

NOTAT

# PRIORITERING AV SJELDNE DIAGNOSER

Samfunnsøkonomiske vurderinger





## Forord

Dette notatet gir en gjennomgang av dagens prioriteringskriterier og betydningen av disse for prioritering av nye behandlingsmetoder knyttet til sjeldne diagnoser. Notatet viser hvordan dagens utforming av prioriteringskriteriene kan få utilsiktede negative konsekvenser for tilgangslighet til helsetjenester overfor pasientgrupper med sjeldne diagnoser.

Vi takker Sanofi for et spennende oppdrag og gode innspill underveis i prosessen. Forfatterne står ansvarlig for alt innhold i rapporten.

---

Juli 2023

Erland Skogli  
Prosjektleder  
Menon Economics

# Innhold

<b>SAMMENDRAG</b>	<b>3</b>
Tiltak mot et omfattende samfunnsproblem – behandling mot sjeldne diagnoser	3
Sikres sjeldenhet og likeverdig tilgang til offentlige tjenester	3
Betalingsvillighet for å være forsikret mot sjeldne hendelser	4
Løsninger fra andre land	5
<b>INNLEDNING</b>	<b>6</b>
Samfunnskostnader knyttet til sjeldne diagnoser	6
Utfordringer knyttet til sjeldne diagnoser i prioriteringssammenheng	7
<b>1. SJELDENHET OG BETYDNING FOR TILGANGSLIKHET TIL OFFENTLIGE TJENESTER</b>	<b>8</b>
1.1. Prioritering av knappe offentlige ressurser	8
1.2. Kostnadseffektivitet og konsekvenser for «sjeldenhet»	12
1.3. Alvorlighetskriteriet og rettferdighet	16
1.4. Alvorlighet vektet lavere i helsesektoren enn ved offentlige tiltak i andre sektorer	19
1.5. Oppsummering: Vektlegges tilgangslighet til helsetjenester for personer med sjeldne sykdommer?	21
<b>2. VELFERDSSTATEN SOM FELLES HELSEFORSIKRING</b>	<b>22</b>
2.1. Forsikringsperspektivet	22
2.2. Forsikringsperspektivets betydning for sjeldne sykdommer	22
<b>3. PRIORITERING AV SJELDENHET I ANDRE LAND</b>	<b>24</b>
3.1. Europa	24
3.2. Storbritannia	25
3.3. USA og Canada	26

## Sammendrag

Prioriteringsmeldingen slår fast at befolkningen skal ha likeverdig tilgang til helsetjenester – «*Like tilfeller skal behandles likt.*» I dette notatet drøftes forhold knyttet til sjeldne diagnoser i prioriteringssammenheng. Forholdene som drøftes kan innebære at pasienter med sjeldne diagnoser kan ende opp med en lavere prioritet enn hva sykdommens alvorlighet og samfunnets betalingsvillighet skulle tilsi. Dette utfordrer målet om likeverdig tilgang til helsetjenester.

### Tiltak mot et omfattende samfunnsproblem – behandling mot sjeldne diagnoser

Menon har estimert de samlede samfunnskostnadene knyttet til sjeldne diagnoser i 2022 til 167 milliarder kroner.<sup>1</sup> Den tyngste byrden av samfunnskostnadene bæres av pasientene selv gjennom redusert helsemessig livskvalitet og tidlig død, samt innskrenkede muligheter til å delta i arbeidslivet og annet samfunnsliv. En stor del av byrden bæres også av pårørende, i form av uformell pleie, og av kommunal omsorgstjeneste. I tillegg fører redusert arbeidsdeltakelse som følge av sjeldne diagnoser til en redusert verdiskaping i norsk næringsliv.

Fra et samfunnsperspektiv er det viktig å finne tiltak som kan begrense de negative konsekvensene som sjeldne sykdommer har for samfunnet. Nøkkelen til å dempe «*samfunnsproblemet sjeldne diagnoser*» ligger i behandling i spesialisthelsetjenesten.

Det gjøres stadig nye medisinske og teknologiske fremskritt innen både diagnostisering og behandling. Hvert tredje legemiddel som nå er under utvikling, er rettet mot sjeldne diagnoser.<sup>2</sup> Et av de mest spennende eksemplene på avanserte nye behandlingsformer er bruken av genterapi. Majoriteten av sjeldne diagnoser, 80 prosent, er genetisk betinget. Derfor er denne behandlingsformen svært interessant for sjeldne diagnoser.

Selv om det stadig utvikles nye og innovative behandlingsformer for sjeldne diagnoser, tar det ofte lang tid før disse behandlingene blir tatt i bruk. Dette kan ha alvorlige konsekvenser for pasientene, som kan gå glipp av livsviktig behandling. Det er derfor viktig at også beslutningssystemene er tilpasset den medisinske utviklingen knyttet til avanserte terapier. Evalueringen av Nye metoder viser at prioriterings-, beslutnings-, og finansieringssystemene ikke er tilstrekkelig tilpasset denne utviklingen.

I tillegg til å dempe samfunnskostnadene knyttet til sykdom er det flere viktige hensyn for ressursbruk i helsetjenesten. Det er Prioriteringsmeldingen som angir prioriteringskriteriene som skal sikre en fordeling som balanserer hensynet til kostnadseffektivitet og hensynet til en rettferdig og likeverdig tilgang til helsetjenester for innbyggerne.

Gjennomgangen i denne rapporten viser imidlertid at dagens prioriteringskriterier ikke er utformet for å prioritere sjeldne diagnoser i henhold til den alvorligheten som de representerer, verken for pasient eller for samfunnet.

### Sikres sjeldenhet og likeverdig tilgang til offentlige tjenester

Siden utviklings- og innovasjonskostnader ved behandling av sjeldne diagnoser fordeles på relativt få pasienter, er det en kjensgjerning at dette gjenspeiles i høye kostnader per pasient. Alt annet likt, er derfor

---

<sup>1</sup> <https://www.menon.no/wp-content/uploads/2022-28-Samfunnskostnader-knyttet-til-sjeldne-diagnoser.pdf>

<sup>2</sup> <https://www.lmi.no/2020/03/02/genterapi-gir-hap-til-pasienter-med-sjeldne-sykdommer-lmi-intervjues/>

kostnadseffektiviteten ved behandling av sjeldne sykdommer svakere enn for andre sykdommer. Dette begrenser tilgangen til helsetjenester for pasienter med sjeldne sykdommer.

På bakgrunn av den begrensede tilgangen til helsetjenester kan en derfor si at en sykdom er mer alvorlig dersom sykdommen er sjelden.

Rettferdig fordeling, likeverd og lik tilgang til tjenestene fremheves som en sentral del av det etablerte verdigrunnlaget i helsetjenesten. De tre prioriteringskriteriene skal sammen bidra til å sikre etterlevelse av dette verdigrunnlaget.

I denne rapporten vises det imidlertid at prioriteringskriteriene i helsetjenesten tvert imot bidrar til å forsterke faktorene som svekker tilgangen til helsetjenester for pasienter med en sjelden diagnose.

Det pekes blant annet på:

- **Undervurderte nyttevirksomheter:** Mangelen på helhetlige vurderinger av nyttevirksomheter fører til at kostnadseffektiviteten ved behandling av mange sjeldne diagnoser vurderes som lavere enn hva som er reelt.
- **Lavere vektning av «alvorlighet» i helsesektoren enn i andre sektorer:** Sammenligninger med verdsetting av helsegevinster i og utenfor helsesektoren viser at tiltak som forhindrer alvorlig helsetap har høyere prioritet i andre sektorer. Dette innebærer at behandlinger for diagnoser med relativt lav alvorlighet prioriteres på bekostning av diagnoser med relativt høy alvorlighet. For sjeldne diagnoser med høy alvorlighet svekker dette tilgjengeligheten ytterligere, fra et allerede svakt utgangspunkt.
- **Svært begrenset prioritet for alvorligheten som følger av sjeldenhet:** Siden prioriteringskriteriene ikke gir noen motvekt til faktorene som svekker tilgangen til helsetjenester for pasienter med sjeldne diagnoser, men heller til dels bidrar til forsterket utilgjengelighet, er det etablert en unntaksordning for «*særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand*». Det stilles imidlertid svært strenge kriterier som skal tilfredsstilles for at legemidler skal kvalifisere til å bli vurdert under denne ordningen, og mange sjeldne diagnoser vil falle utenfor.

## Betalingsvillighet for å være forsikret mot sjeldne hendelser

Det offentlig finansierte helsetjenestetilbudet er det norske samfunnets felles helseforsikring, hvor forsikringspremien betales over skatteseddelen. For at velferdsstaten skal fylle denne rollen er det viktig at tilbudet i den offentlige helsetjenesten i størst mulig grad reflekterer innbyggernes betalingsvillighet for å redusere sannsynligheten for negative helseutfall.

Dersom det offentlige helsetjenestetilbudet eventuelt ikke reflekterer innbyggernes betalingsvillighet for å forsikre seg mot helsetap, vil dette gi et vakuum og et markedsgrunnlag for at private helseforsikringer fyller denne rollen.

I Norge er det foreslått at verdien av et kvalitetsjustert leveår settes til 1,5 millioner kroner, konsistent på tvers av statlige sektorer. Innvendinger mot dette går ut på at denne verdien er avledet fra betalingsvillighetsstudier som måler betalingsvilligheten for en liten reduksjon i risiko for å dø. Argumentet er at dette ikke kan overføres til betalingsvillighet for å være forsikret mot helsetap fra livsforkortende sykdommer knyttet til livsstil eller naturlig aldring.

På en annen side bygger denne argumentasjonen opp om at studiene har høy relevans for betalingsvillighet for å være beskyttet mot vilkårlige alvorlige ulykker eller sykdommer. Det vil si betalingsvillighet for å investere i tiltak som reduserer sannsynligheten for å omkomme i en trafikkulykke, eller å investere i behandling som reduserer sannsynligheten for alvorlig helsetap ved en genetisk sjelden sykdom.

I samfunnsøkonomiske analyser reflekteres denne betalingsvilligheten for statlig finansierte tiltak for økt trafiksikkerhet. Men denne betalingsvilligheten reflekteres ikke i prioriteringskriteriene som ligger til grunn for statlige finansierte behandlingstiltak for sjeldne sykdommer i helsesektoren. Forskjellene mellom helsesektoren og andre sektorer forsterkes ytterligere ved at hensyn til rettferdig fordeling og lik tilgang til offentlig tjenestetilbud ofte overstyrer samfunnsøkonomisk lønnsomhet i andre sektorer.

Oppsummert vil det si at egenskapen «sjeldenhet» generelt er assosiert med et vanskelig utgangspunkt i prioriteringssammenheng. Samtidig finnes det både betalingsvillighet og systemer for å prioritere tilgangslighet til offentlige goder, også for grupper der sjeldenhet fører til lav kostnadseffektivitet. I denne rapporten legges det imidlertid frem argumenter som viser at systemene som skal sørge for at prioriteringen av «sjeldne» reflekterer faktisk betalingsvillighet, er svakere i helsesektoren enn i andre deler av offentlig sektor.

Det vil i så fall si at dagens prioriteringskriterier er et hinder for å dempe samfunnsproblemet «sjeldne diagnoser».

## Løsninger fra andre land

Å sikre god og likeverdig behandling av pasienter med sjeldne diagnoser er ikke en særnorsk utfordring. Det er derfor verdt å se til andre land for mulige løsninger.

