



Anbefalingene adresserer ikke problemene

Koalisjonen for sjeldne sykdommer er glad for at det er satt i gang arbeid med ny prioriteringsmelding. Vi sender med dette inn et samlet høringsinnspill som adresserer prioritering i stort og anbefalingene i alle tre rapportene.

Koalisjonen er positivt innstilt til å være en konstruktiv aktør og samarbeidspartner for departementet i den videre prosessen for å belyse og løse utfordringene knyttet til sjeldenfeltet.

Verdigrunnlaget

NOU 2014:12 Åpent og rettferdig – prioriteringer i helsetjenesten (Norheimutvalget) og melding til Stortinget 34 (2015-2016) *Verdier i pasientens helsetjeneste – Melding om prioritering* maler opp verdier for det norske samfunn og helsevesen. Blant annet skal like tilfeller behandles likt og ulike tilfeller ulikt, rettferdig fordeling innebærer at samfunnet prioriterer de med størst behov høyere og at helsetjenesten skal være en bred sosial forsikringsordning som sikrer borgerne likeverdige tjenester etter behov. I oppspillet til prioriteringsmeldingen ble det av flere aktører argumentert for å etablere et eget kriterium for sjeldne tilstander for å sikre at disse verdiene ble etterlevd.

De fleste «allmenne» sykdommer har gjennom årtier hatt både inkrementell og betydelig økning i livskvalitet og forventet levetid. I motsetning til allmenne sykdommer har de fleste sjeldne sykdommene fortsatt ikke tilgjengelig behandling utover omsorg. I de fleste tilfeller skyldes dette at det ennå ikke er utviklet legemiddelterapi, men manglende tilgang til eksisterende legemiddelterapi er en stor utfordring.

Alvorlighets- og sjeldenkriterium

Norheimutvalget argumenterte mot et eget kriterium for sjeldne tilstander fordi alvorlighetskriteriet, definert som helsetap over et livsløpsperspektiv, skulle sikre likeverdig tilgang for denne gruppen. Magnussengruppen foreslo et annet alvorlighetskriteriet, *absolutt prognosetap*, definert som antall gjenstående gode leveår pasienten har med dagens behandlingsteknologi, som ble anvendt i stortingsmeldingen.

Norheimutvalgets argumentasjon om at behandling av sjeldne tilstander ville bli ivaretatt av alvorlighetskriteriet ble i stortingsmeldingen videreført, men med Magnussengruppens definisjon. *Premisset om at sjeldne tilstander ville bli fanget opp av alvorlighetskriteriet ble dermed borte når definisjonen og innholdet av alvorlighetskriteriet ble endret.* Dette faktum ble ikke drøftet eller belyst i prioriteringsmeldingen.

Stortingets helse- og omsorgskomite skrev følgende merknad i forbindelse med behandling av prioriteringsmeldingen:





Komiteen viser til at sjeldne tilstander med høy alvorlighetsgrad der aktuell behandling gir god nytte for pasienten, vil få prioritet med de foreslåtte kriteriene. Sjeldenhet vil ikke være et kriterium i seg selv.

Komiteen ber regjeringen følge spesielt opp behandlingstilbudet til personer med sjeldne sykdommer, slik at de fortsatt får et likeverdig tilbud etter at sykehusene overtar finansieringsansvaret for legemidler som tidligere ble finansiert over folketrygden.

Vår erfaring er imidlertid at legemiddelterapi for sjeldne tilstander *ikke* får prioritet med de foreslåtte kriteriene. Dette skyldes hvordan prioriteringsmeldingen tolkes og operasjonaliseres, som vi vil komme tilbake til nedenfor.

