

Danske Regioner  
Dampfærgevej 22  
2100 København Ø  
E-mail: [tad@regioner.dk](mailto:tad@regioner.dk)

## Hørings svar over Medicinrådets faglige metoder og metode for Amgros' omkostningsanalyse

Danske Patienter takker for muligheden for at kommentere på det materiale, der er sendt i høring i forbindelse med etableringen af Medicinrådet.

Danske Patienter har nogle overordnede og specifikke bemærkninger til metodehåndbøgerne. Vi har desuden nogle kommentarer, som ikke direkte vedrører de to metodehåndbøger, men som er tæt relateret hertil og derfor væsentlige at kommentere på i høringssvaret.

### Generelle kommentarer

Overordnet set mener Danske Patienter, at der på en række områder er blevet lyttet til den kritik, der tidligere har været rettet. Det er således meget positivt, at patientperspektivet er tænkt ind på flere væsentlige områder i metodehåndbøgerne, både i besætningen af fagudvalgene og i vurderingen af den kliniske relevans via effektmålene.

Vi finder de to fremsendte kliniske metodebøger velbeskrevne, men mindre klare omkring de afvejninger og sammenfatninger, der skal foretages. Vi er ikke overbeviste om, at der er konsistens mellem de kliniske metodebøger, og vi efterlyser argumentation for kriterierne i KRIS-delen (*Model for udarbejdelse af fælles regionale vurderinger af nye lægemidlers og nye indikationers kliniske merværdi*). Beskrivelsen af den økonomiske omkostningsanalyse er mindre overbevisende. Vi finder den for generel og meget datakrævende – så datakrævende, at den i sig selv kan forsinke ibrugtagning af nye lægemidler.

Yderligere – og helt centralt – finder vi det bemærkelsesværdigt, at der ikke er redegjort for den egentlige beslutningsmekanisme, altså hvad der er det endelige kriterium for, om Medicinrådet anbefaler en ny standardbehandling eller ej. Det er i denne beslutningsproces, afvejningen mellem effekt og omkostninger bliver foretaget, og det er derfor problematisk, at overvejelser omkring det forhold helt er udeladt i håndbøgerne.

Endvidere er der ikke tydeligt, om det er gennemsnitseffekt, medianeffekt eller effekt for den gruppe af patienter, behandlingen virker for, man skal kigge på, når man laver effektvurdering. Det bør primært være effekten

Dato:  
31. oktober 2016

Danske Patienter  
Kompagnistræde 22, 1. sal  
1208 København K

Tlf.: 33 41 47 60

[www.danskepatienter.dk](http://www.danskepatienter.dk)

E-mail:  
[jk@danskepatienter.dk](mailto:jk@danskepatienter.dk)

Cvr-nr: 31812976

Side 1/8

for den gruppe af patienter, behandlingen virker for – givet at klinisk praksis indebærer, at man relativt tidligt kan skelne mellem de patienter, behandlingen virker på og de, behandlingen ikke virker på.

Når det gælder lægemidler til sjældne sygdomme, giver de små patientpopulationer sædvanligvis en lavere grad af evidens fra kliniske forsøg og større usikkerhed om effekt mv. Samtidig er sygdommene typisk meget alvorlige og med ingen eller klart utilstrækkelige eksisterende behandlingsmuligheder. Disse forhold må tages i betragtning, når modellerne for hhv. omkostningsanalyser og vurdering af lægemidlernes kliniske værdi fastlægges.

Side 2/8

Danske Patienter opfordrer til, at danske læger/selskaber skal have muligheder for at foreslå anvendelsen af et præparat som standardlægemiddel uagtet der ikke ligger en ansøgning fra producenten. Der kan være forskellige grunde til, at man kommer i en situation, hvor en producent ikke søger. Det skal ikke hindre at lægemidlet anvendes som standardlægemiddel, hvis det er til gavn for patienten.

Vi har forstået, at Lægemiddelstyrelsen og Sundhedsstyrelsen ikke vil være medlem af Medicinrådet men deltager som observatører. Vi efterlyser på den baggrund en stillingtagen til, om de kliniske retningslinjer, som godkendes af Medicinrådet, er vejledende for regionerne, eller om der er tale om nationale kliniske retningslinjer – som alle læger som udgangspunkt forventes at følge.

