor betydning for, hvordan præparater i praksis kan anvendes. Dette skal også ses i lyset af den manglende efterlevelse af Folketingets 7. princip, som gør, at patienter med samme sygdom får forskellig adgang til behandling.

Habilitet er afgørende for tilliden til de faglige anbefalinger. Derfor er det fortsat vigtigt, at regionerne har fokus på at sikre uvildig efteruddannelse, således at habilitetsproblemer kan undgås. Især i forhold til sjældne sygdomme, hvor eksperterne er få, er dette en stor udfordring. Her kan man

evt. inddrage højeste ekspertise i fagudvalgets arbejde – men ikke i beslutningen om kategorisering af et lægemiddel.

Side 7/8

Folketingets 7. princip

Det er et kæmpe problem, at Folketingets 7. princip, som indebærer lægens frie ordinationsret, ikke fungerer i praksis – og at evalueringen ikke i højere grad italesætter udfordringerne ved de forskellige modeller for individuel ibrugtagning af medicin, der ikke er anbefalet som standardbehandling. Vi savner en mere grundig evaluering af, hvad der sker på regionalt niveau, når et produkt ikke bliver anbefalet til standardbehandling.

Vi har desværre set flere eksempler på, at præparater, som ikke er blevet anbefalet til standardbehandling – men som jf. det 7. princip skal kunne ordineres med udgangspunkt i en klinisk vurdering af den enkelte patient – ikke bliver taget i brug, fordi det medfører store økonomiske omkostninger for den enkelte region, det enkelte sygehus eller endda den enkelte afdeling.

På den baggrund anbefaler Danske Patienter en mere ensartet afregningsmekanisme, som sikrer, at lægerne ikke straffes for at lade ordinationen styre af faglighed (vurderet på konference, hvor dette er muligt) frem for økonomi. Derudover mener vi, at ibrugtagningen på tværs af regionerne bør monitoreres for at gøre efterlevelsen af det 7. princip (eller manglen herpå) mere gennemsigtig.

Vi opfordrer ikke til, at lægemidler, der ikke er anbefalet som standardbehandling, udskrives uden omtanke. Vi mener dermed ikke, at det skal være op til den patientansvarlige læge alene at træffe beslutning om individuel ibrugtagning for medicin, der ikke er anbefalet som standardbehandling. Dette er en svær beslutning, som normalt bør træffes af flere læger med kendskab til patienten/sygdommen. Efter Danske Patienters opfattelse bør en læge, der overvejer at tilbyde en patient en behandling, der ikke er standardbehandling, drøfte overvejelserne med andre læger, der kender patienten og sygdommen i detaljer – og på den baggrund træffe en beslutning om, at der kan være grund til at tilbyde patienten et præparat, der ikke er anbefalet som standardbehandling. For sjældne sygdomme m.v. kunne der være tale om nationale konferencebeslutninger, der involverer de læger, der kender sygdommen og patienterne på specialistniveau. Hvis denne fremgangsmåde blev mere fremherskende, vil det ud fra en patientinteresse være relevant i flere tilfælde *ikke* at anbefale at gøre præparater til standardbehandling. Det er imidlertid ikke tilfældet i dag, hvor afvisning af præparater som standardbehandling medfører stor uvidenhed om, hvordan patienterne stilles.

Honorering af repræsentanter

Endelig skal vi påpege, at vi finder det uhensigtsmæssigt, at patientrepræsentanterne de facto er de eneste i Medicinrådet, der ikke modtager honorar for deres deltagelse.

Hvad angår patientrepræsentanters deltagelse i fagudvalgene fremgår det af side 53, at mens privatpraktiserende læger, selvstændigt erhvervsdrivende og privatansatte kan få tabt arbejdsfortjeneste, hvis de tager fri for at deltage i møderne, kan "andre medlemmer" – herunder patientrepræsentanter – kun få mødediæt og refusion af transportomkostninger. Med henvisning til tidligere afsnit om patientrepræsentation er dette en lidt mærkværdig skelnen, idet patienter og patientrepræsentanter lægger et stort arbejde i fagudvalgene – og i sagens natur også kan være nødt til at tage fri fra arbejde for at deltage i møder.

Samtidig vil vi opfordre til, at reglerne for refusion af transportomkostninger ensrettes på tværs af fagudvalgsmedlemmer/regioner. De nuværende regler – hvor det er forskelligt, om det er regionen eller afdelingen, der betaler for transporten – betyder, at fx læger med lang transport oftere melder afbud til møder, fordi de ikke kan få refusion for en flybillet, og fordi en togtur er meget omfattende i forhold til mødets varighed. Det forringer den faglige kvalitet i fagudvalgenes arbejde, og derfor opfordrer vi til, at regionerne aftaler en praksis på området, som tillader lægerne at deltage.

Danske Patienter sidder med to repræsentanter i Rådet, og som det også fremgår flere steder af rapporten, medfører en plads i Rådet hver måned en betydelig arbejdsbyrde. Arbejdet i Medicinrådet er dermed et stort træk på patientforeningernes ressourcer – både i forbindelse med at udpege repræsentanter til fagudvalg, til at deltage i Rådsmøder og til at forberede møderne. Vi mener, at tilstedeværelsen af repræsentanter, som på saglig og velovervejet vis kan fremhæve patientperspektivet har haft og fortsat er af stor betydning for de beslutninger, der bliver truffet i Medicinrådet. Vi må dog samtidig erkende, at den fortsatte deltagelse udfordres af, at patientrepræsentanterne – i modsætning til fx regionalt ansatte repræsentanter – ikke frikøbes med offentlige midler, eller – som det er tilfældet for andre af rådsmedlemmerne – honoreres for deres deltagelse.

Derfor opfordrer vi til, at der stilles økonomisk støtte til rådighed, også for patientrepræsentanterne i Medicinrådet. Det vil muliggøre en fortsat høj kvalitet i arbejdet – både i forbindelse med at udpege og klæde fagudvalgsmedlemmer på, og i forbindelse med at bringe det brede patientperspektiv ind i Rådets beslutninger på professionel vis.

Med venlig hilsen



Morten Freil
Direktør