

Helse- og omsorgsdepartementet  
Postboks 8011, Dep.

0030 Oslo

Deres ref.: 13/3927-

Vår ref.: 27292/CQ/kb

Oslo, 14.01.2014

### **Innspill til høring om Endring i blåreseptforskriften**

LMI vil med dette gi følgende kommentarer til høringen om endring i blåreseptforskriften. LMI mener at i det videre arbeidet med å forbedre blåreseptforskriften er det viktig å ta hensyn til at:

- **Lik tilgang til viktige legemidler sikres best gjennom ordningen forhåndsgodkjent refusjon med tydelige refusjonsvilkår**
- **Individuell refusjon er et sikkerhetsnett tiltenkt enkeltpasienter med behov for behandling med legemidler som ikke har forhåndsgodkjent refusjon**
- **Kostnadseffektivitetsvurderinger er ikke egnet for enkeltpasienter/små pasientpopulasjoner og er beheftet med vesentlig usikkerhet og vil i tillegg forsinke disse pasientenes tilgang til ny behandling**
- **Betalingsvillighet for medisinsk behandling i Norge er ikke en offentlig godkjent og fastlagt størrelse**
- **Den foreslåtte endringen bør være gjenstand for en bredere politisk vurdering innenfor rammen av den varslede legemiddelmeldingen sammen med flere andre forslag til endringer jf. Overføringen av finansieringsansvar fra folketrygden til sykehusene**

LMI mener det er positivt at høringsutkastet legger opp til at skillet mellom § 3a og 3b faller bort, og legger opp til at det nye regelverket ikke skal implementeres før 1. januar 2015. Dette vil sikre tid til å informere om endringer i ordningen til de berørte aktørene og at de nødvendige systemer er på plass ved implementering. LMI er enig i at *«Den foreslåtte ordningen vil i større grad enn i dag sikre brukerne rettigheter i henhold til de mål som er satt for refusjonsordningen og legge til rette for en helhetlig blåreseptordning»*.

**Dette forutsetter at tilgang til viktige legemidler blir sikret gjennom ordningen forhåndsgodkjent refusjon med tydelige refusjonsvilkår.** Forhåndsgodkjent refusjon sikrer norske pasienter dekning av nødvendige legemiddelutgifter og lik tilgang til viktige legemidler på en enkel måte. Klare refusjonsvilkår gjør ordningen mer målrettet og bidrar til å oppnå riktigere legemiddelbruk. Samtidig

er det viktig at alle refusjonsordninger også har som mål å være enkle å praktisere og lett tilgjengelig for pasient, lege, apotek, Statens legemiddelverk og HELFO.

### **Individuell refusjon - et sikkerhetsnett for den enkelte pasienten**

Ordningsen med individuell refusjon er ment å være tiltenkt de små pasientpopulasjonene. Gjennom individuell refusjon får enkeltpasienter refundert sine utgifter i de tilfeller de har behov for legemidler som ikke har forhåndsgodkjent refusjon. Årsaken til dette behovet kan være flere og ulike fra pasient til pasient. LMI mener at den individuelle refusjonsordningen ikke bør være et bærende element i refusjonspolitikken. Utstrakt bruk av ordningen vil kunne føre til ulik tilgang til viktige legemidler for norske pasienter avhengig av bosted, kunnskap om reglene og egne ressurser.

Hensiktsmessig bruk for disse legemidlene kan sikres ved å benytte forhåndsgodkjent refusjon på §2 med presise vilkår og kriterier i større grad, samt at rekkefølgen i behandlingsalternativer presiseres som 1. linje, 2. linje etc.

### **Usikkerhet ved kostnadseffektivitetsvurderinger på små pasientpopulasjoner**

Å gjøre kostnadseffektivitetsvurderinger av preparater ment for små populasjoner er beheftet med vesentlig usikkerhet. Helseøkonomiske vurderinger på populasjonsnivå lar seg ikke uten videre overføre til individnivå. Det kan være at pasienten lider av en sjelden sykdom eller at pasienten ikke responderer på standardbehandling og derfor bør få mulighet til å prøve behandling som ikke er forhåndsgodkjent. Disse effektene og behovene er utfordrende å inkludere i kostnadseffektivitetsvurderinger på en robust måte.

En kostnadseffektivitetsvurdering kan potensielt ta lang tid å gjennomføre og er ressurskrevende både for Statens legemiddelverk og produsent, og fører til forsinket tilgang til pasienter. LMI mener derfor at forslag til endring i § 3d fratras pasientene en rett til individuell behandling i påvente av en HTA og bør fjernes.