Vi finner eksempler på systemer for å sikre tilgang og et mer effektivt behandlingstilbud av sjeldne diagnoser i land som Sverige, Storbritannia, Canada og USA. Tiltakene er rettet mot blant annet økt betalingsvillighet og økt aksept for risiko for sjeldne diagnoser.

## Innledning

Sjeldne diagnoser representerer samfunnsøkonomiske kostnader på nivå med kreft og de andre store folkesykdommene. Til forskjell fra mange andre sykdomsområder, har sjeldne diagnoser vært kjennetegnet av få tilgjengelige behandlingsmuligheter. Med mange nye behandlingsmetoder tilgjengelig og under utvikling er dette i ferd med å endre seg. Dette aktualiserer en gammel debatt om vurdering av sjeldne diagnoser i en prioriteringssammenheng.

I dette notatet vil vi beskrive og problematisere hvordan sjeldne diagnoser vurderes i dagens prioriteringsregime. Prioritering av ressurser til nye behandlingsmetoder er et komplekst område, uten en faglig fasit. Til syvende og sist vil prioriteringsavgjørelser være en politisk avgjørelse. Desto viktigere er betydningen av et sterkt tverrfaglig kunnskapsgrunnlag og transparens omkring de vurderingene som gjøres i utarbeidelse av en ny prioriteringsmelding.

### Samfunnskostnader knyttet til sjeldne diagnoser

Menon har nylig kartlagt de samlede samfunnskostnadene for sjeldne sykdommer i Norge. Kartleggingen viser at de samfunnsøkonomiske konsekvensene av sjeldne diagnoser er på nivå med kreft og andre store sykdomsområder.

### Mellom 190 000 og 320 000 nordmenn har en sjelden diagnose

Det finnes om lag 7 000 ulike sjeldne diagnoser. Det kan være stor variasjon i helsemessige konsekvenser, både mellom ulike diagnoser og mellom individer med samme diagnose. De helsemessige konsekvensene varierer fra ubetydelige til alvorlig sykdom og tidlig død.

Selv om forekomsten innen hver enkelt diagnose er relativt lav, maksimalt 1 per 2 000 innbygger, fører det store antallet diagnoser til at utbredelsen i sum er stor. Det er estimert at mellom 190 000 og 320 000 nordmenn lever med en sjelden diagnose. Flertallet av diagnosene er genetisk betinget og kan påvises i ung alder.

### Sjeldne diagnoser kostet samfunnet 167 milliarder kroner i 2022

Menon har estimert de samlede samfunnskostnadene knyttet til sjeldne diagnoser i 2022 til 167 milliarder kroner. Av dette utgjør sykdomsbyrden, det samfunnsøkonomiske tapet knyttet til redusert livskvalitet og tapte leveår, mer enn 100 milliarder kroner. Det vil si at mer enn 6 prosent av sykdomsbyrden i Norge er knyttet til sjeldne diagnoser.

De sjeldne diagnosene har også negative konsekvenser for norsk verdiskaping. Produksjonstapet i 2022 er beregnet til i underkant av 20 milliarder kroner årlig.

Helse- og omsorgstjenester knyttet til sjeldne diagnoser estimeres til i underkant av 50 milliarder kroner, hvorav arbeidsinnsatsen til pårørende står for om lag 9 milliarder kroner.

## Utfordringer knyttet til sjeldne diagnoser i prioriteringssammenheng

Til tross for store variasjoner mellom ulike sjeldne diagnoser finnes det også fellestrekk som gjør det viktig å se dem i sammenheng. At diagnosene er sjeldne skaper felles utfordringer knyttet til manglende kunnskap om diagnose og sykdomsforløp, og dermed også utvikling av et godt behandlingstilbud.

Den lave forekomsten per diagnose innebærer at utviklingskostnadene ved nye behandlingsmetoder fordeles på relativt få pasienter. Behandling av sjeldne diagnoser blir dermed ofte kostbare sammenlignet med mer utbredte diagnoser med sammenlignbare helsemessige konsekvenser.

I en prioriteringssammenheng fører dette til at nye behandlinger for sjeldne diagnoser nedprioriteres, til fordel for behandling av pasienter med vanligere diagnoser.



# 1. Sjeldenhet og betydning for tilgangslighet til offentlige tjenester

Sjeldenhet er isolert sett en begrensende faktor for tilgang på offentlige goder, inkludert helsetjenester. Samtidig er det et viktig samfunnsprinsipp at alle innbyggere skal ha like muligheter til samfunnets goder. Det er derfor en utbredt aksept for å prioritere et tjenestetilbud som sikrer tilgang også for de få. I dette kapittelet sammenlignes det hvordan en forholder seg til avveiningen mellom kostnadseffektivitet og tilgangslighet til offentlige tjenester på tvers av samfunnssektorer.

## 1.1. Prioritering av knappe offentlige ressurser

Samfunnets ressurser er begrenset, derfor er det nødvendig å prioritere. Både i helsesektoren og i andre deler av offentlig sektor er det etablert systemer for hvordan offentlige ressurser skal prioriteres.

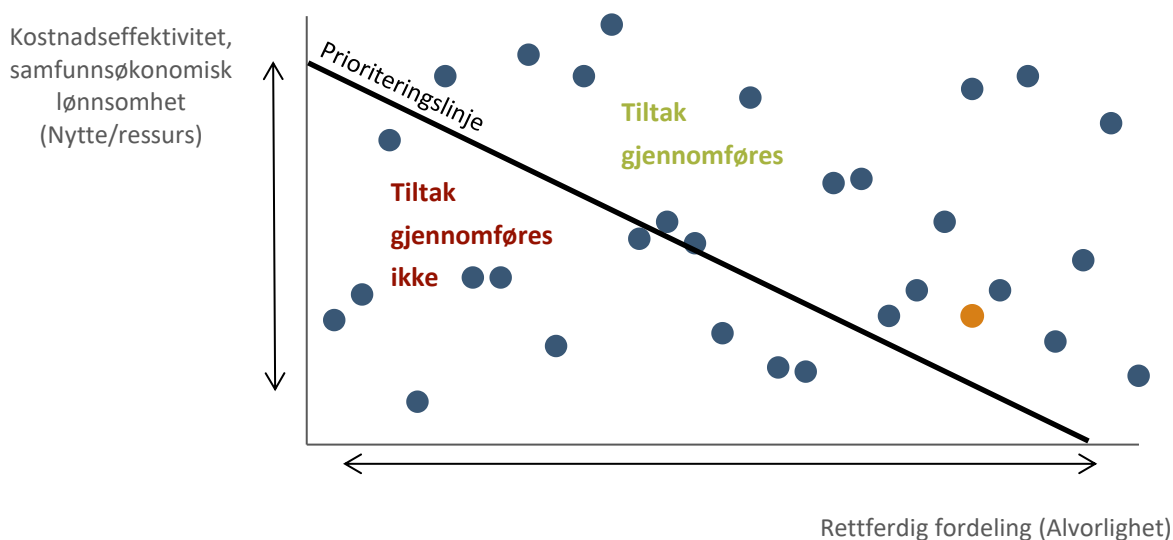
### 1.1.1. Rammeverk for konsistente og helhetlige prioriteringsvurderinger

God ressursforvaltning i offentlig sektor handler om å prioritere skattebetalernes penger slik at de gir mest mulig nytte til innbyggerne. For sikre at offentlige midler brukes effektivt, er det nødvendig med systemer som bidrar til konsistente og helhetlige prioriteringsvurderinger på tvers av ulike områder av offentlig sektor.

I tillegg til effektivt ressursbruk er det også flere andre hensyn som legges til grunn for en god forvaltning av offentlige ressurser. Dette handler særlig om rettferdig fordeling, og at innbyggerne sikres lik tilgang til offentlige tjenester.

Figuren nedenfor er en illustrasjon av rammeverket for prioritering. Hver «prikk» symboliserer et tiltak som offentlige beslutningstakere kan velge å bevilge ressurser, eller å ikke bevilge ressurser. Aksene representerer prioriteringskriteriene, kostnadseffektivitet (vertikal akse) og rettferdig fordeling (horisontal akse). Avveiningen mellom prioriteringskriteriene er representert ved «prioriteringslinjen».

Figur 1-1: Illustrasjon på rammeverk for allokering av offentlige ressurser i henhold til prioriteringskriteriene



Tiltakenes vurderte kostnadseffektivitet avgjør prikkens vertikale plassering i rammeverket, mens vurderinger knyttet til rettferdig fordeling avgjør den horisontale plasseringen. Tiltak som havner over prioriteringslinjen, vil gjennomføres. Tiltak som havner under prioriteringslinjen, vil ikke gjennomføres.

Operasjonalisering av kriteriene for prioritering av offentlige ressurser er av stor betydning for mange grupper i samfunnet, inkludert pasientgrupper med en sjelden diagnose. Vi lar den oransje prikken representere tiltak for behandling mot sjeldne sykdommer. I den videre gjennomgangen vil vi drøfte hvordan ulike forhold ved dagens system for prioritering kan påvirke sjeldne diagnosers plassering i rammeverket for prioritering.

### 1.1.2. System for prioritering innenfor helsesektoren og andre deler av offentlig sektor

Helsesektoren skiller seg fra andre deler av offentlig sektor ved at det er utarbeidet særegne prinsipper for prioritering. Prioriteringsmeldingen slår fast hvilke prinsipper som skal gjelde for prioritering i helsesektoren.<sup>3</sup> I henhold til Prioriteringsmeldingen skal ressurser i helsesektoren bygge på følgende tre prioriteringskriterier:

- **Nyttekriteriet:** Et tiltaks prioritet øker i tråd med den forventede nytten av tiltaket
- **Ressurskriteriet:** Et tiltaks prioritet øker desto mindre ressurser det legger beslag på
- **Alvorlighetskriteriet:** Et tiltaks prioritet øker i tråd med alvorligheten av tilstanden

For øvrig offentlig sektor stiller Utredningsinstruksen krav til gjennomføring av samfunnsøkonomiske analyser.<sup>4</sup> Dette skal gi et kunnskapsgrunnlag om nytte- og kostnadsvirkninger av reformer, reguleringer, investeringer, tjenesteproduksjon eller andre tiltak. Et sentralt formål er å gi et helhetlig og konsistent beslutningsgrunnlag, der den samfunnsmessige nytten ved offentlig ressursbruk kan sammenlignes på tvers av sektorer.

Prioriteringskriteriene i helsesektoren er på mange måter svært likt prioriteringsgrunnlaget for øvrig offentlig sektor, men med noen viktige forskjeller. Som vi snart kommer tilbake til, har disse forskjellene betydning for prioriteringen av pasienter med sjeldne diagnoser.

### 1.1.3. Prioritering av tiltak etter kostnadseffektivitet

*Nyttekriteriet* i Prioriteringsmeldingen tilsvarer det som i samfunnsøkonomiske analyser regnes på som (positive og negative) virkninger av et tiltak, mens *ressurskriteriet* tilsvarer den direkte investeringskostnaden av et tiltak.<sup>5</sup> Sammen beskriver nytte- og ressurskriteriet kostnadseffektiviteten ved innføring av en ny metode i helsesektoren, som kan sammenlignes med vurdering av samfunnsøkonomisk lønnsomhet.

I Figur 1-2 illustreres det hvordan prioritering av tiltak vil endres dersom en kun vektlegger kostnadseffektivitet (nytte- og ressurskriteriet). Ettersom behandling av pasienter med sjeldne sykdommer ofte er forbundet med lav kostnadseffektivitet, vil et system som kun prioriterer etter kostnadseffektivitet systematisk redusere denne gruppens tilgjengelighet til offentlige helsetjenester.

