



## Tilgang til legemidler for sjeldne sykdommer

---

Koalisjonen for sjeldne sykdommer (Koalisjonen) viser til regjeringens arbeid med ny stortingsmelding om prioritering. Denne meldingen skal ta opp spørsmål knyttet til persontilpasset medisin og sikring av åpenhet og etterprøvbare vedrørende prioriteringer innen helse- og omsorgstjenesten.

Koalisjonen vil i dette notatet peke på to utfordringer innen tilgang som rammer pasienter med sjeldne sykdommer:

- Hvordan vurdering av usikkerhet og retningslinjer for metodevurdering fører til utilsiktet skjevhet i tilgang
- At betalingsvilligheten ikke reflekterer at de faste kostnadene fordeles på færre.

Regjeringen har valgt sin prosess med et solid fundament av kunnskap som vil ligge til grunn for utarbeidelsen av den kommende meldingen. Statsråden har også understreket betydningen av offentlig debatt i behandlingen av utfordrende spørsmål. Som representanten Trøen påpekte i sitt skriftlige spørsmål den 14. februar (dokument nr. 15:1190 (2022-2023)), sørger en åpen diskusjon for at berørte stemmer blir hørt og relevante argumenter blir presentert. Den offentlige dialogen vil dermed fremme deltakelse og legitimitet i prosessen.

Koalisjonen har tidligere kommet med innspill angående mandatene for de tre ekspertgruppene i mai dette året. Det er viktig å merke seg at ekspertgruppenes oppdrag også understreker involvering av relevante aktører. I denne sammenheng ønsker Koalisjonen å bidra med viktige spørsmål knyttet til tilgang i relasjon til deres arbeid. Vi er åpne for videre dialog med ekspertgruppen for å gi ytterligere innspill eller for å oppnå klarhet dersom det er ønskelig.

Den endelige evalueringen fra PROBA samfunnsanalyse ble overlevert til regjeringen i 2021, og pekte på at «*Det er først og fremst utfordringer knyttet til persontilpasset medisin, avanserte terapier og behandlinger for sjeldne tilstander som vil gjøre seg gjeldende*» i fremtiden. Dette knytter seg særlig til at studiene for markedsføringstillatelse (MT) er små og enarmede (uten kontroll).

Likestilt tilgang til legemidler for alle pasientgrupper er et sentralt prinsipp i prioriteringsmeldingen. Koalisjonen anmoder ekspertgruppen om å kartlegge de faktorene som kan forhindre en likeverdig tilgang blant ulike pasientgrupper.

### **Likeverdig tilgang**

Legemiddelverkets retningslinjer for metodevurdering konkretiserer prioriteringsmeldingen ved å fastsette krav til dokumentasjon og prosessen for metodevurdering. Koalisjonen peker på at denne operasjonaliseringen kan føre til ulik tilgang til terapier mellom pasientgrupper.





En viktig aspekt av Legemiddelverkets retningslinjer er at de gir høyere prioritet til sykdommer med kort forventet levetid. Kort forventet levetid gis i dag høyere prioritet gjennom alvorlighetskriteriet. Men kort forventet levetid gis også en høyere prioritet i form av mindre usikkerhet da metodevurderingene vektlegger harde endepunkter, som død, som mer pålitelige enn sykdommer med myke endepunkter eller surrogatendepunkter. Med dette prinsippet prioriteres sykdommer med dødelig utfall først gjennom alvorlighetskriteriet, og deretter fordi det er mindre usikkerhet knyttet til dem på grunn av flere pasienter som dør før den kliniske studien avsluttes.

Denne tilnærmingen kan resultere i lavere prioritet for medfødte, genetiske sjeldne sykdommer fordi flere pasienter fortsatt er i live når studien er ferdig, og det er nødvendig å bruke myke endepunkter eller surrogatendepunkter. Dagens praksis med å håndtere usikkerheten i helseanalyser kan føre til ulik tilgang til helsetjenester.

Koalisjonen mener det er nødvendig å reevaluere og forbedre måten usikkerhet håndteres på for å sikre likeverdig tilgang til nødvendig helseomsorg for alle pasientgrupper. Dette vil være i tråd med økonomisk teori og prinsippene om rettferdighet og likhet innenfor helsepolitikken.

**Koalisjonen mener at usikkerheten i analysene må behandles i henhold til økonomisk teori, og ikke slik som det for øyeblikket gjøres, noe som fører til en ulik tilgang blant diverse pasientgrupper.**

### **Betalingsvillighet**

Koalisjonen ønsker også å belyse de utfordringene knyttet til betalingsvilligheten for legemidler som anvendes i behandlingen av sjeldne sykdommer. En betydelig problemstilling er den begrensede kostnadsdekningen for faste utgifter relatert til utvikling, produksjon, distribusjon og oppfølging av legemidler. Disse kostnadene er i stor grad ensartede uavhengig av pasientgruppens størrelse.

Koalisjonen hevder, og dette synspunktet støttes av svenske Tandvårds- och Läkemedelsförmånsverket, at det er nødvendig å etablere en høyere betalingsvilje for legemidler som anvendes i behandlingen av sjeldne sykdommer. På vegne av Koalisjonen har Menon Economics utarbeidet en rapport som presenterer potensielle løsninger for Norge med det formål å sikre tilgangen til terapier for pasienter som lider av sjeldne sykdommer. Denne rapporten er vedlagt for din referanse.

**Koalisjonen mener det må utarbeides en modell som i større grad tar hensyn til fordeling av de faste kostnadene og sikrer likeverdig tilgang til legemiddelbehandling.**