Koalisjonen for sjeldne sykdommer mener verdiene fra prioriteringsmeldingen som nevnt over ikke blir etterlevd for mennesker med sjeldne sykdommer. Ut fra et rettferdighetsprinsipp og verdier som menneskeverd og integritet, skal alle få ta del i velferdsutviklingen. Dette gjelder særlig de som rammes tilfeldig, og derfor må behandlinger for sjeldne tilstander tilgodesees med en positiv diskriminering for å oppnå likeverdig tilgang til helsetjenester. Koalisjonen mener derfor det må legges til et prioriteringskriterium for sjeldne tilstander.

Urimelige dokumentasjonskrav til små pasientgrupper

Videre skrev Helse- og omsorgskomiteen i sin merknad:

Komiteen mener det er forhold knyttet til behandling av små pasientgrupper med alvorlig tilstand som gjør at det kan være relevant å stille andre krav til dokumentasjon av nytte enn for øvrige tiltak. For slike tiltak kan pasientgruppen ofte være for liten til at tradisjonelle kontrollerte studier av effekt kan gjennomføres. Komiteen mener derfor at det kan aksepteres et lavere krav til dokumentasjon for tiltak rettet mot små pasientgrupper med alvorlig tilstand hvor det er vanskelig å gjennomføre kontrollerte studier av effekt.

Tross komiteens klare merknad om at det skal stilles «andre krav til dokumentasjon av nytte enn for øvrige tiltak» opplever de fleste legemiddelselskap med legemiddelterapi for sjeldne tilstander at det *stilles samme krav til dokumentasjon av nytte som for øvrige tiltak*. I forlengelse av dette oppleves det at Norge krever *mer* dokumentasjon enn hva som er tilstrekkelig for å få refusjon i europeiske land Norge sammenligner seg med.



DMP åpner for at det stilles lavere krav til dokumentasjon for å beslutte offentlig finansiering for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand. Kravene som i dag stilles til alvorlighet og forventet nytte er så strenge, at i realiteten svært få behandlinger oppfyller disse. Videre kreves det ofte at det må dokumenteres med data som ikke er mulig å fremskaffe. Dermed oppstår det et paradoks hvor selskapene blir bedt om å levere dokumentasjon som ikke er mulig å generere.

Det er uforholdsmessig og umulig å levere store dokumentasjonspakker for beskjedne pasientgrupper (1-250). Videre er sjeldne diagnoser et sykdomsområde hvor det som regel finnes svært få eller ingen behandling(er) tilgjengelig.

Sjeldne tilstander er svært heterogene selv innad samme sykdom. Mennesker med samme diagnose kan ha ulik alvorlighet og symptombilde, og krever derfor en individuelt tilpasset behandling. Klinisk effekt dokumenteres på gruppenivå, men klinisk nytte av behandlingen vil alltid finne sted på individnivå. Dagens system anerkjenner ikke den kliniske nytten på individnivå og det må i tråd med ekspertgruppen på tilgang sin anbefaling etableres flere prisavtaler koblet til oppfølging og gode registre som automatisk hører data fra journalene. Videre må det gjøres mer prioritering på individnivå for sjeldne og svært sjeldne diagnoser, helst under en nasjonal institusjon for behandling og oppfølging av mennesker med sjeldne diagnoser.

Koalisjonen mener derfor kasus-kontrollerte studier, observasjonsstudier og ekspertoppfatninger må aksepteres som tilstrekkelig dokumentasjon for nye behandlinger for sjeldne tilstander. Disse materielle kravene, som er i tråd med de tidligere kravene blåreseptforskriften, må tas inn i prioriteringsmeldingen for å sikre lik og likeverdig tilgang til gode legemiddelterapi for mennesker med sjeldne tilstander.

Betalingsvillighet

Norge, som et av verdens rikeste land har blant verdens laveste betalingsvillighet for legemidler. Koalisjonen vil påpeke hvor usolidarisk dette fremstår i internasjonal kontekst og hvordan dette er med på å bremse innovasjonstakten som er nødvendig på helsefeltet.