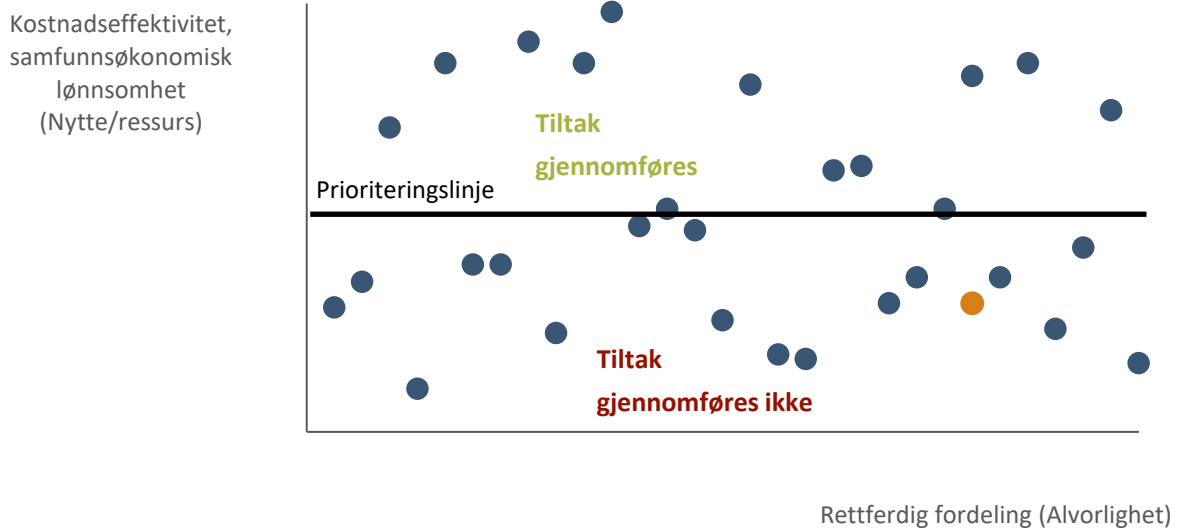
---

<sup>3</sup> [Prioriteringsmeldingen, Meld. St. 34 \(2015-2016\)](#)

<sup>4</sup> [Utredningsinstruksen](#)

<sup>5</sup> [Prinsipper og krav ved utarbeidelse av samfunnsøkonomiske analyser | Finansdepartementet](#)

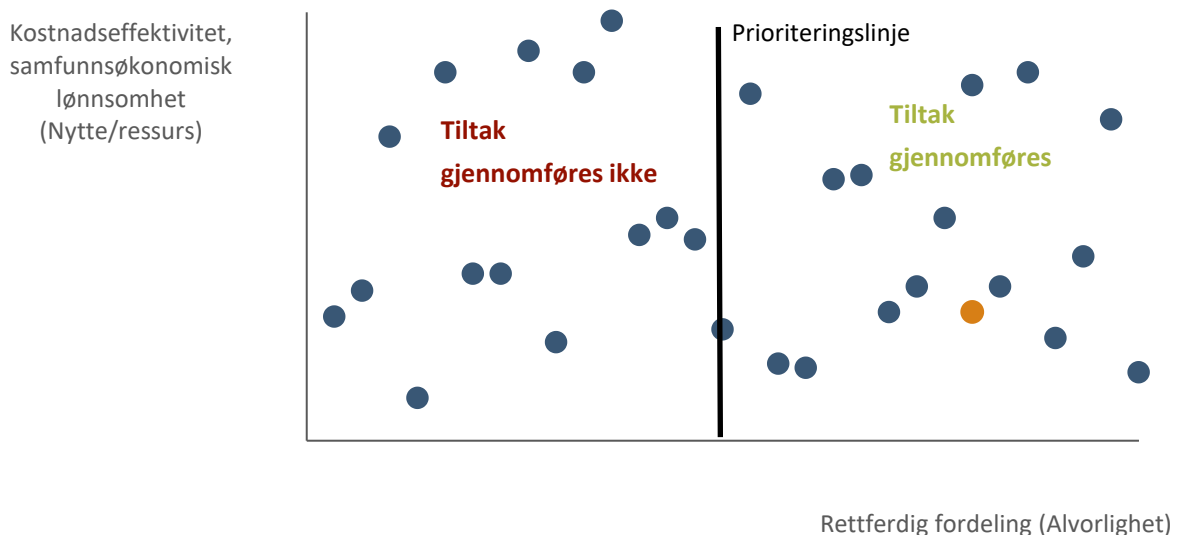
Figur 1-2: Illustrasjon på rammeverk for allokering av offentlige ressurser kun etter kostnadseffektivitet



#### 1.1.4. Prioritering av tiltak etter rettferdig fordeling og likeverdig tilgang

Slik metodeinstruksene er utformet sier verken nytte- og ressurskriteriet, eller samfunnsøkonomisk lønnsomhet, noe om ressursfordeling. Det vil si at et rendyrket fokus på kostnadseffektivitet vil kunne føre til en skjev fordeling av samfunnets ressurser, som bryter med etablerte samfunnsverdier og en rettferdighetsforståelse om at alle skal ha like muligheter til offentlige goder.<sup>6</sup> Ifølge Rawls er «rettferdighet like grunnleggende for politiske institusjoner som sannhet er det for vitenskapelige institusjoner».

Figur 1-3: Illustrasjon på rammeverk for allokering av offentlige ressurser kun etter fordelingshensyn



<sup>6</sup> Den amerikanske filosofen John Rawls med A Theory of Justice (1971) er en pioner innen denne retningen.

I Figur 1-3 illustreres det hvordan prioritering av tiltak vil endres dersom en kun vektlegger fordelingshensyn i allokering av offentlige ressurser.

I Prioriteringsmeldingen er det alvorlighetskriteriet som representerer motvekten til rendyrket kostnadseffektivitet. I samfunnsøkonomiske analyser skal relevante fordelingsvirkninger som følge av tiltak identifiseres og beskrives.

Ettersom behandlinger knyttet til sjeldne diagnoser som regel ikke vil kunne konkurrere mot behandling av større pasientpopulasjoner når det kommer til kostnadseffektivitet, er operasjonaliseringen av alvorlighetskriteriet av avgjørende betydning for at de små pasientgruppene sikres en likeverdig tilgang til offentlige helsetjenester. På samme måte vil andre grupper med tynt populasjonsgrunnlag være avhengig av at hensynet til fordelingsvirkninger trumfer samfunnsøkonomisk lønnsomhet for å få tilgang til offentlige tjenester.

### **1.1.5. Er det konsistens i hvordan hensynet til fordeling og likeverdig tilgang operasjonaliseres i og utenfor helsesektoren**

I helsesektoren er det altså *alvorlighetskriteriet* som skal balansere hensynet til kostnadseffektivitet og hensynet til rettferdig og lik tilgang til helsetjenester for innbyggerne. Ved prioritering av ressurser i øvrig offentlig sektor, danner vurderinger av samfunnsøkonomisk lønnsomhet sammen med beskrivelse av fordelingsvirkninger et kunnskapsgrunnlag for beslutningstakere som har ansvar for å prioritere ressurser effektivt og rettferdig.

En viktig forskjell mellom alvorlighetskriteriet og beskrivelsen av fordelingsvirkninger i samfunnsøkonomiske analyser er at mens sistnevnte representerer en deskriptiv beskrivelse til beslutningstakere, er alvorlighetskriteriet normativt styrende for dem som skal begrunne og fatte beslutninger.<sup>7</sup>

Den normative tilnærmingen til alvorlighetskriteriet i prioriteringsbeslutninger innenfor helsesektoren innebærer at problemstillinger knyttet til rettferdighet er avklart gjennom Prioriteringsmeldingen. Til sammenligning må beslutningstakere som forholder seg til samfunnsøkonomiske analyser og deskriptive beskrivelser av fordelingsvirkninger ta løpende vurderinger knyttet til rettferdighetsaspektet.

Det er både styrker og svakheter ved de ulike tilnærmingene. En styrke ved den normative tilnærmingen er at det toner ned betydningen av ulike subjektive standpunkt mellom ulike beslutningstakere, og slik bidrar til konsistente beslutninger over tid. På en annen side kan alvorlighetskriteriet bli rigid i møte med nye problemstillinger og en verden i utvikling. En risiko er at prioriteringskriteriene over tid kommer i utakt med nye teknologiske innovasjoner eller endrede synspunkter i befolkningen.<sup>8</sup> Dette til forskjell fra beslutningstakere som forholder seg til et deskriptivt kunnskapsgrunnlag, der det er større rom for vektlegging av unike aspekter og dynamisk tilpasning til nye problemstillinger.

### **1.1.6. Ulike systemer for prioritering og konsekvenser for «sjeldenhet»**

Sjeldenhet og tilgangslighet til helsetjenester har vært godt diskutert i forbindelse med tidligere prioriteringsmeldinger.<sup>9</sup> For å sikre mest mulig konsistens på tvers av offentlig finansierte tjenester, vil det i

---

<sup>7</sup> *På ramme alvor: Alvorlighet og prioritering*

<sup>8</sup> *Norge trenger en bred prioriteringsdiskusjon | Dagens Medisin*

<sup>9</sup> *Meld. St. 34 (2015-2016): Verdier i pasientens helsetjeneste - Andre kriterier*

forbindelse med en ny og oppdatert prioriteringsmelding kunne være relevant å se til hvordan sjeldenhet og tilgangslighet vurderes i andre samfunnssektorer som ikke er styrt av de samme normative retningslinjene.

## 1.2. Kostnadseffektivitet og konsekvenser for «sjeldenhet»

Det er godt kjent at høye utviklingskostnader og en lav pasientpopulasjon ofte skaper en utfordring knyttet til kostnadseffektiviteten ved behandlingsmetoder for sjeldne diagnoser. I tillegg til et svakt utgangspunkt, svekkes kostnadseffektiviteten ytterligere ved at en rekke nyttevirkninger ikke tillegges vekt ved prioritering. Dette skaper en inkonsistens mot hvordan forvaltningen av offentlige ressurser håndteres på andre samfunnsområder.

### 1.2.1. Nyttekriteriet nedprioriterer gode tiltak for samfunnet

En velfungerende økonomi kjennetegnes av at ressursene brukes der samfunnets vilje til å betale er høyest. Utgangspunktet for dette er at verdien av ulike samfunns-goder likebehandles. I praksis handler dette blant annet om å unngå silodannelser mellom samfunnssektorer. Eksempelvis kan tiltak innen justissektoren føre til samfunnsgevinster som redusert kriminalitet, men også til bedre folkehelse og økt verdiskaping i samfunnet.<sup>10</sup> Tilsvarende fører innsats i ulike sektorer til en samfunnsverdi som er bredere enn sektorens primære fokusområde. Ikke minst bør verdien av investering i befolkningens helse sees i et større samfunnsperspektiv.<sup>11</sup>

En utbredt kritikk mot nyttekriteriet er at det, for alle praktiske formål, er begrenset til kun å inkludere verdien av helsegevinster.<sup>12</sup> Den snevre tolkningen av nyttekriteriet vil si at behandling som innebærer en større bredde av verdi til samfunnet, prioriteres ned. Samtidig vil behandling av pasientgrupper som kun gir helsegevinster, prioriteres opp.<sup>13</sup>

I flere rapporter er det beskrevet hvordan mange sjeldne diagnoser legger beslag på store ressurser fra det offentlige og fra pårørende. Ressursbruken er knyttet til blant annet brukerstyrt personlig assistanse (BPA), omsorgsbolig og omsorgstjenester fra helsepersonell og pårørende.<sup>14</sup> Sykdom fører også til at mange personer tvinges ut av arbeidslivet, som medfører redusert verdiskaping i samfunnet.<sup>15</sup> I vurdering av nye behandlingsmetoder som kan gi redusert pleiebehov, eller sikre personer muligheten til å delta i arbeidslivet eller andre aktiviteter, er det altså kun betydningen for helsemessig gevinst som tillegges vekt i prioritering.

