

Evaluering av systemet for Nye metoder i spesialist- helsetjenesten

Rapport 2021–16

Proba-rapport nr. 2021-16, Prosjekt nr. 20048

ISSN: 1891-8093

JP/AG/SH, 15. november 2021

--

Offentlig

--

Evaluering av systemet for Nye metoder i spesialist- helsetjenesten

Utarbeidet for Helse- og omsorgsdepartementet

Forord

Denne rapporten er utarbeidet i perioden oktober 2020 til november 2021 på oppdrag fra Helse- og omsorgsdepartementet.

Proba samfunnsanalyse har ledet prosjektet, som har blitt gjennomført i samarbeid med Institutet för Hälso- och Sjukvårdsekonomi (IHE) i Lund i Sverige og uavhengige norske fageksperter. Prosjektleder i Proba har vært Jens Plahte, med Audun Gleinsvik, Stian Haugen og Ane Først Juul som prosjektmedarbeidere.

Fra IHE har Jenny Norlin og Katarina Gralén vært de primære bidragsyterne, med støtte fra Peter Lindgren, Ulf Persson og Gunnar Brådvik. IHEs viktigste bidrag har vært knyttet til analyse av utfordringsbildet, beskrivelser av sammenlikningslandene, samt bearbeiding og analyse av registerstudiedataene.

De norske fagekspertene har vært Ivar Sønbo Kristiansen, Kristin Bakke Lysdahl og Aslak Syse, samt de to eksterne kvalitetssikrerne Anne Kjersti Befring og Olav Helge Førde. Fagekspertene har vært engasjert i prosjektet som enkeltpersoner, og da uavhengig av deres tilknytning til andre virksomheter.

Formelt har IHE og fagekspertene vært underleverandører, og Proba står som ansvarlig for denne rapportens innhold og konklusjoner – samt eventuelle feil.

Vi takker for verdifulle innspill og bidrag fra alle som har deltatt i intervjuer og møter, eller som har bidratt med skriftlig materiale av forskjellige slag. Vi takker også for godt samarbeid med referansegruppa i prosjektet. Til sist vil vi takke for godt samarbeid med våre oppdragsgivere i Helse- og omsorgsdepartementet.

Innholdsfortegnelse

SAMMENDRAG, KONKLUSJONER OG ANBEFALINGER	1
EXECUTIVE SUMMARY	10
1 INNLEDNING	21
1.1 BAKGRUNN FOR EVALUERINGSOPPDRAGET	21
1.2 PROBLEMSTILLINGER OG EVALUERINGSTEMAER	22
1.2.1 Avgrensninger	22
1.2.2 Forståelse og diskusjon av evalueringstemaene	25
1.2.3 Innspillene fra høringsrundene	27
1.3 RAPPORTENS OPPBYGNING	27
1.4 METODE	28
2 BESLUTNINGSSYSTEMENES UTFORDRINGER – MEDISINSK-TEKNOLOGISK UTVIKLING	31
2.1 NØDVENDIGHETEN AV Å PRIORITERE	31
2.2 FRAMTIDAS UTFORDRINGER	32
2.2.1 Et legemiddelmarked i endring	32
2.2.2 Antall produkter øker over tid	33
2.2.3 Kostnadsutviklingen i den norske helsetjenesten	35
2.2.4 Nye teknologier utfordrer beslutningssystemet	38
2.2.5 Oppsummering – utfordringsbildet	42
3 SYSTEMET FOR NYE METODER	43
3.1 HISTORIKK OG BESKRIVELSE AV POLITISK OG RETTSLIG GRUNNLAG	43
3.2 GENERELLE ORDNINGER OG INDIVIDUELLE RETTIGHETER	46
3.3 OM PRIORITERING I NORSK HELSETJENESTE	47
3.3.1 Bakgrunn	47
3.3.2 Prioriteringskriteriene	48
3.4 FINANSIERINGSSYSTEMET I SPESIALISTHELSETJENESTEN – OG PRIORITERING	50
3.5 SYSTEMAKTØRENE I NYE METODER	51
3.5.1 RHF-enes organer og aktører	52
3.5.2 Folkehelseinstituttet	53
3.5.3 Statens legemiddelverk	54
3.5.4 Helsedirektoratet	54
3.5.5 Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet	54
3.6 BESLUTNINGSPROSESSENE I NYE METODER	55
3.7 HVA ER METODEVURDERINGER (HTA)?	59
4 BESLUTNINGSSYSTEMENE I SAMMENLIKNINGSLANDENE	62
4.1 SVERIGE	62
4.2 DANMARK	63
4.3 ENGLAND	64
4.4 SKOTTLAND	64
4.5 KORT OPPSUMMERING AV LANDSTUDIENE	65
4.6 BESLUTNINGSSYSTEMENE I ET NORMATIVT PERSPEKTIV	65
4.6.1 Beslutningsorgan med hjemmel i lovgivning, pålegg eller avtaler?	67
4.6.2 Sammensetningen av beslutningsorganet	68
4.6.3 Grunnlaget for beslutninger	69
4.6.4 Hvor «bindende» er anbefalingene som gis ved metodevurderingene	70
4.6.5 Oppsummerende punkter	71
4.7 METODEVURDERINGER I NORGE OG SAMMENLIKNINGSLANDENE	73
4.8 INTERNASJONALT SAMARBEID	73
4.8.1 Innledning	73
4.8.2 FINOSE	73
4.8.3 EUnetHTA	75
4.8.4 Øvrig internasjonal samarbeid	77
5 EKSEMPELSAKER (CASE-STUDIER)	80

5.1	FORMÅL OG UTVELGELSE AV SAKER	80
5.2	AKROMIONRESEKSJON	82
5.3	FREESTYLE LIBRE	82
5.4	TAVI/TAVR	83
5.5	OCRELIZUMAB (OCREVUS) OG MS-FELTET	84
5.6	NUSINERSEN (SPINRAZA)	84
5.7	BETIBEGLOGENE AUTOTMCEL (ZYNTEGLO)	85
5.8	LENALIDOMID (REVLIMID)	86
5.9	LORLATINIB (LORVIQUA)	86
5.10	VORETIGENE NEPARVOVEC (LUXTURNA)	87
6	MÅL, ORGANISERING OG PROSESSER	88
6.1	MÅLENE FOR NYE METODER	88
6.1.1	<i>Spesialisthelsetjenesteloven</i>	88
6.1.2	<i>Oppdragsdokumentene</i>	89
6.1.3	<i>Lovforarbeidene</i>	89
6.1.4	<i>Tidligere stortingsmeldinger</i>	90
6.1.5	<i>Oppdragsbeskrivelsen for evalueringsprosjektet</i>	90
6.1.6	<i>Målforståelsen i systemet for Nye Metoder</i>	91
6.1.7	<i>Diskusjon</i>	91
6.2	BESTILLERFORUMS ANSVAR OG ROLLE	94
6.2.1	<i>Omfanget av Nye metoders oppdrag</i>	94
6.2.2	<i>Bestillerforums tilnærming for utvalgelse av saker</i>	95
6.2.3	<i>En mer «proaktiv» tilnærming til utvalgelse av ikke-legemiddel-saker?</i>	101
6.2.4	<i>Måltrengsel og utvalgelse av ikke-legemiddel-saker</i>	101
6.3	TIDS- OG RESSURSBRUK	103
6.3.1	<i>Tidsbruk – tilgang til legemidler i et utvalg land</i>	103
6.3.2	<i>Forløpsanalysen – tidsbruk i saksbehandlingen</i>	105
6.3.3	<i>Tidsbruk fra landanalysen</i>	113
6.3.4	<i>Om tidsbruk i eksempelsakene</i>	114
6.3.5	<i>Fra landanalysen – ressursbruk</i>	118
6.3.6	<i>Diskusjon – tidsbruk</i>	120
6.4	SAMHANDLING I NYE METODER	122
6.5	OVERFØRING AV FINANSIERINGSANSVAR FRA FOLKETRYGDEN	124
7	OM METODEVURDERINGER I NYE METODER	126
7.1	KRAVET OM METODEVURDERINGER AV ALLE LEGEMIDLER	126
7.1.1	<i>Veiledere og retningslinjer om metodevurderinger</i>	127
7.1.2	<i>Ulike typer metodevurderinger</i>	129
7.1.3	<i>Er metodevurderinger i samsvar med krav og føringer?</i>	131
7.2	UTVIDET BRUK AV FORENKLEDE METODEVURDERINGER?	132
7.3	UTVIDET BRUK AV FULLSTENDIGE METODEVURDERINGER?	132
7.4	RETNINGSLINJER OM DOKUMENTASJONSGRUNNLAG FOR LEGEMIDLER	133
7.5	METODEVURDERINGER FOR SMÅ PASIENTGRUPPER MED ALVORLIGE TILSTANDER	134
7.6	METODEVURDERING AV MEDISINSK UTSTYR	135
7.7	KVALITET OG INNHOLD I METODEVURDERINGENE	137
7.7.1	<i>Hvilke spørsmål bør besvares?</i>	137
7.7.2	<i>Håndtering av usikkerhet i metodevurderinger</i>	139
7.7.3	<i>Klinikere – medvirkning eller samhandling?</i>	144
7.7.4	<i>Ekstern kvalitetssikring?</i>	144
7.7.5	<i>Avveining av kvalitet og tids- og ressursbruk</i>	145
8	BESLUTNINGER, KOMMUNIKASJON, ÅPENHET OG TILLIT	146
8.1	BESLUTNINGSMYNDIGHETEN I NYE METODER	146
8.2	TRANSPARENS, LEGITIMITET OG TILLIT	148
8.3	ER BESLUTNINGENE I TRÅD MED RETTSLIGE OG POLITISKE FØRINGER?	150
8.3.1	<i>Føringer for formulering av beslutninger</i>	152
8.3.2	<i>Begrunnelser i eksempelsakene</i>	153
8.3.3	<i>Formulering av beslutninger i sammenlikningslandene</i>	154
8.3.4	<i>Drøfting og anbefaling</i>	155

8.4	OM ÅPENHET I SAKSBEHANDLINGEN	155
8.4.1	Åpenhet om priser	156
8.4.2	Åpenhet om terskelverdi for kostnadseffektivitet.....	157
8.4.3	Redegjørelse for aggregerte effekter av beslutningene	157
8.4.4	Fagdirektørenes arbeid	158
8.4.5	Åpenhet i metodevurderingene	159
8.4.6	Åpenhet og transparens fra landanalysen.....	160
8.4.7	Tilgjengeliggjøring av saksdokumenter	160
8.5	HVORDAN HÅNDBERES PÅSTANDER OM FEIL I SAKSBEHANDLINGEN NYE METODER?	161
8.6	PROSESSBESKRIVELSER OG -DOKUMENTASJON.....	162
9	MEDVIRKNING	164
9.1	BRUKERMEDVIRKNING.....	165
9.1.1	Brukermedvirkning i Nye metoder	165
9.1.2	Brukerrollen og lekmannsrollen i medvirkningen	167
9.1.3	Om brukermedvirkning i skriftlig innspill og intervjuer	167
9.1.4	Om medvirkning – fra eksempelsaker og intervjuer	168
9.1.5	Brukermedvirkning – sammenfatning og anbefaling	169
9.2	KLINIKERMEDVIRKNING.....	169
9.2.1	Klinikermedvirkning fra eksempelsakene	170
9.2.2	Diskusjon	171
9.3	MEDVIRKNING AV LEVERANDØRER	172
9.3.1	Skriftlige innspill og intervjuer.....	172
9.3.2	Leverandørmedvirkning fra eksempelsakene	172
9.4	MEDVIRKNING FRA LANDANALYSEN	173
9.5	MEDVIRKNING I ULIKE FASER	174
9.6	MEDVIRKNING PÅ SYSTEMNIVÅ.....	175
9.6.1	Referansegruppa er primært en informasjonskanal.....	175
9.6.2	Tidligere medvirkningsorganer på systemnivå i spesialisthelsetjenesten.....	175
9.6.3	Innspill fra bruker- og leverandørorganisasjoner.....	177
9.6.4	Vurdering og anbefaling	177
10	IMPLEMENTERING	179
10.1	RETNINGSLINJER OG LIS-ANBEFALINGER	179
10.1.1	Helsedirektoratets normerende produkter.....	180
10.1.2	Implementering i Helsedirektoratets retningslinjer	181
10.1.3	LIS-anbefalinger	182
10.1.4	Metoder som ikke er legemiddelbasert	184
10.1.5	Andre faglige veiledere.....	184
10.1.6	Konklusjon	185
10.2	UNNTAKSORDNINGEN I SYSTEMET FOR NYE METODER	185
10.2.1	Innledning	185
10.2.2	Unntak på gruppenivå	185
10.2.3	Unntak for enkeltpasienter	186
10.2.4	Et kritisk blikk på unntaksordningen	188
10.2.5	Diskusjon og konklusjon	191
10.3	REGISTERANALYSEN.....	192
10.3.1	Bakgrunn for studien	192
10.3.2	Metode.....	192
10.3.3	Forskningsspørsmålene	193
10.3.4	Resultater	193
10.3.5	Styrker og svakheter ved undersøkelsen	196
10.3.6	Konklusjon	197
11	ER NYE METODER RUSTET FOR FRAMTIDA?	198
11.1	FRAMTIDAS UTFORDRINGER – I ET NØTTESKALL.....	198
11.2	HVORDAN ER DAGENS SYSTEM RUSTET FOR FRAMTIDA?	199
11.2.1	Økende legemiddelkostnader.....	199
11.2.2	Økende saksmengde.....	200
11.2.3	Håndtering av medisinsk utstyr	200

11.2.4	Prisavtaler.....	201
11.2.5	Håndtering av usikkerhet – i metodevurderinger og beslutninger.....	209
11.3	DISKUSJON OG KONKLUSJON.....	209
	REFERANSER.....	211
	VEDLEGG 1: LANDSTUDIEN – BESLUTNINGSSYSTEMENE I DANMARK, ENGLAND, SKOTTLAND OG SVERIGE.....	218
	VEDLEGG 2: INFORMANTLISTE OG DELTAKERE I REFERANSEGRUPPA	252
	VEDLEGG 3: HABILITETSVURDERINGER.....	256

Tabelloversikt

Tabell 2-1: Helsetjenestens total kostnader (millioner kroner, løpende priser) fordelt etter hovedtype og år.....	35
Tabell 2-2: Spesialisthelsetjenestens kostnader (millioner kroner, løpende priser) fordelt etter år og type.....	36
Tabell 2-3: RHF-enes total kostnader og legemiddelkostnader (millioner kroner, løpende priser) fordelt etter år.....	37
Tabell 4-1. Bruk av ulike aspekter i metodevurderinger i Danmark, England, Norge, Skottland og Sverige.....	72
Tabell 5-1: Eksempelsakene. Karakteristika, utfall og evalueringstema nevnt i begrunnelse for valg av sakene	81
Tabell 6-1: Bestillerforum – antall forslag/metodevarsler og hovedkategorier av utfall. Fra 2013 til august 2021.....	98
Tabell 6-2. Fordeling av ulike beslutninger i Bestillerforum på metodetyper, alle forslag og metodevarsler, 2013 – 2021.*	99
Tabell 6-3: Saker behandlet i Bestillerforum. Antall og fordeling på sakstype, utfall og type behandling. 2013-august 2021.....	107
Tabell 6-4: Antall saker som har gjennomgått hurtig metodevurdering fordelt på type metode og utfall i beslutningsforum.....	108
Tabell 6-5: Antall saker som har gjennomgått fullstendig metodevurdering fordelt på type metode og utfall i beslutningsforum.....	108
Tabell 6-6: Antall saker som har gjennomgått forenklet metodevurdering fordelt på type metode og utfall i beslutningsforum.....	109
Tabell 6-7: Tidsbruk mellom milepæler i eksempelsakene. Antall dager	115
Tabell 7-1: Omtale og behandling av usikkerhet i eksempelsakene	141
Tabell 9-1. Medvirkning i ulike delprosesser i hurtige metodevurderinger	164
Tabell 9-2: Standarder for medvirkning i Statens legemiddelverks og Folkehelseinstituttets arbeid med metodevurderinger	165
Tabell 10-1. Innvilgede individuelle unntak, 2014–2017 og 2021.	187
Tabell 10-2. De 16 valgte diagnose–legemiddel-kombinasjoner	193
Tabell 11-1. Ikke-resultatbaserte (finansielle) prisavtaler.	202
Tabell 11-2. Eksempler på resultatbaserte prisavtaler.....	203

Figuroversikt

Figur 2-1: Antall legemidler anbefalt godkjent av EMA, 1995–2020.	34
Figur 2-2: Antall kreftlegemidler (ny aktiv substans) anbefalt godkjent av EMA, 1995–2020.	34
Figur 2-3. Sammenlikning av legemiddelkostnader med estimerte kostnader basert på maksimalpriser, 2006–2021.	38
Figur 3-1. Prosesskart, systemet for Nye metoder.	51
Figur 6-1: Antall saker behandlet i Bestillerforum, fordelt på år og metodetype (n=852)	106
Figur 6-2: Varighet av ulike faser i hurtige metodevurderinger. Saker behandlet i beslutningsforum. Medianverdier av antall dager.	110
Figur 6-3: Varighet av ulike faser i fullstendige metodevurderinger. Saker behandlet i beslutningsforum. Medianverdier av antall dager	112
Figur 6-4: Varighet av ulike faser i forenklede metodevurderinger. Saker behandlet i beslutningsforum. Medianverdier av antall dager	112
Figur 6-5: NT-rådets anbefaling innenfor rammen av Nationellt ordnat införande.....	113
Figur 9-1: Systematisk medvirkning i ulike faser i beslutningsprosessene.....	174
Figur 10-1. Panel A–H.	194
Figur 10-2. Panel I–O.....	195

Sammendrag, konklusjoner og anbefalinger

Bakgrunn

Denne evalueringen ble igangsatt gjennom et vedtak i Stortinget i forbindelse med stortingsbehandlingen av lovproposisjonen som lovfestet Nye metoder i 2019 (Prop. 55 L, 2018–2019):

Stortinget ber regjeringen å – i tråd med prioriteringsmeldingen og de vedtatte målene for legemiddelpolitikken samt premissene i Prop. 55 L (2018-2019) – sørge for en evaluering av dagens organisering av og saksbehandling i systemet for nye metoder, med hensikt å videreutvikle et system for likeverdig og rask introduksjon av nye metoder i spesialisthelsetjenesten.¹

Proba samfunnsanalyse fikk oppdraget av Helse- og omsorgsdepartementet (HOD) i oktober 2020.

Problemstillinger og evalueringstema

Evalueringen besvarer to hovedproblemstillinger:

- 1) Er dagens organisering og saksbehandlingsprosesser i systemet hensiktsmessig utformet og egnet til å oppnå de fastsatte målene?
- 2) Er systemet rustet til å møte fremtidens medisinsk-teknologiske utvikling, herunder utvikling av persontilpasset medisin?

Disse to spørsmålene er operasjonalisert gjennom elleve evalueringstema, som i kortform kan formuleres slik:

- 1) Aktørenes saksbehandlings- og beslutningsprosesser
- 2) Saksbehandling i tråd med regelverk og føringer; håndtering av feil
- 3) Samhandling og kommunikasjon mellom aktørene i Nye metoder
- 4) Åpenhet og transparens i saks- og beslutningssystemer
- 5) Utadrettet kommunikasjon og informasjonsarbeid; åpenhet om beslutninger
- 6) Medvirkning av pasienter, pårørende, fagpersoner og leverandører
- 7) Kapasitet, ressursbruk og bærekraft i organisering av systemet og i aktørene
- 8) Forutsigbarhet og likebehandling av leverandører og brukergrupper

¹ Vedtak 294. Endringer i spesialisthelsetjenesteloven og pasient- og brukerrettighetsloven (lovfesting av systemet for nye metoder m.m.). Hentet 19. september 2021 fra <https://www.stortinget.no/no/Saker-og-publikasjoner/Vedtak/Vedtak/Sak/?p=75541>.

- 9) Systemets evne til å håndtere framtidig medisinsk-teknologisk utvikling
- 10) Implementering i helsetjenesten; herunder retningslinjer og likeverdig tilgang
- 11) Unntaksordningen i systemet for Nye metoder

Mange av de nevnte temaene er delvis overlappende, og de besvares derfor ikke ett for ett, verken i dette sammendraget eller i rapporten.

De to hovedproblemstillingene angir at evalueringssoppgaven er en formativ underveisvurdering av et beslutningssystem. Det er således ikke en evaluering av systemets måloppnåelse, men en framoverskuende analyse av om organisering og prosesser er utformet på en slik måte at målene kan oppnås. Hovedmålet for evalueringen har vært å belyse hvor godt dagens system fungerer ut fra intensjoner og gitte rammer, samt å vurdere mulige forbedringsmuligheter innenfor gjeldende regulering. I tillegg har evalueringen vurdert systemets egnethet stilt ovenfor den forventede utviklingen i medisinsk teknologi og behandlingsformer. Evalueringen omfatter også en sammenlikning med tilsvarende systemer i fire andre land; Danmark, England, Skottland og Sverige.

Hovedkonklusjon

Det er bred støtte for de grunnleggende hovedtrekkene i Nye metoder – at det etableres et faglig beslutningsgrunnlag og at et myndighetsorgan skal anvende prioriteringskriteriene og det faglige grunnlaget til å ta beslutninger om hvilke metoder som skal brukes.

Likevel er det behov for endringer av Nye metoder. Blant annet kan man stille spørsmål om systemet i tilstrekkelig grad er innrettet for å oppnå målet om rask innføring av nye metoder. Videre er Nye metoder lite hensiktsmessig innrettet med tanke på å håndtere medisinsk utstyr og prosedyrer og organisatoriske tiltak. Målbildet er preget av «måltrengsel» – mange mål som samlet utgjør et urealistisk ambisjonsnivå. Vi oppfatter derfor at det er behov for nærmere anvisninger om hva Nye metoder skal brukes til.

En stor utfordring er manglende tillit mellom systemaktørene på den ene siden og eksterne interessenter på den andre. Vi anbefaler å styrke transparens og medvirkning for å forbedre tilliten mellom systemet og omverdenen.

Omfanget av igangsatte utviklingstiltak tyder på god endringsvilje og -evne med tanke på å møte framtidens utfordringer knyttet til persontilpasset medisin, avanserte terapier og behandlinger av sjeldne tilstander. Det er positivt at man prøver ut ulike former for alternative prisavtaler, men det gjenstår mye utviklingsarbeid – i høy grad utenfor Nye metoder – for å tilrettelegge for bruk av helsedata i slike avtaler.

Hovedfunn

Høye ambisjoner

Det er høye ambisjoner knyttet til systemet for Nye metoder, som ble etablert gjennom Stortingets behandling av flere stortingsmeldinger og gjennom lovfesting av systemet i 2020. I dette systemet skal alle nye legemidler og alle nye indikasjoner for legemidler i spesialisthelsetjenesten metodevurderes. Videre er dette det eneste systemet på nasjonalt nivå for metodevurdering av medisinsk utstyr og prosedyrer og organisatoriske tiltak i spesialisthelsetjenesten. Systemet skal også brukes til vurdering av utfasing av metoder. Nye metoder er også et virkemiddel for å sikre kvalitet og sikkerhet i pasientbehandlingen.

Bred enighet om eksistensberettigelsen

Et viktig funn er at systemet har bred støtte blant brukerorganisasjonene, klinikerne, leverandørene og de involverte aktørene i ledelsen i spesialisthelsetjenesten. Vi har ikke – verken i intervjuer eller gjennom andre kanaler – oppfattet at noen av aktørene har tatt

til orde for å endre eller gå bort fra hovedelementene i Nye metoder. Med hovedelementene mener vi blant annet at ressursene i spesialisthelsetjenesten må prioriteres, og at metodevurderinger skal utgjøre beslutningsgrunnlag som kombinerer medisinsk-faglig kunnskap og en helseøkonomisk vurdering. Det er heller ingen som har tatt til orde for å endre den overordnede rollefordelingen, det vil si at statlige faginstanser utformer beslutningsgrunnlaget på grunnlag av innspill fra leverandørene, og at klinikere og brukerrepresentanter medvirker i saksbehandlingen.

Det som vi finner er de største utfordringene knyttet til dagens system, kan sammenfattes i seks hovedpunkter.

Seks hovedutfordringer

1) Måltrengsel

Den første hovedutfordringen er at det er mange og sprikende mål og føringer for systemet, noe som særlig fører til at systemet mangler en klar avgrensning i sitt virkeområde, og at det mangler en strategi for hvordan ressursene som brukes på metodevurdering skal utnyttes best mulig.

Som nevnt ovenfor Stortinget har besluttet at alle nye legemidler og indikasjoner skal metodevurderes. I tillegg omfatter Nye metoders virkeområde alle andre typer metoder, herunder utstyr, prosedyrer samt organisatoriske tiltak. Systemet brukes også til å vurdere og beslutte utfasing av metoder, samt som et virkemiddel for kvalitet og sikkerhet.

Prioriteringskriteriene skal anvendes på *alle* metoder som benyttes i helseforetakene, både nye og eksisterende. I prinsippet er da nær sagt all ressursbruk i spesialisthelsetjenesten aktuell for vurdering. Likevel er det opplagt at det store flertall av metodeendringer skjer som ledd i et kontinuerlig arbeid med kvalitetsutvikling, omprioriteringer og ressurstilpasning, og det er verken forventet eller hensiktsmessig at Nye metoder skal håndtere alt dette. Spørsmålet er *hvilke* metoder som skal vurderes i Nye metoder, *hvordan* man skal velge dem ut og *hva slags* metodevurderinger man skal bruke.

Utfordringen med knapphet på metodevurderingskapasitet er erkjent av systemaktørene. Det er truffet tiltak, blant annet i form av introduksjon av forenklede metodevurderinger, men det ser ikke ut til at dette er nok til å løse problemet.

Når det gjelder målene for systemet, opplever vi at selv om prioriteringsmeldingen gir anvisninger om hvordan de ulike prioriteringskriteriene skal veies mot hverandre, så har særlig det legemiddelpolitiske målet om lavest mulig pris en noe uavklart status. Målene om rask tilgang og tilrettelegging for innovasjon omhandles ikke i avveiningene i meldingen. Målet om lavest mulig pris vil kunne komme i konflikt med målet om rask tilgang. Til sist er det ikke formulert klare prosessmål for systemet; her er det særlig krav til medvirkning og transparens som mangler.

2) Tillit

Den andre hovedutfordringen er at vi registrerer lav og/eller varierende grad av tillit til systemet for Nye metoder blant ulike interessenter. Flere andre utfordringer kan knyttes til dette. Mange brukere og leverandører opplever at beslutningene om metodebruk utformes av aktører som i kraft av sitt budsjettansvar ikke legger et tilstrekkelig bredt perspektiv til grunn for sine vurderinger. Enkelte «nei»-beslutninger blir gjenstand for mye offentlig kritikk der det hevdes at snevre økonomiske hensyn har blitt for tungtveiende. Videre opplever de samme interessentene at visse deler av beslutningsprosessen er «lukket» for innsyn og medvirkning. Fra klinikerhold blir det hevdet at medvirkningen fra klinikere, både i bestillerstadiet og i utarbeidelsen av metodevurderinger, er for svak. Enkelte sår også tvil om Folkehelseinstituttet og Legemiddelverket er balanserte i sine metodevurderingsrapporter eller om de i stedet understøtter målet om priskontroll.

Vi oppfatter også at mistilliten i noen grad er gjensidig, det vil si at det i intervjuer og innspill til oss fra representanter for systemaktørene tidvis har vært anvendt en retorikk der de eksterne interessentenes posisjoner og meninger om *faglige spørsmål* søkes redusert til å være et uttrykk for deres *interesser*.

3) Tilgang

Den tredje hovedutfordringen er at Norge ikke raskt nok innfører legemiddelbaserte metoder. I evalueringen har vi brukt Danmark, England, Sverige og Skottland som sammenlikningsland. Det finnes en del studier av hvor mange nye metoder landene innfører og hvor raskt. Studiene bruker ulike metodikk, og alle disse har svakheter som kan påvirke resultatene. Selv om konklusjonene spriker en del mellom ulike studier, er det likevel en klar tendens til at Norge bruker lengre tid enn Danmark, England og Sverige på innføring av nye legemidler. Den innbyrdes rangeringen av Skottland og Norge varierer mellom ulike studier.

Et annet spørsmål er om vi – etter hvert – innfører like mange legemidler som de andre landene. Her er ikke datamaterialet like omfattende, og konklusjonene er derfor mer usikre. Vi mener å se en tendens til at Norge – mer eller mindre – «innhenter» de tre landene som er raskere enn oss til å innføre nye legemidler. Vi kjenner ikke til internasjonale studier av innføringstidspunkt for utstyrsbaserte metoder.

Det er uklart hvilke deler av innføringsprosessen for legemidler som tar lengre tid i Norge. De fleste metodevurderinger er basert på at leverandører leverer dokumentasjon til Statens legemiddelverk. Dette materialet brukes som en del av grunnlaget for en metodevurderingsrapport. Rapporten oversendes Beslutningsforum, som beslutter om metoden skal innføres. Hvis metoden innføres, har Sykehusinnkjøp ansvar for å kjøpe inn legemiddelet slik at det kan tas i bruk. Det ser ut til at prosessene fram til ferdig metodevurderingsrapport tar relativt lang tid i Norge. Hvor mye av dette som skyldes leverandørers treghet i levering av dokumentasjon, har vi ikke avdekket, men vi ser at det ofte tar lang tid fra både markedsføringstillatelse og beslutning om metodevurdering foreligger til dokumentasjon er oversendt Legemiddelverket. Årsakene til at dette tilsynelatende tar relativt lang tid, er heller ikke klart. En del av dem vi har intervjuet, trekker fram at Norge er et lite marked, og at vi er kjent for å legge sterk vekt på å presse prisene. Norge er derfor et marked der mange leverandører forventer relativt svak lønnsomhet, noe som gjør at de ikke prioriterer tidlig lansering av legemidler i Norge. Noen få har også argumentert med at norske myndigheter stiller høyere krav til dokumentasjon enn det andre land gjør, men Legemiddelverket mener at deres krav er på linje med andre lands myndigheter.

Det er også klart at både Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet i en del tilfeller bruker lang tid på sin del av prosessene. Folkehelseinstituttet bruker lengre tid på å metodevurdere medisinsk utstyr og prosedyrer og organisatoriske tiltak enn Legemiddelverket bruker på legemidler.

Mange legemidler som avvises av Beslutningsforum ved første gangs behandling, kommer opp til ny behandling på basis av nytt pristilbud. Slike «omkamper» kan spenne over lang tid inntil man i mange tilfeller fatter en beslutning om innføring. Nærmere 100 saker har blitt behandlet to eller flere ganger. Vi har ikke tilsvarende informasjon fra andre land.

Samtidig erkjenner vi den utfordringen RHF-ene står overfor; at mange nye metoder, særlig legemidler, er svært høyt priset, slik at de – til tross for at hver av dem isolert sett kan være rettet mot små pasientpopulasjoner – samlet kan medføre svært store budsjettvirkninger, noe som i sin tur kan fortrenge andre viktige behandlingstilbud.

4) Implementering

Den fjerde utfordringen er at det mangler systemer for å sikre god og likeverdig implementering av beslutningene. Problemet er ikke knyttet til å gjøre metodene tilgjengelig

gjennom innkjøp. Dette trinnet går raskt. Vi får også opplyst at beslutninger i Nye metoder raskt formidles ut til tjenestene gjennom helseforetakssystemets styringslinjer. Problemet er at det er få terapiområder der det finnes oppdaterte, nasjonale retningslinjer eller andre verktøy for bruk av nye metoder. Vår evaluering er ikke egnet til å belyse om fravær av slike verktøy bidrar til feil og uintendert implementering av metodebeslutninger på gruppenivå, eller til ikke-likeverdige helsetilbud. Vår registerdataanalyse tyder imidlertid på at beslutninger om godkjenning av nye kreftlegemidler har blitt relativt raskt implementert.

5) Medisinsk utstyr

Den femte hovedutfordringen er at systemet for Nye metoder ikke kan sies å fungere etter hensikten når det gjelder medisinsk utstyr. Svært få utstyrsbaserte metoder er blitt vurdert i Nye metoder. I tillegg ser vi at behandlingen av flere av disse sakene har tatt svært lang tid. De fleste beslutninger om utstyrsbaserte metoder tas utenfor Nye metoder. Utstyrsleverandørene opplever at systemet ikke fungerer for deres metoder.

Her påviser vi svikt i flere ledd. Dels mener vi som nevnt at målformuleringen om medisinsk utstyr er uklar og/eller urealistisk. Dels er det usikkert om utvelgelsesmetodikken for metodevurdering av medisinsk utstyr er tilfredsstillende. Dels er det usikkert om metodikken for selve metodevurderingen av medisinsk utstyr er hensiktsmessig. Og dels er det usikkert om metoder som besluttes tatt i bruk (det er kun tre i tallet) implementeres i tjenesten.

6) Framtida

Den sjettede hovedutfordringen er å utvikle et system som er rustet for framtida – ei framtid som er her allerede. Det er først og fremst utfordringer knyttet til persontilpasset medisin, avanserte terapier og behandlinger for sjeldne tilstander som vil gjøre seg gjeldende, blant annet i form av økende legemiddelpriser, økt saksmengde, større innslag av usikkerhet i datagrunnlag, økt omfang av flerindikasjonsmetoder og kombinasjonsbehandlinger, samt at Nye metoders hovedregel om at flate rabatter og én pris på tvers av indikasjoner blir satt under press.

Det synes klart at systemet har tilstrekkelig fokus på utfordringen med høye priser på mange nye legemidler. Sammenlikning av reelle legemiddelkostnader med hypotetiske kostnader beregnet ut fra maksimalpriser kan tyde på at man i Norge har et relativt effektivt forhandlings- og anskaffelsessystem for legemidler.

Flerindikasjonsbehandlinger bidrar til økende saksmengde, men gir også opphav til utfordringer med å beregne nytteeffekt og sette pris – eller priser, dersom man skal ha indikasjonsdifferensierte priser. Likeledes er det utfordrende å beregne den relative effekten av legemidlene som inngår i kombinasjonsbehandlinger, samt av kombinasjonen av legemiddel og diagnostikk i persontilpasset medisin.

Persontilpasset medisin, avanserte terapier og et økende antall legemidler mot sjeldne tilstander gir økt grad av usikkerhet i beslutningsgrunnlaget. Fra leverandørhold foreslås i økende grad alternative prisavtaler for å håndtere denne usikkerheten. Bruk av slike avtaler fordrer i sin tur bruk av informasjon om behandlingsutfall i klinisk praksis, ofte omtalt som «Real World Evidence», noe som forutsetter at helsetjenesten har systemer og kapasitet til å registrere og tilgjengeliggjøre slik informasjon.

Drøfting og anbefalinger

Mål og virkeområde for Nye metoder

Den første hovedutfordringen handler som sagt om mange og sprikende mål – eller «måltrengsel» – og avgrensningen av virkeområdet. Med dagens kapasitet og arbeidsformer kan systemet for Nye metoder – i beste fall – brukes til å prioritere mellom alle

nye legemiddelbaserte metoder og et lite utvalg utstyrsbaserte metoder, prosedyrer og organisatoriske tiltak. Dessuten kan man trolig gjennom fullstendige metodevurderinger bidra til utfasing av enkelte metoder på utvalgte terapiområder, men det er foreløpig gjort lite erfaringer med dette i Nye metoder.

Vi ser derfor behov for å skape et bedre samsvar mellom systemets ambisjonsnivå og virkeområde på den ene siden, og saksbehandlingskapasiteten på den andre. Det er også behov for å tydeliggjøre viktige prosessmål, som medvirkning og transparens. Det er usikkert hvordan slike spørsmål kan avklares innenfor rammene av RHF-enes sørge-for-ansvar og den tilhørende styringsdialogen mellom HOD og RHF-ene. Denne usikkerheten gjør seg for øvrig gjeldende også for enkelte andre anbefalinger nedenfor.

På områdene medisinsk utstyr, prosedyrer og organisatoriske tiltak legger man i dagens praksis vekt på å metodevurdere kun noen få utvalgte metoder. Utfordringen ligger i at ansvaret for innmelding av saker tilligger fagmiljøene, og det er uvisst om de har interesse, kapasitet og «kultur» for å fylle oppgaven med å melde inn det «riktige» utvalget av metoder. På den andre siden vil en sentralisert utrednings- og identifiseringsfunksjon knyttet til Bestillerforum være lite hensiktsmessig. Vi mener det kan være behov for en klarere avgrensning av Nye metoders virkeområde når det gjelder medisinsk utstyr og prosedyrer og organisatoriske tiltak fra HODs side. Vi anbefaler i tillegg at RHF-ene i samarbeid med Folkehelseinstituttet og Melanor tydeliggjør utvelgelseskriteriene og anvendelsen av dem.

Systemets saksbehandlingskapasitet

Som nevnt kan det forventes økende kapasitetsbehov i tiden som kommer. Ett svar på denne utfordringen kan være å øke ressursinnsatsen på metodevurderinger gjennom økt bemanning og/eller kjøp av tjenester. I tillegg kan det være noe å hente på effektivisering, men dette har vi lite grunnlag for å vurdere.

Et annet svar kan være økt internasjonalt samarbeid, slik at Norge kan trekke på andre lands analyser eller analyser utført i fellesskap. Norske myndigheter har konkludert med at de vil satse på dette, noe vi mener må være fornuftig. Men slikt samarbeid vil neppe bidra mye til å løse kapasitetsproblemene de nærmeste årene.

Et tredje svar kan være å revurdere hvordan metodevurderingskapasiteten fordeles på de ulike metodevurderingstypene. Stortinget har besluttet at alle nye legemidler skal vurderes i Nye metoder, men dette betyr ikke at man må bruke dagens prosedyre for slike vurderinger. RHF-ene har gjennom arbeid i Bestillerforum og i samarbeid med Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet utviklet flere former for forenklet metodevurdering. Dette har trolig bidratt ganske mye til å redusere kapasitetsproblemene de senere årene, men vi spør likevel om det kan være mer å hente her. Man må stille spørsmål om hvilket beslutningsgrunnlag som er «godt nok» i den enkelte sak. Kan man basere mye på gjenbruk av analyser fra andre land? Kan man bruke mini-metodevurderinger, men bruke disse som grunnlag for beslutning om innføring på nasjonalt nivå?

Gitt internasjonal definisjon og standard for metodevurderinger (HTA) er det vår oppfatning at enhver vurdering av hvordan en gitt metode forholder seg til prioriteringskriteriene kan sies å oppfylle Stortingets krav om at alle nye legemidler og nye indikasjoner for legemidler skal metodevurderes. Det er med andre ord en lav terskel for å oppfylle kravet. Hvis det er ganske opplagt hva beslutningen om innføring vil bli, eller hvis beslutningen har begrensede konsekvenser, bør man kunne velge en lite ressurskrevende prosedyre. Vi er kjent med at slike avveininger allerede gjøres, men det er vel mulig å gå enda lenger i denne retningen.

Hvis man får frigitt ressurser, kan man velge å gjennomføre flere fullstendige metodevurderinger (vurderinger av alle metodene som brukes på et terapiområde), men ikke nødvendigvis i samme format som i dag. I dag brukes det aller meste av metodevurderingskapasiteten til å vurdere nye legemidler. Utgifter til legemidler, både nye og

gamle, utgjør om lag seks prosent av spesialisthelsetjenestens kostnader. Riktignok utgjør samlede kostnader til legemiddelbaserte metoder mer enn seks prosent. Likevel mener vi tallene illustrerer et misforhold mellom de legemiddelbaserte metodenes andel av kostnadene og fordelingen av metodevurderingskapasiteten på ulike metodetyper. Dersom man velger å ikke justere Nye metoders virkeområde, kan det stilles spørsmål om metodevurderingsressursene i større grad bør brukes til å analysere andre metoder. Prioriteringskriteriene gjelder som nevnt alle typer behandlingsmetoder samt organisatoriske tiltak.

Beslutninger, kommunikasjon og transparens

Som nevnt ovenfor, oppfatter vi at det foreligger en svak tillit mellom aktørgruppene knyttet til Nye metoder. Vi mener tilliten kan styrkes gjennom større forutsigbarhet og åpenhet, samt klarere definisjon av roller og muligheter for medvirkning. Videre mener vi at systemets og beslutningenes legitimitet kan styrkes gjennom bedre kommunikasjon og kvalitetssikring av metodevurderinger.

For å styrke forutsigbarhet og åpenhet, bør det utformes og publiseres veiledere for utarbeiding av metodevurderinger og for hvordan ulike aktører kan og skal medvirke i prosessene. Dette beskrives nærmere nedenfor.

Det er åpenhet for innspill underveis i arbeidet med metodevurderinger. Fram til metodevurderingsrapportene fullføres, er det også systematisk medvirkning fra leverandører og klinikere. Det er også åpent for at andre – for eksempel brukere – kan komme med innspill. Likevel har vi i intervjuer fått informasjon om at enkelte av aktørene har vært kritiske til enkelte rapporter. Denne kritikken framkommer ikke alltid i beslutningsgrunnlaget til Beslutningsforum.

Fagdirektørenes arbeid med anbefaling til Beslutningsforum – etter at metodevurderingsrapportene er ferdige – oppfattes av flere som «en svart boks» som de ikke har innsyn i eller innflytelse overfor. Vi ser at det kunne vært positivt med kanaler for medvirkning også i denne fasen, men det er vanskelig å oppnå dette uten å øke fagdirektørenes arbeidsbyrde betydelig.

Vi anbefaler likevel at det innføres en åpen høring i etterkant av utarbeidingen av fagdirektørenes innstillinger til Beslutningsforum, som et kvalitetssikrings- og medvirkningstiltak. Alternativt kan en høring gjennomføres på basis av utkast til metodevurdering i forkant av ferdigstilling. En høring vil måtte ha korte tidsfrister, og det bør være varslingsrutiner som gjør at interessenter får tid til å starte forberedelsen av innspill før høringsgrunnlaget publiseres. Selve høringen bør trolig gjennomføres skriftlig, det vil si på en digital plattform. Nyten av en slik høring må veies opp mot at det vil føre til økt tidsbruk.

Beslutningene i Beslutningsforum er ikke forskrifter eller enkeltvedtak i forvaltningslovens forstand. Men sakene gjelder bruk av offentlige midler, og mange har en legitim interesse av utfallene. Det gjelder ulovfestede krav til saksbehandling som kan gi føringer for blant annet medvirkning, adgang til fornyet behandling og begrunnelse av beslutninger.

Vi mener at RHF-ene bør sikre at disse ulovfestede kravene følges. Vi tenker her særlig på det siste – begrunnelse for beslutninger. Beslutningene i disse sakene vil ofte ha form av en helhetlig og skjønnsmessig avveining mellom motstridende hensyn. Vi oppfatter at formuleringen av mange av beslutningene ikke reflekterer disse avveiningene. Svakt formulerte begrunnelser kan svekke beslutningenes og dermed hele systemets legitimitet. Vi anbefaler derfor at formatet på begrunnelsene for beslutningene endres. Malene for beslutninger i det danske og svenske systemet kan danne utgangspunkt i utformingen.

Manglende klageadgang tilsier at det bør være høyere grad av medvirkning og kvalitetssikring i forkant av beslutningene. Dersom innstillingene fra fagdirektørene til Beslutningsforum blir gjenstand for en åpen høring, vil man komme nærmere i å oppfylle kravet til adgang reell medvirkning.

Medvirkning på systemnivå

Det er betydelig debatt om enkeltbeslutninger i Nye metoder, og til dels også om hele systemet. En del av debatten har en skarp tone, og er til dels preget av mistillit. Det bør derfor etableres kanaler som sikrer at aktørene når fram med sine synspunkter uten å måtte søke oppmerksomhet gjennom media. Vårt forslag er at det etableres et medvirkningsorgan på systemnivå der aktørene kan fremme sine synspunkter og forhåpentligvis sammen bidra til å utvikle Nye metoder.

En slik forsterket referansegruppe for Nye metoder bør ha som hovedoppgaver å ha en pådriverrolle i fornying og utvikling av Nye metoder, og drøfte Beslutningsforums anvendelse av prioriteringskriteriene på et overordnet, prinsipielt nivå. Den bør ledes av en ekstern, interessentuavhengig person.

Er systemet for Nye metoder rustet for framtida?

Vi registrerer at både systemaktører og interessenter har en bevissthet og forståelse av framtidsutfordringene som Nye metoder står ovenfor, og at Nye metoder har iverksatt en rekke ulike utviklings- og forbedringstiltak.

De to viktigste tiltakene er utformingen av et rammeverk for alternative prisavtaler, og at det er fastlagt prinsipper for midlertidig innføring av metoder. Et bærende prinsipp er at flate rabatter skal være hovedregelen, og at alternative prisavtaler kun skal brukes unntaksvis. Per i dag er det et fåtall legemidler som er omfattet av midlertidig innføring, og ett legemiddel er omfattet av en resultatbasert avtale.

Løsninger for å håndtere verdiberegning og prising av kombinasjonsbehandlinger befinner seg fortsatt «på tegnebrettet». Det er lite praktisk erfaring internasjonalt.

Når det gjelder differensiert indikasjonsprising – og alternative prisavtaler – står Nye metoder overfor det dilemmaet at man på den ene siden må ivareta RHF-enes interesser vis-à-vis leverandørene, mens man på den andre siden må forholde seg til risikoen for at Norge blir et mindre attraktivt marked.

Vi mener at de to framtidsutfordringene hvor Nye metoder har mest ugjort, er håndtering av medisinsk utstyr – som vi allerede har påpekt – og bruk av *Real World Evidence*. På medisinsk utstyr er et overordnet utviklingsarbeid igangsatt. Når det gjelder *Real World Evidence* er det viktig å generere erfaringer fra praktisk anvendelse av både midlertidig innføring og resultatbaserte avtaler basert på individuelle pasientutfall. Vi registrerer at det gjenstår til dels omfattende utviklingsarbeid med ulike registre og fagsystemer for å kunne implementere alternative prisavtaler på mange terapiområder. Det er flere pågående initiativer og prosesser som tar sikte på å forbedre og tilrettelegge for bruk av helsedata, og det ligger utenfor dette prosjektets rammer å vurdere dette. Vi oppfatter at det er uvisst når disse systemene blir fullt ut operative.

Mer generelt registrerer vi at det pågår et aktivt og framoverskuende utviklingsarbeid med stor bredde, og at flere av tiltakene skjer i samarbeid mellom flere systemaktører og interessenter. Dette har gjort at systemet på noen viktige punkter er i ferd med å møte framtidsutfordringene. Det viser samtidig at systemet har en god endringsvilje og -evne.

Vi registrerer at utviklingsarbeidet ikke er beskrevet samlet i et strategidokument eller handlingsplan. Det finnes heller ingen samlet oversikt eller analyse av utfordringer og problemer som kan forventes å oppstå i løpet av de nærmeste årene. Vi anbefaler at RHF-ene utarbeider et strategidokument for å beskrive hvordan metodevurderingene og beslutningene som fattes i systemet for Nye metoder, kan bidra mest mulig til at målene

for spesialisthelsetjenesten oppnås. Et slikt strategidokument bør utarbeides i samarbeid med en forsterket referansegruppe, som da også bør få en viktig rolle i oppfølgingen.

Unntaksordningen i Nye metoder

Vi har hatt som premiss at unntaksordningen kun skal gjelde for metoder som ikke er ferdigbehandlet i Nye metoder. I evalueringen har ikke Proba fanget opp alvorlig misnøye med unntaksordningen på gruppenivå. Vi vurderer det slik at det ikke er noe betenkelig i seg selv at unntaksordningen blir lite brukt.

På enkeltpasientnivå er det imidlertid store forskjeller regionalt. Med utgangspunkt i de små og heterogene pasientgruppene, er heller ikke dette nødvendigvis betenkelig i seg selv.

Med bakgrunn i de regionale forskjellene og pasientforeningenes kritikk av unntaksordningen, er vi likevel usikre på om ordningen fungerer tilfredsstillende. Vi vurderer at det kan være behov for en mer grundig gjennomgang enn det som ble gjort i 2018. Vi foreslår at det gjøres en gjennomgang av noen utvalgte saker på en nærmere bestemt indikasjon–behandling-kombinasjon. En slik gjennomgang vil kunne avdekke om ordningen praktiseres likeverdig eller ikke. Ut fra dette vil man også kunne se om det er behov for å «kalibrere» ordningen, det vil si at RHF-ene mer systematisk sammenlikner bruken av unntaksordningen mellom helseforetak og regioner. Vi vurderer at det må være opp til RHF-ene og HOD å avgjøre om det er behov for en gjennomgang og eventuelt kalibrering av unntaksordningen, og vurdere dette opp mot ressursene som ville kreves for dette.

Forskriftshjemmelen i spesialisthelsetjenesteloven og andre rettslige forhold

Ingen av sammenlikningslandene har noen detaljert lovgivning for sine tilsvarende beslutningssystemer. Tvert imot er den rettslige forankringen svakere i noen av landene enn i Norge. Det er ingen funn i vår evaluering som taler for ytterligere rettslig regulering i Norge gjennom å ta i bruk forskriftshjemmelen i spesialisthelsetjenesteloven.

Executive summary

Background

The decision to undertake an evaluation of the Norwegian national system for managed entry of new methods in the public hospital sector – hereafter to be referred to by its Norwegian designation *Nye Metoder*² – was made in 2019 when the parliament amended the Specialized Health Services Act with a paragraph on *Nye Metoder* (Prop. 55 L, 2018–2019). The Ministry of Health and Social Care Services awarded the contract for the evaluation project to Proba Research in October 2020.

Research questions and evaluation themes

This evaluation aims to address two main research questions:

- 1) Is the current organization of the *Nye Metoder* system and its administrative processes adequate and appropriate to reach the stated goals?
- 2) Is the *Nye Metoder* system properly equipped and prepared to meet the demands of future medical-technological developments, *inter alia* development of personalized medicine?

The two research questions are explored through eleven evaluation “themes”, which in a shorthand version may be presented as follows:

- 1) Administrative processes and decision making processes.
- 2) Administration in line with regulation and political instructions; mechanisms for dealing with alleged errors
- 3) Coordination and communication between the system partners
- 4) Openness and transparency in administrative processes
- 5) External communication, openness about decisions
- 6) Stakeholder involvement; patients and their relatives, experts and companies
- 7) Capacity, resource use and sustainability of the system’s organization and its actors
- 8) Predictability and equal treatment of companies, users and patients

² Nye metoder: Literal translation; New methods. Full English designation: National System for Managed Introduction of New Health Technologies within the Specialist Health Service.

- 9) The ability of the *Nye metoder* system to meet the demands of future development of medical technologies
- 10) Implementation of decision in the health care system; *inter alia* guidance and equitable access
- 11) The system for exemptions from *Nye metoder* decisions

Many of these themes are in part overlapping, and are not addressed separately, neither in the report nor in the Executive Summary.

The two main research questions indicate that the evaluation constitutes a formative, process improvement evaluation of a decision making system. As such, it is not intended to evaluate goal attainment. Rather, it represents forward-looking inquiry into whether the system's organization and processes are appropriately designed to facilitate goal attainment. The main aim of the evaluation has been to assess the extent to which the current system performs within its institutional framework, as well as to propose improvements within the existing legal framework. Moreover, we have assessed the ability of the *Nye metoder* system to meet the demands of future medical-technological developments. Lastly, the evaluation comprises a comparative description of corresponding systems for managed entry in Denmark, England, Scotland and Sweden.

Main conclusion

There is broad support among stakeholders for the fundamental principles underlying the *Nye metoder* system – that a scientific basis for decisions should be developed and that a governing body should apply the prioritization criteria and the scientific basis in their decision making on which health technologies that should be used in hospital based health care.

Nevertheless, there is a need for changes. *Inter alia*, one could ask whether the system to a sufficient degree is designed to attain the goal of rapid adoption of new health technologies. Furthermore, *Nye metoder* does not appear to deal adequately with medical equipment, diagnostics and devices, nor with various medical procedures and organizational measures. The composition of goals for the system is characterized by “goal-congestion” – multiple goals that taken together constitute an unrealistic level of ambition. We consider that there is a need for political guidance to clarify the purpose and scope of *Nye metoder*.

Lack of trust between the system actors on the one hand and external stakeholders on the other is a major challenge. We recommend strengthening transparency and stakeholder participation to improve trust between the system and its stakeholders.

The scope and amount of initiated development measures in *Nye metoder* indicate willingness and ability to meet future challenges related to personalized medicine, advanced therapies and treatments for rare conditions. It is applaudable that various forms of alternative drug price agreements are being tried out, but there is still considerable work to be done – largely outside *Nye metoder* – to allow the use of health register data in such agreements.

Main findings

High ambitions

There are high ambitions associated with the *Nye metoder* system, which was based on several white papers and the enactment of the system in 2020. The system is tasked with preparing health technology assessments for all new pharmaceuticals and pharmaceutical indications to be used in the public hospital sector. Further, this is the

only HTA³ authority at the national level for evaluation of medical equipment and medical procedures and organizational measures. The system is also a mechanism for disinvesting in obsolete health technologies. Lastly, *Nye metoder* is a measure for achieving quality and safety in the sector.

Broad agreement about the system's justification

A major finding of this evaluation is that patient organizations, clinicians and suppliers of pharmaceuticals and other technologies support the principles of Nye Metoder. We have not – neither in interviews nor through other communication channels – observed that any of the stakeholders advocate moving away from the fundamentals of New Methods. With the fundamental elements we are referring, *inter alia*, that priority setting is necessary in the specialist health services, and that HTAs should be based on medical science and health economic science. Nor has anyone advocated changes in the overall division of roles, *i.e.* that government organizations develop the knowledge basis based on input from suppliers, and that clinicians and user representatives participate in the knowledge development and decision making processes.

We have summarized what we find to be the main challenges for the present-day system in six major points.

Six main challenges

1) Goal congestion

There are multiple and divergent goals and directives applied for the system, and this in turn results in a lack of delimitation of scope, and there exists no comprehensive strategy for optimal allocation of the resources used to develop HTAs.

As stated above, the parliament has decided that all new pharmaceuticals and their new indications shall be subject to HTAs. In addition, the scope of *Nye metoder* includes all other types of medical technologies, including devices, medical procedures and organizational measures. The system is also used to assess old technologies and to discontinue their use if they are not effective and cost-effective. Lastly, *Nye metoder* is a measure for promoting quality and safety in the hospital sector.

The priority setting criteria shall be applied to old and new technologies in the public hospital sector. Thus, in principle, almost all resource use and technologies in the specialist health service are candidates for HTAs. Nevertheless, it is obvious that the vast majority of technological change in health care takes place as part of continuous quality development, re-prioritization and resource adaptation, and it is neither expected nor appropriate for *Nye metoder* to handle all this. The questions then become: *Which* health technologies are to be subject to HTA in *Nye metoder*? *How* should they be selected? And *what kind* of HTAs should be used?

The scarcity of HTA capacity is recognized by the system actors. Some measures have been taken, including the introduction of simplified and more rapid HTA formats, but they appear to be insufficient to solve the capacity problem.

Regarding the goals for the system, we consider that even though the 2013 white paper on prioritization in health care provides guidance on how prioritization criteria are to be weighed against each other, in particular the goal of obtaining the lowest possible price for pharmaceuticals – established through the parliament adoption of the white paper on the national pharmaceutical policy – is left with a somewhat unclear status. The goals of rapid access and facilitation of innovation are not considered in the context of the

³ HTA: Health Technology Assessment.

prioritization criteria in the white paper on prioritization. The goal of obtaining the lowest possible drug price may conflict with the goal of rapid access. Finally, no clear process principles have been formulated for the system; here we are referring to the lack of guidance and requirements for stakeholder participation and transparency.

2) Trust

The second main challenge is the observed low and/or varying degree of trust in the *Nye metoder* system among the stakeholders. This challenge is related to several other challenges. Patients and suppliers state that decisions on use of health technologies are made by actors who, by virtue of their responsibility for the health trust budgets, do not base their assessments on a sufficiently broad perspective. Some “no” decisions are subject to widespread public criticism based on allegations that narrow economic considerations have been weighted too heavy. Furthermore, the same stakeholders experience that certain parts of the decision-making process lack transparency and stakeholder participation. Clinicians claim that they are insufficiently involved both when selecting technologies for HTA and when preparing the HTA reports. Some stakeholders express their doubts as to whether the National Institute of Public Health and the Norwegian Medicines Agency are balanced in their HTA reports or whether they instead apply analysis assumptions aimed at obtaining lower price of the technologies.

We also observe that the distrust to some extent is mutual. In interviews and written input from representatives of the system actors to Proba, occasional comments indicate that external stakeholders’ positions and opinions on *scientific and factual issues* are being reinterpreted as simple expressions of their *self interest*.

3) Access

The third main challenge is that Norway is not adopting pharmaceuticals quickly enough. In the evaluation, we have used Denmark, England, Scotland, and Sweden as comparators. Several studies have investigated how soon new pharmaceuticals are introduced in these countries. The studies use different research methodologies, and none of them are without weaknesses that could influence their results. Although conclusions differ somewhat across the studies, there is a clear tendency that Norway adopts new drugs later than Denmark, England and Sweden. The mutual ranking of Scotland and Norway varies across the studies.

Another and closely related question is whether Norway adopt fewer pharmaceuticals than other countries. Here, the data material is not as comprehensive, and the conclusions are therefore more uncertain. We observe a tendency for Norway – more or less – to “catch up” with the three comparator countries. We do not know of any international studies on the introduction of medical equipment and devices.

It remains unclear which elements of the process that could explain the later adoption of pharmaceuticals in Norway. Most STAs⁴ are based on documentation from the suppliers to the Norwegian Medicines Agency. The documentation material represents the basis of the STA reports. The finalized STA report is submitted to *Decision Forum*,⁵ which decides whether the pharmaceutical should be used in Norwegian health care. If the drug is introduced, the *Procurement services for Health Enterprises* assumes responsibility for its procurement. It seems that the processes leading up to the finalization of the STA reports take relatively long time in Norway. We were unable to determine the relative importance of suppliers’ inertia in documentation submission, but we observe that in many cases it takes a long time from both the Marketing Authorization

⁴ STA: Single Health Technology Assessment, which is used for most pharmaceuticals.

⁵ Cf. brief description of the *Nye metoder* system at the end of the executive summary.

and the decision on undertaking the STA until the documentation has been sent to the Norwegian Medicines Agency. The reasons for this apparent delay are also not clear. Some stakeholders point out that Norway is a small market, and that Norwegian authorities aim at reducing drug prices. Thus, Norway may be a market in which suppliers expect lower prices than in other markets, which means that Norway might not be a priority country in their launch plans. A few have also argued that Norwegian requirements for documentation are more demanding than those in other countries, while the Norwegian Medicines Agency claims that their requirements are in line with those of other countries' authorities.

