



Helse- og omsorgsdepartementet
Postboks 8011 Dep
0030 OSLO

Deres ref.:
15/3922

Dato:
18.12.2015

Vår ref.:
15/14386-2

Seksjon/saksbehandler:
Seksjon for legemiddelrefusjon/
Fredrik Holmboe

LEGEMIDDELVERKETS HØRINGSSVAR TIL – "PÅ RAMME ALVOR – ALVORLIGHET OG PRIORITERING"

Innledning

Arbeidsgruppen, under ledelse av Jon Magnussen, har gjort en nyttig oppklaring av begrepene som benyttes for å beskrive alvorlighet, og systematisk vist hvordan forskjellige mål for alvorlighet vil slå ut for forskjellige sykdomstyper; kroniske, midlertidige og dødelige. Ved å beskrive alvorlighet både tekstlig og kvantitativt, har gruppen tydeliggjort skillet mellom prioritering i klinisk praksis og prioritering på gruppenivå. Samme prioriteringskriterier benyttes på alle nivåer i helsetjenesten, men i forskjellige former, og Legemiddelverket støtter denne tilnærmingen.

Legemiddelverket vurderer legemidler for opptak i blåreseptordningen, og for innføring i spesialisthelsetjenesten. Vurderingene er basert på dagens forskriftsfestede prioriteringskriterier, og forslagene i rapporten vil derfor kunne få stor betydning for Legemiddelverkets arbeid.

I denne høringsuttalelsen vil Legemiddelverket i hovedsak kommentere utvalgets forslag ved vurderinger *på gruppenivå*.

Legemiddelverkets hovedvurdering

Magnussen-gruppen har etter Legemiddelverkets syn levert en solid rapport, og Legemiddelverket ønsker å berømme utvalget for et grundig arbeid på kort tid. Det er gjort en nyttig opprydding i de faglige begrepene og en systematisk vurdering av forskjellige mål på alvorlighet.

Brev stiles til Statens legemiddelverk. Vennligst oppgi vår referanse.



Legemiddelverket er enig i prinsippet om at alvorlighet bør påvirke hva som er et rimelig forhold mellom kostnad og nytte. For mer alvorlig sykdom bør samfunnet kunne strekke seg noe lenger for å betale for behandlingen.

Legemiddelverket er enig i at det er umulig å lage instrumenter som tar høyde for alle mulige definisjoner av alvorlighet og som samtidig er enkle å forstå. Disse to hensynene må veies mot hverandre. Arbeidsgruppen har gode argumenter for å velge absolutt prognosetap (APT), og Legemiddelverket støtter dette valget. APT ser ut til i stor grad å dekke den tekstlige forståelsen av alvorlighet, samtidig som det er forholdsvis transparent og forståelig. Legemiddelverket vil likevel understreke at dette er et verdivalg som det bør være opp til de folkevalgte å bestemme.

Legemiddelverket støtter også prinsippet bak forslaget til trappetrinnsmodell for forholdet mellom betalingsvillighet og alvorlighet. Forslaget til arbeidsgruppen kan være en rimelig tilnærming, inntil sikrere tall for Norge blir etablert, men noen justeringer bør vurderes. Legemiddelverket støtter forslaget om forskning på dette området.

Merknader til rapportens kap. 1. – 4

Arbeidsgruppens mandat ba bl.a. om en utredning av hvordan alvorlighet som prioriteringskriterium kan operasjonaliseres i ulike sammenhenger.

Arbeidsgruppen foreslår at samme prioriteringskriterier skal benyttes på alle nivåer i helsetjenesten, men i forskjellige former. Gruppen skiller tydelig mellom vurdering på klinisk nivå og på gruppenivå ved å beskrive alvorlighet både tekstlig og kvantitativt, og Legemiddelverket mener dette er hensiktsmessig. Arbeidsgruppen har kommet frem til en tekstlig beskrivelse av begrepet alvorlighet:

«Et tiltaks prioritet øker i tråd med alvorligheten av tilstanden. En tilstands alvorlighet vurderes ut fra:

- Risiko for død eller funksjonstap*
- Graden av fysisk og psykisk funksjonstap*
- Smerter, fysisk eller psykisk ubehag*

Både nå-situasjonen, varighet og tap av framtidige leveår har betydning for graden av alvorlighet. Graden av alvorlighet øker jo mer det haster å komme i gang med helsehjelp.»

Legemiddelverket støtter den tekstlige beskrivelsen av alvorlighet som arbeidsgruppen har kommet frem til, og mener denne også er nyttig som et supplement for en kvantitativ beregning av alvorlighet på gruppenivå.