Når ikke samfunnmessige nyttevirkninger som redusert belastning på pårørende, kommunale helse- og omsorgstjenester eller mulighet til å delta i arbeidslivet inkluderes, fører dette til en systematisk nedprioritering av behandling av sykdom generelt, og spesielt for diagnoser som har brede og omfattende samfunnsøkonomiske konsekvenser.

---

<sup>10</sup> *Samfunnskostnader av vold i nære relasjoner | Menon Economics*

<sup>11</sup> *Helsenæringens verdi | Menon Economics*

<sup>12</sup> *Ulik praksis og prioritering av liv og helse i helserelaterte investeringer | Menon Economics*

<sup>13</sup> *Skal ikke samfunnsnytt teller? | Dagens Medisin*

<sup>14</sup> *Samfunnskostnader forbundet med Duchennes muskeldystrofi i Norge | Oslo Economics*

<sup>15</sup> Kinge mfl. (2017): *Economic losses and burden of disease by medical conditions in Norway*

## Nyttekriteriet og betydning for sjeldne diagnoser

I helsesektoren måles nytten av et nytt tiltak ved hvor mange gode leveår som tiltaket gir for pasienter i den aktuelle pasientgruppen sammenliknet med relevant behandlingspraksis. Nyttevirkninger er med andre ord avgrenset til helsegevinster. Dette skiller seg fra hvordan nyttegevinster skal måles ved andre offentlig finansierte tiltak, hvor alle relevante nyttevirkninger skal identifiseres og beskrives.

Konsekvensene av den snevre tolkningen av nyttekriteriet vil si at behandlingstiltak som innebærer brede samfunnsmessige nyttevirkninger, prioriteres ned. Samtidig vil behandling av pasientgrupper som kun gir helsegevinster, prioriteres opp. I flere rapporter er det dokumentert hvordan mange sjeldne diagnoser både fører til et stort helsemessig tap for de som rammes, men også økonomiske konsekvenser, belastning for pårørende og ressursbruk i kommunal helse- og omsorg.



### Inkluderes:

Helsegevinst for pasient



### Inkluderes ikke:

Produksjonsvirkninger, det vil si behandlingens betydning for pasientens mulighet til å delta i arbeidslivet. Med andre ord konsekvenser for norsk verdiskaping.



### Inkluderes ikke:

Unngåtte kostnader i andre deler av helsetjenesten. Mange sjeldne diagnoser binder opp ressurser i kommunal omsorgstjeneste, som potensielt kan unngås med behandling.



### Inkluderes ikke:

Unngått belastning for pårørende. Det ligger en stor byrde på pårørende knyttet til uformell pleie, som potensielt kan unngås med behandling.

**Den snevre tolkningen av nyttekriteriet fører til en omprioritering ved innføring av nye behandlinger, sammenliknet med hva som er samfunnsøkonomisk lønnsomt:**

### Prioriteres ned:

Behandlinger som har relativt høy gevinst knyttet til verdiskaping, ressursbruk i kommuner, for pårørende og andre nyttevirkninger utenom helsegevinst.

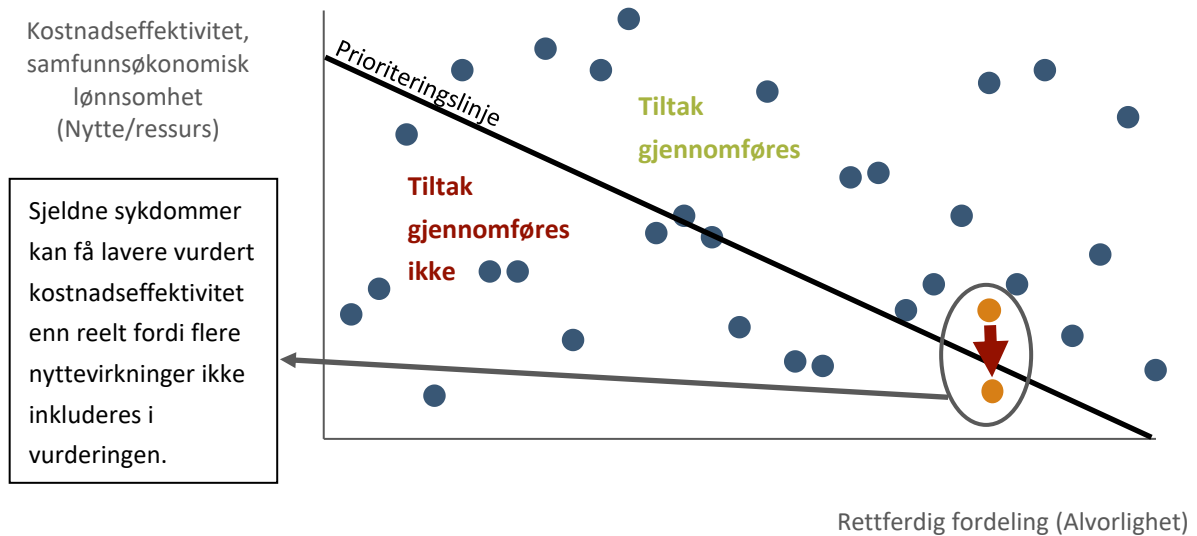


### Prioriteres opp:

Behandlinger som har relativt lav gevinst knyttet til verdiskaping, ressursbruk i kommuner, for pårørende og andre nyttevirkninger utenom helsegevinst.

I Figur 4 illustreres mulige konsekvenser av operasjonaliseringen av nyttekriteriet i helsesektoren for vurdering av behandlinger mot sjeldne diagnoser. I det illustrerte eksempelet vises en behandling som i utgangspunktet vil ha prioritet for offentlig finansiering. Men grunnet særegne prioriteringskriterier om ikke å inkludere en rekke nyttevirkninger, reduseres den vurderte kostnadseffektiviteten ved tiltaket. Konsekvensen i dette illustrerte tilfellet blir at et tiltak som ville blitt godkjent i andre deler av offentlig sektor, ikke godkjennes i helsesektoren. Dette viser at operasjonaliseringen av nyttekriteriet kan bidra til å svekke tilgangen til helsetjenester for personer med sjeldne diagnoser.

Figur 1-4: Illustrasjon på mulige konsekvenser av begrensninger innen nyttekriteriet for behandling mot sjeldne sykdommer



Det er viktig å presisere at en snever tolkning av nyttekriteriet ikke kun fører til en nedprioritering av sjeldne diagnoser. Dette fører eksempelvis også til en systematisk undervurdering av verdien ved å investere i brede diagnoseområder som psykisk helse og muskel- og skjelettområdet.<sup>16</sup>

Begrensningene knyttet til nyttekriteriet vil også føre til en vertikal bevegelse for de andre tiltakene, selv om ikke dette går eksplisitt fram i Figur 1-4. Enkelte vil få en vurdert kostnadseffektivitet som er høyere enn reelt, sett fra et samfunnsøkonomisk perspektiv, mens andre får lavere vurdert kostnadseffektivitet.

Det kan argumenteres for at det er problematisk at mangelen på helhetlige nyttevurderinger i helsesektoren fører til en omrokking i tiltakenes rangering etter kostnadseffektivitet sammenlignet med hvordan de samme tiltakene ville blitt vurdert i andre deler av offentlig sektor.

<sup>16</sup> *Det er de ikke-dødelige sykdommene, som psykiske lidelser og muskel- og skjelettplager, som koster samfunnet mest | Aftenposten*

### 1.2.2. Ressurskriteriet begrenser insentiver for utvikling av behandling med lavt markedspotensial

Legemiddelindustrien kan ha begrensede insentiver til å utvikle legemidler mot sjeldne diagnoser fordi markedspotensialet er lite. Dersom et legemiddel blir utviklet, kan prisen bli høy fordi det er få pasienter å dele utviklingskostnadene på. I henhold til ressurskriteriet betyr dette at større diagnosegrupper, med relativt sett mindre ressurskrevende behandling, skal prioriteres over mer ressurskrevende behandling av sjeldne diagnoser.

#### Ressurskriteriet og betydning for sjeldne diagnoser

Prioriteringsmeldingen slår fast at et tiltaks prioritet øker desto mindre ressurser det legger beslag på. Dette er kjent som *ressurskriteriet*. Begrunnelsen for kriteriet er at ressurser som anvendes for å behandle noen, kunne alternativt blitt benyttet for å behandle andre. To viktige punkter medfører en relativt høy kostnad per vunnet leveår for pasienter med sjeldne diagnoser:



**Høye utviklingskostnader:** Behandlinger for sjeldne diagnoser er ofte knyttet til avanserte genterapier som er kostbare å utvikle.



**Små pasientgrupper:** Få pasienter å fordele utviklingskostnadene på, gir en høy kostnad per behandling

**Relativt høy ressursbruk medfører at pasientgrupper med en sjelden diagnose ofte vil nedprioriteres sammenlignet med større diagnosegrupper, med en sammenlignbar helsegevinst, vil nedprioriteres i henhold til ressurskriteriet:**

#### Prioriteres ned:

Behandlinger som har relativt høy ressursbruk per vunnet gode leveår.



#### Prioriteres opp:

Behandlinger som har relativt lav ressursbruk per vunnet gode leveår.

### 1.2.3. Kostnadseffektivitet og betydning for sjeldne diagnoser

Oppsummert viser dette at tilgangen til helsetjenester for pasienter med sjeldne diagnoser ofte begrenses av forhold som ligger både over og under brøkstreken i vurdering av kostnadseffektivitet:

- **Undervurderte nyttevirkninger:** Mangelen på helhetlige vurderinger av nyttevirkninger fører til at kostnadseffektiviteten ved behandling av mange sjeldne diagnoser vurderes som lavere enn hva som er reelt.
- **Høye kostnader:** En liten pasientpopulasjon fører ofte til høye kostnader i utviklings- og behandlingsleddet for helsetjenester til pasienter med en sjelden diagnose.
- **Lav vurdert kostnadseffektivitet:** Høye kostnader, og til dels undervurderte nyttevirkninger, gir relativt svak kostnadseffektivitet i behandling av pasienter med sjeldne diagnoser.
- **Begrenset tilgang til helsetjenester:** Lav vurdert kostnadseffektivitet kan føre til redusert tilgang til helsetjenester for pasienter som har en sjelden diagnose.



