



Vedr.: Evaluering af Medicinrådet

Sjældne Diagnoser har med stor interesse læst evaluering af Medicinrådet, foretaget af Oxford Research for Danske Regioner. Vi tilslutter os helt og fuldt Danske Patienters høringssvar, hvor bl.a. følgende forhold fremhæves:

1. Der bør i metodehåndbogen og i sagsbehandlingen i langt højere grad tages højde for de udfordringer, der knytter sig til lægemidler målrettet små patientgrupper
2. Der bør ske en kvalificering af Medicinrådets beslutningsgrundlag, når effekt vejes op imod omkostninger – og samtidig bør transparensen i denne del af processen gøres bedre. Eventuel brug af QUALY skal tilpasses de særlige udfordringer, der er på sjældne-området
3. Det bør være muligt at gøre brug af højeste ekspertise i fagudvalgene, også selvom dén eller de (meget få) relevante fagperson(er) ikke kan opfylde habilitetskriterierne, idet fagperson(erne) ikke skal have med afvejning mellem effekt og omkostninger at gøre
4. Der er brug for en mere grundig evaluering af, hvad der sker på regionalt niveau, når et produkt ikke anbefales til standardbehandling.

Hertil vil Sjældne Diagnoser føje, at

- Ad. 1: Udfordringerne omkring vurdering af lægemidler til små sygdomsgrupper er så store, at der snarest muligt bør iværksættes en særskilt analyse heraf, som kan munde ud i konkrete anbefalinger for at sikre procedurer, som er egnede til at håndtere medicin til små patientgrupper og hvor der bl.a. tages højde for hvilke særlige forhold, der skal lægges vægt på, når der er tale om medicin til meget små patientgrupper, herunder
 - sygdommenes alvorlighedsgrad
 - ingen eller klart utilstrækkelige eksisterende behandlingsmuligheder (manglende relevant komparator(er))
 - sædvanligvis lavere grad af evidens fra kliniske forsøg og større usikkerhed om effekt mv., jf. Danske Patienters høringssvar.

Erfaringer fra andre lande, hvor man på forskelligvis har søgt at tage højde for de særlige udfordringer på sjældne-området ved prisfastsættelse og beslutninger om ibrugtagning.



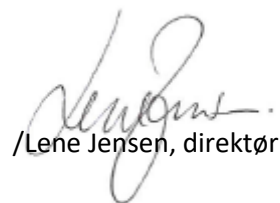
- Ad. 3: I EMAs praksis er der inspiration at finde til en model, hvor den højeste ekspertise kan inddrages, selvom habilitetskriterierne ikke til fulde er mødt
- Ad. 4: Der bør ske en langt mere grundig evaluering af, hvad der sker på regionalt niveau, når et produkt ikke anbefales til standardbehandling:
 - **Både** i forhold til selve processen, hvor der på regionalt niveau typisk ikke er patientrepræsentation og hvor det heller ikke altid sikres, at den højeste ekspertise kan inddrages. Der er også brug for en stærkere grad af transparens i denne del af processen
 - **Og** i forhold til hvad der sker, når medicin tages i brug uden at være anbefalet til standardbehandling – dette bør i langt højere grad monitoreres.

Sjældne Diagnoser stiler sig gerne til rådighed i det videre arbejde.

Med venlig hilsen



Birthe Byskov Holm, formand



/Lene Jensen, direktør