I kapittel 4 har arbeidsgruppen gitt en god beskrivelse og definisjon av de faglige begrepene. Det er også laget en systematisk oversikt over hvordan de ulike målene for alvorlighet slår ut for forskjellige grupper sykdommer; kroniske, midlertidige og dødelige.

Gjennomgangen av de forskjellige målene på alvorlighet viser at APT og relativt prognosetap (RPT) best dekker den tekstlige beskrivelsen av alvorlighet. Legemiddelverket er enig i denne vurderingen.

Arbeidsgruppen ser nærmere på hvordan de to målene rangerer ulike sykdommer som er henholdsvis dødelige, kroniske og midlertidige. Rangering ved APT og RPT skiller seg særlig fra hverandre i følgende tilfeller: RPT rangerer kroniske sykdommer som oppstår tidlig og sent i livet som like alvorlige, mens APT vil rangere en kronisk sykdom som oppstår tidlig som mest alvorlig. RPT vektlegger midlertidige sykdommer som rammer sent i livet høyere enn de som rammer tidlig, mens APT vektlegger disse likt. RPT medfører at et lite tap sent i livet vil kunne bli vurdert som like alvorlig som et stort tap tidligere i livet. I motsetning til dette, vil APT vektlegge et stort tap som mer alvorlig.

Arbeidsgruppen viser at hverken APT eller RPT er aldersnøytrale, og argumenterer for at alder ikke skal være et *egent* prioriteringskriterium. Dersom et tilbud er etablert, skal behandling normalt tilbys alle som vil kunne ha nytte av det. For vurderinger på gruppenivå handler det om hvilke typer sykdommer samfunnet ønsker å prioritere. APT vil kunne være større for sykdommer som rammer yngre. Dette reflekterer at samfunnet vurderer sykdommer som mer alvorlige dersom de som rammes fratras flere gode leveår, i forhold til om de som rammes fratras færre gode leveår.

Uansett hvilket mål man velger, vil alder ha indirekte innvirkning på prioriteringer som gjøres. Legemiddelverket mener arbeidsgruppen har argumentert godt for hvorfor dette ikke er aldersdiskriminerende, men et uttrykk for at samfunnet vurderer tap av mange gode leveår som noe mer alvorlige enn tap av færre gode leveår. Samfunnet bør da kunne strekke seg noe lenger for å dekke ny, kostbar behandling. Legemiddelverket støtter arbeidsgruppens forslag, men vil påpeke at dette er et verdivalg som bør være opp til de folkevalgte å avgjøre.

Det er nødvendig å gjøre en avveining mellom et mål på alvorlighet som er fullt ut dekkende og et mål som er enkelt og transparent. Legemiddelverket støtter arbeidsgruppen i at APT i større grad enn de andre målene ivaretar viktige aspekter ved hva som oppfattes som en alvorlig tilstand, samtidig som det er forholdsvis enkelt å forstå prinsippet for beregningen. Legemiddelverket støtter prinsippet om operasjonalisering av alvorlighet på gruppenivå, og at kvantitative beregninger av alvorlighet bør baseres på APT.

Gode leveår er definert som hos Norheim-utvalget, og Legemiddelverket legger til grunn at gode leveår er det samme som kvalitetsjusterte leveår (QALY). Legemiddelverket oppfatter det slik at arbeidsgruppens forslag til beregning av APT innebærer at gode leveår ikke skal diskonteres. I følge arbeidsgruppen skal beregningen av APT gjøres med utgangspunkt i dagens standardbehandling, og ut i fra nåsituasjonen, slik at tidligere helsetap ikke inkluderes i beregningen.



Legemiddelverket deler arbeidsgruppens (og Norheim-utvalgets) syn når det gjelder forebyggende tiltak. Alvorlighet ved forebyggende tiltak bør vurderes for de som får gevinst av det forebyggende tiltaket. For begrunnelse, se eksempel til slutt i dette dokumentet.

Når det gjelder komorbiditet, er Legemiddelverket enige i at det ved tiltak på gruppenivå er naturlig å ta hensyn til tilstander som kan relateres til hovedtilstanden, men ikke tilstander som ikke kan relateres til denne.

Merknader til rapportens kap. 5 - Alvorlighetsgradens betydning i den samlede prioriteringsbeslutningen

Arbeidsgruppen argumenterer for at øvre grenser til bruk ved prioritering av helsetjenester bør ta utgangspunkt i en situasjon hvor helsetjenesten har en gitt budsjetttramme. Arbeidsgruppen viderefører Norheim-utvalgets forslag om differensierte grenser avhengig av alvorlighetsgrad, og at grensene bør fastsettes på bakgrunn av anslag på alternativkostnaden til tiltak som fortregnes ved marginale budsjettendringer. Prioriterings konsekvenser er at andre tiltak fortregnes, og det tapet som dette innebærer (alternativkostnaden) representerer kostnaden ved de nye tjenestene.

