

LMI innspill til Proba – svar på utvalgte spørsmål

Innledning

LMI takker for muligheten til å gi innspill under evalueringen. Evalueringen av systemet er svært viktig for LMI's medlemsbedrifter. Vi opplever at vi står midt i et paradigmeskifte innen helse og omsorg, med store fremskritt innen molekylærbiologisk- og genetisk kunnskap og digital teknologi som muliggjør stadig mer persontilpassede og avanserte behandlingsmetoder. Persontilpasset medisin er en av vår tids største medisinske gjennombrudd, og gir oss unike muligheter til å skreddersy behandling til hver enkelt pasient, og dermed oppnå større terapeutisk effekt og færre bivirkninger. Avanserte terapier som celle- og genterapier vil stille større krav til infrastrukturen for behandlingen og utfordre det tradisjonelle regulatoriske utviklingsløpet og implementering. Det er viktig at vi i fremtiden sikrer et system for nye metoder som er fleksibelt og dynamisk og som tilrettelegger for den medisinske utviklingen.

Systemet for Nye Metoder har blant annet som mål å understøtte helsepolitiske målsetninger, herunder legemiddelpolitikken og de fire legemiddelpolitiske målsetningene beskrevet i Legemiddelmeldingen. LMI ønsker å fremheve viktigheten av at disse fire målsetningene må i større grad vektlegges likt og at ikke kun lavest mulig pris, som i dag er dominerende.

Spørsmål 1: Hva er de største utfordringene for Nye metoder 5 – 10 år frem i tid?

LMI mener at utfordringene som oppleves i dag, også vil være gjeldende om 5 – 10 år. Det er derfor behov for å ta tak i og belyse dagens utfordringer for at systemet skal være rustet for å imøtekomme fremtidens problemstillinger.

Legemiddelindustrien opplever flere utfordringer ved Systemet for Nye Metoder, spesielt med hensyn til håndtering av persontilpassede- og avanserte terapier. Disse utfordringene er for ordensskyld, nevnt nedenfor i kortfattet form. Flere av disse utfordringene er komplekse og dersom det er behov for utdypning eller oppklaring rundt noen av disse punktene kan Proba ta kontakt med LMI.

- **Evaluering og godkjenning av legemidler for sjeldne sykdommer, avansert terapi (ATMP) og persontilpasset medisin** hvor dokumentasjon er begrenset (f.eks ikke-randomisert fase 1/2 studier).
- **Økt bruk av helsedata/RWE-data** ved innføring av behandlinger og oppfølging av pasienter.
- **Kombinasjonsbehandlinger:** evaluering og godkjenning av legemidler som skal kombineres med ulike behandlinger/legemiddelbehandlinger avhengig av indikasjon.
- **Diagnostiske tester** (f.eks. gensekvensering) som forutsetning for valg av behandling.
- **Alternative finansieringsavtaler/løsninger** som muliggjør tilgang for både store og små pasientgrupper, for legemidler som godkjennes innen flere indikasjoner og for legemidler som kombineres med hverandre.
- **Håndtering av usikkerhet i de helseøkonomiske analysene.** Leverandører av metodevurderinger opplever ofte, at når det er usikkerhet om valg av verdier i helseøkonomiske analyser, så benytter Legemiddelverket ofte konservative anslag basert på enkeltscenarier. Legemiddelverket velger de parameterverdiene som ofte er konservative (risikoaverse), fremfor et vektet gjennomsnitt av mulige utfall (forventningsverdier). På denne måten vurderes preferanse for risiko av SLV, og ikke beslutningstakere.

- **Flere legemidler overføres fra folketrygd- til sykehusfinansiering, medfører flere offentlige anskaffelser og anbud, hvor lavest mulig pris er hovedfokus.** Mange legemidler blir kategorisert som faglige likeverdige, samles i samme anbud uten at verdien av legemidlet og evalueringen utført av Legemiddelverket blir hensyntatt. Dette medfører ytterligere priskonkurranse. Dette kan i et langsiktig perspektiv gjøre Norge til et mindre attraktivt marked for forskningsinvesteringer og innovasjon.
- **Faglig likeverdighet:** Beslutninger om faglig likeverdighet fattes i ulike deler av systemet for Nye Metoder. Dette gjelder blant annet i finansierings- og anskaffelsesprosessene, og kan være i kontrast til regulatoriske prosesser. Dette kan medføre uheldige og uoversiktlige variasjoner med konsekvenser for kvalitet og tilgang til medikamentell behandling. Helsegevinsten i nye innovasjoner blir vurdert, og tatt hensyn til i metodevurderingene, men disse vurderingene settes ofte til side når f.eks legemidler konkurranseutsettes i anbud. Dette bidrar ikke til vedtatte legemiddelpolitiske mål om å sikre god kvalitet ved behandling med legemidler, og heller ikke til å sikre likeverdige og rask tilgang til effektive legemidler. En ensidig vektlegging av lavest mulig pris på legemidler er ikke et insentiv for å legge til rette for forskning og innovasjon i Norge. I tillegg er det eksempler på at systematisk bruk av legemidler utenfor indikasjon mens nye innovative legemidler med godkjent indikasjon ikke blir innført grunnet antagelser om faglig likeverdighet og mulighet for økonomiske besparelser. Dette utfordrer regulatoriske krav til dokumentasjon om sikkerhet, effekt og kvalitet, og bidrar til å svekke tilliten til den behandlingen man mottar i det norske helsevesenet. Faglig likeverdighet som leder til en begrensning av innføringen av nye innovasjoner og behandlingsalternativer kan medføre utfordringer for en målsetting om tilrettelegging for persontilpasset medisin.
- **Ensidig vektlegging og fokus på lavest mulig pris.** Flere eksempler på at evalueringer utført av SLV ikke blir hensyntatt i beslutninger, og at prisnotatet fra Sykehusinnkjøp vektlegges i for stor grad. Dette kan gå på bekostning av kvalitet i pasientbehandling.
- **Økt kompleksitet i systemet for Nye Metoder kan medføre potensielle utfordringer for leverandører og andre aktører i systemet.** Flere leverandører opplever allerede i dag at systemet er komplekst og utfordrende å navigere i. Det er viktig å tilrettelegge for et system som håndterer komplekse behandlinger samtidig som det må være tydelige og forutsigbare rammer for både leverandører med lokale ressurser og internasjonale ressurser. Likebehandling er et viktig prinsipp som bør vektlegges.