### 1.3. Alvorlighetskriteriet og rettferdighet

Likhetsprinsippet – rett til lik tilgang til helsetjenester – står sentralt i norsk helsevesen. Dette kan stå i konflikt med prioriteringer om maksimering av helsegevinst, representert ved nytte- og ressurskriteriet. I Prioriteringsmeldingen er det alvorlighetskriteriet som representerer motvekten til rendyrket kostnadseffektivitet. Det har imidlertid vært knyttet usikkerhet til hvordan alvorlighet i praksis skal påvirke prioriteringer.<sup>17</sup>

#### 1.3.1. Formål med kriteriet og definisjon av alvorlighet

Det er vist at et rendyrket fokus på kostnadseffektivitet vil kunne føre til en ujevn fordeling av offentlige ressurser, og ulik tilgang på det offentlige tjenestetilbudet. For mange sjeldne diagnoser forsterkes et svakt utgangspunkt knyttet til kostnadseffektivitet ved flere nyttevirkninger ikke hensyntas. Prioriteringsmeldingen slår fast at befolkningen skal ha likeverdig tilgang til helsetjenester:

*«Like tilfeller skal behandles likt. En rettferdig fordeling innebærer i tillegg at samfunnet er villig til å prioritere høyere de som har størst behov for helsetjenester.»<sup>18</sup>*

Et formål med alvorlighetskriteriet er derfor å være en utjevning av helseforskjeller, hvor pasientgrupper som opplever et stort helsetap prioriteres høyere enn pasientgrupper med et lavere helsetap.<sup>19</sup>

Alvorlighet defineres ved antall tapte gode leveår knyttet til en diagnose, gitt gjennomsnittlig alder ved behandlingsstart og dagens behandlingstilbud.

Magnussen-gruppen foreslo grenser for betalingsvilje for helseforbedringer ved ulike grader av alvorlighet. Gruppen mente imidlertid at det må gjøres skjønnsmessige vurderinger ved bruk av grensene. Som eksempler på forhold som bør inngå i slike vurderinger trakk gruppen fram verdighet, usikkerhet knyttet til tiltakenes kostnader og/eller effekt og tiltakenes samlede budsjettvirkninger.

En kritikk av alvorlighetskriteriet er at det er uklart hva som er den konkrete betydningen av kriteriet i prioriteringssammenheng. Flere har pekt på at uklarhet knyttet til hvordan alvorlighetskriteriet skal håndteres, er konsekvensen i mange tilfeller at alvorlighet ikke vurderes like systematisk som andre prioriteringskriterier.<sup>20</sup>

#### 1.3.2. Teoretisk operasjonalisering av alvorlighetskriteriet

Magnussen-gruppen har foreslått at alvorlighet kan operasjonaliseres gjennom økte terskelverdier for betalingsvillighet for høyere «*absolutt prognosetap*».

Absolutt prognosetap beskriver det forventede tapet av kvalitetsjusterte leveår ved en gitt diagnose.<sup>21</sup> Beregningen tar utgangspunkt i gjennomsnittlig alder ved sykdomsstart og dagens behandlingsteknologi. Høyere alvorlighet er dermed definert ved høyere absolutt prognosetap. Prioritering av alvorlighet innebærer en høyere betalingsvilje per vunnet leveår ved høyere absolutt prognosetap.

---

<sup>17</sup> *Prioriteringer i helsetjenesten | Tidsskriftet*

<sup>18</sup> *Prioriteringsmeldingen, Meld. St. 34 (2015-2016)*

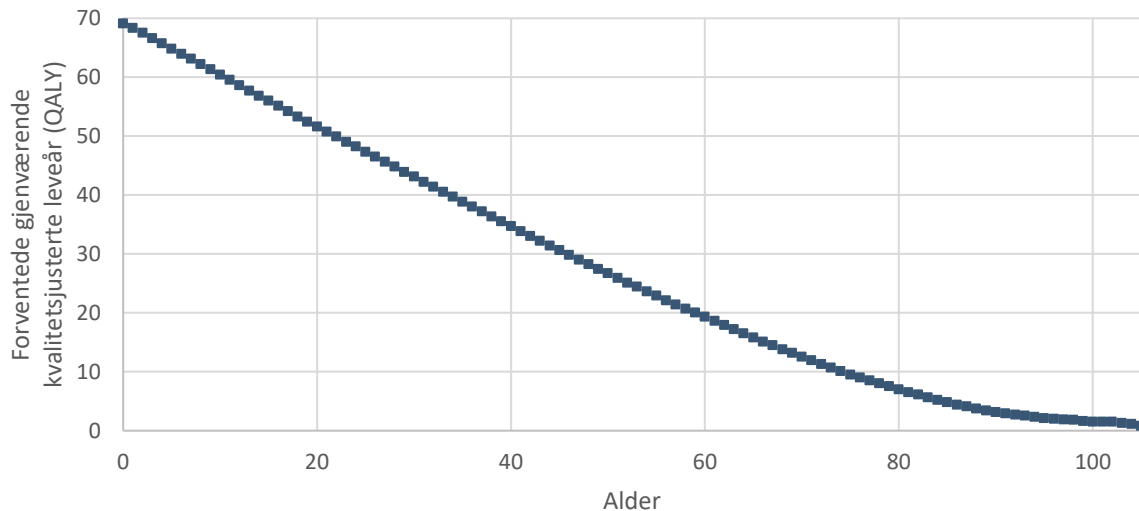
<sup>19</sup> *Prioriteringer i helsetjenesten | Tidsskriftet*

<sup>20</sup> *Prioriteringer i helsetjenesten | Tidsskriftet*

<sup>21</sup> *Alvorlighet operasjonalisert som absolutt prognosetap | Oeconoa*

Figuren nedenfor illustrerer forholdet mellom alder og forventede gjenværende gode leveår. Den viser eksempelvis at det ved en alder på 10 år er en forventning om ca. 60 gjenværende gode leveår, mens ved en alder på 60 år er det en forventning om ca. 20 gjenværende gode leveår.

Figur 1-5: Forventede gjenværende kvalitetsjusterte leveår (QALY) i den generelle befolkningen<sup>22</sup>



Figuren nedenfor viser terskelverdiene som Magnussen-gruppen har foreslått for betalingsvillighet for ulike alvorlighetsgrader. Det nedre nivået på 275 000 kroner, definert ved en antakelse om «helsetjenestens alternativkostnad».<sup>23</sup> Antakelsen impliserer at det i gjennomsnitt koster helsetjenesten 275 000 kroner å gi behandling som øker levetiden med ett godt leveår.

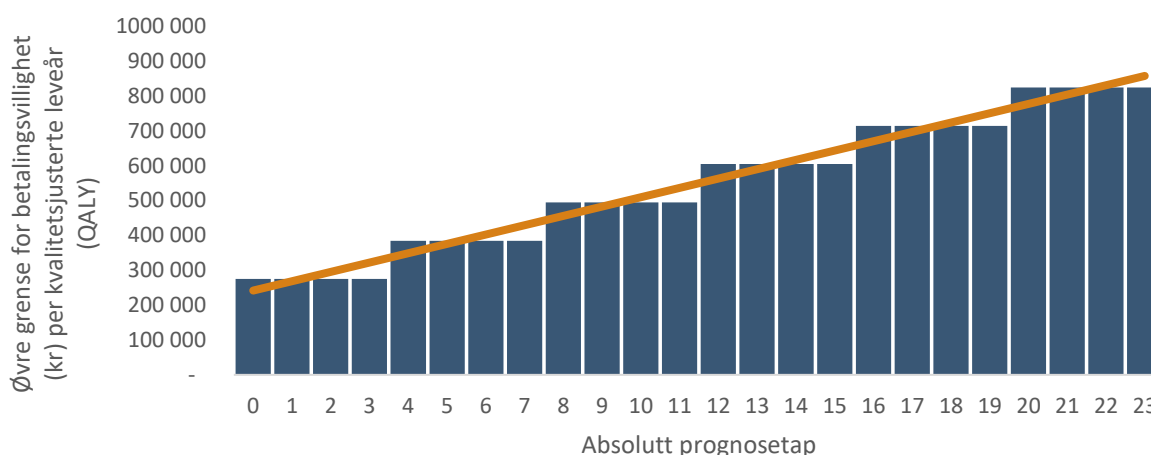
Figuren viser at ved høyere alvorlighet (høyere absolutt prognosetap), øker betalingsvilligheten per gode leveår. Gitt antakelsen om at det koster 275 000 kroner «å produsere» et godt leveår, innebærer dette at alvorlige diagnoser prioriteres på bekostning av behandling av mindre alvorlige diagnoser som kunne gitt en større samlet helsegevinst.

Eksempelvis skal betalingsvilligheten for en behandling som kan gi ett ekstra leveår for en pasientgruppe med absolutt prognosetap på 20 år eller mer, være 825 000 kroner. For dette beløpet kunne man alternativt gitt behandling som ville gitt tre ekstra leveår i pasientgrupper med lavere alvorlighet.

<sup>22</sup> [Retningslinjer for dokumentasjonsgrunnlag for hurtig metodevurdering av legemidler | Legemiddelverket](#)

<sup>23</sup> Antakelsen er basert på en britisk studie, Claxton et al. (2015). Samfunnsøkonomer vil kunne kritisere tilnærmingen til å forvalte skattebetalernes penger i hht «én sektors alternativkostnad», i stedet for «samfunnets alternativkostnad», se [Ulik praksis og prioritering av liv og helse i helserelaterte investeringer | Menon Economics](#)

Figur 1-6: Betalingsvillighetsgrenser foreslått av Magnussen-gruppen i 2015



I utgangspunktet er verdien per leveår i helsesektoren vesentlig lavere enn hva som legges til grunn for tiltak i offentlig sektor utenom helsesektoren. Helsedirektoratet anbefaler verdien av ett leveår, QALY ekskl. produksjonstap, til 1,32 millioner kroner i 2021 for offentlige tiltak med helsegevinst utenom helsesektoren.<sup>24</sup> Verdien er utledet fra verdien av et statistisk liv (VSL), som er anslått til 28,9 millioner kroner, ekskl. produksjonstap, i 2021.

I figuren over viser den oransje linjen at terskelverdiene ser ut til å følge en lineær trendutvikling. Utviklingen i betalingsvillighet for økt alvorlighet er tidligere trukket fram av Helsedirektoratet, i en sammenlikning av verdsetting mellom liv og helse i helsesektoren og på andre samfunnsområder.<sup>25</sup>

Helsedirektoratet har tidligere gjort lignende lineær ekstrapolering for betalingsvillighet for høyere alvorlighet enn hva som er skissert av Magnussen-gruppen. Beregningene viser at en lineær ekstrapolering frem til en alvorlighetsgrad på tap av 37 gode leveår gir en tilnærmet lik verdsetting av leveår i og utenfor helsesektoren. Med utgangspunkt i dette argumenteres det for at det vil være en forholdsvis liten forskjell mellom verdien for et leveår anvendt i helsesektoren og verdien anvendt i andre samfunnssektorer. Dette innebærer en antakelse om at alvorlighetskriteriet ikke er unikt for helsesektoren, men at det speiler hvordan alvorlig helsetap prioriteres i samfunnet for øvrig.<sup>26</sup>

Helsedirektoratet legger til at «(...) det er imidlertid ikke grunn til å legge skjul på at det kan være gode grunner for å anbefale at det arbeides videre med å gjøre beslutningsgrunnlag og analysemetoder mer ensartet i alle samfunnssektorer i Norge. Analyser i et samfunnsperspektiv, der alle virkninger på liv og helse inngår med demokratisk fastsatte og offentlig tilgjengelige verdier, kan bidra til et opplyst beslutningsgrunnlag selv om (de primære) målene med ulike tiltak kan være forskjellige i de ulike samfunnssektorene.»