Legemiddelverket støtter dette, og mener det vil være nyttig å få empiriske data på hva alternativkostnaden og alvorlighetsgraden er for tiltak som faktisk fortregnes i helsevesenet. Legemiddelverket mener derfor det vil være viktig å få gjennomført en norsk studie for å vise empirisk hva alternativkostnaden og alvorlighetsgraden er for tiltak som faktisk fortregnes i helsevesenet slik det er gjort forsøk på i England (ref: Claxton). En slik studie må gjennomføres med et relevant perspektiv, og med forutsetninger som er overførbare til relevante beslutningssituasjoner og helseøkonomisk metode.

Legemiddelverket støtter prinsippet om at det tas hensyn til alvorlighet i prioriteringer gjennom at betalingsvilligheten for et nytt tiltak øker med tiltakets alvorlighetsgrad.

Når det gjelder numerisk vekting av alvorlighet i prioriteringsbeslutninger, viderefører arbeidsgruppen Norheim-utvalgets trappemodell. For å motvirke uheldige utslag av at små endringer i alvorlighet vil få store konsekvenser for pasientgrupper som ligger «nær trappetrinnet», innføres det flere nivåer/alvorlighetskategorier i modellen. Arbeidsgruppen mener det er tilstrekkelig med seks alvorlighetsgrupper der det ikke differensieres med hensyn til alvorlighet innad i gruppene. Alternativet, dvs. å innføre en kontinuerlig vekting, ville gi inntrykk av et høyere presisjonsnivå i alvorlighetsberegningene enn det det er dekning for. Legemiddelverket støtter prinsippet om inndeling i alvorlighetsgrupper.

Arbeidsgruppen foreslår en tabell som uttrykker forholdet mellom absolutt prognosetap og øvre betalingsvillighet for et godt leveår. Tabellen tar utgangspunkt i en øvre grense på 275 000 kroner for ett ekstra, godt leveår i den laveste alvorlighetskategorien. I den høyeste alvorlighetskategorien er den øvre grensen for ett ekstra, godt leveår 825 000 kroner. Arbeidsgruppen mener denne tabellen skal kunne brukes inntil bedre informasjon foreligger,



men understreker at det må foreligge en politisk beslutning om hvordan grensene fastsettes. Legemiddelverket støtter arbeidsgruppens forslag om eksplisitte grenser knyttet til alvorlighetsgruppene, og at denne beslutningen bør tas av de folkevalgte.

Legemiddelverket har imidlertid noen innvendinger mot tabellen og dens forutsetninger. Legemiddelverket mener det er mer hensiktsmessig at de øvre grensene for hver alvorlighetsgruppe avrundes, for eksempel til nærmeste hundre tusen, av samme grunn som at det ikke foreslås en kontinuerlig vektning av alvorlighet pga. manglende presisjonsnivå. I tillegg mener Legemiddelverket det bør vurderes å innføre flere alvorlighetsgrupper for absolutt prognosetap over 20 da det virker naturlig å være villig til å betale noe mer for APT på 40 versus APT på 20. Samtidig er betalingsvilligheten for den høyeste alvorlighetsgruppen på 825 000 kroner i overkant i forhold til dagens praksis. Dersom man velger å innføre flere klasser, vil 825 000 kroner også være noe høyt for gruppe 6. Dette skyldes at gruppen ikke lenger vil innbefatte de mest alvorlige tilfellene. Legemiddelverket mener også at det kan være nyttig om det åpnes for noe mer bruk av skjønn i de mest alvorlige særtilfellene.

Arbeidsgruppen foreslår at en beregning av APT alltid må suppleres med en kvalitativ diskusjon. Videre åpner arbeidsgruppen for å diskutere om APT har gitt plassering i rett alvorlighetsgruppe, eller om modifierende faktorer (som f.eks. usikkerhet, budsjettvirkninger, verdighet) tilsier at et annet beløp enn anbefalt maksimumsbeløp bør benyttes. Arbeidsgruppen skriver at dette skal forbeholdes de spesielle tilfellene. Legemiddelverket støtter dette.

Legemiddelverket støtter gruppen i at tiltak med store budsjettvirkninger fortrenger flere tiltak og dermed vil kunne ha en annen alternativkostnad enn tiltak med mindre budsjettvirkninger. For slike tiltak vil man derfor kunne ha lavere betalingsvillighet. Dersom det gjennomføres en norsk studie, som foreslått over, vil man få sikrere data på i hvilken grad dette er tilfelle.