It is a fact, though, that both the Norwegian Medicines Agency and the Norwegian Institute of Public Health⁶ use considerable time preparing their HTAs. The HTAs on medical equipment, devices and procedures and organizational prepared by the Norwegian Institute of Public Health are particularly time consuming.

Many pharmaceuticals that are initially rejected by the *Decision Forum* may become subject to renewed consideration on the basis of a renewed price offer from the manufacturer. In many cases, multiple rounds of price negotiations and negative decisions may take place before evolve over a long time until eventually a decision of introduction is reached. Nearly 100 cases have been processed two or more times by the Decision Forum. We do not have corresponding information from other countries.

We do acknowledge, however, the challenge facing of the Regional Health Authorities (RHAs). Many new health technologies, especially pharmaceuticals, have high prices, and even if each of them encompass small patient populations, they may entail very large budget impacts. Consequently, they may displace other important interventions in the public hospital sector.

4) Implementation

The fourth challenge is the lack of mechanisms to ensure efficient and equitable implementation of decisions. The problem is not related to making the technologies available through procurement as little time is spent on this stage. We are also informed that *Nye metoder* decisions are quickly communicated to the hospitals through the management lines. The problem is that there are few therapy areas in which there are updated, national guidelines or other tools for the use of new health technologies. Our evaluation is not suitable for elucidating whether the absence of such tools contributes to incorrect and unintended implementation of decisions on group level, or to non-equitable health services. However, our registry data analysis indicates that decisions on introducing new pharmaceuticals have been followed by relatively rapid adoption in the hospitals.

5) Medical equipment and devices

The fifth main challenge is that *Nye metoder* is not handling medical equipment and devices as intended. Very few medical equipment based technologies and devices have been subject to HTA in *Nye metoder*. In addition, we observe long average case processing times in this area. Most decisions on medical equipment are made outside the system – that is, in the hospitals themselves. Also technology suppliers express frustration about what they perceive of as system failure.

Flaws may be identified on several stages. First, we believe that the system goals pertaining to medical equipment and devices are unclear and/or unrealistic. Second, it is uncertain whether the mechanism for identifying candidate device-based technologies

⁶ The Norwegian Institute for Public Health is responsible for preparing STAs for medical equipment and devices.

for HTA is satisfactory. Third, it is uncertain whether the HTA methodology for medical equipment and devices is appropriate. And lastly, it is uncertain whether the technologies which have been subject to positive decisions (there are only three in total) have been efficiently implemented in the hospitals.

6) *The future*

The sixth main challenge lies in the development of a system that is suitably and appropriately rigged for the future – a future that is already here. The challenges are primarily related to personalized medicine (precision medicine), advanced therapies, and “orphan drugs”, and may include increasing drug prices, increasing administrative burdens, more uncertainty with respect to the effectiveness of the technologies, and increased number of multi-indication drugs and combination treatments. Moreover, *Nye metoder*'s preference for “flat” discounts and singular price across indications is put under pressure.

It seems clear that the *Nye metoder* system has sufficient focus on the challenge of high prices for many new pharmaceuticals. A comparison of real drug costs with hypothetical costs calculated on the basis of maximum prices (based on international reference prices) indicates that Norway has a relatively efficient negotiation and procurement system for pharmaceuticals.

Multi-indication drug treatments contribute to an increasing administrative burden, but they also give rise to challenges in calculating health benefits and setting prices – or prices, if price by indication should be applied. It is also challenging to estimate the relative benefits of drugs included in combination treatments, as well as of the drug-diagnostics combination used in personalized medicine.

Personalized medicine, advanced therapies and an increasing number of drugs for rare conditions increase uncertainty in the HTAs. Increasingly, suppliers are proposing outcome based price agreements to deal with this uncertainty. Such agreements require information on treatment outcomes in clinical practice, often referred to as “Real World Evidence”. This requires hospital information systems and analytic capacity to support the price agreements.

Discussion and recommendations

Goals and scope of Nye Metoder

The first main challenge lies in many and divergent goals for the system – or “goal congestion” – and the unclear delimitation of its scope. With current capacity and operating procedures, *Nye metoder* may – at best – be used to set priorities for pharmaceuticals and a small selection of medical equipment and devices, procedures and organizational measures. In addition, multi technology HTAs can probably contribute to disinvestment in technologies in selected therapy areas, but currently we have limited experience with such use of *Nye Metoder*.

Consequently, better correspondence is needed between the system's level of ambition and scope on the one hand, and its HTA capacity on the other. There is a need to clarify and to make explicit important process goals, such as transparency and stakeholder involvement. It is uncertain how such issues can be clarified within the legal framework regulating the RHAs' responsibilities and the lines of management between the ministry and the RHAs. This uncertainty also applies to some of the other recommendations below.

With respect to medical equipment, devices, procedures and organizational measures, the current mode of operation is to emphasize evaluation of a small selection of technologies, only. The challenge is that the responsibility for identifying and proposing prospective technologies for HTA lies with the professional communities in hospitals. It

is uncertain whether personnel here has the interest, capacity and "culture" to fulfill the task of proposing optimal selection of technologies. On the other hand, a centralized "horizon scanning" function as a subsidiary to the Commissioning Forum⁷ would not be appropriate. We consider that there may be a need for a clearer delimitation of the scope of *Nye metoder* with regard to medical equipment and devices, and procedures and organizational measures on part of the ministry. Moreover, we recommend that the Regional Health Authorities, in collaboration with the National Institute of Public Health and the manufacturer's association *Melanor*, jointly clarify the criteria for selecting technologies for HTA.

Administrative capacity

The future demand for HTAs is expected to increase. One response may be to increase HTA resource by increased staffing and/or external purchase of services. In addition, there may be gains to be made by streamlining work processes, but we have little basis for considering the potential for this option.

Another response to increased demand for HTAs may be increased international cooperation so Norway can exploit other countries' analyses or do HTAs jointly with other countries. Norwegian health authorities have decided to invest in international cooperation. We support this conclusion. We question, however, whether such cooperation can solve capacity problems over the next few years.

A third option is reconsider how the HTA capacity is allocated among the different HTA types. The parliament has decided that all new drugs should be subject to HTAs in *Nye metoder*, but this does not imply an obligation to utilize the current procedures and HTA formats. The *Commissioning Forum*, in collaboration with the Norwegian Medicines Agency and the Norwegian Institute of Public Health, has developed new and somewhat simpler HTA formats. This has probably quite substantially reduced capacity problems in recent years, but we still consider that there are more efficiency gains to be realized. A crucial question is; in any given individual case, which decision basis is "good enough"? Is it possible to adapt analyses from other countries? Can Norway use the so-called mini-HTA format as a basis for national decisions on technology adoption?

Given the international HTA definitions and standards, we consider that any HTA assessment based on national prioritization criteria can be said to fulfill parliament's requirement that all new drugs and new drug indications should be subject to HTA. In other words, the threshold for meeting that requirement is formally quite low. In cases with fairly obvious and predictable outcomes, or with limited budgetary consequences, it should be possible to develop simpler and resource-saving procedures. We know that such trade-offs are already being made, but it is likely possible to go even further in this direction.

If HTA resources can be re-allocated, one could choose to carry out a higher proportion of multi technology HTAs (evaluation of all the methods used in a therapy area), but not necessarily in the same format as today. Currently, the vast majority of the HTA capacity is used to evaluate new drug-based technologies. Expenditures on medicines, both new and old, account for about six percent of the specialist health care costs. Admittedly, the total costs of utilizing drug-based technologies in hospitals amount to more than six percent. Nevertheless, we consider that this figure illustrates a mismatch between HTA capacity used for pharmaceuticals versus other technologies. If the scope of *Nye metoder* is not adjusted, one may ask whether an increased proportion of the HTA capacity should be re-allocated to evaluate non-drug-based technologies. As mentioned,

⁷ Commissioning Forum is commonly translated as "Ordering Forum".

the prioritization criteria apply to all types of health technologies as well as procedures and organizational measures.

Decisions, communication and transparency

We observe a lack of trust between *Nye metoder* actors and external stakeholder groups. We believe that trust can be reestablished through greater predictability and transparency, as well as a clearer definition of roles and mechanisms for stakeholder involvement and participation. Furthermore, we believe that the legitimacy of the system and its decisions can be strengthened through better communication and improved quality assurance mechanisms for HTAs.

In order to strengthen predictability and transparency, guidelines for stakeholder involvement and HTA methods should be developed. There are “windows” for external input in the HTA processes. Up to the point of completing the HTA reports, there is also systematic participation by technology suppliers and clinicians. It is also possible for patients to provide input. Nevertheless, in interviews some stakeholders expressed strong criticism of some of the HTA reports that have been the basis for decision making. Such criticism, even in cases when it has been communicated prior to decisions, sometimes is not even referred to in the documents used by *Decision Forum*.

The process of preparing the recommendations for the *Decision Forum* – which is carried out by the four Medical Directors of the RHAs after the method assessment reports have been completed – is perceived by many stakeholders as “a black box”. External stakeholders claim that they have no access to the medical directors and no influence on the recommendations. In our view a higher degree of stakeholder participation could benefit the processes but would also increase the administrative workload.

Nevertheless, we recommend that an open consultation be introduced after the completion of the Medical Directors’ recommendations, as a quality assurance and stakeholder participation measure. Alternatively, a consultation process could be conducted on the basis of a draft HTA report prior to its completion. In either case, the consultation would need to have tight deadlines, and stakeholders should be notified in due time to prepare for consultation. The consultation itself should probably be carried out in writing, *i.e.* on a digital platform. The benefits of such consultations must be weighed against costs in terms of time and workload.

The *Decision Forum* decisions are not regulations or individual decisions in terms of the Public Administration Act. But the cases concern the use of public funds, and many stakeholders have a legitimate interest in the outcomes and implications of the decisions made. This implies that common-law requirements for case processing that can provide guidelines for, *inter alia*, participation, justification of decisions and some sort of re-evaluations may be applicable.

In our view the RHAs should ensure compliance with such common-law requirements. In particular, we are referring to the need for better elucidation for the decisions taken. The majority of *Nye metoder* decisions will take the form of striking a holistic and discretionary balance between conflicting and/or competing considerations and criteria. In our assessment, the wording of the decisions does not as a standard reflect the careful considerations that may have been made. Vague justifications may contribute to eroding the legitimacy of the decisions, and thus, of the entire decision-making system. We, therefore, recommend changing the format of the justifications for the decisions. The templates for decisions in the Danish and Swedish systems might form the basis for a renewed design.

Lack of an appeal mechanism strengthens the case for a higher degree of participation and quality assurance in advance of making the decisions. Subjecting the Medical Directors’ recommendations (to *Decision Forum*) to an open consultation process would

be an important move in the direction of fulfilling the requirement for actual stakeholder participation.

System level stakeholder participation

There is considerable public debate about individual *Nye metoder* decisions, and to some extent also about the system itself. On many occasions the debate is heated, and we also perceive of a tone of distrust. We recommend establishing appropriate channels to facilitate stakeholders get involvement in the decision making process without having to seek attention for stakeholder views through the media. Our proposal is to establish a permanent stakeholder consultation body at the system level, where conflicting positions may be discussed and stakeholders can make common efforts in further development of the *Nye metoder* system.

Such a reinforced Reference Group for *Nye metoder* should have as its main tasks to have a vigorous role in the continuous renewal and development of the system, and to discuss the *Decision Forum's* application of the prioritization criteria in its decisions at an overall, principled level. It should be managed by an external, stakeholder-independent person.

Is the Nye metoder system properly equipped for future challenges?

We observe that both the system actors and the external stakeholders are aware of and understand future challenges facing *Nye metoder*. We also observe that the RHAs have initiated and implemented a number of important development and improvement initiatives.

The two most important initiatives are the framework for outcome based price agreements, and the new principles for temporary adoption of health technologies. A basic principle is that "flat" discounts should still be the main rule, and that alternative price agreements should only be used in special cases. Few pharmaceuticals have been approved for temporary use, and only a single outcome-based price agreement has been entered.

Solutions for health benefit calculation and pricing of combination treatments are still "on the drawing board". There is little practical experience to be drawn on internationally.

When considering indication based pricing – and alternative price agreements – the *Nye metoder* decision makers are facing the dilemma of on the one hand protecting health care budgets, while on the other hand considering the risk that Norway will become a less attractive market.

In our view, the two main future challenges of *Nye metoder* are related to medical equipment and devices area and the use of "Real World Evidence". A fundamental and overarching development work has been initiated to redesign the way the system deals with medical equipment and devices. With respect to Real World Evidence, it is important to generate experience from the practical application of both temporary managed entry and performance-based price agreements based on individual patient outcomes. We note that there still remains extensive development work with various registers and administrative systems in order to be able to implement alternative price agreements in many therapeutic areas. There are several ongoing initiatives and processes in the RHAs and collaborating academic institutions, government bodies and other stakeholders that aim to improve and facilitate the use of health register data, and it is beyond the scope of this project to assess this. We consider, however, that it is uncertain when these systems will be fully operational.

More generally, we observe ongoing and forward-looking development work with great scope, and that several of the measures take place in collaboration between several system actors and stakeholders. This has resulted in a system, that on some important

accounts, is in the process of building its capacity to meet some of the challenges of the future. At the same time, it pays testimony to *Nye metoder*'s innovative capacities.

We note, however, that the development work has not been comprehensively described in a strategy document or action plan. Moreover, no overall overview or analysis of future challenges and problems that can be expected to arise in the next few years has been put into writing. We recommend that the RHAs prepare a strategy document to describe how HTAs and the system's decisions can make the greatest possible contribution to achieving the overall goals for the specialist health service. Such a strategy document should be prepared and followed up in collaboration with a reinforced Reference Group.

The exemption scheme in Nye metoder

We have taken as a premise that the exemption scheme will only apply to health technologies that are in process in *Nye metoder* and for which no decision has been made. In the evaluation, Proba has not observed serious dissatisfaction with the group level exemption scheme. We assume that there is little reason for concern based on the fact that the exemption scheme has been little used.

There are large regional disparities in the utilization of the individual patient exemption scheme. Considering the small and heterogeneous patient groups, this is not necessarily a case for concern either.

Based on the regional disparities and the patient associations' criticism of the exemption scheme, we are nevertheless unsure whether the scheme works satisfactorily. We consider that there may be a need for a more thorough review than what was done in 2018. We suggest a review of some selected individual cases on a specific indication-treatment combination. Such a review would demonstrate whether the scheme is equitably implemented or not. On this basis, one could also consider the need for "calibrating" the scheme in order to ensure that the exemption scheme is used consistently across hospitals, health trusts and regions. We consider that it must be up to the RHAs and the ministry to decide whether there is a need for a review and possibly also a calibration of the exemption scheme, and assess this against the resources that would be required.

The statutory authority for regulations and other legal issues

None of the comparator countries have instituted any detailed legislation for their corresponding systems for managed entry of health technologies. On the contrary, the legal basis is weaker in some of the countries than in Norway. There are no findings in our evaluation that speak in favor of further legal regulation in Norway by applying the statutory authority in Specialized Health Services Act.

Supplementary information for non-Norwegian readers

The core of the Nye metoder system – a brief introduction⁸

In 2013 the National System for Managed Introduction of New Health Technologies within the Specialist Health Service in Norway (*Nye metoder*) was introduced to facilitate evidence-based decision-making within specialist health services (i.e. in hospital care). The system of health technology assessment has been in place since 1998 and over the years its application has expanded from clinicians to national policy-making.

The Commissioning Forum, consisting of the four medical directors (one for each regional health authority) and two delegates from the Norwegian Directorate of Health,

⁸ The following text consists of slightly adapted excerpts of a review in English of the Norwegian health system accessed 13 November 2021 at <https://nyemetoder.no/en>.

has the mandate to prioritize and select the HTAs to be conducted on the basis of submitted proposals and horizon scanning reports.

The single technology HTAs (STAs) focus on a single technology related to a comparator. They are performed by either the Norwegian Medicines Agency (if the technology is a pharmaceutical) or the Norwegian Institute of Public Health (all other methods). Multiple technology HTAs are broad assessments performed at the national level by the Norwegian Institute of Public Health encompassing several interventions for the same health condition. Such HTAs may for example be used to compare various interventions that have been used in clinical practice for some time.

Subsequently, the *Beslutningsforum*⁹ (Decision Forum) comprised of the four Regional Health Authority CEOs decide whether to introduce a technology or not.

*The Norwegian public health care system – a brief introduction*¹⁰

Norway has a semi-decentralized health system, with four Regional Health Authorities (RHAs) being responsible for specialist care and municipalities responsible for primary care and social services. The Ministry of Health and Care Services, with the help from its subordinate agencies, is responsible for the regulation and supervision of the system and ensures that health and social services are provided in accordance with national legislation and regulations. Annual letters of instruction to the RHAs contains information on the total budget placed at their disposal and some notes on specific uses of this allocation.

Integrated purchaser–provider relations had been the dominant feature of the Norwegian health care system. Hospital care, as well as outpatient psychiatry and treatment of drug and alcohol abuse, is financed, in equal parts, through block grants and case-based financing from the central government to the RHAs. Other types of specialist care are mainly financed through global budgets, with elements of case-based funding.

There are twenty hospital trusts in Norway. The distribution of hospitals in Norway reflects the distribution of the population, with the majority of hospitals located in the South-Eastern Region and the longest distances to the nearest hospital being in the Northern region.

The Norwegian health system offers a high level of social and financial protection. Population coverage is universal and public financing accounts for the vast majority (85%) of health expenditure.

⁹ Beslutningsforum: Literal translation; “Decision Forum”.

¹⁰ The following text consists of slightly adapted excerpts of the system description accessed 13 November 2021 at <https://apps.who.int/iris/bitstream/handle/10665/331786/HiT-22-1-2020-eng.pdf>.

1 Innledning

Gjennom de siste ti-årene har det gradvis vokst fram en erkjennelse av at de medisinskteknologiske mulighetene i helsetjenesten overstiger de tilgjengelige ressursene. Det er ikke tilstrekkelige ressurser til å anvende enhver tilgjengelig behandlingsmetode dersom man skulle ta sikte på å fylle ethvert behov. Dermed oppstår behovet for systemer som kan prioritere ressursinnsatsen og vurdere kvalitet i helsetjenesten. *Nye metoder* er et system for beslutning om innføring av nye metoder og utfasing av gamle metoder i den norske spesialisthelsetjenesten. Det ble etablert av de regionale helseforetakene (RHF-ene) i 2013 på oppdrag fra Helse- og omsorgsdepartementet (HOD).

Kort fortalt er det de fire RHF-ene som i fellesskap eier og drifter systemet for Nye metoder, men også Folkehelseinstituttet, Statens legemiddelverk, Sykehusinnkjøp HF, Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet og Helsedirektoratet deltar i saksbehandlingsprosessene. De to besluttede organene på nasjonalt nivå er Bestillerforum, som bestemmer hvilke metoder som skal sluses inn i systemet for vurdering, og Beslutningsforum, som beslutter hvilke metoder som kan tas i bruk i spesialisthelsetjenesten. Flere andre land har etablert liknende systemer som Nye metoder, og vi vil i denne rapporten også se nærmere på beslutningssystemene i Danmark, England, Skottland og Sverige.

1.1 Bakgrunn for evalueringsoppdraget

Denne evalueringen ble igangsatt av Helse- og omsorgsdepartementet i oppfølgingen av Stortingets anmodningsvedtak nr. 294 i forbindelse med stortingsbehandlingen av lovproposisjonen som lovfestet Nye metoder i 2019 (Prop. 55 L, 2018–2019):

Stortinget ber regjeringen å – i tråd med prioriteringsmeldingen og de vedtatte målene for legemiddelpolitikken samt premisene i Prop. 55 L (2018-2019) – sørge for en evaluering av dagens organisering av og saksbehandling i systemet for nye metoder, med hensikt å videreutvikle et system for likeverdig og rask introduksjon av nye metoder i spesialisthelsetjenesten.¹¹

Proba samfunnsanalyse fikk oppdraget i oktober 2020.

¹¹ Vedtak 294. *Endringer i spesialisthelsetjenesteloven og pasient- og brukerrettighetsloven (lovfesting av systemet for nye metoder m.m.)*. Hentet 19. september 2021 fra <https://www.stortinget.no/no/Saker-og-publikasjoner/Vedtak/Vedtak/Sak/?p=75541>.

1.2 Problemstillinger og evalueringstemaer

Evalueringen skal besvare og belyse to hovedproblemstillinger:

- 1) Er dagens organisering og saksbehandlingsprosesser i systemet hensiktsmessig utformet og egnet til å oppnå de fastsatte målene?
- 2) Er systemet rustet til å møte fremtidens medisinsk-teknologiske utvikling, herunder utvikling av persontilpasset medisin?

Disse to spørsmålene er operasjonalisert gjennom elleve evalueringstema, som vi gjengir og gjennomgår nedenfor.

De to hovedproblemstillingene angir at evalueringsoppdraget skal være en formativ underveisvurdering av et beslutningssystem. Det er således ikke en evaluering av systemets måloppnåelse, men en framoverskuende analyse av om organisering og prosesser er utformet på en slik måte at målene kan oppnås. Hovedmålet for evalueringen er å belyse hvor godt dagens system fungerer ut fra intensjoner og gitte rammer, samt å vurdere om det finnes forbedringsmuligheter innenfor gjeldende regulering. I tillegg skal evalueringen vurdere systemets egnethet stilt ovenfor den forventede utviklingen i medisinsk teknologi og behandlingsformer. Evalueringen omfatter også som nevnt en sammenlikning med liknende systemer i fire andre land.

Utover de to hovedproblemstillingene er evalueringsoppdraget spesifisert ved elleve evalueringstema, som vi vender tilbake til i punkt 1.2.2 med drøfting av tolkning og forståelse. Først vil vi redegjøre for noen viktige avgrensninger av oppdraget.

1.2.1 Avgrensninger

Nye metoder er et lovbestemt virkemiddel som skal bidra til å nå målene for spesialisthelsetjenesten, innenfor de fastlagte rammene som gjelder for denne typen virksomhet. Målene for Nye metoder er fastlagt i stortingsbehandling av meldinger og lovforslag, og det faller utenfor vårt oppdrag å vurdere endringer i disse.

Målene for Nye metoder framgår blant annet av

- Meld. St. 34 (2015-2016) Verdier i pasientens helsetjeneste (prioriteringsmeldingen)
- Prop. 55 L (2018–2019) Endringer i spesialisthelsetjenesteloven og pasient og brukerrettighetsloven (lovfesting av systemet for nye metoder m.m.)
- Meld. St. 28 (2014-2015) Legemiddelmeldingen
- Forskrift om legemidler (legemiddelforskriften)¹²

Vi drøfter målene mer inngående i kapittel 5.10. Videre har Stortingets behandling fastlagt en rekke andre føringer for Nye metoder. Tre viktige avklaringer er de følgende:

- Beslutninger i Nye metoder endrer ikke pasientenes rett til forsvarlig helsehjelp
- Beslutningene i Nye metoder er ikke enkeltvedtak, og de partene som berøres har ikke klagerett i henhold til forvaltningsloven
- Informasjon om priser på legemidler kan unntas offentlighet

Vi drøfter hver av disse i de følgende avsnittene.

¹² For alle norske lover og forskrifter henviser vi til Lovdata <https://lovdata.no/register/lover>.

Forholdet mellom Nye metoder og pasientenes rettigheter

Som nevnt ovenfor fastslås det i pasient- og brukerrettighetsloven § 2-1b at «Pasienten har rett til nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten». Heri ligger også en rett til medisinsk vurdering og til å få fastsatt en frist for når nødvendig helsehjelp skal gis til pasienten (§ 2-2). Bestemmelsen bygger statens forpliktelser til å oppfylle retten til helse som en menneskerettighet og som omfattes av menneskerettsloven § 2.

Det er klagerett på at rettigheter etter pasient- og brukerrettighetslovens kapittel 2 ikke blir oppfylt. Statsforvalteren skal vurdere om pasienten har blitt tilbudt eventuelt mottatt forsvarlig helsehjelp. Stort sett blir vurderinger av om pasienten skal gis prioritet – og hvilken prioritet – ikke «saksbehandlet» som enkeltvedtak i forvaltningslovens forstand. Det ses mer som «kliniske avgjørelser». Prioriteringsforskriften angir de prioriteringskriteriene som skal legges til grunn ved den faglige vurderingen av den enkelte pasient.

I Prop. 55 L (2018–2019), s. 54-55, redegjøres det for forholdet mellom retten til nødvendig helsehjelp, forsvarlighetskravet og klageadgangen. Oppsummert heter det at

Klageinstansen og domstolen skal dermed ikke ta stilling til om en ny metode skal gjøres tilgjengelig i spesialisthelsetjenesten, men om det helsetilbudet som pasienten faktisk mottar er forsvarlig. (Prop. 55 L, 2018–2019)

I loven og i kommentarer til loven og lovrevisjonen for å ta Nye metoder inn i loven, skilles det mellom generelle metodevurderinger og innholdet i den individuelle rettigheten (Innst. 93 L, 2019-2020), s. 6:

Komiteen legger til grunn at overordnede beslutninger om metoder ikke skal påvirke retten til individuelle vurderinger og rettigheter til nødvendig og forsvarlig medisinsk behandling. De individuelle vurderingene skal ta utgangspunkt i den enkeltes behov og faktiske muligheter for å diagnostisere og behandle sykdom.

Det ligger utenfor vårt oppdrag å gå inn på og gi spesifikke anbefalinger om hvordan RHF-ene skal ivareta sitt «sørge-for-ansvar» i lys av lovbestemmelsene om retten til nødvendig helsehjelp og plikten til å yte forsvarlig helsehjelp, samt legenes forskrivningsrett, mm. Videre ligger det utenfor oppdraget å vurdere behovet for ytterligere lovgivning på disse områdene.

Når det er sagt, så er det innenfor oppdraget å kunne ta opp slike spørsmål som hvorvidt beslutningene i Nye metoder bør kunne gi anvisninger om hvordan enkeltpasienter som ikke passer inn i den gruppetenkningen som Nye metoder er basert på, skal håndteres. Dette kan videre gjelde om hvordan ulike pasientgrupper skal tilbys ulike metoder.

Det er flere regler som har betydning for disse vurderingene og som i liten grad behandles i denne rapporten ut fra en naturlig avgrensning av oppdraget. Den medisinsk-teknologiske utviklingen av persontilpasset medisin, bruk av kunstig intelligens og maskinlæring gir grunnlag for nye spørsmål om hvordan Nye metoder bør videreutvikles som i liten grad behandles her.

Nye metoder og forholdet til forvaltningsloven

Det har i HOD hele tiden vært vurdert slik at virksomheten innenfor Nye metoder ikke er alminnelig forvaltningsvirksomhet. Dette understrekes for eksempel slik i (Prop. 55 L, 2018–2019) i punkt 8.5.4, der spørsmålet drøftes på grunn av ulike innspill i høringsrunden og juridiske eksperter som uttalte seg i media:

Departementets utgangspunkt er at de regionale helseforetakenes beslutninger om for eksempel hvilke legemidler eller medisinsk utstyr de skal kunne tilby er underlagt deres private autonomi (selvbestemmelsesrett). Dette gjelder på samme måte som at det ligger under de regionale helseforetakenes private autonomi å vurdere og beslutte om det skal oppføres nytt sykehusbygg, om lokalisering av sykehus, om det er behov for å inngå avtaler med private helsetjenesteleverandører mv. Disse beslutningene faller inn under sørge-for-ansvaret, jf. spesialisthelsetjenesteloven § 2-1a.

Det er liten grunn til her å gå nærmere inn på disse rettslige spørsmålene. Det vises til Sivilombudsmannen uttalelse av 4. april 2018 (ref. 2017/2104), og at Stortinget ved behandlingen av Prop. 55 L (2018–2019) *Endringer i spesialisthelsetjenesteloven og pasient- og brukerrettighetsloven (lovfesting av systemet for nye metoder m.m.)* har lovfestet at de beslutninger Nye metoder treffer ikke er enkeltvedtak, jf. spesialisthelsetjenesteloven § 4-4.

Like fullt er RHF-ene forvaltningsorganer der forvaltningsloven er gjort gjeldende etter helseforetaksloven § 5 første ledd første punktum: «Forvaltningsloven gjelder for foretakenes virksomhet.».

Dette tilsier at de formål som siktes oppnådd gjennom forvaltningsloven, nemlig innflytelse og innsyn for parter og et system for brukermedvirkning på systemnivå bør ivaretas i Nye metoder. Dette fordi Nye metoder er et system for beslutninger som tas og som skal gjennomføres og effektueres av RHF-ene selv, og fordi disse verdiene er i tråd med alminnelige helsepolitiske målsetninger som det er bred enighet om. Disse målene går fram av målforståelsen i Nye metoder, gjengitt i punkt 6.1.6, og prosessen er vurdert opp mot denne målforståelsen i punkt 6.2. Særlig viktig er spørsmålene om beslutningsprosessen er åpen og transparent, og om det foreligger tilstrekkelig brukermedvirkning på systemnivå, et spørsmål som er drøftet i punkt 9.1.

Selv om vi regner forholdet til bestemmelsene i forvaltningsloven og offentlighetsloven som avklart og utenfor oppdraget, er de hensyn som innsynsrett skal ivareta, innenfor for oppdraget. Når det gjelder offentlighet om priser, innebærer Stortingets avklaring muligheten for å unnta priser fra offentlighet – ikke hensiktsmessigheten av henholdsvis fortrolighet og offentlighet. Innsyn kan påvirke muligheter for medvirkning og tilliten til beslutningene. Vi vil derfor belyse om Nye metoder fungerer godt på disse områdene, gitt muligheten for å unnta priser og annen informasjon fra i beslutningsgrunnlagene og om det er rom for forbedringer samt hva som er sannsynlige konsekvenser av endringer.

Legemiddelpriser kan hemmeligholdes

I prioriteringsmeldingens (Meld. St. 34, 2015-2016) avsnitt 14.1.1 argumenterer regjeringen prinsipielt for åpenhet om legemiddelpriser, men understreker også at åpenhet om priser på legemidler *kan* ha en kostnad for kjøper. Regjeringen konkluderer med at legemiddelpriser kan unntas offentlighet, og at et vedtak om offentlighet må tas i fellesskap på europeisk nivå. Selv om det i dette ligger at legemiddelpriser *kan* offentliggjøres, så anser vi en vurdering av dette spørsmålet til å ligge utenfor prosjektets rammer.

Avgrensning av systemet for Nye metoder mot øvrig virksomhet i spesialisthelsetjenesten

Til sist må prosjektet må avgrenses ved at vi sonderer mellom systemet for Nye metoder og RHF-enes øvrige virksomhet. Siden Nye metoder er en del av RHF-enes sørge-foransvar, finnes det ingen formell avgrensning av systemet. I samråd med oppdragsgiver er evalueringen avgrenset til å omhandle implementering av beslutninger (jf. evalueringstema 10) i den grad det dreier seg om beslutninger som tas på gruppenivå i tråd med RHF-enes sørge-foransvar, og at dette omfatter hele prosessen frem til beslutning om tilgjengeliggjøring for klinikerne. Evalueringen vil derfor omfatte anbudsprosesser og utarbeidelse av LIS-anbefalinger (som gjøres til RHF-instrukser) i den grad de kan sies å inngå i implementering av beslutninger i Nye metoder.

Sykehusinnkjøp HF er et helseforetak eid av de fire regionale helseforetakene i fellesskap, og har ansvar for anskaffelse og innkjøp av legemidler samt ulike typer medisinsk utstyr mm. Denne virksomheten er underlagt blant annet anskaffelsesregelverket, som utgjøres av Lov om offentlige anskaffelser (anskaffelsesloven) med den tilhørende Forskrift om offentlige anskaffelser (anskaffelsesforskriften). Næringsdepartementet har

dessuten utarbeidet en *Veileder til reglene om offentlige anskaffelser (anskaffelsesforskriften)*. Formålet ved disse reguleringene er å bidra til økt verdiskapning i samfunnet ved å sikre mest mulig effektiv ressursbruk ved offentlige anskaffelser, som skal være basert på forretningsmessighet og likebehandling. Regelverket skal også bidra til at det skapes tillit til at offentlige anskaffelser skjer på en samfunnstjenlig måte. Offentlige oppdragsgivere skal opptre i samsvar med grunnleggende prinsipper om konkurranse, likebehandling, forutberegnelighet, etterprøvnbarhet og forholdsmessighet (Sykehusinnkjøp, 2020c).

Vi anser at det ligger utenfor prosjektets rammer å vurdere om anskaffelsene skjer i samsvar med regelverket. Vi kommer dog litt inn på dette i forbindelse med implementering i kapittel 10. Enkelte mindre avgrensningsspørsmål drøftes og avklares fortløpende i rapporten.

1.2.2 Forståelse og diskusjon av evalueringstemaene

Nedenfor presenterer og gjennomgår vi de elleve evalueringstemaene som sammen med de to hovedproblemstillingene definerer vårt evalueringsoppdrag. Teksten i kursiv gjengir hvert tema slik de var framstilt i utlysningen av evalueringsoppdraget.

Evalueringstema 1: Aktørenes saksbehandlings- og beslutningsprosesser

Saksbehandlings- og beslutningsprosesser hos de ulike aktørene, inkludert saksbehandlingstid og eventuelle flaskehalsar.¹³

For å belyse dette temaet har vi beskrevet saksgangen fra metodevarslingsfunksjonen, via Bestillerforum, utarbeidelse av metodevurderinger, saksforberedelse og beslutning i Beslutningsforum, og fram til implementering i form av anskaffelser og innarbeiding av beslutningene i retningslinjer og pakkeforløp. Alle de viktige leddene i prosessen har blitt vurdert.

For å besvare spørsmålet om saksbehandlingstid har vi på basis av et datauttrekk fra Nye metoders fagsystem gjennomført en forløpsanalyse, der vi analyserer tidsbruken på ulike stadier i prosessen. Vi har også sett på ressursbruk, først og fremst i forbindelse med metodevurderinger.

Evalueringstema 2: Saksbehandling; håndtering av feil

Behandling av saker i tråd med regelverk og nasjonale føringer, samt håndtering av saksbehandlings- eller prosedyrefeil i systemet.

Vi har beskrevet det rettslige grunnlaget for Nye metoder og de politiske føringene for systemet slik de framkommer i ulike stortingsmeldinger og liknende dokumenter. Med dette som utgangspunkt har vi drøftet og vurdert de ulike delene av saksbehandlingen, og herunder har vi lagt vekt på å vurdere tiltak som kan kompensere for at systemet ikke har, og ikke skal ha, noen klageordning.

Evalueringstema 3: Samhandling og kommunikasjon mellom aktørene i Nye metoder

Samhandling og kommunikasjon mellom aktørene i og utenfor systemet, herunder mellom private og offentlige aktører.

Vi har gjort en mindre omtolkning av begrepene i dette temaet, idet vi definerer interaksjonen med leverandørene som *medvirkning*, i og med at dette også er omfattet av evalueringstema 6 nedenfor. Dette innebærer at *samhandling* er å forstå som

¹³ Kursivert tekst er hentet fra utlysningen av oppdraget.

interaksjonen mellom aktørene som er del av Nye metoder. Vi omtaler også deltakelsen til de kliniske ekspertene som *medvirkning*.

Evalueringstema 4: Åpenhet og transparens i saks- og beslutningssystemer

Også her har våre vurderinger tatt utgangspunkt i en gjennomgang av rettslig grunnlag og politiske føringer. Vi drøfter begrepene *åpenhet* og *transparens* nærmere i kapittel 8.

Evalueringstema 5: Utadrettet kommunikasjon og informasjonsarbeid; åpenhet om beslutninger

Utadrettet kommunikasjon og informasjonsvirksomhet til offentligheten og interessenter, inkludert næringslivet, pasienter og pårørende. Åpenhet og kommunikasjon om beslutninger, herunder forståelse av beslutningsgrunnlaget og begrunnelse, samt om beslutninger er formulert slik at de forstås i befolkningen.

Vi har ingen utfyllende kommentarer til dette.

Evalueringstema 6: Medvirkning av pasienter, pårørende, fagpersoner og leverandører

Hvordan medvirkning fra pasienter, pårørende, fagpersoner og leverandører er ivarett.

Også brukermedvirkning er vurdert i lys av lovgivning på feltet. Som nevnt ovenfor behandler vi interaksjonen med kliniske eksperter under dette teamet.

Evalueringstema 7: Kapasitet, ressursbruk og bærekraft i organisering av systemet og i aktørene

Kapasitet, ressursbruk og bærekraft i organisering av systemet og hos aktørene i dag og fremover, særlig sett i lys av premiss om å metodevurdere alle nye legemidler, samt et økt antall legemidler overført til RHF-ene.

Vi har ingen utfyllende kommentarer til dette.

Evalueringstema 8: Forutsigbarhet og likebehandling av leverandører og brukergrupper

Forutsigbarhet og likebehandling av leverandører og pasientgrupper når det gjelder beslutninger om innføring av behandlingsmetoder, særlig mht. små pasientgrupper

Vi har undersøkt om systemet bidrar til likeverdig og rettferdig tilgang til trygge og virkningsfulle metoder uavhengig av geografisk bosted og i tråd med prinsipper for prioritering.

Evalueringstema 9: Systemets evne til å håndtere framtidig medisinsk-teknologisk utvikling

Hvorvidt systemet er rustet organisatorisk og faglig for medisinsk-teknologisk utvikling fremover, herunder særskilt håndtering av persontilpasset medisin.

Dette er også en av de to hovedproblemstillingene i prosjektet.

Evalueringstema 10: Implementering i helsetjenesten; herunder retningslinjer og likeverdig tilgang

Hvordan beslutninger blir implementert i helsetjenesten, herunder informasjon om beslutningene til helsetjenesten, oppdatering av nasjonale faglige retningslinjer knyttet til beslutningene, og likeverdig tilgang til metoder besluttet innført for pasienter i hele landet

Vi har ingen utfyllende kommentarer til dette.

Evalueringstema 11: Unntaksordningen i systemet for Nye metoder

Om unntaksordningen i systemet for Nye metoder har oppfylt sin intensjon og praktiseres likeverdig i de fire RHF-ene, både for gruppeunntak og for unntak for enkeltpasienter.

Vi har ingen utfyllende kommentarer til dette.

Andre spørsmål

Vi har også sett på innspillene i den offentlige innspillsrunden i forkant av utlysningen av evalueringsoppdraget.

1.2.3 Innspillene fra høringsrundene

Evalueringen skal ta innover seg innspillene i høringsrunden for lovproposisjonen (Prop. 55 L, 2018–2019). Vi har gjennomgått hørings svarene som er gjengitt i lovproposisjonen, og finner at i all hovedsak så er disse rettet dels mot forhold som har blitt avklart i den påfølgende stortingsbehandlingen, og dels mot forhold som av andre grunner faller utenfor oppdragets rammer (jf. punkt 1.2.1).

1.3 Rapportens oppbygning

Mange av forholdene som vi undersøker i dette prosjektet bidrar til å belyse flere evalueringstema samtidig. Om vi studerer beslutningene i Beslutningsforum, kommer vi inn på spørsmål om de er i samsvar med regelverk og føringer (evalueringstema 2), om de er transparente (evalueringstema 4), om de er foretatt med nødvendig grad av medvirkning (evalueringstema 6), og om de er hensiktsmessig kommunisert (evalueringstema 5). Dette eksempelet viser også at det er en viss grad av overlapp mellom evalueringstemaene.

For å gjøre dette håndterlig i rapporten, behandler vi evalueringstemaene i seks analysekapitler;

- 6) Mål, organisering og prosesser
- 7) Om metodevurderinger i Nye metoder
- 8) Beslutninger, kommunikasjon, åpenhet og tillit
- 9) Medvirkning
- 10) Implementering
- 11) Er Nye metoder rustet for framtida?

Metodebeskrivelsen (punkt 1.4) følger rett nedenfor. De innledende kapitlene i rapporten tar for seg følgende tema. Kapittel 2 beskriver de utfordringene som mange lands prioriterings- og beslutningssystemer stilles overfor i nær framtid som følge av den medisinsk-teknologiske utviklingen – særlig knyttet til persontilpasset medisin, avanserte terapier (ATMP) og behandlinger av sjeldne tilstander. I noen grad er denne framtida allerede blitt nåtid – mange av utfordringene viser seg allerede.

Kapittel 3 beskriver systemet for Nye metoder. Det siste punktet her er en generell beskrivelse av metodevurderinger. I kapittel 4 beskriver vi beslutnings- og prioriterings-systemene i de utvalgte sammenlikningslandene Danmark, England, Skottland og Sverige. Vi beskriver også ulike internasjonale samarbeidsinitiativer innen metodevurdering og liknende. Kapittel 5 gir en kort presentasjon av de ni eksempelsakene (ti dersom man teller Ocrevus-saken og MS-feltet separat).

Den samlede oppsummeringen og diskusjonen av funn, vurderinger, konklusjoner og anbefalinger er framstilt i «Sammendrag, konklusjoner og anbefalinger» innledningsvis i rapporten.

1.4 Metode

Evalueringen av system for *Nye metoder* i spesialisthelsetjenesten er en formativ underveisevaluering. En evaluering av et beslutningssystem gjennomført på denne måten betyr at formålet er å gi en tilbakemelding i den hensikt å forbedre systemet (Scriven, 1991). Evalueringens fokus er således på organisering og prosesser på systemnivå, og i liten grad på interne forhold hos aktørene.

Viktige aktiviteter i prosjektet har vært case-studier i form av en gjennomgang av ni såkalte eksempelsaker (ti dersom man teller Ocrevus¹⁴-saken og MS-feltet separat), en studie av beslutningssystemene i Danmark, England, Skottland og Sverige, en analyse av saksbehandlingsdata utlevert fra sekretariatet for Nye metoder, samt en registerstudie basert på data fra Norsk pasientregister. Metodene som har vært brukt omfatter dokument- og litteraturstudier, intervjuer og kvantitative analyser.

Flere av evalueringstemaene prosjektet skal besvare har rettslige aspekter. Dette gjelder særlig temaene 4, 8, 10 og 11. Det er usikkerhet om flere av de rettslige spørsmålene. Dette skyldes blant annet den internasjonale rettsutviklingen, og rettsutviklingen i EU/EØS som Norge er del av, og at det i denne rapporten primært er behandlet norske regler i tråd med oppdraget.

Intervjuer

Det har blitt gjennomført intervjuer med sentrale aktører og interessenter. Intervjuene har blitt gjennomført i store deler av prosjektperioden, med hovedvekt på perioden mars-juni 2021. Det har blitt utarbeidet intervjuguider tilpasset de ulike informantene og deres befatning med systemet. Det er gjennomført 61 intervjuer, med til sammen 112 informanter. En informantliste for prosjektet finnes som vedlegg 2 i rapporten.

Intervjuer har blitt gjennomført med hver av deltakerne i referansegruppa. I all hovedsak ble intervjuene med referansegruppedeltakerne gjennomført som gruppeintervjuer.

Det har også blitt gjort intervjuer i de forskjellige eksempelsakene. I ulik utstrekning har man valgt ut det man anser for å være sentrale klinikere, brukerrepresentanter og leverandører, der det har vært ansett som hensiktsmessig. Det har også blitt gjort intervjuer med relevante fagpersoner.

Informantene til landanalysen har i all hovedsak blitt identifisert og rekruttert via hjemmesidene til de myndighetsorganene og virksomhetene som har ansvar for beslutningssystemene i de respektive landene.

Intervjuene har i all hovedsak blitt gjennomført på videolink og på en måte som har tatt hensyn til de til enhver tid gjeldende reiserestriksjoner og -råd knyttet til pandemi-responsen. Nødvendige personvern vurderinger knyttet til intervjuundersøkelsen har blitt gjort i samarbeid med NSD.

Eksemplarsakene

Deltakerne i referansegruppa fikk i etterkant av det første referansegruppemøtet i januar 2021 muligheten til å foreslå inntil fem eksempelsaker hver. Eksemplarsakene ble deretter valgt ut av prosjektgruppa for evalueringen etter en skjønnsmessig

¹⁴ Av hensyn til lesbarhet bruker vi i hovedsak produktnavn og ikke virkestoffnavn som betegnelser på legemidler (virkestoffnavnet på produktet Zynteglo er *betibeglogene autotmcel*).

totalvurdering. Prosjektgruppa søkte i vurderingen å få til en god balanse når det gjaldt å belyse evalueringstemaene, særlig saksbehandling (tema 2), samhandling (tema 3), likebehandling (tema 8), implementering (tema 10) og unntaksordningen (tema 11). Vi beskriver utvelgelse av saker og hvordan de er brukt i rapporten i punkt 5.1.

For hver eksempelsak ble det utarbeidet et internt arbeidsnotat som har blitt brukt som kunnskapsbase for å utvikle avsnitt og annen tekst som har blitt brukt i framstillinger og drøftinger fortløpende gjennom denne rapporten. Arbeidsnotatene er av ulikt omfang, blant annet ut fra vurderinger om hvordan hver av dem skulle brukes i arbeidet med rapporten. I tillegg til intervjuer er det i eksempelsakene brukt saksdokumenter og annet skriftlig kildemateriale.

Forløpsanalyse

I evalueringen har vi gjennomført en forløpsanalyse av enkeltsaker. Analysen baserer seg på et uttrekk av 877 saker fra fagsystemet til sekretariatet for Nye metoder. Vi har sammenstilt data for faktisk varighet av ulike faser fra beslutning om at metoden skal vurderes til det er besluttet om metoden skal innføres. I tillegg har vi fått tilgang til en sammenstilling av mer detaljerte forløp for et mer begrenset utvalg av saker fra sekretariatet for Nye metoder og en annen fra Sykehusinnkjøp, knyttet til arbeidet med prisnotater.

Vi har videre sammenliknet forløpene i Norge med normene for behandlingstider, både i Norge og sammenlikningslandene.

Registerdatastudien

For å undersøke spørsmålet om implementering av beslutninger og likeverdig tilgang (evalueringstema 10) har vi valgt ut 16 kreftbehandlinger basert på legemiddel (ATC-kode og diagnose) godkjent i perioden 2014-2020. For disse er det innhentet data om hver enkelt pasient som har fått de aktuelle behandlingene, deres alder og kjønn og bostedsfylke og når de startet behandlingen. På basis av dette har vi telt opp antall nye pasienter på behandlingene og fordelt dem kalenderkvartal og tid fra godkjenning i Beslutningsforum. Undersøkelsen er ment å vise om tilgangen til de 16 behandlingene er likeverdig fordelt etter alder, kjønn og helseregion.

Landstudie

Landstudien er basert på en kombinasjon av dokumentanalyse og intervjuer. Informasjon om landenes system og beslutningsprosesser har først og fremst blitt hentet fra hjemmesidene til myndigheter/organisasjoner som har ansvar for beslutningssystemene i Sverige, Danmark, England og Skottland, samt fra publiserte artikler og rapporter. Informasjon om tilgang til nye legemidler og sammenlikninger av hvor rask denne tilgangen er i de ulike landene, er dels hentet fra vitenskapelige artikler, dels rapporter fra organisasjoner og foretak.

Videre har vi innhentet informasjon fra de aktuelle sammenlikningslandene knyttet til erfaring med at saker med persontilpasset medisin er mer ressurskrevende enn andre (evalueringstema 9), og om antall saker per år øker som følge av økt innovasjonstakt (evalueringstema 7).

Vedlegg 1 gir en samlet beskrivelse av beslutningssystemene i sammenlikningslandene. Dette dokumentet er i sin helhet oversatt fra svensk, og vi kan dessverre ikke utelukke at det kan ha oppstått noen unøyaktigheter i terminologi.

Referansegruppa i prosjektet

Ved oppstart av prosjektet ble det etablert en referansegruppe bestående av interessenter og systemaktører. Utvalg av deltakere til referansegruppa ble gjort i samråd med HOD.

Det er gjennomført tre referansegruppemøter i prosjektet. Møtene ble gjennomført i januar, april og september 2021. Referansegruppas deltakere har bidratt med skriftlige innspill ved to anledninger, og med forslag til valg av eksempelsaker. Deltakerne i referansegruppa har også deltatt i intervjuer, og gitt innspill til foreløpige funn og resultater. I tillegg har referansegruppa vært en informasjonskanal ut til aktuelle fagmiljøer og interessenter. En oversikt over deltakerne i referansegruppa finnes i vedlegg 2.

Kort vurdering av metodebruken i evalueringen

Vår vurdering er at bredden i metodebruken har gitt et godt grunnlag for å besvare og belyse problemstillingene og evalueringstemaene. Intervjuene har gitt innsikt og informasjon fra en rekke ulike interessenter og representanter for systemaktørene. Forløpsanalysen, som har omfattet alle saker i Nye metoder, har gitt et godt grunnlag for å vurdere saksflyt i systemet. Landanalysen har bidratt til å sette mange av våre funn i et større perspektiv. Registerdatastudien har dessverre gitt mindre kunnskap om implementering enn vi håpet at den ville, men dette hadde altså primært med datakvalitet å gjøre, og ikke metodebruk som sådan.

Vi har registrert enkelte kritiske tilbakemeldinger på vårt utvalg av de ti eksempelsakene, der det hevdes at sakene ikke er «representative» for den totale saksmengden i Nye metoder. I den forbindelse opplever vi at case-studie-metodikken nok fortøner seg som noe fremmed for fagpersoner som har sin faglige tyngde i kvantitativ metodebruk. Vi forklarer case-studie-metodikk kort i punkt 5.1. Vi mener vi har benyttet materialet fra eksempelsakene i samsvar med god praksis – det vil si at ulike funn og fenomener fra hver av eksempelsakene i hovedsak har blitt brukt til å belyse og forklare relevante, spesifikke aspekter ved systemets virkemåte. Det hevdes ikke at eksempelsakene samlet kan si noe generelt om systemet som helhet, slik man vanligvis generaliserer fra et statistisk representativt utvalg til populasjonen det er hentet fra.

2 Beslutningssystemenes utfordringer – medisinsk-teknologisk utvikling

I dette kapitlet belyser vi spørsmålet om hvilke utfordringer den medisinsk-teknologiske utviklingen medfører for prioriterings- og beslutningssystemer i spesialisthelsetjenesten. Dette vil danne et bakteppe for våre beskrivelser og vurderinger videre i rapporten.

2.1 Nødvendigheten av å prioritere

Nye metoder skal underbygge målet om at befolkningen skal gis nødvendig og forsvarlig helsehjelp, og om at det er trygghet i befolkningen for at man oppnår helsehjelp ved behov for dette. Prioriteringer er nødvendig for å oppnå dette målet, og dreier seg både om at det er nødvendig med en «køordning», det vil si en rekkefølge for når personer får helsehjelp ut fra et samlet behov for helsehjelp og den enkeltes sykdom, og en vurdering av hvilke behandlingsmetoder helsetjenesten skal tilby. Hvilke metoder helsetjenesten skal tilbys må vurderes ut fra metodens nytte og kvalitet, om den kan gi effektiv behandling for sykdom, om den kan rettfærdiggjøres med utgangspunkt i kostnader – og det må prioriteres innenfor en fast budsjetttramme.

Beslutningssystemet Nye metoder har betydning for enkeltmennesker ved at det skal styrke mulighetene for å gi helsehjelp til flest mulig, samtidig som det kan få stor betydning for enkeltpasienter som har behov for en metode som ikke ennå er godkjent. Saksbehandlingstiden i nye metoder, mulighetene for å bli inkludert i klinisk forskning har også betydning i denne sammenhengen.

Viktige framtidige utfordringer er knyttet til høy innovasjonstakt innen persontilpasset medisin og medisinsk utstyr. Utviklingen på disse områdene gir håp om store helsemessige fordeler for pasienter med alvorlige sykdommer.

Med persontilpasset medisin menes forebygging, diagnostikk, behandling og oppfølging tilpasset biologiske forhold hos den enkelte (Helsedirektoratet, 2016). Persontilpasset medisin kan gi mer effektive behandlinger, muligheter til å identifisere sykdommer på et tidlig stadium og derved forebygge eller lindre sykdom, redusere forekomst av medisinske skader og økt overlevelse. Utviklingen av persontilpasset medisin sammenfaller med en rask utvikling innen en rekke banebrytende forsknings- og teknologiområder. Disse inkluderer molekylærbiologi, storskala genetisk sekvensering, høyoppløselig billedbehandlingsteknologi, gen- og celleterapi, biosensorer, evnen til å koble til og overføre store datamengder og bruk av kunstig intelligens (KI).

Utviklingen av persontilpasset medisin gir håp om store helsegevinster for pasienter med alvorlige sykdommer. Samtidig er prisene ved behandlingene ofte satt på et svært høyt nivå, og dermed er det sentralt å vurdere om nytten ved disse nye metodene står i rimelig

forhold til de høye kostnadene. Metodevurdering er ofte utfordrende, ettersom det kan være usikkerhet knyttet til både tidlig effekt og langtidseffekter av behandlingene. Beslutningssystemer som Nye metoder skal ikke bare prioritere – Nye metoder har for eksempel også ivaretagelse av pasientsikkerhet og kvalitet som del av sitt oppdrag.

Behovet for å prioritere har økt over tid, både i Europa og ellers i verden. Det er flere årsaker til dette, blant annet ser man en økning i antall godkjente legemidler og i utgifter til helsetjenester (Allen m. fl., 2017; Zisis m. fl., 2021). Med begrensede ressurser må betalerne og/eller helsemyndighetene ta vanskelige etiske beslutninger om hvordan man prioriterer for eksempel mellom ulike behandlinger og ulike pasientgrupper, samt mellom forebyggende, elektiv og akutt behandling (de Groot m. fl., 2017). Videre kan man – som i Norge – ha målsetninger om likeverdig behandling på tvers av alder, kjønn og geografi.

I mange land er det innført systemer som Nye metoder i Norge for å vurdere kirurgi og annen medisinsk behandling, legemidler, diagnostikk, medisinsk utstyr, med videre. Man sammenlikner da typisk nye metoder med eksisterende behandlinger med hensyn til effekt og kostnad. Et systematisk prioriteringsarbeid blir nødvendig for å skape en balanse mellom tilgang til behandlinger og kostnadseffektivitet. I et bredere samfunns-perspektiv må beslutningstakere og politikere også prioritere mellom ulike offentlig finansierte utgiftsområder.

Utvikling av flere nye dyre, innovative medisiner, hvorav noen er potensielt kurative, skaper utfordringer knyttet til både metodevurdering og finansiering. Slike utfordringer har ført til at flere land har gjennomført utrednings- og endringsprosesser i sine beslutningssystemer med tanke på tilpasninger til en ny virkelighet, blant annet engelske NICE (se punkt 4.6 og vedlegg 1).

Litt spissformulert kan man si at prioritering i spesialisthelsetjenesten handler om å sette svake grupper opp mot hverandre. Fordi noen grupper er svakere enn andre, er det viktig at dette skjer innenfor rammene av et robust beslutningssystem med høy tillit.

2.2 Framtidas utfordringer

2.2.1 Et legemiddelmarked i endring

Vi nå ser store endringer i legemiddelmarkedet som endrer vilkårene for verdisetning og betaling. Blant endringene er at vi i de senere år har fått mange legemidler mot sjeldne tilstander, persontilpasset medisin, gen- og cellebehandlinger for små pasientpopulasjoner – men ikke mange nye legemidler til behandling av de store folkesykdommene. Vi mener det er flere grunner til denne utviklingen. Noen kan tilskrives endringer knyttet til produksjon av legemidler, det vil si tilbudssiden. Andre grunner finnes på etter-spørselssiden.

På tilbudssiden har vi det som har blitt kalt Erooms lov. Scannell m. fl. (2012) publiserte en artikkel i 2012 om den fallende effektiviteten innen legemiddelindustrien, og viste at for hver milliard dollar brukt på forskning og utvikling siden 1950, har antall godkjente nye legemidler falt med omtrent halvparten hvert 10. år, noe som betyr en total nedgang på en faktor på 80. De kalte dette Erooms lov, fordi det lignet en inversjon av Moores lov, som ble formulert av Intel-grunnlegger Gordon E. Moore i 1965, der han postulerte at antall transistorer i en integrert krets dobles omtrent hvert annet år.

De høye utviklingskostnadene i legemiddelindustrien gjør det vanskelig å finne markeder for marginalt bedre nye medisiner på områder der kostnadene etter patentutløp og påfølgende konkurranse har presset prisene ned til nivåer nær marginalkostnadene. For eksempel er det vanskelig å oppnå attraktive priser for et nytt kolesterolsenkende legemiddel når det nye legemiddelet skal konkurrere med de allerede eksisterende generiske produktene.

Det er derfor ikke overraskende at legemiddelindustrien innretter seg mot terapeutiske områder der de kan finne monopolsituasjoner, som ved sjeldne sykdommer, persontilpasset behandling (presisjonsmedisin) og såkalt avansert terapi. Persontilpasset behandling betyr forebygging, diagnostikk, behandling og oppfølging av biologiske forhold hos den enkelte pasient (Helsedirektoratet, 2016). Heri ligger det et potensial for å tilby mer effektive behandlinger og identifisere sykdommer på et tidlig stadium.

Avanserte terapier, eller avansert terapimedisin (ATMP), er behandling basert på gener, vev eller celler, og antas å kunne kurere mange alvorlige og til dels livstruende sykdommer. Et eksempel på ATMP Zolgensma som nylig ble godkjent av Beslutningsforum mot spinal muskelatrofi (SMA) med en alternativ betalingsmodell.¹⁵

På disse områdene er det mulig å sette høye priser fordi det ofte ikke er noen rimelige behandlingsoalternativer eller alternative behandlinger overhode. For slike metoder kan tilsynsmyndighetene og HTA-organisasjonene til og med akseptere lavere dokumentasjonskrav for markedsføringstillatelser og refusjonsbeslutninger. Reduserte dokumentasjonskrav betyr reduserte utviklingskostnader. Prioriteringsmeldingen anfører at det vil kunne aksepteres større usikkerhet i beslutningsgrunnlaget for metodevurdering av metoder for små pasientgrupper med alvorlige tilstander.

I noen tilfeller er det allerede konkurrerende legemidler i markedet for ATMP. Dersom førstnevnte har en høy pris, vil det også være rom for å kreve en høy pris for ATMP dersom denne har en stor mereffekt. Et eksempel er spinal muskelatrofi der Zolgensma må konkurrere med Spinraza. Leverandøren anser imidlertid at Zolgensma har en betydelig merverdi, og har fått godkjent en maksimalpris til 27 millioner kroner per behandling.¹⁶

2.2.2 Antall produkter øker over tid

Antall legemidler som European Medicines Agency (EMA) har anbefalt godkjenning for har økt over tid.¹⁷ Som et resultat øker også antall legemidler som skal metodevurderes. Dette omfatter nye virkestoffer, forlengelse av indikasjon på allerede godkjente legemidler, nye kombinasjonsbehandlinger for allerede godkjente legemidler med videre. Figur 2-1 illustrerer utviklingen over tid for alle typer legemidler til humant bruk fra 1995 til 2020. I 1995 ble ni legemidler/indikasjoner anbefalt godkjent av EMA, mens i 2020 var tallet 97. De siste tolv årene har tallet vært både over og under 97, og det er vanskelig å si hvordan utviklingen blir fremover, men man kan ane en svakt økende tendens. Spørsmålet om kapasitetsutfordringer som følge av økende antall nye legemidler og indikasjoner ble drøftet av Bestillerforum i januar 2021, og det ble konkludert med at man i beslutningene må være bevisst på at oppdrag om metodevurdering «lander på riktig nivå».¹⁸ Figur 6-1 på side 106 viser for perioden 2013-2018 en betydelig vekst i antall saker i Bestillerforum 2013–2018, og deretter en viss utflating. Dette gjelder særlig legemidler.

