

Danske Regioner
Att.: Tommy Kjelsgaard, Thomas Birk Andersen
- Fremsendt pr. e-mail: tad@regioner.dk

Blekinge Boulevard 2
2630 Taastrup

Telefon 33 14 00 10

mail@sjaelndiagnoser.dk
www.sjaelndiagnoser.dk

Under protektion af
H.K.H. Kronprinsesse Mary

30. oktober 2016

Vedr.: Høring over Medicinrådets faglige metoder og metode for Amgros omkostningsanalyse

Sjældne Diagnoser er medlem af Danske Patienter og medunderskriver af organisationens høringssvar til ovennævnte høring. Da der er en række særlige forhold, der gør sig gældende omkring lægemidler til sjældne sygdomme, afgiver Sjældne Diagnoser hermed også selvstændigt høringssvar. Sjældne Diagnoser er den nationale alliance/paraplyorganisation for pt. 52 små foreninger for borgere ramt af sjældnen sygdom.

Udgangspunktet

Danske Regioners bestyrelse har tilkendegivet, at man i forbindelse med udarbejdelse af modellen for Medicinrådet bl.a. har haft fokus på de syv principper om prioritering for sygehuslægemidler¹, som et bredt flertal i Folketinget står bag. Sjældne Diagnoser hæfter sig især ved princip nr. syv:

"7. Adgang til behandling: Der skal sikres lige adgang for både store og små patientgrupper og tages højde for patienters individuelle behov. Der skal være muligt ud fra en konkret lægefaglig vurdering at behandle med lægemidler, som er afvist til standardbehandling. Det gælder eksempelvis i forhold til at kunne yde behandling af høj kvalitet til patienter med sjældne sygdomme eller i forhold til at kunne behandle for at undgå funktionsnedsættelse."

Herud over vil vi også gerne fremhæve en anbefaling i Sundhedsstyrelsens nationale strategi for sjældne sygdomme:

*"At det sikres, at der er (fortsat) adgang til nødvendige OMP² i Danmark, herunder der anvendes gennemsigtighed i priser og tilskudsordninger."*³

¹ Sundheds- og Ældreministeriets princippapir om prioritering for sygehuslægemidler af 31. marts 2016

² Orphan Medicinal Products – lægemidler til sjældne sygdomme

³ Sundhedsstyrelsen: National strategi for sjældne sygdomme (2014), p. 118

Det særlige ved medicin til sjældne sygdomme

I Danmark betegnes en sygdom som sjælden, når den forekommer med en hyppighed (prævalens) på ca. 1 – 2 ud af 10.000 eller derunder, dvs. op mod ca. 500 – 1.000 personer i Danmark. Langt de fleste diagnosegrupper er meget mindre end 500. Det anslås, at der er ca. 800 sjældne diagnoser tilstede i Danmark og at patientgruppen udgør 30.000 – 50.000 personer. Sygdommene er som oftest medfødte, arvelige, komplekse og alvorlige tilstande, der er forankret på højt specialiseret niveau i sygehusvæsenet.⁴

For langt de fleste sjældne sygdomsgrupper gælder, at der ingen behandling er. For de grupper, hvor der er behandlingsmuligheder, er der som oftest kun én enkelt relevant mulighed og ofte kun til få patienter indenfor den pågældende gruppe. I de senere år er der for nogle grupper imidlertid sket betydelige fremskridt i behandlingen som følge af udvikling af ny, innovativ medicin. At der er tale om en ny udvikling forklarer, at der på sjældne-området kun er ganske lidt erfaring med hensyn til procedurerne i RADS og KRIS.

Det er en anerkendt problemstilling, at sjældenheden kan betyde, at det er yderst vanskeligt at belyse nye behandlings effekt i de regelrette kliniske kontrollerede forsøg som almindeligvis og ideelt danner basis for indførelse af nye behandlinger i sundhedsvæsenet. Således er følgende anbefaling også at finde i Sundhedsstyrelsens nationale strategi for sjældne sygdomme:

”Ved vurdering af effekten af behandlingsmodaliteter lægges vægt på evt. at inddrage en bredde af forskellige videnskabelige metoder og tilgange.”⁵ Udgangspunktet i forhold til behandling af sjældne sygdomme er således, at sygdommene har en høj alvorlighedsgrad, patienterne er få og der ofte ikke er nogen eksisterende behandling. Hvis der ikke tages hensyn til disse særlige udfordringer, vil det være til stor ugunst for disse patientgrupper. Også princippet om lighed i sundhed vil lide skade.

Metoder og modeller til brug for Medicinrådet

Sjældne Diagnoser ønsker at påpege nødvendigheden af, at medicin til sjældne sygdomme fortsat finder vej til patienterne. Det er vanskeligt for os at vurdere, hvordan de særlige udfordringer på sjældne-området håndteres i de påtænkte modeller og metoder, herunder i:

- Model for udarbejdelse af fælles regionale vurderinger af nye lægemidlers og nye indikationers kliniske merværdi (Metodehåndbogen)
- Metodevejledning for omkostningsanalyser af nye lægemidler og indikationer i hospitalssektoren.