I modsætning til LIF, Lægemiddelstyrelsen og Sundhedsstyrelsen indgår Danske Patienter som udgangspunkt i Medicinrådet som medlem og ikke kun som observatører. Vi er enige i, at Rådet jfr. kommissoriets pkt. 4.7 i videst muligt omfang bør forsøge at opnå enighed om beslutningerne, og vi har en forventning om, at dette vil ske i langt de fleste tilfælde. Men i de tilfælde hvor det ikke kan lade sig gøre, skal beslutninger afgøres med simpelt stemmeflertal. Danske Patienter finder det afgørende, at der er åbenhed om stemmefordelingen og at der gives mulighed for mindretalsudtalelser.

Danske Patienter er positive overfor, at der sikres patientrepræsentation i fagudvalg og at Danske Patienter er repræsenteret i Medicinrådet. Danske Regioner bør lave retningslinjer for hvordan det sikres, at patientrepræsentanterne i fagudvalgene er habile på lige fod med sundhedsfaglige repræsentanter. Der bør være grænser for økonomisk mellemværende mellem eksempelvis medicinalvirksomheder og patientrepræsentanten/den patientforening, som udpeger patientrepræsentanten. Habilitetserklæringer bør endvidere sikre åbenhed om, hvilken dialog repræsentanten har med interessenter, der har særlig interesse i det pågældende terapiområde, efter at repræsentanten er udpeget til fagudvalget.

Danske Regioner bør være indstillede på, at der skal afsættes væsentlige ressourcer for at sikre et effektivt samarbejde med patientforeningerne. Forberedelse, deltagelse og sparring for repræsentanter i Medicinrådet er

yderst tidskrævende. Det er desuden en betydelig opgave at være ansvarlig for udpegning og koordinering af patientrepræsentation til fagudvalgene. Hertil kommer en væsentlig opgave med at "uddanne", vejlede, supervisere og sikre netværk for patientrepræsentanter, således at de får viden om rollen som patientrepræsentant og viden om fagudvalgets arbejde. Et effektivt samarbejde mellem fagpersoner og patientrepræsentanter i fagudvalg kræver desuden, at formænd og deltagere i fagudvalg klædes på til samarbejdet. Det er endvidere nødvendigt, at der afsættes ressourcer til dækning af tabt arbejdsfortjeneste og transport for patientrepræsentanter.

### Specifikke kommentarer

I det følgende fremgår de mere tekstnære kommentarer fra Danske Patienter. Nogle kommentarer går igen på tværs af papirerne og er udelukkende gentaget for at lette det analytiske arbejde i Danske Regioner. Derudover er vedlagt et notat (bilag 1), som kommenterer på konkrete og mere tekniske elementer i de tre papirer.

#### Model for udarbejdelse af fælles regionale vurderinger af nye lægemidler og nye indikationers kliniske værdi

I afsnit 1.0. beskrives det, at Medicinrådets vurderinger ikke omfatter generiske og biosimilære lægemidler. Danske Patienter er bekymrede for undtagelsen af især de biosimilære lægemidler, idet flere studier<sup>1</sup> har påpeget, at et skifte til biosimilært lægemiddel kan føre til effekttab samt flere bivirkninger. Biosimilære lægemidler bør derfor være omfattet af Medicinrådets vurderinger/analyseres i de enkelte fagudvalg før ibrugtagning. Danske Patienter påpeger, at det i de situationer, hvor fagudvalget vurderer forsvarligheden af skift til biosimilære lægemidler, er vigtigt med et særligt fokus på de bivirkninger og problematikker sådanne skift kan have for patienter, der i forvejen er velbehandlede. Skift bør i øvrigt kun ske med patientens samtykke.

I afsnit 1.1. foreslår vi en tilføjelse, så afsnittet sidste sætning lyder "*Herudover er håndbogen arbejdsredskab for fagudvalgsmedlemmer (kliniske eksperter og patientforeningsrepræsentanter)...*".

I afsnit 1.2. beskrives de trin, Medicinrådets anbefalinger bygger på. Danske Patienter foreslår, at det under pkt. 1 (eller under definitionen af merværdi) præciseres, at patientpræferencer medtages som et element af

---

<sup>1</sup> Bl.a. Glintborg et al. (2016): Three months' clinical outcomes from a nationwide non-medical switch from originator to biosimilar infliximab in patients with inflammatory arthritis, i *Annals of the Rheumatic Diseases*. 2016, vol. 75, issue 10.1136.

den kliniske merværdi eller vurderes særskilt. Vi ønsker, at patientpræferencer skal indgå som et fast element i vurderingen af et givent lægemiddel sammen med effekt, risiko og pris. Det bør i den forbindelse præciseres hvilken type patientpræferencer der inddrages og i hvilken form.