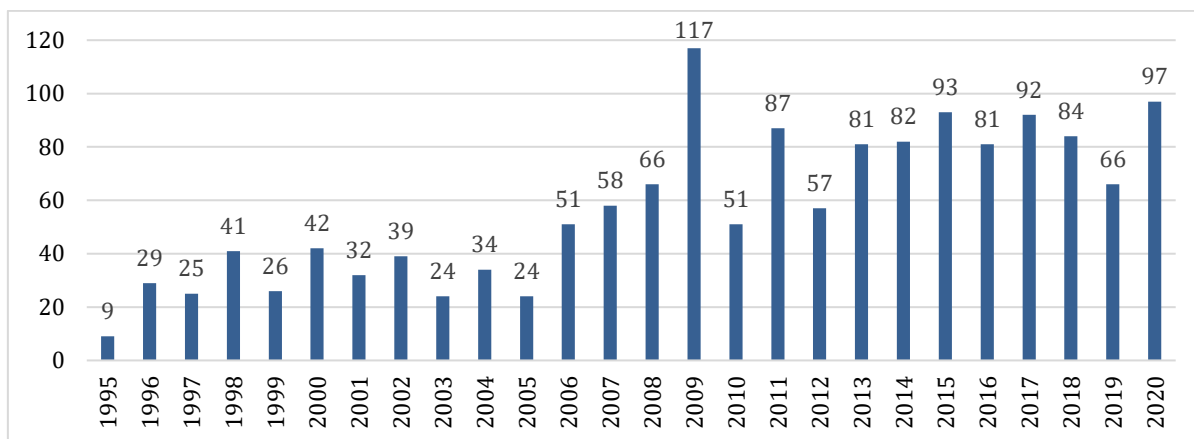
¹⁵ Hentet 29. oktober 2021 fra <https://nyemetoder.no/metoder/onasemnogene-abeparvovec-zolgensma>.

¹⁶ Hentet 29. oktober 2021 fra <https://legemiddelverket.no/offentlig-finansiering/maksimalpris#oversikt-over-maksimalpriser>.

¹⁷ For medisinsk utstyr kreves ikke markedsføringstillatelse, men CE-merking for markedsføring på det europeiske markedet. Dette er regulert av Medical Device Regulation (2017/745, MDR) som gjelder fra mai 2021 og In Vitro Diagnostic Regulation (2017/746, IVDR) som skal tre i kraft fra mai 2022.

¹⁸ Hentet 3. november 2021 fra https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20%28%20innkallinger%20og%20referater%29/Protokoll_Heldagsm%c3%b8te%20i%20Bestillerforum%20RHF_080121.pdf.

Figur 2-1: Antall legemidler anbefalt godkjent av EMA, 1995–2020.

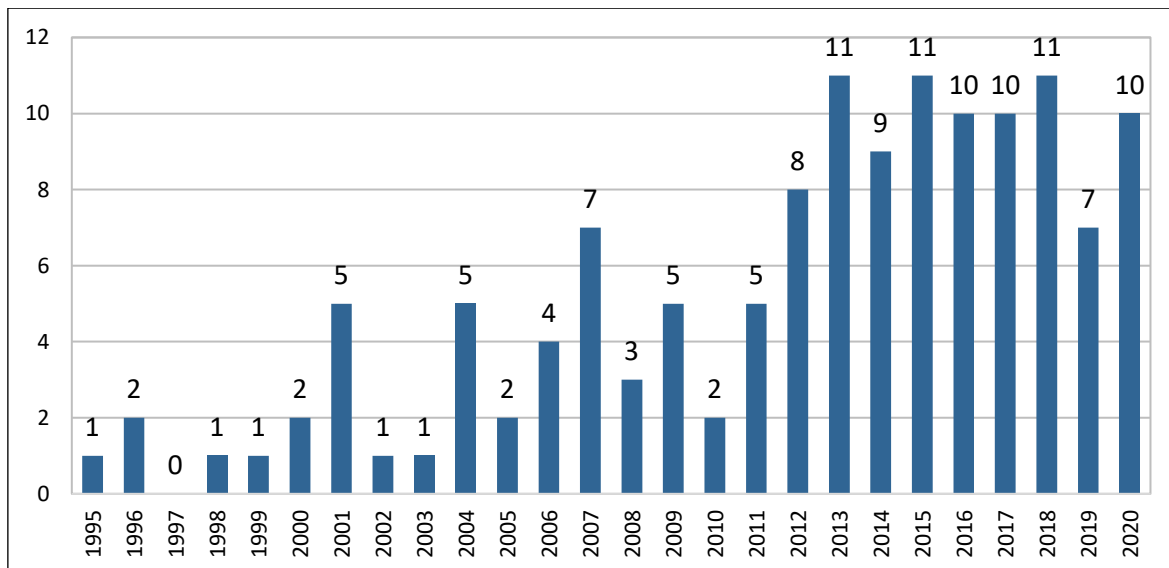


Kilder:

European Medicines Agency opinions on human and veterinary medicines, 1995-2014.¹⁹
 Medicine evaluation figures, 2015-2020. European Medicines Agency.²⁰

Figur 2-2 viser antall godkjente legemidler med nye virkestoffer innen kreft-området for samme periode. I 1995 ble én kreftmedisin med et nytt virkestoff godkjent, mens antallet var 10 i 2020. Igjen er det årlige variasjoner, men vi ser en skarpt stigende trend fram mot 2013, og deretter ser det ut til å ha vært en utflating, eller en svak vekst. Tilsvarende tall for indikasjonsutvidelser er ikke umiddelbart tilgjengelig.

Figur 2-2: Antall kreftlegemidler (ny aktiv substans) anbefalt godkjent av EMA, 1995–2020.



Kilde: Download medicine data. European Medicines Agency.²¹

¹⁹ Hentet 10. august 2021 fra: https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/european-medicines-agency-opinions-human-veterinary-medicines-1995-2014_en.pdf

²⁰ Hentet 10. august 2021 fra: [https://www.ema.europa.eu/en/about-us/what-we-do/authorisation-medicines/medicine-evaluation-figures#annual-medicines-highlights-\(2015-2020\)-section](https://www.ema.europa.eu/en/about-us/what-we-do/authorisation-medicines/medicine-evaluation-figures#annual-medicines-highlights-(2015-2020)-section)

²¹ Hentet 23. februar 2021 fra: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data>

Vi mener – i likhet med Bestillerforum – at det bør legges til grunn at saksmengden i Nye metoder kan forventes å øke i de nærmeste årene.

Antall nye typer medisinsk utstyr er også økende. Det sies at det finnes mer enn 500 000 metoder tilgjengelig innenfor medisinsk utstyr («medical technologies») og at antallet vokser. I 2019 ble nesten 14 000 patentsøknader om medisinsk utstyr innlevert til Det europeiske patentkontoret (European Patent Office, EPO). Til sammenlikning ble omtrent 7 700 søknader innlevert på legemiddelfeltet. Det siste tiåret har antallet EPO-søknader innen medisinsk teknologi doblet seg, mens antallet nye patentsøknader på legemiddelfeltet har stått nokså stille.²²

2.2.3 Kostnadsutviklingen i den norske helsetjenesten

Helsetjenestens totale kostnader økte fra 294 milliarder kroner i 2014 til 387 milliarder i 2020 målt i løpende priser (ikke justert for inflasjon).²³ Av dette utgjorde i 2020 somatiske sykehus 31 prosent, mens rus og psykiatri utgjorde 9 prosent. Kommunale pleietjenester utgjorde 31 prosent. Av totalkostnadene er cirka 15 prosent privatfinansiert med egenandeler mv. (Tabell 2-1).

Tabell 2-1: Helsetjenestens totalkostnader (millioner kroner, løpende priser) fordelt etter hovedtype og år.

	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	Andel 2020 (%)
Somatiske sykehus	89 512	97 727	100 689	102 132	107 499	113 659	117 144	30,3
Psykiatri og rus	27 163	30 587	30 754	30 790	32 057	33 957	34 639	9,0
Sykehjem/hjemmepl.	86 744	90 609	96 059	100 502	107 936	114 534	119 197	30,8
Øvrig	90 088	96 284	100 632	106 524	108 749	113 303	115 710	29,9
Total	293 507	315 207	328 134	339 948	356 241	375 453	386 690	100

Kilde: SSB tabell 10813

RHF-enes totale kostnader økte fra 112 milliarder kroner i 2014 til 156 milliarder i 2020 (Tabell 2-3). I 2020 utgjorde utgifter til legemidler og medisinske forbruksvarer 11 prosent av kostnadene, og lønn- og personalkostnader 60 prosent. Medisinsk utstyr med lang levetid vil ikke regnes som «medisinske forbruksvarer», men regnskapsføres som kapital og avskrives over tid. Avskrivninger på bygg og annen kapital utgjorde 4 prosent av kostnadene i 2020 (Tabell 2-2).

Tall fra Sykehusinnkjøp viser at RHF-enes legemiddelkostnader økte fra 4,3 milliarder kroner i 2014 til 9,0 milliarder i 2020 (Tabell 2-3). Legemiddelkostnadene omfatter behandling både under innleggelse, ved poliklinikk og behandling utenfor sykehus (pasientadministrert behandling), men ikke personellkostnader mv. i forbindelse med legemiddelbehandling.

²² Hentet 1. mars 2021. MedTechEurope . The European Medical Technology Industry in figures 2020 [The-European-Medical-Technology-Industry-in-figures-2020.pdf](https://www.medtecheurope.org/The-European-Medical-Technology-Industry-in-figures-2020.pdf) (medtecheurope.org)

²³ Hentet 22. september 2021 fra <https://www.ssb.no/nasjonalregnskap-og-konjunkturer/nasjonalregnskap/statistikk/helseregnskap>.

Tabell 2-2: Spesialisthelsetjenestens kostnader (millioner kroner, løpende priser) fordelt etter år og type

	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020
Legemidler og andre medisinske forbruksvarer	11 %	9 %	10 %	9 %	10 %	10 %	11 %
Kjøp av private helsetjenester	11 %	10 %	10 %	10 %	10 %	10 %	10 %
Kjøp av behandling i utlandet	0 %	0 %	0 %	0 %	0 %	0 %	0 %
Lønn og andre personalkostnader	56 %	62 %	60 %	62 %	61 %	61 %	60 %
Avskrivninger	4 %	3 %	4 %	4 %	4 %	3 %	4 %
Pasienttransport	2 %	2 %	2 %	2 %	2 %	2 %	2 %
Kjøp og leie av medisinsk teknisk utstyr	0 %	0 %	0 %	0 %	0 %	0 %	0 %
Andre driftskostnader	15 %	13 %	14 %	13 %	13 %	13 %	14 %
Sum	100 %	100 %	100 %	100 %	100 %	100 %	100 %

Kilde: SSB tabell 06464.

En del av økningen skyldes overføring av finansieringsansvar fra folketrygden til RHF-ene. I alle år i perioden 2014-2020 ble finansieringsansvaret for legemidler overført fra folketrygden til RHF-ene, senest for over en milliard kroner i perioden 2018-2020. Den reelle kostnadsøkningen har altså vært betydelig mindre enn tabellen kan gi inntrykk av og nærmest null for perioden 2018-2020. Se også punkt 6.5 for en mer detaljert framstilling av overføringsprosessen.

Det har ikke vært mulig å skaffe tilsvarende tall for medisinsk utstyr mv., som også vurderes av Nye metoder.

Tall for Sykehusinnkjøp viser at kostnadene har hatt ujevn utvikling på ulike terapiområder. I perioden 2018-2020 økte legemiddelkostnadene målt i løpende priser for kreftlegemidler (+17 prosent for ATC-gruppe L1), endokrin behandling (+6 prosent, L2), injeksjonslegemidler for øyet (+61 prosent, S01LA) og multippel sklerose (+3 prosent, ulike ATC-grupper). Kostnadene gikk i samme periode ned for blodkoagulasjonsfaktorer (-18 prosent, B02BD), antibiotika til injeksjon (-5 prosent, J) og immunstimulerende legemidler (-24 prosent, L03).

Legemiddelandelen av totale nasjonale helsetjenestekostnader har vært i størrelsesorden seks prosent de siste 20 år mens de totale helsetjenestekostnadene har økt med 24 prosent fra 2014 til 2020. Det vil føre for langt å diskutere relativ virkning av ulike kostnadsdrivere, men trolig er det høyst ulike og uavhengige forhold som ligger bak. For eksempel drives lønnskostnader av faktorer som nye oppgaver og bedret bemanning,

samt av den såkalte Baumol-effekten (Pomp og Vujić, 2008).²⁴ Legemiddelkostnadene drives på sin side av faktorer som innovasjonstakt, priser på nye og eldre legemidler, hva som er godkjent for bruk i RHF-ene og hva legene velger å forskrive – og indirekte – av leverandørenes prispolitikk.

Tabell 2-3: RHF-enes totalt kostnader og legemiddelkostnader (millioner kroner, løpende priser) fordelt etter år.

År	Legemiddel-kostnader uten MVA	Totale kostnader RHF	Legemiddel-andel
2014	4 346	111 691	3,9 %
2015	4 715	139 338	3,4 %
2016	5 863	140 934	4,2 %
2017	6 988	140 124	5,0 %
2018	7 897	144 185	5,5 %
2019	8 544	153 110	5,6 %
2020	8 992	155 514	5,8 %

Kilder: SSB og Sykehusinnkjøp

Norge har i mange år hatt anbudsordning for deler av helseforetakenes legemiddelinnkjøp. Systemet gikk opprinnelig under navnet Legemiddelinnkjøpssamarbeidet (LIS), men er nå en del av foretaksmodellen under navnet Sykehusinnkjøp HF, og er en integrert del av Nye metoder. Anbudsordningen har betydd store innsparinger i sykehusenes legemiddelinnkjøp, slik Viktigere i denne sammenhengen er at kostnadene til legemidler er økende, og uten tegn til utflating. Man har de senere årene fått introdusert en del legemidler med svært høy legemiddelkostnad per pasient. Dette gjelder blant annet introduksjon av potensielt kurative behandlinger for langvarige og alvorlige sykdommer (CAR-T, genterapi mv.) der produsentene setter svært høye priser. Mange mener at dette vil forsterkes i årene som kommer. I EUs *Pharmaceutical Strategy for Europe* heter det for eksempel:

The affordability of medicines has implications for both public and household finances. It poses a growing challenge for the majority of Member States. The business model has moved from selling blockbusters to marketing 'niche-busters'. Often, new products are priced even higher, with growing uncertainty as to their real-life effectiveness and related overall costs. This puts the budgetary sustainability of health systems at risk, and reduces the possibilities for patients to have access to these medicines. (EU, 2020)

Figur 2-3 viser. Vi ser at den estimerte besparelsen for 2021 er på 8,2 mrd. kr. Eller med andre ord, om man skulle kjøpt inn det samme volumet til godkjent maksimalpris, ville man ha måttet betale 68 prosent mer. Vi ser at det er store besparelser i offentlige utgifter forbundet med anbudsordning.

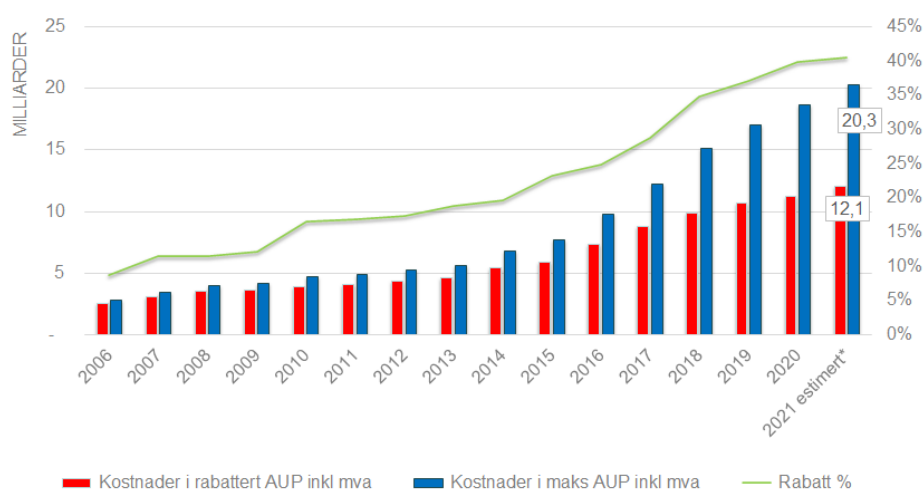
Viktigere i denne sammenhengen er at kostnadene til legemidler er økende, og uten tegn til utflating. Man har de senere årene fått introdusert en del legemidler med svært høy

²⁴ Baumol-effekten er et resultat av at forskjellene i produktivitsutvikling mellom blant annet helsesektoren og for eksempel industrien er større enn forskjellene i lønnsutviklingen i de to sektorene.

legemiddelkostnad per pasient. Dette gjelder blant annet introduksjon av potensielt kurative behandlinger for langvarige og alvorlige sykdommer (CAR-T, genterapi mv.) der produsentene setter svært høye priser. Mange mener at dette vil forsterkes i årene som kommer. I EUs *Pharmaceutical Strategy for Europe* heter det for eksempel:

The affordability of medicines has implications for both public and household finances. It poses a growing challenge for the majority of Member States. The business model has moved from selling blockbusters to marketing 'niche-busters'. Often, new products are priced even higher, with growing uncertainty as to their real-life effectiveness and related overall costs. This puts the budgetary sustainability of health systems at risk, and reduces the possibilities for patients to have access to these medicines. (EU, 2020)

Figur 2-3. Sammenlikning av legemiddelkostnader med estimerte kostnader basert på maksimalpriser, 2006–2021.



Kilde: Sykehusinnkjøp HF

I Norge er det økende bekymring om at dyre legemidler bidrar til å skape et todelt helsevesen. I et åpent møte i regi av Kreftforeningen i 2018 uttalte Høyres helsepolitiske talsperson:

Manglende tilgang på dyre kreftmedisiner er absolutt med på å skape en oppfatning av et todelt helsevesen. Får du influensa, så må du kjøpe medisinen din selv. Sånn må det være, for det skal være grenser for hva staten skal dekke av helsetjenester. Men denne debatten handler om at det finnes legemidler det offentlige ikke vil dekke. Da opplever folk at det er de med mest penger som får det beste tilbudet, sa Stensland.²⁵

Stigende legemiddelpriser kan føre til et stort antall nei-beslutninger i Nye metoder, noe som igjen kan medføre at noen – de som har midler til det – likevel får tilgang, mens de som står uten slike muligheter må ta til takke med presumptivt mindre effektive behandlingsmetoder. Framvekst av et «todelt» helsevesen vil trolig bidra til å svekke tilliten til og oppslutningen om det offentlige helsevesenet i Norge.

2.2.4 Nye teknologier utfordrer beslutningssystemet

Det er høy innovasjonstakt både innenfor legemidler og medisinsk utstyr. Vårt inntrykk er at persontilpasset medisin, sammen med den raske utviklingen innen utstyr, digitale metoder og kunstig intelligens, vil medføre utfordringer i form av behov for et økende

²⁵ Får de rikeste det beste helsetilbudet? Hentet 6. november 2021 fra <https://kreftforeningen.no/aktuelt/far-de-rikeste-det-beste-helsetilbudet/>.

antall metodevurderinger. Dessuten kan økt omfang av oppfølging av nye metoder i klinisk praksis – for eksempel i form av midlertidig innføring av metoder – medføre at systemet må saksbehandle samme metode flere ganger.

Vi så ovenfor at avanserte terapier kan koste så mye som 27 millioner kroner for én enkelt behandling. Selv om budsjettvirkningen er liten for hver enkelt metode, forventes det en økende mengde avanserte terapier i årene framover, og at den totale budsjettvirkningen for avanserte terapier kan bli omfattende.

Vi gir her en kort gjennomgang av hvordan den medisinsk-teknologiske utviklingen kan påvirke og utfordre beslutningssystemer som Nye metoder.

Avanserte terapier (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP)

Avanserte terapier (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP) er behandlinger basert på gener, vev eller celler, som ofte har potensiale for å kurere livstruende sykdommer. Avanserte terapier er ofte engangsbehandlinger. Tradisjonelt har betaling av legemidler skjedd samtidig med den faktiske behandlingen, og nytten – eller nytten – av behandlingen inntreffer samtidig med eller kort tid etter at behandlingen har blitt gjennomført. Med ATMP kommer effekten over lang tid etter at behandlingen er avsluttet, mens betalingen skal skje initialt og uten at man kan vite sikkert hvor stor andel som har nytte av behandlingen og hvor lenge effekten varer. Beregninger viser at helsemessig nytte for celle- og genterapier potensielt kan være ti ganger så store (5,78 QALYs) som for konvensjonelle legemidler (0,49 QALYs) (Chambers m. fl., 2019).²⁶ Ut fra et verdi-basert prissetting-perspektiv kan ATMP gi grunnlag for langt høyere priser per behandling enn kontinuerlig behandling med konvensjonelle legemidler.

Metoder rettet mot små pasientpopulasjoner

De kliniske studiene som ligger til grunn for den regulatoriske godkjenningen er ofte små med studier uten kontrollarm. Dette gjelder spesielt legemidler for sjeldne og alvorlige sykdommer der det er små pasientpopulasjoner og det ikke finnes alternative effektive behandlinger. Dette innebærer at det finnes mindre informasjon om sykdommens naturlige forløp, om sannsynlighet for ulike utfall og om kostnader. Dette betyr større usikkerhet i metodevurderingene. Godkjenning av de regulatoriske myndighetene (European Medicines Agency, EMA)²⁷ krever mindre dokumentasjon av kliniske data enn det som normalt er akseptert til metodevurderingsformål – her kan man snakke om et økende «gap».

Kombinasjonsbehandlinger og multi-indikasjonsbehandlinger

Utviklingen innen immun-onkologi har resultert i svulst-agnostiske behandlinger for flere typer kreftformer; det vil si at en behandling er effektiv mot svulster i flere organer eller vevstyper. Det samme legemiddel kan også ha ulike verdi i ulike stadier av sykdomsforløpet. Et kreftlegemiddel kan bli introdusert for kreft med spredning for deretter å få godkjenning for tidligere stadier. I 2018 bruktes tre fjerdedeler av kreftmedisinene til flere indikasjoner, med et gjennomsnitt på fem indikasjoner per nytt aktivt stoff (Aitken, 2018).

Prisen er ofte basert kostnadseffektiviteten for legemiddelets lanseringsindikasjon. Dette betyr at kostnadene og nytte ved nye indikasjoner (kreftformer) blir evaluert ut fra den prisen som ble fastsatt for lanseringsindikasjonen. Hvis prisen på lanseringsindikasjonen er høy på grunn av god effekt, kan legemiddelet bli vurdert som ikke kostnadseffektivt for senere indikasjoner der effekten er lavere. Som et resultat tas ikke behandlingen for

²⁶ *Putting The Costs And Benefits Of New Gene Therapies Into Perspective*. Health Affairs Blog, September 4, 2019. DOI: 10.1377/hblog20190827.553404

²⁷ Formelt er det EU-kommisjonen som har godkjenningsmyndigheten.

disse indikasjonene i bruk, og pasienter vil ikke få tilgang til behandlingen. Et eksempel er bevcizumab (Avastin), som brukes i mange forskjellige indikasjoner, og som har blitt beregnet til å ha forskjellig verdi i de ulike indikasjonene (Persson og Norlin, 2018).

På kreftområdet blir det stadig vanligere med bruk av en kombinasjon av legemidler i behandlingen. Et gitt legemiddel kan ha ulik verdi uttrykt som kostnad per QALY i ulike kombinasjoner og/eller i ulike indikasjoner, og mange leverandører ønsker differensierte priser. I tradisjonelle pris- og refusjonssystemer er imidlertid prisen den samme uansett bruk hvilket også er et prinsipp i Nye metoder. En annen utfordring er å tallfeste den nytten til hvert av de to legemidlene i kombinasjonsbehandlingen, særlig når de har ulike leverandører. En ytterligere kompliserende faktor er at konkurranselovgivningen ikke tillater leverandører om å samarbeide om en felles prisavtale for slike behandlinger (Latimer m. fl., 2021; Towse m. fl., 2021).

«Companion diagnostics»

Nye diagnostiske metoder som er sentrale for målrettede behandlinger, kalles «companion diagnostics». *Companion diagnostics* brukes for å støtte kliniske beslutninger og identifisere de pasientene som mest sannsynlig vil ha nytte av behandlingen. I metodevurderinger oppstår utfordringen med å finne ut hvor stor andel av den medisinske nytten som skal tilskrives diagnoseverktøyet og hvor stor andel som skal tilskrives behandlingen – eller behandlingene dersom det er flere ulike behandlingsvalg. Ofte er det ulike leverandører inne i bildet – det er sjelden behandling og *companion diagnostic* selges som en samlet pakke.

Medisinsk utstyr og digitale metoder

Medisinsk teknologi er et bredt felt og inneholder en rekke produkter og løsninger som brukes i helsetjenesten. Medisinsk teknologi inkluderer for eksempel røntgen- og strålebehandlingsutstyr, ortopediske implantater, stenter, pacemakere og dialysemaskiner er noen eksempler. I 2019 ble det sendt inn nesten 14 000 patentsøknader innen medisinsk teknologi til European Patent Office.²⁸

Som nevnt ser vi en rask utvikling på dette feltet. Dette henger tett sammen med utviklingen innen persontilpasset medisin, slik som vi så i punktet som *companion diagnostics*. Livssyklusen til medisinsk utstyr er langt kortere enn for legemidler, blant annet fordi leverandørene ofte utvikler oppdaterte og forbedrede utgaver av produktene. Dermed blir det vanskelig for leverandøren å gjennomføre langvarige – og kostbare – studier for å måle effekt og beregne nytte. Man kan også merke seg at regulerings-systemene for medisinsk utstyr stiller langt mindre omfattende krav til effektdokumentasjon enn hva som er tilfelle på legemiddelområdet.

Digitale metoder er en annen del av utviklingen, ikke minst innen bærbare enheter som vil bidra til persontilpasset medisin (Jeong m. fl., 2019). Det dreier seg om utstyr for å måle biologiske variable direkte hos den enkelte pasient, for eksempel kontinuerlig måling og overvåking av blodtrykk, lungekapasitet, oksygenmetning, medisinerings eller EKG. Slikt utstyr kan være knyttet til applikasjoner i smarttelefoner. Utfordringer her er at man ofte har begrenset informasjon om effektivitet og kostnader om både den nye intervensjonen og standardbehandlingen.

Det nye EU-regelverket om medisinsk utstyr og in vitro-diagnostikken (MDR 2017/745 og 746) har som mål å skape et robust, transparent og bærekraftig regelverk, som forbedrer klinisk sikkerhet og skaper rettferdig markedsadgang for produsenter. Det nye EU-regelverket vil forbedre hele reguleringsprosessen for medisinsk utstyr og *in vitro*-

²⁸ Hentet 1. mars 2021. MedTechEurope . The European Medical Technology Industry in figures 2020 [The-European-Medical-Technology-Industry-in-figures-2020.pdf](https://www.medtecheurope.org/~/media/2020-03-01-The-European-Medical-Technology-Industry-in-figures-2020.pdf) ([medtecheurope.org](https://www.medtecheurope.org/))

diagnostikk, hvilket også kommer til å påvirke Norge. Generelt beholdes alle kravene i gjeldende direktiver, samtidig som de nye forskriftene legger til noen nye krav. For eksempel legges det stor vekt på en livssyklustilnærming til sikkerhet, støttet av kliniske data, noe som vil ha innvirkning på metodevalg og metodevurderingsprosessen.²⁹

I Norge er det nasjonale koordineringsprosjektet «Bedre bruk av kunstig intelligens» igangsatt (2019) for «hjelp og veilede helsetjenesten slik at den kan lykkes bedre med å ta i bruk kunstig intelligens»,³⁰ ledet av Helsedirektoratet. Det pågår nå flere prosjekter for bruk av kunstig intelligens som handler om forenkling og beslutningsstøtteverktøy for bildeanalyse i radiologien.³¹ Koordineringsprosjektet skulle belyse om «...Nye metoder er egnet til vurdering rundt innføring og utfasing av løsninger basert på kunstig intelligens».³² Utfallet av dette ser ikke ut til å foreligge, men behovet for utredningen understreker at komplekse teknologier som kunstig intelligens er utfordrende for Nye metoder.

Leverandørenes løsninger – alternative prisavtaler

Fra leverandørhold foreslås alternative prisavtaler for å håndtere usikkerhet i kunnskapsgrunnlagene. En slik prisavtale (managed-entry-agreements, risk-sharing agreements) er en avtale mellom produsenten og betaleren for å gjøre en behandling tilgjengelig under bestemte, avtalte vilkår. Vilkårene tar sikte på å ta hensyn til usikkerhetene i dokumentasjonsgrunnlaget og den helseøkonomiske analysen, samt betalerens behov for å håndtere budsjettmessige konsekvenser ved innføring av den nye behandlingen.

Resultatbaserte prisavtaler forutsetter at partene blir enige om hvilke utfall som skal oppnås for å utløse betaling. En annen forutsetning er at det finnes systemer og ressurser for å følge opp og dokumentere utfall. Resultatbaserte avtaler har blant annet av den grunn blitt kritisert for å være for kostbare og kompliserte (Raftery, 2010). Resultatbaserte prisavtaler har i Norge blant annet blitt brukt for de avanserte terapiene Kymriah og Yescarta, som er såkalte CAR-T-behandlinger av kreft (Jorgensen m. fl., 2020). Frankrike, Italia, Spania, Storbritannia og Tyskland har inngått ulike typer av utfallsbaserte modeller knyttet til disse. Vi drøfter alternative prisavtaler mer inngående i kapittel 11; i denne omgang skal det bare fastslås at alternative prisavtaler representerer en utfordring for beslutningssystemene.

²⁹ *The new medical device regulations. What does it mean for manufacturers?* Hentet 3. november 2021 fra <https://brandcentral.dnvgl.com/download/DownloadGateway.dll?h=BE1B38BB718539CCDDEA87315CE3E2112D167B0E4C76F648747C5F4C5C457CB4F86F29458FD0807F76015E765829EC11B6671F2869AF9F386EA2659B3DCC6D1ECB810A8DDC9CF9210287756D388ADC783C811ADAC00E5962>

³⁰ Helsedirektoratet, pågående arbeid (nettdokument, sist faglig oppdatert 16. april 2021, lest 14. september 2021). Hentet fra <https://www.helsedirektoratet.no/om-oss/forsoksordninger-og-prosjekter/kunstig-intelligens/pagaende-arbeid>

³¹ Helsedirektoratet (2021b) God klinisk praksis og behov for normering ved bruk av kunstig intelligens. Med utgangspunkt i det radiologiske fagområdet. Hentet 3. november 2021 fra https://www.helsedirektoratet.no/om-oss/forsoksordninger-og-prosjekter/kunstig-intelligens/pagaende-arbeid/Utkast%20rapport%20god%20klinisk%20praksis%20-%20publisert%20060721.pdf/_attachment/inline/8126d75c-5684-4d12-abca-8efc83a70416:3e4a085827d253c238b46be745da2c6c3f4eeceb/Utkast%20rapport%20god%20klinisk%20praksis%20-%20publisert%20060721.pdf

³² Helsedirektoratet, Status på arbeidet med kunstig intelligens. https://www.helsedirektoratet.no/rapporter/status-pa-arbeidet-med-kunstig-intelligens/Status%20p%C3%A5%20arbeidet%20med%20kunstig%20intelligens.pdf/_attachment/inline/4885b519-2d21-4f30-8541-b4be2d4b37ea:3b9ba3a61c163e6b84822b6ab0936cbc1d77ff40/Status%20p%C3%A5%20arbeidet%20med%20kunstig%20intelligens.pdf

2.2.5 Oppsummering – utfordringsbildet

Vi har redegjort for viktige utfordringer som Nye metoder i økende grad kan forventes å sto overfor i nokså nær framtid, og trolig med stadig større tyngde i årene fremover. De kan oppsummeres i følgende punkter:

- Legemiddelkostnadene er økende og må ventes å øke ytterligere i de nærmeste årene.
- Det kan ventes en økende saksmengde i Nye metoder de nærmeste årene.
- Både innenfor persontilpasset medisin og sjeldne sykdommer kommer det stadig flere metoder der dokumentasjonsgrunnlaget er preget av stor usikkerhet.
- Stadig flere legemidler får flere godkjente indikasjoner. Dette gjelder tumoragnostisk behandling, men også mange andre kreftlegemidler. Dels bidrar dette til økende saksmengde. Og dels oppstår en motsetning mellom leverandørene som på den ene siden vil ønske indikasjonsspesifikke priser, og RHF-ene som på den andre siden vil foretrekke én pris for alle indikasjoner.
- Persontilpasset medisin – herunder tumoragnostisk behandling – innebærer at et legemiddel eller en legemiddelbasert metode brukes sammen med en diagnostisk metode. Det kan være vanskelig å bestemme hvor mye av den samlede helsenytten som kan tilskrives diagnostikk og behandling.
- En liknende utfordring melder seg ved kombinasjonsbehandling, hvor det ofte er flere leverandører involvert i hver kombinasjon.
- Beslutningssystemene – og særlig metodevurderingene – er ikke i tilstrekkelig grad tilpasset særegenhetene ved medisinsk utstyr.
- Leverandørene tilbyr i stadig større grad alternative prisavtaler – ofte resultatbaserte – for å oppnå risikodeling i saker med usikkert dokumentasjonsgrunnlag.
- Resultatbaserte avtaler forutsetter bruk av informasjon om behandlingsutfall i klinisk praksis, ofte omtalt som «Real World Evidence». Dette forutsetter at helsetjenesten har systemer og kapasitet til å registrere og tilgjengeliggjøre slik informasjon.

Vi vender tilbake til disse punktene i kapittel 11 «Er Nye metoder rustet for framtida?».

3 Systemet for Nye metoder

I dette kapitlet beskriver vi systemet for Nye metoder. Det første punktet omhandler historikk og politisk og rettslig grunnlag. Dernext drøftes forholdet mellom beslutninger på gruppenivå og individuelle pasientrettigheter. Videre gjennomgås prioriteringskriteriene, og vi gir en kort beskrivelse av hvordan spesialisthelsetjenesten finansieres. Så følger en beskrivelse av systemaktørene i Nye metoder, hvorpå vi kort beskriver saksgangen i beslutningsprosessene. Til sist forklarer vi hva som menes med metodevurdering ut fra internasjonale definisjoner og standarder.

3.1 Historikk og beskrivelse av politisk og rettslig grunnlag

Det norske systemet for Nye metoder ble etablert i 2013 på basis av Meld. St. 10 (2012–2013) *God kvalitet – trygge tjenester*. Denne meldingen bygget igjen på Meld. St. 16 (2010–2011) *Nasjonal helse- og omsorgsplan (2011–2015)*. Før dette var det i hovedsak opp til det enkelte helseforetak å beslutte hvilke metoder (legemidler, medisinsk utstyr o.l.) som innenfor budsjettammene skulle kjøpes inn. Dette kunne blant annet være problematisk med tanke på prinsippet om likeverdig tilgang til helsetjenester, samt at det gjorde beslutningsprosessene lite forutsigbare og transparente.

De regionale helseforetakene fikk således i 2013 i oppdrag fra HOD å etablere et system for innføring av nye metoder. Formålet var både å styrke pasientsikkerheten og å sikre et godt beslutningsgrunnlag for gode prioriteringer i spesialisthelsetjenesten gjennom en enhetlig og kunnskapsbasert praksis for innføring av nye metoder. Målsetningen for systemet beskrives slik i Meld. St. 10 (2012–2013):

Målet er å etablere en mer enhetlig og kunnskapsbasert prosess for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten. Innføring av systemet skal bidra til at pasienter så raskt som mulig får tilgang til nye virkningsfulle metoder og at behandlingsmetoder som er ineffektive eller skadelige for pasienten ikke brukes. Systemet skal ivareta hensynet til kvalitet og sikkerhet i pasientbehandlingen, og bidra til å sikre en bærekraftig utvikling på lang sikt. (Meld. St. 10, 2012–2013)

RHF-ene fikk i oppdrag å etablere systemet i tråd med de ovenfor nevnte føringene som et verktøy for å oppfylle sitt såkalte «sørge-for-ansvar» etter spesialisthelsetjenesteloven. Det overordnede målet ble fastsatt slik:

Etablere en enhetlig og kunnskapsbasert praksis for innføring av nye metoder og ny teknologi, i tråd med nasjonalt system for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten. (Prop. 55 L 2018–2019)

Kvalitetsmeldingen (Meld. St. 10, 2012–2013) angir en rolle- og funksjonsfordeling mellom aktørene som i hovedsak fortsatt er gjeldende, men de besluttende organene på nasjonalt nivå – slik som Bestillerforum og Beslutningsforum – var på dette tidspunktet ennå ikke besluttet etablert, og er ikke beskrevet. En viktig forutsetning var at

beslutninger skulle fattes på lavest effektive nivå i tjenesten, og helseforetakene fikk ansvar for å gjennomføre mini-metodevurderinger.

Beslutningen om å innføre metoden kan tas lokalt dersom metodevurderingen viser at den er virkningsfull og sikker, og kan innføres innenfor enhetens organisatoriske og økonomiske rammer. Dersom mini metodevurderingen eller andre forhold tilsier at det er behov for en mer omfattende vurdering, må beslutningen løftes til et høyere nivå. (Meld. St. 10, 2012–2013)

I NOU 2014:12 (2014) *Åpent og rettferdig – prioriteringer i helsetjenesten*, beskrives systemet som et samarbeid mellom RHF-ene, Helsedirektoratet, Statens legemiddelverk og Nasjonalt kunnskapssenter for helsetjenesten. En tidlig systembeskrivelse finnes i et arbeidsdokument utarbeidet i 2013 av RHF-ene, Statens legemiddelverk, Nasjonalt kunnskapssenter for helsetjenesten og Helsedirektoratet. Her beskrives de fire hovedelementene i det nye systemet: Metodevarsling, metodevurdering, prioritering og beslutning, og implementering.

Hensikten med systemet er å bidra til bedre og tryggere pasientbehandling. Dette skal skje ved at nye metoder som er aktuelle å innføre i spesialisthelsetjenesten vurderes på en systematisk måte i forhold til effekt og sikkerhet, samt konsekvenser for pasientene, helsetjenesten og samfunnet. (Helsedirektoratet, 2013)

Ved likelydende styrevedtak fra 2014 delegerte hvert av de fire RHF-ene beslutningsmyndighet til organet *Beslutningsforum*.

De viktigste føringene for systemet er nedfelt i kvalitetsmeldingen (Meld. St. 10, 2012–2013), prioriteringsmeldingen (Meld. St. 34, 2015-2016), legemiddelmeldingen (Meld. St. 28, 2014-2015), samt anskaffelsesloven og tilhørende regelverk.

Systemet for *Nye metoder* har vært gjenstand for flere endringer og tilpasninger siden etableringen i 2013, men vi vil kun ta for oss noen få av disse. De ovenfor beskrevne hovedtrekkene er fortsatt gjeldende.

I 2020 ble det lovfestet ved endring av blant annet spesialisthelsetjenesteloven at RHF-ene skal sørge for et felles system for å beslutte hvilke metoder som kan tilbys i spesialisthelsetjenesten.³³ Systemet er – med hensikt – ikke nærmere beskrevet i lovteksten.

Denne løsningen sikrer mulighetene til å videreutvikle og forbedre dagens system. En lovfesting av dagens system for nye metoder vil etter min vurdering føre til en uheldig sementering som ikke tar høyde for den rivende medisinsk-teknologisk utviklingen som foregår, og særlig mht. utviklingen av persontilpasset medisin. Nettopp av den grunn er lovforslaget ikke detaljert, men lovfester kun kravet om å ha et felles system og ikke den konkrete innretningen. Lovforslaget inneholder derfor ikke regulering av verken Beslutningsforum, Bestillerforum eller detaljer rundt metodevurderinger osv. (Statsråd Bent Høie, sitert i (Prop. 55 L, 2018–2019))

§ 4-4 omfatter en forskriftshjemmel, som hittil ikke er tatt i bruk, som fastslår at departementet i forskrift kan gi nærmere bestemmelser om organiseringen av og saksbehandlingen i systemet.

For eksempel kan det være mulig å stille krav om at det skal foretas en metodevurdering, krav til hva en slik vurdering skal inneholde, tidsfrister eller krav til ulike former for medvirkning i prosessene. (Prop. 55 L, 2018 – 2019)

Samtidig ble det vedtatt endring i spesialisthelsetjenesteloven § 2-1a, der RHF-ene pålegges å innrette sitt tjenestetilbud basert på prioriteringskriteriene om nytte, ressursbruk og alvorlighet (nytt andre ledd). Videre framgår det at RHF-ene skal sørge for at helseinstitusjoner som det eier, eller som mottar tilskudd fra RHF-ene til sin

³³ Spesialisthelsetjenesteloven, § 4-4.

virksomhet, bidrar til å fremme folkehelsen og forebygge sykdom og skade, og (nytt tillegg) «innretter sitt tjenestetilbud i samsvar med vilkårene i andre ledd».

Enn videre ble det vedtatt å endre pasient- og brukerrettighetsloven § 2-1b andre ledd, der den sentrale bestemmelsen i andre ledd – om rett til nødvendige spesialisthelsetjenesters – avslutningsvis i leddet er gitt følgende nye presisering: «Retten til nødvendig helsehjelp gjelder de tjenestene som spesialisthelsetjenesten har ansvaret for å yte og finansiere, jf. spesialisthelsetjenesteloven §§ 2-1 a og 4-4.» Derved knyttes de aktuelle bestemmelsene i spesialisthelsetjenesteloven og pasient- og brukerrettighetsloven til hverandre.

De nasjonale metodevurderingene må være i samsvar med rettigheter og plikter som følger med EU-forordning for medisinsk utstyr, pasientrettighetsdirektivet og internasjonale menneskerettigheter i EMK artikkel 2 og 8 samt ØSK-konvensjonen artikkel 12. I denne evalueringen er dette lagt til grunn som et premiss, fordi dette er konvensjoner, forordninger og direktiv som er implementert i norsk rett, og dels med forrang foran internrettslig regulering.

Grunnloven § 98 og EMK artikkel 14 innebærer at det er et forbud mot diskriminering, og at likebehandling skal ivaretas ved tilbud om helsehjelp. Denne forpliktelsen har betydning for utformingen av reglene og hvordan de praktiseres, men innebærer ikke at helsetilbudet skal være likt. Det kan være saklige grunner til forskjellsbehandling. For eksempel vil persontilpasset medisin kunne føre til ulike typer helsehjelp ut fra ulik biologi hos den enkelte.

Et viktig trekk ved både lovgivningen og organiseringen er at systemet for *Nye metoder* inngår i RHF-enes overordnede «sørge-for-ansvar», som er formulert i flere lover, først og fremst i spesialisthelsetjenesteloven § 2-1,³⁴ men også i helseforetaksloven og psykisk helsevernloven. Én implikasjon av dette er at det ikke er etablert noe klart skille mellom systemet for *Nye metoder* på den ene siden og spesialisthelsetjenestens øvrige virksomhet på den andre.

En annen implikasjon – eller en hovedhensikt ved systemet – er at ansvaret for den helhetlige økonomistyringen og for prioriteringene av ressursene skal være samlet på ett sted. Det er imidlertid ikke lovfestet i spesialisthelsetjenestens § 4-4 at beslutningsmyndigheten i *Nye metoder* skal ligge i RHF-ene. Bestemmelsen sier at RHF-ene:

(...) skal sørge for et felles system for å beslutte hvilke metoder som kan tilbys i spesialisthelsetjenesten.

Plasseringen av beslutningsmyndigheten er tydeliggjort i lovforarbeidene:

Departementet vil understreke betydningen av at ansvaret for å treffe beslutninger om hvilke spesialisthelsetjenester som skal tilbys, følger ansvaret for å vurdere ressursbruken innenfor et helhetlig finansieringsansvar. Dette ansvaret er en integrert del av de regionale helseforetakenes sørge-for-ansvar. En sentral målsetning for helseforetaksreformen av 2002 var nettopp at sørge-for-ansvaret og det økonomiske ansvaret ble samlet tydelig ett sted. Prinsipper for prioritering er en viktig betingelse for og verktøy for de regionale helseforetakene i operasjonaliseringen av dette ansvaret. (Prop. 55 L, 2018 – 2019)

Vi legger derfor til grunn at vi i evalueringen ikke skal vurdere alternative plasseringer av beslutningsmyndigheten.

³⁴ Fra § 2-1: «Det regionale helseforetaket skal sørge for at personer med fast bopel eller oppholdssted innen helseregionen tilbys spesialisthelsetjeneste i og utenfor institusjon, herunder [oppromsing av oppgavene som er tillagt RHF-ene]»

3.2 Generelle ordninger og individuelle rettigheter

I lovgivningen skilles det mellom individuelle rettigheter (og plikter) og beslutninger på gruppenivå. Menneskerettigheter til liv og helse er individuelle i likhet med rettigheter i pasient- og brukerrettighetsloven. Motsvarende skal helsepersonell, helsevirksomheter, eier (RHF) og staten oppfylle rettigheter. Systemnivået skal tilrettelegge for at pliktene kan oppfylles, se for eksempel spesialisthelsetjenesteloven § 2-2. Nye metoder er et generelt system for godkjenning av metoder som ikke erstatter individuelle rettigheter.

Vi vender her tilbake til forholdet mellom Nye metoder og individuelle rettigheter. Selv om denne tematikken ligger utenfor vårt oppdrag, finner vi grunn til å påpeke at person-tilpasset medisin reiser en rekke rettslige problemstillinger – som altså kommer i tillegg til de utfordringer som er nevnt ovenfor. Her nevner vi bare kort noen få.

Artikkel 12 i FNs konvensjon om økonomiske, sosiale og kulturelle rettigheter (ØSK-konvensjonen) forplikter statene i til organiseringen av et helsetilbud som kan sikre «den høyest oppnåelige helsestandard både i fysisk og psykisk henseende». ØSK-komiteen har nylig avgitt uttalelser om hva disse forpliktelsene innebærer når det gjelder nye behandlingsmetoder og teknologi.

Individuelle menneskerettigheter kan prøves for domstolene og den Europeiske Menneskerettsdomstolen (EMD). Dette omfatter retten til liv og helsehjelp for å ivareta livet, privat- og familielivet i EMK artikkel 2, 3 og 8. Nylige avgjørelser fra EMD, blant annet mot Finland, viser at statens forpliktelser når det gjelder retten til liv blir tillagt stor vekt. Det er flere avgjørelser som innebærer forpliktelser til økonomiske investeringer for å ivareta liv.

Tematikken er blant annet behandlet i Rundskriv I-4/2019 fra HOD om *Rett til nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten og forholdet til forsvarlighetskravet mm.*,³⁵ og ble nylig aktualisert to klagesaker. I den ene ga Statsforvalteren i Agder en pasient medhold i at han har rett til å bli behandlet for kardial amyloidose med legemiddelet Vyndaqel.³⁶ I den andre ga Statsforvalteren i Vestland en pasient medhold i at hun har rett til «ny vurdering av [hennes] rett til nødvendig helsehjelp» knyttet til behandling av cystisk fibrose med kombinasjonsbehandling med legemidlene Kafrio og Kalydeco.³⁷ Alle de tre legemidlene er besluttet ikke innført av Beslutningsforum. Klageinstansen fastslo at de aktuelle medikamenter var det eneste alternativet for forsvarlig behandling, og Statsforvalteren i Agder omgjorde derfor helsetjenestens avslag, som var begrunnet i vedtakene i Beslutningsforum.

Av Rundskriv I-4/2019 framgår at vurderinger av om helsehjelpen er forsvarlig «må gjøres konkret for den enkelte pasient, og hvor alle relevante forhold tas i betraktning». Og videre:

Den nærmeste til å gjøre denne vurderingen er behandlende helsepersonell. I vurderingen av hva som skal tilbys over nivået for forsvarlighetskravet og til best tilgjengelig helsehjelp, er det opp til spesialisthelsetjenesten selv å definere hva som

³⁵ Rundskriv I-4/2019 – *Rett til nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten og forholdet til forsvarlighetskravet mm.* Hentet 25. oktober 2021 fra https://www.regjeringen.no/contentassets/83b3c6ec738444fdb2be5262cbae65a/rundskriv-i_4_2019-rett-til-nodvendig-helsehjelp-fra-spesialisthelsetjenesten-og-forholdet-til-forsvarlighetskravet-mm..pdf.

³⁶ *Får medisinen Norge har sagt nei til: – Jeg er både glad og overrasket.* Aftenposten, 1. november 2021. Hentet 1. november 2021 fra <https://www.aftenposten.no/norge/i/Xq48Qo/faar-medisinen-norge-har-sagt-nei-til-jeg-er-baade-glad-og-overrasket>.

³⁷ *Syke Ellen har fått nei, nei og nei: Nå jubler hun over støtte.* VG, 30. oktober 2021. Hentet 1. november 2021 fra <https://www.vg.no/nyheter/innenriks/i/dnMRyo/syke-ellen-har-faatt-nei-nei-og-nei-naa-jubler-hun-over-stoette>.

skal tilbys ut i fra tilgjengelige ressursrammer og prinsipper for prioritering. *Spesialisthelsetjenesten kan ikke levere tjenester som ligger under forsvarlighetskravet.* Dette gjelder uavhengig av begrunnelse, som for eksempel økonomi, uten at pasientrettighetene blir brutt. Den klare hovedregel er at tjenesten og behandlende helsepersonell avgjør hvilket tilbud som skal ytes pasienten. *Det finnes ett unntak, dersom det kun er en bestemt type tjeneste eller tilbud som er eneste alternativ for å yte et forsvarlig tilbud, så har også pasienten et rettskrav på tjenesten.* (Vår kursivering)

Videre understrekes det i rundskrivet:

Det er imidlertid ytterst sjelden at det kun vil være en type tjeneste eller tilbud som vil innebære at pasienten får forsvarlig helsehjelp. For eksempel vil unntaket ikke få anvendelse i tilfeller hvor helsepersonellet har valget mellom en type etablert behandling, en annen type utprøvende behandling eller off-label bruk av et legemiddel. I et slikt tilfelle, under forutsetning at alle tre alternativene fremstår som forsvarlige, vil tjenesten og helsepersonellet avgjøre hvilket tilbud som skal ytes til pasienten.

Et viktig spørsmål oppstår – etter rundskrivet og klagesakene – i situasjoner der kun ett behandlingstilbud vurderes som forsvarlig ved en konkret vurdering av sykdomstilstanden til én bestemt pasient: Fører dette til at pasienten har rettskrav på dette behandlingstilbudet, for eksempel et bestemt preparat, og uten at kostnadsspørsmålet blir relevant eller avgjørende? Innebærer dette i så fall at kostnadsspørsmålet på individnivå skal vurderes helt annerledes enn på gruppenivå når avslag gis i Nye metoder. Det er viktig at Nye metoder og/eller HOD identifiserer og avklarar slike utfordringer i det videre arbeidet med å utvikle systemet.

3.3 Om prioritering i norsk helsetjeneste

3.3.1 Bakgrunn

Rettsliggjøringen av det å sikre pasienter rettigheter i relasjon til spesialisthelsetjenesten skjedde opprinnelig med hjemmel i sykehusloven og ble basert på prioriteringskriterier foreslått i NOU 1987:23 (1987) *Retningslinjer for prioriteringer innen norsk helsetjeneste*. Denne utredningen – og prioriteringskriterier – ble fulgt opp i NOU 1997:18 (1997) *Prioritering på ny*. Disse to utredningene omtales som regel Lønning I og Lønning II etter utvalgslederen Inge Lønning.

For å sikre en politisk oppslutning om prioriteringskriteriene, blant annet ved å framlegge en varslet Stortingsmelding, ble et tredje prioriteringsutvalg (Norheim-utvalget) nedsatt i juni 2013. Det framla NOU 2014: 12 *Åpent og rettferdig – prioriteringer i helsetjenesten*. I høringsrunden ble utvalget kritisert blant annet for sin operasjonalisering av alvorlighets-/helsetapskriteriet. HOD oppnevnte derfor en arbeidsgruppe, kalt Magnussen-gruppen, som i oktober 2015 framla *På ramme alvor. Alvorlighet og prioritering* (Magnussen m. fl., 2015).

En forskjell på disse to «forløperne» til arbeidet med en Stortingsmelding om prioritering, er at mens Norheim-utvalget ikke foreslo konkrete regelendringer, arbeidet Magnussen-gruppen både med prioriteringsspørsmål og hvordan disse eventuelt skulle kunne innarbeides gjennom lov- og forskriftsendringer (*På ramme alvor*, kap. 6). Magnussen-gruppen mente videre at de nevnte prioriteringskriterier (nytte, alvor og kostnadseffektivitet) burde flyttes fra prioriteringsforskriften tilbake til lovteksten i pbrl. § 2-1b da dette er materiell lovgivning.

Regjeringen Solberg la i juni 2016 fram Meld. St. 34 (2015–2016) *Verdier i pasientens helsetjeneste. Melding om prioritering*. Som departementet skriver i forordet om grunnlaget for meldingen:

Denne meldingen representerer kontinuitet og fornyelse. Regjeringens forslag til prinsipper for prioritering videreutvikler Lønning II-utvalget, og innarbeider viktige

bidrag fra Norheimutvalget og fra Magnussengruppen. Meldingen tydeliggjør de formelle prinsippene og gjør dem gjennomgående i hele helsetjenesten.

Regjeringen foreslår at tre kriterier skal legges til grunn for prioritering: Nyttekriteriet, ressurskriteriet og alvorlighetskriteriet. Kriteriene må vurderes samlet. Jo mer alvorlig en tilstand er og jo større nytte et tiltak har, jo høyere ressursbruk kan aksepteres.

Det er et mål å beholde den brede tilslutningen til behovet for prioriteringer og om hvilke hensyn som bør legges til grunn. Denne enigheten og den åpne debatten vi har om prioritering, er viktig for tilliten vi har til det offentliges ansvar for helsetjenesten. (Meld. St. 34, 2015-2016)

Endringene i spesialisthelsetjenesteloven som ble innført i forbindelse med lovfesting av Nye metoder, innebar ingen substansielle endringer i kriteriene for prioritering, men innførte for første gang kriteriene som en lovregulering.

I prioriteringsmeldingen understrekes det at prioriteringsbeslutninger tas på alle nivåer i spesialisthelsetjenesten:

På klinisk nivå, i møte med den enkelte pasient, vil det kunne være behov for andre skjønnsmessige vurderinger enn i beslutninger basert på metodevurderinger knyttet til innføring av nye metoder. Det skilles derfor i meldingen mellom ulike beslutningssituasjoner, særlig mellom klinisk nivå (helsetjenestens møte med pasienten), gruppenivå (vurderinger om innføring av nye metoder, jf. de regionale helseforetakene og Statens legemiddelverk sine beslutninger om dette), administrativt nivå (ledere og styrer i helsetjenesten) og politisk nivå (departementer, kommunestyre og Stortinget). (Meld. St. 34, 2015-2016)

3.3.2 Prioriteringskriteriene

Rammene for RHF-enes prioritering er angitt i § 2-1a i spesialisthelsetjenesteloven, og må ses i sammenheng med innholdet i sørge-for-ansvaret og lovens oppregning av tjenester som skal tilbys:

Det regionale helseforetaket skal innrette sitt tjenestetilbud i tråd med følgende prioriteringskriterier:

- a) nytten av tiltak i pasientbehandling,
- b) ressursbruk som tiltak legger beslag på og
- c) alvorlighetsgraden av de tilstander som skal behandles

Denne oversikten er kriterier som ikke er uttømmende, da flere plikter har betydning for hvilken helsehjelp som skal gis. Dette fremgår blant annet av innholdet i retten til nødvendig og forsvarlig helsehjelp, og hvordan denne retten er utdypet i prioriteringsforskriften. RHF-ene skal for eksempel også tilrettelegge for at det gis akutte tjenester. De prioriteringskriterier som kan benyttes av RHF-ene er mer overordnet enn de prioriteringskriteriene som benyttes i sykehusene. I sykehusene skal for eksempel øyeblikkelig hjelp gis uten at det foreligger sikker kunnskap om sykdommen eller og nytten av metoden, og i noen tilfeller vil det være forsvarlig å forsøke å redde liv med metoder som mangler dokumentasjon.

I forbindelse med lovfestingen av kriteriene ble det vist til prioriteringsmeldingen (Meld. St. 34, 2015-2016), hvor det er angitt, kvalitativt, hvordan kriteriene skal operasjonaliseres og veies mot hverandre, på gruppenivå og på klinisk nivå (individnivå). Tiltak i helsetjenesten skal vurderes ut fra de tre prioriteringskriteriene – nyttekriteriet, ressurskriteriet og alvorlighetskriteriet. I det følgende framstiller vi prinsippene for operasjonalisering og avveining på gruppenivå.³⁸

³⁸ Teksten nedenfor er for en stor del ordrett gjengivelse av relevante deler av punkt 9.5.5 i prioriteringsmeldingen.

Nytten av tiltak

Nytte skal måles som gode leveår. Kvalitetsjusterte leveår (QALY) skal brukes som et uttrykk for gode leveår. Helseforbedringer for pårørende kan i relevante tilfeller telles med i beregning av nytte. Konsekvenser av helsehjelp for pasientens framtidige produktivitet skal ikke tillegges vekt.

Ressursbruk

All relevant ressursbruk i helsetjenesten skal så langt som mulig tas hensyn til. Effekter på ressursbruk i den kommunale helse- og omsorgstjenesten utløst av tiltak i spesialisthelsetjenesten skal tas hensyn til i metodevurderinger på gruppenivå. Pasientens tidsbruk knyttet til gjennomføring av helsehjelpen skal tas hensyn til. Konsekvenser av helsehjelp for pasienters framtidige forbruk av offentlige tjenester og mottak av stønader/pensjoner, samt produksjonstap, skal ikke tillegges vekt. Det er med andre ord et utvidet helsetjenesteperspektiv som skal legges til grunn.

Alvorlighet

Alvorlighet skal kvantifiseres gjennom å måle hvor mange gode leveår som tapes ved fravær av den behandlingen som vurderes, det vil si absolutt prognosetap. Ved vurderinger av forebyggende tiltak skal alvorlighet som utgangspunkt beregnes for de som hadde fått sykdommen ved fravær av tiltaket.