Det å utsette en avgjørelse om individuell refusjon for alle pasienter inntil en vurdering foreligger strider dessuten mot intensjonen bak ordningen med individuell refusjon. Behandlinger som refunderes på individuell refusjon er ofte kostbare og brukes mot alvorlige sykdommer. En generell utsettelse av alle individuelle refusjonssøknader inntil en vurdering foreligger, vil derfor fratras pasienter en rettighet de har i dag uten at dette er begrunnet ut i fra legemidlets egenskaper, pris eller pasientens behov. En slik praksis vil være å forskuttere en negativ vurdering og kan få store negative konsekvenser for pasienter som venter på potensiell livsviktig behandling.

Videre i § 3d står det «Hvis Statens legemiddelverk har foretatt en kostnadseffektivitetsvurdering skal vilkår settes på grunnlag av denne». Betydningen av dette er uklart. Dette kan innebære at det kun er de legemidler som er funnet kostnadseffektive til en gitt pasientpopulasjon, med eventuelle vilkår og som ligger i HOD i påvente av forhåndsgodkjent refusjon, som kan innvilges på § 3. Da vil dagens individuelle vurdering for pasienter som faller utenfor dette ekskluderes. Det samme vil gjelde dersom § 2 er innvilget og pasienten faller utenfor vilkårene. Hvis SLV har funnet at et legemiddel ikke er kostnadseffektivt for en gitt pasientpopulasjon, kan det synes som at individuell vurdering ikke blir mulig. Dermed vil pasienter med behov for viktig medisinsk behandling ikke ha et sikkerhetsnett når § 5.22 bortfaller.

**LMI mener derfor at forslaget i § 3 d) må fjernes.**

Se uthevet tekst nedenfor.

**§ 3. Stønad til legemidler etter individuell søknad**

*Det ytes stønad til legemidler etter individuell søknad for bruk som ikke er omfattet av § 2 dersom følgende vilkår er oppfylt:*

*d) De forventede kostnadene ved legemidlet står i et rimelig forhold til legemidlets nytte. Hvis Statens legemiddelverk har foretatt en kostnadseffektivitetsvurdering skal vilkår settes på grunnlag av denne. For andre legemidler skal Helsedirektoratet sikre at nødvendige kostnadseffektivitetsvurderinger blir gjennomført. Avgjørelse av søknad om stønad kan utsettes inntil det er gjennomført en vurdering av forholdet mellom legemidlets nytte og kostnad.*

**Behov for tydelige prosesser og beslutningsansvar**

Det er avgjørende med en prosess med klare tidsrammer og tydelig beslutningsansvar (slik som ved søknad om forhåndsgodkjent refusjon). Fravær av tydelig prosess og ansvarsfordeling kan lett føre til at pasientene får forsinket tilgang til kostnadseffektiv behandling.

**Betalingsvillighet for behandling er ikke en offentlig fast størrelse**

LMI mener at det er legitimt å vurdere kostnader i forbindelse med individuell refusjon, men etterlyser en grundigere redegjørelse for, hvordan dette skal praktiseres, hvem som skal bestemme betalingsvilligheten og hvordan. Dette er særskilt viktig å ta hensyn til når det gjelder behandling av pasienter som ikke har noen alternativer.

Ordningen med individuell refusjon omfatter også sårbare grupper med sjeldne, alvorlige sykdommer. Europeiske legemiddelmyndigheter har flere insentiver for å stimulere til forskning og utvikling på legemidler til sjeldne og alvorlige sykdommer, og da er det også viktig med finansierings- og refusjonssystemer som sikrer at pasientene får tilgang til disse medisinene. Ordningen med individuell refusjon sikrer også at pasienter som ikke har oppnådd behandlingsmålet med/og eller ikke tolererer forhåndsgodkjente legemidler får tilgang til ny og medisinsk forsvarlig legemiddelbehandling.

Kostnadseffektivitet er et av de tre offisielle prioriteringskriteriene i Norge, men det er ikke fastsatt noen offentlige grenser for betalingsvillighet. «Norheimutvalget», som vil avgi sin innstilling 15. september 2014 er gitt en meget konkret oppgave i å vurdere om det bør innføres grenser for hva som er et rimelig forhold mellom kostnader og effekt.

Utvalget skal gi en vurdering av bruk av QALYs som metode for å vurdere nytte på en systematisk og konsistent måte, samt behovet for å gi valide anslag for verdsetting av helsetilstander og helseforbedringer. Utvalget skal vurdere hvorvidt det bør innføres grense(r) for hva som menes med et rimelig forhold mellom kostnad og effekt og hvorvidt det bør være en eller flere grenser avhengig av prioriteringssituasjonen." LMI mener det derfor er hensiktsmessig at man ikke konkluderer i det samme spørsmålet og endrer ordningen med individuell refusjon ved å innføre en praksis før Norheimutvalget har fremlagt sin vurdering. I tillegg bør dette avklares politisk som en naturlig del av legemidlemeldingen.