Side 4/8

I afsnit 1.4., passagen omkring fagudvalgets sammensætning, bør det præciseres, at når det gælder "*et medlem fra en patientforening*" menes der et medlem, som repræsenterer en relevant patientforening inden for det terapiområde, som fagudvalget dækker, og *ikke* en person, som har medlemskab af en patientforening. Vi vil dog i forlængelse heraf anbefale, at der udpeges to patientrepræsentanter til fagudvalgene, hvoraf den ene bør være en person med patienterfaring. Danske Patienter finder det i øvrigt meget positivt – og helt naturligt – at der indgår patientrepræsentanter i de faglige udvalg, så de på den måde inddrages i beslutninger, der vedrører patienters behandlingsmuligheder og -præferencer.

I afsnit 2.2. bør det præciseres, hvordan patientrepræsentanten i fagudvalget eller det faglige forum udpeges. Det kunne eksempelvis ske gennem Danske Patienter eller den respektive patientforening. Det kan med fordel præciseres, hvilken rolle denne patientrepræsentant – og i den sammenhæng patientpræferencer generelt – skal have i vurderings- og beslutningsprocessen.

I afsnit 2.4.1. ønskes begrebet *performance status* (under beskrivelsen af Population) skiftet ud med *funktionsfaktor*. Der ønskes en tilføjelse, således at anden sætning under beskrivelsen af Comparator lyder: "*Medicinrådets endelige anbefaling er helt afhængig af, hvilken komparator, der sammenlignes med (både klinisk, patientpræferencemæssigt og omkostningsmæssigt)*". Yderligere ønsker vi en nærmere præcisering vedr. progredierende sygdomme, så nedsat progression også indgår som effektmål.

Endelig bør det overvejes, at PRO-data (patientrapporterede outcome-data) i så vidt muligt omfang indgår i vurderingen af de enkelte effektmål.

Overordnet er det Danske Patienters opfattelse, at patienter ikke skal have en behandling, som de ikke forventes at få gavn af. Vurderingen af, om en behandling kan forventes at gavne en patient beror både på kliniske data, viden om bivirkninger ved behandlingen og på patientens præferencer. I en række tilfælde introduceres nye behandlinger uden det er gjort klart, hvordan behandlingerne vil virke i dansk klinisk praksis, og især hvilke (bi)virkninger patienter i dansk klinisk praksis vil opleve. Danske Patienter skal derfor anbefale at det, som det fremgår af vedlagte oplæg fra Kræftens Bekæmpelse (bilag 2), overvejes – især i forbindelse med ibrugtagning af nye behandlinger som rutinebehandling – systematisk at indhente patienternes vurderinger med henblik på at forbedre fremtidige patienter og lægers beslutningsgrundlag. Oplægget er skrevet ud fra et cancerspecifikt perspektiv, men det er en generisk problemstilling, og metoden vil med fordel også kunne bruges på andre områder end kræft.

På side 15, i pkt. 3.5.1., beskrives det, at hvis der foreligger data for flere relevante effektmål, lægges der særligt vægt på de for patienterne mest kritiske effektmål. Men hvem fastlægger de for patienterne mest kritiske effektmål? Undersøgelser peger på, at fagpersoner ikke har samme opfattelse af patientpræferencer som patienter. Her er det vigtigt at inddrage patientrepræsentanter, evt. fra de relevante fagudvalg. Samme overvejelse gør sig gældende i henhold til passage på s. 8, hvor frasen *den velinformerede patient* fremgår. Hvem afgør, om en patient er velinformeret?

### Metodehåndbog for udarbejdelse af regionale behandlingsvejledninger for terapiområder

I afsnit 1.0. beskrives det, at Medicinrådets vurderinger ikke omfatter generiske og biosimilære lægemidler. Danske Patienter er bekymrede for undtagelsen af især de biosimilære lægemidler, idet flere studier har påpeget, at et skifte til biosimilært lægemiddel kan føre til effekttab samt flere bivirkninger. Biosimilære lægemidler bør derfor være omfattet af Medicinrådets vurderinger/analyseres i de enkelte fagudvalg før ibrugtagning. Danske Patienter påpeger, at det i de situationer, hvor fagudvalget vurderer forsvarligheden af skift til biosimilære lægemidler, er vigtigt med et særligt fokus på de bivirkninger og problematikker sådanne skift kan have for patienter, der i forvejen er velbehandlede. Skift bør i øvrigt kun ske med patientens samtykke.

I afsnit 1.1. foreslår vi en tilføjelse, så afsnittet sidste sætning lyder "*Herudover er håndbogen arbejdsredskab for fagudvalgsmedlemmer (kliniske eksperter og patientforeningsrepræsentanter)...*".