Avveininger

Prioriteringskriteriene skal vurderes samlet og veies mot hverandre. Jo mer alvorlig en tilstand er eller jo større nytte et tiltak har, jo høyere ressursbruk kan aksepteres. Lav alvorlighet og begrenset nytte av et tiltak kan bare forsvares hvis ressursbruken er lav.

Et tiltak skal vurderes opp mot tiltakets alternativkostnad, det vil si nytten for andre pasienter som ellers kunne ha vært realisert med de samme ressursene. Det skal i tråd med dagens praksis beregnes en kostnad-effektbrøk som vurderes opp mot alternativkostnaden. Norheim-utvalgets og Magnussen-gruppens anslag på alternativkostnad legges til grunn for prioriteringsbeslutninger på gruppenivå, det vil si 275 000 kroner per gode leveår.

Kostnad-effektbrøken skal vektet med alvorligheten. For å bli tatt i bruk skal et tiltak tilføre mer nytte per krone, justert for alvorlighet, enn tiltaket fortrenger. Svært alvorlige tilstander kan tillegges en høy vekt, moderat alvorlige tilstander en moderat vekt, og lite alvorlige tilstander en lav vekt. Jo mer alvorlig en tilstand er, jo høyere kostnad-effektbrøk aksepteres.

Som grunnlag for prioriteringsbeslutninger på gruppenivå skal det gjennomføres en metodevurdering i tråd med prinsippene for prioritering. Basert på metodevurderinger skal skjønnsmessige vurderinger inngå i en totalvurdering av tiltak. Dette er særlig knyttet til vurderinger av:

- Kvalitet og usikkerhet ved dokumentasjon. Stor usikkerhet knyttet til dokumentasjon og beregningsmetoder skal, alt annet likt, gi lavere prioritet.
- Samlede budsjettkonsekvenser av et tiltak.

Ved vurdering av tiltak rettet inn mot små pasientgrupper med alvorlig tilstand hvor det er vanskelig å gjennomføre kontrollerte studier av effekt, kan et lavere krav til dokumentasjon aksepteres. Ved vurdering av tiltak rettet inn mot særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand, eksempelvis barn med medfødte genetiske

sykdommer, der det ofte ikke finnes god dokumentasjon av nytten, kan det aksepteres en høyere ressursbruk enn for andre tiltak.³⁹

Hvis innføringen av en ny metode har store budsjettkonsekvenser, vil ikke bare de minst effektive metodene bli fortrent, men også andre kliniske aktiviteter i tjenesten. I tillegg kommer at tiltak med store budsjettkonsekvenser også kan kreve omstillinger, som krever tid. Dette tilsier at metoder med store budsjettkonsekvenser kan innføres gradvis, for eksempel basert på en prioritering av alvorlighet innenfor den aktuelle pasientgruppen.

Prioriteringskriterier i sammenlikningslandene

Vår landanalyse viser at de norske prioriteringskriteriene i all hovedsak sammenfaller med beslutningskriteriene som anvendes i de tilsvarende beslutningssystemene i de fire sammenlikningslandene Danmark, England, Skottland og Sverige (se punkt 4.6.3).

3.4 Finansieringssystemet i spesialisthelsetjenesten – og prioritering

Staten finansierer den somatiske spesialisthelsetjenesten i de fire RHF-ene dels gjennom basistilskudd og dels gjennom aktivitetsbaserte tilskudd, såkalt *innsatsstyrt finansiering* (ISF). I 2021 vil ISF-andelen i prinsippet utgjøre 50 prosent av driftskostnadene for somatisk sektor – denne andelen har variert mellom 40 og 60 prosent gjennom de siste 20 årene. Andelen er lavere for psykiatrisk sektor der innsatsstyrt finansiering spiller en mindre rolle. I tillegg får RHF-ene inntekter fra pasientenes egenandeler, men disse utgjør en beskjeden andel av totalinntektene. RHF-ene står fritt til å fordele inntektene til det enkelte helseforetak eller kjøpe helsetjenester hos private. Basistilskuddet dekker også kapitalkostnader og forskningskostnader, hvilket betyr at ISF i praksis utgjør langt mindre enn 50 prosent.

Den innsatsstyrte finansieringen er hovedsakelig basert på det såkalte DRG-systemet, der DRG betyr diagnoserelatert gruppe. Hver behandlingsepisode – poliklinikkbesøk, dagbehandling eller innleggelse – blir tilordnet én enkelt av de totalt rundt 1000 DRG-ene. Systemet er i kontinuerlig utvikling – antall DRG-grupper i det norske systemet var 600 da systemet ble innført i 1997. DRG brukes både innen den somatiske spesialisthelsetjeneste og for poliklinisk aktivitet innen psykisk helsevern og TSB.

Det er uvisst hvordan Beslutningsforum vurderer budsjettvirkningene av å skulle innføre en ny og kostbar metode, og hvilken rolle betraktninger om effekter av ISF-systemets dynamikk eventuelt spiller i slike overveielser.

RHF-enes samlede budsjetttramme endres ikke av beslutningene i Nye metoder. Budsjetttrammen fastsettes av Stortinget gjennom behandlingen av statsbudsjettet. Reduksjon i andre aktiviteter som følge av netto kostnadsøkning knyttet til innføring av en ny metode vil da måtte besluttes gjennom de interne budsjettprosessene i helseforetakene. Det er likevel noen få tilfeller av ekstra midler ved innføring av en ny metode – vår eksempelsak om protonsentret er et eksempel på dette – men i dette tilfellet inngikk det

³⁹ Statens legemiddelverk har utarbeidet et notat om metodevurdering av sjeldne lidelser hvor det blant annet angis grenser for og grader av «sjeldenhet»: *Ordning for hurtig metodevurdering av legemidler for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand*. Legemiddelverket, 13. desember 2017. Hentet 5. oktober 2021 fra:

<https://legemiddelverket.no/Documents/Offentlig%20finansiering%20og%20pris/Dokumentasjon%20til%20metodevurdering/notat%20om%20ordning%20av%20s%C3%A6rskilt%20sm%C3%A5%20pasientgrupper.pdf>.

ingen beslutning i Beslutningsforum fordi det var HOD og Stortinget som var besluttsende instanser.

Dette innebærer at dersom man beslutter å innføre en metode som medfører vesentlig høyere netto kostnader for RHF-ene, så vil man gjennom få mindre til disposisjon til andre aktiviteter. Med andre ord, prioriteringsbeslutninger på gruppenivå skjer i et betydelig omfang utenom Nye metoder-systemet som ledd i helseforetakenes sørge-for-ansvar. Det gjøres ingen forsøk på å synliggjøre slike forhold i Beslutningsforums årsoppsummering, i årsmeldingene fra RHF-ene, eller i andre dokumenter fra RHF-ene som vi har studert. Det er også klart at det ligger en stor utfordring i å skulle gjøre dette på en meningsfull og etterprøvbar måte.

For eksempel viser en rapport fra Riksrevisjonen at «*psykisk helsevern i løpet av budsjettåret blir nedprioritert til fordel for somatikken*», og at dette er en forklaring på at mange med psykiske plager og lidelser får ikke hjelp når de trenger det (Riksrevisjonen, 2021b). Likeledes, en annen revisjonsrapport om helse- og omsorgstjenester til barn med funksjonsnedsettelse viser at

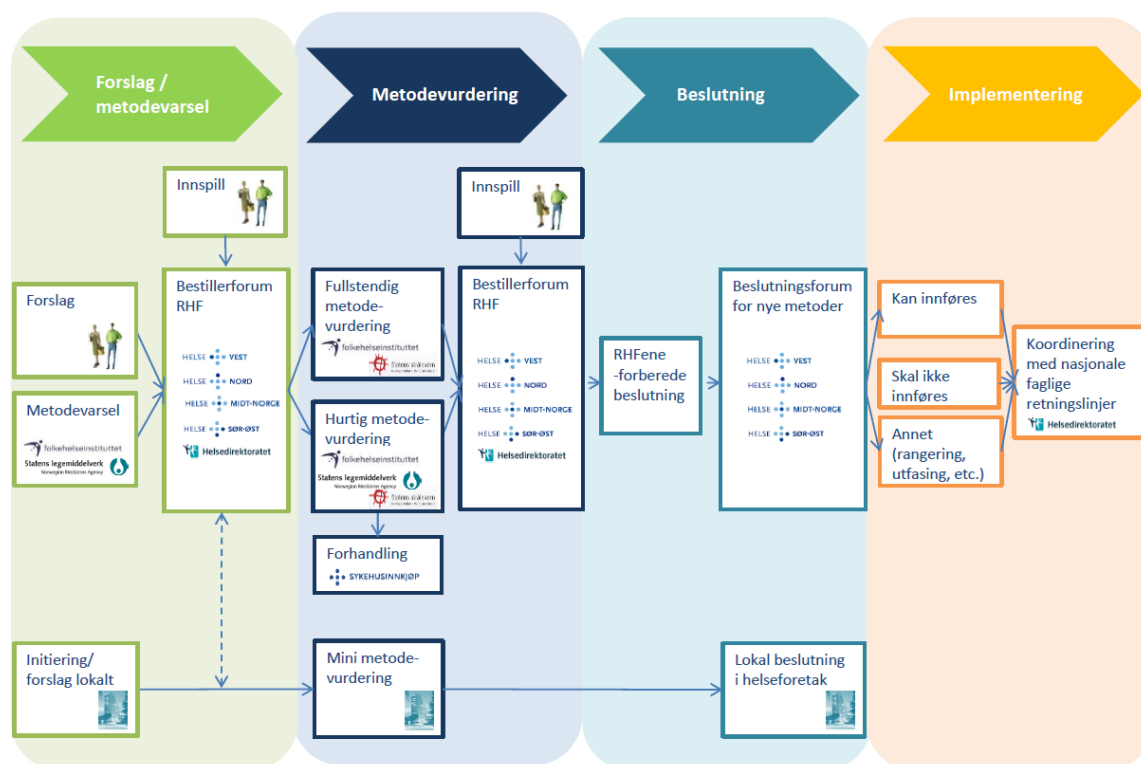
Det er store forskjeller og utilstrekkelig kapasitet i helseforetakenes habiliteringstilbud til barn. (Riksrevisjonen, 2021a)

Det er ingen direkte henvisninger til prioriteringskriteriene i noen av disse rapportene.

3.5 Systemaktørene i Nye metoder

RHF-enes sørge-for-ansvar omfatter ansvar for drift og videreutvikling av systemet for *Nye metoder*. Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet utformer metodevurderinger på oppdrag fra RHF-ene, eventuelt i samarbeid med Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet. Helsedirektoratet har ansvar for at beslutninger i systemet er samordnet med nasjonale faglige retningslinjer.

Figur 3-1. Prosesskart, systemet for Nye metoder.



(v21.02.2018)

3.5.1 RHF-enes organer og aktører

Bestillerforum

Bestillerforum består av seks medlemmer med beslutningsmyndighet og tolv observatører. Det er fire medlemmer fra RHF-ene og to fra Helsedirektoratet.

- Fire fagdirektører; én fra hver av RHF-ene⁴⁰
- To medlemmer fra Helsedirektoratet
- Fire observatører fra RHF-ene; RHF-koordinatorene
- Seks observatører; to fra henholdsvis Folkehelseinstituttet, Statens legemiddelverk og Sykehusinnkjøp
- En observatør fra Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet
- En observatør fra brukerorganisasjonene

I tillegg møter sekretariatet. Ordningene med brukerrepresentant ble innført i september 2020. Brukerrepresentanten foreslås av brukerutvalgene i RHF-ene, og oppnevnes av Bestillerforum.

I korthet er oppgaven til Bestillerforum å gi oppdrag om metodevurderinger på nasjonalt nivå basert på innkomne forslag, metodevarsler og mottatte innspill fra aktørene i Nye metoder og eksterne aktører. Bestillerforum utøver dermed prioriteringsfunksjonen for oppdrag om metodevurderinger i Nye metoder, og legger således viktige føringer for ressursbruken i systemet totalt sett. I tillegg har organet det overordnede utviklingsansvaret i systemet. Bestillerforum har månedlige møter, og det ble avholdt elleve møter i 2020 (Bestillerforum, 2021).

Beslutningsforum

Beslutningsforum består av de fire administrerende direktørene i RHF-ene. I tillegg er det én observatør fra brukerutvalgene og én fra Helsedirektoratet. Bisittere i møtene er sekretariatet, Sykehusinnkjøp, Statens legemiddelverk, Folkehelseinstituttet, de fire fagdirektørene og fagdirektørsekretariatet.

Beslutningsforum tar de endelige metode-beslutningene i systemet på basis av beslutningsgrunnlagene som utarbeides av de øvrige aktørene – i hovedsak metodevurderingsrapport og saksframlegg/innstilling («fagdirektørnotat») som er utarbeidet av fagdirektørene. Beslutninger fattes ved konsensus. Beslutningsforum har månedlige møter, og det ble avholdt elleve møter i 2019 (Beslutningsforum, 2020). Fagdirektørene forbereder møtene i Beslutningsforum ved at de i fellesskap utarbeider saksframlegg med anbefalinger i hver sak.

Sekretariatet for *Nye metoder*

Sekretariatet for *Nye metoder* er administrativt plassert i Helse Sør-Øst RHF, og utøver sekretariatsfunksjoner for *Nye metoder* som helhet, det vil si Beslutningsforum, Bestillerforum, referansegruppa og dialogmøtene med bransjeorganisasjonene. Videre har sekretariatet ansvar for drift av nettsiden til *Nye metoder*, for å koordinere arbeid med å videreutvikle systemet, samt for igangsetting og oppfølging av monitorerings- og evalueringstiltak.

⁴⁰ Viseadministrerende direktør har representert Helse Sør-Øst i 2020.

RHF-koordinatorene

Hver av RHF-ene utpeker en til to RHF-koordinatører. Deres oppgaver er å bistå og representere RHF-ene på ulike nivå i systemet. Dette innebærer blant annet å avholde samarbeidsmøter med aktørene i systemet, delta i dialogmøter mellom Nye metoder og bransjeorganisasjonene, delta som observatører i referansegruppa, samt være kontaktpersoner for ansatte i spesialisthelsetjenesten ved utarbeidelse av mini-metodevurderinger, eventuelt via lokale kompetansemiljøer. Koordinatorene deltar som nevnt også som observatører i Bestillerforum.

Sykehusinnkjøp

Sykehusinnkjøp HF utøver innkjøpstjenester for spesialisthelsetjenesten, og har som oppgave å gjøre anskaffelser, gjennomføre anbud og forvalte avtalene etter at de er inngått. Dette gjøres på vegne av alle helseforetak i Norge, innenfor nesten alle områder i spesialisthelsetjenesten. Eksempler er IT-utstyr, legemidler, medisinsk utstyr, medisinske og administrative forbruksvarer, og tjenester som vikarer og flyreiser. Sykehusinnkjøp leder anskaffelsesprosessene i samarbeid med spesialistgrupper satt sammen av relevant fagpersonell.

Som ledd i beslutningsprosessene i Nye metoder fører Sykehusinnkjøp forhandlinger med leverandører for å innhente priser som dernest legges til grunn i de helseøkonomiske analysene – den såkalte beslutningsprisen.

RHF-ene oppnevner kliniske eksperter og brukerrepresentanter til Sykehusinnkjøps spesialistgrupper, hvis oppgaver blant annet er å gi faglige innspill til konkurransegrunnlag for anbud, utarbeide såkalte LIS-anbefalinger om bruk av legemidler og bistå i implementeringen av legemiddelanskaffelser. Et sentralt punkt når det gjelder bruk av legemidler er vurdering av hvilke legemidler som er «faglig likeverdige». LIS-anbefalingene ligger i sin tur til grunn for utstedelse av instruksjoner fra RHF-ene og nedover i de respektive styringslinjene.

Referansegruppa for Nye metoder

Referansegruppa for Nye metoder ble opprettet i 2017, og har som mandat å være et forum for innspill som kan bidra til å kvalitetssikre, videreutvikle og evaluere Nye metoder.⁴¹ På de halvårlige referansegruppemøtene deltar rundt 35 personer. Systemaktørene og Helsetilsynet, samt flere profesjonsforeninger, leverandørforeninger og brukerorganisasjoner, er representert. HOD deltar som observatør. Siden 2017 har det vært avholdt to møter hvert år (men desember-møtet i 2019 ble avholdt i januar 2020). Innkallinger og referater er tilgjengelige på Nye metoders web-sider.⁴²

3.5.2 Folkehelseinstituttet

Folkehelseinstituttet er et forvaltningsorgan underlagt HOD med et bredt samfunnsoppdrag, som omfatter å produsere, oppsummere og kommunisere kunnskap for å bidra til godt folkehelsearbeid og gode helse- og omsorgstjenester (Prop. 1 S, 2019-2020). Ved utgangen av 2019 hadde Folkehelseinstituttet totalt 977 ansatte, som utgjorde 901 årsverk. Ett av fire områder (eller divisjoner) er Område for helsetjenester, som for en stor del utgjøres av det tidligere Kunnskapscenteret for helsetjenesten, som ble fusjonert inn i instituttet i 2017.

Folkehelseinstituttets rolle i systemet for *Nye metoder* er å utarbeide metodevurderinger og metodevarsler for medisinsk utstyr, diagnostikk, komplekse intervensjoner,

⁴¹ Hentet 1. juni 2021 fra <https://nyemetoder.no/om-systemet/hvem-gjor-hva>.

⁴² Hentet 1. juni 2021 fra <https://nyemetoder.no/referater-referansegruppen>.

prosedyrer mm. Instituttet utarbeider også fullstendige metodevurderinger på alle områder. Videre har instituttet hovedansvar for driften av metodevarslingsfunksjonen i samarbeid med Statens legemiddelverk og de andre aktørene i Nye metoder.

Instituttet gjør egnethetsvurderinger på alle innkomne forslag til Bestillerforum for metoder som ikke er legemidler. Dets nasjonale støttefunksjon omfatter ansvar for den nasjonale databasen for mini-metodevurderinger.

Folkehelseinstituttet deltar med to representanter i Bestillerforum og én representant i Beslutningsforum. Videre er instituttet representert i referansegruppa, og deltar i dialogmøter mellom Nye metoder og bransjeorganisasjonene.

3.5.3 Statens legemiddelverk

Legemiddelverkets samfunnsoppdrag er å være nasjonalt forvaltnings- og tilsynsorgan på legemiddelområdet og fagmyndighet for medisinsk utstyr. Heri inngår å bidra til at de overordnede målene for legemiddelpolitikken blir oppfylt. For medisinsk utstyr skal Legemiddelverket påse at medisinsk utstyr som selges og brukes i Norge er trygt og sikkert. Også Legemiddelverket er underlagt HOD. I 2019 hadde Legemiddelverket 230 ansatte. Ett av fire områder for virksomheten er *Område legemiddeltilgang*, som omfatter fagområdet for metodevurdering og refusjon.

Legemiddelverkets viktigste roller i systemet for Nye metoder er å gjennomføre hurtige og forenklede metodevurderinger av legemidler, ha ansvaret for metodevarsler på legemidler, samt å gjøre egnethetsvurderinger på alle innkomne forslag på legemiddelindikasjoner. Videre er Legemiddelverket representert i Bestillerforum, referansegruppen og i dialogmøter mellom Nye metoder og bransjeorganisasjonene.

3.5.4 Helsedirektoratet

Helsedirektoratet har et bredt samfunnsoppdrag som omfatter rådgivning, tjenesteutvikling, drift og utvikling av finansieringsordninger, samt utøvende oppgaver på helsepersonellfeltet, krisehåndtering mm. Som fagdirektorat og myndighetsorgan under HOD utøver direktoratet oppgaver knyttet til *fagrollen*, *forvaltningsrollen* og ved å *gjennomføre vedtatt politikk* (Prop. 1 S, 2019–2020).

På et overordnet nivå utvikler og forvalter Helsedirektoratet finansieringssystemer, plasserer finansieringsansvar for nye legemidler, og kan dessuten gi innspill til forslag og metodevarsler. Videre har Helsedirektoratet ansvar for at beslutningene kommer inn i aktuelle retningslinjer og programmer, for eksempel i nasjonale faglige retningslinjer og kreft-handlingsprogrammer.

Direktoratet har to medlemmer (beslutningstakere) i Bestillerforum, er observatør i Beslutningsforum, og deltar i dialogmøter mellom Nye metoder og bransjeorganisasjonene samt i referansegruppa for Nye metoder.

3.5.5 Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet

Samfunnsoppdraget til Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet er å redusere negative følger av stråling, og påse at håndtering av strålekilder, radioaktivt avfall og utslipp, medisinsk strålebruk og avvikling av og opprydding etter atomanleggene (dekommisjonering) gjennomføres riktig og forsvarlig (Prop. 1 S, 2019–2020). Direktoratet er underlagt HOD.

Direktoratet har ansvar for å påse at strålevernmessige hensyn blir ivaretatt i evaluering av nye metoder som inkluderer bruk av medisinsk stråling, og bidrar dessuten i metodevurderinger som involverer medisinsk stråling.

Direktoratet deltar med en representant i Bestillerforum dersom metoder som anvender og/eller erstatter medisinsk stråling skal behandles, samt i dialogmøter mellom Nye metoder og bransjeorganisasjonene.

3.6 Beslutningsprosessene i Nye metoder

Kort om beslutningsprosessene

Prosesskartet i Figur 3-1 på side 51 viser saksflyt i systemet. Vi gir en detaljert beskrivelse i punktene nedenfor, men i forenklet består prosessen av fire stadier.

1. *Forslag/metodevarsel.* Bestillerforum mottar metodevarsler fra Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk. Begge disse virksomhetene baserer metodevarslene på «horizon scanning» og andre metoder. Det er åpent for at hvem som helst kan sende inn forslag til saker og innspill til innmeldte forslag. Sekretariatet forbereder sakene, eventuelt med støtte fra Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk. Bestillerforum beslutter hvilke metodevurderinger som skal gjennomføres, og i så fall hvilken type metodevurdering (det vil si fullstendig, hurtig eller forenklet).
2. *Metodevurdering.* Avhengig av sakstype er det Folkehelseinstituttet eller Statens legemiddelverk som utfører metodevurderinger, med bidrag fra Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet (*Statens strålevern* i figuren) når det er aktuelt. Som ledd i dette arbeidet kan leverandører bli anmodet om å sende inn dokumentasjon. Om nødvendig gjennomfører Sykehusinnkjøp prisforhandlinger og/eller anbud med leverandør, og utarbeider prisnotater. Som hovedregel er kliniske fagekspertter involvert i utredningsarbeidet, og i en del saker medvirker også brukere. Bestillerforum avgjør til slutt om metodevurderinger kan oversendes til Beslutningsforum.
3. *Beslutning.* Etter saksforberedelse i sekretariatet og de fire fagdirektørene treffer Beslutningsforum beslutninger om metoder skal innføres eller utfases.
4. *Implementering.* Ved hjelp av spesialistgrupper med fagekspertter utarbeider Sykehusinnkjøp anbefalinger om bruk av metoder som er besluttet innført. RHF-ene formidler disse i form av instruksjer i sine respektive styringslinjer. Helsedirektoratet sørger for at nasjonale faglige retningslinjer oppdateres i samsvar med beslutningene.

Det er et eget løp for mini-metodevurderinger, som gjennomføres lokalt i de enkelte helseforetak.

Metodevarsler

Folkehelseinstituttet har nasjonalt ansvar for metodevarsling. Metodevarslene utarbeides i samarbeid med Statens legemiddelverk, og publiseres gjennom tjenesten MedNytt.⁴³ Et metodevarsel omfatter i hovedsak en beskrivelse av metoden og status for dokumentasjon av metodens egenskaper. Metodevarslene behandles i Nye metoder på liknende vis som forslagene ovenfor.

Fra september 2015 fanges alle nye legemidler opp ca. 120 dager før godkjenning i EMA (Kunnskapssenteret, 2016). I 2018 og 2019 utarbeidet Folkehelseinstituttet henholdsvis 25 og 17 metodevarsler.

Legemiddelverket utarbeider metodevarsler for alle nye virkestoff og indikasjonsutvidelser som medfører nye pasientgrupper 6–12 måneder før man forventer at markedsføringstillatelse vil bli gitt. I 2018 og 2019 utarbeidet Statens legemiddelverk henholdsvis

⁴³ Hentet 6. april 2021 fra <https://www.helsebiblioteket.no/mednytt>.

110 og 120 metodevarsler (SLV, 2020a). Helsedirektoratet har ansvar for å plassere finansieringsansvar i folketrygden eller hos RHF-ene for nye virkestoff eller indikasjon-utvidelser.

Siden 2019 har Statens legemiddelverk og Sykehusinnkjøp hatt delt ansvar for å arrangere *horizon scanning*-møter, der de møter legemiddelfirmaer som presenterer produkter de forventer å markedsføre i Norge innenfor de neste to til tre årene. Til sammen 20 møter ble gjennomført i løpet av 2019 (SLV, 2020a).

Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk bruker et omfattende internasjonalt nettverk som kildetilfang for sine metodevarsler på legemiddelfeltet. En viktig samarbeidspartner er *Horizon Scanning Research & Intelligence Centre* (HSRIC) i England. Folkehelseinstituttet er medlem av det europeiske samarbeidet innen metodevarsling, *HealthTechScan*. En annen kilde er metodevarslingsfunksjonen til *Agency for Healthcare Research and Quality* (AHRQ) i USA.

Forslag til metodevurdering

Alle – pasienter, leger, sykehus, etater, interesseorganisasjoner, pårørende eller andre – kan levere inn forslag til metode de ønsker å få vurdert på nasjonalt nivå. Det er utformet et skjema for innsendelse av forslag, som skal sendes til sekretariatet for *Nye metoder*. Sekretariatet kontrollerer at skjemaet er korrekt utfyllt. Hvis nødvendig, blir forslagsstiller bedt om å komplettere skjemaet. Forslaget må inneholde informasjon om blant annet antatt effekt, hvilke metoder som eventuelt vil erstattes, antall pasienter, status for markedsføringstillatelse eller EU-godkjenning, med videre. Videre skal det oppgis referanser til studier av metodens effekt og sikkerhet.

Utredningsinstansene – Statens Legemiddelverk, Folkehelseinstituttet og/eller Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet – vurderer innsendte forslag med hensyn til hvor godt metoden som skisseres i forslaget egner seg for en av de aktuelle typene metodevurdering (egnethetsvurdering). Helsedirektoratet – retningslinjesekretariatet, krefthandlingsprogrammene og finansieringsdivisjonen – bidrar også med vurderinger og eventuell tilleggsinformasjon til forslagene. RHF-koordinatorene har også anledning til å komme med innspill. Sekretariatet koordinerer dette arbeidet, og legger fram forslag, egnethetsvurdering og innspill for Bestillerforum RHF. Hele forslaget publiseres på Nye metoders hjemmeside i form av sakspapirer til møter i Bestillerforum, inkludert informasjon om forslagsstillerens identitet og interesser i saken.

Beslutninger i Bestillerforum

Som nevnt ovenfor avgjør Bestillerforum hvilke forslag som skal resultere i videre saksbehandling i form av bestillinger – eller oppdrag – til Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk om utarbeidelse av metodevurderinger.

For hvert av de innkomne forslag med tilhørende egnethetsvurderinger og innspill vil Bestillerforum i sine månedlige møter som regel fatte én av de følgende avgjørelser:

- Metodevurdering igangsettes ikke.
- Innhenting av mer informasjon.
- Bestilling av prisnotat fra Sykehusinnkjøp for alle metodevurderinger som gjelder legemidler.
- Igangsetting av metodevurdering hos Statens legemiddelverk eller Folkehelseinstituttet.
- I enkelte tilfeller har Bestillerforum foreslått at et helseforetak gjennomfører en mini-metodevurdering av metoden i et innkommet forslag.

Metodevurderinger

Som nevnt er det Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk som utarbeider metodevurderingene. Statens legemiddelverk utarbeider hurtige og forenklede metodevurderinger for legemidler, mens Folkehelseinstituttet utarbeider hurtige og forenklede metodevurderinger for medisinsk utstyr samt fullstendige alle metodevurderinger. Systemet for Nye metoder opererer med fire ulike hovedtyper metodevurderinger: Fullstendige metodevurderinger, hurtige metodevurderinger, forenklede metodevurderinger og mini-metodevurderinger. Sistnevnte utarbeides i helseforetakene.⁴⁴

Metodevurderinger utarbeides som regel i samarbeid med kliniske eksperter, og noen ganger med medvirkning av brukere. I de aller fleste hurtige metodevurderinger leverandøren med dokumentasjon.

Prisnotater fra Sykehusinnkjøp

Statens legemiddelverk setter en maksimalpris på alle legemidler⁴⁵ som godkjennes for bruk i Norge. Maksimalprisen er normalt basert på gjennomsnitt av tre laveste priser på legemiddelet i ni referanseland. Hvis leverandøren, før behandling i Beslutningsforum, tilbyr en rabatt eller ønsker å inngå en annen form for prisavtale enn ordinær stykkpris, går Sykehusinnkjøp i dialog med leverandøren. Utfallet av forhandlingene kan innarbeides i beregningene i metodevurderingsrapportene eller de kan nedfelles i et prisnotat fra Sykehusinnkjøp til fagdirektørene.

Tidligere (ID2017_001, Spinraza, er et eksempel) ble notater med tilbudte priser utarbeidet av Statens legemiddelverk, men da etter at pristilbud fra leverandør var innhentet av Sykehusinnkjøp. Praksisen i dag er at Sykehusinnkjøp utarbeider prisnotater, hvor Legemiddelverkets oppdaterte beregninger av den inkrementelle kostnadseffektivitetsratioen (IKER) og budsjettkonsekvenser basert på rabattert pris fremforhandlet av Sykehusinnkjøp framgår.

Forhandlinger om pris kan starte på ulike stadier i metodevurderingsprosessen. De kan starte mens metodevurderingen pågår eller etter at metodevurderingsrapporten er ferdigstilt. Videre kan de også avsluttes enten før eller etter at vurderingsrapporten er ferdig. Hvis forhandlingene avsluttes før Statens legemiddelverk er ferdig med rapporten, innarbeides rabatten i beregningene fra Statens legemiddelverk.

Utkvittering og oversendelse av metodevurderinger og prisnotater

Ferdige metodevurderinger oversendes til Bestillerforum, som avgjør om oppdraget er løst eller om det er behov for eventuelle tillegg og presiseringer. Dette skjer oftest elektronisk med 7–10 dagers svarfrist, men dersom ett eller flere medlemmer ser behov for drøfting, skjer utkvitteringen i et møte.

Etter utkvittering oversendes ferdigstilte metodevurderinger og prisnotater til RHF-fagdirektørene. Rapportene blir samtidig offentlige, og publiseres på nyemetoder.no.

Fagdirektørenes saksforberedelse og fullmakter

Fagdirektørene utarbeider et saksforberedende notat med en innstilling, før saken sendes til Beslutningsforum.

Dersom de fire fagdirektørene er enige om at en metode ikke er egnet for behandling i Beslutningsforum, kan de selv treffe avgjørelse i saken. Saken vil da ikke bli videresendt til Beslutningsforum. Dette kan dreie seg om metoder som etter metodevurdering viser

⁴⁴ Hentet 20. september 2021 fra <https://nyemetoder.no/om-systemet/metodevurderinger>.

⁴⁵ Det vil si alle legemidler til mennesker. Det er fri prissetting på veterinære legemidler.

seg ikke å ha store praktiske eller økonomiske konsekvenser. De enkelte helseforetakene kan da avgjøre om metoden er nyttig i deres oppgaveløsning ut fra hvert helseforetaks organisering, tilgang på kompetanse og oppgavesammensetning.

Beslutningsforum har også gitt fagdirektørene beslutningsmyndighet i enkelte saker, for eksempel når søknad om markedsføringstillatelse er trukket, eller når firma leverer ikke dokumentasjon. Fagdirektørene fatter da beslutning, som deretter refereres i Beslutningsforum. I revurderingssaker – når et nytt pristilbud er mottatt fra leverandøren – gjør fagdirektørene en vurdering av det nye pristilbudet, og kan beslutte ikke å sende saken videre til Beslutningsforum dersom det er åpenbart at behandlingen fortsatt ikke er kostnadseffektiv.

Beslutning i Beslutningsforum

Beslutningsforum fatter beslutninger ut fra prioriteringskriteriene ved konsensus mellom de fire RHF-direktørene. Beslutningsutfallene kan være

- Kan innføres
- Skal ikke innføres
- Kan innføres med vilkår som start-/stopp-kriterier eller særskilt oppfølging og senere revurdering
- Kan innføres med prisforutsetninger
- Kan innføres i forskningsprosjekter

I mange tilfeller omfatter en «skal ikke innføres»-beslutning med en anmodning til Sykehusinnkjøp om å gjenoppta forhandlinger med leverandøren med tanke på å oppnå en lavere pris. Uansett kan en sak tas opp til fornyet behandling i Nye metoder dersom det tilkommer ny informasjon eller dokumentasjon

Implementering av beslutninger

Alle legemidler (og noe medisinsk utstyr) som besluttes innført gjøres tilgjengelig for helseforetakene av Sykehusinnkjøp, og det sendes nyhetsbrev fra sekretariatet om alle beslutninger som fattes i Nye metoder. Et viktig ledd er selve anskaffelsen, som for legemidler gjøres av Sykehusinnkjøp, divisjon legemidler (LIS).⁴⁶

De fleste nye legemidler anskaffes gjennom prisforhandling med leverandøren. I de tilfellene hvor man anser at det finnes såkalt «faglig likeverdige» legemidler, vil anskaffelsen skje gjennom en anbuds konkurranse (Sykehusinnkjøp, 2020a). Det er LIS-spesialistgruppa på angjeldende terapiområde som vurderer dette spørsmålet.

I etterkant av anbuds konkurranser utarbeider spesialistgruppa en såkalt LIS-anbefaling, der faglig likeverdige legemidler på et gitt terapiområde er rangert etter prisene som ble tilbudt i anbuds konkurransen. LIS-anbefalingene blir deretter implementert som interne instruksjer gjennom styringslinjene i helseforetakene. I en standardformulering som benyttes i anbefalingene heter det:

Helseforetakenes lojalitet til anbefalingene er en viktig faktor i arbeidet for å oppnå lavere legemiddelpriser som igjen vil gi mulighet til å behandle flere pasienter. De administrerende direktørene i helseregionene har vedtatt å benytte LIS spesialistgruppes anbefalinger som instruks i egne helseforetak. Instruksen betyr at rimeligste alternativ skal velges blant de ulike behandlingsalternativene. Der spesialistgruppen har foretatt en rangering skal førstevalg benyttes i oppstart og

⁴⁶ Forkortelsen LIS står for *Legemiddelinnkjøpssamarbeid*, som fra 1. juni 2015 ble en del av Helseforetakenes Innkjøpsservice (HINAS), som i sin tur ble fusjonert inn i Sykehusinnkjøp i 2016. Hentet 21. april 2021 fra https://no.wikipedia.org/wiki/Helseforetakenes_Innkj%C3%B8psservice.

medisinsk begrunnet endring av behandling. Dersom rimeligste alternativ ikke kan brukes av medisinske årsaker, skal det begrunnes i pasientens journal.⁴⁷

Implementering i behandlingsretningslinjer og kreft-handlingsprogrammer

På nettsidene til Nye metoder beskrives spesialisthelsetjenestens ansvar ved metoder som har vært til beslutning i Beslutningsforum.⁴⁸ RHF-ene og helseforetakene skal bruke metodene i samsvar med disse beslutningene. Beslutninger på nasjonalt nivå skal koordineres med de nasjonale faglige retningslinjene. Helsedirektoratet har ansvar for å innarbeide beslutningene i relevante nasjonale retningslinjer, og vurderer dette fortløpende.

3.7 Hva er metodevurderinger (HTA)?

Mange land har i dag etablert nasjonale prioriteringssystemer for vurdering av medisinske metoder og teknologier. Dette gjøres gjennom systematiske prosesser der en offentlig myndighet samler inn, evaluerer og analyserer informasjon om produktet. Dette kalles «Health Technology Assessments» i internasjonale sammenhenger, og forkortes gjerne til HTA. Prosessen kan variere mellom land, men innebærer en tverrfaglig tilnærming som samler inn og analyserer kliniske og økonomiske data, og dekker ofte også andre aspekter som organisering av tjenesten og etiske problemstillinger. Gitt at samfunnets ressurser er begrenset og kostnadene ved helsetjenester øker, er helseøkonomiske analyser en sentral del av HTA. En helseøkonomisk analyse sammenlikner to eller flere behandlingsalternativer når det gjelder kostnader og helseeffekter. Formålet med en HTA er å skape et velbegrunnet beslutningsgrunnlag og sammenlikne metoder med hverandre, det vil si å undersøke hvilken metode som gir størst effekt per krone. Andre hensyn, slik som alvorlighet, kan også trekkes inn.

Health Technology Assessments (HTA) – eller på norsk *metodevurderinger* – er med andre ord en metodikk for å utforme beslutningsgrunnlag for valg av teknologier i helsesektoren. Det er tatt flere initiativ med sikte på å standardisere HTA-metoder og helseøkonomiske analyser, men det har ikke tidligere vært en ensartet definisjon. Gjennom internasjonalt samarbeid ledet av INATHTA og HTAi kom man i 2020 – sammen med EUnetHTA, HTAsiaLink, REDE TSA, ISPOR and WHO – til enighet om en felles definisjon av HTA. Denne definisjonen ledsages av fire underpunkter (notes) som tydeliggjør dens innhold:

HTA is a multidisciplinary process that uses explicit methods to determine the value of a health technology at different points in its lifecycle. The purpose is to inform decision-making in order to promote an equitable, efficient, and high-quality health system.

Note 1: A health technology is an intervention developed to prevent, diagnose or treat medical conditions; promote health; provide rehabilitation; or organize healthcare delivery. The intervention can be a test, device, medicine, vaccine, procedure, program, or system (definition from the HTA Glossary);

Note 2: The process is formal, systematic, and transparent, and uses state-of-the-art methods to consider the best available evidence.

Note 3: The dimensions of value for a health technology may be assessed by examining the intended and unintended consequences of using a health technology compared to existing alternatives. These dimensions often include clinical effectiveness, safety, costs and economic implications, ethical, social, cultural and legal

⁴⁷ LIS-anbefalinger basert på avtaler på onkologiske og kolonistimulerende legemidler. Versjon 25. oktober 2021. Hentet 27. oktober 2021 fra <https://sykehusinnkjop.no/seksjon/avtaler-legemidler/Documents/Onkologi/Onkologiske-og-kolonistimulerende-legemidler.pdf>.

⁴⁸ Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://nyemetoder.no/implementering>

issues, organizational and environmental aspects, as well as wider implications for the patient, relatives, caregivers, and the population. The overall value may vary depending on the perspective taken, the stakeholders involved, and the decision context.

Note 4: HTA can be applied at different points in the lifecycle of a health technology, that is, pre-market, during market approval, post-market, through to the disinvestment of a health technology. (O'Rourke m. fl., 2020)

Definisjonen angir klart at metodevurdering er en prosedyre for å styrke beslutningsgrunnlag, men ikke for å ta selve beslutningene. Metodevurdering knytter også vurderingen opp mot nærmere bestemte helsepolitiske mål.

Metodevurderinger er en vurderingsprosedyre med bred anvendelse, og kan brukes til å vurdere alle metoder som helsesektoren bruker, uavhengig av hva slags innsatsfaktorer (medikamenter, utstyr, arbeidsinnsats, mv.) som anvendes, samt organiseringen av dette arbeidet. Det finnes imidlertid mange aktører som utarbeider metodevurderinger som dekker bare deler av dette feltet, for eksempel bare metoder med mye bruk av medikamenter eller utstyr.

Definisjonen gjengitt over sier at en metodevurdering innebærer en vurdering av ulike typer virkninger av en metode, gjerne helsemessige og økonomiske og andre. Videre skal en metodevurdering innebære en systematisk prosess. Dette er viktig for sammenliknbarhet mellom ulike vurderinger, men kan også understøtte god kvalitet i vurderingene.

Definisjonene sier derimot ikke noe om hvordan analysene skal gjennomføres, hvilke typer datagrunnlag de skal baseres på, og så videre. Det er betydelig variasjon mellom de ulike beskrivelser av utarbeidelse av og innhold i metodevurderinger i ulike land (Kristensen, 2017). Dette gjenspeiles også i vår landstudie.

Et viktig punkt er for eksempel spørsmålet om den helseøkonomiske analysen skal utføres fra et samfunnsperspektiv eller fra et helsetjenesteperspektiv. Et samfunnsperspektiv omfatter alle kostnader og effekter som kan oppstå i alle deler av samfunnet (stat, kommune, pasienter, pårørende) som følge av den nye behandlingen, inklusive såkalt produksjonstap som kan oppstå som følge av bortfall av pasienters yrkesdeltakelse og reduksjon i produksjonstap som følge av behandling. Helsetjenesteperspektivet inkluderer bare kostnadene som oppstår i helsevesenet.

En vanlig type helseøkonomisk analyse er en kostnad-effekt-analyse med QALY som et effektmål (uttrykket nytte-kostnad-analyse brukes vanligvis om analyser med samfunnsperspektiv der nytte måles i monetære enheter). QALY står for *Quality Adjusted Life Years*, det vil si livskvalitetsjusterte leveår. QALY-måleenheten kombinerer overlevelse (hvor lenge pasienten lever) og livskvalitet (kvaliteten på de resterende årene av livet) som følge av behandling. Alvorlighetsgraden av ulike helseproblemer er gradert, med 1 tilsvarende full helse og 0 død, men det er helsemessige forhold kan verdsettes verre enn døden og dermed får en negativ verdi. Ved å bruke QALY kan man måle og sammenlikne nytten av ulike behandlinger for ulike helseproblemer.

Resultatet av en kostnad-effekt-analyse uttrykkes som forholdet mellom kostnad og effekt. Kostnader måles i monetære termer mens effekten vanligvis måles i QALYs i helseøkonomiske analyser. Forholdet mellom kostnad og effekt uttrykkes mer kostnad i forhold til mereffekt: inkrementell kostnad-effektivitets-ratio, IKER (SBU, 2020):

$$IKER = \frac{Kostnad A - Kostnad B}{Effekt A - Effekt B}$$

IKER er et uttrykk for kostnadene ved å oppnå en ekstra QALY når man erstatter en behandling (metode) med en annen. Den nye behandlingen ansees kostnadseffektiv dersom samfunnets betalingsvilje for effekten (QALY) er høyere enn IKER. Grensen for betalingsvilje kalles ofte *terskelverdien*. I England (og Wales) bruker NICE en

terskelverdi på £ 20 000 – £ 30 000 (se vedlegg 1), men høyere for noen sykdomstyper. I Sverige og mange andre land er det ikke en eksplisitt terskel for å vurdere om en behandling er kostnadseffektiv.

Når man gjennomfører en helseøkonomisk analyse, er det ofte begrensede data tilgjengelig. For eksempel kan det være snakk om en ny behandling der effektene bare er kjent for det tidsintervallet som den kliniske studien dekket og for pasientgruppen som inngikk i studien. For å vurdere kostnadseffektiviteten til den nye behandlingen brukes en helseøkonomisk simuleringsmodell hvor man legger til grunn ulike forutsetninger om fremtidige hendelser og studere lengre tidsperspektiver.

Informasjonen kommer vanligvis fra mange forskjellige kilder, for eksempel kliniske studier og observasjonsstudier, men siden modellene også er basert på forutsetninger, er det usikkerhet i resultatene som den gir. Derfor er det viktig å utføre sensitivitetsanalyser for å undersøke hvordan resultatet påvirkes når forutsetninger endres, noe man gjør ved å variere én eller flere variabler. Hvis de samlede resultatene (IKER) ikke endres veldig mye, det vil si at de er relativt stabile ved ulike forutsetninger, styrker det modellens og resultatenes troverdighet (SBU, 2020).

I en helseøkonomisk analyse sammenliknes kostnadene og nytten ved en intervensjon slik man antar at de vil utvikle seg over en lengre tidsperiode. Diskontering brukes deretter til å ta hensyn til hvordan tid påvirker vår verdsettelse av kostnader og helsemessige fordeler. Tidsprefereansen betyr at enkeltpersoner (og samfunnet) normalt foretrekker å konsumere et produkt eller en tjeneste i dag, heller enn å gjøre det på et tidspunkt inn i framtida. Hvis nytte og kostnader som oppstår om 25 år ikke ble diskontert, så ville de ha samme verdi som om de oppsto i år. Myndigheter i forskjellige land bruker ulike diskonteringsrenter, men i de fleste land diskonteres både kostnader og nytte. Jo høyere diskonteringsrente som velges, jo høyere blir nytte og kostnader i dag verdsatt sammenliknet med framtida. Dette får særlig store utslag der kostnadene påløper på et tidlig stadium, mens helseeffektene kommer senere og over en lang tidsperiode. Dette er typisk tilfelle ved kurativ behandling med såkalte ATMP.

Kostnads-nytte-modeller inkluderer ulike parametere for klinisk effekt, QALY-vekter, kostnader (ressursforbruk og pris). Parametere vil alltid være mer eller mindre usikre, hvilket gir usikkerhet i IKER. For å få en ide om hvor stor usikkerheten er eller hvilke faktorer som gir usikkerheten, gjøres ulike typer analyser. En enkel metode er enveis sensitivitetsanalyse, der en parameter varieres samtidig som de øvrige holdes konstant for å se hvordan resultatene påvirkes. En annen mer omfattende måte er å gjennomføre en probabilistisk sensitivitetsanalyse med usikkerhet i alle relevante inngangsparametere for den helseøkonomiske modellen for å vise hvor usikkert resultatet er i kostnads-effektanalysen.

For legemidler og andre metoder kan det være begrenset informasjon om klinisk effekt på grunn av manglende kontrollarm i den kliniske studien, og så videre. Dette er særlig aktuelt for metoder til behandling av sjeldne sykdommer, der det er små pasient- og studiepopulasjoner. En annen usikkerhet kan også være kort oppfølgingstid, som kan være problematisk for eksempel for et nytt legemiddel med en klinisk studie med en varighet på kun to år, men der det antas at effekten kan være livsvarig. Dette betyr at ekstrapoleringer må gjøres basert på tilgjengelige data kombinert med antatte forutsetninger. Disse utfordringene er nærmere beskrevet i punkt 7.7.2.

4 Beslutningssystemene i sammenlikningslandene

Vi har gjort en gjennomgang av beslutnings- og prioriteringssystemene i Sverige, Danmark, England og Skottland. Hvert land beskrives først kort innledningsvis – nærmere beskrivelser av landene er gitt i vedlegg 1. Derneft følger en komparativ analyse av landene i et normativt perspektiv. Videre sammenlikner vi hvordan metodevurderinger utføres i Norge og de fire andre landene. Til sist beskriver vi ulike internasjonale samarbeidsfora og -initiativer. Videre utover i rapporten henvises det løpende til sammenlikningslandene for å belyse ulike sider av det norske Nye metoder.

4.1 Sverige

Sverige er delt inn i 21 regioner som finansierer og utfører mesteparten av helse-tjenestene. Staten har ansvar for lovgivning og tilsyn. Alle Sveriges kommuner og regioner er medlemmer av *Sveriges kommuner och regioner* (SKR). De 21 regionene samarbeider om innføring av nye legemidler gjennom arbeidet til *Rådet for nya terapier* (NT-rådet), som ble etablert i 2015. På den ene siden avgjør rådet hvilke legemidler som skal dekkes av såkalt *ordnat införande* og gir anbefalinger om bruk av nye legemidler i regionene. Anbefalingene gjelder særlig legemidler som brukes på sykehus, men kan også i noen tilfeller gjelde polikliniske legemidler. Tidligere behandlet NT-rådet også medisinsk utstyr, men dette administreres nå av *Medicintekniska produktrådet* (MTP-rådet), som ble opprettet i 2020.⁴⁹

NT-rådet har en leder og seks regionale medlemmer med medisinsk eller farmakologisk kompetanse. Disse sju har stemmerett. I tillegg finnes en rekke medlemmer uten stemmerett, blant annet en helseøkonom, en etiker og et pasientombud.

Prosessen med *Nationellt ordnat införande* begynner med en såkalt «horizon scanning» der det samles inn informasjon om, dokumenteres og evalueres hvilke nye virkestoffer og indikasjoner som forventes å bli godkjent i årene som kommer. Produkter som er kvalifisert for *Nationellt ordnat införande*, skal oppfylle minst ett av et utvalg kriterier, for eksempel: stor pasientpopulasjon, betydelig sykkelighet forbundet med tilstanden, innovativ behandlingsmetode, potensielle kostnadsimplikasjoner, og potensielt høy medie- og/eller pasientinteresse. Dersom det fattes vedtak om at et legemiddel skal håndteres innenfor rammen av det nasjonale beslutningssystemet, har *Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket* (TLV) i oppgave å produsere et helseøkonomisk grunnlag for NT-rådet.⁵⁰ Kliniske eksperter konsulteres om nåværende klinisk praksis, og hjelper til med å tolke den medisinske dokumentasjonen. Det er leverandøren som gir TLV grunnlaget for vurderingen, inkludert en helseøkonomisk analyse. Dataene er produsert i henhold til TLVs generelle råd for økonomiske vurderinger.

Regionene samarbeider om legemidler som er relevante for *Nationellt ordnat införande*. Hvis prisen på virkestoffet anses å være for høy, kan NT-rådet starte en forhandling med leverandøren om en rabatt som gjør at behandlingen kan være kostnadseffektiv. Når forhandlingen er fullført, kan alle regioner signere avtaler med leverandøren.

NT-rådet baserer sin beslutning om anbefaling på det helseøkonomiske grunnlaget, og på den såkalte etiske plattformen, og dens tre prinsipper: prinsippet om menneskeverd, prinsippet om behov og solidaritet, og prinsippet om kostnadseffektivitet. Plattformen er vedtatt av Riksdagen og gjelder for prioriteringer i helsevesenet. I vurderingen hensyntar NT-rådet fire kriterier: alvorlighetsgraden av tilstanden, behandlingens effekt,

⁴⁹ NT-Rådet og MTP-Rådet beskrives ytterligere i vedlegg 1.

⁵⁰ Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) vurderer også «blåresept-legemidler».

påliteligheten til det vitenskapelige grunnlaget og tilstandens sjeldenhet. De fire kriteriene vurderes på fire nivåer: svært høy, høy, moderat og lav.

Anbefalingene publiseres offentlig på NT-rådets nettsider. De helseøkonomiske dataene publiseres også, og finnes på nettstedet til TLV. Priser og rabatter er imidlertid ofte konfidensielle, og selv noen kliniske effekter kan klassifiseres som konfidensielle på leverandørens forespørsel.

Etter at NT-rådet har gitt sin anbefaling, er det opp til hver region å avgjøre om de skal innføre virkestoffet i regionen. Intensjonen er at anbefalingene skal følges av regionene, for å sikre at helsevesenet er likt uansett hvor i Sverige man bor. *Medicintekniska produktrådet* (MTP-rådet) har en lignende tilnærming som NT-rådet, og er beskrevet i vedlegg 1.

4.2 Danmark

Danmark er delt inn i fem regioner med ansvar for spesialisthelsetjenesten, og en betydelig del av primærhelsetjenesten. De fem regionene har en felles interesseorganisasjon, Danske Regioner. Danske Regioner besluttet i 2017 å etablere *Medicinrådet*, som er en videreutvikling av *Rådet for anvendelse av dyr sykehusmedisin* (RADS) og *Koordineringsrådet for ibrugtagning av dyr sykehusmedisin* (KRIS). Fra og med 1. januar 2021 finnes det nye retningslinjer for Medicinrådets prosess og metode. Medicinrådet vil blant annet bruke kvalitetsjusterte leveår (QALY) til å evaluere nye legemidler og indikasjonsforlengelser.

I prinsippet bør alle sykehuslegemidler evalueres av Medicinrådet. Medicinrådet gir anbefalinger om legemidlene, men i prinsippet bør disse følges av regionene. Medisinsk utstyr håndteres av Behandlingsrådet, som ble opprettet i 2021, etter en beslutning av Danske Regioner.

Medicinrådet består av tre deler: Rådet, Fagutvalgene og Sekretariatet. Rådet beslutter anbefalinger og består av 16 medlemmer, og fire observatører. De fleste er sykehusleger, men det er også en helseøkonom, to kliniske farmasøyter, to pasientrepresentanter og en sykehusfarmasøyt. Når Rådet skal utarbeide en anbefaling, opprettes et fagutvalg som har spisskompetanse. I Fagutvalget sitter minst én pasientrepresentant. Sekretariatet støtter både Rådet og Fagutvalget.

Prosessen begynner med at leverandøren ber om en evaluering. Som nevnt ovenfor inngår nesten alle sykehuslegemidler under Medicinrådets ansvarsområde. Leverandøren sender inn en søknad, som blant annet inneholder en klinisk beskrivelse, og en helseøkonomisk analyse, i samsvar med metodisk veiledning. Sekretariatet og Fagutvalget jobber deretter sammen om å gjennomgå dokumentasjonen fra leverandøren, og utarbeider deretter en vurderingsrapport. Amgros, som eies av de fem regionene, begynner deretter å forhandle pris med leverandøren. Når forhandlingen er fullført, oppdateres vurderingsrapporten med den nye prisen.

Sekretariatet vil gi et beslutningsgrunnlag til Rådet, basert på vurderingsrapporten og Amgros' forhandlingsnotat. Rådet beslutter en innstilling på egen hånd, og skal vurdere om effekten og sikkerheten til legemidlet er rimelig i forhold til kostnadene ved innføring av legemidlet. Evalueringen er basert på Folketingets syv overordnede prinsipper for prioritering mellom sykehuslegemidler (inkludert faglighet, uavhengighet og geografisk likhet), og prinsippene om forsvarlighet og alvorlighet. Dette betyr blant annet at et sykdomsområde med høy alvorlighetsgrad, for eksempel livstruende sykdom, kan være grunn til å akseptere høyere kostnader.

Anbefalingene publiseres offentlig på Medicinrådets nettsider. Medicinrådet er ikke ansvarlig for innføringen. Behandlingsrådet har en lignende tilnærming som Medicinrådet, og er beskrevet i vedlegg 1.

4.3 England

England er delt inn i syv helseregioner, og *National Health Service* (NHS) tilbyr helsetjenester. *National Institute for Health and Care Excellence* (NICE) gir råd og anbefalinger til NHS England knyttet til helse og kostnadseffektivitet, og produserer metodologiske evalueringer for både legemidler og medisinsk teknologi. NICE ble opprettet i 1994.

I 2020 ble det igangsatt en gjennomgang av metode- og prosessarbeidet for både legemidler og medisinsk utstyr. Denne gjennomgangen pågår fortsatt.

NICE består av syv avdelinger, der *Centre for Health Technology Evaluation* (CHTE) utvikler retningslinjer for bruk av legemidler og medisinsk teknologi. NICE etablerer egne teknologivurderingskomiteer (*Technology Appraisal committees*, TAC) som avgjør om en metode kan brukes eller ikke.

Komiteene er uavhengige og består av NHS-ansatte, lekpersoneer, representanter for legemiddelindustrien, etc. NICE rekrutterer medlemmer gjennom åpen søknad i perioder på tre år.

NICE evaluerer legemidler, medisinsk utstyr og diagnostikk i ulike programmer: *Technology Appraisal Programme*, *Highly Specialised Technology Appraisal Programme* (for eksempel sjeldne diagnoser), *Medical Technologies Evaluation Programme* og *Diagnostic Assessment Programme*. Metodeevalueringen kan deretter gjøres på én av tre måter: *Single Technology Appraisal*, *Fast Track Appraisal* eller *Multiple Technology Appraisal*. Fast-track brukes til metoder som er spesielt kostnadseffektive.

Prosessen begynner med et såkalt «topic selection». Metodevurderinger gjøres i samsvar med NICE's prinsipper og følger eksisterende retningslinjer for metode og prosess. Anbefalingene publiseres offentlig på hjemmesidene til NICE.

Det pågår nå en gjennomgang av NICEs system, blant annet gjennom en åpen høring der det kan komme kommentarer til temavalg, prosess og metode. Årsaken til gjennomgangen er et behov for endring, som følge av en endret verden og dermed endrede behov. Gjennom gjennomgangen har NICE som mål å øke hastigheten på pasienttilgangen til nye og lovende legemidler og medisinsk utstyr, bedre markedsadgangen, og forenkle prosessen med å evaluere både legemidler og medisinsk utstyr. Noe av det som undersøkes i gjennomgangen er såkalte modifikatorer, det vil si faktorer som kan medføre høyere betalingsvillighet for visse sykdomstyper. For eksempel kan det diskuteres om kurativ behandling, alvorlighetsgrad, innovasjon, etc. bør vurderes annerledes.

4.4 Skottland

Skottland er delt inn i 14 helseregioner, og NHS Scotland som leverer de fleste helsetjenester. *Scottish Medicine Consortium* (SMC) gjennomfører metodiske evalueringer på nasjonalt nivå, og det ble etablert i 2001. Medisinsk utstyr administreres av *The Scottish Health Technologies Group* (SHTG).

SMC består av klinikere, farmakologer, representanter fra NHS-styret, legemiddelindustrien og borgerne. SMC består av en Executive-gruppe, et støtteteam og de to komiteene SMC og NDC (*New Drugs Committee*). SMC-komiteen avgjør om det skal innføres et legemiddel i NHS Skottland. Før saken behandles av SMC-komiteen, behandles den av *The New Drugs Committee* (NDC), som består av klinikere, farmakologer og representanter fra legemiddelindustrien. De gjennomgår kliniske og økonomiske data fra leverandørene. NDC gir foreløpige råd til leverandøren som sendte inn søknaden, slik at selskapet kan svare på spørsmål eller avklare tvetydigheter før SMCs vurdering. Hvis NDC i standardprosessen anbefaler at metoden ikke skal innføres,

kan leverandøren av «orphan» legemidler, og legemidler ved livets slutt («end of life treatment»), komme med en forespørsel om at det gjennomføres et møte innenfor rammen av «Patient and Clinician Engagement» (PACE).⁵¹ PACE er etablert for å styrke medvirkning fra pasientgrupper og klinikere i SMCs beslutninger.

SMC er også ansvarlig for «horizon scanning», og presenterer en årsrapport med «high impact» legemidler. Anbefalingene publiseres offentlig på SMCs nettsider. *Scottish Health Technologies Group* (SHTG), som administrerer medisinsk utstyr, har en lignende tilnærming som SMC. Dette er beskrevet i vedlegg 1.

4.5 Kort oppsummering av landstudiene

Landene har felles utfordringer knyttet til å finansiere en del nye kostbare legemidler, samtidig som ressursrammene skal holdes og alle skal få likeverdig tilgang til helsehjelp. Nye, innovative og dyre legemidler og medisinsk utstyr øker presset på landene. Systemer for HTA får økt betydning. Landstudien viser at alle landene nå gjennomgår, eller nylig har gjennomgått, de nasjonale beslutningssystemene sine for å møte disse utfordringene.