Merknader til kap. 6 - Hvordan kriteriet alvorlighet kan spesifiseres i relevant regelverk, veiledere og retningslinjer

Legemiddelverket har merknader til arbeidsgruppens forslag til endring i forskrift §14-13 i forskrift av 18. desember 2009 nr. 1839 om legemidler (legemiddelforskriften). Vi kommenterer kun dette endringsforslaget, men deler av merknadene vil være relevante også for forslag til ny § 4-4 i lov 2. juli 1999 nr. 63 om pasient- og brukerrettigheter og ny § 3 i forskrift 28. juni 2007 nr. 814 om stønad til dekning av utgifter til viktige legemidler mv. (blåreseptforskriften). Legemiddelverket støtter de øvrige endringene, men har noen språklige endringsforslag (se nederst).

§14-13 i legemiddelforskriften presiserer de fire faglige kriteriene som må oppfylles for at et legemiddel skal kunne innvilges forhåndsgodkjent refusjon. Forslaget til endring er en presisering av at første ledd bokstav a (heretter kriterium a) skal foretas med utgangspunkt i



absolutt prognosetap. «*Vurderingen etter første ledd bokstav a skal foretas med utgangspunkt i absolutt prognosetap. I særskilte tilfeller hvor en vurdering etter absolutt prognosetap gir et urimelig resultat, kan likevel vilkåret anses oppfylt dersom andre relevante hensyn tilsier at forhåndsgodkjenning bør gis og vilkårene i bokstav b til d er oppfylt.*»

Det fremgår av rapporten at APT beregnes i forhold til det tilbudet pasientgruppene har i dag. Dessuten foreslår arbeidsgruppen at «*[...] vurderingen av om dette kriteriet er oppfylt for aktuell pasientpopulasjon bør ta utgangspunkt i absolutt prognosetap, men også baseres på den tekstlige beskrivelsen av alvorlighet i kapittel 4.3 samt vedtak i tidligere refusjonssaker. Arbeidsgruppen anser det som ikke hensiktsmessig å ha en nedre grense for absolutt prognosetap i slike vurderinger.*»

Legemiddelverket mener dette forbeholdet i praksis innebærer at kriterium a beregnes som APT, men som APT for ubehandlet sykdom, ikke med dagens standardbehandling.

Dersom man ønsker å forskriftsfeste at alvorlighet i kriterium a skal beregnes og vektlegges i vurderingen, sammen med tekstlig beskrivelse og tidligere vedtak, mener Legemiddelverket at APT i denne sammenhengen (kriterium a) må beregnes med utgangspunkt i *ubehandlet sykdom*.

Endringen som er foreslått medfører at kriterium a blir unødvendig komplisert, og medfører at Legemiddelverket oftere vil konkludere med at APT gir et urimelig resultat. For eksempel dersom sammenligningsalternativet er et svært effektivt legemiddel som ikke er vurdert for generell refusjon, men likevel benyttes, eller er svært effektiv kirurgi. APT vil da kunne bli så liten at det ikke lenger er alvorlig. Uten å vise til at beregningene gir et «urimelig resultat» vil kriterium a ikke være oppfylt, og man kan ikke innvilge refusjon. Dette er uheldig dersom det nye legemiddelet er marginalt dårligere, men svært mye billigere, eller dersom det er omtrent like bra og omtrent like kostbart som alternativet. Problemstillingen unngås i sin helhet dersom kriterium a tar utgangspunkt i APT ved ubehandlet sykdom.

Rapporten har diskutert bruken av APT i beslutninger, men det er i all hovedsak §14-13 første ledd bokstav d (heretter kriterium d) som er diskutert. Legemiddelverket er enige i at alvorlighet, beregnet ved APT der dagens standardbehandling tas i betraktning, bør påvirke hva et rimelig forhold er i kriterium d: «*kostnadene ved bruk av legemidlet står i et rimelig forhold til den behandlingmessige verdi og til kostnader forbundet med alternativ behandling*».

Hele forslaget til trappetrinnsmodell baserer seg på forholdet mellom alvorlighet og betalingsvillighet, og hva som er et rimelig forhold mellom disse. Legemiddelverket mener derfor at det hadde vært mer naturlig å forskriftsfeste bruk av APT for *kriterium d*.

I Legemiddelforskriften § 14-8 bokstav i) er det foreslått å bruke ordet «inkludert» i endringene, mens det i den uendrede delen av bestemmelsen benyttes ordet «inklusive». Her bør det være konsekvent ordbruk.