<sup>24</sup> *Vurderinger av virkninger på folkehelsen og helseeffekter i samfunnsøkonomiske analyser | Helsedirektoratet*

<sup>25</sup> *Helseeffekter i samfunnsøkonomiske analyser | Helsedirektoratet*

<sup>26</sup> Det ligger også et premiss om at tiltak i øvrig offentlig sektor er rettet mot helseeffekter med høy alvorlighetsgrad. Dette kan stemme for eksempelvis trafikkulykker, men er mer tvilsomt i brede folkehelseiltak.

## 1.4. Alvorlighet vektet lavere i helsesektoren enn ved offentlige tiltak i andre sektorer

I Prioriteringsmeldingen gjøres det et unntak for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand.<sup>27</sup> For behandlinger som kvalifiserer til ordningen kan det aksepteres en høyere ressursbruk enn for andre tiltak. Det er definert tre veiledende kriterier som skal tilfredsstilles for at legemidler skal kunne vurderes i denne ordningen:

- **Særskilt liten pasientgruppe:**
  - o *Mindre enn ca. 1 pasient per 100 000 innbyggere på verdensbasis per legemiddel (prevalens på verdensbasis).*
  - o *Mindre enn ca. 50 pasienter i Norge per legemiddel (steady state prevalence i Norge).*
- **Svært alvorlig tilstand:** *Alvorlighetsgrad målt ved absolutt prognosetap tilsvarer minimum ca. 30 tapte gode leveår.*
- **Stor forventet nytte av legemiddel:** *Forventet nytte av den aktuelle behandlingen er betydelig og minimum ca. 2 vunnet gode leveår sammenlignet med standard behandling.*

Figur 1-6 viser at terskelverdiene for betalingsvillighet ikke øker videre etter et absolutt prognosetap på 20 år. Mange sjeldne diagnoser har et absolutt prognosetap som er langt høyere enn dette. Menons kartlegging viser at mange sjeldne diagnoser er genetisk betinget, inntreffer i barndommen og gir en betydelig redusert helsemessig livskvalitet og tidlig død.<sup>28</sup> Som vist i Figur 1-5, vil dette kunne gi et absolutt prognosetap som er vesentlig høyere enn 20 år, eksempelvis 50 til 60 år. Samtidig kan det falle utenom ordningen for særskilt små pasientgrupper ved at det ikke oppfyller de andre kriteriene.

Som beskrevet overfor har Helsedirektoratet vist at en lineær fremskrivning av alvorlighetskriteriet gir en betalingsvillighet for gode leveår som er sammenliknbar på tvers av samfunnssektorer. Når terskelverdiene fra Magnussen-grupper ikke øker videre etter et absolutt prognosetap på 20 år, impliserer det at alvorlighetskriteriet ikke gis tilstrekkelig vekt sammenlignet med hvordan prioritering av alvorlighet er operasjonalisert i samfunnet ellers.

I Helsedirektoratet sitt eksempel benyttes en lineær fremskrivning. Det finnes argumenter for at fremskrivningen ikke nødvendigvis bør være lineær, men like gjerne kunne vært gjort med en avtagende eller eksponensiell fremskrivning. Dette er illustrert i Figur 1-7.

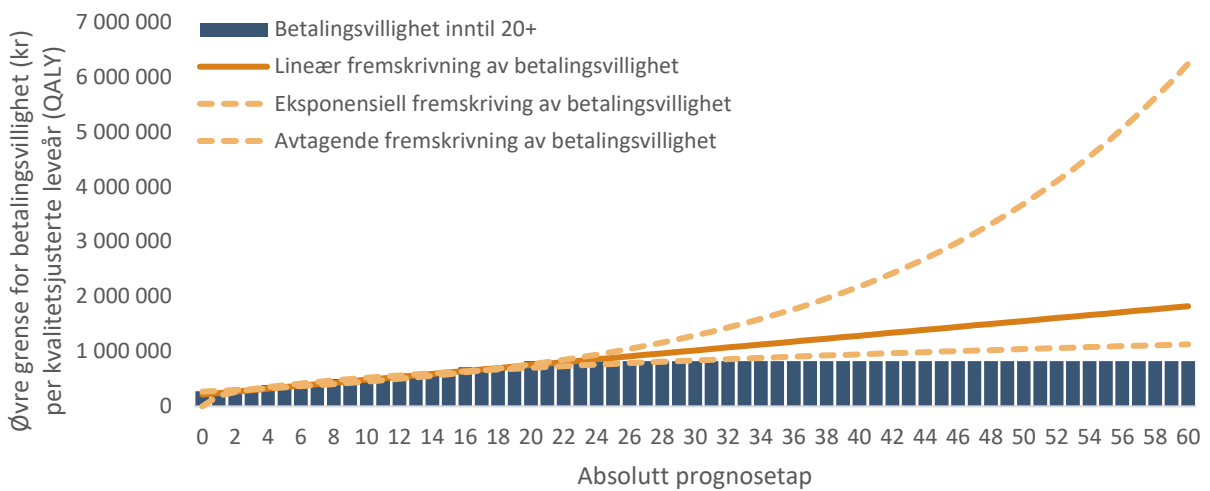
Illustrasjonen viser at betalingsvilligheten som følger av alvorlighetskriteriet i helsesektoren undervurderes mot hvordan Helsedirektoratet fremstiller operasjonaliseringen av alvorlighet i andre deler av offentlig sektor. Den økende avstanden mellom de blå søylene og de fremskrevne linjene illustrerer den økende forskjellen mellom vektlegging av alvorlighet i helsesektoren og ved vurdering av tiltak i andre deler av offentlig sektor.

---

<sup>27</sup> *Ordning om særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand | Legemiddelverket*

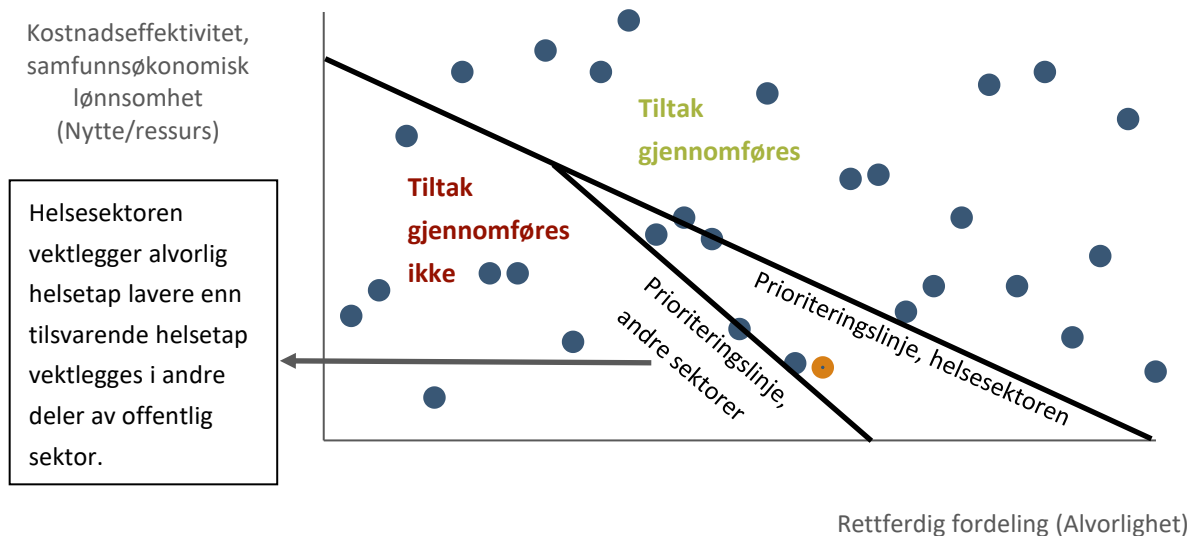
<sup>28</sup> *Samfunnskostnader knyttet til sjeldne diagnoser | Menon Economics*

Figur 1-7: Illustrasjon av mulig betalingsvillighet for leveår knyttet til diagnoser med høy alvorlighet



Det viser at det er mangler ved alvorlighetskriteriet knyttet til vektlegging av diagnoser med høy alvorlighet i prioriteringssammenheng. Sammenligningen med utregninger fra Helsedirektoratet tyder på at betalingsvilligheten som legges til grunn i helsesektoren er systematisk, og tiltagende, lavere i helsesektoren enn i andre sektorer for tiltak mot alvorlig helsetap. Dette er illustrert i Figur 1-8.

Figur 1-8: Illustrasjon av ulik vektlegging av alvorlighet i prioritering av offentlig finansierte tiltak



Figur 1-8 illustrerer at helsesektoren kan ha et mer konservativt forhold til alvorlighet, enn hva som er vanlig praksis i andre deler av samfunnet. Som vist i figuren kan konsekvensen av dette innebære at behandling i sjeldne sykdommer (orange prikk) ikke får finansiering med helsesektorens vurdering av alvorlighetskriteriet, selv om behandlingen ville kunne fått finansiering dersom den ble vurdert i andre deler av offentlig sektor.

## 1.5. Oppsummering: Vektlegges tilgangslighet til helsetjenester for personer med sjeldne sykdommer?

Gjennom dette kapittelet har vi gått gjennom kriteriene som ligger til grunn for innføring av behandlingsmetoder i norsk helsetjeneste, med et spesielt fokus på betydningen for pasienter med sjeldne diagnoser og deres tilgang til helsetjenester.

Rettferdig fordeling, likeverd og lik tilgang til tjenestene fremheves som en sentral del av det etablerte verdigrunnlaget i helsetjenesten.<sup>29</sup> I vår gjennomgang av prioriteringskriteriene finner vi imidlertid ingen reell motvekt til de iboende utfordringene som «sjeldenhet» innebærer for tilgang til helsetjenester.

Tvert imot finner vi grunnlag for at prioriteringskriteriene systematisk fører til en nedprioritering av sjeldne diagnoser, sett i forhold til lignende problemstillinger håndteres i andre deler av offentlig sektor.

Dette begrunnes blant annet med:

- **Undervurderte nyttevirksomheter:** Mangelen på helhetlige vurderinger av nyttevirksomheter fører til at kostnadseffektiviteten ved behandling av mange sjeldne diagnoser vurderes som lavere enn hva som er reelt.
- **Høye kostnader:** En liten pasientpopulasjon fører ofte til høye kostnader i utviklings- og behandlingsleddet for helsetjenester til pasienter med en sjelden diagnose.
- **Lav vurdert kostnadseffektivitet:** Høye kostnader, og til dels undervurderte nyttevirksomheter, gir relativt svak kostnadseffektivitet i behandling av pasienter med sjeldne diagnoser.
- **Begrenset tilgang til helsetjenester:** Lav vurdert kostnadseffektivitet kan føre til redusert tilgang til helsetjenester for pasienter som har en sjelden diagnose.

Alvorlighetskriteriet skal fungere som en motvekt til nytte- og ressurskriteriets fokus på kostnadseffektivitet, og sikre hensynet til en mer rettferdig tilgang til tjenestetilbudet. Men vi finner flere utfordringer med utformingen av alvorlighetskriteriet, spesielt for å sikre tilgang for sjeldne diagnoser:

- **De mest alvorlige tilfellene gis ikke økt prioritet:** Diagnoser med høy alvorlighet gis bare en høyere betalingsvilje inntil et visst alvorlighetsnivå. Beregninger fra Helsedirektoratet tyder på at alvorlighet vektlegges høyere i andre sektorer.
- **Alvorlighetskriteriet tar ikke hensyn til særegne utfordringer ved sjeldne diagnoser:** Sjeldne diagnoser har svakere tilgang til helsetjenester grunnet svak kostnadseffektivitet, som er tett knyttet til at de nettopp er «sjeldne». Mange sjeldne diagnoser har også høy grad av alvorlighet. Alvorlighetskriteriet kan slik gi en indirekte forbedret tilgang til helsetjenester for pasienter med sjeldne diagnoser, på grunn av høy alvorlighet. Alvorlighetskriteriet tar imidlertid ikke inn over seg den reduserte tilgangen til helsetjenester grunnet utfordrende kostnadseffektivitet.