I afsnit 1.2. formuleres: "*... herunder skift af velbehandlede patienter. Det betyder, at fagudvalget skal vurdere, om det er lægefagligt forsvarligt at skifte til et klinisk ligestillet lægemiddel hos patienter, som i forvejen er velbehandlede på et tilsvarende lægemiddel (analogskift)*". Danske Patienter er af den opfattelse, at der kan være signifikante forskelle på effekt- og bivirkningsprofil for forskellige biologiske lægemidler trods samme virkningsmekanisme. Derfor påpeges det, at velbehandlede patienter på én virkningsmekanisme bør forblive på det oprindelige lægemiddel, indtil effekt, bivirkninger eller patientpræferencer tilsiger skift til andet lægemiddel. Vi finder, at det vil være etisk uforsvarligt at tvangsskifte velbehandlede patienter alene ud fra en økonomisk betragtning. (Analog)skift bør under alle omstændigheder kun ske med patientens fulde samtykke.

I afsnit 1.3. bør det fremhæves, at når det gælder "*et medlem fra en patientforening*" menes der et medlem, som repræsenterer en relevant patientforening inden for det terapiområde, som fagudvalget dækker, og ikke en person, som har medlemskab af en patientforening.

Afsnit 1.4. omkring tidsrammen: Det forekommer meget optimistisk, at en behandlingsvejledning skal kunne udarbejdes på ned til 8 måneder, når

man tager de mange analyser og processer i betragtning. Generelt er de metoder, der bliver anvendt, ret omfattende og ressourcekrævende, og det kan få den betydning, at der går (for) lang tid mellem revurderingerne. Det gælder især på sygdomsområder, hvor forskningsaktiviteten er stor, fx kardiologi. Her har Dansk Cardiologisk Selskab (DCS) etableret et stort arbejde med at systematisere revurdering af evidens og udgiver årlige opdateringer af deres nationale behandlingsvejledning (NBV). Man kan frygte, at der opstår uoverensstemmelser mellem Medicinrådets anbefalinger og DCS' NBV og lignende vejledninger. Det kan skabe forvirring blandt klinikere og patienter og samtidig betyde, at patienterne ikke bliver behandlet i henhold til nyeste anbefalinger. Danske Patienter bifalder den systematiske tilgang med anvendelse af robuste og validerede metoder til at vurdere lægemidlers effekt og bivirkninger, men det er vigtigt, at Danske Regioner gør sig overvejelser omkring, hvordan man vil håndtere problemstillinger som den ovenstående uden at gå på kompromis med hverken hurtig ibrugtagning af virksom medicin eller robuste analyser.

I afsnit 2.2. bør det præciseres, hvordan patientrepræsentanten i fagudvalget eller det faglige forum udpeges. Det kunne eksempelvis ske gennem Danske Patienter eller den respektive patientforening. Det kan med fordel præciseres, hvilken rolle denne patientrepræsentant – og i den sammenhæng patientpræferencer generelt – skal have i vurderings- og beslutningsprocessen. Derudover foreslås det, at sekretariatet udpeger en sekretær eller referent til fagudvalget.

Til afsnit 2.3. foreslår Danske Patienter, at:

- Det formuleres, at *der afholdes møder efter behov i fagudvalget, dog minimum ét møde pr. kvartal* i stedet for den nuværende formulering om 4-6 møder, da det pt. ikke er klart, om det er møder pr. år eller anden enhed, der menes.
- Ordet *medicinsk* streges i følgende sætning: *"Beskrivelse af hvilke andre lægemidler eller former for medicinsk behandling, som kan forventes at blive anvendt samtidig/forventes at føre til et lavere forbrug af andre lægemidler/tillægsterapier ..."*.
- Det på s. 8 (om udformning af overblik over lægemidlets egenskaber) under første punkt vedr. dosering, forventet behandlingstid mv. tilføjes sætning om *gentagne behandlinger*, da det for patienter med kroniske sygdomme er relevant at vide, hvor hyppigt de skal modtage behandling.
- Det på s. 8 (om udformning af overblik over lægemidlets egenskaber) under sidste punkt vedr. konsekvenser af væsentlige bivirkninger tilføjes sætningen *"efter såvel kortvarigt som langvarigt brug"*. Dette er vigtigt for patienter med kroniske sygdomme.
- Der i afsnit 2.3.1. tilføjes *"samt andre vigtige patientperspektiver, fx i forhold til compliance og patientsikkerhed"*.