I Legemiddelforskriften § 14-9 foreslår Legemiddelverket følgende tekst: «*Dersom legemiddel som nevnt i første ledd har like store eller lavere kostnader og like stor eller større effekt enn sammenlikningsalternativet, og sammenlikningsalternativet har forhåndsgodkjent refusjon, behøver ikke beregning av absolutt prognosetap som nevnt i § 14-8 bokstav i) vedlegges søknaden.*»

Eksempel- beregning av gevinsten ved forebygging av sykdom

Vi tar utgangspunkt i to tilfeller der det finnes tiltak:

I et tilfelle kan tusen individer tilbys et standard forebyggende tiltak, og av disse mister likevel ett individ, til tross for det forebyggende tiltaket, 10 QALY som følge av sykdom (i forhold til gjennomsnittsbefolkningen).

I et annet tilfelle behandles ett individ for sykdom, og med dagens behandling mister denne pasienten også 10 QALY som følge av sykdommen (i forhold til gjennomsnittsbefolkningen).

Tapet for enkeltpasienten (og for samfunnet) er det samme i de to tilfellene. Standard forebygging og behandling med dagens standardbehandling gir dermed samme resultat - 10 tapte QALY sammenlignet med gjennomsnittsbefolkningen.

Dette er gitt eksisterende tiltak, men det kommer nå ny teknologi på markedet: Et nytt forebyggende tiltak som er bedre enn det gamle forebyggende tiltaket, og en ny behandling som er bedre enn den gamle behandlingen. Gevinsten for pasientene (og for samfunnet) er den samme i begge tilfellene, sykdommen hhv. unngås helt eller kureres helt. Magnussen-gruppen foreslår at det samfunnet er villig til å betale for disse to tiltakene, skal være avhengig av alvorligheten, og alvorligheten må derfor beregnes.

Absolutt prognosetap når sykdommen behandles først ved start er lik 10, dvs. den foreslåtte alvorlighetsklasse 3.

Absolutt prognosetap ved det forebyggende tiltaket kan beregnes på to måter.

- Ved å beregne alvorlighet for *kun de som får sykdommen* det forebygges mot, vil alvorligheten være den samme som over; APT lik 10 og i den foreslåtte alvorlighetsklasse 3. Betalingsvilligheten per QALY vil da være den samme enten det er for et forebyggende tiltak eller behandling.
- Ved å beregne alvorlighet for *alle som gis det forebyggende tiltaket*, vil alvorligheten bli svært lav. Dette skyldes at de aller fleste ikke får sykdommen det forebygges mot. APT vil da være lik 0,01 QALY for hvert individ i gjennomsnitt (10 QALY/1000 individer), som tilsvarer den laveste alvorlighetsklassen som er foreslått. Man vil derfor være villig til å betale mindre per QALY for forebygging sammenlignet med behandling, selv om tapet målt i antall QALY er det samme, og man forventer det samme behandlingsresultatet.



18.12.2015

15/14386-2

Seksjon for legemiddelrefusjon/ Fredrik Holmboe side 8 av 8

Legemiddelverket mener dette er et kontraintuitivt utfall. Alvorligheten, og dermed betalingsvilligheten, bør være den samme i de to tilfellene uavhengig av om tiltaket gis forebyggende eller ved sykdommens utbrudd.

Dette er ikke det samme som at kostnaden for hvert individ ved de ulike tiltakene skal være lik, tvert imot. Når 1000 pasienter må få forebyggende tiltak, i motsetning til at kun én trenger behandling ved sykdommens start, må kostnaden være tilsvarende lavere per pasient ved forebygging dersom forholdet mellom kostnad og nytte skal være akseptabelt.

Nytt forebyggende tiltak og ny behandling kurerer altså begge sykdommen (i vårt eksempel), og gir 10 vunne QALY. Dersom kostnaden for behandling er 5 000 000 kroner, gir dette en kostnad per QALY på 500 000. For at det forebyggende tiltaket skal ha samme kostnad per QALY, vil gjennomsnittlige forebyggingskostnader ikke kunne være høyere enn 5 000 NOK.

Legemiddelverket vil derfor støtte arbeidsgruppen i at det ved forebyggende tiltak er de som uten forebyggingen ville opplevet det relevante utfallet man må beregne alvorlighet for.

Vennlig hilsen
Statens legemiddelverk

Audun Hågå
direktør

Elisabeth Bryn
avdelingsdirektør

Dokumentet er elektronisk godkjent og har derfor ikke håndskrevne signaturer