For å motvirke de iboende utfordringene knyttet til å sikre pasienter med sjeldne diagnoser et likeverdig behandlingstilbud, gjør Prioriteringsmeldingen et unntak for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand.<sup>30</sup> Unntaket er imidlertid sterkt begrenset.

---

<sup>29</sup> *Prioriteringsmeldingen, Meld. St. 34 (2015-2016)*

<sup>30</sup> *Ordning om særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand | Legemiddelverket*

## 2. Velferdsstaten som felles helseforsikring

Det offentlig finansierte helsetjenestetilbudet er det norske samfunnets felles helseforsikring, «statlig forsikring», og prioriteringer innenfor denne forsikringsordningen kan ikke ses uavhengig av innbyggernes behov for å redusere risiko knyttet til det å bli rammet av sjeldne, men alvorlige helsetilstander.

### 2.1. Forsikringsperspektivet

Velferdsstaten representerer norske borgeres felles helseforsikring<sup>31</sup>, finansiert over skatteseddelen. For at velferdsstaten skal fylle denne rollen er det viktig at tilbudet i den offentlige helsetjenesten i størst mulig grad reflekterer innbyggernes betalingsvillighet for å redusere sannsynligheten for negative utfall.

Dersom det offentlige helsetjenestetilbudet eventuelt ikke reflekterer innbyggernes betalingsvillighet for å forsikre seg mot helsetap, vil dette gi et vakuum og et markedsgrunnlag for at private helseforsikringer fyller denne rollen.

Samtidig er velferdsstaten under økende press, grunnet blant annet demografiske endringer. Det er derfor viktig at ressursbruken balanseres mot en bærekraft i økonomien.<sup>32</sup> For å sikre tillit og troverdighet til det offentlige tjenestetilbudet er det viktig med tydelige og gjennomsiktede prinsipper for prioritering av skattepengene, samt at prioriteringene oppleves som rettferdige, godt begrunnet og konsistente på tvers av sektorer.

### 2.2. Forsikringsperspektivets betydning for sjeldne sykdommer

Sjeldne diagnoser representerer en type risiko som det kan være naturlig å være forsikret mot: det er liten sannsynlighet med store konsekvenser (hvis det inntreffer). Utfordringen for private forsikringsordninger er å oppnå en størrelse på forsikringspoolen som gjør at store kostnader for et uforutsigbart antall forsikringstagere kan håndteres.<sup>33</sup> Dette er dermed noe som egner seg særlig godt for store statlige forsikringsordninger, slik som den vi har i Norge.

Alle forsikringsordninger må definere en øvre grense for potensiell utbetaling i erstatningssaker. For velferdsstaten innebærer dette at en må ta stilling til en terskel for utbetaling knyttet til behandling for sykdom og ulykker.

Som kjent vil en velfungerende velferdsstat være avhengig av at terskelen for offentlige utbetalinger til helsemessig behandling, over tid reflekterer innbyggernes betalingsvillighet for helseforsikring. For innbyggerne er det irrelevant hvorvidt statlige utbetalinger for å sikre helsegevinst skjer gjennom den ene eller den andre statlige sektoren. Men det er viktig at like helsemessige utfall vurderes likt.

For å sikre et beslutningsgrunnlag som er konsistent på tvers av sektorer har ledere i Helsedirektoratet tidligere argumentert for behovet for en felles verdsetting av liv og helse på tvers av sektorer.<sup>34</sup> De forslår en verdi på 1,5 millioner kroner per kvalitetsjusterte leveår (QALY). Forslaget kommer blant annet i lys av utfordringene knyttet til pandemihåndtering, der helsegevinster knyttet til smitteverntiltak må kunne veien opp mot andre hensyn. Utgangspunktet for forslaget fra Helsedirektoratet er at verdien på 1,5 millioner kroner skal legges til grunn i alle

---

<sup>31</sup> Dette begrepet brukes i flere offentlige utredninger, bl.a. [NOU 2020: 13 \(reqjeringa.no\)](#).

<sup>32</sup> [En bærekraftig helsetjeneste? | Jon Magnussen](#)

<sup>33</sup> [Se for eksempel S. 36 ICER-White-Paper The-Next-Generation-of-Rare-Disease-Drug-Policy\\_040722.pdf](#)

<sup>34</sup> [Kan god helse verdsettes? | Dagens medisin](#)

offentlige sektorer, med unntak av helsesektoren. Forsker og professor Hans Olav Melberg, argumenterer for at verdien også bør gjelde helsesektoren – «*hvis et kvalitetsjustert leveår er verdt 1,5 millioner kroner når man skal vurdere en gangvei, burde det da ikke også være på 1,5 millioner når man skal vurdere legemidler og andre tiltak?*»<sup>35</sup>

Professor Jon Magnussen advarer mot å institusjonalisere et beløp på 1,5 millioner kroner per QALY i en offentlig veileder. Han begrunner dette til dels med at verdien på 1,5 millioner kroner per QALY er utledet fra verdien av et statistisk liv, som er noe annet enn verdsettingen av et konkret ekstra leveår: «*Verdien av et statistisk liv måler betalingsvillighet for en liten reduksjon i risiko for å dø, verdien av et QALY er verdien av et (konkret) godt leveår. Dette er ikke bare en «abstrakt akademisk» forskjell, det gir altså store utslag i hvilke beløp man ender opp med.*»<sup>36</sup>

Så hva er betydningen for dette for samfunnets betalingsvillighet for sjeldne diagnoser?

Til forskjell fra de fleste sykdommer som er knyttet til livsstil og aldring, så representerer sjeldne sykdommer en liten og relativt vilkårlig risiko for å dø. Betalingsvilligheten for å redusere risikoen for helsetap knyttet til sjeldne diagnoser er dermed på mange måter mer sammenlignbart med betalingsvilligheten for å redusere risikoen for å dø i trafikken, enn betalingsvilligheten for livsforlengende behandling i aldersrelaterte sykdommer. For å sitere Magnussen, så er dette mer enn en «abstrakt akademisk» forskjell, men har stor betydning for hvilken betalingsvilje man ender opp med.

---

<sup>35</sup> *Hvordan skal helse inkluderes i vurderingen av statlige tiltak? | Dagens medisin*

<sup>36</sup> *Hva er verdien av et QALY? | Dagens medisin*



### 3. Prioritering av sjeldenhet i andre land

#### 3.1. Europa

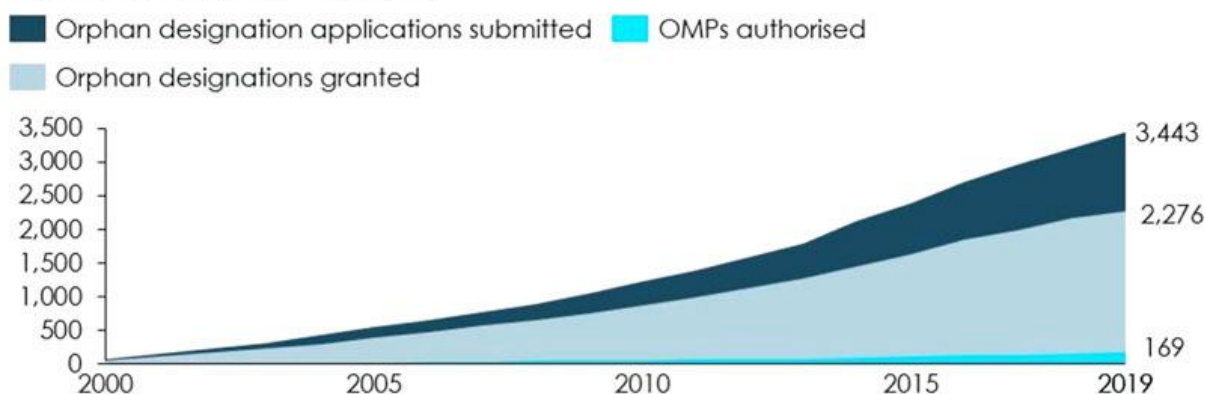
Selv om det har blitt innført ordninger for å finansiere og ta i bruk nye metoder knyttet til sjeldne diagnoser i alle EU-land, er det fortsatt betydelige forskjeller på tvers av land. En revidering av EUs forordning knyttet til godkjenning og finansiering av legemidler for sjeldne diagnoser fra 2000 er nå på trappene og ventes lansert vinteren 2023.<sup>3738</sup> Det er ventet omfattende endringer.

“...we are talking about the biggest change to EU law since 1965 by a wide margin, since many of the basic concepts are up for re-evaluation. It is a massive change that is likely to take at least one or two years of very intensive discussions between the institutions and the stakeholders to accept.”

Blant annet legger EU-kommisjonen opp til at legemidler for sjeldne diagnoser i større grad skal lanseres i alle medlemsland samtidig.

EUs regulering knyttet til innføring av legemidler for sjeldne diagnoser som kom på plass i år 2000 har bidratt til at over 169 legemidler har fått markedsføringstillatelse frem til og med 2019. Likevel ser vi at dette utgjør en svært liten andel av alle legemidler og nye metoder for sjeldne diagnoser som totalt sett er vurdert av EMA i perioden.

Cumulative number in each year



Som nevnt er tilgangen på disse legemidlene som har fått markedsføringstillatelse ulik på tvers av medlemslandene.<sup>39</sup> Tilgangen er størst i Tyskland og Frankrike, mens 30-60 prosent av legemidlene har oppnådd refusjon i de andre landene.<sup>40</sup> Totalt utgjør legemidler for sjeldne diagnoser i gjennomsnitt ca. 7 prosent av EU-landenes legemiddelbudsjett.

<sup>37</sup> [omp-regulation-review-infosheet-en-sent.pdf \(eucope.org\)](#)

<sup>38</sup> På sjeldendagen 28. februar 2023 ble den nye planen etterlyst i et brev fra mange folkevalgte i Europaparlamentet: [MEPs call on Commission President to deliver overdue strategy on rare diseases - EURORDIS](#)

<sup>39</sup> Sarnola, K. et al. (2018) Policies and availability of orphan medicines in outpatient care in 24 European countries, *Eur J Clin Pharmacol*, 74(7), pp. 895-902. doi: 10.1007/s00228-018-2457-x.