## Ny legemiddelmelding

Den varslede legemiddelmeldingen skal stake ut legemiddelpolitikken for årene som kommer. Den foreslåtte endringen i ordningen for individuell refusjon bør være gjenstand for en bredere politisk vurdering innenfor rammen av den varslede legemiddelmeldingen. Endringen bør også ses i sammenheng med andre forslag til endringer på legemiddelområdet. Overføring av finansieringsansvar fra Folketrygden til spesialisthelsetjenesten er et eksempel på et annet forslag til endring som skal bøte på problemet med forskrivning av enkeltlegemidler til mange pasienter over individuell refusjon.

## Krav om alvorlighet

Det er ikke klart i et norsk prioriteringsperspektiv om hvilke prinsipper som skal ligge til grunn for alvorlighetskriteriet. Svært mange av de sjeldne sykdommene der behandlingen refunderes gjennom den individuelle refusjonsordningen er alvorlige. Spørsmålet har reist krevende debatter om alvorlighetskriteriet og foreløpig uten entydige svar. Eksempel på kompleksiteten på dette spørsmålet kan beskrives som følger:

*For å kunne svare på denne prioriteringen, må vi også kunne svare på om samfunnet skal rette ressursene og prioritere helseintervensjoner med størst helse nytte eller til de som er dårligst stilt? I den sammenheng er det svært viktig å ha klare kriterier for hvordan samfunnet definerer de som er dårligst stilt /alvorligst syke. Er dette de med færreste QALY? – er QALY som metode den best egnende måten å besvare dette spørsmålet på? Er det de som har færrest QALY igjen i fremtiden, eller færrest QALY i et livsløpsperspektiv?*

*Dårligst stilte = de med lavest kvalitetsjustert forventet levetid (QALE)*

*eller er*

*Dårligst stilte = de med størst absolutt prognosetap (QALY tap)*

Andre viktige elementer ved vurdering av individuell refusjon er behov. Der er alvorlighet som diskutert ovenfor viktig, men et annet element er også hvor raskt pasienten behøver tilgang til behandling.

All den tid samfunnet ikke har fått svar på disse spørsmålene på en åpen og entydig måte og i hvilken grad man er villig til å tolerere lavere kostnadseffektivitet for intervensjoner rettet mot de dårligst stilte eller dårligst stilte med sjeldene sykdommer, er det vanskelig å se at det er hensiktsmessig å innføre strenge krav om kostnadseffektivitetsvurderinger inn i en individuell refusjonsordning som nettopp har som formål å være et sosialt sikkerhetsnett for de dårligst stilte.

## Samfunnsøkonomi vs. foretaksøkonomi og silobudsjettering ved overføring av legemidler fra individuell refusjon til spesialisthelsetjenesten

I høringsnotatet pekes det på forslag og utredninger som pågår om en utvidet overføring av finansieringsansvar for legemidler til spesialisthelsetjenesten for å redusere uønskede vridninger. Dette forslaget kan gi en stor risiko for å redusere ønsket bruk av legemidler som i dag er på forhåndsgodkjent refusjon ved at RHF-ene i for stor grad tenker på eget budsjett når legemidler skal

forskrives. Det kan føre til at norske pasienter ikke får tilgang til behandling som er kostnadseffektiv i et samfunnsperspektiv fordi de påfører sykehusbudsjettet kostnader. En overføring kan også føre til regionale forskjeller ved at pasienter som sokner til et sykehus får tilbud om behandling, mens pasienter som blir behandlet ved et annet sykehus, med strammere budsjetter, ikke får det samme tilbudet.

### **Finansieringssystemene må sikre pasienter lik, sikker og god tilgang til riktig medisinsk behandling**

LMI mener at det sentrale med legemiddelbehandling er medisinsk riktig forsvarlig bruk av legemidler. Deretter er det viktig at pasienter får lik, sikker og god tilgang til legemidler. Finansieringssystemene må støtte opp under disse målsettingene og evne å sikre riktig medisinsk behandling til norske pasienter og riktig bruk av samfunnets ressurser. Bevilgninger i folketrygden er direkte øremerket til legemidler, og sikrer dermed målrettet og hensiktsmessig bruk. Hvis disse midlene kun legges inn i basisrammen til RHFene vil det dermed være opp til sykehusene og deres økonomi hvordan disse midlene benyttes.