Sjældne Diagnoser opfordrer Medicinrådet til at formulere sig omkring de særlige udfordringer, der er gældende i forbindelse med ibrugtagning af ny medicin / ny indikation til sjældne sygdomme, herunder

⁴ Ibid, p. 31

⁵ Ibid, p. 65

- Hvornår det er relevant at anbefale et produkt som standardbehandling til meget små patientgrupper
- Hvilke særlige forhold, der skal lægges vægt på, når der er tale om medicin til meget små patientgrupper, herunder
 - o sygdommenes alvorlighedsgrad
 - o ingen eller klart utilstrækkelige eksisterende behandlingsmuligheder (manglende relevant komparator(er))
 - o sædvanligvis lavere grad af evidens fra kliniske forsøg og større usikkerhed om effekt mv.
- Hvordan disse forhold påvirker modellerne for hhv. omkostningsanalyser og vurdering af lægemidlernes kliniske værdi.

Europæiske perspektiver og erfaringer

Sjældne Diagnoser ønsker at påpege, at der på europæisk plan pågår et stort og vigtigt arbejde om medicin til sjældne sygdomme. Direktiv om lægemidler til sjældne sygdomme⁶ sigter på at støtte og fremme medicin, som der ikke er et markeds-mæssigt potentiale i at udvikle. Herud over er der en række tiltag i regi af bl.a. EMA, der sigter på at fremme tidlig dialog om nye lægemidler til sjældne sygdomme. Vi opfordrer til at Medicinrådet følger med i og deltager i dette arbejde med henblik på at sikre, at også danske patienter får gavn heraf.

Sjældne Diagnoser opfordrer endvidere til, at der inddrages konkrete erfaringer fra andre lande, hvor der på forskelligvis søges taget højde for de særlige udfordringer på sjældne-området ved prisfastsættelse og beslutninger om ibrugtagning, eksempler⁷:

- I bl.a. Frankrig findes et "fast track" for vurdering af nye lægemidler, hvis der er store umødte behov og hvis det pågældende lægemiddel har udvist virkeevne/tolerabilitet. Der kan videre gives midlertidige tilladelser til anvendelse, hvis der er tale om en livstruende sygdom og/eller der ikke er andre behandlingsmetoder til rådighed
- I Tyskland tillades mindre restriktive krav til signifikans og empiri når der er tale om små populationer
- Også i Skotland tillades lavere niveauer for evidens ved kliniske forsøg, når der er tale om medicin til sjældne sygdomme
- I England er der en særlig procedure for "Highly Specialised Technologies"⁸ til sjældne tilstande, som adskiller sig fra den metode NICE i øvrigt bruger
- I Spanien inddrages forhold som sygdommens alvorlighed, patientgruppens behov og behandlingsmæssige muligheder, når tilskud mv. fastlægges
- I Sverige accepteres en højere grad af usikkerhed og der kan gives tilskud til medicin til sjældne sygdomme selvom prisen på medicinen er "for høj" set i forhold til gængse metoder

⁶ EUROPA-PARLAMENTETS OG RÅDETS FORORDNING (EF) Nr. 141/2000 af 16. december 1999 om lægemidler til sjældne sygdomme

⁷ Tordrup, Tzoums, Kanavos: *Orphan drug considerations in health technology assessment in eight European countries*, The Rare Diseases and Orphan Drugs Journal (vol. 1, number 3, 2014)

⁸ <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-highly-specialised-technologies-guidance>

- I nogle lande, der opererer med et loft over udgifterne til en enkelt behandling, suspenderes dette loft, når det handler om sjældne sygdomme – enten ved at fastsætte et højere loft eller ved at se på den samlede udgift for gruppen. Frankrig og Tyskland er eksempler på lande, hvor man gør sidstnævnte.

Vi bidrager meget gerne til dette arbejde efter vores bedste formåen og ser frem til at blive høringspart, ligesom andre interessenter med særlig viden og opmærksomhed om små patientgrupper bør inddrages.

I forbindelse med nedsættelse af fagråd eller fagfora omkring medicin til sjældne sygdomme stiller vi os også gerne til rådighed hvis og når der måtte være behov herfor.

Med venlig hilsen



Birthe Byskov Holm, formand



/Lene Jensen, direktør



Sjældne Diagnoser er en sammenslutning af 52 foreninger for familier med sjældne sygdomme og handicap
Vi arbejder for at forbedre vilkårene for de sjældne sygdomsgrupper
Se medlemsforeninger på <http://sjældnediagnoser.dk/medlemsforeninger/>