Prosessen med å innføre legemidler og medisinsk utstyr i de ulike landene har felles trekk, men det er også store forskjeller. Alle landene har etablert særlige organer eller enheter som evaluerer legemidler og medisinsk utstyr. Alle land inkluderer både kliniske og økonomiske effekter i HTA-analysen, men det kan bemerkes at Danmark ikke introduserte bruken av formell kostnadseffektivitetsanalyse, som omfatter IKER, før i 2021. Norge er det eneste landet som bruker samme enhet også til vurdering av medisinsk utstyr.

I både England og Norge er drift og finansiering av helsetjenester et statlig ansvar, mens det er regionalt i Sverige. Norge skiller seg også ut ved at de som har det økonomiske ansvaret også tar beslutninger om innføring.

England, Skottland og Danmark, i likhet med Norge, vurderer alle legemidler i det nasjonale beslutningssystemet, mens i Sverige er det bare et utvalg av legemidler som vurderes i det nasjonale systemet. I alle landene som inngår i landstudien vurderes kun et utvalg av medisinsk utstyr i de nasjonale beslutningssystemene.

Beslutningene som tas er bindende i alle landene, i større eller mindre grad. I Sverige beskrives det som anbefalinger, men intensjonen er at alle de 21 regionene skal følge anbefalingene. Det finnes prosedyrer for å involvere klinikere, pasienter og industri i alle land, men måten de er involvert på varierer. Involveringen kan bety at partene får komme med innspill på et tidlig stadium av prosessen. For eksempel kan pasienter kommentere hvordan det er å leve med en bestemt sykdom. I Sverige og Danmark har pasientrepresentanter stemmerett i beslutningsorganet, mens i England er det i stedet lekpersoner som deltar i beslutningsorganet. I Skottland og Danmark deltar både klinikere og representanter for leverandører i beslutninger om innføring.

4.6 Beslutningssystemene i et normativt perspektiv

Ved sammenlikning av informasjon om fire lands (Sverige, Danmark, Skottland og England) organisering og arbeid med innføring av nye metoder, er det tydelige likheter med det norske systemet ved at det fattes beslutninger og/eller anbefalinger ut fra

⁵¹ *Patient and Clinician Engagement (PACE) Meetings Overview*. Hentet 7. november 2021 fra <https://www.scottishmedicines.org.uk/media/5423/pace-overview-document-v34.pdf>.

nærmere fastsatte kriterier av et særskilt oppnevnt og kompetent organ som er gitt dette som eneste eller viktigste oppgave.

Det foreligger ikke en egentlig klageadgang i noen av landene over de beslutninger/rekommandasjoner som gis av det særskilt oppnevnte og kompetente organet. I England er det riktignok gitt innspillsrett til utkast til anbefalinger til det kompetente organet som skal vurdere slike innspill.

En viktig forskjell mellom de undersøkte landene er det bare er i Norge at personene som fatter beslutningene (eventuelt beslutninger om anbefalinger) på nasjonalt nivå kommer «innenfra» systemet, det vil si at det ikke er en mer ekstern vurderingskomité frikoplet fra ansvar og/eller drift av helsetjenesten. Dette har vært gjenstand for kritikk da slike vurderinger primært skal skje på vegne av samfunnet og i henhold til de kriterier som er satt i lovgivningen. For eksempel stortingsrepresentant (Sp) Kjersti Toppe i VG:

Beslutningsforum består av fire direktører fra de ulike helseforetakene. Vi må i fremtiden ha et forum som er frikoblet fra disse direktørene, fordi de har så store økonomiske hensyn å ta, knyttet til utgiftene til egne foretak.

Hun sier det blir helt feil.

– Det blir som bukken som passer havresekken. Det er økonomien i helseforetakene som blir bestemmende, ikke behovet til enkeltindividet.⁵²

Like fullt kan det reises argumenter både for og imot den valgte norske modellen på dette området.

Den viktigste fordel med å gi de samme aktørene både budsjettansvaret og ansvaret for å ta beslutninger om metodebruk er at metodebeslutningene kan tilpasses ressursrammene. Hvis disse to ansvarsområdene deles, vil det være vanskelig å gjøre metodebeslutningene bindende. I stedet kan en deling gjøre det nødvendig å etablere et ekstra beslutningsledd som tar stilling til om anbefalingene skal følges opp i praksis. Man kan kanskje ikke kreve at ledelsen i RHF-ene skal holde budsjetttrammene hvis de ikke har kontroll over hvilke metoder som skal brukes, gitt at man ikke lager andre «sikkerhetsventiler» i form av behandlingsskø, eller liknende.

Ulempen med å samle de to ansvarsområdene, slik vi har gjort i Norge, er at budsjett-hensyn kan bli sterkt vektlagt også ved beslutninger om innføring av metoder. Det er lett målbart om budsjetttrammene overholdes, men langt vanskeligere å måle om det er tatt optimale beslutninger om innføring og utfasing av metoder. Da kan budsjett-hensyn også få sterk vekt i metodebeslutninger når de fattes av aktørene med budsjettansvar. Det hører med her at man i henhold til de norske prioriteringskriteriene skal ta budsjettvirkningen av å innføre en metode i betraktning.

Kreftforeningen er blant de som har vært kritiske til den norske løsningen, med den hovedbegrunnelse at systemet bærer preg av å ha blitt et innkjøpssystem, mer enn et system som evner å balansere gode prioriteringer med det å sikre pasienter et forsvarlig helsetilbud.

Det er også klare forskjeller mellom land når det gjelder reglene som danner grunnlag for metodevurderinger. Går man nærmere inn på det normative grunnlaget for slike beslutninger og/eller anbefalinger, skiller landene seg like fullt klart fra hverandre, selv om empiriske studier må avdekke hvilke reelle faktiske forskjeller som foreligger ved innføringen og anvendelsen av nye metoder.

⁵² Politisk pille-opprør mot Høie: – Forventer at han rydder opp. VG, 27. juni 2021. Hentet 1. oktober 2021 fra: <https://www.vg.no/nyheter/innenriks/i/2dQQay/politisk-pille-opproer-mot-hoeie-forventer-at-han-rydder-opp>.

Her skal vi se nærmere på fire elementer, fra et normativt perspektiv: (i) Om beslutningsorganet er opprettet med hjemmel i lov/forskrift, eller basert på avtale, og eventuell uavhengighet av myndighetsstyring; (ii) Hvem som er tillagt beslutningsmyndigheten for de anbefalingene som gis; (iii) Grunnlaget for beslutninger/anbefalinger; og (iv) Hvor «bindende» slike anbefalinger er for helsetjenesten.

4.6.1 Beslutningsorgan med hjemmel i lovgivning, pålegg eller avtaler?

I Norge er *Nye metoder* nå lovfestet som et ansvar pålagt de fire RHF i spesialisthelsetjenesteloven, etter gradvis å ha vokst fram som et pålegg fra eieren (HOD) der RHF-ene (i fellesskap) ble pålagt å utvikle et beslutningssystem. I og med at dette beslutningssystemet fatter svært viktige avgjørelser, oppsto et behov for at dette systemet – i tråd med norsk forvaltningstradisjon – burde lovfestes, se blant annet Magnussen-gruppens rapport *På ramme alvor*. Det ble her utarbeidet et forslag til ny lovbestemmelse, forankret i pasient- og brukerrettighetsloven og med en mer detaljert utforming enn det Stortinget vedtok i tråd med forslaget til regjeringen (Magnussen m. fl., 2015), s. 66.

Lovfestingen skjedde i 2019, se tidligere om framveksten, mens systemet (slik det for så vidt fortsatt er i dag) vokste fram for om lag ti år siden.

I Danmark ble et eget organ, *Medicinrådet*, etablert med forankring i sundhedslovens bestemmelser om at det kan opprettes samarbeidsorganer mellom regionsråd, offentlige myndigheter og private virksomheter. Av Medicinrådets mandat framgår at dette «er opprettet og regulert af det vedtagne kommissorium for Medicinrådet («kommissoriet»), der er vedtaget af Danske Regioners bestyrelse den 15. december 2016»⁵³. Medicinrådet består av tre enheter (Rådet, Fagudvalgene og Sekretariatet) som sammen skal skape det best mulige faglige fundament for Rådets arbeide:

Sunnheds- og ældreministeriet påpekte i brev 6. oktober 2016 til *Danske Regioner* at Medicinrådet kunne etableres etter § 78, stk. 3 i sundhedsloven. Ministeriet la i den forbindelse særlig vekt på at Medicinrådet «ikke vurderes at træffe forvaltningsretlige afgørelser ved vurdering af nye lægemidler, idet rådets udstedelse af anbefalinger/behandlingsvejledninger ikke vil være juridisk bindende over for regionerne. Det er således i princippet op til den enkelte region at afgøre, hvorledes anbefalingerne/behandlingsvejledningerne skal implementeres».

Selv om det foreligger en viss lovforankring, må denne anses som så løs, at det mest framstår som en avtalebasert ordning, godkjent av departementet gjennom den nevnte brevvekslingen med Danske Regioner. Det er Danske Regioner som betaler alle utgifter til Medicinrådets virksomhet.

I Sverige anbefalte *Sveriges kommuner och landsting*, SKL (nå SKR, *Sveriges Kommuner och Regioner*, som best kan sammenliknes med KS i Norge), at det burde innføres en samarbeidsmodell for beslutninger om nye legemidler: *Nationellt ordnat införande av nya läkemedel*. Samtlige landsting sluttet seg til forslaget og samtidig til at SKL/SKR skulle tildeles visse oppgaver, blant annet sekretariatet i NT-rådet, *Rådet för nya terapier*, samt koordinering og tilrettelegging av rådets anbefalinger. NT-rådet er en del av SKR. Rådets anbefalinger er like fullt, etter SKRs oppfatning, ikke anbefalinger fra SKR, men fra landstingene, ettersom NT-rådet utfører sitt arbeide på mandat fra

⁵³ *Forretningsorden for Medicinrådet*. Medicinrådet, 15. august 2018. Hentet 7. oktober 2021 fra: https://medicinraadet.dk/media/rbehloo4/forretningsorden-for-medicin%C3%A5det-%C3%A6ndret-21-10-2020_adlegacy.pdf

disse. NT-rådet ble opprettet i 2015 og er en utvikling av den tidligere NLT-gruppen (*Nya LäkemedelsTerapier*), som ble opprettet i 2009.

NT-rådets rettslige stilling er som påpekt uklar, selv når det gjelder å fastslå hvilke regler som gjelder for rådets virksomhet. Det er for eksempel uklart om saker som kommer inn til eller tas opp av NT-rådet omfattes av reglene i *offentlighets- og sekretesslagen* (2009:400, OSL). Det er heller ikke klarlagt om rådets virksomhet omfattas av *förvaltningslagen* (2017:900, FL).

Her er altså organiseringen vokst fram nedenfra, dvs. fra sykehuseiere og -drivere, og uten egentlig lovforankring. Det hele må sies fremdeles å være en rent avtalebasert ordning.

I *Skottland* foregår det meste av spesialisert behandling på sykehus tilknyttet Scotland's *Public Health Service*, NHS Scotland. Vedrørende nye metoder ligger anbefalingsmyndigheten hos *Scottish Medicines Consortium* (SMC) som er bredt sammensatt, se under. Det er tette forbindelser til regjeringen ved at SMC er en del av *Healthcare Improvement Scotland* (HIS) som samarbeider tett med *Scottish Government* (SG). I egne dokumenter defineres og klargjøres rollene og ansvaret i relasjonen mellom HIS og SG. Men det framgår samtidig at HIS er faglig uavhengig av departementet.

Noen egentlig lovforankring av virksomheten til SMC foreligger ikke, og dette kan også ses som en organisering som er vokst fram nedenfra og fremdeles må anses som avtalebasert.

I *England* er *NICE* (The National Institute for Health and Care Excellence) ansvarlig for å gi nasjonale retningslinjer for å bedre helsetjenesten. NICE er en utøvende *non-departmental public body*, som er delfinansiert av *Department of Health and Social Care*.

NICE jobber etter nasjonale strategier som skal styrke helsetjenesten, og er forankret i *Health and Social Care Act 2012*.⁵⁴ Kapittel 8 i loven (§§ 232 til 249) omhandler NICE, men beskriver ikke spesifikt avdelingen CHTE (Centre for Health Technology Evaluation) i NICE som foretar vurderingene, eller samfunnsoppdraget knyttet til utarbeidelse av metodevurderinger. Målet med strategiene er å redusere variasjoner og ulikhet i helsetjenesten, med hovedfokus på de svakest stilte i samfunnet.

Virksomheten har altså en overordnet lovforankring, men det er tydelig en faglig uavhengighet som tillegger hele virksomheten til NICE.

4.6.2 Sammensetningen av beslutningsorganet

I *Norge* er som kjent beslutningsmyndigheten lagt til Beslutningsforum som består av de fire RHF-direktørene, samtidig som det er laget retningslinjer for forberedelser av den enkelte sak. Beslutninger basert på mini-metodevurderinger fattes lokalt i helseforetakene.

I *Danmark* kan *Medicinrådet* bestå av opptil 17 rådsmedlemmer: To formænd (formandskabet) utpekes av Danske Regioner; fem legefaglige direktører eller sjefsleger utpekt fra hver av de fem regioner; tre representanter utpekt fra De Lægevidenskabelige Selskaber (LVS), to kliniske farmakologer, utpekt av regionene i fellesskap, to representanter utpekt av Danske Patienter, en sykehusapoteker utpekt av regionene i fellesskap, to faglige representanter, som kan utpekes av øvrige rådsmedlemmer for en midlertidig periode på to år, hvis Rådet finner at der er behov for å tilføre Rådet særlig viten og/eller kompetanser.

⁵⁴ Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2012/7/contents>

I *Sverige* er *NT-rådet* en ekspertgruppe med representanter for Sveriges regioner. NT-rådet holder to møter i måneden, og består av en leder og seks medlemmer med medisinsk eller farmasøytisk kompetanse. Disse sju har stemmerett, og blir utpekt av *Nationella Samverkansgruppen för Läkemedel och Medicinteknik* etter nominering fra regionene. NT-rådets leder og sekretariatsleder er ansatt av SKR, mens de regionale medlemmene er ansatt i sin region og deltar i NT-rådet i tillegg til sin normale arbeidstilknytning. Virketiden for medlemmene er to år.

I *Skottland* fattes beslutninger/anbefalinger av *the Scottish Medicines Consortium (SMC)* som består av klinikere, farmasøyter, representanter fra NHS, farmasøytisk industri og legemedlemmer. Den brede sammensetningen skal sikre bredde i vurderingen av hvilke medisiner som skal anbefales for bruks av NHS Scotland. SMC møtes månedlig. – I tillegg er det etablert en «New Drugs Committee (NDC)» med klinikere, farmasøyter, og farmasøytisk industri representativer. Også den møtes månedlig og gir anbefalinger til SMC.

I *England* fattes beslutninger/anbefalinger av NICE, som oppretter egne «vurderingskomiteer» (*Technological Appraisal Committees*). Komiteene er uavhengig, og består av ansatte i helseregionene (NHS), lekpersoner (med for eksempel brukererfaring), personer fra relevante fagmiljøer og legemiddelindustrien. NICE rekrutterer medlemmer til komiteen gjennom utlysning og åpen konkurranse for perioder på tre år. *Committee B* teller for eksempel i dag 27 personer med svært variert bakgrunn, og er altså langt større enn i de nordiske landene.⁵⁵

4.6.3 Grunnlaget for beslutninger

I *Norge* går prioriteringskriteriene direkte fram av loven og er bindende for Beslutningsforum i Nye metoder.

I *Danmark* legger Medicinrådet vekt på sju kriterier, som det er nærmere redegjort for i landoversikten. Disse er fremkommet gjennom enighet blant Folketingets partier, og framgår av Sunnheds- og ældreministeriet *Princippapir om prioritering for sygehuslægemidler*, datert 31. mars 2016⁵⁶. De sju prinsippene er: 1) Faglighet; 2) Uavhengighet; 3) Geografisk likhet; 4) Åpenhet; 5) Hurtig implementering av ny, effektiv medisin; 6) Mere helse for pengene; 7) Tilgang til behandling. I tillegg kan alvorlighet vektlegges, for eksempel om et sykdomsområde kan medføre livstruende eller særlig invalidiserende sykdom. Videre fordrer forsiktighetsprinsippet at Medicinrådet ved oppstart av en behandling ikke anbefaler innføring av et nytt legemiddel som kan innebære, at en uforholdsmessig stor andel av helsevesenets økonomiske midler allokteres i retning av én medisinsk behandling. Alt i alt fraviker ikke disse prinsippene i vesentlig grad det som forstås med de norske prioriteringskriteriene.

I *Sverige* kan Regionene foreslå at et legemiddel bør innføres nasjonalt, og da skal dette håndteres videre av NT-rådet, under veiledning av etiske prinsipper vedtatt av Riksdagen: Menneskeverdprinsippet; behovs- og solidaritetsprinsippet og kostnadseffektivitetsprinsippet.

I *Skottland* vurderes legemiddelets kliniske effekt og kostnadseffektivitet. SMC opererer ikke med noen formell terskelverdi som viser om et legemiddel er kostnadseffektivt eller ikke, ved at kostnad per QALY (det vill si IKER) bare er en av flere faktorer i vurderingen. Om kostnad per QALY er svært høy, finnes det enkelte faktorer som kan veie opp for

⁵⁵ Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/get-involved/meetings-in-public/technology-appraisal-committee/committee-b-members>

⁵⁶ *Princippapir om prioritering for sygehuslægemidler*. Sundheds- og ældreministeriet, 31. mars 2016. Hentet 7. oktober fra: <https://www.regioner.dk/media/4119/folketingets-7-prinsipper-for-prioritering-af-sygehuslaegemidler.pdf>

den økte kostnaden. Disse faktorene omtales som «modifiers»: Evidens for forlengelse av gjenlevende levetid på minst tre måneder; Evidens for vesentlig forbedring av livskvalitet (uten forlenget forventet levetid), Evidens for at en delpopulasjon kan ha særlig nytte av behandlingen, gjerne slik at metoden kan reserveres for denne gruppen; Fravær av alternative evidensbaserte behandlinger; Behandlingen kan fungere som bro til annen behandling (her nevnes benmargstransplantasjon) for deler av pasientpopulasjonen; Lisensierte metoder som kan erstatte ulisensierte metoder som er i bruk som eneste metode. I tillegg aksepteres stor usikkerhet (svakt beslutningsgrunnlag) for behandling mot sjeldne lidelser. Dette er ikke vesensforskjellig fra prioriteringskriteriene som legges til grunn i norsk rett.

I *England* fattes beslutninger/anbefalinger som nevnt ved at NICE oppretter egne «vurderingskomiteer» (Technological Appraisal Committee), som vurderer om pasienter skal få rettigheter til en metode.⁵⁷ Dette er en annen tilnærming enn den norske modellen, der spørsmålet er om sykehusene kan ta i bruk en metode. Når en metode blir en pasientrettighet skal den gjøres tilgjengelig for pasienter innen tre måneder:

The NHS is legally obliged to fund and resource medicines and treatments recommended by NICE's technology appraisals. The NHS Constitution states that patients have the right to drugs and treatments that have been recommended by NICE for use in the NHS, if their doctor believes they are clinically appropriate.⁵⁸

Komiteene baserer sine anbefalinger på basis av «review of clinical and economic evidence»; dog ikke mer spesifisert enn:

Clinical evidence shows how well the medicine or treatment works [og] Economic evidence shows how well the medicine or treatment works in relation to how much it costs the NHS – does it represent value for money?⁵⁹

NICE har en eksplisitt standard terskelverdi for kostnadseffektivitet på £ 20 000–30 000 per QALY. Terskelverdien kan settes høyere for «end of life treatments» og ved sjeldne diagnoser. Dette er heller ikke vesensforskjellig fra prioriteringskriteriene som legges til grunn i norsk rett.

4.6.4 Hvor «bindende» er anbefalingene som gis ved metodevurderingene

I Norge er avgjørelser i Beslutningsforum ment å være bindende for helsetjenesten, i alle fall i den forstand at anbefalt innføring blir bindende for helseforetakene. Implementering av beslutninger i helseforetakene skjer gjennom de respektive styringslinjene til hvert av medlemmene i Beslutningsforum. Selv om hvert medlem har beslutningsmyndighet i sine respektive helseforetak, står de ikke fritt til å beslutte å innføre (eller å ikke innføre) metoder uavhengig av hverandre.

Alle foretak er bundet av spesialisthelsetjenestelovens § 1-1 nr. 3 om å sikre likeverdige helsetjenestetilbud, og av pasient- og brukerrettighetslovens § 1-1:

Lovens formål er å bidra til å sikre befolkningen lik tilgang på tjenester av god kvalitet ved å gi pasienter og brukere rettigheter overfor helse- og omsorgstjenesten.

⁵⁷ *Technology appraisal guidance*. Hentet 5. oktober 2021 fra <https://www.nice.org.uk/About/What-we-do/Our-Programmes/NICE-guidance/NICE-technology-appraisal-guidance>

⁵⁸ Ibid.

⁵⁹ *Technology appraisal guidance*. Hentet 5. oktober 2021 fra <https://www.nice.org.uk/About/What-we-do/Our-Programmes/NICE-guidance/NICE-technology-appraisal-guidance>

Lik tilgang på tjenester av god kvalitet og retten til nødvendig helsehjelp kan i noen tilfeller innebære at beslutninger på gruppenivå må fravikes, se for eksempel punkt 3.2. Beslutningsforum har som fast praksis at beslutningene alltid skal være enstemmige.

I *Danmark* er det klart at tilrådingene fra *Medicinrådet* er anbefalinger til helsetjenesten og ikke formelt bindende for denne. Om tilrådingene etterfølges eller ikke, er et empirisk spørsmål. Men i og med at regionene står sentralt i både oppnevning av *Medicinrådets* medlemmer og selv er ansvarlig for sykehusdriften, taler dette for en mer lojal etterlevelse av anbefalinger enn der ikke-bindende anbefalinger gis av et mer eksternt organ.

I *Sverige* er det likeledes klart at tilrådingene fra *NT-rådet* er anbefalinger til helsetjenesten og ikke bindende for denne. Det er de enkelte 21 regionene som har beslutningsmyndighet. Om tilrådingene etterfølges eller ikke, blir også her et empirisk spørsmål. Men som påpekt ovenfor oppfattes tilrådingene å være fra regionene som selv er ansvarlig for sykehusvirksomheten og derfor kan de bli etterlevd i større grad enn der ikke-bindende anbefalinger gis av et eksternt organ. Aktuelt legemiddelfirma og aktuelle pasientforeninger orienteres når det foreligger avgjørelse om at et legemiddel bør tas i bruk nasjonalt. En avgjørelse om at et legemiddel ikke bør tas i bruk, innebærer ikke at legemiddelet ikke kan anvendes, men at det anvendes etter alminnelige rutiner i helsetjenesten der spesialister og regioner gjør sin egen vurdering og fatter eventuelt egen avgjørelse om anvendelse.

I *Skottland*, hvor systemet må anses som avtalebasert, vil anbefalingene fra *SMC* måtte oppfattes som ikke-bindende, men uten at dette er nedfelt. Snarere legges til grunn at et legemiddel ikke kan innføres som standard behandling i NHS Scotland hvis det ikke er anbefalt av *SMC*. I systembeskrivelsen fra *SMC* står det at styret i NHS forventes å følge *SMC* anbefaling. Det heter videre at alle NHS-regionene har prosedyrer for å kunne anvende legemidler/metoder som er avvist av *SMC*, men da unntaksvis for individuelle pasienter.

I *England* hvor en oppnevnt *Technological Appraisal Committee* også vurderer eventuelle utfordringer knyttet til implementering, herunder i) tilgjengelige ressurser (for eksempel opplæring av helsepersonell og behov for nye klinikker); ii) grad av endring i eksisterende klinisk praksis, og iii) grad av enighet mellom *NICE* og Helsedepartementet. Endelig beslutning implementeres i aktuelle retningslinjer (*NICE guidance*).⁶⁰ Det framgår her at NHS is «legally obliged to fund and resource medicines and treatments recommended by *NICE*'s technology appraisals». I dette ligger en forpliktelse til å finansiere og tilby de metoder den uavhengige komiteen anbefaler. Og videre:

The NHS Constitution states that patients have the right to drugs and treatments that have been recommended by *NICE* for use in the NHS, if their doctor believes they are clinically appropriate.⁶¹

4.6.5 Oppsummerende punkter

Av de undersøkte landene er det bare i Norge at personene som fatter beslutningene på nasjonalt nivå (eller beslutninger om anbefalinger), utelukkende kommer «innenfra» systemet. Det vil si at det i Norge ikke deltar aktører som er frikoplet fra ansvar og/eller drift av helsetjenesten. RHF-direktørene har imidlertid et mer direkte ansvar for økonomiske konsekvenser av de beslutninger som fattes av beslutningsorganet enn

⁶⁰ *Technology appraisal guidance*. Hentet 5. oktober 2021 fra <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance>

⁶¹ Ibid.

virksomhetsledere i helsetjenesten i de øvrige landene. Det er kun i Norge og England at beslutningene er rettslig bindende for helsetjenesten.

Ingen av de andre landene har noen detaljert lovhjemling av metodevurderinger. Den rettslige forankringen er svakere i noen av landene enn i Norge. Slik sett er det ingenting i denne gjennomgangen som taler for ytterligere regulering i Norge gjennom å ta i bruk forskriftshjemmelen i spesialisthelsetjenesteloven.

Det er vesentlige forskjeller mellom de fem landene ved at det kun er Norge som har et system med lovregulerte bindende beslutninger. I England utløser beslutninger rettigheter for pasienten. Det er naturlig nok ikke klageordninger når det ikke treffes bindende vedtak om at metoder ikke kan tilbys.

Landene bruker litt ulike prioriteringskriterier selv om det også er likheter.

Tabell 4-1. Bruk av ulike aspekter i metodevurderinger i Danmark, England, Norge, Skottland og Sverige.

	Norge	Sverige	Danmark	England	Skottland
Komparator	Den behandling som blir erstattet av den nye behandlingens etablerte praksis	Klinisk relevant og mest kostnads-effektivt	Dansk klinisk praksis/eksisterende standard-behandling	Established practice in the NHS	Routine use or best practice in NHS Scotland
Perspektiv	Utvidet helsetjenesteperspektiv	I praksis et begrensat samfunnsperspektiv ettersom produktap holdes utenfor	Begrenset samfunnsperspektiv. Ikke prod.-tap	Perspective of NHS and personal social services	Perspective of NHS Sc and social work (i.e. PSS in England)
Diskonteringsrente	4%	3%	3,5% (Finansmin. 2021)	3,5%	3,5%
Tidshorisont	Så lang at alle viktige framtidige konsekvenser fanges opp	Täcka den period de där huvudsakliga hälsoeffekterna och kostnaderna uppstår	Skal være så lang, at alle viktige forskelle i effekter ...	Sufficiently long ...	Sufficiently long ...
QALY	Ja	Ja	Ja	Ja	Ja
IKER	Ja	Ja	Ja	Ja	Ja
Terskelverdi	Nei	Nei	Nei	Ja	Nei

4.7 Metodevurderinger i Norge og sammenlikningslandene

Måten å utarbeide i metodevurderinger på varierer fra land til land, og metodevurdering (*Health Technology Assessments*, HTA) er ikke et entydig begrep. Et viktig fellestrekk for de fleste land er at en metodevurdering omfatter en systematisk oversikt over forskningslitteratur og en helseøkonomisk evaluering. I noen land inkluderer metodevurderinger også etiske, juridiske aspekter og organisasjonsmessige forhold.

Tabell 4-1 ovenfor beskrives utvalgte aspekter ved metodevurderingene i ulike land som omfattes av vår landstudie. Selv om metodevurderingene på overordnet nivå gjøres på samme måte i de fleste land, kan mange detaljer være ulike. Når det gjelder terskelverdi (betalingsvilje for en QALY), er det bare England som har en eksplisitt verdi, men Skottland refererer til disse verdiene, og for Sverige er det snakk om implisitte verdier innenfor visse områder.

Et sentralt element i Nye metoder er evaluering av forebygging, diagnostikk og behandling skal være forskningsbasert. Sentrale elementer er oppsummering av kunnskaper om behandlingseffekt samt tallfesting av kostnad og effekt. Alvorlighet beskrives som fremtidig tap av gode leveår for den aktuelle pasientgruppe, og budsjettkonsekvenser ved å innføre ny behandling tallfestes. Likeverdighet (etikk) kan inngå, men blir ikke systematisk evaluert.

I Nye metoder brukes helseøkonomiske analyser med et utvidet helsetjenesteperspektiv, men ikke et fullt samfunnsperspektiv. Det betyr at man beregner nytten målt i QALYs for pasienter og eventuelt pårørende, samt kostnader som faller på helsetjenesten. Konsekvenser for samfunnet fordi både sykdom og behandling påvirker evnen til å være i produktivt arbeid blir ikke hensyntatt. Videre holdes også kostnader til bruk av velferdstjenester, utenom behandling og pleie for den aktuelle lidelsen, utenfor. Bortsett fra forskjeller i diskonteringsfaktor, framstår metodikken i alle landene som ganske lik. Unntaket er at Sverige inkluderer bruk av velferdstjenester i hovedanalysen.

4.8 Internasjonalt samarbeid

4.8.1 Innledning

Det pågår flere internasjonale samarbeid om HTA. Blant disse er samarbeid mellom nasjonale myndigheter i tilknytning til både WHO og EU, og nettverk mellom aktørene (både individer og organisasjoner) som arbeider med HTA.

Det er ingen internasjonale avtaler som regulerer hvordan Norge arbeider med HTA. EU/EØS har ingen overordnet styring av helse- og sosialpolitikken i medlemslandene, og landene står fritt til å treffe beslutninger om innføring av nye metoder. Det internasjonale samarbeidet på dette feltet innebærer erfaringsutveksling og faglig utvikling. Blant annet har EU og WHO utformet veiledningsmaterieil for utforming av HTA-systemer og ulike elementer i disse systemene. I EU pågår det en prosess som kan lede til etablering av en felles kunnskapsbase for ulike metoder. Deltagelse i etablering og bruk av felles kunnskap vil være frivillig.

4.8.2 FINOSE

Siden 2018 har Statens legemiddelverk (SLV) i Norge, *Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket* (TLV) i Sverige og det finske legemiddelverket (FIMEA) hatt

en avtale om å dele på metodevurderinger av legemidler.⁶² Samarbeidet er tenkt å bidra til raskere metodevurderinger og raskere tilgang til legemidler for pasientene. Pilotperioden ble avsluttet i juni 2020, og samarbeidet forlenget i tre år.

FINOSE-samarbeidet har som mål å:⁶³

- Støtte tidlig og likeverdig tilgang til «medisinsk-teknologiske metoder» («*medical technologies*»)
- Frembringe økt kunnskap om produktene
- Øke effektiviteten i metodevurderingene
- Redusere forskjeller i metodevurderingsmetodikk og evidenskrav
- Redusere kompleksiteten i leveranser fra industrien

Innenfor FINOSE-samarbeidet fordeles arbeidet med den helseøkonomiske vurderingen av et nytt legemiddel mellom Statens legemiddelverk, *Tandvårds- og läkemedelsförmånsverket* og FIMEA.⁶⁴ Et land gjør den kliniske utredningen, et annet den helseøkonomiske vurderingen, og det siste landet er kvalitetssikrer. Dette skal bidra til raskere metodevurderinger, mer enhetlig praksis i de tre landene og mindre arbeid for firmaene som sender inn dokumentasjon.

Firmaer som søker om en felles metodevurdering (joint assessment) sender inn dokumentasjon for metodevurdering til Statens legemiddelverk, TLV og FIMEA.⁶⁵ Samtidig underskriver de en avtale som tillater at myndighetene deler informasjon mellom seg. Bortsett fra dette følges nasjonale prosedyrer, og basert på en felles vurdering vil hvert land fatte nasjonale beslutninger i tråd med sitt nasjonale regelverk. FINOSE samarbeidet tar ikke sikte på å fatte felles beslutninger.

Samarbeidet har så langt resultert i fire workshops om metodiske utfordringer og tre felles metodevurderinger: Om metodene Tecentriq, Xtandi og Zynteglo. En ny metode, Libmedly, er under vurdering.⁶⁶

Det ble gjennomført felles nordisk forhandling for Zynteglo, men Helse Sør-Øst RHF påpeker at dette ikke fulgte direkte av FINOSE-samarbeidet. Innkjøpsaktørene i hvert land håndterte forhandlingene.

I 2021 ble det publisert en rapport som evaluerte FINOSE -prosessen og identifiserte hva som fungerte bra og hva som er utfordringene.⁶⁷ I tillegg inneholdt rapporten forslag til forbedringer. Evalueringen omfattet også en spørreundersøkelse blant leverandører

⁶² *FINOSE-samarbeidet innen helseøkonomiske vurderinger fortsetter*. Statens legemiddelverk, 30. juni 2020. Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://legemiddelverket.no/nyheter/finose-samarbeidet-innen-helseokonomiske-vurderinger-fortsetter>

⁶³ *FINOSE- Process for joint assessment*. Tanvårds- och läkemedelsförmånsverket, 18. juni 2018. Hentet 5. Oktober 2021 fra: https://www.tlv.se/download/18.500ea4181641067957aeb13/1529322046472/finose_process.pdf

⁶⁴ *FINOSE-samarbeidet innen helseøkonomiske vurderinger fortsetter*. Statens legemiddelverk, 30. juni 2020. Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://legemiddelverket.no/nyheter/finose-samarbeidet-innen-helseokonomiske-vurderinger-fortsetter>

⁶⁵ *ibid.*

⁶⁶ *Møte i Bestillerforum RHF 26.10.2020. Sak 157-20*. Hentet 3. november 2021 fra https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20%28%20innkallinger%20og%20referater%29/Protokoll_M%C3%B8te%20i%20Bestillerforum%20RHF%2026.10.2020.pdf

⁶⁷ *ibid.*

som fikk sine produkter metodevurdert av FINOSE, de deltakende HTA-organisasjonene og innkjøpsorganisasjonene som forhandlet frem Zynteglo.

Aktørene vurderer samarbeidet så langt som vellykket. Basert på resultatene fra pilotperioden ønsker de nordiske samarbeidspartnerne fremover å videreutvikle samarbeidet. Det forventes at FINOSE vil etablere en felles kommunikasjonsplattform i nær fremtid. En grundigere beskrivelse av roller og tidslinjer forventes å gjøre prosessen mer sømløs. For å redusere arbeidsmengden og øke effektiviteten i HTA-samarbeidet ønsker FINOSE god dialog med de ansvarlige for forhandlinger og anbudskonkurranser i de enkelte land. For å unngå misforståelser i metodevurderingen ønsker de også god dialog med leverandørene. Statens legemiddelverk påpeker i et innspill til denne rapporten at dialogen mellom Statens legemiddelverk og Sykehusinnkjøp er lik i FINOSE-saker og nasjonale saker. Videre opplyser de at det er en pågående dialog mellom FINOSE og forhandlere om hvordan rapportene best mulig kan legge til rette for felles forhandlinger, i saker der dette er hensiktsmessig.

Videre pekes det i evalueringsrapporten på at FINOSE er et viktig skritt på veien mot en forbedret og enklere HTA-prosess. FINOSE har gitt de nordiske HTA-institusjonene og leverandørene mulighet for en bedre arbeidsfordeling mellom landene, både for leverandørene og HTA-institusjonene. Potensialet er stort for å kunne tilby pasientene nye og kostnadseffektive behandlingsmetoder raskere enn tidligere.

Leverandørene har fått mulighet til å gi innspill til evalueringsrapporten.⁶⁸ Et firma legger vekt på at FINOSE er et godt eksempel på hvordan HTA-prosessen kan gjøres mer effektiv. De peker imidlertid på noen utfordringer. For det første er den totale tidsbruken i metodevurderingen fortsatt noe uklar. Raskere metodevurderinger i FINOSE enn i de enkelte landene kan gjøre FINOSE mer attraktiv for leverandørene. For det andre er det uklart hvilken informasjon som ble delt mellom deltakerne i FINOSE-samarbeidet, og hva som ikke ble delt. Opprinnelig var det ikke tenkt at landspesifikk eller konfidensiell informasjon skulle deles i FINOSE-samarbeidet. Kommunikasjonen bør bli mer forutsigbar i fremtiden, for å bedre kunne avklare informasjonsbehovet.

4.8.3 EUnetHTA

Det europeiske nettverket for metodevurdering EUnetHTA ble etablert i 2005, og har vært et tidsavgrenset samarbeidsprosjekt i Europa, delvis finansiert av EU-kommisjonen som en Joint Action. EUnetHTA-samarbeidet ble avsluttet i mai 2021.

Formålet med EUnetHTA har vært å skape en effektiv og bærekraftig struktur for metodevurdering i hele Europa gjennom samarbeid mellom europeiske HTA-organisasjoner.⁶⁹ EUnetHTA hadde som mål å:

- Støtte effektiv produksjon og bruk av metodevurdering i Europa
- Skape en uavhengig og forskningsbasert plattform for HTA-institusjoner i Europa for utveksling og utvikling av informasjon og metoder for metodevurdering
- Gi tilgang til en kommunikasjonsplattform for interessentene, for å fremme transparens, objektivitet, uavhengig fagekspertise, rettferdige prosedyrer og gode konsultasjoner med interessentene

⁶⁸ *FINOSE-samarbeidet innen helseøkonomiske vurderinger fortsetter*. Statens legemiddelverk, 30. juni 2020. Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://legemiddelverket.no/nyheter/finose-samarbeidet-innen-helseokonomiske-vurderinger-fortsetter>

⁶⁹ *Vision, Mission and Values*. Hentet 6. oktober 2021 fra: <https://eunetha.eu/about-eunetha/mission-vision-and-values/>

- Utvikle en bredere HTA-database ved å benytte den best tilgjengelige forskningskompetansen

EUnetHTA bestod av i alt 68 organisasjoner fra 26 EU-land, i tillegg til Norge, Sveits, Ukraina og Storbritannia. Det ble avholdt et årlig forum med deltakere fra en rekke interessenter, representanter fra pasient- og brukerorganisasjoner og industrien.

Hvis det ble gjort en beregning av relativ effekt av en metode på EU-nivå innenfor EUnetHTA, kunne Fimea, NoMA og TLV bruke det som grunnlag for en felles helseøkonomisk analyse innenfor rammen av FINOSE-samarbeidet.⁷⁰

I Norge har Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk vært sentrale aktører i samarbeidet med EUnetHTA, blant annet i Joint Action 3 (JA3) – det siste samarbeidsprosjektet i EUnetHTA.⁷¹ Målet med JA3 var å øke bruken, kvaliteten og effektiviteten av et felles metodevurderingsarbeid i Europa. Arbeidet var delt opp i syv arbeidspakker, hvor Norge var en aktiv bidragsyter i flere. Folkehelseinstituttet ledet, og Statens legemiddelverk deltok, i Arbeidspakke 4 om produksjon av metodevurderinger. Folkehelseinstituttet opplyser at de også har vært medlem i Arbeidspakke 1 om nettverkskoordinering og Arbeidspakke 6, som utviklet kvalitetsstyringssystemet for EUnetHTA, inkludert prosedyrer, maler og metodeveiledninger. Helsedirektoratet og Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet har også deltatt i ulike arbeidspakker.

I 2019 ba Bestillerforum RHF Sekretariatet for Bestillerforum og Folkehelseinstituttet om å jobbe videre med en prosedyre for koordinering mellom Nye metoder og EUnetHTA i produksjon og bruk av metodevurderinger.⁷² Saken ble fulgt opp i et møte i Bestillerforum RHF i februar 2020. I sakspapirene for møtet ligger et notat fra Folkehelseinstituttet.⁷³ Der kan man lese at:

Bruk av metodevurderinger fra EUnetHTA i Nye metoder og bestillinger av metodevurderinger som kan løses av EUnetHTA vil bidra til å øke kapasiteten for å få løst flere oppdrag fra Bestillerforum RHF.

Folkehelseinstituttet foreslo i notatet ni ferdigstilte EUnetHTA-metodevurderinger som aktuelle å benytte i oppdrag i Nye metoder.

Folkehelseinstituttet har hatt muligheten til å foreslå tema til EUnetHTA. I Bestillerforums årsoppsummering for 2019 heter det videre at ved behov for en nasjonal metodevurdering i tillegg, det vil si med en helseøkonomisk evaluering eller mer, må det planlegges i god tid, slik at det blir gjort parallelt med at EUnetHTA-metodevurderingen utarbeides.⁷⁴

⁷⁰ FINOSE, ett nordiskt samarbete. Hentet 6. oktober 2021 fra: <https://www.tlv.se/lakemedel/nordiskt-samarbete---finose.html>

⁷¹ JA3 (2016-2021). Hentet 6. oktober 2021 fra: <https://eunetha.eu/ja3-archive/>

⁷² Møte i Bestillerforum RHF 29. april 2019. Sak 74-19. Hentet 4. november 2021 fra <https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20%28%20innkallinger%20og%20referater%29/Protokoll%20Bestillerforum%20RHF%2029.%20april%202019.%20Oppdatert%20versjon%2026.08.2019.pdf>

⁷³ Innkalling til møte i Bestillerforum RHF – nettversjon. Saksnummer: 045-20. Notat til Bestillerforum RHF. Hentet 6. oktober 2021 fra: [https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20\(%20innkallinger%20og%20referater\)/Sakspapirer%20Bestillerforum%20RHF%2024.02.2020.%20offentlige.pdf](https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20(%20innkallinger%20og%20referater)/Sakspapirer%20Bestillerforum%20RHF%2024.02.2020.%20offentlige.pdf)

⁷⁴ Bestillerforum RHF – Årsoppsummering 2019. Hentet 4. november 2021 fra <https://nyemetoder.no/Documents/%C3%85rsrapporter/Bestillerforum%20RHF%20-%20%C3%85rsoppsummering%202019.pdf>

Folkehelseinstituttet leverte i 2019 den første metodevurderingen utarbeidet i EUnetHTA-samarbeidet etter oppdrag fra Bestillerforum. Det gjaldt regional varmebehandling (hypertermi) ved høyrisiko bløtvevssarkom.⁷⁵

Statens legemiddelverk bruker ifølge sine nettsider metodevurderingene fra EUnetHTA som grunnlag for sine helseøkonomiske vurderinger, gitt at EUnetHTA rapporten er tilgjengelig på evalueringstidspunktet.⁷⁶ Statens legemiddelverk påpeker i et innspill til denne rapporten at de felles europeiske utredningene, som gjennomføres av EUnetHTA-samarbeidet, er avgrenset til relativ effekt uten en kost-nytte-analyse. Siden oppstart av Nye metoder er totalt 16 legemidler blitt vurdert eller er til pågående vurdering av EUnetHTA.⁷⁷

Landene må lage egne helseøkonomiske analyser tilpasset egne styrings- og finansieringssystemer. Fordi mange land er involvert i EUnetHTA, kan det være vanskelig å skape konsensus om slike vurderinger. Det har vært hevdet at dette kan medføre at samarbeidet i praksis ikke gir raskere tilgang til nye metoder.⁷⁸

EUnetHTA-samarbeidet vil etterhvert bli erstattet av et lovregulert og permanent samarbeid om HTA i Europa. Lovforslaget forventes godkjent i desember 2021 og implementert i 2024. Ifølge Statens legemiddelverk vil dette lovverket legge til rette for utarbeidelse av felles europeiske vurderinger av kliniske data for relativ effekt og sikkerhet. Statens legemiddelverk opplyser også at det forventes økt standardisering av krav til dokumentasjon, metoder for vurdering av datagrunnlaget, og rapportering av resultater.

Statens legemiddelverk opplyser også at denne lovgivningen vil være relevant for EØS-samarbeidet. På oppdrag fra EU-kommisjonen skal et konsortium, bestående av en av undergruppe av EUnetHTA-deltakere, gjøre en mindre mengde felles HTA-arbeid i påvente av at den nye lovgivningen blir implementert. Arbeidet som skal gjøres er begrenset, og vil ifølge Statens legemiddelverk få svært liten betydning for Nye metoder.

4.8.4 Øvrig internasjonalt samarbeid

WHO

WHO vedtok i mai 2014 resolusjonen WHA67.23 – Health Intervention and Technology Assessment in Support of Universal Health Coverage – som belyser metodevurderinger i et globalt perspektiv.⁷⁹

⁷⁵ Sammendrag av EUnetHTA-rapport. Regional varmebehandling (hypertermi) ved høy-risiko bløtvevssarkom (STS). Hentet 8. oktober 2021 fra <https://www.fhi.no/globalassets/dokumenterfiler/notater/2020/hypertermi-eunetha-sammendrag-2020-v2.pdf>

⁷⁶ Nordisk samarbeid om helseøkonomiske vurderinger. Hentet 8. oktober 2021 fra <https://legemiddelverket.no/offentlig-finansiering/dokumentasjon-for-metodevurdering/nordisk-samarbeid-om-helseokonomiske-vurderinger>.

⁷⁷ Hentet 7. november 2021 fra <https://eunetha.foleon.com/eunetha-summer-2021/eunetha-magazine-summer-2021/ja3-at-a-glance/>.

⁷⁸ Bør Norge overlate til EU hvilke legemidler som skal få offentlig finansiering? Dagens Medisin, 9. mars 2018. Hentet 26. september 2021 fra <https://www.dagensmedisin.no/blogger/ivar-sonbo-kristiansen/2018/03/09/bor-norge-overlate-til-eu-beslutninger-om-hvilke-legemidler-som-skal-fa-offentlig-finansiering/>.

⁷⁹ Health intervention and technology assessment in support of universal health coverage (sixty-seventh world health assembly). World Health Organization, 24. mai 2014. Hentet 6. oktober 2021 fra: https://apps.who.int/gb/ebwha/pdf_files/WHA67/A67_R23-en.pdf?ua=1

WHO bidrar med kunnskap, veiledning og teknisk støtte om HTA til sine medlemsland.⁸⁰ WHO koordinerer og legger til rette for samarbeid mellom etablerte organisasjoner, nettverk og medlemslandene. WHO står bak flere program og aktiviteter knyttet til legemidler,⁸¹ medisinsk utstyr⁸² og helseøkonomi.⁸³ WHO utvikler også egne internasjonale, kunnskapsbaserte retningslinjer.

WHO Europa støtter medlemslandene i regionen i utviklingen av systemer og retningslinjer for innføring av legemidler og medisinske produkter.⁸⁴ WHO Europa har fokus på ansvarlig bruk av legemidler, og bidrar til at medlemslandene får tilgang til legemidler av god kvalitet til en akseptabel pris.

Health Technology Assessment Network (HTAN)

EU-kommisjonen har etablert et nettverk for metodevurderinger.⁸⁵ HTAN omfatter alle EUs medlemsland, samt Norge og Island. Som observatører deltar representanter fra industrien og leverandørene, beslutningstakere og brukere. Joint Action EUnetHTA (se ovenfor) bidrar med kunnskap og teknisk støtte til nettverket.

Målet med HTAN er å øke bruken, kvaliteten og effektiviteten av metodevurderingene i Europa, og fremme HTA i beslutningsprosessen i samsvar med medlemslandenes rettslige rammeverk.

Ifølge Statens legemiddelverk blir HTAN avviklet, og erstattet av andre og nye strukturer som følge av det nye EU-lovverket for HTA. EU-kommisjonen har for eksempel foreslått å opprette en koordineringsgruppe (Member State Coordination Group), bestående av representanter fra medlemslandenes helsemyndigheter og finansiert over EU-budsjettet.⁸⁶ Statens legemiddelverk opplyser at EU-kommisjonen vil be medlemslandene nominere medlemmer til denne koordineringsgruppen innen utgangen av 2021. Gruppens første møte er planlagt til juni 2022.

Heads of Agencies group (HAG)

I september 2021 ble et nytt strategisk HTA-nettverk opprettet. Dette nettverket består av ledere for 19 europeiske HTA-institusjoner, og skal fremme samarbeid og ressursdeling på HTA-området.⁸⁷ Ifølge Statens legemiddelverk deltar både Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk i dette nettverket.

⁸⁰ *Health technologies and medicines*. Hentet 6. oktober 2021 fra <https://www.euro.who.int/en/health-topics/Health-systems/health-technologies-and-medicines>

⁸¹ *Access to medicines and health products*. Hentet 6. oktober 2021 fra <https://www.who.int/our-work/access-to-medicines-and-health-products>

⁸² *Medical devices*. Hentet 5. oktober 2021 fra https://www.who.int/health-topics/medical-devices#tab=tab_1

⁸³ *Health financing*. Hentet 5. oktober 2021 fra https://www.who.int/health-topics/health-financing#tab=tab_1

⁸⁴ *Health technologies and medicines*. Hentet 6. oktober 2021 fra <https://www.euro.who.int/en/health-topics/Health-systems/health-technologies-and-medicines>

⁸⁵ *Health Technology Assessment Network*. Hentet 6. oktober 2021 fra https://ec.europa.eu/health/technology_assessment/policy/network_en

⁸⁶ *EU-landene er enige om regler for felles vurderinger av nye legemidler*. EU/EØS-nytt 15. april 2021. Hentet 3. november 2021 fra <https://www.stortinget.no/no/Hva-skjer-pa-Stortinget/EU-EOS-informasjon/EU-EOS-nytt/2021/eueos-nytt---15.-april-2021/eu-landene-enige-om-regler-for-felles-vurdering-av-nye-legemidler/>

⁸⁷ *European HTA agencies launch the Heads of Agencies Group (HAG)*. Hentet 3. november 2021 fra <https://www.fhi.no/en/news/2021/European-HTA-agencies-launch-the-Heads-of-Agencies-Group/>

International Horizon Scanning Initiative (IHSI)

IHSI er et internasjonalt samarbeid om metodevarsling, opprettet i 2019 etter initiativ fra BeNeLux-landene. Fra Norge deltar Statens legemiddelverk (fullverdig medlem), Folkehelseinstituttet og Sykehusinnkjøp.

Målet med samarbeidet er å samle inn og analysere data globalt, slik at de enkelte lands myndigheter er best mulig forberedt på nye og potensielt kostbare medisiner som kommer.⁸⁸ Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk opplyser at en database er under etablering, som etter hvert vil gjøres tilgjengelig for medlemmene i samarbeidet. Databasen vil i første omgang omfatte legemidler, men det er nedsatt en arbeidsgruppe innenfor IHSI-samarbeidet som vil se på mulighetene for en lignende løsning for medisinsk utstyr. Ifølge Statens legemiddelverk er det planlagt jevnlig rapportering, men det er ikke tenkt at dette skal erstatte den nasjonale metodevarslingen. Det er forventet at de første dataene fra IHSI vil bli tilgjengelige i 2022.

Nordisk legemiddelforum

Nordisk legemiddelforum er et uformelt nordisk samarbeid, dannet i 2015.⁸⁹ Norge, Sverige, Danmark, Island deltar. Fem arbeidsgrupper er etablert siden oppstarten: Horizon scanning, leveringssikkerhet/legemiddelmangel, nye dyre legemidler, legemiddelfremstilling (produksjon) og miljø. Norge og Danmark har signert en intensjonsavtale om felles forhandlinger om pris på utvalgte nye og dyre legemidler.

Beneluxa-samarbeidet

I 2021 ble det innledet et samarbeid mellom Nordisk legemiddelforum og Beneluxa-initiativet med formål om at landene skal støtte hverandre i introduksjon av nye legemidler. Beneluxa-initiativet utgjøres av Belgia, Nederland, Luxembourg, Østerrike og Irland. Samarbeidet handler om å utvikle og utveksle kompetanse og kunnskap om metodevurdering, prising og anskaffelse av medisiner.⁹⁰

⁸⁸ *Internasjonalt samarbeid om metodevarsling*. Hentet 3. november 2021 fra <https://legemiddelverket.no/nyheter/internasjonalt-samarbeid-om-metodevarsling>

⁸⁹ *Internasjonalt samarbeid*. Hentet 6. oktober 2021 fra: <https://nyemetoder.no/om-systemet/internasjonalt-samarbeid>

⁹⁰ *Europeiskt samarbete om nya läkemedel*. Hentet 6. oktober 2021 fra: <https://www.xn--ntrdet-kua.se/nationellinforandeavlakemedel/nyheter/nyheter/europeisksamarbeteomnyalakemedel.5.5a28d653179add8888b7a783.html>

5 Eksempelsaker (case-studier)

5.1 Formål og utvelgelse av saker

Som nevnt i punkt 1.4, har vi valgt ut ti eksempelsaker – eller case-studier – for å belyse evalueringstemaene i prosjektet, og da primært saksbehandling (evalueringstema 2), samhandling (evalueringstema 3), likebehandling (evalueringstema 8), implementering (evalueringstema 10) og unntaksordningen (evalueringstema 11). Hensikten er å opparbeide en dypere forståelse av hvordan de ulike elementene av systemet for Nye metoder fungerer. I tilknytning til sakene har vi studert sentrale dokumenter og intervjuet en del av de involverte aktørene for å forstå saken forløp, det vil si tidslinje og utfall på ulike beslutningspunkter.

Eksempelsakene er studert og blir anvendt i henhold til case-studie-metodikk. Hensikten er ikke å kunne trekke empiriske generaliseringer fra utvalget til populasjonen, slik man kan gjøre med et statistisk representativt utvalg og tilhørende metoder. I stedet trekkes såkalte *analytiske* eller *teoretiske* generaliseringer, hvor det for hver påstand må vurderes om observasjonene fra eksempelsaken (*case-et*) er gyldige for den delen av populasjonen som man søker å belyse (Bryman, 2008; Yin, 1994).

Eksempelsakene er med andre ord ikke ment å være representative i statistisk forstand. Derimot er de valgt ut med tanke på dels å reflektere mangfoldet i Nye metoders saksportefølje, og dels å kunne undersøke og forstå hvorfor systemet fungerer godt i en del saker og mindre godt i andre.

Sakene er valgt ut av oss etter forslag fra medlemmer av referansegruppa. Alle medlemmene ble invitert til å sende inn forslag til saker. Vi hadde angitt ulike aspekter ved Nye metoder som vi ønsket å få illustrert ved hjelp av sakene. Derfor ba vi oss om at forslagene ble begrunnet ut fra at de kunne bidra til å belyse disse egenskapene ved systemet. I tillegg la vi vekt på å sikre oss at følgende type saker ble representert:

- Alle typer metoder (legemidler, utstyr og prosedyrer)
- Både hurtige og fullstendige vurderinger og en utfasingssak
- Saker med persontilpasset medisin og med sjeldne lidelser

Utvalget har en overvekt av saker som har tatt lang tid og/eller med metoder som ikke er blitt innført. Begrunnelsen er primært at vi antar at det er mer å lære av saker som det er uenighet om og saker som på en eller annen måte setter systemet under press, og der noen av aktørene er kritiske til systemets funksjonsmåte. Det er mange saker som går raskt gjennom systemet og som avsluttes med at metoden innføres, men det kan være vanskeligere å avdekke systemets svakheter og forbedringspunkter ved å studere slike saker.

Tabell 5-1 viser hvilke saker vi har studert. Kolonnen til høyre angir evalueringsspørsmål nevnt i begrunnelsen fra medlemmer av referansegruppen. I en del tilfeller har vi funnet at saken også er egnet til å illustrere andre spørsmål enn de som er nevnt i forslaget.

I omtalen av legemidler, har vi i hovedsak brukt produktnavnet og ikke det generiske virkestoffet i legemiddelet. Begrunnelsen er dels at det er produktnavnene som er mest kjent fra medieomtale og andre sammenhenger, og dels hensynet til lesbarhet – virkestoffnavnet for Zynteglo er *betibeglogene autotmcel* for eksempel.

Tabell 5-1: Eksempelsakene. Karakteristika, utfall og evalueringstema nevnt i begrunnelse for valg av sakene

Metode: Saksnummer og navn	Type sak	Utfall	Evalueringstema
MS-feltet ID2019_018	Fullstendig metodevurdering	Utfasing av enkelte metoder	2, 4, 6, 9, 10
Ocrevus mot PPMS ID2016_100	Hurtig metodevurdering	Avvist.	2, 4, 6, 9, 10
ID2020_031 Nusinersen (Spinraza) - Behandling av spinal muskelatrofi (SMA) hos voksne pasienter	Hurtig metodevurdering, legemiddel Sjelden lidelse	Metodevurdering under utarbeidelse	2, 6, 9
ID2017_001 Nusinersen (spinraza) Behandling av spinal muskelatrofi hos barn	Hurtig metodevurdering, legemiddel Sjelden lidelse	Innført, med vilkår	2, 6, 9
Zynteglo ID2019_046 - Genterapi til behandling av betatalassemi	Hurtig metodevurdering, legemiddel Persontilpasset	Ikke innført	1, 9 (også nordisk samarbeid)
ID2016_044 System for egenmåling av blodsukker (FreeStyle Libre)	Hurtig metodevurdering, utstyr	Innført	1, 2, 6, 9
ID2016_076 samt ID2019_089 Aortaklaffer, TAVI/TAVR	Hurtige metodevurderinger, utstyr	Innført	1 (også internasjonalt samarbeid)
ID2020_021 Akromionreseksjon	Hurtig metodevurdering, prosedyre, revurdering/utfasing	Utfaset, med vilkår	4, 6, 8
ID2017_049 Lenalidomid (Revlimid) - Indikasjon II	Hurtig metodevurdering, legemiddel	Ikke innført	1, 2, 8, 9, 12
ID2018_092 Lorlatinib (Lorviqua)	Hurtig metodevurdering, legemiddel	Innført	1, 2, 6, 8, 9
ID2016_057 Luxturna	Hurtig metodevurdering Legemiddel Persontilpasset	Innført med vilkår	1, 6, 9

På de følgende sidene gir vi en kort introduksjon til hver sak. Vi refererer til sakene fortløpende gjennom rapporten, og gir da supplerende opplysninger om de ulike sakene ut fra hva som er relevant for sammenhengen.

Av hensyn til lesbarhet bruker vi i hovedsak produktnavn og ikke virkestoffnavn som betegnelser på legemidlene.

5.2 Akromionreseksjon

Impingementsyndrom betegner en tilstand med smerter i skulder, spesielt når armen heves over hodet, og som gjerne medfører søvnproblemer. Skuldersmerter kan være langvarige, men kan forsvinne uten behandling. Dersom aktiv behandling velges, er kirurgi, ulike typer legemidler (paracetamol, NSAIDs, steroidinjeksjon) eller fysioterapi alternativer, eventuelt i kombinasjon.

Kirurgisk behandling av impingementsyndrom innebærer å skrape vekk noen millimeter beinvev på undersiden av skulderhøyden (akromion), samt å fjerne eventuelt irritert eller betent slimpose for å gi bedre plass til senene.

Akromionreseksjon er en omdiskutert metode, og noen mener den representerer overbehandling. Det har vært betydelig regional variasjon av bruken av metoden.