Sjeldne tilstander er i hovedsak medfødte og forårsaket av genetiske endringer. Dette er kompliserte tilstander som det er utfordrende å behandle. Noen av tilstandene kan behandles med erstatningsterapier (enzym, protein eller annet) som hindrer eller reduserer følgene av sykdommen. Andre sykdommer er av en så omfattende og alvorlig art at den eneste løsningen er genterapier. Forsknings- og utviklingskostnadene for disse legemidlene er tilsvarende som for andre legemidler, det er også de faste og variable kostnadene, slik som distribusjon, regulatorisk etterlevelse med mer. Dermed er det høye kostnader som må fordeles på mindre salgsvolum enn legemidler for allmenne sykdommer.



Terskelverdien for betalingsvillighet for et godt leveår i norsk helsetjeneste ble introdusert i prioriteringsmeldingen i 2016 og ble satt til 275.000 kroner. Det var ikke ment at tallet 275.000 skulle brukes som en terskelverdi¹, og det er flere metodologiske svakheter knyttet til denne beregningen². Det er tvil om dette beløpet er representativt for helsetjenesten, og det er stor bekymring for at kostnadseffektive behandlinger ikke blir introdusert i norsk klinisk praksis grunnet denne foreldede verdien.

Dagens prioriteringskriterier tar ikke fullt ut hensyn til de særlige utfordringene sjeldne diagnoser representerer, både i form av kostnadseffektivitet og i forhold til rettferdighet og tilgangslighet til helsetjenester.³ Personer med sjeldne diagnoser kan ofte oppleve lavere prioritet enn det sykdommens alvorlighet og samfunnets betalingsvillighet skulle tilsi.

Samfunnsperspektivet er potensielt viktig for sjeldne tilstander. Noen mennesker med sjeldne tilstander kan trenge et større omfang av avansert helse- og omsorgstjenester, trygd og hjelpemidler enn andre pasientgrupper. Det er derfor særlig viktig at alternativkostnaden, særlig for samfunnsperspektivet, i større grad tar hensyn til alle relaterte kostnader og at dette reflekteres i betalingsviljen.

Koalisjonen mener at dette resulterer i at mennesker som er rammet av sykdom, særlig mennesker med sjeldne tilstander blir den skadelidende part. Det er behov for en bredere vurdering av behandlingstiltakets samfunnsmessige nytte for å sikre bedre og mer likeverdig behandling for mennesker med sjeldne tilstander.

Medfødt ulikhet skaper sosial ulikhet

Sjeldne tilstander er som regel medfødte og genetiske, rammer vilkårlig og de er derfor ikke mulig å forebygge. Når tilgangen til effektiv behandling av sjeldne tilstander ofte ikke dekkes av den brede sosiale forsikringsordningen, skapes det en sosial ulikhet. Mennesker med sjeldne tilstander opplever å vente lengre på å få riktig diagnose og behandling sammenlignet med andre sykdommer.

Kompleksiteten i tilstandene gjør at de ofte må motta ulike tjenester fra ulike nivåer og spesialiteter, slik oppleves behandlingen som fragmentert og ukoordinert. I prioriteringssammenheng oppleves det som en systematisk forskjellsbehandling på «vanlige» og «sjeldne» tilstander, hvor industrien

¹ <https://www.altinget.no/artikkel/jon-magnussen-kan-vi-sette-en-pris-paa-et-godt-leveaar>

² Menon Economics, Vurdering av ny terskelverdi for et godt leveår, Menon-publikasjon nr. IIV 2023

³ <https://usercontent.one/wp/www.koalisjonenforsjeldnesykdommer.no/wp-content/uploads/2023/11/NOTAT-Sjeldne-diagnoser-og-prioritering.pdf?media=1676539517>



opplever at det er vanskeligere å få produkter for sjeldne tilstander ut til pasientene enn øvrige legemidler og sammenlignet med andre europeiske land.