Oppsummert

En av hovedutfordringene med dagens system er at det ikke er rigget for å håndtere nye innovative behandlingsmetoder. For å imøtekomme den medisinske utviklingen, sikre rask og likeverdig behandling for pasienter vil det i fremtiden være behov for et system som mer er dynamisk og fleksibelt, som for eksempel utstrakt bruk av - og sømløs tilrettelegging for – nye pris- og betalingsløsninger annet enn flat rabatt.

Spørsmål 2: Har dere forslag til konkrete endringer i system for Nye metoder?

LMI har flere forslag til konkrete endringer og har strukturert forslagene i tre hovedkategorier.

1. Organisering, struktur og saksgang:

Det bør være et definert organ som sikrer overordnet eierskap og er ansvarlig for innføring og tilgang av nye metoder til norske pasienter. I dag er ansvaret pulverisert, de ulike etater gjør sine vurderinger i enkeltsaker, men følger ikke saken etter en vurdering er ferdig. Systemet er i dag seksjonert mellom instansene, og vi opplever mangel på dialog og samkjøring mellom partene. Det oppleves som om det er industrien sitt ansvar å være proaktive for å få et nytt legemiddel innført.

Det bør være en felles ambisjon, hvor ansvar og eierskap for å nå målet om å innføre nye effektive behandlinger til det beste for pasienten er tydelig plassert. Det er viktig at alle deltakende parter i systemet har et ansvar for å se helhet i systemet og vurdere egen leveranses avhengighet inn mot andre aktørers arbeid.

Kompetanse: gitt at behandlingene blir mer og mer komplekse er det viktig å vurdere riktig kompetanse inn i systemet samtidig som det er viktig å sikre effektivitet.

Tydelig og forutsigbart oppsett for samhandling, dialog og transparens i hele systemet for Nye metoder (fra metodevurdering blir bestilt og til beslutning foreligger). Vurderinger utført i systemet for Nye Metoder må være transparente. Samtidig bør begrunnelser for vurderinger i Nye Metoder være grundige og forståelige for aktørene (vurderinger utført i Bestillerforum, SLV, Sykehusinnkjøp, LIS spesialistgrupper, Fagdirektørmøter, Beslutningsforum).

Økt klinikermedvirkning i vurderinger av nye behandlingssystemer (bestilling av metodeløp, evaluering av metodevurdering og anbefalinger til implementering).

Definere tidsfrister og leveranser for de ulike metodevurderingsløpene hos Legemiddelverket og tidsfrister for hele Nye metoder prosessen. Dette omfatter fra dokumentasjon er innsendt til Legemiddelverket til legemiddel er tilgjengeliggjort for pasient, og ikke kun en tidsfrist for Legemiddelverket sitt arbeid. I dag er det en kapasitetsutfordring som følge av at alle metoder og indikasjoner skal evalueres. F. eks. det er ikke nødvendigvis at forenklet løp blir behandlet like effektivt og det er flere eksempler på at det tar lang tid å få en sak opp i Bestillerforum for revurdering. Det er manglende kapasitet hos fagdirektørene i RHF'ene, sekretariatet for Nye metoder og Beslutningsforum.

Bedre utnyttelse av pipelinemøter i regi av SLV. Ett forslag er at disse møtene kan f.eks. brukes til å diskutere valg av metodevurderingsløp for å unngå flere runder i Bestillerforum for å endre bestillingen. Det er behov for både møter og økt dialog mellom SLV, Sykehusinnkjøp og leverandør.

Leverandør bør inkluderes i produktstrategien. I dag oppleves dette som et internt arbeid mellom SLV og LIS.