Bestillerforum bestilte en forenklet metodevurdering fra Folkehelseinstituttet 25.mai 2020, som ble levert 18. februar 2021. Den konkluderte at kirurgisk behandling innebærer merkostnader uten sikre fordeler sammenliknet med konservativ behandling. Beslutningsforum konkluderte 26. april 2021 med at akromionreseksjon skal som hovedregel ikke tilbys.

5.3 FreeStyle Libre

Diabetes Mellitus (DM) type 1 er en hyppig forekommende metabolsk sykdom som skyldes manglende insulinproduksjon eller insulinrespons. DM type 2 har i tillegg såkalte metabolske komponenter med høyt kolesterol, høyt blodtrykk og hjerte- og karsykdom. Det antas at vi i Norge har ca. 23 100 personer med type 1, mellom 235 400 og 258 900 personer med type 2 og i tillegg mellom 57 200 og 63 000 med uoppdaget diabetes type 2 (Stene m.fl., 2020). Type 1 DM rammer i stor grad barn, med 300 nye tilfeller i året⁹¹.

God kontroll av blodsukkernivået er viktig for å redusere risikoen for senkomplikasjoner. Dette oppnås med insulin og måling av langtidsblodsukker (HbA1c) og «øyeblikksblodsukker» (hva blodsukkeret er akkurat på måletidspunktet). Dette gjøres tradisjonelt ved at pasienten stikker seg i en fingertupp og måler blodsukkernivået med et håndholdt måleapparat. Pasienten gjør slike målinger fra 2-3 til 10-20 per dag.

FreeStyle Libre er en blodsuktermåler⁹² som er festet på kroppen og med en nål ned i underhuden. Den opprinnelige FreeStyle Libre metodevurderingen omhandler, er en såkalt FGM (hvor F står for «Flash») som innebærer at brukeren må trykke på apparatet når blodsukkeret skal måles.

⁹¹ *Public Health Report: Diabetes in Norway*. Norwegian Institute of Public Health, 8. August 2017 (sist oppdatert). Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://www.fhi.no/en/op/hin/health-disease/diabetes-in-norway---public-health-/?term=&h=1>

⁹² Rent teknisk måler ikke FreeStyle Libre blodsukker, men glukosekonsentrasjon i subkutant vev, som - med noe forsinkelse – gir et godt bilde på glukosenivået

Senere er det kommet en ny teknologi – CGM – (hvor C står for «continuous») som måler blodsukkeret kontinuerlig og utløser en alarm dersom pasienten får lavt blodsukker. Senere versjoner av FreeStyle Libre (angitt ved nummer) er eksempler på CGM.

Fordelen med alle FreeStyle Libre og andre utgaver av FGM og CGM er at pasientene i prinsippet ikke behøver å måle blodsukker med fingerstikk. I praksis tar en del pasienter likevel et lite antall fingerstikk for å kontrollere at teknologien måler korrekt. Målgruppen for FreeStyle Libre er primært personer med type 1 DM, men er også aktuell for pasienter med type 2 DM når de behandles med insulin.

Ansvar for behandling av diabetes er delt mellom primær- og spesialisthelsetjenesten. Hovedregelen er:⁹³

- Spesialisthelsetjenesten: Alle med diabetes 1 og alle barn (<18 år)
- Primærhelsetjenesten: Voksne (18 år og eldre) med diabetes 2

Avklaring av finansieringsansvaret var en viktig årsak til at denne saken tok lang tid.

FreeStyle Libre ble CE-merket i 2014. Folkehelseinstituttet sendte forslag til Bestillerforum om metodevurdering i mai 2016. Instituttet begynte arbeidet med en hurtig metodevurdering i desember 2016, og metoden ble besluttet innført i mai 2018.

5.4 TAVI/TAVR

Aortastenose (aortaforsnevring) er vanligvis forårsaket av en fortykning av veggene i hjerteklaffene. Tilstanden forverres gradvis, gir betydelige symptomer og er i alvorlige tilfeller livstruende. Tilstanden er mest vanlig hos eldre. Om lag 2 av 100 personer over 75 år utvikler aortastenose.

Aortastenose kan behandles ved åpen hjertekirurgi, kateterbasert implantasjon av aortaklaffer (TAVI)/kateterbasert erstatning av aortaklaffer (TAVR). Begge sakene gjelder avgrensning av bruk av metoden. TAVI/TAVR er lenge brukt på pasienter med høy operativ risiko. De to sakene gjaldt utvidelse først til pasienter med intermedier risiko og deretter også til de med lav operativ risiko.

Et viktig aspekt ved valg av metode er risikoen knyttet til kirurgisk inngrep. Dette varierer mellom ulike pasienter.

Den første saken gjaldt utvidelse av bruk av TAVI/TAVR fra alvorlig aortastenose med *svært høy* risiko for alvorlige komplikasjoner ved åpen hjerteklaffkirurgi til også å omfatte pasienter med *intermediær* operativ risiko. Den neste saken gjaldt en utvidelse og til de pasienter med lav risiko for alvorlige komplikasjoner ved åpen hjerteklaffkirurgi.

Det ble ikke tatt noen beslutning om innføring i den første saken. Den substansielle beslutningen ble utsatt i påvente av metodevurdering på tvers av risikogrupper. Begrensningen knyttet til operativ risiko ble da fjernet.

Bestillerforum bestilte først en hurtig metodevurdering fra Folkehelseinstituttet 14. november 2016. Rapporten ble ferdigstilt i juni 2019, men i mellom tiden (24. april 2017) hadde Bestillerforum bedt om en fullstendig metodevurdering. Denne rapporten ble levert 29. desember 2020, og 24. april 2021 ble metoden besluttet innført med visse vilkår.

⁹³ Jf. Helsedirektoratets nasjonale retningslinjer. Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://www.helsedirektoratet.no/retningslinjer/diabetes/oppfolging-utredning-og-organisering-av-diabetesomsorgen#behandlingsansvar-og-samhandling-ved-diabetes>

5.5 Ocrelizumab (Ocrevus) og MS-feltet

Dette er to saker:

- Ocrevus til bruk mot PPMS (en form for MS)
- fullstendige metodevurdering av metoder for MS

Ocrevus er et legemiddel mot MS. Dette har vært vurdert i hurtige metodevurderinger, men inngikk også i metodene som ble vurdert i den fullstendige metodevurderingen. Det har også vært vurderinger av både Ocrevus og andre metoder mot en annen form for MS, RRMS, men disse vurderingene inngår ikke i våre eksempelsaker.

Norge har en høy forekomst av multippel sklerose (MS). Cirka 11 000 personer lever per i dag med påvist MS i Norge, og hvert år får 300-400 nye personer MS-diagnosen.⁹⁴ Pirmær-progressiv MS (PPMS) omfatter om lag 10-20 % av MS-populasjonen, noe som tilsvarer at mellom 1100 og 2200 personer har PPMS i Norge, og videre at om lag 30-80 nye PPMS-pasienter tilkommer årlig. Det er anslått at om lag 900-1000 pasienter totalt vil kunne være aktuelle for behandling med Ocrevus, når det tas hensyn til den godkjente indikasjonen.

Det har fram til nå ikke vært noen godkjent medikamentell behandling tilgjengelig for pasienter med PPMS. I henhold til nasjonale retningslinjer bør pasienter med PPMS hvor det er klinisk eller MR-holdepunkt (kontrastladende lesjoner eller nye T2-lesjoner) for inflammatorisk sykdomsaktivitet vurderes for sykdomsmodulerende legemiddelbehandling (disease modifying treatment - DMT). Rituksimab har vært brukt off-label til dette formålet ved enkelte behandlingssteder i Norge, men det er ikke etablert en felles praksis på dette området. Dagens standardbehandling er symptomlindrende støttebehandling (best supportive care; BSC), i form av livsstilsendringer, fysioterapi og diverse legemiddelbehandling.

Før det ble tatt beslutning på grunnlag av den hurtige metodevurderingen av Ocrevus, ble det vedtatt en fullstendig metodevurdering av MS-feltet og, noe senere, unntak på gruppenivå for bruk av rituksimab utenfor indikasjon.

Da Beslutningsforum behandlet den hurtige metodevurdering av Ocrevus mot PPMS i oktober 2018, ble metoden avvist. Ocrevus er innført i alle de fire sammenlikningslandene. Ingen av de andre landene har innført rituksimab mot MS.

Den fullstendige metodevurderingen startet som en vurdering av alle former for MS, men arbeidet ble det senere delt i to vurdering av to ulike indikasjoner - henholdsvis PPMS og RRMS. Dette ledet til flere beslutninger om videreføring i bruk av en del metoder og rask eller gradvis utfasing av andre. Ocrevus ble ikke innført da de fullstendige vurderinger ble behandlet. Metoden har vært vurdert og blitt avvist også i mai og september 2021.

5.6 Nusinersen (Spinraza)

Spinraza er behandlet to ganger, først begrenset til barn, og senere for voksne. Framstillingen dekker begge sakene

Dette er en metode mot spinal muskelatrofi, SMA. SMA er sjelden og svært alvorlig muskelsykdom som rammer barn. Spinraza var den eneste sykdomsmodifiserende behandling mot SMA. Saken reiste en rekke utfordringer, herunder at kunnskapsgrunnlaget for vurderingen var svakt (primært fordi utprøvingen hadde startet relativt

⁹⁴ Dette og det neste avsnittet er kopiert fra Statens legemiddelverks rapport om hurtig metodevurdering av Ocrevus. Informasjonen kan være utdatert.

nylig og oppfølgingstiden dermed også var kort), metoden var ikke utprøvd på pasienter i alle aldre og legemiddelet er meget kostbart.

SMA type 1 er svært alvorlig, oftest med dødelig utgang før 2 års alder.⁹⁵ Med kunstig ventilasjon kan pasientene leve lenger, men da med minimal motorisk funksjon. SMA type 2 viser de første måneder en normal utvikling, men lærer aldri å gå. De er hypotone og utvikler oftest skoliose. De får progredierende svekkelse av pustemuskulatur. De har normale intellektuelle ressurser. SMA type 3 lærer å gå, men mister ikke sjelden gangfunksjonen senere og har en klar muskelsvakhet. Type 4 er en ytterligere mildere variant.

SMA er mest kjent som en barnenevrologisk sykdom, men mange av pasientene (bortsett fra type 1) blir voksne, og ved type 4 kan symptomdebut være først i voksen alder.

Det var ingen annen sykdomsmodifiserende behandling mot SMA (jf forslaget til Bestillerforum). Det ble gitt støttende behandling. Dette er ikke et alternativ, men et supplement til Spinraza.

Bestillerforum bestilte hurtig metodevurdering fra Statens legemiddelverk 27. februar 2017, som forelå 9. oktober 2017. Innføring av Spinraza for barn, ble avvist to ganger av Beslutningsforum, 12. november 2017 og 8. desember 2017. Den ble besluttet innført, med vilkår, ved tredje behandling 12. februar 2018. Saken om bruk av Spinraza for voksne er ikke ferdigbehandlet i Nye metoder.

5.7 Betibeglogene autotmcel (Zynteglo)

β -talassemi er en sjelden, genetisk blodsykdom som fører til varierende grad av anemi. I transfusjonsavhengig (TDT) β -talassemi er β -globinproduksjonen så redusert at pasienter trenger transfusjoner av vanlige røde blodlegemer (RBC) for å overleve, for å fremme normal vekst, normal fysisk aktivitet og for å unngå komplikasjoner såsom forstørret milt. Pasienter med β^0 / β^0 genotype produserer ingen β -globin og er vanligvis til stede med alvorlig sykdomssymptomatologi allerede i tidlig barndom. Pasienter med ikke- β^0 / β^0 genotype produserer noe β -globin og til stede med varierende grad av sykdoms alvorlighetsgrad.

Nåværende standardbehandling inkluderer livslang blodtransfusjon. Transfusjonsbehandling er forbundet med risiko for transfusjonsreaksjoner, transfusjonsoverførte infeksjoner og jernoppbygning. Jernoverskudd må fjernes med jernchelerende behandling da jernet kan føre til organskade. I noen tilfeller behandles sykdommen med beinmargstransplantasjon, men dette er kun mulig med en kompatibel donor. Nåværende standardbehandling med blodtransfusjon og jernchelerende behandling fører til komplikasjoner, inkludert levercirrhose, og endokrine komplikasjoner som diabetes, sterilitet og hjertesvikt.

Zynteglo er indisert til pasienter over 12 år med transfusjonsavhengig β -talassemi (TDT) som ikke har β^0 / β^0 genotype og kan behandles med hemapoetisk stamcelletransplantasjon, men hvor det ikke er en HLA-matchet donor tilgjengelig.

Zynteglo er den første genterapien for behandling av β -talassemi. Pasientens stamceller modifiseres med et virus som frakter med seg normale kopier av genet for betaglobin til cellene. Stamcellene transplanteres tilbake til pasienten og det forventes at de utvikler seg til friske røde blodlegemer som produserer funksjonelt betaglobin, hvilket eliminerer eller reduserer avhengighet av kroniske blodtransfusjoner. Zynteglo administreres

⁹⁵ Teksten i avsnittet er direkte sitat fra forslaget til Bestillerforum

intravenøst som en enkelt dose. Metoden er tilkjent orphan drug designation (legemiddel for en sjelden sykdom) av EMA.

Zynteglo var gjenstand for en felles nordisk metodevurdering i FINOSE etter beslutning i Bestillerforum 29. april 2019. FINOSE-rapporten var ferdig 11. mai 2020, og den hurtige metodevurderingen fra Statens legemiddelverk ble levert 27. mai 2020. Beslutningsforum avviste å innføre metoden i møte 23. november 2020.

5.8 Lenalidomid (Revlimid)

Revlimid brukes for flere indikasjoner. Saken gjelder Revlimid som monoterapi til vedlikeholdsbehandling av voksne pasienter under 70 år med nydiagnostisert myelomatose og som har gjennomgått autolog stamcelletransplantasjon (ASCT).

I den helseøkonomiske analysen er Revlimid sammenliknet med ingen behandling i en kostnad-per-QALY-analyse. Vurderingen tar utgangspunkt i dokumentasjon innsendt av Celgene.

Det diagnostiseres årlig rett over 400 nye tilfeller av myelomatose i Norge. Omtrent 150 av disse mottar autolog stamcelletransplantasjon. Ifølge klinikere vil omkring 90% av disse være aktuelle for vedlikeholdsbehandling med Revlimid. Det totale pasientgrunnlaget anslås dermed til å være omtrent 135 nye pasienter per år. Stamcelletransplantasjon er aktuelt bare for pasienter yngre enn 70 år på diagnosetidspunktet.

Myelomatose (benmargskreft, multippelt myelom) (MM) er en blodkreftformsom skyldes ukontrollert vekst av plasmaceller i benmargen. 2016 ble det diagnostisert 429 nye tilfeller av myelomatose i Norge, 246 menn og 183 kvinner. Risikoen for å bli rammet av myelomatose øker med alderen. Omtrent 45 % av pasientene er < 70 år og cirka 10 % er mellom 60–65 år ved diagnosetidspunktet. Færre enn 1 % er < 40 år. Medianalderen ved diagnosetidspunktet er 71 år. Metodevurderingen konkluderte med et absolutt prognosetap på ca 14 QALYs mens behandlingen ble anslått å gi en diskontert leveårsgevinst på 2,28 leveår.

Revlimid brukes også for enkelte andre indikasjoner.

Bestillerforum bestilte hurtig metodevurdering fra Statens legemiddelverk, som ble levert 2. oktober 2018. Saken ble behandlet i Beslutningsforum 17. desember 2018, ble den ikke innført.

5.9 Lorlatinib (Lorviqua)

Legemiddelet Lorviqua ble vurdert innført til i andre – eller senere behandlingslinjer av ALK-positiv avansert ikke småcellet lungekreft (NSCLC). Antall nye tilfeller av lungekreft i 2019 var 3320, og 2129 pasienter døde av sykdommen. Sykdommen har en femårs relativ overlevelse på ca 25% for gruppen som helhet. Lungekreft medfører i Norge flere tapte leveår enn noen annen kreftform (Brustugun m. fl., 2014).

Den aktuelle pasientgruppen har ikke-småcellet lungekreft der ALK-mutasjon (anaplastisk lymfokinase) er påvist i kreftcellene. Disse pasientene får førstelinjebehandling med tyrosekinaasihemmer (TKI). Progresjon på førstelinjebehandling skyldes ofte en sekundær punktmutasjon (G1202R) der andre TKI-er ikke virker. Saken gjelder en ny andrelinjebehandling med tyrosinkinasehemmeren lorlatinib som har vist effekt også ved nevnte punktmutasjon. Lorlatinib hemmer ALK- og c-ros-onkogen 1 (ROS-1) tyrosinkinase. Dette resulterer i redusert cellevekst og død av kreftceller. Behandlingen tas som tablett og har relativt moderate bivirkninger.

Førstelinjebehandlingen har vært tyrosinkinasehemmeren alektinib. Andrelinjebehandlingen har vært varierende med andre tyrosinkinasehemmere, kjemoterapi, etc. Som

alternativer. Den 21.9.2020 ble kombinasjonsbehandling med PD1/PDL1-hemmere, EGFR-hemmere, taksaner og platina (atezolizumab, bevacizumab, paklitaksel og karbo-platin) godkjent for andrelinjebehandling av Beslutningsforum. Denne behandlingen forutsetter regelmessige infusjoner i sykehuspoliklinikk og har dessuten relativt omfattende bivirkninger.

Bestillerforum ba Statens legemiddelverk forespørre leverandøren om dokumentasjon 22. oktober 2018, og bestilling av hurtig metodevurdering ble formelt bestilt 26. august 2019. Rapporten ble levert 21. november 2019. Beslutningsforum besluttet 27. januar 2020 å ikke innføre Lorviqua, men ved ny behandling 14. desember 2020 ble den besluttet innført, etter at en annen metode hadde blitt innført for samme indikasjon.

5.10 Voretigene neparvovec (Luxturna)

Luxturna er et genterapiprodukt til behandling av synstap på grunn av arvelig retinal dystrofi som skyldes mutasjoner i RPE65-genet. Disse mutasjonene hindrer netthinnen i å lage et protein som er nødvendig for synet. Mennesker med mutasjon i RPE65-genet blir født med nedsatt syn og blir til slutt blinde.

Det finnes ingen behandling som kan bremse synstapet ved arvelige retinal dystrofi i dag. Dagens tilbud er ulike synshjelpemidler og hjelp til mestring av synshandicap (best supportive care, BSC). Per i dag er det identifisert 8 personer med RPE65- mutasjoner i Norge, og deretter vil det være om lag 0,5-1 nye tilfeller hvert år.

Bestillerforum bestilte hurtig metodevurdering av Statens legemiddelverk 22. august 2016. Rapport ble ferdigstilt 2.12.2019 Beslutningsforum avviste først å innføre metoden (30.mars 2020), men ved andre gangs behandling 26. april 2021 ble den besluttet innført.

6 Mål, organisering og prosesser

Dette kapitlet starter med en gjennomgang og diskusjon av målene og virkeområdet for systemet for Nye metoder. Virkeområdet operasjonaliseres gjennom avgjørelsene i Bestillerforum, så dette organets tilnærming og virkemåte gjennomgås og diskuteres i det neste delkapitlet. Vi drøfter hvordan Bestillerforum kan prioritere systemets begrensede ressurser. Hvordan prioriterer Bestillerforum hvilke saker som skal tas til behandling/vurdering?

I neste punkt presenterer vi resultatene fra vår analyse av saksbehandlingstid. Vi innleder med å presentere hovedfunn fra ulike studier som komparativt har undersøkt tilgang til utvalgte legemidler i ulike land. Dernest analyseres tidsbruken i saksbehandlingen i Nye metoder. Denne analysen er i hovedsak basert på et uttrekk fra Nye metoders fagsystem som omhandler alle 877 saker som har vært til behandling i systemet. Våre funn sammenholdes med funn fra de fire sammenlikningslandene i prosjektet, Danmark, England, Skottland og Sverige. Vi ser så nærmere på tidsbruken i eksempelsakene. Vi har også en kort diskusjon av ressursbruken i utarbeidelse av metodevurderinger. Punkt 6.3 avsluttes med en diskusjon av ulike tiltak som kan tenkes å redusere tids- og ressursbruk i systemet.

Vi fortsetter med en kort drøfting av organisering og av samhandlingen mellom systemaktørene i Nye metoder. Kapitlet avsluttes med en gjennomgang av overføringen av finansiering av en rekke legemidler fra folketrygden til spesialisthelsetjenesten.

6.1 Målene for Nye metoder

I punkt 3.1 redegjorde vi for det rettslige grunnlaget for Nye metoder. I dette underkapitlet drøfter vi målsetningene for Nye metoder, med utgangspunkt i lovverket, prioriteringsmeldingen og andre føringer.

En viktig del av vårt oppdrag er å undersøke om organisering og prosesser er «egnet til å oppnå de fastsatte målene». Vi vil derfor søke å klargjøre hva som er målsetningene for Nye metoder. Vi har imidlertid ikke funnet noen samlet, autoritativ framstilling av målene for systemet. Gjennomgangen som her følger, baserer seg dermed på flere ulike kilder.

6.1.1 Spesialisthelsetjenesteloven

Spesialisthelsetjenesteloven inneholder ikke et mål for Nye metoder. Loven fastslår bare at det skal være et system for å ta felles beslutninger om metodebruk, altså systemets funksjon, men ikke dets spesifikke mål. Den aktuelle lovbestemmelsen lyder slik:

§ 4-4 Felles system for å beslutte hvilke metoder som kan tilbys i spesialisthelsetjenesten

De regionale helseforetakene skal sørge for et felles system for å beslutte hvilke metoder som kan tilbys i spesialisthelsetjenesten.

Departementet kan i forskrift gi nærmere bestemmelser om organiseringen av og saksbehandlingen i systemet.

Beslutningene som nevnt i første ledd regnes ikke som vedtak, jf. forvaltningsloven § 2 første ledd bokstav a.

Ettersom loven ikke definerer et eksplisitt helsepolitisk mål for *Nye metoder*, må man se ordningen som et verktøy som spesialisthelsetjenesten anvender for å ivareta sitt sørgefor-ansvar. Forskriftshjemmelen er ikke brukt.

Spesialisthelsetjenesteloven fastslår i § 1-1 formålet med loven:

Lovens formål er særlig å:

1. fremme folkehelsen og å motvirke sykdom, skade, lidelse og funksjonshemming,
2. bidra til å sikre tjenestetilbudets kvalitet,
3. bidra til et likeverdig tjenestetilbud,
4. bidra til at ressursene utnyttes best mulig,
5. bidra til at tjenestetilbudet blir tilpasset pasientenes behov, og
6. bidra til at tjenestetilbudet blir tilgjengelig for pasientene.

I tillegg inneholder § 2-1a en bestemmelse om prioritering innenfor sitt tjenestetilbud:

Det regionale helseforetaket skal innrette sitt tjenestetilbud i tråd med følgende prioriteringskriterier:

- a) nytten av tiltak i pasientbehandling,
- b) ressursbruk som tiltak legger beslag på og
- c) alvorlighetsgraden av de tilstander som skal behandles.

Nye metoder kan ses som et system som skal bidra til at RHF-ene til enhver tid innretter sitt tjenestetilbud slik at målet gitt ved kriteriene i § 2-1 oppnås i størst mulig grad.

Lovfestingen av tre prioriteringskriteriene innebærer at de har forrang framfor eventuelle andre målsetninger, kriterier, hensyn og føringer som ikke har en tilsvarende rettslig forankring.

6.1.2 Oppdragsdokumentene

Innenfor disse rettslige rammene styres RHF-ene gjennom årlige oppdragsdokumenter. I oppdragsdokumentet for 2013 ble det overordnede målet for *Nye metoder* fastsatt slik (punkt 4.4):

Etablere en enhetlig og kunnskapsbasert praksis for innføring av nye metoder og ny teknologi, i tråd med nasjonalt system for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten.

I oppdragsdokumentet for 2016 pålegges RHF-ene å sikre «at beslutninger som tas av Beslutningsforum implementeres i spesialisthelsetjenesten.» Senere års oppdragsdokumenter inneholder ingen nærmere anvisninger om hvilke helsepolitiske mål *Nye metoder* skal bidra til å oppfylle.

6.1.3 Lovforarbeidene

I lovproposisjonen angis noen ytterligere målsetninger for *Nye metoder*:

Systemet for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten ble innført i 2013 av de regionale helseforetakene. Systemet er etablert blant annet for å sikre likeverdig tilgang til metoder som er dokumentert trygge og effektive. Systemet skal videre understøtte likeverdig og rask tilgang til nye metoder. Et annet viktig aspekt er at systemet skal vurdere nye metoder sammenliknet med eksisterende behandling, og vurdere om etablerte metoder skal utfases. Systemet skal også bidra til å tydeliggjøre

og understøtte beslutningsprosesser og -nivåer, samt gi transparente beslutninger. (Prop. 55 L, 2018–2019)

Bruken av uttrykket «blant annet» angir at dette ikke nødvendigvis er en uttømmende målformulering for *Nye metoder*.

6.1.4 Tidligere stortingsmeldinger

Som tidligere nevnt ble *Nye metoder* etablert i 2013 på basis av Meld. St. 10 (2012–2013) *God kvalitet – trygge tjenester*. Denne meldingen bygget på Meld. St. 16 (2010–2011) *Nasjonal helse- og omsorgsplan (2011–2015)*. I spesialisthelsetjenestelovens § 2-1 lovfestes prinsippene for prioritering som ble fastlagt i prioriteringsmeldingen (Meld. St. 34, 2015-2016).

En viktig politisk føring framkommer i prioriteringsmeldingen, hvor det heter at:

Regjeringen vil gjennomføre følgende tiltak innenfor legemiddelområdet: [...] Innføre krav om metodevurdering for alle nye legemidler som vurderes for offentlig finansiering, basert på de foreslåtte prinsippene for prioritering og Stortingets behandling av denne meldingen. (Meld. St. 34, 2015-2016), s. 23.

Et tilsvarende krav gjelder ikke for andre typer behandlingsmetoder. I samme opplisting av tiltak heter det også:

[Regjeringen vil ...] Påse, gjennom eierstyring, at de regionale helseforetakene endrer prinsippene som ligger til grunn for innføring av nye legemidler i spesialisthelsetjenesten, i tråd med forslagene til prinsipper for prioritering og Stortingets behandling av denne meldingen. (Meld. St. 34, 2015-2016)

Dette gjør prioriteringsmeldingen til et viktig «referanseverk» for den overordnede innretningen av *Nye metoder*.

6.1.5 Oppdragsbeskrivelsen for evalueringsprosjektet

I oppdragsbeskrivelsen for evalueringsprosjektet er målsetningene for systemet for *Nye metoder* oppsummert slik:

Oppsummert har system for nye metoder følgende grunnleggende formål:

- Kvalitet og pasientsikkerhet i helsetjenesten
- Likeverdig og rettferdig tilgang til trygge og virkningsfulle metoder uavhengig av geografisk bosted og i tråd med prinsipper for prioritering
- Rask tilgang til nye og virkningsfulle metoder
- Utfasing av ineffektive eller skadelig behandlingsmetoder
- Åpne og transparente beslutnings- og saksbehandlingsprosesser
- Enhetlig og kunnskapsbasert innføring av nye metoder som skaper tillit

Det synes klart at de to første målene skal forstås dithen at *Nye metoder* i beste fall i noen grad kan bidra til å oppnå disse formålene, og at de ikke skal betraktes som «grunnleggende formål» for systemet som sådan. Men det vises også til at de politiske målene i legemiddelmeldingen (Meld. St. 28, 2014-2015) skal ivaretas. Her heter det:

Regjeringen foreslår videre følgende mål:

- sikre god kvalitet ved behandling med legemidler
- legemidler skal ha lavest mulig pris
- likeverdig og rask tilgang til effektive legemidler
- legge til rette for forskning og innovasjon

(Meld. St. 28, 2014-2015)

Målsetningene om lavest mulig pris og tilrettelegging for forskning og innovasjon er ikke tatt inn eller fanget opp i oppsummeringen i oppdragsbeskrivelsen.

Oppdragsbeskrivelsen viser også til anskaffelsesregelverket og anskaffelsesloven. Vi går ikke nærmere inn på dette.

6.1.6 Målforståelsen i systemet for Nye Metoder

Nye metoder oppgir ikke selv noen eksplisitt målformulering. På Nye metoders nettside under overskriften «Hvorfor Nye metoder?» er begrunnelsen for systemet beskrevet slik:⁹⁶

- Gi pasienter trygghet for at metoder som innføres er vurdert med hensyn til effekt og sikkerhet
- Sikre likeverdig og rask tilgang til nye og innovative metoder
- Demonstrere merverdien av nye metoder sammenliknet med eksisterende behandling
- Vurdere om etablerte metoder som ikke lenger anses å være tilfredsstillende skal utfases
- Fremskaffe et kvalitetssikkert grunnlag for beslutninger, prioriteringer og ressursbruk
- Tydeliggjøre og understøtte beslutningsprosesser og -nivåer
- Gi transparente beslutninger

6.1.7 Diskusjon

Forholdet til legemiddelmeldingen

Etter vår mening mangler både HODs formulering av mål og sekretariatets begrunnelse for etableringen av *Nye metoder* en eksplisitt henvisning til legemiddelmeldingens og legemiddelforskriftens mål om lavest mulig pris på legemidler. Men målet om rask tilgang er så vidt vi kan bedømme hentet herfra. Dersom legemiddelmeldingen skal legges til grunn, antar vi at systemet også skal ivareta dennes mål om å tilrettelegge for forskning og innovasjon. Det er en tilsynelatende målkonflikt mellom målet om lavest mulig pris og tilrettelegging for innovasjon, idet man kunne tolke det siste målet slik at prisene må være tilstrekkelig høye til å representere et virksomt insentiv for utvikling av nye legemidler. Dette er ikke diskutert i legemiddelmeldingen. Det heter imidlertid at:

Prisene må [...] ikke være så lave at industrien ikke ønsker å selge i Norge, [...] (Meld. St. 28, 2014-2015)

Men dette gjelder da prisene *på allerede utviklede legemidler* som allerede er på (det internasjonale) markedet, så dette kan ikke tas til inntekt for at prisene skal være et insentiv for innovasjon. I legemiddelmeldingen er målet om tilrettelegging for innovasjon operasjonalisert utelukkende i form av tiltak som regulatoriske tiltak og støtte til kommersialisering.

I prioriteringsmeldingen finner vi denne passusen:

Departementet vil samtidig peke på at hovedkriteriene i seg selv stimulerer til innovasjon. Et innovativt tiltak som gir stor forventet nytte eller redusert ressursbruk vil trolig få prioritet. Mer generelt vil de tre hovedkriteriene samlet gi et signal om hva den offentlige helsetjenesten vil etterspørre og finansiere. I tillegg mener departementet at målet om innovasjon primært må nås gjennom andre virkemidler som mer direkte stimulerer innovasjonsaktiviteter, og ikke indirekte gjennom prioriteringskriteriene. (Meld. St. 34, 2015-2016), s. 106

Vi oppfatter dette slik at tilrettelegging for innovasjon *ikke* innebærer noen direkte begrensning i målet om lavest mulig pris. Vi legger også til grunn at det er vanskelig å se for seg at systemet for *Nye metoder* skal kunne bidra i noen vesentlig grad til å tilrettelegge for innovasjon; dette er noe som må ivaretas som del av det generelle «sørge-for»-ansvaret.

⁹⁶ Hentet 5. mai 2021 fra: <https://nyemetoder.no/om-systemet/bakgrunn-hvorfor-har-vi-nye-metoder>.

Prosessmål – åpenhet, transparens og medvirkning

Vi oppfatter det slik at HODs oppsummering av formålene med *Nye metoder* og *Nye metoder*-sekretariatets begrunnelse for systemet i all hovedsak samme meningsinnhold. Det er to unntak:

- 1) Sekretariatets framstilling omfatter «Tydeliggjøre og understøtte beslutningsprosesser og -nivåer». Tilsvarende formulering finnes ikke i HODs framstilling
- 2) HOD bruker «åpne og transparente» om beslutningsprosessene, mens sekretariatet bruker bare «transparente» om beslutningene

Formuleringen i punkt 1) gjenfinnes i lovproposisjonen Prop. 55 L (2018–2019), se ovenfor. Vi oppfatter denne målsetningen dithen at *Nye metoder* skal bidra til å gjøre det tydelig hvem det er som, vedrørende innføring av nye metoder, treffer hvilke beslutninger innenfor de ulike styringsnivåene i helseforetakene, og at beslutningsprosessene i helseforetakene skal understøttes. Dette skaper ingen uklarhet om evalueringskriteriene for denne evalueringen.

Når det gjelder punkt 2), mener vi at forskjellen i formulering kan ha implikasjoner for kravene til systemet og dermed for evalueringen. Med «transparente» legger vi til grunn at det menes at det gis innsyn i viktige trinn i og deler av saksbehandlingen, på en slik måte at vurderinger og beslutninger er begrunnet og underbygget med tanke på høy grad av etterprøvnbarhet.

Adjektivet «åpne» kan tolkes på to ulike måter. Den ene er at «transparente» og «åpne» skal oppfattes som synonyme. Den andre er at «åpne» stiller krav om muligheter for medvirkning, gjerne i form av at det er mulig for at andre enn de som har formelle roller i beslutningsprosessen kan komme med innspill underveis i prosessen. Dette kan for eksempel skje i form av dagens ordning om at enhver kan framsette forslag til nye metoder som bør behandles i systemet, men trenger ikke være begrenset til dette. Vårt oppdrag omfatter uansett evalueringstemaet om hvordan *medvirkning* av ulike interessenter er ivarettatt i systemet (evalueringstema 6). Denne målsetningen er med andre ord noe svakt forankret i både HODs og *Nye metoder*-sekretariatets målformuleringer.

Ifølge oppdragsbeskrivelsen skal prosessene bidra til å skape tillit. Tillit er også en verdi som kommer til uttrykk i forordet til prioriteringsmeldingen:

Klare verdier og krav til prioritering skaper effektive og forutsigbare systemer, og skaper tillit hos pasientene og i befolkningen. (Meld. St. 34, 2015-2016)

Vi anser at tydeliggjøring, åpenhet, transparens og medvirkning er viktige faktorer for å oppnå dette overordnede målet.

Målene for det danske systemet omfatter både resultat- og prosessmål, og er formulert i «Folketingets syv prinsipper for prioritering» (med tilleggsmålene «forsiktighet» og «alvorlighet»), og omfatter både resultatmålene «geografisk lighed, hurtig ibrugtagning, mere sundhed for pengene, adgang til behandling, forsiktighed og alvorlighed» og prosessmålene «faglighed, uafhængighed og åbenhed».

Prisfastsettelsessystem eller prioriteringssystem, eller ...?

Direktøren for Statens legemiddelverk, Audun Hågå, sa i intervju at det er en risiko for at systemet, i stedet for å oppfylle intensjonen om å være et prioriteringssystem mellom ulike tiltak i helse, i praksis er i ferd med å bli et prisfastsettelsessystem. Han påpeker at flere legemiddelpriser i utgangspunktet har blitt satt svært høyt for deretter å bli gradvis redusert etter hver nei-beslutning i Beslutningsforum.

Dette virker å bli gjort for å sikre at man får ut hele helseforetakenes betalingsvillighet og en høyest mulig pris. En slik praksis med «pris-titrering» er ikke i henhold til

intensjonen i systemet. Den forsinker tilgangen for pasientene, samtidig som den beslaglegger ressurser både på den private og offentlige siden. Systemets kapasitet er begrenset, og den unødvendige ressursbruken kan derfor fortrenge arbeidet med andre viktige beslutninger.

I et innspill hevder Legemiddelindustrien på sin side at systemet ensidig legger vekt på målet om 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.⁹⁷

En kronikk i Aftenposten signert fagdirektørene og administrerende direktørene i de fire RHF-ene avsluttes slik:

Vi vil gjøre vår del av oppgaven for rask innføring av nye og verdifulle legemidler. Skal vi lykkes, må også legemiddelindustrien bli mer opptatt av hva de kan gjøre for å tilby oss bærekraftige priser.⁹⁸

I tilsvaret fra Legemiddelindustrien henvises det til at patentordningene

fungerer som en samfunnskontrakt mellom de private legemiddelselskapene og helsesektoren.

Videre påpekes det at leverandørene er avhengige av tilstrekkelige inntekter til å finansiere sitt utviklingsarbeid, og at et viktigere virkemiddel for tilgang til nye legemidler er å ta i bruk innovative prisavtaler.⁹⁹

Det pågår et arbeid i Verdens helseorganisasjon (WHO) for å utvikle prinsipper for «rettferdige» priser på helseteknologiske produkter.¹⁰⁰ Vi mener at det på et overordnet politisk eller etisk plan er grunn til å spørre om leverandørenes prispolitikk er i samsvar med den samfunnskontrakten om risiko- og gevinstdeling mellom innovatør og konsument som patentsystemet bygger på.

Måltrengsel og målkonflikter

Denne gjennomgangen viser for det første at systemet for Nye metoder skal oppfylle en rekke ulike målsetninger. Selv om mange av disse ikke står i direkte motstrid til hverandre, er det ikke opplagt hvilke som skal være viktigst i vurderinger og beslutninger. Dette kan kalles *måltrengsel*. Det er heller ikke entydig avgrenset hvilke mål som gjelder for systemet – vi tenker her på målene i legemidlemeldingen.

For det andre foreligger det også enkelte målkonflikter; for eksempel kan legemidlemeldingens mål om lavest mulig pris stå i motstrid til målet om rask tilgang, særlig i saker der gjentatte beslutninger i Beslutningsforum må til for å oppnå en akseptabel pris. Det er usikkert hvordan dette målet forholder seg til prioriteringskriterienes mål om at ressursbruken skal stå i et rimelig forhold til nytten av legemidlet hensyntatt tilstandens alvorlighet.

Det er et problem for etterprøvbareheten av vurderinger og beslutninger at det ikke finnes noen autoritativ framstilling av målene med tilhørende avklaringer av måltrengsel og -

⁹⁷ Personlig kommunikasjon, 1. februar 2021.

⁹⁸ *Hvorfor innføres ikke alle nye legemidler?* Aftenposten, 25. juli 2021. Hentet 29. september 2021 fra <https://www.aftenposten.no/meninger/kronikk/i/k313x6/hvorfor-innfoeres-ikke-alle-nye-legemidler>.

⁹⁹ *Nye legemidler er dyre av en grunn.* Kronikk av administrerende direktør i Legemiddelindustrien, Karita Bekkemellem, Aftenposten, 28. juli 2021. Hentet 29. september 2021 fra <https://www.aftenposten.no/meninger/debatt/i/237Agv/nye-legemidler-er-dyre-av-en-grunn>.

¹⁰⁰ *Fair Pricing Forum ends with good intentions and new undertakings from WHO*, 23. april 2021. Hentet 28. september fra <https://www.who.int/news/item/23-04-2021-fair-pricing-forum-ends-with-good-intentions-and-new-undertakings-from-who>.

konflikter. En slik samlet framstilling ville bidra til å klargjøre ytterligere hvilke prosessmål som gjelder for systemet – spesielt burde prinsippet om medvirkning tydeliggjøres. Dette er også et spørsmål om åpenhet og transparens i systemet. Vi anbefaler at HOD – i samråd med RHF-ene – avklarer og tydeliggjør resultatmål og prosessmål for systemet for Nye Metoder.

Det er opplagt at systemet for Nye metoder skal være noe mer enn et *priskontrollsystem* for legemidler – Statens legemiddelverk har påpekt dette i intervju, for eksempel, og advart om at de mener det er en viss risiko for at systemet kan utvikle seg i en slik retning. Men Legemiddelverket omtaler systemet som et *prioriteringssystem*, noe som vi mener heller ikke er dekkende, fordi blant annet målet om kvalitet og pasientsikkerhet er mer vidtrekkende enn de forholdene som prioriteringskriteriene omfatter. Trolig er *beslutningssystem* en hensiktsmessig beskrivende betegnelse for systemet for Nye metoder, og er da også brukt som generisk betegnelse i denne rapporten, blant annet i omtalen av de tilsvarende systemene i sammenlikningslandene.

6.2 Bestillerforums ansvar og rolle

6.2.1 Omfanget av Nye metoders oppdrag

Ovenfor behandlet vi måltrengsel primært som et kognitivt problem. Vi mener imidlertid at målene for Nye metoder er så ambisiøse og omfattende at de framstår som urealistiske dersom man ser dem opp mot systemets – nødvendigvis begrensede – samlede ressurser og kapasitet. Man kan da spørre om problemet da er måltrengsel – det vil si for omfattende og sprikende mål – eller om det foreligger et kapasitetsproblem.

Andelen ikke-legemiddel-saker registrert i Nye metoder så langt er beskjeden (ca. 20 prosent), noe som står i et misforhold til deres andel av de totale økonomiske ressursene i spesialisthelsetjenesten. Direkte kostnader til legemidler, som legger beslag på storparten av Nye metoders kapasitet, utgjør mindre enn seks prosent av RHF-budsjettene (jf. Tabell 2-3 på side 37).

Det skal dog sies at det kan diskuteres hvor dekkende eller illustrerende dette tallet er. De seks prosentene utgjør rundt ni milliarder kroner, så det er ingen tvil om at det står store verdier på spill på legemiddelfeltet. Viktigere i denne sammenhengen er at kostnadene til legemidler er økende, og uten tegn til utflating. Man har de senere årene fått introdusert en del legemidler med svært høy legemiddelkostnad per pasient. Dette gjelder blant annet introduksjon av potensielt kurative behandlinger for langvarige og alvorlige sykdommer (CAR-T, genterapi mv.) der produsentene setter svært høye priser. Mange mener at dette vil forsterkes i årene som kommer. I EUs *Pharmaceutical Strategy for Europe* heter det for eksempel:

The affordability of medicines has implications for both public and household finances. It poses a growing challenge for the majority of Member States. The business model has moved from selling blockbusters to marketing 'niche-busters'. Often, new products are priced even higher, with growing uncertainty as to their real-life effectiveness and related overall costs. This puts the budgetary sustainability of health systems at risk, and reduces the possibilities for patients to have access to these medicines. (EU, 2020)

Figur 2-3 på side 37 viser at kostnadene ifølge Sykehusinnkjøps beregninger ville vært dobbelt så høye dersom maksimalprisene (som er beregnet ut fra offentlige tilgjengelige referansepriser fra et utvalg andre land) skulle legges til grunn. Men tallet viser at storparten av ressursbruken i spesialisthelsetjenestene går til andre formål, uten at det dermed tas stilling til hvor stor andel av ressursene som man skal anse å høre til under Nye metoders ansvarsområde.

Stortinget har besluttet at alle nye legemidler og indikasjoner skal metodevurderes. I tillegg skal Nye metoder i prinsippet anvende prioriteringskriteriene på *alle* nye metoder

som benyttes i helseforetakene – herunder utstyr, prosedyrer og organisering. Særlig krevende er målet om at systemet også skal vurdere og beslutte utfasing av metoder, et mål som vi anser å ha sammenheng med det overordnede målet om kvalitet og pasient-sikkerhet. I utgangspunktet er da nær sagt enhver klinisk aktivitet i spesialisthelsetjenesten aktuell for vurdering. Likevel er det opplagt at det store flertall av metodeendringer skjer som ledd i en kontinuerlig faglig utvikling, og det er verken forventet eller hensiktsmessig at Nye metoder skal håndtere alt dette. Spørsmålet er imidlertid *hvilke* metodeendringer som skal vurderes i Nye metoder, og *hvordan* man skal velge dem ut.

Det skal sies at screeningprogrammene og vaksiner ikke er omfattet av Nye metoder. Det er også slik at noen områder, for eksempel akuttmedisin, langt på vei «prioriterer seg selv», selv om det også her kan være noen metoder som kan vurderes som mer kostnadseffektive enn andre. Det vil dessuten trolig være svært krevende å systematisk metodevurdere behandling av kronisk alvorlig sykdom innen psykiatrien. Likeledes er det grunn til å tro at beslutninger om ekstraordinært store utstys- eller infrastrukturinvesteringer vil tas av regjeringen eller Stortinget. La oss dvele et øyeblikk ved en sak som kan belyse dette.

Regjeringen besluttet i 2013 å etablere to sentre for proton-behandling i Norge. Dette var før Nye metoder var etablert. I mars 2014 kom det inn et forslag om metodevurdering av proton-behandling, og i oktober 2016 besluttet Bestillerforum å ikke «gjennomføre en metodevurdering av protonsenters i Norge i regi av systemet Nye metoder, men støtter at det bør gjøres en kunnskapsoppsummering i regi av andre prosesser.»¹⁰¹ Fagdirektør i Helse Vest opplyser at bakgrunnen for denne beslutningen – som ikke framkommer i saken – er at Nye metoder ikke ser det som sin oppgave å overprøve beslutninger fattet av regjeringen eller Stortinget.¹⁰² Statsbudsjettet for 2016-2017 var blitt lagt fram en måned i forveien, og her var det foreslått å bevilge 75 mill. kr til et forprosjekt, med mål om ferdigstillelse i 2022. Det er grunn til å stille spørsmål om en slik framgangsmåte – dersom den skulle bli anvendt i en ny sak – ville være tråd med den politiske overordnede målsettingen med Nye metoder.

Selv om det altså er noen metoder som ikke omfattes av Nye metoders oppdrag, så er oppgaven, om en skulle ta den samlede porteføljen av målformuleringer bokstavelig, i utgangspunktet nær sagt uoverkommelig. Den i prinsippet uavgrensede mengde potensielle saker på alle områder unntatt legemidler betyr at systemets evne til å gjøre hensiktsmessige og velbegrunnede valg av hvilke ikke-legemiddel-saker som skal bli gjenstand for metodevurdering er kritisk for Nye metoders relevans og bærekraft. Bestillerforum har dermed en utfordrende oppgave med å velge ut hvilke metoder som skal metodevurderes i systemet. Tilnærmingen er som følger.

6.2.2 Bestillerforums tilnærming for utvelgelse av saker

I punkt 3.6 beskrev vi metodevarslingsfunksjonen for legemidler i Nye metoder, som Folkehelseinstituttet har ansvar for i samarbeid med Statens legemiddelverk. Denne fanger opp alle nye legemidler og alle nye indikasjoner som det søkes markedsførings-tillatelse for. Her finnes det robuste rutiner og et godt kunnskapsgrunnlag. Legemiddel-feltet er relativt oversiktlig med tanke på metodevarsling, i og med at alle kommende

¹⁰¹ Sak ID2016_066, hentet 12. september 2021 fra: <https://nyemetoder.no/metoder/protonbehandling>.

¹⁰² «Nye Metoder behandler ikke saker med tilbakevirkende kraft og overprøver ikke beslutninger som er tatt av departementet eller bevilgninger som Stortinget har vedtatt, sa leder Baard-Christian Schem i Bestillerforum, til Dagens Medisin.» Fra *Protonsenters i Norge: - Et kostbart tiltak har fått gå under radaren*. Dagens medisin, 1. oktober 2020. Hentet 12. september 2021 fra <https://www.dagensmedisin.no/artikler/2020/01/10/protonsenters-i-norge--et-kostbart-tiltak-har-fatt-ga-under-radaren/>.

metoder skal gjennomgå en strengt regulert godkjenningsprosess, som da kan benyttes som kildegrunnlag.

Andre metoder representerer derimot en utfordring, både med tanke på kartlegging/oversikt og prioritering av hvilke metoder som det skal utarbeides metodevarsel om, selv om man fanger opp en del ulike typer metoder som har blitt gjenstand for metodevurdering i andre land. Akromionreseksjonssaken er et eksempel på dette – her tok man utgangspunkt blant annet i en rapport utarbeidet for NHS i England (NHS, 2019), men beslutningen om bestilling av metodevurdering var også basert på data fra helseatlas.no.

I Folkehelseinstituttets erfaringsnotat fra 2016 omtales ikke-legemidler som et stort og utfordrende område å følge, da det ikke finnes offentlig tilgjengelige lister over medisinsk utstyr som CE-merkes, og det heller ikke finnes noen oversikt over alle metoder som brukes i norske sykehus (Kunnskapssenteret, 2016). Også her omtales HSRIC som den viktigste kilden. Andre kilder er nye engelske retningslinjer for prosedyrer (interventional procedure guidelines) samt ulike kanadiske og australske kilder.

Bestillerforum har valgt å løse utvelgelsesproblemet ved å i høy grad la det være opp til fagmiljøene ute i tjenestene å foreslå metoder som de mener bør opp til vurdering, selv om Bestillerforum og RHF-ene ved noen tilfeller selv har tatt initiativ til metodevurderinger.

I et udatert dokument fra Nye metoder fremgår at det er saker og problemstillinger som er «prinsipielt nye» skal tas inn, særlig dersom metoden medfører:

- Store konsekvenser for organisering av tjenesten
- Store utgifter for spesialisthelsetjenesten
- Store kostnader veid opp mot helsegevinst
- Etske problemstillinger

Det er uvisst i hvilken grad disse kriteriene anvendes eksplisitt og systematisk i utformingen av saksportefølgen i Bestillerforum, men trolig reflekterer de både de overordnede målsetningene for systemet og forumets praksis. De uttrykker også at man søker å veie nytten av å utarbeide en metodevurdering opp mot ressursinnsatsen.

I et innspill etterlyser Melanor klarere kriterier for hvilke metoder innenfor medisinsk utstyr som skal underkastes metodevurdering. Også Folkehelseinstituttet skriver i et innspill til evalueringen:¹⁰³

Vi mener det er nødvendig med mer oppmerksomhet på medisinsk teknisk utstyr og andre ikke-farmakologiske intervensjoner for å få et balansert system, og at dette kan kombineres med styrket prioritering av hva som metodevurderes innenfor hver kategori. [...]

Per i dag er kriteriene for hva slags utstyr som skal behandles i Nye metoder uklare, og det sendes inn relativt få forslag fra kliniske fagmiljø og industrien. Med mange potensielle saker og få forslag blir det utfordrende å identifisere og selektere hvilke saker som skal behandles i systemet. Hvilke saker som metodevurderes og sendes til beslutning kan i dag bære preg av tilfeldigheter, noe som er uheldig med tanke på implementering og videre oppfølging. Folkehelseinstituttet tror det vil være gunstig om vi kan utarbeide tydeligere kriterier for når medisinsk utstyr skal evalueres i Nye metoder. Ideelt bør de nye kriteriene være så strenge at alt utstyr over en viss terskel skal metodevurderes før det tas i bruk.

En av RHF-fagdirektørene forteller at Bestillerforum har gjort en gjennomgang av arbeidsmetodikken, og forsøkt å dele saker inn etter hvor komplekse de er. Fagdirektøren mener prinsipielle avgjørelser bør diskuteres i Bestillerforum, og at

¹⁰³ Personlig kommunikasjon, 10. september 2021.

enkler saker kan gå rett til metodevurdering. En slik metodikk kan profesjonalisere systemet ytterligere. En annen fagdirektør gir uttrykk for at flere saker også kan løses lokalt, ved hjelp av mini-metodevurderinger. Ifølge fagdirektøren bør en slik løsning benyttes i større grad. Fagdirektøren presiserer at dette først og fremst gjelder saker som omhandler medisinsk utstyr.

Fagdirektørene i Bestillerforum mener selv det er en demokratisk styrke at hvem som helst kan melde saker inn i systemet. Videre trekker de frem at fagmiljøene og klinikerne har best oversikt over hva som kommer – klinikerne er systemets beste radar. Dessuten fremheves det at klinikerne har et selvstendig ansvar for å vurdere kunnskapen som kommer på sitt felt. Legene er ansvarlige for hva de gjør, og må ta initiativ til å endre praksis. Fagdirektøren mener dette ikke kan være en oppgave for Nye metoder.

Fagdirektøren i Helse Vest skriver i et innspill til prosjektgruppa:

De aller fleste metoder man bruker i sykehus er vel etablert og skal videreføres. For disse metoder vil det være omfanget som gradvis endres. Det reguleres vanligvis bedre av fagfolkene selv i samarbeid med sine ledere, og gjennom prosedyrer og retningslinjer, ikke via detaljstyring i Nye metoder. Mange av disse endringer har ingen store konsekvenser for kostnader (hvis man f.eks. endrer kirurgisk teknikk ved innsetting av hofteproteser), og kan t.o.m. være kostnadsbesparende.

Det er store muligheter for reell effektivisering ved å bedre arbeidsprosesser og øke pasientsikkerhet. Det aller meste av dette er det ingen grunn til å trekke Nye metoder inn i.

Denne tilnærmingen innebærer at Bestillerforum er veldig avhengig av innspill fra fagmiljøer og eksterne interessenter i form av forslag til metodevurderinger. Det er grunn til å spørre om fagmiljøene har kapasitet til dette, om de i tilstrekkelig grad anser at de har interesser i å sende inn forslag, og om det i tilstrekkelig grad finnes «kultur» for metodevurdering av egen kliniske praksis i de ulike fagmiljøene. På den annen side, som vi spør nedenfor, hva er alternativet?

Det er et pågående arbeid med denne utfordringen. På møtet i Bestillerforum 8. januar 2021 ble det besluttet å:

Starte et overordnet prosjekt som skal resultere i gode kriterier for hvilke metoder, andre enn legemidler, som skal prioriteres for vurdering i Nye metoder på nasjonalt og lokalt nivå.¹⁰⁴

På samme møte ble det besluttet å nedsette en arbeidsgruppe:

[...] med representanter fra Sekretariatet for nye metoder, RHF-koordinatorene, Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet for å utarbeide forslag til tiltak for å øke kjennskapen til Nye metoder hos klinikerne.¹⁰⁵

Vi skal nå se på hvordan Bestillerforums tilnærming har slått ut i beslutningene deres. Tabell 6-1 viser at antall saker behandlet av Bestillerforum har vist en stigende tendens over tid. Mesteparten av veksten skjedde fram til 2018.

«Hurtig metodevurdering» er den mest vanlige beslutningen. Antall beslutninger om hurtige metodevurderinger nådde en topp i 2017. Det er trolig flere forklaringer på nedgangen i hurtige metodevurderinger fra 2017 til 2018. Man ser at i samme periode økte antall forenklete vurderinger. Det samme gjorde «annet». I tillegg kommer at tallene

¹⁰⁴ Hentet 12. november 2021 fra https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20%28%20innkallinger%20og%20referater%29/Protokoll_Heldagsm%c3%b8te%20i%20Bestillerforum%20RHF_080121.pdf.

¹⁰⁵ Hentet 12. november 2021 fra https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20%28%20innkallinger%20og%20referater%29/Protokoll_Heldagsm%c3%b8te%20i%20Bestillerforum%20RHF_080121.pdf.

for 2017 trolig er en del påvirket av flytting av finansieringsansvar for en del kreftlegemidler fra folketrygden til spesialisthelsetjenesten. Riktignok har det skjedd en slik flytting av finansieringsansvar for en del metoder hvert av årene i perioden, men antall legemidler som ble flyttet var uvanlig høyt i 2017, og det var uvanlig mange med relativt store budsjettkonsekvenser. Bestillerforum besluttet på sitt møte 24. april 2017 at elleve av legemidlene som var blitt flyttet skulle underlegges hurtig metodevurdering. For perioden 2017–2021 er det totale antallet bestilte metodevurderinger knyttet til overføringen anslått til et sted mellom 20 og 30; se punkt 6.5 for en mer detaljert framstilling av overføringsprosessen.

Tabell 6-1: Bestillerforum – antall forslag/metodevarsler og hovedkategorier av utfall. Fra 2013 til august 2021.¹⁰⁶

Avgjørelse	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	Sum
Forenklet metodevurdering	-	-	1	2	5	14	35	54	26	137
Fullstendig metodevurdering	3	4	4	7	4	5	5	3	1	36
Hurtig metodevurdering	20	15	30	46	81	66	59	50	27	394
Avsluttet/avvist	5	9	9	25	17	23	20	13	7	128
Annet	7	12	10	21	15	25	28	26	6	150
Sum (forslag/metodevarsler)	35	40	54	101	122	133	147	146	67	845

Tabell 6-1 viser også at forenklet vurdering er blitt mer brukt etter at man besluttet seg for å benytte de differensierte løpene A–D i 2018 (se punkt 7.1.2). I 2020 ble det – ifølge våre tall¹⁰⁷ - besluttet flere forenklede enn hurtige vurderinger, og hittil i 2021 er de to utfallene (henholdsvis forenklet og hurtige metodevurdering) om lag like vanlige. Antall fullstendige vurderinger har ligget ganske stabilt i hele perioden. Det er også ganske mange forslag som av ulike grunner blir avvist eller som ikke leder til noen form for metodevurdering.

Kategorien «annet» inneholder en rekke ulike utfall som i innebærer at metodevurdering ikke anses som nødvendig eller at metodevurderingen avsluttes (etter at det tidligere er besluttet metodevurdering). Kategorien «Annet» i Tabell 6-1 omfatter følgende utfall:

- Avsluttes uten ytterligere vurdering/beslutning (markedsføringstillatelsen trukket, dokumentasjon ikke levert etc.)
- Inngår i fullstendig metodevurdering
- Prisnotat tilstrekkelig
- Til beslutning med det som finnes av dokumentasjon/uten ytterligere vurdering
- Annet

Tabell 6-2 viser fordelingene av alle avgjørelser i Bestillerforum siden oppstarten i 2013. Pålegget om å metodevurdere alle legemidler gir nødvendigvis en lav avslagsprosent.

¹⁰⁶ Tabellen er laget av Proba på grunnlag av uttrekk fra fagsystemet til sekretariatet for Nye metoder. Vi er oppmerksomme på at tallene ikke samsvarer helt med årsrapporten for Bestillerforum for 2020. I følge årsrapporten ble det besluttet og 62 hurtige og 44 forenklede vurderinger i 2020, det vil si en mindre forskyvning fra hurtige til forenklede vurderinger enn tabellen indikerer.

¹⁰⁷ I Årsrapport fra Bestillerforum er det angitt at det ble bestilt 44 forenklede og 52 hurtige metodevurderinger

Men det er likevel en påfallende høy avslagsprosent for begge de to andre metodetypene. «Annet» er også høyt for ikke-legemidler. Svært mange av disse innebærer i realiteten avvising, da de klassifisert som «Ikke aktuell for metodevurdering». Mange av de øvrige ikke-legemidlene i «Annet» er klassifisert som «Ikke egnet på nåværende tidspunkt – behov for tilleggsinformasjon, behov for å innhente innspill, avvente studier etc.»

Legemidler

Som nevnt ovenfor, er Nye metoder pålagt av Stortinget å metodevurdere alle nye legemidler og indikasjoner for legemidler. Dette preger nødvendigvis tallene i Tabell 6-2 ovenfor. Men i gruppeintervju med Bestillerforum uttalte en av fagdirektørene at det uansett er riktig at nye legemidler der en leverandør har monopol som utgjør en stor andel av sakene fordi prisene – og dermed kostnadene – er høye og raskt stigende.

