



Innspill til ekspertgruppe om åpenhet

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 etterprøvbarhet vedrørende prioriteringer innen helse- og omsorgstjenesten.

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

- Utforming av retningslinjer for metodevurdering
- Innvolvering av aktører i metodevurderingen og notoritet

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.





Prosess med utforming av retningslinjer for metodevurdering

Statens legemiddelverks retningslinjer angir hvilken dokumentasjon som skal leveres fra produsent og er retningsgivende for utarbeidelse av metodevurderingen. Retningslinjene er slik en operasjonalisering av prioriteringsmeldingen og har potensiale til å bli et mer dynamisk verktøy innenfor prioritering.

Koalisjonen er, som vi har påpekt i større detalj i brevet til ekspertgruppen for tilgang, bekymret for at utformingen av disse retningslinjene medfører uønskede effekter. Vi mener derfor det bør gjøres en vurdering av om innholdet i retningslinjene er i tråd med prioriteringsmeldingen prinsipp om lik og rettferdig tilgang, og videre hvordan utformingen av retningslinjene kan bli mer transparent og inkluderende.

Retningslinjene utformes i dag av Legemiddelverket selv, og er slik avhengig av den kompetansen som legemiddelverket til enhver tid besitter. Dette medfører så langt Koalisjonen kan se, at det i dag, i stor grad vektlegges en statistisk tilnærming, fremfor helseøkonomiske tilnærming som burde være dominerende.

Helseøkonomi er et levende fag som er godt fundamentert i akademia, og det er viktig å holde retningslinjene for helseøkonomisk evaluering oppdatert for å sikre tillit. Norge har et avgrenset men svært kompetent helseøkonomisk miljø som er spredt innen offentlig forvaltning, akademia og industri. Det er etter vår oppfatning viktig å inkludere bredden av helseøkonomisk kompetanse i retningslinjene og sikre at disse jevnlig oppdateres.

Videre er retningslinjene, etter hva Koalisjonen oppfatter, på en svært avgrenset høring som vi ikke finner hjemmel for. For å sikre åpenhet, legitimitet og etterprøvbarhet bør det derfor sikres at retningslinjene sendes på åpen høring.

Koalisjonen mener retningslinjene må utvikles i samarbeid med eksterne aktører, slik som akademia og industri, og at retningslinjene må sendes på åpen høring for å sikre tillit.

Involvering av aktører og notoritet

I evalueringen av Nye metoder, gjennomført av Proba Samfunnsanalyse, er et sentralt funn at det er en betydelig tillitsmangel mellom ulike aktører og interessenter i systemet. Dette problemet med tillitsmangel fører til utfordringer knyttet til å fremme synspunkter og motta vurderinger fra Legemiddelverket. Tilgangen til samarbeidsarenaer er begrenset, og det er påpekt behovet for å etablere slike arenaer og øke engasjementet fra brukerorganisasjoner, helsepersonell og klinikere før beslutninger tas.

I rapporten fra Proba Samfunnsanalyse brukes Spinraza, et legemiddel for behandling av spinal muskelatrofi, som et eksempel. Klinikere involveres godt i dette tilfellet, og deres synspunkter blir vektlagt, noe som er en modell å følge. Imidlertid mener Koalisjonen at dette sjelden er tilfellet for de fleste sjeldne



sykdommer, som Proba Analyse selv påpeker er det stor variasjon i hvor godt klinikerne blir hørt.

De fleste sjeldne sykdommer rammer få personer i Norge, og mange av dem er kroniske og alvorlige. Det er utfordrende for en oppnevnt brukerrepresentant å ivareta sin ombudsrolle og formidle utfordringene til pasienter med sjeldne sykdommer og deres pårørende. Sjeldenfeltet er komplekst, preget av høy innovasjonstakt, spesielt med utviklingen av genterapier som gir engangsbehandlinger med kurativ intensjon. Dette skaper utfordringer, spesielt når det gjelder vurdering av evidens og anvendelse av nye behandlinger i en norsk sammenheng.

Koalisjonen påpeker at saker av denne art har en betydelig innvirkning på tilliten til systemet blant pasienter, helsepersonell og legemiddelindustrien. For å møte denne utfordringen, foreslår Koalisjonen en styrking av sporbarhet og gjennomsiktighet gjennom hele prosessen, fra innsending av metodevurderingsanmodninger til endelige beslutninger.

En løsning kan inkludere innføringen av en form for konsultasjon, inspirert av praksisen til Medicinrådet i Danmark eller NICE i England. Dette ville tillate klinikere å aktivt delta ved å stille spørsmål og gi innspill gjennom hele prosessen med metodevurdering. Det er essensielt at både disse innspillene og beslutningene blir grundig dokumentert og loggført. Dette vil sikre at det er full åpenhet rundt hvilke synspunkter som er fremmet, hvilke vurderinger som er foretatt av Legemiddelverket (og Nye metoder), hvordan uenigheter blir behandlet, og hva som til slutt blir utfallet av vurderingen. En slik tilnærming vil fremme åpenhet og bidra til å gjenopprette tillit i beslutningsprosessen.

Koalisjonen mener det må legges til rette for åpne konsultasjoner hvor ekspertpasienter, klinikere og industri kan fremme sine synspunkter og få disse vurdert. Det må være en notoritet som transparent viser hvilke innspill som er kommet og hvordan disse er vurdert av Legemiddelverket og beslutningstagere.

Koalisjonen for sjeldne sykdommer består av 5 bioteknologiselskap og arbeider for bedre livskvalitet og helse for pasienter med sjeldne sykdommer.

Vi jobber også for gode og forutsigbare rammebetingelser for medisinsk behandling, når slik behandling er tilgjengelig.