Prioritering og tilgang

Vi støtter hovedlinjene i anbefalingene fra ekspertgruppen på prioritering og tilgang. Rapporten og anbefalingene kommer likevel til kort i å belyse og avhjelpe situasjonen for sjeldne tilstander hvor flere opplever ulik tilgang. Oppsummert er dette Koalisjonens innspill til anbefalingene om prioritering og tilgang:

1. Sjeldenhet innføres som eget kriterium og ekspert- og pasientvurderinger tillegges betydelig vekt i beslutninger.
2. Legemiddelterapi for sjeldne tilstander må ha en høyere betalingsvillighet for finansiering.
3. Usikkerhet bør ikke vektes negativt, men vektes nøytralt og håndteres innenfor etablerte helseøkonomiske rammeverk.
4. Åpne for økt bruk av prisavtaler for sjeldne sykdommer og at det skal være krav om økt bruk av register i prisavtaler.
5. Innføre Multi Criteria Decision Analysis hvor en kan åpne for at flere faktorer legges til grunn for beslutninger om innføring av sjeldne sykdommer.
6. Innføre unntaksordning, eller prioritering på individnivå, ved negativ beslutning. Gjøre dette til primær prioriteringsmetode for sjeldne sykdommer gjennom en nasjonal institusjon med diagnose- og behandlingsansvar.

Prioritering og perspektiv

Koalisjonen for sjeldne sykdommer støtter delvis anbefalingene fra ekspertgruppen. Det må likevel gjøres flere endringer for å sikre likebehandling av mennesker med sjeldne diagnoser. Oppsummert er dette Koalisjonens innspill til anbefalingene om prioritering og perspektiv:

1. Samfunnsperspektiv legges til grunn som primæranalyse.
2. Helsetjenesteperspektivet bør fortsatt være utvidet for å reflektere kostnader knyttet til behandlingene.
3. Kravspesifikasjon for dokumentasjon til analysene for legemiddelterapi for sjeldne tilstander må tilsvare de tidlige kravene i blåreseptforskriften.
4. For sjeldne tilstander må det stilles et rimelig dokumentasjonskrav for samfunnstjeneste-perspektivet, slik at det er mulig å gjennomføre slike analyser.
5. Det må etableres en egen nasjonal finansiering for behandlinger av sjeldne sykdommer.



Prioritering og åpenhet

Koalisjonen støtter anbefalingene fra gruppen. Det er likevel viktig å sikre de små pasientgruppene, slik som de ultrasjeldne tilstandene, en stemme i prioriteringsarbeidet. Oppsummert er dette Koalisjonens innspill til anbefalingene om prioritering og åpenhet:

1. Nasjonalt kompetansesenter bør på sikt utfylle rollen NICE har i England og bør slik sett legges til et sterkt nasjonalt akademisk miljø.
2. Senteret få ansvar for retningslinjene for helseøkonomisk evaluering og være et nav i forbedringen av prioriteringssystemet.
3. Offentliggjøre faglige vurderinger og klinikernes innspill rundt nye behandlinger til sjeldne sykdommer.
4. Anerkjenn at leverandør er en viktig partner i vurderingsprosessen som besitter dyp kompetanse på både terapeutisk område og behandlingen som er under vurdering. Leverandør bør inviteres til dialog i beslutningsprosessen.
5. Offentliggjøre grunnlag for beslutninger og bakenforliggende argumentasjon.

Som tidligere nevnt er Koalisjonen positivt innstilt til å være en konstruktiv aktør og samarbeidspartner for departementet i den videre prosessen for å belyse og løse utfordringene knyttet til sjeldenfeltet.

Med vennlig hilsen

Representantene i Koalisjonen for sjeldne sykdommer

Oddvar Haugen

Chiesi

Lidziya Ulvenes

Takeda

Mattias Janzén

BioMarin

Fredrik Arneberg

UCB

Bjørn Kristian-Svendsrud

Sanofi

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.