Etterprøvnbarhet: Det bør være anledning til å etterprøve den helseøkonomiske evalueringen utført av SLV og beslutninger fattet av Beslutningsforum om å innføre en behandlingsmetode. Det er viktig at beslutninger er grundig begrunnet, om den er forsvarlig, saklig og i samsvar med grunnleggende anskaffelsesrettslige prinsipper. Verken leverandører, pasienter eller andre interessenter har i dag anledning til å påklage og få etterprøvd rettmessigheten av Beslutningsforums innkjøpsbeslutninger. Å få rettet eventuelle mangler/feil vil være avgjørende for å sikre systemets legitimitet. Evalueringen bør gjøre en grundig juridisk vurdering av om Nye metoder lider av rettslige mangler på grunn av fravær av grunnleggende rettsikkerhetsgarantier som vanligvis kreves oppfylt ved beslutninger om innkjøp.

Vurderinger av faglig likeverdighet innen legemiddelgrupper må tilgjengeliggjøres for å sikre transparens og åpenhet om hvilke vurderinger som blir gjort.

2. Nye innovative behandlinger krever nye evalueringsformer og pris- og betalingsløsninger:

Nye persontilpassede legemidler/sjeldne sykdommer og ATMP vil ha begrenset dokumentasjonsgrunnlag sammenlignet med mange av dagens innførte behandlinger. Dette fordrer at systemet for Nye Metoder må tilrettelegge for ulike innføringsmodeller og evalueringer. Bruk av

helsedata (RWD/RWE) vil være et viktig ledd i dette arbeidet, og systemet må tilrettelegge for økt bruk av RWE-data i de helseøkonomiske vurderinger for å redusere usikkerhet i beslutningsgrunnlaget. En løsning kan være å ta i bruk midlertidig finansieringsløsninger for nye behandlinger hvor dokumentasjon er begrenset, med oppfølgende evalueringer i etterkant ved bruk av RWE data.

Økt bruk av forventningsverdier, fremfor vektlegging av ett scenario vil også være viktig. Håndtering av usikkerhet i SLVs analyser er i dag uklart (oppfattes som betydelig risikoovers) og det er ikke transparent/tydelig hvordan usikkerhet vektlegges i Beslutningsforums vurderinger. Særlig parameterusikkerhet tilknyttet langsiktige estimater for helseeffekter kan spille en vesentlig rolle i vurderingene, da mange analyser har tidshorisont utover det eksisterende datagrunnlaget.¹ Den legemiddeløkonomiske analysen bør ha som formål å opplyse beslutningstager om kostnadseffektiviteten ved et legemiddel. Deretter må det være opptil beslutningstaker å vurdere preferanse for risiko basert på en objektiv analyse.

3. Implementering er en viktig del av systemet for Nye Metoder:

Verdien av nye innovative behandlinger bør vektlegges i offentlige anskaffelser og evalueringen utført av SLV må hensyntas i beslutning, og implementering. I dag oppleves det til tider som et todelt system med SLV på den ene siden og Sykehusinnkjøp på den andre siden, og at vurderingene på hver side spriker.

Spørsmål 3: Forslag til konkrete spørsmål som kan stilles i intervjuene?

For hver enkeltsak vil brukerrepresentant, kliniker og leverandørrepresentant bli intervjuet.

- **Spørsmål til saksprosess**
 - Har prosessene i Nye Metoder fungert som det skal i denne saken? Hva har fungert godt og hva har vært utfordrende?
 - Hvordan har dialogen i Nye Metoder gått? Skrives det referat? Har det vært forutsigbart hva som kommer?
 - Hvordan opplever dere håndtering av innspillsdokumentene: For Beslutningsforum og før Bestillerforum.
- **Spørsmål til prosess hos Legemiddelverket**
 - Hvordan har kommunikasjonen med Legemiddelverket vært? Har dere hatt en gjensidig forståelse for hvordan saken kan løses? Har det vært noen overraskelser i saken? Hvordan har klokkestopp situasjoner blitt håndtert? Finner dere igjen i rapporten at klokkestoppen var viktig/løste den noe viktig? Hvordan ble usikkerhet håndtert?
- **Spørsmål til prosess hos Sykehusinnkjøp**
 - Hvordan oppleves kommunikasjonen med Sykehusinnkjøp?
 - På hvilket tidspunkt ble Sykehusinnkjøp koblet inn i saksbehandlingen?
 - Hvordan oppleves dialogmøtene og/eller forhandlingsmøtene vært?
 - Har Sykehusinnkjøp vært villige til å vurdere nye pris og innkjøpsmodeller?
 - Har Sykehusinnkjøp tatt initiativ til og utarbeidet løsninger for alternative pris- eller innkjøpsmodeller?
- **Annet**

¹ <https://www.dagensmedisin.no/artikler/2021/01/19/riktig-beslutningsgrunnlag/>

- Det som er lovfestet, skal tas som premisser for evalueringen. Med henvisning konkret til saken vi diskuterer: Hva i lovfestingen rundt Nye Metoder gjør saken enklere og hva er til hinder?