Utviklingen av nye legemidler går mer og mer i retning av at mange legemidler får flere ulike indikasjoner, og det vil være mange tilfeller der samme legemiddel benyttes av spesialisthelsetjenesten for en indikasjon, men også av fastleger for en annen indikasjon. Det er derfor viktig at finansierings- og refusjonsordningene er fleksible nok og presise nok til å ta høyde for dette.

### **Pasientrettigheter**

LMI mener videre at pasientrettigheter som er etablert ved individuell refusjon bør ivaretas og ikke svekkes ved at det i større grad er RHFenes finansielle situasjon som skal avgjøre legemiddelbruken. Ordningen med individuell refusjon omfatter sårbare grupper med sjeldne, alvorlige sykdommer. Dersom et kreftlegemiddel overføres til helseforetakene, og har flere andre ulike bruksområder, vil pasientene kunne miste det sikkerhetsnettet muligheten for individuell refusjon/forhåndsgodkjent refusjon gir for disse andre bruksområdene. Dette er trolig lite hensiktsmessig, og sykehusene har i dag ikke finansieringssystemer eller andre administrative systemer for å håndtere en slik bruk. Disse mulighetene er derimot allerede etablert og fungerer i folketrygden sine systemer. LMI mener at det bør utføres en vurdering om «sørge for ansvaret» er en like sikker pasientrettighet som individuell refusjon. LMI mener de juridiske og økonomiske konsekvenser må utredes bedre.

### **Oppstart av behandling**

I høringen legges det opp til at behandlingen skal være instituert av spesialist eller sykehus eventuelt telefonkonsultasjon mellom instituerende lege og spesialist/sykehusavdeling. Helsedirektoratet kan for bestemte legemidler gjøre unntak fra dette. LMI mener her at i henhold til samhandlingsreformen og dens formål om å overføre mest mulig behandling til kommunehelsetjenesten, burde hovedregel være at det er behandlende lege som kan søke individuell refusjon for pasienten uavhengig av spesialitet. Deretter bør det eventuelt gjøres restriksjoner for enkelte legemidler som krever instituering av spesialist, altså omvendt ordning av forslaget. Dagens og den foreslåtte ordning gir mulighet for store geografiske forskjeller og dermed ulik tilgang på behandling som er i strid med intensjonen til refusjonsordningene.

### **Krav til den vitenskapelige dokumentasjonen for effekt**

I høringsutkastets andre avsnitt 5.2.2 presiseres det følgende:

*«Det vil si at det for individuell stønad ikke stilles strengere krav til den vitenskapelige dokumentasjonen for effekt enn ved vurdering av markedsføringstillatelse, og HELFO gjør i disse tilfellene ikke noen nærmere vurdering av effektdokumentasjonen.»*

Videre står det i andre avsnitt på neste side (samme kapittel):

*«For legemidler som er anbefalt benyttet i offentlige behandlingsretningslinjer for behandling ved den aktuelle diagnosen anses dokumentasjonskravet som oppfylt uten at HELFO foretar ytterligere vurdering. Dette er videreføring av gjeldende praksis.»*

LMI anmoder at det her må presiseres hvilket mandat HELFO skal ha i forhold til vurdering av effekt. Slik systemet fungerer i dag er oppdatering av retningslinjer ofte en tung og tidkrevende prosess, og det kan gå lang tid mellom hver gang de oppdateres. Dette medfører at retningslinjer raskt kan bli utdaterte. Dersom man sidestiller effektiviteten fra retningslinjer med en markedsføringstillatelse, kan dette undergrave godkjenningsordningen for legemidler. Dermed kan en situasjon oppstå der retningslinjene omtaler såkalt «*off-label bruk*», men ikke er oppdatert med nyere informasjon om markedsføringstillatelser gitt etter siste revidering. Anbefalingene i retningslinjene kan dermed sidestille, eller til og med anbefale «*off-label bruk*» fremfor bruk av et legemiddel med godkjent markedsføringstillatelse for det aktuelle bruksområdet. LMI anmoder her om at det presiseres at den omfattende vurderingen av effekt gjennom en oppnådd markedsføringstillatelse ikke kan settes til side for anbefalt «*off-label bruk*» beskrevet i retningslinjer.

Spørsmålene som drøftes er politisk kontroversielle og griper direkte inn i pasienters rettigheter og organisering av helsetjenesten. Bør derfor løftes til politisk behandling i legemiddelmeldingen.

Med vennlig hilsen

**Legemiddelindustrien (LMI)**



Karita Bekkemellem

Administrerende direktør



Karianne Johansen  
Seniorrådgiver