<sup>40</sup> [Comparing access to orphan medicinal products in Europe | Orphanet Journal of Rare Diseases | Full Text \(biomedcentral.com\)](#)

En studie fra 2019 viser at årlige kostnader per pasient kan komme opp i 1 million euro for de mest kostbare behandlingene.<sup>41</sup> Like fullt er bare 18 prosent av årlige behandlingkostnader for enkeltpasienter høyere enn 100 000 euro.<sup>42</sup>

Flere studier konkluderer med at pasienter med sjeldne diagnoser fortsatt har et begrenset behandlingstilbud sammenlignet med andre pasientgrupper i EU.<sup>43</sup> Studier peker også på at denne forskjellen faktisk kan øke, til tross for alle strategier for sjeldne diagnoser som nå innføres (bl.a. i Storbritannia, se neste avsnitt). Bakteppet for en slik frykt er at tøffe økonomiske prioriteringer i samfunnet kan bidra til at rettferdighet og prioritering av pasienter med sjeldne diagnoser svekkes.<sup>44</sup>

For å demme opp for en slik utvikling, og sikre en mest mulig ensartet og effektiv tilgang til legemidler knyttet til sjeldne diagnoser i Europa, har et eget rammeverk for økonomisk evaluering av nye legemidler blitt foreslått: «ORPH-VAL». Dette rammeverket introduserer noen prinsipper for metodevurderinger av slike legemidler. Blant annet argumenteres det for at den økonomiske evalueringen må legge et samfunnsperspektiv til grunn ved vurdering av nyttesiden.<sup>45</sup>

Rammeverket og forskningspublikasjoner knyttet til dette beskriver en situasjon med stor ulikhet i metodevurderinger på tvers av europeiske land, og at evalueringer av «Nye metoder» rundt om i Europa nå gir muligheter for å endre på dette:

*“These differences in assessment methodology partly reflect a lack of consensus amongst policy makers on the optimal P&R framework for OMPs and how to overcome the challenges that rare diseases represent to HTA agencies. Many European countries are reviewing P&R processes for OMPs, providing an opportunity to seek closer alignment on the fundamental aspects of such systems.”<sup>46</sup>*

### 3.2. Storbritannia

I Storbritannia har man hatt et eget forløp for sjeldne diagnoser siden 2018. Dette har bidratt til at flere av de mer kostbare legemidlene for sjeldne diagnoser har blitt innført relativt raskt, som for eksempel Spinraza.<sup>47</sup>

NICE vurderer kostnadseffektiviteten og budsjettkonsekvenser for nye legemidler innenfor det såkalte «Pharmaceutical Price Regulation Scheme». NICE har finansiert flere legemidler hvor kostnadseffektiviteten har vært i «den høye enden av skalaen».<sup>48</sup>

---

<sup>41</sup> [Mestre-Ferrandiz et al., 2019](#)

<sup>42</sup> [Onakpoya et al., 2015](#)

<sup>43</sup> [Frontiers | Orphan Medicine Incentives: How to Address the Unmet Needs of Rare Disease Patients by Optimizing the European Orphan Medicinal Product Landscape Guiding Principles and Policy Proposals by the European Expert Group for Orphan Drug Incentives \(OD Expert Group\) \(frontiersin.org\)](#)

<sup>44</sup> Se bl.a. [Trends \(rare2030.eu\)](#)

<sup>45</sup> For en gjennomgang av disse prinsippene og anvendelsen av disse i noen land, se [HOW TO IMPROVE THE CONSISTENCY OF ORPHAN DRUG PRICING & REIMBURSEMENT IN EUROPE? APPLICATION OF THE 'ORPH-VAL' PRINCIPLES IN GERMANY, FRANCE AND UK, ORPH-VAL WORKING GROUP](#)

<sup>46</sup> [Recommendations from the European Working Group for Value Assessment and Funding Processes in Rare Diseases \(ORPH-VAL\) | Orphanet Journal of Rare Diseases | Full Text \(biomedcentral.com\)](#)

<sup>47</sup> [Implementing the UK Rare Disease Framework - Rare disease action plan - gov.scot \(www.gov.scot\)](#)

<sup>48</sup> [Insurance Companies' Perspectives on the Orphan Drug Pipeline - PMC \(nih.gov\)](#)

Den siste tiden har diskusjonene rundt hvordan legemidler for sjeldne diagnoser skal håndteres av NICE, tiltatt.<sup>49</sup> Denne diskusjonen er i økende grad parallell med diskusjonen om persontilpasset medisin og genterapi.<sup>50</sup> Som i Norge har dette trigget en mer overordnet diskusjon om prioriteringer av liv og helse innad og utenfor helsesektoren i Storbritannia.<sup>51</sup>

I 2022 ble en egen «action plan» for sjeldne diagnoser lansert. Denne ble fulgt opp med en statusrapport i februar 2023. Her vises det til at et eget fond for rask introduksjon av nye legemidler for sjeldne diagnoser ble introdusert i juni 2022 («Innovative Medicines Fund»). Sammen med “Cancer Drugs Fund” representerer dette til sammen over 7 milliarder kroner til innkjøp av slike legemidler, og da særlig genterapier.<sup>52</sup> Sammen med “the Early Access to Medicines Scheme (EAMS)” og “the Innovative Licensing and Access Pathway (ILAP)” har dette bidratt til å redusere tiden det tar før nye legemidler for sjeldne diagnoser er tilgjengelig for pasienter, vesentlig. I Norge er dette som kjent en utfordring, noe blant annet evalueringen av Nye metoder og internasjonale sammenlikninger har vist.<sup>5354</sup>

### 3.3. USA og Canada

I både USA og Canada har andelen av legemiddelutgifter som går til sjeldne diagnoser økt betraktelig de seneste årene. I USA har andelen økt fra 2 prosent i 1992 til 11 prosent i 2019.<sup>55</sup> Dette skyldes, som i Storbritannia, at man har innført en egen godkjenningsordning, et spesifikt forløp, for sjeldne diagnoser. Over halvparten av FDAs godkjenninger gjelder nå legemidler for sjeldne diagnoser.<sup>56</sup>

*“...the creation of the accelerated approval pathway at the FDA has simplified evidence requirements for many rare disease products that qualify for this approval pathway.”<sup>57</sup>*

---

<sup>49</sup> Se f.eks.: [A Case Study Analysis: Challenges in the NICE Evaluation of Multi-Indication Medicines for Rare and Ultra-Rare Diseases | OHE](#)

<sup>50</sup> [Health Technology Assessment of Gene Therapies: Are Our Methods Fit for Purpose? | OHE](#)

<sup>51</sup> [Resource Allocation in Public Sector Programmes: Does the Value of a Life Differ Between Governmental Departments? | OHE](#)

<sup>52</sup> [England Rare Diseases Action Plan 2023: main report - GOV.UK \(www.gov.uk\)](#)

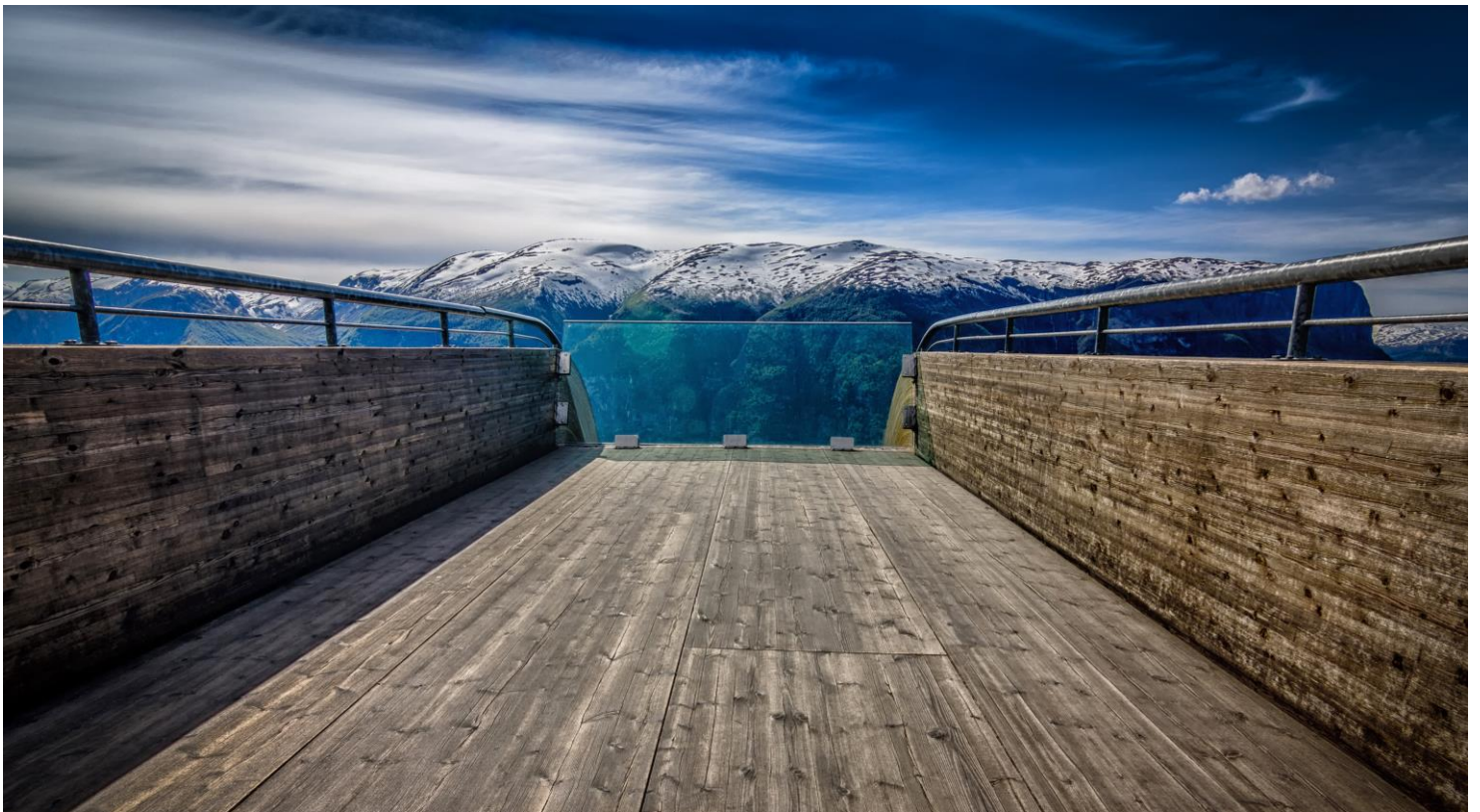
<sup>53</sup> [Master-Thesis-Steffen-Falkevik---Access-to-orphan-drugs-in-a-Norwegian-setting--1-.pdf \(uio.no\)](#)

<sup>54</sup> [Innovative Funding Models for Treatment of Rare Diseases - IQVIA](#)

<sup>55</sup> [ICER-White-Paper The-Next-Generation-of-Rare-Disease-Drug-Policy\\_040722.pdf](#)

<sup>56</sup> [Evaluate Orphan Drug Report.pdf](#)

<sup>57</sup> [ICER-White-Paper The-Next-Generation-of-Rare-Disease-Drug-Policy\\_040722.pdf](#)



Menon Economics analyserer økonomiske problemstillinger og gir råd til bedrifter, organisasjoner og myndigheter. Vi er et medarbeidereiet konsultentselskap som opererer i grenseflatene mellom økonomi, politikk og marked. Menon kombinerer samfunns- og bedriftsøkonomisk kompetanse innenfor fagfelt som samfunnsøkonomisk lønnsomhet, verdsetting, nærings- og konkurranseøkonomi, strategi, finans og organisasjonsdesign. Vi benytter forskningsbaserte metoder i våre analyser og jobber tett med ledende akademiske miljøer innenfor de fleste fagfelt. Alle offentlige rapporter fra Menon er tilgjengelige på vår hjemmeside [www.menon.no](http://www.menon.no).

+47 909 90 102 | [post@menon.no](mailto:post@menon.no) | Sørkedalsveien 10 B, 0369 Oslo | [menon.no](http://menon.no)