Dersom prisene hadde vært – som et eksempel halvparten – så ville det for en stor andel av de nye legemidlene klart seg med langt raskere og enklere vurderinger; de kunne gått raskt til anskaffelse eller anbud. Bruk hadde startet tidligere for bredere pasientgrupper.

Den kanskje viktigste årsak til konsentrasjon om legemidler med monopol er legemiddelindustriens kontinuerlige press for å få aksept for at samfunnet skal godta å betale mer for et godt leveår oppnådd med disse medikamenter enn man gjør ellers i helsetjenesten. Basert på Prioriteringsmeldingen fra 2016 og Stortingets behandling av denne, har ikke RHF-ene noen hjemmel for å plassere patenterte legemidler i en egen divisjon når det gjelder aksept for et ugunstig forhold mellom pris og nytte, til foretrekk for annen og mer kostnadseffektiv behandling. Aksept av dette prinsipp har ikke bare økonomiske konsekvenser, men rokker ved grunnleggende kriterier for prioritering mellom pasientgrupper og mellom metoder.

Det ble også vist til høy kostnadsvekst – langt høyere enn for eksempel medisinsk utstyr.

Tabell 6-2. Fordeling av ulike beslutninger i Bestillerforum på metodetyper, alle forslag og metodevarsler, 2013 – 2021.*

Avgjørelse	Legemidler n = 677	Medisinsk utstyr, diagnostikk og tester n = 99	Prosedyrer og organisatoriske tiltak n = 76
Forenklet metodevurdering	8 %	10 %	9 %
Fullstendig metodevurdering	1 %	9 %	26 %
Hurtig metodevurdering	56 %	14 %	3 %
Avsluttet/avvist	8 %	29 %	38 %
Annet	17 %	37 %	54 %
Sum	100 %	100 %	100 %

* Tall for 2021 fram til august.

Medisinsk utstyr

I juni 2017 forelå notatet «Veiledende kriterier for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder». Her angis det «seleksjonskriterier» for å avgjøre om teknologien hører inn under Nye metoders virkeområde, «relevanskriterier» til hjelp for å avgjøre om metodevurdering er aktuelt (her gjenfinnes blant annet prioriteringskriteriene), og

«nivåkriterier» for å avgjøre om nasjonal eller lokal metodevurdering er egnet.¹⁰⁸ I protokollen fra møtet i Bestillerforum 8. januar 2021 fremkommer det at arbeidet med å komme fram til helt klare kriterier hadde vært vanskelig, og at det ikke oppleves at veiledningen benyttes. Eksempelsaken TAVI/TAVR (som strengt tatt er en prosedyre med mye utstyr integrert) som ble behandlet i Beslutningsforum siste gang i 2019, tyder heller ikke på at kriteriene fra 2017 er benyttet.

I våre eksempelsaker på ikke-legemidler framkommer det at brukerorganisasjoner og leverandører har oppfattet beslutninger om metodevurdering som vilkårlig. I FreeStyle Libre-saken var det for eksempel uenighet om metoden falt inn under definisjonen av ny metode. I referatet fra møte i Bestillerforum 13. juni 2016 ble behov for metodevurdering begrunnet med spørsmål om «yte-evne i praksis, analytisk presisjon og nøyaktighet», altså avgrenset til klinisk effekt.¹⁰⁹

Et nytt prosjekt på dette feltet er initiert. På møtet i Bestillerforum 8. januar 2021 ble det besluttet å:

Starte et overordnet prosjekt som skal resultere i gode kriterier for hvilke metoder, andre enn legemidler, som skal prioriteres for vurdering i Nye metoder på nasjonalt og lokalt nivå. Sekretariatet for Nye metoder får ansvar for å koordinere prosjektet sammen med Folkehelseinstituttet og Sykehusinnkjøp HF. Viktig med bred deltagelse i prosjektet.¹¹⁰

Arbeidet er i gang; blant annet ble det avholdt et møte med bred deltakelse fra systemaktører og interessenter i mai 2021.¹¹¹

Utfasing – og «Prosedyrer og organisatoriske tiltak»

Eksempelsaken om akromionreseksjon inngår i et pilotprosjekt for utfasingssaker, som ble initiert gjennom HODs oppdragsdokument til RHF-ene i 2019 (Bestillerforum, 2020). Oppdraget var å

vurdere om enkelte kirurgiske prosedyrer som utføres i helsetjenesten i dag ikke skal benyttes rutinemessig eller kun gitt spesifikke kriterier for bruk, bl.a. grunnet manglende forskningsbasert dokumentasjon om effekt, eller fordi det er utviklet bedre og tryggere metoder.¹¹²

Det ble henvist til prioriteringskriteriene, men det er verdt å merke seg passusen om *bedre og tryggere metoder*, som vi oppfatter som en indirekte henvisning til målsetningen om at Nye metoder skal bidra til kvalitet og pasientsikkerhet i tjenesten.

Pilotprosjektet har vært satt på vent en periode på grunn av covid-19-pandemien, men ble re-initiert i oktober 2020 (Bestillerforum, 2021). Det framgår ikke av dokumentasjonen hvilke andre saker som inngår i prosjektet, men til sammen fem metoder ble foreslått for

¹⁰⁸ *Veiledende kriterier for håndtering av medisinsk utstyr i Nye metoder*. Hentet 28. oktober 2021 fra [https://nyemetoder.no/Documents/Om%20systemet/Veiledende%20kriterier%20for%20medisinsk%20utstyr%20i%20Nye%20metoder%20\(29.06.17\).pdf](https://nyemetoder.no/Documents/Om%20systemet/Veiledende%20kriterier%20for%20medisinsk%20utstyr%20i%20Nye%20metoder%20(29.06.17).pdf).

¹⁰⁹ *Referat fra møte i Bestillerforum 13. juni 2016*. Hentet 7. oktober 2021 fra: <https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20%28%20innkallinger%20og%20referater%29/13.06.2016%20Bestillerforum%20RHF-Referat.pdf>

¹¹⁰ *Protokoll fra heldagsmøte i Bestillerforum RHF*. Sak 003-21 i møteprotokollen. Bestillerforum, 8. januar 2021. Hentet 15. september 2021 fra: https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20%28%20innkallinger%20og%20referater%29/Protokoll%20Heldagsm%c3%b8te%20i%20Bestillerforum%20RHF_080121.pdf.

¹¹¹ *Referat fra møte til prosjekt «Vurdering av medisinsk utstyr i Nye metoder»*. Personlig kommunikasjon.

¹¹² Hentet 28. oktober 2021 fra <https://nyemetoder.no/Documents/Aktuelt/Presentasjoner%20fra%20Bestillerforum%20RHF%201.11.2019/Revurderingsprosjektet%20Bestillerforum%2001.11.2019.pdf>.

Bestillerforum, og av disse pågår metodevurderinger for kirurgi ved karpaltunnelsyndrom (ID2020_022) og tonsillektomi ID2021_061, og det foreligger en ferdig metodevurdering for hysterektomi (ID2020_032).¹¹³ Arbeidet med utfasingssaker i Nye metoder er med andre ord i et tidlig stadium, og utføres foreløpig i et svært begrenset omfang.

Utenom akromionreseksjonssaken finner man også i de fullstendige metodevurderingene på MS-feltet forslag om (gradvis) utfasing av metoder. Beslutningene i etterkant av de hurtige metodevurderingene impliserer som regel at gamle metoder erstattes av nye, men beslutningene sier ikke noe eksplisitt om dette. Ifølge Tabell 6-2 har det blitt bestilt 20 fullstendige metodevurderinger i kategorien «*Prosedyrer og organisatoriske tiltak*».¹¹⁴ Det finnes ingen framstilling av kriteriene som anvendes i vurdering av saker i denne kategorien. I protokollene finner vi liten grad av systematikk i bruk av kriterier for utvalg av saker i denne kategorien.

Det svenske *Medicintekniska produktrådet* fokuserer på medisinsk utstyr som krever interregionalt samvirke for at bruken skal bli kostnadseffektiv, likeverdig og formålstjenlig. Det danske *Behandlingsrådet* bruker et kriteriesett som blant annet omfatter pasientpopulasjon, alvorlighet, organisatoriske eller etiske implikasjoner og kostnader. Vi kjenner ikke til hvilke kriterier som brukes i utvelgelse av saker i England og Skottland.

6.2.3 En mer «proaktiv» tilnærming til utvelgelse av ikke-legemiddel-saker?

Man kan kanskje beskrive dagens praksis som en *reaktiv* tilnærming, men uten at det skal legges noe negativt eller kritikkverdig i denne karakteristikken som sådan. Fagdirektørene i Bestillerforum gir i intervju også uttrykk for at de anser denne tilnærmingen for å være klart den mest hensiktsmessige. De hevder at alternativet til den reaktive tilnærmingen ville være svært ressurskrevende. En *proaktiv* tilnærming ville innebære at Bestillerforum selv identifiserer terapiområder og metoder som kan være aktuelle for metodevurdering. Fagdirektørene og systemaktørene er enige om at det er urealistisk at de fire fagdirektørene – eller Bestillerforum – som gir oppdrag om metodevurdering, til enhver tid skal ha en slik oversikt.

En proaktiv tilnærming vil trolig kreve et annet og mer omfattende kunnskapsgrunnlag – strategisk kunnskap om sykdomsbyrde, kostnadsstruktur og kapasitetsutfordringer i helseforetakene – enn det man har tilgjengelig i dag. Det strategiske overblikket ville trolig også måtte omfatte analyser av behov for nye behandlingsmetoder innen ulike terapiområder; kanskje også supplert med demografiske analyser for framskrivninger av sykdomsbyrde. Og i tillegg innspill fra fagmiljøene, som i dag.

Vi ser at et slikt kunnskapsgrunnlag vil være svært ressurskrevende å frambringe. Vi vurderer det slik at en *proaktiv* tilnærming trolig vil legge beslag på så store forsknings- og utredningsressurser både i RHF-ene og eventuelt også Folkehelseinstituttet at det er grunn til å stille spørsmål om de kan rettferdiggjøres av nytten.

6.2.4 Måltrengsel og utvelgelse av ikke-legemiddel-saker

Vi legger til grunn at Bestillerforum av kapasitetshensyn trolig er henvist til å basere seg på dagens *reaktive* tilnærming. Ut fra dette har vi to anbefalinger.

For det første anbefaler vi at pågående arbeid med å utvikle kriterier for utvelgelse og metodikk for anvendelse av dem videreføres og styrkes. De nåværende kriteriene for

¹¹³ Hentet 28. oktober 2021 fra <https://nyemetoder.no/om-systemet/revurdering-og-utfasing> og <https://nyemetoder.no/metoder>.

¹¹⁴ De 20 avgjørelsene utgjør andelen på 26 prosent som er oppført i tabellen.

denne utvelgelsen og hvordan disse anvendes framstår som ikke tilstrekkelig konsistente, transparente og hensiktsmessige for formålet. I dette arbeidet bør følgende kritiske punkter hensyntas og vektlegges:

I initiativene synes «metoder andre enn legemidler» i første rekke å handle om medisinsk utstyr, mens prosedyrer og organisering ikke er viet like mye oppmerksomhet. Vi oppfatter det slik at prosedyrer kan forstås svært vidt – det er ikke avgrenset til kirurgi for eksempel. Prosedyrer og organisering kan kreve en annen tilnærming enn medisinsk utstyr, både for utforming av selve kriteriene og fremgangsmåten i arbeidet med disse, for eksempel med tanke på hvem som involveres i arbeidet.

Medisinsk utstyr er ofte i kontinuerlig utvikling. Nyhetskriteriet, som er et av seleksjonskriteriene (se punkt 6.2.2, seksjonen «Medisinsk utstyr»), må derfor nyanseres og tilpasses den enkelte teknologien, slik at beslutningen om metodevurdering kan skje på et egnet tidspunkt. Median tid fra bestilling til beslutning for utstyrssaker er over 600 dager. FreeStyle Libre 1 var tatt ut markedet før beslutning forelå. Teknologitvillingen og dynamisk marked krever raskere vurderinger. Hurtige metodevurderinger er ikke velegnet når det er flere beslektede metoder. Vi ser behov for å etablere raskere vurderingsprosesser. Vi spør også om det kan være grunn til å vurdere om det er behov for et separat system for vurdering av medisinsk utstyr, slik man har i blant annet Danmark og Sverige.

Relatert til forrige punkt er spørsmålet om avgrensning av hvilke pasientgrupper og indikasjoner for metodevurderingen foreslås og/eller bestilles. Bestillerforums avgrensning kan være lite hensiktsmessig for eksempel når den ikke sammenfaller med kunnskapsgrunnlaget i saken (som for FreeStyle Libre), eller når endringer av avgrensningen fører til gjentatte metodevurderinger (som for TAVI/TAVR). Uklarheter og unødvendig ressursbruk bør kunne unngås dersom Bestillerforum avstår fra for strikte avgrensninger av medisinske indikasjoner for metoden. Likevel er det selvsagt viktig at det fremgår tydelig hvilke indikasjoner eller diagnoser som omfattes både i metodevurderingen og i beslutningen om innføring. Et spørsmål er hvor ansvaret for å følge opp en eventuell utvidelse av indikasjoner skal ligge. Utvidelse av indikasjoner grenser opp mot det generelle presset i klinikken mot å anvende metoder utover det som er medisinsk indisert, som er et erkjent problem både for pasientsikkerhet og ressursbruk i helseforetakene (jf. Legeforeningens «Kloke valg»-kampanje og flere andre initiativer). Elementet «prinsipielt nye» metoder bør gis en meningsfull avgrensning av hvilke indikasjonsutvidelser for medisinsk utstyr som faller utenfor Nye Metoder.

For mange ikke-legemiddelbaserte metoder, samt i utfasingssaker, vil det trolig være mest aktuelt å bestille fullstendige metodevurderinger – i dagens format eller et tilpasset format. Selv med en reaktiv tilnærming vil det trolig være behov for et mer omfattende utredningsarbeid i forkant av bestillingen enn det som er tilfelle i dag, slik at (tilgrensende) metoder, pasientpopulasjoner og indikasjoner avgrenses på en hensiktsmessig måte.

Et annet forhold er kriterier som handler om finansieringsansvar. En viktig faktor for den lange saksbehandlingstiden for FreeStyle Libre var at det måtte avklares om den falt under folketrygdens eller spesialisthelsetjenestens finansieringsansvar, siden den tilbys av spesialisthelsetjenesten, men anvendes i samarbeid med primærhelsetjenesten. Trolig vil man i framtida måtte håndtere flere andre teknologier hvor må avklare ansvarsforhold mellom primærhelsetjenesten og spesialisthelsetjenesten.

Gitt at Bestillerforum av kapasitetshensyn trolig er henvist til å basere seg på dagens *reaktive* tilnærming, så ser vi det ikke som realistisk å forvente at Bestillerforum vil kunne klare å velge ut ikke-legemiddel-saker med noen høy grad av systematikk, selv med forbedrede kriterier. Vi ser derfor behov for tydeliggjøring eller presisering av de svært høye ambisjonene for Nye metoders totale virkeområde fra departementets side. Redusert måltrengsel er ønskelig ikke bare av hensyn til Bestillerforums

arbeidssituasjon, men også for å avklare for aktører og interessenter hva som kan forventes av systemet – hvilke metoder skal man forvente at systemet skal håndtere? Dette vil bidra til bedre forutsigbarhet, transparens, og i siste rekke – styrket tillit til systemet for Nye metoder.

Dernest ser vi behov for tydeliggjøring av utvelgelseskriteriene og anvendelsen av dem. De fire kriteriene fra det udaterte dokumentet som ble nevnt ovenfor fortøner seg for oss som et godt utgangspunkt for videre arbeid med dette i Bestillerforum.

6.3 Tids- og ressursbruk

I dette avsnittet vil vi belyse hvor lang tid det tar før legemidler innføres i Norge. Analysene er basert dels på forskning og utredning som sammenlikner ulike indikatorer for innføring i ulike land og dels på data fra beslutningsprosessene i Norge. Målet med avsnittet er dels å belyse om vi kan sies å nå målet om rask innføring av nye legemidler (jf. omtale av legemiddelmeldingen i avsnitt 6.1.5)¹¹⁵ og tidsbruken i ulike deler av beslutnings- og innføringsprosessene.

6.3.1 Tidsbruk – tilgang til legemidler i et utvalg land

Det har nylig blitt utviklet mange nye legemidler som kan forbedre utfallet av alvorlige sykdommer. Tilgangen til denne typen legemidler varierer imidlertid mellom landene.

Det er flere vanskeligheter knyttet til å sammenlikne hastigheten på tilgangen til et bestemt legemiddel mellom land, beregnet som antall dager etter at markedsføringstillatelse er gitt av EMA. Definisjonen av «tilgang» er avgjørende. Man kan enten gå ut fra datoen et legemiddel har blitt besluttet innført i det nasjonale beslutningssystemet, eller man kan måle omsetning av det aktuelle legemiddelet. Et problem med sammenlikninger mellom land er at beslutningene på nasjonalt nivå ikke får samme betydning i alle landene. Dessuten kan beslutninger om innføring ha ulike begrensninger. Videre kan det være ulike typer unntaksvis bruk, noe som gjør at omsetningstall ikke nødvendigvis belyser om en metode er innført som ordinær behandling på nasjonalt nivå. Ideelt sett burde «innføring» nyanseres, for eksempel til andel av pasientene med relevant indikasjon som blir behandlet med metoden.

Et annet aspekt er at ulike land i Europa har ulike systemer for kompensasjon, pris og tilskudd. Tyskland har «automatisk» innføring med fri prissetting det første året, umiddelbart etter EMA/Kommisjonens beslutning (OECD, 2018).¹¹⁶ I løpet av dette første året pågår evaluering og prisforhandlinger, som resulterer i en annen (lavere) pris.

Det er ikke beslutningssystemet alene som avgjør hvor raskt legemidler og medisinsk utstyr blir innført. Myndighetene samhandler med leverandørene om metodevurderinger. Leverandørene har strategier for lansering av sine produkter i ulike land. Hvis leverandørene har en strategi hvor et land ikke kommer tidlig inn i markedsføringsstrategien, vil ikke myndighetene kunne framtvinge en tidlig innføring av metoden. Et land med et større marked (dvs. større befolkning), og høy betalingsvillighet, vil trolig inkluderes tidlig i en slik lanseringsplan.

Implikasjonen av disse metodiske utfordringene er at enhver tilgangsanalyse vil være beheftet med svakheter, og det vil trolig kunne rettes berettiget kritikk mot metodevalgene i samtlige av de studiene som gjengis nedenfor.

¹¹⁵ Målformuleringen er «likeverdig og rask tilgang til effektive legemidler».

¹¹⁶ *How Drug Prices Are Negotiated in Germany*. The Commonwealth Fund, 13. juni 2019. Hentet 5. oktober 2021 fra <https://www.commonwealthfund.org/blog/2019/how-drug-prices-are-negotiated-germany>.

Nedenfor refererer vi til en rekke studier som sammenlikner tilgang til legemidler mellom land i Europa. Studiene er basert på ulike metodikk, og dekker ulike perioder og behandlingsmetoder. Resultatene bør tolkes i lys av tolkningsutfordringene beskrevet ovenfor, men basert på resultatene kan man se trender for hvor ulike land plasserer seg i forhold til hverandre når det gjelder legemiddeltilgang. I studiene som presenteres her, plasserer Norge seg blant den halvparten av de europeiske landene som bruker kortest tid til å få tilgang til legemidlene. Men Norge plasserer seg etter England, Danmark og Sverige. Det er ikke entydig om Norge plasserer seg foran eller etter Skottland.

Landanalysen dekker fire land: Sverige, Danmark, England og Skottland. Forskjeller i pasientenes tilgang til legemidler mellom land kan forklares med faktorer som tid til markedsføringstillatelse, tidspunkt for HTA-prosessen og innføringsbeslutning, prissystem (for eksempel «external reference price system» eller verdibasert prising) og den beregnede verdien av legemidlet i metodevurderingene (Uyl-de Groot m. fl., 2020). Anbefalinger om markedsføringstillatelse for europeiske/EU-land (inklusive Norge) gjøres av EMA, noe som betyr at det første skrittet i prosessen tar like lang tid for alle europeiske land. I det følgende gjengis hovedfunn fra et utvalg studier som sammenlikner tilgang til legemidler mellom en rekke europeiske land. Utvalget er ikke resultat av systematiske litteratursøk, men er studier som vi er kjent med hvor Norge er inkludert.

Tilgang – resultater fra noen undersøkelser

En artikkel av Uyl-de Groot m.fl. (2020) analyserer tilgangen til tolv nyregistrerte kreftmedisiner mellom 2011-2018 i 28 europeiske land, unntatt Danmark. Data for salg av legemidler ble hentet fra IQVIAs database. Det bør bemerkes at dataene viser til perioden 2011–2018, noe som betyr at at Norges system for Nye Metoder og Sveriges *Nationellt ordnat införande* ennå ikke var på plass i de første årene som studien omfatter. Av landene som inngår i landstudien er Storbritannia på plass nummer to, med 22 dager til første pasient. Sverige er på plass nummer fire, med 37 dager, og Norge er på plass nummer åtte, med 118 dager. Gjennomsnittet for «tid til marked» (TTM, «time to market») i de 28 europeiske landene var 398 dager (17–1187 dager). Eksempler på land med lengre TTM enn Norge var Nederland (128 dager), Spania (303 dager), og Belgia (392 dager).

En artikkel av Detiček m. fl. (2018) gjelder tilgang til legemidler mot sjeldne lidelser («orphan drugs») som ble godkjent i 22 land i perioden 2005–2014. Salgsdata fra IMS (nå IQVIA) for samme periode ble brukt, noe som betyr at Nye metoder og Sveriges system for *Nationellt ordnat införande* ennå ikke var på plass. Tyskland hadde den korteste mediantiden fra tidspunkt for markedsføringstillatelse til bruk (cirka tre måneder). Storbritannia, Sverige, Norge og Sveits hadde en mediantid på cirka seks måneder, mens Østerrike, Finland, Frankrike og Hellas hadde tilgang til halvparten av legemidlene etter mellom ni måneder og ett år. Danmark står ikke på listen.

En studie utført av IQVIA på vegne av EFPIA sammenliknet tilgang (accessibility) til legemidler for 34 land i Europa.¹¹⁷ IQVIA definerer begrepet «tilgang» som når det besluttes at det aktuelle legemiddelet skal få «public reimbursement», eller altså refusjon, eller at det besluttes at det skal tas i bruk i tjenesten. For Norge, er dette datoen legemiddelet er godkjent for refusjon i folketrygden eller Beslutningsforum har fattet beslutning om innføring i spesialisthelsetjenesten. Denne beslutningen sier ikke nødvendigvis så mye om omfanget av bruken. Studien dekket de 172 legemidlene som ble anbefalt godkjent av EMA i perioden 2015–2018. Legemidlene dekker også legemidler som anvendes utenfor spesialisthelsetjenesten. Ser vi på antallet av de 172

¹¹⁷ EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2019 Survey. IQVIA, mai 2020. Hentet 7. oktober 2021 fra <https://efpia.eu/media/554526/patients-wait-indicator-2019.pdf>.

legemidlene som er tilgjengelige i hvert land, rangerer Norge som nummer 11 av 34 (101 legemidler), mens Danmark rangerer som nummer to (145 legemidler), England som nummer sju (120 medisiner), Sverige som nummer ti (108 legemidler), og Skottland som nummer 13 (95 legemidler). Gjennomsnittet for Europa er 85 legemidler.

For de 43 onkologilegemidlene som ble anbefalt godkjent av EMA i perioden 2015–2018, deler Norge og Skottland på plass nummer 13–14 (26 legemidler). Danmark og England deler plass nummer 3–4 (36 legemidler), mens Sverige og Belgia deler plass 10–11 (29 legemidler).

Når det gjelder median tilgang¹¹⁸ for alle legemidler, har Norge plass nummer 18 av 28 land (436 dager), mens Danmark har plass nummer tre (81 dager). Sverige har plass nummer fem (195 dager), England har plass nummer åtte (293 dager) og Skottland har plass nummer tolv (356 dager). For onkologilegemidler gjentar mønsteret seg. Når det gjelder disse legemidlene har Danmark plass tre (61 dager), Sverige plass seks (203 dager), England plass sju (332 dager), Skottland plass elleve (358 dager) og Norge plass 17 (483 dager).

I 2021 utførte IQVIA – på oppdrag fra LMI – også en studie om legemiddeltilgang for sykehuslegemidler i Norge.¹¹⁹ Studien er basert på salgsdata hentet fra IQVIA MIDAS-database, som skiller seg noe fra den forrige studien utført av IQVIA, på vegne av EFPIA. Rapporten fra 2021 dekker de ni landene Norge har valgt som referanseland for prising: Sverige, Finland, Danmark, Tyskland, Nederland, Østerrike, Belgia og Irland. Ett år etter salgsstart ligger Norge på plass nummer åtte av ti land, basert på opptaksnivået per capita. Referanselandene som har en lavere rangering enn Norge, er Belgia og Irland. To år etter det første salget, ligger Norge på plass nummer sju av ti, og da er også Finland rangert lavere enn Norge, i tillegg til Belgia og Irland. Det samme mønsteret gjelder også tre år etter første salg.

En annen type studie ble utført av Hofmarcher m. fl. (2019). Den beregnet «standard weekly dose» (SWD) per person med tilstanden, for en rekke kreftformer som brystkreft, lungekreft, prostatakreft, etc., for 26 europeiske land. Resultatene for landene var ikke entydige, og varierte med kreftform. For eksempel hadde Norge det høyeste legemiddelopptaket for brystkreft, uttrykt som salg i SWD per tilfelle, av de 26 landene. For andre kreftformer lå Norge nærmere midten av «feltet».

Vi ser at flere av studiene gir liknende resultater, selv om de benytter ulik metodikk. England, Danmark og Sverige ligger vanligvis foran Norge når det gjelder legemiddeltilgang, mens Skottland noen ganger ligger foran, og noen ganger bak. Iblant er ikke Skottland inkludert i studien som et separat land. Land som Finland, Belgia og Irland henger imidlertid ofte etter Norge. Studiene i vårt utvalg omhandler ikke forklaringer på forskjellene mellom landene.

6.3.2 Forløpsanalysen – tidsbruk i saksbehandlingen

Vi har fått data for alle saker som er meldt inn til Nye metoder. Det er sekretariatet som har gjort uttrekket. For hver sak har vi fått informasjon om blant annet:

¹¹⁸ Definert som: «The medicine has received a positive reimbursement decision by NoMA (out-patient drugs), or the Decision Forum for New Technologies has recommended the introduction of the new drug into hospitals (hospital drugs).»

¹¹⁹ *Tilgjengelighet av legemidler, fase 1*. Powerpoint laget av IQVIA for LMI, 4. oktober 2021. IQVIAS oppdrag for LMI var todelt. Vi har kun brukt del 1 (analyse av omsetningstall for legemidler) som kilde. Legemiddelverket har i brev av 19. august 2021 til HOD, Proba, LMI og IQVIA rettet kritikk mot studien. Vi er i hovedsak enig i de metodeproblemene Legemiddelverket påpeker, men mener likevel at resultatene og konklusjonene virker holdbare. Både Legemiddelverket og Sykehusinnkjøp har også kritisert del 2 av IQVIAs leveranse, som tar sikte på å identifisere årsaker til ulikhetene mellom landene. Denne delen har vi valgt å ikke bruke som kilde.

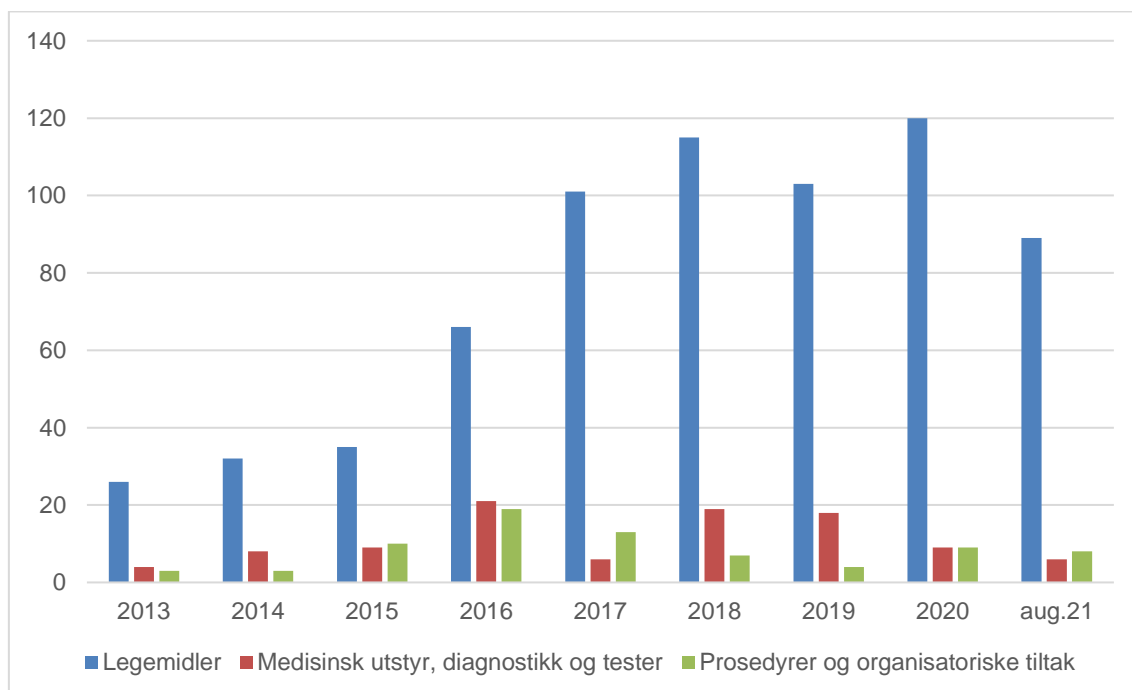
- Hvem som har foreslått vurdering av metoden
- Hva slags metode saken gjelder (legemidler, utstyr, annet, mv. samt indikasjon (ACT-kode))
- Når Bestillerforum behandlet forslaget
- Bestillerforums beslutning (hurtig, fullstendig, forenklet metodevurdering eller begrunnelse for å ikke vurdere metoden)
- Når metodevurderingen startet i Folkehelseinstituttet eller Statens legemiddelverk. For hurtige metodevurderingen er dette samme dato som (første leveranse av) dokumentasjonen var mottatt fra leverandør
- Dato for ferdigstilling av vurderingsrapport
- Dato for første, andre og eventuelt seneste gangs behandling i Beslutningsforum og utfallet av seneste behandling

Uttrekket inneholder 877 saksnummer. I analyse av tidsbruk, har vi valgt å se bare på saker som er behandlet i Beslutningsforum. Dette innebærer at vi ikke dekker saker som er under arbeid. Det finnes blant annet en del saker som har ligget lenge i påvente av dokumentasjon fra leverandør.

Figur 6-1 viser utviklingen i antall saker behandlet i Bestillerforum, det vil si antall saker som er vurdert for metodevurdering. Figuren viser at det var sterk vekst i antall saker fram til 2017. I perioden 2017-2020 ble det behandlet mellom 120 og 140 saker per år. Uttrekket fra fagsystemet ble gjort i august 2021, og tallene for 2021 er dermed ikke sammenliknbare med årene før.

Det er saker knyttet til legemiddelbaserte metoder som har drevet utviklingen. Etter å ha nådd en topp i 2016, har antall saker knyttet til andre typer metoder ligget på moderate nivåer de senere årene.

Figur 6-1: Antall saker behandlet i Bestillerforum, fordelt på år og metodetype (n=852)



Kilde: Proba på grunnlag av uttrekk fra fagsystemet for Nye metoder

Tabell 6-3 viser at om lag 79 prosent av sakene behandlet i Bestillerforum (677 av 852) gjaldt legemidler. I nesten halvparten (46 prosent) av sakene ble det besluttet å

gjennomføre hurtig metodevurderinger. Det er relativt få fullstendige metodevurderinger (fire prosent av alle).

36 prosent av sakene blir enten avvist eller det blir tatt en annen beslutning enn å bestille metodevurdering. Den sistnevnte samlekategorien er svært heterogen, og inneholder en lang rekke ulike typer utfall, herunder mini-metodevurderinger, utsettelse i påvente av bedre beslutningsgrunnlag, inkludering i fullstendige metodevurderinger, direkte oversendelse til beslutning uten ytterligere utredning, avvisning på formelt grunnlag (for eksempel fordi RHF-ene ikke har finansieringsansvar), mv. Kategorien inneholder altså både en avvisning av metodevurdering, en minivurdering og direkte oversendelse til beslutning.

Tabell 6-3: Saker behandlet i Bestillerforum. Antall og fordeling på sakstype, utfall og type behandling. 2013-august 2021.

Andeler	Legemidler	Medisinsk utstyr, diagnostikk og tester	Prosedyrer og organisatoriske tiltak	Totalt
Forenklet	18 %	10 %	9 %	16 %
Fullstendig	1 %	9 %	26 %	4 %
Hurtig	56 %	14 %	3 %	46 %
Avsluttet/avvist	8 %	29 %	38 %	13 %
Annet	17 %	37 %	54 %	23 %
Sum	100 %	100 %	100 %	100 %
Antall	677	99	76	852

Kilde: Proba på grunnlag av uttrekk fra fagsystemet for Nye metoder

Det er store forskjeller hvor vanlige ulike beslutninger er for ulike typer behandlinger. Hurtige metodevurderinger er vanlig (56 prosent) for legemidler, men lite brukt på prosedyrer, mv. Dette har trolig sammenheng med at hurtige metodevurderinger skal bygge på dokumentasjon fra leverandører. Fullstendige metodevurderinger er – trolig av samme grunn – ganske vanlig for prosedyrer, mv. og minst brukt på legemidler.

Den er stor forskjell i andelen av de ulike metodetypene som blir underlagt nasjonal metodevurdering. Tre av fire legemiddelbaserte saker blir underlagt en form for nasjonal metodevurdering (forenklet, hurtig eller fullstendig). Tilsvarende gjelder bare en av tre utstyrsbaserte metoder og 38 prosent av «prosedyrer og organisatoriske tiltak».

Av de 235 sakene som har vært gjennom hurtige metodevurderinger og som er behandlet i Beslutningsforum, gjelder 227 legemidler og åtte «utstyr, diagnostikk og tester» (Tabell 6-4). Av legemiddelsakene har om lag en fjerdedel fått avslag (skal ikke innføres) ved siste gangs behandling. Vel 60 prosent er blitt innført i samsvar med den bruk som ble lagt til grunn i Bestillerforums beslutninger om metodevurdering, mens ytterligere ni prosent er blitt innført «med vilkår».

Bare tre metoder basert på medisinsk utstyr, mm. er blitt helt eller delvis innført etter å ha vært underlagt hurtig metodevurdering.

Tabell 6-4: Antall saker som har gjennomgått hurtig metodevurdering fordelt på type metode og utfall i beslutningsforum.

	Legemidler	Medisinsk utstyr, diagnostikk og tester	Sum
Kan innføres	138	2	140
Kan innføres med vilkår	20	1	21
Skal ikke innføres	58	4	62
Revurdering	8		8
Annet	3	1	4
Totalsum	227	8	235

Kilde: Proba på grunnlag av uttrekk fra fagsystemet for Nye metoder

Tabell 6-5 viser antall saker som har gjennomgått fullstendige metodevurderinger og utfall av disse. Det har vært flere fullstendige metodevurderinger av utstyr, mv enn av legemidler. For denne typen metoder, er det også noe flere beslutninger om innføring basert på fullstendige enn på hurtige vurderinger.

Tabell 6-5: Antall saker som har gjennomgått fullstendig metodevurdering fordelt på type metode og utfall i beslutningsforum.

Beslutning	Legemidler	Medisinsk utstyr, diagnostikk og tester	Prosedyrer og organisatoriske tiltak	Totalsum
Kan innføres	1	5	8	14
Kan innføres med vilkår	1	-	1	2
Skal ikke innføres	-	2	-	2
Annet	4	1	5	10
Sum	6	8	14	28

Kilde: Proba på grunnlag av uttrekk fra fagsystemet for Nye metoder

Tabell 6-6 viser at av de sakene som er blitt behandlet i Bestillerforum etter å ha gjennomgått forenklet metodevurdering, er legemidler i stort flertall. Tilsvarende gjelder kun én utstyrssak. Dette må ses i lys av at Folkehelseinstituttet – som vurderer utstyr – begynte med forenklet vurdering først i 2020.

Vi har videre sammenstilt data om tid mellom ulike milepæler i behandlingen av metodene. Ettersom det gjennom intervjuer eller i andre sammenhenger er blitt tatt opp at det har tatt lang tid fra forslag til Bestillerforum har behandlet metoden første gang, har vi valgt å bruke Bestillerforums første behandling av saken som start på prosessen.

Tabell 6-6: Antall saker som har gjennomgått forenklet metodevurdering fordelt på type metode og utfall i beslutningsforum.

	Legemidler	Medisinsk utstyr, diagnostikk og tester	Prosedyrer og organisatoriske tiltak	Totalsum
Kan innføres	24	-	2	26
Kan innføres med vilkår	2	1	-	3
Skal ikke innføres	11	-	1	12
Annet	-	-	1	1
Totalsum	37	1	4	42

Kilde: Proba på grunnlag av uttrekk fra fagsystemet for Nye metoder

Vi har fått dato også for følgende milepæler:

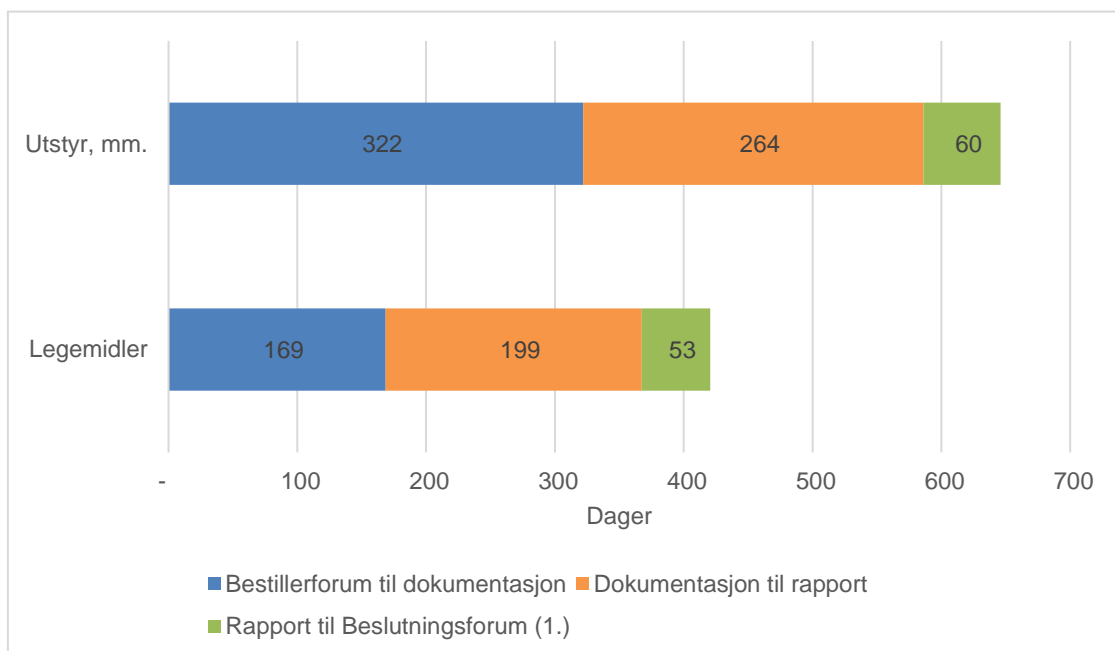
- Oppstart av metodevurdering: Denne betegnelsen er ikke helt treffende. I hurtige metodevurderinger er dette datoen da Folkehelseinstituttet eller Statens legemiddelverk har mottatt fullstendig dokumentasjon fra leverandør. Før dette har det vært et internt arbeid i Legemiddelverket eller Folkehelseinstituttet, og det har i de fleste sakene vært et møte og annen kommunikasjon med leverandøren om dokumentasjonen, mv. Betegnelsen «oppstart» er mer treffende for fullstendige metodevurderinger, der leverandørene ikke leverer dokumentasjon
- Ferdig metodevurdering: Rapport foreligger
- Behandling i Beslutningsforum: Vi har dato for 1., 2. gangs og seneste behandling. Det vil kunne være saker som er behandlet av Beslutningsforum og som vil bli behandlet flere ganger. Vi vet derfor ikke om den siste datoen vi har vil vise seg å bli den endelige.

I disse dataene har vi utelatt metoder der Bestillerforum har besluttet at det ikke skal gjennomføres metodevurdering samt saker som ikke er behandlet i Beslutningsforum. Vår intensjon er å belyse saker som er ferdige, men vi vet ikke sikkert om sakene vil komme opp til beslutning flere ganger.

Det er en del spesielle forløp og kanskje også noen feilregistreringer knyttet til en del av sakene. Konsekvensen er at vi ser at det er en del resultater som per definisjon ikke skal være mulige. For eksempel er det saker som tilsynelatende er behandlet i Beslutningsforum før de er behandlet i Bestillerforum første gang, saker der metodevurderingen er ferdigstilt før dokumentasjon er mottatt, mv. Vi har ikke hatt kapasitet til å gå inn i hver av disse sakene for å finne ut om det forløpet som er spesielt eller om det er feilregistreringer som gir slike resultater. For eksempel er det 20 metoder der ferdigstilt metodevurdering kommer før oppstart av metodevurderingen. De fleste forløpene ser imidlertid ut til å være korrekte. Vi har valgt å legge vekt på medianverdier. Dette gir mindre vekt på ekstremverdier som kan være resultat av feilregistreringer eller svært utypiske forløp.

Vi mener det er liten grunn til å lage samlet framstilling av ulike typer metodevurderinger, blant annet fordi arbeidsprosessene kan være ganske ulike. Forløp for henholdsvis hurtige og fullstendige metodevurderinger vises derfor hver for seg.

Figur 6-2: Varighet av ulike faser i hurtige metodevurderinger. Saker behandlet i beslutningsforum. Medianverdier av antall dager.



Figur 6-2 viser (median) varighet i dager for legemidler og utstyr. Det blå feltet og antall dager i feltet angir tid fra Bestillerforums beslutning om metodevurdering til leverandøren har levert dokumentasjonspakke. Rød viser tiden fra dokumentasjonen er mottatt til metodevurderingsrapporten er levert. Grønn viser tiden fra ferdig rapport til (foreløpig) siste beslutning i Beslutningsforum. Det er 233 saker som inngår i grunnlaget for beregningene.

Man ser at vurderingene av utstyr tar betydelig lengre tid enn legemidler. Forskjellen skyldes primært den første fasen, det vil si tiden det tar før dokumentasjon foreligger. Det er to faktorer som i hovedsak kan gjøre at det tar lang tid før metodevurderingen kommer i gang. For det første fatter Bestillerforum ofte beslutning om metodevurdering før metoden er blitt godkjent for bruk i Norge. Leverandørene sender ofte ikke inn fullstendig dokumentasjon før markedsføringstillatelse foreligger. For det andre tar det – av andre grunner – ofte lang tid før dokumentasjonen oversendes.

Medianverdien av Folkehelseinstituttets tidsbruk fra dokumentasjonen foreligger til metodevurderingen er ferdig er 264 dager. Tilsvarende for Statens legemiddelverks arbeid med legemidler er 199 dager. I vurderingen av lengden på fasen fra oppstart til ferdig rapport, må man ta hensyn til at Legemiddelverket og Folkehelseinstituttet i mange av sakene ber om tilleggsinformasjon fra leverandørene, og at varighetene angitt over inkluderer perioder med «klokkestopp», det vil si perioder der de to virksomhetene venter på tilleggsinformasjonen. Normen som er satt for saksbehandlingstiden gjelder tid utover den tiden de venter på tilleggsinformasjon. Begge institusjoner har satt 180 dager som norm for egen tidsbruk.

Våre data gjør det ikke mulig å si hvor ofte institusjonene bryter egen norm. Vi har imidlertid fått tilgang til resultater av en analyse som sekretariatet for Nye metoder har gjennomført, og som kan bidra til å belyse hvor mye av tid klokkestopp tar av tidsbruken fra oppstart til avslutning av metodevurderinger. Analysen gjelder tidsbruk for vurdering av legemiddelbaserte metoder som ble behandlet i Beslutningsforum for første gang i løpet av 2020. I tillegg til data fra fagsystemet har sekretariatet hentet informasjon fra metodevurderingsrapportene fra Statens legemiddelverk om «klokkestopp», det vil si

antall dager Legemiddelverket har ventet på tilleggsinformasjon fra leverandørene. Sekretariatet har i sin analyse beregnet gjennomsnittstall. De finner at for de 48 metodene som omfattes av deres beregninger, tok det 249 dager fra oppstart til avslutning av metodevurderingen. I denne perioden var det 52 dager med «klokkestopp». Gjennomsnittlig reell behandlingstid hos Legemiddelverket var dermed 197 dager. Videre viser beregningene også at det vanligvis ikke er noen forsinkelse fra beslutningsgrunnlaget er klart (saken er oversendt til RHF-ene) til behandling i Beslutningsforum. I gjennomsnitt forelå beslutningen 23 dager etter oversendelse. Når man tar hensyn til at Beslutningsforum møttes elleve ganger i 2020, betyr dette at sakene vanligvis sendes Beslutningsforum uten forsinkelse. Våre tall tyder på at det ofte tar lengre tid å ta beslutning i fullstendige metodevurderinger enn hurtige (jf. sammenligning av figurene Figur 6-2 og Figur 6-3).

Sekretariatet finner også at det i gjennomsnitt tok 273 dager fra dokumentasjon var bestilt til den den var mottatt hos Statens legemiddelverk. Men i gjennomsnitt tok det «bare» 80 dager fra markedsføringstillatelse til dokumentasjonen var mottatt.

Etter at rapportene foreligger, tar det henholdsvis 53 og 60 dager (mediantall) før de behandles i Beslutningsforum første gang. I perioden fra ferdig rapport til behandling i Beslutningsforum kan det være flere ulike typer prosesser som pågår. I mange av sakene pågår det prisforhandlinger mellom leverandør og Sykehusinnkjøp etter at metodevurderingsrapporten er ferdig. I disse sakene skriver Sykehusinnkjøp også et prisnotat som sendes til fagdirektørene. I andre saker er forhandlingene avsluttet før rapporten.

I alle saker utarbeider fagdirektørene en innstilling. Det kan også være andre aktiviteter knyttet til sakene etter at rapporten er ferdig. For eksempel hender det at fagdirektørene innhenter mer informasjon, har møter med brukere, mv. I vårt materiale er det ikke informasjon om disse forholdene.

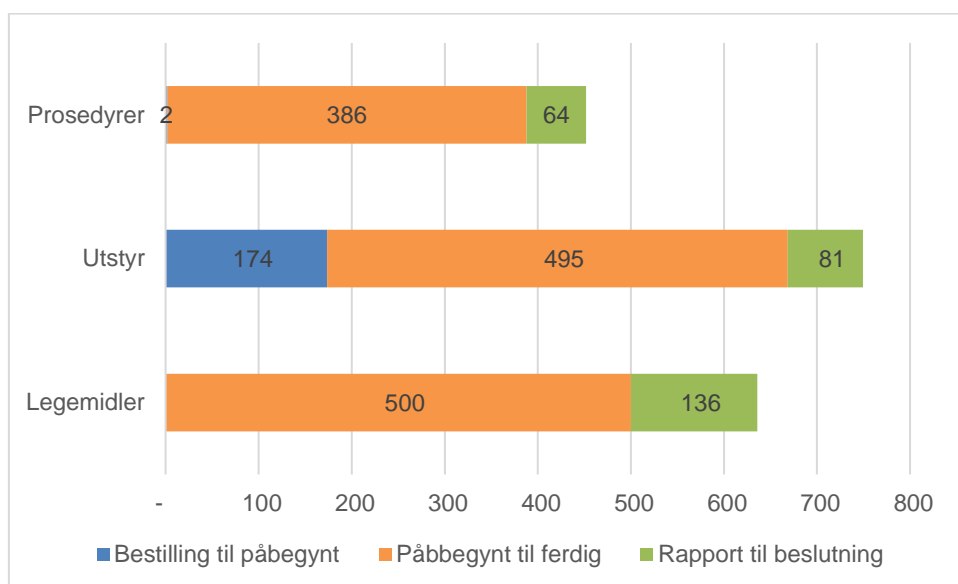
Sykehusinnkjøp har i en e-post til oss presentert en oversikt over 98 legemiddelsaker behandlet fra begynnelsen av 2020 og delt inn den tiden det tar fra saken kommer til Sykehusinnkjøp og til prisnotat sendes Beslutningsforum i tre typer tidsbruk. Tidsbruk er regnet som gjennomsnitt:

- Venting på ferdig metoderapport fra Statens legemiddelverk: Fem dager
- Venting på prisopplysninger fra leverandøren: 38 dager
- Behandling i Sykehusinnkjøp: 24 dager

En del saker kommer til behandling i Beslutningsforum flere ganger. Av de 233 hurtige metodevurderingene som er kommet til beslutning, er 76 blitt behandlet minst to ganger og 22 tre eller flere ganger. Fra rapport til første beslutning tar det 55 dager (median, alle typer saker), men hele 210 og 401 dager fra ferdig rapport til henholdsvis andre og tredje/seneste beslutning.

Figur 6-3 viser median varighet av ulike ledd i fullstendige metodevurderinger. Vi gjør oppmerksom på at beregningene er basert på bare 27 saker. Blant disse er det bare fire legemiddelsaker.

Figur 6-3: Varighet av ulike faser i fullstendige metodevurderinger. Saker behandlet i beslutningsforum. Medianverdier av antall dager



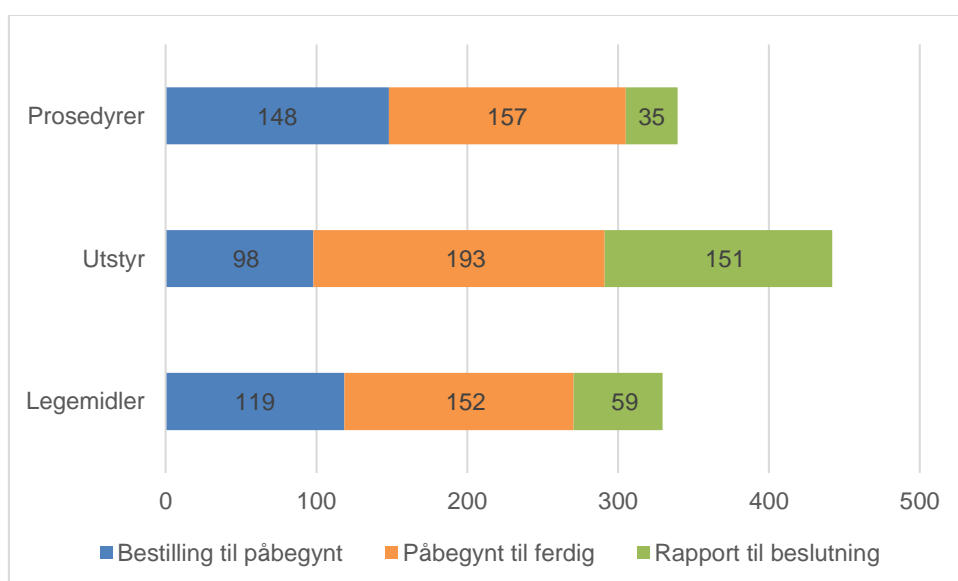
For legemidler og prosedyrer, mv. er flertallet av sakene oppgitt med samme dato for behandling i Bestillerforum og oppstart av metodevurderingen.

På hjemmesiden til Nye metoder heter det om Folkehelseinstituttets arbeid med fullstendige metodevurderinger:¹²⁰

Tidsaspektet for gjennomføring av en fullstendig metodevurdering er 6-12 måneder fra problemstilling er presisert og fagekspert til oppdraget er rekruttert.

Dato for rekruttering av fagekspert er ingår ikke i data vi har fått fra sekretariatet.

Figur 6-4: Varighet av ulike faser i forenklede metodevurderinger. Saker behandlet i beslutningsforum. Medianverdier av antall dager



¹²⁰ <https://nyemetoder.no/om-systemet/metodevurderinger>

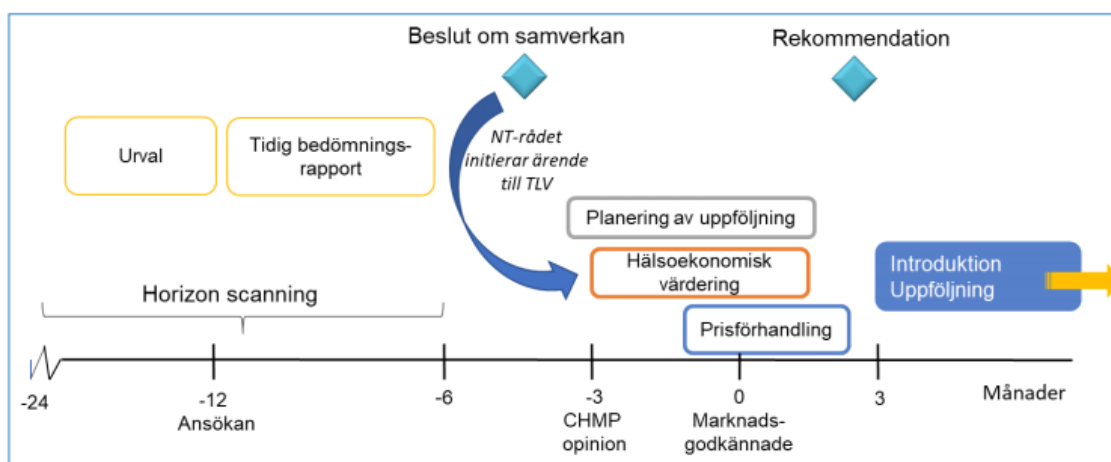
Vi har også sammenstilt data for tidsbruk i forenklete metodevurderinger (jf. Figur 6-4). Denne prosedyren går raskere enn de to andre. Merk at det kun er én utstyrsbasert metode som er kommet til beslutning etter forenklet metodevurdering.

6.3.3 Tidsbruk fra landanalysen

Sverige

For Sverige starter den nasjonale prosessen for innføring av nye legemidler når EMA Scientific Committee (CHMP) gir en positiv uttalelse («positive opinion»).¹²¹ TLV gjør deretter en helseøkonomisk vurdering, etter å ha mottatt dokumentasjon fra leverandøren. Imidlertid kan TLV og leverandøren ha kontakt også før dette, for å undersøke vilkårene for vurdering. Dette er for å muliggjøre en raskere behandling. Den helseøkonomiske vurderingen kan gjennomføres innen få måneder etter markedsføringsgodkjenning. Målet er at det skal gå maksimalt 40 dager mellom TLVs presentasjon av det fullførte helseøkonomiske kunnskapsgrunnlaget, og publiseringen av NT-rådets innstilling.¹²² Godkjenningsprosessen er beskrevet i Figur 6-5.

Figur 6-5: NT-rådets anbefaling innenfor rammen av Nationellt ordnat införande¹²³



Danmark

Etter at *Medicinrådet* i Danmark har mottatt en anmodning om å vurdere et nytt legemiddel, lages det en tidsplan for vurderingen.¹²⁴ Det er normer for Medicinrådets

¹²¹ Ca. ni måneder etter søknaden til EMA, kommer komiteen for legemidler til mennesker (CHMP) med en anbefaling. Den formelle markedsføringsgodkjenningen gis deretter av EU-kommisjonen innen ytterligere tre måneder, totalt ca. 12 måneder etter søknaden.

¹²² *Oppdragsbeskrivning NT-rådet*. Janusinfo, 6. mars 2020. Hentet 5. oktober 2021 fra: [Oppdragsbeskrivning NT-rådet \(janusinfo.se\)](https://janusinfo.se)

¹²³ *Policy för NT-rådets uppskattning av samhällets betalningsvilja*. Janusinfo, 20. mai 2021. Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://janusinfo.se/download/18.620884d01797fb131ed9bebe/1622012743434/Bedomning-av-betalningsvilja-210520.pdf>

¹²⁴ *Medicinrådets metodevejledning for vurdering af nye lægemidler*. Medicinrådet, 3. februar 2021. Hentet 5. oktober 2021 fra:

behandling. Normalt skal det ikke gå mer enn 12 uker fra en søknad, inkludert helseøkonomiske analyse, foreligger og til utkast til vurderingsrapport sendes til leverandøren med en eventuell revisjon av den helseøkonomiske vurderingen. Deretter skal det ta maksimalt fire uker før resultat av prisforhandlinger inkorporeres og Rådet utformer sin anbefaling om innføring. Normen er altså totalt 16 uker.

I prosessveiledningen framgår det at *Behandlingsrådet* har en forventet saksbehandlingstid på 5–8 måneder på metodevurderinger. Saksbehandlingstiden starter den dagen som rådet beslutter å iverksette metodevurderingen (Dag 0), og pågår fram til den dagen som rådet avgir sin anbefaling.

Behandlingsrådet opplyser at grunnen til at deres prosess tar lengre tid enn Medicinrådet er at virkeområdet er mye bredere, noe som krever at evalueringsdesignet må tilpasses fra gang til gang. Dessuten har Medicinrådet stående fagutvalg, mens Behandlingsrådet må nedsette fagutvalg fra sak til sak for at det skal inneha den nødvendige kompetansen.

England

Saksbehandlingstiden for legemidler etc. som vurderes etter Single Technology Appraisal (STA), kan være mellom 40-50 uker, avhengig av resultatet av høringen. Endelig beslutning fattes innen 290 dager (cirka 41 uker).¹²⁵ Total tidsbruk inkludert eventuell foreløpig anbefaling (ACD) er 350 dager (50 uker). England reviderer nå sitt system, noe som kan føre til endringer i tidsbruk.

Skottland

SMC krever at leverandørene leverer inn forslaget så snart som mulig etter å ha fått klarsignal fra Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP).

Tidsbruk for metodevurderingen i SMC er normalt 18 uker, fra en metode leveres for vurdering til anbefalingen er publisert.¹²⁶ Tidsbruk på 22-26 uker forventes for metodevurderinger som inkluderer:

- end of life / orphan medicines that require a Patient and Clinician Engagement (PACE) meeting
- medicines with a complex patient access scheme (PAS), and
- occasionally for complex submissions e.g. ones which include multiple clinical studies or analyses

Det tar om lag fire uker å behandle forslag om enkel PAS (flat rabatt og ingen særlige vilkår) (jf. «PAS Guidance»). Komplekse PAS krever minst åtte ukers behandlingstid.

6.3.4 Om tidsbruk i eksempelsakene

Eksempelsakene kan brukes til å forklare tidsbruken i metodevurderingene. Det er en rekke ulike forhold som har gitt uvanlig behandlingstid.

