



Danske Regioner

tad@regioner.dk

Høje Taastrup, 23. september 2019

Bemærkninger til høring vedr. ændring af Medicinrådet

Sjældne Diagnoser takker for muligheden for at fremsætte bemærkninger til de påtænkte ændringer af Medicinrådet. Som medlemmer af Danske Patienter står vi fuldt ud bag Danske Patienters høringsvar. Nærværende bemærkninger skal ses som uddybninger / tilføjelser til dette.

Sjældne Diagnoser har også tidligere fremsendt bemærkninger til den evaluering, der ligger til grund for de påtænkte ændringer, jf. vores bemærkninger af 7. juni 2019. En række af disse bemærkninger er stadig aktuelle.

Hidtidige og nye ændringer – og effekter af metodeændringer

Danske Regioner anerkender, at lægemidler til små patientgrupper har svært ved at blive anbefalet – det er en vurdering, vi deler. Men vi deler *ikke* Danske Regioners opfattelse af, at der med de ændringer, der tidligere er foretaget af metodehåndbogen med bl.a. medicin til små patientgrupper in mente, er sket væsentlige tilpasninger til de særlige vilkår, der er gældende for disse lægemidler. Der er brug for en samlet analyse med deraf følgende ændringer. Derfor er vi også skeptiske overfor, at der først ultimo 2020 ses nærmere på de effekter, metodeændringerne måtte have (pkt. 5). Det er i øvrigt uklart, om der refereres til de allerede gennemførte metodeændringer eller til dem, der påtænkes gennemført i de kommende måneder og år.

Risikoen ved først ultimo 2020 at se nærmere på eventuelle effekter er, at praksis på sjældne-området "fastfryses", selvom der, i vores optik, langt fra er tale om tilstrækkelige metodeændringer. Det kan betyde, at patienter med sjældne sygdomme ikke får tilstrækkelig adgang til ny og innovativ behandling til alvorlige sygdomme, hvor der ofte ikke eksisterer andre behandlingsmuligheder.

Sjældne Diagnoser opfordrer derfor Danske Regioner til at hæve ambitionsniveau og tempo, når det gælder metodeudvikling omkring vurdering af medicin til meget små patientgrupper.

QALY, sjældne-QALY og/eller kvalitativt grundlag?

Det er positivt, at der med de påtænkte ændringer åbnes op for at træffe afgørelser på et kvalitativt grundlag og en højere grad af protokolleret ibrugtagen (pkt. 1, 4 og 5). Men dels er vi i tvivl om, hvad der egentlig foreslås og dels mener vi, der er en række forhold, der bør kvalificeres og beskrives i det videre arbejde:

- Lægges der op til at anvende QALY på sjældne-området eller ej? Og, hvis ja, lægges der så op til at lave en sjældne-QALY tilpasset de særlige vilkår, der er på sjældne-området? Uanset, er det afgørende vigtigt, at eventuel anvendelse af QALY kun er ét redskab blandt flere og at der ikke opereres med hverken en officiel eller en uofficiel tærskelværdi

- Skal fremtidige afgørelser på sjældne-området træffes med en kombination af statistik/(sjældne-)QALY og kvalitativt grundlag? Eller kan man træffe afgørelser på rent kvalitativt grundlag?
- Hvad der kan accepteres i et "kvalitativt grundlag"? Det bør beskrives nærmere, eksempler på forhold, der skal foldes ud:
 - Kliniske data. Sjældne Diagnoser støtter varmt, at kliniske data skal spille hovedrollen på sjældne-området. Men vi mener også, at data skal præsenteres i kombination med faglige og kliniske vurderinger
 - Fremstilling og vurdering af kliniske data. Større vægt på kliniske data gør det endnu mere påkrævet, at det er den højeste ekspertise på området, der er inddraget. Derfor må de habilitetsproblemer, der især på et område med meget begrænset viden forekommer, konsekvent overkommes
 - Upublicerede data. Sjældne Diagnoser hilser det velkomment, at upublicerede data kan spille en større rolle. Der er behov for en konkret dialog i de enkelte tilfælde i forhold til hvilke data, der kan anvendes og hvordan de kan anvendes
 - Opprioritering af protokolleret, tidsbegrænset ibrugtagning til at fremskaffe de nødvendige data – det støtter vi varmt. Vi mener videre, at indsamling af Real World Evidence skal kunne ske over landegrænser på sjældne-området med henblik på at imødekomme sjældne-behovet om at skaffe data nok
 - Herud over kan der være problemstillinger omkring data som er publiceret, men som ikke er peer reviewed samt omkring anvendelse af abstracts mv.


Sjældne Diagnoser opfordrer Danske Regioner og Medicinrådet til at sikre en mere eksplicit beskrivelse af den fremtidige vurdering af medicin til meget små patientgrupper end der for indeværende foreligger - og på en sådan måde, at de særlige vilkår, der gør sig gældende, lægges til grund.

Det videre arbejde


Som anført indledningsvis mener Sjældne Diagnoser, der er behov for nærmere analyse og større ændringer af den måde, medicin til meget små patientgrupper vurderes på.

Sjældne Diagnoser opfordrer Danske Regioner og Medicinrådet til at indhente sjældne-erfaringer, man har gjort sig i andre europæiske lande. Vi vil også opfordre til, at alle relevante aktører inddrages, også patientrepræsentanter fra sjældne-området.

Med venlig hilsen



Birthe Byskov Holm, formand



/Lene Jensen, direktør