I afsnit 3.0. ønskes tilføjelse, således at sætningen i pkt. 2 på s. 10 lyder: *"Lægemidlernes/tillægsterapiernes karakteristika (kortfattet)"*. Samtidig bør der laves en tilføjelse på s. 11, således at *protokollen, der skal godkendes af Medicinrådet indeholder aspekter om både patientcentrerede kliniske faglige og kliniske praktiske forhold*. Det patientcentrerede perspektiv foreslås ligeledes inkluderet i formuleringerne i afsnit 3.1.

I afsnit 4.1.1 formuleres: *"Som supplement til den systematiske litteratursøgning, inviteres leverandørerne til at bidrage med primærlitteratur omhandlende deres eget lægemiddel"*. Ændringsforslag: Som supplement til den systematiske litteratursøgning, inviteres leverandørerne til at bidrage med primærlitteratur omhandlende deres eget lægemiddel/tillægsterapi.

I afsnit 4.3.1 formuleres på side 21 næstsidste afsnit: *"Såfremt retningslinjen kan bruges til andet end blot supplerende referencer, tager fagudvalget nu stilling til hvilke kliniske spørgsmål, der er dækket i den pågældende retningslinje"*. Danske Patienter foreslår: Såfremt retningslinjen kan bruges til andet end blot supplerende referencer, tager fagudvalget nu stilling til hvilke kliniske samt patientfokuserede spørgsmål, der er dækket i den pågældende retningslinje.

I afsnit 4.6.2 formuleres: *"Er den forventede andel under 80-90 % skal dette kort begrundes"*. Vi finder, at udgangspunktet for valg af behandling skal ske ud fra et patientperspektiv, hvorfor det synes irrelevant at angive en procentandel.

I afsnit 4.6.3 foreslår Danske Patienter patientpræferencer inkluderet i formuleringerne.

I afsnit 4.6.4 foreslås det, at et lægemiddel/en behandling godt kan prioriteres højere, hvis patientpræferencer taler for det.

I afsnit 4.6.6 anerkender Danske Patienter inklusionen af *"patientens præferencer"* under overskrifterne *"Overvej"* og *"Anvend ikke rutinemæssigt"* og foreslår samme formulering tilføjes under overskriften *"Anvend ikke"*.

I afsnit 5.2 formuleres: *"Monitoreringen skal udmønte sig i regelmæssige monitoreringsrapporter, der sendes til de regionale lægemiddelkomiteer samt ledelser i regioner og på hospitaler"*. Danske Patienter foreslår af hensyn til transparens at rapporterne også deles i de enkelte fagudvalg. Allerhelst så vi, af samme hensyn, at rapporterne var offentligt tilgængelige. Det er ligeledes væsentligt, at monitoreringen løbende drøftes i Medicinrådet med henblik på at opnå viden om, hvorvidt der er overensstemmelse mellem Medicinrådets anbefalinger og den faktiske anvendelse af lægemidler. Herved opnår Medicinrådet viden om, hvorvidt rådets anbefalinger reelt har indflydelse på praksis (for meget, for lidt, for uensartet brug af lægemidler).

I afsnit 6.1 formuleres: *"Sproget og det faglige niveau i fælles regionale behandlingsvejledninger skal generelt henvende sig til sundhedsprofessio-*

nelle". Ændringsforslag: Sproget og det faglige niveau i fælles regionale behandlingsvejledninger skal generelt primært henvende sig til sundhedsprofessionelle, sekundært til øvrige interessenter herunder embedsmænd, politikere og patientforeningsrepræsentanter.

Side 8/8

#### Metodevejledning for omkostningsanalyser af nye lægemidler og indikationer i hospitalssektoren

Det er positivt, at patientomkostninger forbundet med lægemiddelbehandlingen skal inkluderes, som det fremgår af afsnit 2.6.2. Ligeledes er det positivt, at omkostninger til bl.a. praktiserende læge og hjemmepleje medtages i det sundhedsøkonomiske perspektiv. Det er dog højst problematisk, at man ikke ønsker at inddrage tabt arbejdsfortjeneste som følge af sygdom/tidlig tilbagetrækning fra arbejdsmarkedet. Erfaringer fra både NICE og Sverige har vist, at dette er højst relevant, jf. bl.a. Weinstein og Brouwer. Hvis man anlægger et samfundsøkonomisk perspektiv, som der lægges op til i høringsmaterialet, bør dette inkludere samtlige markante indirekte omkostninger.

Derudover ønsker vi, at pårørende-omkostninger inddrages i det sundhedsøkonomiske perspektiv, da undersøgelser viser, at disse udgør en markant del af det samlede økonomiske billede.

Med venlig hilsen



Morten Freil

Direktør