Vi vil understreke at eksempelsakene ikke er ment å være representative, men er valgt for at de skal kunne belyse bestemte aspekter ved Nye metoder. For eksempel er noen

https://medicinraadet.dk/media/hciai0yz/mediciner%C3%A5dets_metodevejledning_for_vurdering_af_nye_l%C3%A6gemidler-vers-1-2_adlegacy.pdf

¹²⁵ *Single technology appraisal (STA) timeline*. Hentet 12. November 2021 fra <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/technology-appraisal-guidance/process/sta-timeline>

¹²⁶ Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://www.scottishmedicines.org.uk/making-a-submission/>

forslag fra referansegruppa om vi skulle vurdere en bestemt sak eksplisitt begrunnet med at den har tatt lang tid.

Tabell 6-7: Tidsbruk mellom milepæler i eksempelsakene. Antall dager

Metode	Fra Bestillerforum til oppstart	Fra oppstart til ferdig rapport	Fra ferdig rapport til første beslutning	Fra første til siste beslutning
Ocrevus	-7	478	166	581
Fullstendig RRMS	0	490	84	-
Zynteglo	197	213	164	-
Spinraza (barn)	123	101	14	364
FreeStyle Libre	193	241	63	203
TAVI/TAVR (ID_2016_076)	175	759	81	1624
TAVI/TAVR (2019_089)	141	350	118	-
Revlimid (Lenalidomid)	239	287	76	-
Spinraza (voksne)	-	-	-	-
Lorviqua	217	178	67	-
Luxturna	892	305	119	511
Akromionreseksjon	121	149	66	-

Kilde: Proba, basert på uttrekk fra fagsystemet i Nye metoder

I forbindelse med Ocrevus ble metodevurderingen påbegynt før Bestillerforum behandlet saken (og lenge før markedsføringstillatelse).

I den fullstendige metodevurderingen av RRMS var det ikke aktuelt å bestille dokumentasjon, og oppstart er definert ved beslutning i Bestillerforum. Den opprinnelige saken gjaldt både PPMS og RRMS. Vi har brukt bestillingen av denne vurderingen som oppstartsdato. Beslutningen om å dele saken, ble tatt om lag ni måneder senere, etter forslag fra Folkehelseinstituttet.

TAVI/TAVR ble behandlet som to saker, med to ulike utvidelser av bruk av metoden. Det er angitt 1624 dager fra ferdig rapport til beslutning for den første av disse sakene. Dette har sammenheng med at det ikke ble fattet noen substansiell beslutning da den første saken var oppe i Beslutningsforum. Formelt sett, ble den første saken behandlet bare en gang i Beslutningsforum, men det som ble vurdert i den første saken ble tatt opp til substansiell beslutning først sammen med den andre saken.

Det er ikke angitt oppstartsdato for vurdering av Spinraza for voksne på Nye metoders hjemmeside.

Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet har brukt mellom 101 og 759 dager på de hurtige metodevurderingene. Sammenholder man dette med tidsbruken alle sakene

(jf. avsnitt 6.3.2), ser man at eksempelsakene ikke kan sies å være typiske, men snarere tenderer til å skille seg ut ved å ha tatt lang tid.

Også tid fra ferdig rapport til første beslutning om innføring har tatt lang tid i en del saker. I de sakene som er behandlet flere ganger i Beslutningsforum, har flere runder tatt mye tid, sammenliknet med tidligere ledd i prosessene.

Eksempelesakene kan blant annet illustrere følgende årsaker kan føre til at prosessene tar lang tid:

- a) Markedsføringstillatelse foreligger lenge etter forslag/metodevarsel: Gjelder Ocrevus
- b) Oppnevning av klinkere til metodevurderingen har tatt lang tid: Gjelder akromionreseksjon)
- c) Det har tatt lang tid å få dokumentasjon fra leverandøren, og det har vært flere runder med innhenting av dokumentasjon. Gjelder flere saker.
- d) Statens legemiddelverk eller Folkehelseinstituttet har brukt lang tid fra oppstart til fullføring av metodevurdering
- e) Statens legemiddelverk eller Folkehelseinstituttet har gått tilbake til Bestillerforum for å be om endringer i oppdraget (akromionreseksjon)
- f) Det har tatt lang tid fra ferdig metodevurdering til første gangs behandling i Beslutningsforum
- g) Forhandlinger om pris pågått lenge etter at metodevurderingsrapporten er ferdigstilt (Revlimid)
- h) Saken har vært behandlet flere ganger i Beslutningsforum (Ocrevus, Spinraza)

Vi vil her kort kommentere disse eksemplene, hva vi vet om årsakene til tidsbruken. Videre drøfter vi mulige tiltak for å redusere tidsbruken.

Ad a): Aktørene i metodevurderingene i Norge har ikke kontroll med når markedsføringstillatelse kommer. Ofte fattes beslutning om bestilling av metodevurdering på basis av en forventning om markedsføringstillatelse. Noe av arbeidet med metodevurderingene starter i en del saker før det er gitt markedsføringstillatelse, men dette varierer betydelig fra sak til sak. For å sikre raskest mulig beslutning om innføring, er det en fordel at Bestillerforum beslutter å bestille metodevurdering før markedsføringstillatelse foreligger. Hvis lang varighet fra beslutning om metodevurdering til oppstart av metodevurdering skyldes venting på markedsføringstillatelse, kan man – etter vår mening – ikke se dette som en svakhet ved Nye metoder. Man kan snarere se det som et potensielt problem at man starter å bruke ressurser på saken før man vet at markedsføringstillatelse gis. Ocrevus og Luxturna er eksempler på saker hvor det tok lang tid før markedsføringstillatelse forelå. Med unntak for Luxturna har det tatt mellom 123 og 239 dager å få dokumentasjon fra leverandørene.

Luxturna skiller seg ut ved at det tok svært lang tid fra det ble besluttet hurtig metodevurdering til dokumentasjon ble levert. Dette kan i hovedsak forklares med at markedsføringstillatelse ble gitt først mer enn to år etter behandlingen i Bestillerforum. Dokumentasjon ble levert om lag to måneder etter dato for markedsføringstillatelsen, noe som er raskere enn i noen av de andre sakene.

Ad b): I vurderingen av akromionreseksjon var store regionale forskjeller i bruk av metoden en sentral del av begrunnelsen for å gjennomføre metodevurderingen. Derfor ble det også lagt vekt på å få oppnevnt klinikere fra hver av helseregionene. Dette tok ganske lang tid. Vi har ikke fått informasjon om at oppnevning av klinikere har bidratt til vesentlig forsinkelse i andre av eksempelsakene.

Statens legemiddelverk har i intervju opplyst at det er få eksempler på at oppnevning av klinikere har gitt vesentlige forsinkelser i metodevurderingene. Dette tilsier at det kanskje ikke er grunn til å treffe tiltak for å redusere risikoen for forsinkelse på dette grunnlaget. Hvis man skulle treffe tiltak, kan man tenke seg at man gjør avtale om involvering av klinikere på et tidlig tidspunkt. Problemet med dette vil blant annet kunne være at det kan være vanskelig for RHF-ene og klinikerne å forplikte seg til deltagelse før de vet når arbeidet skal gjøres.

Ad c): Figur viser at det er ganske vanlig med lang tid fra beslutning om hurtig metodevurdering til dokumentasjon foreligger. Dette gjelder spesielt saker knyttet til medisinsk utstyr, men også legemidler. Også eksempelsakene illustrerer dette.

I forbindelse med FreeStyle Libre, var uenighet om det var riktig å gjennomføre hurtig metodevurdering en årsak til at oppstarten tok lang tid. Videre tok det tid å avklare om folketrygden eller spesialisthelsetjenesten skulle ha finansieringsansvaret.

I forbindelse med TAVI/TAVR ble oppstarten forsinket av at flere leverandører sa seg villig til å levere dokumentasjon. Derfor fattet Bestillerforum ny beslutning, og da om fullstendig metodevurdering, uten å basere seg på dokumentasjon fra leverandør(er).

I flere av legemiddelsakene har det tatt lang tid før fullstendig dokumentasjon er levert. Man kan tenke seg flere årsaker til dette, og vi har ikke klart inntrykk av hvilke årsaker som har hatt størst betydning, eller som er de mest vanlige. Fra leverandørsiden har noen få uttalt at bestillingene av dokumentasjon har vært upresise eller uvanlig krevende (sammenliknet med andre land). Upresise bestillinger kan utløse flere runder med inn-sending. Krevende bestillinger kan føre til merarbeid og til at innsending av dokumentasjon til Norge kan nedprioriteres. I hovedsak oppfatter vi imidlertid at det ikke er slike forklaringer som ligger bak lang tid på leveranse av dokumentasjon. Enkelte informanter har framholdt at Norge er et lite marked og som legger særlig sterk vekt på å presse prisene. Dette kan gjøre at leverandørene nedprioriterer klargjøring av dokumentasjon for metodevurdering i Norge.

Vi mener at aktuelle tiltak på dette feltet kan være å legge sterkere vekt på tids- og ressursbruk når man bestiller dokumentasjon. Hvis man for eksempel utformer bestillingene slik at leverandørene i størst mulig grad kan bruke materialet de har levert til andre lands myndigheter, vil dette kunne redusere tidsbruken. Statens legemiddelverk har imidlertid i intervju uttalt at de mener deres bestillinger av dokumentasjon er på linje med andre lands, noe som tilsier at det er lite å hente på dette området.

Ad d): Tidsbruken mellom Bestillerforums beslutning om metodevurdering og ferdigstilling av rapport påvirkes av en rekke ulike forhold. Vi vil her kort presentere forklaringer på overskridelse av normen (180 dager for hurtige og 6-12 måneder for fullstendige metodevurderinger).

Tidsbruken på metodevurdering av Ocrevus er misvisende, fordi oppstartsdato er satt sju dager før behandlingen i Bestillerforum og om lag ett år før markedsføringstillatelse og fullstendig dokumentasjon var mottatt. Etter at fullstendig dokumentasjon var levert, tok det om lag fire måneder før vurderingen var fullført, og i denne perioden ba Statens legemiddelverk om tilleggsinformasjon sju ganger. Det tok leverandøren i sum 30 dager å levere tilleggsinformasjonen. Legemiddelverkets tidsbruk på Ocrevus lå dermed godt innenfor normen.

Folkehelseinstituttet har i intervju opplyst at fullstendig vurdering av MS-feltet var metodisk utfordrende, og at dette økte tidsbruken. I angivelsen av instituttets tidsbruk på RRMS, har vi satt startdato da det opprinnelige oppdraget (fullstendig vurdering for hele MS-feltet) ble gitt. Senere ble oppdraget delt i vurderinger for henholdsvis RRMS og PPMS.

Den første saken om TAVI/TAVR bygde på en felleseuropeisk medisinsk vurdering. Saksbehandlingstiden inkluderer arbeidet med denne utredningen. I etterkant, laget

Folkehelseinstituttet en helseøkonomisk vurdering som ble ferdigstilt sju måneder etter den internasjonale rapporten.

Vi kjenner ikke til spesielle faktorer som forklarer at det tok lang tid å vurdere den andre TAVI/TAVR-saken, men har heller ikke eksplisitt bedt Folkehelseinstituttet om en forklaring.

I Statens legemiddelverk sin rapport om Revlimid, står det at i perioden på 287 dager fra oppstart til fullføring av metodevurderingen, var det 112 dager mellom henstilling om og mottak av ytterligere informasjon. Trekker man fra dagene med venting på tilleggsinformasjon, var Legemiddelverket behandlingstid innenfor normen (180 dager).

Ad e): Det finnes ingen norm for tidsbruk etter at metodevurderingen er ferdig. Blant årsakene til at det kan ta lang tid før Beslutningsforum behandler sakene kan være at fagdirektørene innhenter tilleggsinformasjon (dette gjaldt FreeStyle Libre) eller at forhandlinger om pris og andre vilkår trekker ut.

I forbindelse med behandlingen av FreeStyle Libre, ble det gjennomført prinsipielle avklaringer om personvernspørsmål og finansieringsansvar (mellom primær- og spesialisthelsetjenesten) etter at Folkehelseinstituttets rapport var ferdig. I tillegg ble det innarbeidet ytterligere materiale i form av en undersøkelse gjennomført på oppdrag fra Diabetesforbundet.

I forbindelse med Revlimid, Lorviqua, Luxturna og Zynteglo har leverandørene presentert forslag om alternative prisavtaler. I varierende grad kan dette ha forsinket beslutningsprosessen. Men det vil også kunne forekomme at forhandlinger om flat rabatt kan føre til forsinkelser.

Ad f): Flere av metodene er behandlet flere ganger i Beslutningsforum. Den vanligste grunnen til gjentatte behandlinger er at det er kommet nytt pristilbud. Man kan tolke dette som at produsentene «prøver ut» RHF-enes betalingsvilje. Vi oppfatter at dette skjedde i behandlingen av Ocrevus, Spinraza og Luxturna.

I forbindelse med FreeStyle Libre ble saken behandlet flere ganger fordi det ble påpekt behov for prinsipielle avklaringer (jf. omtale over).

Dato for siste behandling av Ocrevus var ikke knyttet til nytt pristilbud, men til behandling av den fullstendige metodevurderingen av MS-feltet. Senere er Ocrevus blitt behandlet på nytt, men da med nytt saksnummer. Den sistnevnte saken har vi ikke studert, og milepælene i behandlingen av den er ikke reflektert i Tabell 6-7.

I forbindelse med Spinraza ble det utformet en rekke vilkår for innføringen. Vi har fått opplyst fra en av fagdirektørene at utarbeidelsen av disse vilkårene gikk raskt. Grunnen til at det tok lang tid å få tatt en endelig beslutning var at forhandlingene om pris tok lang tid.

Som tidligere nevnt, ble det ikke tatt stilling til innføring da den første saken om TAVI/TAVR ble behandlet. Når vi har angitt at saken ble behandlet to ganger, reflekterer dette at den substansielle beslutningen kom først da den andre saken om metoden ble behandlet.

6.3.5 Fra landanalysen – ressursbruk

Ulike land organiserer sine systemer på ulike måter. Flere organisasjoner og myndigheter i ett enkelt land kan være involvert i HTA-analysen, for å produsere beslutningsdata. Ulike land kan også ha ulike definisjoner for hva som er sykehuslegemidler, noe som gjør at de som jobber med HTA i et land kan jobbe både med reseptbelagte legemidler og med sykehuslegemidler. Som et resultat er det vanskelig å sammenlikne ressursbruk mellom land, og å se hvor mange årsverk som jobber med HTA-analyse for sykehuslegemidler i et land.

I Chamova og Stellalliance (2017) står det følgende om antall årsverk landene bruker på HTA:¹²⁷

- England (NICE) 604 årsverk
- Sverige: 140 årsverk i TLV og 72 i SBU
- Norge: 4 årsverk i Helsedirektoratet, 26 i Statens legemiddelverk og (omtrent) 25 i Folkehelseinstituttet
- Skottland: 35 årsverk i SMC

Danmark hadde ikke et sammenliknbart metodevurderingssystem da data ble samlet inn i 2016. Samme rapport viser at tallene for årsverk varierer mye og at det finnes land på størrelse med Norge som bruker mye mindre ressurser på metodevurderinger. Finland og Irland er eksempler på dette. Man må se ressursbruken i sammenheng med hvilke metoder som underlegges denne typen vurderinger, i hvilken grad deler av arbeidet «outsources» eller gjennomføres av andre enn institusjonene som har levert data, mv. I Sverige utgjør vurdering av reseptbelagte legemidler (som ville blitt refundert av folketrygden i Norge) en betydelig del av arbeidet med metodevurderinger. England «outsources» metodevurderingene til eksterne eksperter, gjerne ved universiteter. De som utarbeider metodevurderingen, legger fram en fullstendig rapport for evalueringskomiteen i NICE. Fordi vi verken har sett en god beskrivelse av metoden for innsamling av data og fordi det er store forskjeller i antall metodevurderinger og graden av tjenestekjøp, er vi skeptiske til om det er meningsfylt å konkludere på bakgrunn av tallene.

Fra forløpsanalysen og eksempelsakene

Både forløpsanalysen og noen av eksempelsakene viser at det kan ta lang tid fra beslutning om hurtig metodevurdering til fullstendig dokumentasjon er levert. Videre bidrar henstillinger om tilleggsinformasjon og sammenstilling av denne til å forlenge behandlingstiden fra første dokumentasjonspakke til ferdig vurderingsrapport.

Vi mener at man kan tenke seg minst to typer tiltak fra norske myndigheter for å redusere tiden det tar å innhente all informasjon:

1. Man kan gjøre en avveining mellom dybden og detaljeringsgraden av metodevurderingene, på den ene siden, og tids- og ressursbruk, på den andre, med sikte på å akseptere mindre omfattende dokumentasjon hvis dette kan spare mye tid og ressurser. For eksempel kan man se på hva produsentene har levert til andre lands myndigheter og vurdere hensiktsmessigheten av å be om mer dokumentasjon.
2. Man kan bruke større ressurser på å utforme krav til første leveranse av informasjon slik at man reduserer antall henstillinger om ytterligere informasjon.

Statens legemiddelverk har i intervju uttalt at de i liten grad kommer med «særnorske» dokumentasjonskrav. Leverandørene lager gjerne dokumentasjonspakker som de leverer til flere land, men med tilpasning knyttet til lokale forhold (kostnadsnivå, ansvarsfordeling, faglige retningslinjer, relevant komparator, mv). Dette indikerer at det kan være lite å hente på å tilpasse dokumentasjonskravene.

Begge tiltakene nevnt over kan kreve økt involvering av leverandører og klinikere i oppstarten av arbeidet, dvs. rett etter at oppdraget er mottatt fra Bestillerforum.

¹²⁷ Rapporten var skrevet på oppdrag for EU-kommisjonen

Vi har ikke lagt fram disse forslagene for de relevante aktørene, og har ikke grunnlag for å vurdere hvor mye man kan oppnå gjennom slike tiltak uten at man samtidig svekker kvaliteten på beslutningsgrunnlagene.

Hvis man skal få til økt klinikerinvolvering ved oppstart av arbeidet, kan det være behov tiltak for å sikre enda raskere tilgang til klinikere enn man normalt har i dag.

Vi ser at en del av metodevurderingene tar ganske lang tid, også om man justerer for ventetid på tilleggsinformasjon. Når man sammenholder Statens legemiddelverks anslag på antall månedsverk brukt på Ocrevus og Spinraza med Legemiddelverkets behandlingstid, får man at arbeidet med Ocrevus tilsvarer en 2/3 stilling (10 månedsverk fordelt på 478 dager), mens arbeidet med Spinraza var mer intenst (750 timer fordelt på 101 dager). Isolert sett mener vi disse få observasjonene kan indikere at det er potensial for å redusere behandlingstiden gjennom at arbeidet intensiveres. Men om det er praktisk mulig når medarbeiderne også har andre oppgaver som kan ha like høy prioritet, er et annet spørsmål. På sikt vil man kunne øke kapasiteten på metodevurderingen, noe som trolig kan redusere gjennomføringstiden uten å svekke kvaliteten.

6.3.6 Diskusjon – tidsbruk

Bestillerforum opplyser at det har blitt gjort et viktig rasjonaliseringsarbeid i løpet av de to-tre siste år, i samarbeid med Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet, hvor man fikk definert differensierte metodevurderingstyper. Folkehelseinstituttet utarbeidet en ny «produktportefølje». Videre ble det etablert fire «løp», herunder ulike former for forenklede metodevurderinger i både Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk. Dette beskrives nærmere i punkt 7.1.2.

Landanalysen tyder på at Norge er senere ute enn Danmark, Sverige og England samt flere andre EU-land med å introdusere nye metoder. Ulike kilder kan tyde på at Skottland er om lag på linje med Norge.

Når det gjelder spørsmål om hvor mange metoder som etter hvert innføres, foreligger det mindre forskning. Undersøkelsen som IQVIA har gjort for LMI, tyder på at Norge i hovedsak «innhenter» de andre landene etterhvert, men ikke helt. Av de ni sammenlikningslandene i IQVIAs analyse hadde Norge tre år etter markedsførings-tillatelse i EU innført litt færre metoder enn Danmark, Nederland, England og Sverige (samt Tyskland og Østerrike som ikke har sammenliknbare innføringssystemer), men flere enn Belgia, Finland og Irland. Skottland inngår ikke i denne analysen.

Vi kjenner ikke til forskning, basert på gode data og robust metodikk, ser på årsaker til ulik tidsbruk i innføringen. Normer for tidsbruk i metodevurderingsprosessene kan kanskje forklare noe av forskjellene:

- I Sverige anbefaler NT-rådet at det skal seks måneder fra beslutning om til ferdigstilling av metodevurdering. Denne perioden inkluderer ventetid på dokumentasjon fra leverandøren, men bestilling av dokumentasjon kan komme før formell beslutning om metodevurdering
- I Danmark er det en norm på maksimalt 16 uker fra leverandøren søker om å få en metode vurdert til beslutning om metoden anbefales. Leverandørens søknad skal inkludere en helseøkonomisk analyse. I sammenlikning med Norge, kan man derfor kanskje se søknadstidspunktet opp mot tidspunkt for levering av dokumentasjon til Statens legemiddelverk.
- I England er 40 uker satt som norm for tidsbruk på behandlingsmetoder, hvis det ikke er behov for ekstra faglig vurdering (ACD: appraisal consultation

document).¹²⁸ Når det besluttes å utforme et ACD, er normen 49 uker. Dette inkluderer hele løpet fra beslutning om vurdering til beslutning om innføring. Innenfor denne perioden har leverandøren åtte uker til å levere dokumentasjon.

Alle normene over gjelder for vurdering av enkeltmetoder for legemidler. I Danmark er det en norm på 6-8 måneder på utarbeidelse av behandlingsveiledere, som har fellestrekk med fullstendige metodevurderinger.

Man kan ikke uten videre sammenlikne normene i ulike land. Grunnen er at landene ikke har identiske prosesser for metodevurderinger, og at normene ikke er knyttet til de samme type milepæler i alle landene.

I Norge er normen at det skal ta maksimalt seks måneder fra dokumentasjon blir levert til rapporten er ferdig. Normene i Sverige og Danmark er mer ambisiøse enn de norske. Normen i England er tilsynelatende mindre ambisiøs (40-49 uker, mot 26 uker i Norge), men i England innbefatter normen tiden det tar før man får dokumentasjon samt tid til en åpen konsultasjonsprosess og videre fram til endelig anbefaling. I England er det avsatt 12 uker fra dokumentasjon er mottatt til rapport sendes til konsultasjon («på høring»).. Det er ikke mulig å sammenlikne direkte med Norge, men normalt tar det til sammen mer enn 14 uker til sammen å få dokumentasjon fra leverandøren pluss å fatte beslutning om innføring. Derfor mener vi det er grunnlag for å konkludere med at også normen i England er mer ambisiøs enn normen i Norge, men denne ambisjonen er delvis knyttet til hvilke krav man stiller til leverandøren.

Det kan være forskjeller mellom normene for behandlingstid og den faktiske tidsbruken. I analysene presentert i avsnitt 6.3.2 fant vi at median tidsbruk fra dokumentasjon var mottatt hos Statens legemiddelverk til ferdig rapport var 199 dager. Sekretariatets analyse av tidsbruken på hurtige metodevurderinger av legemidler i 2020 tyder på at «klokkestopp» tok 48 dager i gjennomsnitt. I sum kan man da anslå Legemiddelverkets tidsbruk til fem måneder. Dette er lengre tid enn normene i Danmark og England (forutsatt at leverandørene bruker de normerte åtte ukene på å levere dokumentasjon til NICE).

I avsnitt 6.3.2 fant vi at median tidsbruk fra beslutning om hurtig metodevurdering av legemidler til fullstendig dokumentasjon var levert var 169 dager. Legger man til sekretariatets tall for «klokkestopp» får man at leverandørene bruker over 200 dager på å levere dokumentasjon. I England har leverandørene en frist på åtte uker (56 dager). Det finnes ikke tilsvarende normer eller data om tidsbruk på sammenstilling av dokumentasjon fra de andre landene.

Normene for tidsbruk på henholdsvis fullstendige metodevurderinger i Norge og behandlingsveiledere i Danmark er henholdsvis ett år og 6–8 måneder. Median, faktisk tidsbruk overskrider normen i Norge (jf. Figur 6-3).

Vår konklusjon er at:

- Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet ser ut til å bruke lengre tid på metodevurderinger enn det man gjør i sammenlikningslandene
- Ventetid på dokumentasjon utgjør en stor del av samlet behandlingstid for hurtige metodevurderinger, og er mye lengre enn fristen som leverandører står overfor i England.

¹²⁸ Hentet 7. oktober 2021 fra <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/technology-appraisal-guidance/process/sta-timeline>.
<https://www.nice.org.uk/process/pmg19/resources/guide-to-the-processes-of-technology-appraisal-pdf-72286663351237>

Vi er usikre på hva som ligger bak at en del leverandører tilsynelatende bruker lang tid på å levere dokumentasjon til norske myndigheter. I mange saker blir dokumentasjon aldri levert. Statens legemiddelverk har framholdt at dokumentasjonskravene i Norge ikke skiller seg systematisk fra de som brukes i andre land. Enkelte av dem vi har intervjuet har indikert at Norge ikke prioriteres av selskapene fordi vi er et lite marked som satser mye på å presse prisene.

Den lange oppstartstiden for hurtige vurderinger av utstyr kan kanskje skyldes at norske krav til dokumentasjon skiller seg ut. Bare Sverige kan sies å ha samme format på vurderinger av henholdsvis legemidler og utstyr. I tillegg tyder våre eksempelsaker knyttet til utstyr på at det kan være uklarheter knyttet til om og hvilke leverandører som vil levere dokumentasjon.

Vi har ikke gode forklaringer på hvorfor Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet bruker lengre tid på å utarbeide rapportene enn det man ser i tre av de fire sammenlikningslandene. Legemiddelverket har framholdt at de har kapasitetsproblemer. For de to sakene der vi har sammenholdt informasjon om saksbehandlingstiden i Legemiddelverket med anslag på antall månedsverk, finner vi at det ikke arbeides så intenst med sakene. Dette kan – isolert sett – indikere at behandlingstiden kunne vært redusert ved at flere ansatte hadde arbeidet med sakene samtidig. Vi har ikke spurt Legemiddelverket om dette er realistisk.

Folkehelseinstituttet påpeker også at det gjennom det siste året har blitt jobbet bevisst og målrettet med å strømlinjeforme arbeidsprosessene. Noe av det de har jobbet med, er å unngå at prosjekter blir satt på vent i uker i påvente av innspill fra eksterne aktører. Folkehelseinstituttet ønsker en rask og forutsigbar saksbehandling, der involverte har et tydelig mandat og rolleforståelse. Mange involverte og brede prosesser kan erfaringsmessig forårsake forsinkelser fordi det oppstår uenighet om oppdragsforståelse og veivalg, så det gjelder å finne den rette balansen.

Statens legemiddelverk er opptatt av at omfanget av legemidler som metodevarsles og metodevurderes fortsetter å øke. Det er innført differensierte løp for metodevurdering av legemidler som innebærer at en del legemidler blir vurdert forenklet. Statens legemiddelverk støtter imidlertid at det er behov for å se på hvordan ressursene kan optimaliseres ytterligere i forbindelse med metodevurderinger, herunder om det er metodevurderinger som ikke trenger å bli bestilt, eller om man i større utstrekning kan velge forenklete løp framfor hurtige metodevurderinger.

6.4 Samhandling i Nye metoder

Samhandling har vi valgt å forstå som interaksjonen mellom systemaktørene. Interaksjon med eksterne aktører – i all hovedsak leverandører, brukere og klinikere – har vi valgt å forstå som *medvirkning*. De fleste klinikere som medvirker i ulike prosesser i Nye metoder arbeider innenfor helseforetakene, og representerer således systemaktørene, men i prinsippet er det mulighet til å rekruttere fageksperter fra primærhelsetjenesten eller privat sektor – eller fra utlandet.

I vårt datamateriale er det lite som tyder på at det er alvorlige utfordringer knyttet til samhandling.

Man kunne tenke seg at det ville kunne oppstå friksjon i bestiller-utfører-modellen i systemet; mellom Bestillerforum på den ene siden og Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet på den andre. Det ble opplyst at Statens legemiddelverk for noen år siden meldte om kapasitetsproblemer, og at det ble løst ved at RHF-ene finansierer ti stillinger øremerket metodevurdering i virksomheten. Vi observerte i møtet i Bestillerforum en god dialog mellom fagdirektørene og Statens legemiddelverks og Folkehelseinstituttets representanter, rundt de ulike oppdragene som ble formulert i

møtet. Vi fikk også opplyst om at Legemiddelverket møter sekretariatet og Sykehusinnkjøp i forkant av Bestillerforum-møtene.

Utviklingen innen persontilpasset medisin innebærer at diagnostiske tester er en forutsetning for bruk av målrettet behandling. For tiden er det Folkehelseinstituttets oppgave å metodevurdere de diagnostiske verktøyene, mens de tilhørende legemidlene som regel er Statens legemiddelverks ansvar. I intervju med Statens legemiddelverk ble dagens samarbeidsrelasjon med Folkehelseinstituttet beskrevet som godt. Statens legemiddelverk opplyste imidlertid at de opplevde tilløp til

[...] gnisninger og drakamper da systemet ble etablert, men det er ikke der utfordringen ligger i dag.

Muligheten av å slå sammen metodevurderingsmiljøene ble luftet i noen intervjuer, men på et høyst hypotetisk plan, og uten at det av noen aktører eller interessenter ble uttrykt noe vesentlig behov for en slik løsning.

Om organisering og samhandling i sammenlikningslandene eksempelsakene

I Sverige behandles legemidler og medisinsk utstyr i to separate råd – henholdsvis *Rådet för nya terapier* (NT-rådet) og *Medicintekniska produktrådet* (MTP-rådet). Metodevurderingene utføres av *Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket* (TLV). Både NT-rådet, MTP-rådet og TLV har tilknyttede klinikere, på mer eller mindre formalisert vis.

Danmark har også valgt en nærmest identisk delt tilnærming gjeldende fra 2021: Det medisinske rådet for legemidler og Behandlingsrådet for helseteknologi, medisinsk utstyr, behandling, og diagnostikk, med et felles sekretariat og fast oppnevnte faglige utvalg med klinikere som ekspertstøtte. Metodevurderingene utføres av sekretariatet og en fagkomité.

Englands (NICE) system för metodevurdering er under vurdering, og de har tidligere hatt flere forskjellige spor. Her er metodevurderingene «outsourcet» i form av utredningsoppdrag til eksterne eksperter ved universiteter. I Skottland behandles legemidler og medisinsk utstyr i to separate råd – *Scottish Medicines Consortium* (SMC) og *Scottish Health Technologies Group* (SHTG).

Vår vurdering

Det er fullt mulig å tenke seg å samle metodevurderings-fagmiljøene, enten som i Sverige der *Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket* (TLV) gjennomfører de helseøkonomiske analysene på oppdrag fra *Nya Terapier* respektive *Medicintekniska produktrådet*, eller som i Danmark der hver av de to rådene har et sekretariat som gjennomfører metodevurderingene. Man kunne da se for seg et eget helseforetak med sekretariatsfunksjonene for Nye metoder og med ansvar for all metodevurdering i Nye metoder. Vi anser at en slik løsning ville forsterke den maktkonsentrasjonen som allerede i dagens system er plassert i RHF-ene, og fraråder derfor denne.

Utover dette ser vi ingen grunn til å drøfte spørsmålet om omorganisering noe mer inngående – dels fordi det ikke har framkommet ønsker eller behov for omorganisering i vårt materiale, og dels fordi det tidligere Kunnskapscenteret for helsetjenesten ble fusjonert inn i Folkehelseinstituttet så seint som i 2017. Av samme grunner går vi heller ikke substansielt inn på den muligheten å samle metodevurderingskapasitetene i enten Folkehelseinstituttet eller Statens legemiddelverk.

6.5 Overføring av finansieringsansvar fra folketrygden

I budsjettbehandlingen av Prop. 1 S (2013-2014) vedtok Stortinget å overføre finansieringsansvar for legemidler fra folketrygden til spesialisthelsetjenesten ut fra prinsipper om å unngå forbruksvridning, om riktig prioritering og mulighet for anskaffelse gjennom anbudskonkurranser. Det overordnede prinsippet er at finansieringsansvaret skal følge behandlingsansvaret (Meld. St. 28, 2014-2015). I legemiddelmeldingen framgår det at regjeringen vil arbeide videre med å definere kriterier for overføring (Meld. St. 28, 2014-2015), og i 2016 forelå et overføringsvedtak fra Helsedirektoratet for ti legemidler mot pulmonal arteriell hypertensjon (18. oktober 2016), basert på Stortingets behandling av budsjettproposisjonen. Derneft fulgte vedtak om overføring av rekke kreftlegemidler (3. april 2017), legemidler mot HIV, Hepatitt B og C og alvorlig astma (6. desember 2017), sjeldne sykdommer og veksthormonforstyrrelser (23. oktober 2018), diverse tilstander og behandlinger (6. mai 2020),¹²⁹ og MS, narkolepsi, immunsvikt og sjeldne sykdommer (21. desember 2020). Siden 2017 har til sammen 267 legemidler blitt overført,¹³⁰ til en samlet kostnad på over en milliard kroner per år. Det hører med i bildet at overføringer startet allerede i 2006, men i et langt mindre omfang.

Mange av disse legemidlene hadde de fellestrekk at de ikke var metodevurdert, de var allerede tatt i bruk, men på til dels svært få pasienter. Det sier seg selv at man ikke kunne metodevurdere alle. Fagdirektør Baard-Christian Schem i Helse Vest uttaler:

RHF-ene har hatt som et tilnærmet fast prinsipp at man ikke skal avslutte påbegynt behandling der det fortsatt er medisinsk indikasjon, selv om det senere kommer dokumentasjon/metodevurderinger som viser at metoden for den aktuelle indikasjon ikke er kostnadseffektiv, eller der begrunnelse for innføring gjort for mange år siden er mangelfull med dagens standard. [...] Prioriteten har [...] gått på de medikamenter som har størst omsetning og/eller høyest pris per pasient.

Med andre ord, de fire RHF-ene har besluttet at gjeldende forskrivningspraksis for de overførte legemidlene skal videreføres inntil videre, og at for legemidler som i dag har særskilte refusjonsvilkår i blåreseptordningen, skal disse vilkårene videreføres inntil videre.

I et notat fra Sykehusinnkjøp omtales kostnadene på legemidlene på sjelden-feltet spesielt:

Mange av legemidlene til sjeldne sykdommer følger ikke samme prisutvikling som en gjerne ser for andre legemidler gjennom dets ulike faser i «livsløpet». Normalt blir legemiddelpriser lavere over tid. Denne trenden ser vi ikke innenfor flere av legemidlene mot sjeldne sykdommer. Ofte er det få eller bare én leverandør innenfor et terapiområde, og det utvikles ingen/få nye legemidler slik at det vil være få eller ingen muligheter for priskonkurranse både på kort og lengre sikt. (Sykehusinnkjøp, 2020b)

Saken ble behandlet i Bestillerforums møte 24. april 2017, hvor man fastsatte kriteriene for metodevurdering av de overførte legemidlene.

Arbeidsgruppen ble bedt av Bestillerforum RHF om å ta utgangspunkt i behandling med størst budsjettkonsekvens. Arbeidsgruppen la til grunn at stor budsjettkonsekvens inkluderer legemidler med størst totalutgift (folketrygd og sykehus) i 2016 og legemidler med størst folketrygdutgift per pasient i 2016.

¹²⁹ Diverse legemidler «til behandling av komplikasjoner ved nyresvikt», [...] «brukt i forbindelse med transplantasjoner», [...] «til bruk ved amyotrofisk lateralsklerose (ALS), jernoverskudd, Cushings syndrom og immunglobuliner».

¹³⁰ Personlig kommunikasjon, 19. oktober 2021.

Arbeidsgruppen anbefalte at det verken vil være kostnadseffektivt eller ressursene til å metodevurdere alle behandlinger/indikasjoner med stor budsjettkonsekvens. Bestilling av metodevurdering bør prioriteres for folketrygdfinansierte legemiddel/indikasjoner:

- som ikke tidligere er metodevurdert og hvor det forventes økt bruk
- som tidligere er metodevurdert, men ikke vurdert kostnadseffektiv for aktuell indikasjon
- som tidligere er metodevurdert, men hvor bruken i stor grad ser ut til å være utenfor vilkår eller på annen indikasjon

Ut fra dette bestilte man elleve metodevurderinger. Ytterligere tre ble bestilt senere samme år. Vi har ikke funnet noen samlet oversikt over hvor mange metodevurderinger som har blitt bestilt i forbindelse med overføring av finansieringsansvaret, men et anslag er at det dreier seg om mellom 20 og 30 for perioden 2017 – 2021.¹³¹

Vi får opplyst at det meste som skal overføres nå er overført. Fra 2018 stiller blåreseptforskriften krav om at også når folketrygden har finansieringsansvar må legemidlene metodevurderes før det kan innvilges refusjon. Schem uttaler videre:

En konsekvens av dette er at det vil være pasienter som fortsetter å bruke ikke-kostnadseffektive medikamenter, eller medikamenter med usikkert dokumentasjonsgrunnlag, der samme medikament ville fått nei hvis det hadde vært et nytt medikament. Hele overføringen er en stor ryddejobb [...]. Det må gå over noe tid, og må skje med nennsomhet overfor ofte alvorlig syke mennesker.

De overførte legemidlene er ikke «nye», og omfattes dermed strengt tatt ikke av Stortingets krav om metodevurdering. Vi anser at Nye metoder har valgt en pragmatisk tilnærming med hensiktsmessige kostnads-nytte-vurderinger.

¹³¹ Personlig kommunikasjon, Elisabeth Bryn, Statens legemiddelverk, 8. oktober 2021.

7 Om metodevurderinger i Nye metoder

I dette kapitlet beskriver og vurderer vi utarbeidingen av metodevurderingene i Nye metoder; en oppgave som i hovedsak tilligger Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk.

Vi starter med å spørre hva som kan oppfattes som et minimum for å oppfylle Stortingets krav om at alle nye legemidler og nye indikasjoner skal metodevurderes. Vi gir dernest en gjennomgang av dokumentasjonsgrunnlaget for utarbeiding av metodevurderinger: Hva slags retningslinjer, veiledere og kvalitetsdokumenter finnes, og hva er offentlig tilgjengelig? Videre beskriver vi de to utrederinstansenes «produkt-portefølje», altså hvilke ulike typer metodevurderinger som utarbeides i Nye metoder.

I neste punkt drøfter vi om det er behov for omprioritering av ressurser som brukes til metodevurdering. Kan man frigjøre ressurser ved å i større omfang bestille forenklede metodevurderinger? Og er det behov for å gjennomføre fullstendige metodevurderinger enn hva som er tilfelle i dag?

Dernest drøfter vi retningslinjene for leverandørers innsending av dokumentasjonsgrunnlag til metodevurderinger. Vi beskriver kort særkravene for metodevurdering for behandlinger for små pasientgrupper, og drøfter i punktet deretter metodevurdering av medisinsk utstyr. Til sist drøfter vi ulike aspekter knyttet til kvalitet og innhold i metodevurderingene.

7.1 Kravet om metodevurderinger av alle legemidler

I Stortingets behandling av prioriteringsmeldingen sluttet man seg til forslaget om at

alle nye legemidler skal metodevurderes, uavhengig av hvem som har finansieringsansvaret, for å vurdere om prinsippene for prioritering som foreslås i denne meldingen er oppfylt.

For legemidler som først godkjennes for én smal indikasjon, og der indikasjonen senere utvides, må det som i dag stilles krav om nye metodevurderinger. (Meld. St. 34, 2015-2016), s. 149-150

Dette kravet bidrar til å binde opp store deler av systemets evalueringskapasitet. Vi har blitt bedt om å vurdere «Kapasitet, ressursbruk og bærekraft i organisering av systemet og hos aktørene i dag og fremover, særlig sett i lys av premiss om å metodevurdere alle nye legemidler» (evalueringstema 7).

Både Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk har utarbeidet forenklede metodevurderingsformater for å kunne oppfylle Stortingets krav med lavest mulige ressursbruk, noe som kan friggi kapasitet til å metodevurdere medisinsk utstyr og/eller gjennomføre fullstendige metodevurderinger på utvalgte terapiområder.

Vi stiller derfor spørsmål om hva som kan anses for å være minimumsløsninger for å imøtekomme Stortingets krav i saker som av ulike grunner kan vurderes som enklere å vurdere.

I det følgende undersøker vi hva som finnes av retningslinjer, veiledere og liknende dokumentasjon for utarbeiding av metodevurderinger. Dernest beskriver vi Folkehelseinstituttets og Statens legemiddelverks «produktporteføljer» på metodevurderingsområdet. På det grunnlag vurderer vi om Stortingets krav oppfylles på en hensiktsmessig måte i Nye metoder.

7.1.1 Veiledere og retningslinjer om metodevurderinger

Vi gjennomgår her hva som finnes av veiledere og retningslinjer og annen prosessdokumentasjon for utarbeiding av metodevurderinger i Nye metoder.

Helsedirektoratet utarbeidet i 2012 en veileder for helseøkonomiske analyser. Veilederen bygger på bruk av et samfunnsøkonomisk perspektiv, og brukes ikke ved økonomiske analyser i tilknytning til Nye metoder. I prioriteringsmeldingen heter det:

Departementet vil igangsette et arbeid med revidering av aktuelle sektorspesifikke veiledere og retningslinjer i lys av Stortingets behandling av denne meldingen. Dette gjelder bl.a. Helsedirektoratets veileder for økonomisk evaluering av helsetiltak, Statens legemiddelverks retningslinjer for legemiddeløkonomiske analyser og Folkehelseinstituttets skjema for mini-metodevurdering. Disse veilederne skal bygge på de samme prinsippene for prioritering. (Meld. St. 34, 2015-2016), s. 161

HOD opplyser at Statens legemiddelverk, Folkehelseinstituttet og Helsedirektoratet i 2016 fikk i oppdrag, i samarbeid med de regionale helseforetakene, å igangsette et arbeid for å revidere Statens legemiddelverks og Folkehelseinstituttets veiledere for metodevurderinger slik at disse er i tråd med prinsippene for prioritering. Dette oppdraget anses som utkvittert i og med at det nå foreligger oppdaterte retningslinjer for innsending av dokumentasjon fra leverandører for både Statens legemiddelverk (SLV, 2020b) (se også punkt 7.4) og Folkehelseinstituttet (FHI, 2021) (se også punkt 7.6).¹³²

Statens legemiddelverks dokumentasjon på metodevurderinger

Statens legemiddelverks dokumentasjon omfatter

- Retningslinjer for innsending av dokumentasjon fra leverandører (SLV, 2020b).
- Et notat om hurtige metodevurderinger av legemidler for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand (SLV, 2017b).
- En oversikt over de ulike typene metodevurderinger.¹³³

I et møte med Statens legemiddelverk fikk Proba dessuten se interne retningslinjer og veiledere som brukes i forbindelse med metodevurderinger.

Folkehelseinstituttets dokumentasjon på metodevurderinger

Folkehelseinstituttet har delt følgende dokumentasjon med oss:

¹³² Personlig kommunikasjon 19. oktober og 28. oktober, samt oppdragsdokumentet hentet 28. oktober fra <https://www.regjeringen.no/contentassets/bd8a11644b744dec8a8dc452794000e4/oppdragsdokument-2016---tilleggsdokument-etter-stortingets-behandling-av-prop.-122-.pdf>.

¹³³ Hentet 20. september 2021 fra <https://legemiddelverket.no/offentlig-finansiering/metodevarsling#metodevarsler-og-valg-av-vurderingsl%c3%b8p>.

Statens legemiddelverks produktportefølje er også publisert som en nyhetssak på virksomhetens web-side. *Legemiddelverket effektiviserer metodevurderingene*, 27. mars 2019. Hentet 18. september 2021 fra <https://legemiddelverket.no/nyheter/legemiddelverket-effektiviserer-metodevurderinger>.

- «Folkehelseinstituttets produktportefølje i Nye Metoder» (FHI, 2020).¹³⁴ Det refereres til «en transparent og etterprøvbar metodikk, utarbeidet av internasjonale metodevurderingsmiljøer», men dette er ikke konkretisert, for eksempel hvilke internasjonale anbefalinger de baserer seg på, hvordan de samhandler med leverandører, mv. eller hva som er kilde for prisforutsetninger.
- Håndboka «Metodehåndbok. Slik oppsummerer vi forskning» (FHI, 2018a). Her omtales ulike typer kunnskapsoppsummeringer. Kapitlet om metodevurderinger er beskrivende, og ikke normerende i formen. Håndboka er oppdatert i 2021, og er under revisjon, og metodevurderinger-kapitlet innledes med en note om at det skal ferdigstilles på et senere tidspunkt.
- «Utviklingsplan for metodevurdering (HTA) i Folkehelseinstituttet» (FHI, 2018b). Dette er et upublisert, internt arbeidsdokument som skisserer det planlagte interne utviklingsarbeidet. En av begrunnelsene for arbeidet var at «Myndighetene ønsker effektivisering av metodevurderingene.»
- «Lagleders administrative håndbok for kunnskapsoppsummeringer» og «Rutine for brukermedvirkning i metodevurderinger ved Folkehelseinstituttet». Også dette er udaterte, interne dokumenter som oppdateres fortløpende. Fokus er på arbeidsprosess, blant annet beskrivelser av prosedyrer for involvering av ulike aktører osv., men ikke innhold i selve metodevurderingsrapportene.
- Folkehelseinstituttet publiserte nye retningslinjer for innsending av dokumentasjon til hurtig metodevurdering av medisinsk utstyr og diagnostiske intervensjoner i slutten av september 2021.¹³⁵

Det mangler en offentlig tilgjengelig veileder for utarbeiding av metodevurderinger

Vi har det bestemte inntrykk at metodevurderingsmiljøene i både Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet oppfatter at de følger bestemte faglige føringer, men her er det snakk om interne håndbøker og liknende, og ikke dokumenterte krav eller spesifikasjoner fastsatt av Bestillerforum eller myndigheter. Likevel oppfatter vi at det er etablert en omforent, men lite dokumentert, faglig standard for gjennomføring av metodevurderinger i Nye metoder.

Hovedregelen er som nevnt at en metodevurdering tallfester kostnad (uttrykt i kronebeløp), effekt (uttrykt i QALY) og alvorlighet (uttrykt i tap av fremtidige gode leveår) – alt dette i tråd med prioriteringskriteriene i prioriteringsmeldingen. De fleste metodevurderinger inneholder også en analyse av budsjettkonsekvenser for RHF-ene.

Utover dette står Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk nokså fritt til å velge hvor omfattende og tidkrevende metodevurderinger skal være. Der både kostnader og effekter tallfestes, vil det imidlertid være naturlig å inkludere en usikkerhetsanalyse som beslutningstakere kan legge til grunn ved den endelige beslutning. Kravene til dokumentasjonsgrunnlag vil variere etter type metode. Mens analyser av legemidler ofte

¹³⁴ Finnes offentlig tilgjengelig pr. 24. september 2021 på <https://www.fhi.no/globalassets/folkehelseinstituttets-produktportefolje-i-nye-metoder.pdf>.

Notatet ble behandlet i Bestillerforum 21. september 2020 som en drøftingssak, og fikk tilslutning. Protokollen er hentet 24. september 2021 fra: [https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20\(%20innkallinger%20og%20referater\)/Protokoll_M%C3%B8te%20i%20Bestillerforum%20RHF%2021.%20september%202020.pdf](https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20(%20innkallinger%20og%20referater)/Protokoll_M%C3%B8te%20i%20Bestillerforum%20RHF%2021.%20september%202020.pdf).

¹³⁵ *Retningslinje for innsending av dokumentasjon til hurtig metodevurdering av medisinsk utstyr og diagnostiske intervensjoner*. Hentet 7. oktober 2021 fra https://www.fhi.no/kk/metodevurdering/dokumentasjon_hurtigmetodevurdering/.

er basert på randomiserte kliniske studier, må analyser av medisinsk utstyr oftere basere seg på ikke-randomiserte studier eller annen type data.

Vi mener at det mangler en offentlig tilgjengelig veileder for utarbeiding av metodevurderinger, og at Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk bør utarbeide dette. Formålet med slike veiledere er å sikre at alle aktører forstår hvordan metodevurderinger gjennomføres, de ulike aktørenes roller, hvilke tidsfrister som gjelder, mv. Vi vil her sett på hvordan England, Skottland, Danmark og Sverige beskriver sine HTA-metoder og -prosesser. Vi mener Danmark har lyktes godt med å utforme samlede og oversiktlige framstillinger. Vi viser her til:¹³⁶

- Medicinrådets procesvejledning for vurdering af nye lægemidler hvilke roller ulike aktører
- Medicinrådets metodevejledning for vurdering af nye lægemidler
- Metodehåndbog for Medicinrådets vurdering af flere lægemidler inden for samme terapiområde

Vi kan også vise til engelske NICEs høringsnotat om endring i metodevurderingsmetodikk.¹³⁷

Etter vår mening ville tilsvarende veiledere bidra til økt rolleforståelse og forutsigbarhet i arbeidet med metodevurderinger. Det vil også bidra til å styrke etterprøvnbarheten, da ulike interessenter ville kunne sammenholde ferdige metodevurderingsrapporter med kravene i veilederen.

7.1.2 Ulike typer metodevurderinger

Fullstendige metodevurderinger.

Dette er en omfattende systematisk vurdering av tre eller flere nye eller etablerte metoder der både effekt, sikkerhet og/eller kostnadseffektivitet gjennomgås og vurderes.

En fullstendig metodevurdering er en omfattende systematisk vurdering av nye eller etablerte metoder der både effekt, sikkerhet og kostnadseffektivitet gjennomgås og vurderes. Vurderingen omfatter ofte også spørsmål vedrørende etiske, juridiske, organisatoriske og samfunnsmessige konsekvenser. (FHI, 2020)

Fullstendige metodevurderinger brukes der det er aktuelt å sammenlikne nye metoder eller behandlingsalternativer med flere andre som allerede er i bruk. Folkehelseinstituttet gjennomfører alle fullstendige metodevurderinger. En fullstendig metodevurdering skal 6-12 måneder fra problemstillingen er presisert.

Hurtige metodevurderinger

Dette er en kunnskapsoppsummering med fokus på effekt, sikkerhet og kostnads-effektivitet. Ved hurtig metodevurdering er det fortrinnsvis leverandøren som sender inn dokumentasjon og utarbeider nødvendige analyser. Både Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk og utfører hurtige metodevurderinger; hos sistnevnte kalles disse også «Løp C» (se nedenfor).

Denne typen metodevurdering er aktuell der en ny metode sammenliknes med en annen som allerede er i bruk. Hurtig metodevurdering baseres på en dokumentasjonspakke

¹³⁶ Jf. <https://medicinraadet.dk/om-os/medicinradets-arbejde/metoder>

¹³⁷ *The NICE methods of health technology evaluation: the case for change*. Høringsnotat. Hentet 11. november 2021 fra <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/chte-methods-consultation>.

leverandøren. Det regnes med en tidsbruk på 180 dager fra mottatt dokumentasjonspakke for hurtige metodevurderinger. I praksis kan saksbehandlingstiden bli lengre, blant annet på grunn av kapasitetsproblemer eller fordi leverandøren blir bedt om/får mulighet til å levere presiseringer eller tilleggsinformasjon.

Forenklete metodevurderinger

Når det ikke er behov for, eller mulighet til, en omfattende vurdering av en metode, kan det være aktuelt å utføre ulike typer forenklete metodevurderinger. Forenklete metodevurderinger kan velges der det antas at en ny metode er efféktmessig likeverdig med en eksisterende metode eller der det av andre grunner ikke er nødvendig å tallfeste effekt, kostnad, alvorlighet og budsjettvirkning.

Folkehelseinstituttet har fire forenklete «løp» eller typer metodevurderinger i sin produktportefølje (FHI, 2020):

- Løp A (beslutningsstøtte), *effekt, sikkerhet og helseøkonomi*
- Løp B (beslutningsstøtte), *effekt og sikkerhet*
- Løp C (beslutningsstøtte), *helseøkonomi*
- Løp D (bestillingsstøtte for Bestillerforum), *kartlegging*

Forenklete metodevurderinger har, avhengig av type og omfang, et tidsperspektiv på 30-180 dager fra problemstilling er presisert og fagekspertene til oppdraget er rekruttert. I alle løpene brukes mindre personalressurser enn i hurtige og fullstendige metodevurderinger.

Statens legemiddelverk har også fire «løp» for metodevurderinger, men to settene med løp korresponderer ikke med hverandre. Løp C nedenfor er hurtig metodevurdering med en kostnad per QALY-analyse, mens løpene A, B og D er forenklete metodevurderinger.¹³⁸

- Løp A, *konkurransesutsetting*
- Løp B, *vurdering av relativ effekt*
- Løp C, *kostnad-nyttvurdering*
- Løp D, *andre forenklinger*

Folkehelseinstituttets forenklete metodevurderinger er klassifisert etter hvilke komponenter de omfatter (effekt, sikkerhet og helseøkonomi). Legemiddelverket forenklete metodevurderinger, på sin side, kan også inneholde informasjon om sikkerhet, effekt, kostnader og budsjettimplikasjoner.

I Folkehelseinstituttets notat gjør man imidlertid oppmerksom på at bruk av forenklete metodevurderinger medfører risiko:

[...] den forenklete metodologiske tilnærmingen innebærer risiko for å overse viktig vitenskapelig dokumentasjon og for feilvurderinger underveis. I tillegg vil eventuelle konsekvensvurderinger være mindre omfattende. Bestillerforum RHF må i hvert enkelt tilfelle vurdere om en forenklet metodevurdering gir tilstrekkelig støtte til beslutning. (FHI, 2020)

¹³⁸ Hentet 20. september 2021 fra <https://legemiddelverket.no/offentlig-finansiering/metodevarsling#metodevarsler-og-valg-av-vurderingsl%c3%b8p>.

Statens legemiddelverks produktportefølje er også publisert som en nyhetssak på virksomhetens web-side. *Legemiddelverket effektiviserer metodevurderingene*, 27. mars 2019. Hentet 18. september 2021 fra <https://legemiddelverket.no/nyheter/legemiddelverket-effektiviserer-metodevurderinger>.

Bruk av forenklete metodevurderinger innebærer altså at man tar en kalkulert risiko, der man må vurdere nytten av tids- og ressursbesparelser opp mot risikoen for å ta feilaktige beslutninger på grunn av at kunnskapsgrunnlaget på en eller annen måte kan være mangelfullt. Det er viktig at denne usikkerheten tas inn i den samlede vurderingen av usikkerhet i den enkelte metodevurderingsrapport.

Mini-metodevurderinger

I tillegg kan mini-metodevurderinger utarbeides som et beslutningsstøtteverktøy i helseforetakene. En mini-metodevurdering er en forenklet metodevurdering. Mini-metodevurderinger brukes ikke for legemidler, siden disse skal håndteres på nasjonalt nivå, men andre typer metoder som benyttes i sykehusene. Beslutninger basert på mini-metodevurderinger fattes også lokalt i helseforetakene. Det er RHF-enes ansvar å sørge for at helseforetakene har kompetanse til å utføre mini-metodevurderinger.

Mini-metodevurdering utarbeides og benyttes av helseforetakene når det vurderes å innføre nye metoder.¹³⁹ En mini-metodevurdering er ytterligere en type forenklet metodevurdering. I begrepet «metoder» legges her utstyr og prosedyrerelatert diagnostikk og behandling.

Ferdigstilte mini-metodevurderinger publiseres i den nasjonale databasen for mini-metodevurderinger som Folkehelseinstituttet har ansvaret for. I tillegg skal sykehus (helseforetak) som påbegynner en mini-metodevurdering registrere dette, slik at en har oversikt over alle påbegynte mini-metodevurdering. Siden 2013 er det gjennomført til sammen 88 mini-metodevurderinger ved norske helseforetak.¹⁴⁰ Det er også etablert en nasjonal ressursgruppe for mini-metodevurderinger, tilknyttet Folkehelseinstituttet.

7.1.3 Er metodevurderinger i samsvar med krav og føringer?

Det synes klart at de norske metodevurderingene fyller kravene til formål, systematikk og innhold som framgår av den internasjonalt anerkjente definisjonen av metodevurdering i punkt 3.7. På de fleste punkter samsvarer de også med tilsvarende metodikk som anvendes i Storbritannia, Sverige og Skottland, og som man nylig har begynt å anvende i Danmark.

Alle metodevurderingstypene som er beskrevet ovenfor er i samsvar med kravene som framkommer av prioriteringsmeldingen. Vi har ikke vurdert om det er rom for ytterligere forenklinger og tilpasninger, men vi registrerer at det pågår omfattende arbeid internasjonalt med dette. For eksempel, i England pågår en systemutviklingsprosess der NICE har gjennomført en omfattende høringsrunde om foreslåtte endringer i beslutningssystemet med tanke på både utvelgelse, prosess og metoder.¹⁴¹ Innenfor rammene av EUnetHTA har man etablert nettverket «Heads of Agencies Group» for HTA-myndighetene i deltakerlandene for å diskutere strategiske spørsmål, der Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet deltar.¹⁴²

¹³⁹ Lenke til veileder, hentet 6. oktober 2021 fra: <https://www.helsebiblioteket.no/minimetodevurdering/veileder>.

¹⁴⁰ Hentet 29. september 2021 fra: <https://www.helsebiblioteket.no/minimetodevurdering/sok>.

¹⁴¹ *Reviewing our process for health technology evaluation: consultation*. Hentet 7. oktober 2021 fra <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/reviewing-our-process-for-health-technology-evaluation--consultation>.

¹⁴² *European HTA agencies launch the Heads of Agencies Group (HAG)*. Hentet 7. November fra <https://www.eunetha.eu/european-hta-agencies-launch-the-heads-of-agencies-group-hag/>.

7.2 Utvidet bruk av forenklede metodevurderinger?

Forløpsanalysen i punkt 6.3 viser at bruk av forenklede metodevurderingene sparer tid sammenliknet med hurtige metodevurderinger. Bare erfaringer generert over tid vil kunne gi svar på spørsmål som hvorvidt de forenklede løpene er hensiktsmessige formater, om det er rom for ytterligere forenklinger, hvorvidt Bestillerforum klarer å velge hensiktsmessige typer og løp, og hvor mye ressurser man sparer på dette metodevurderingsformatet.

Tabell 6-1 i avsnitt 6.2.1 viser at antall forenklede vurderinger har ligget på om lag samme nivå som antall hurtige metodevurdering er i 2020 og hittil i 2021. Vi ser ikke grunnlag for å anbefale klart om bruk av forenklede vurderinger bør økes, men vi spør om ikke man i enda større grad enn i dag bør vurdere nytten av ressursbruk på vurdering av nye legemidler opp mot bruk av ressursene på vurdering av andre metoder.

Et annet tiltak, som vil kunne gi en rask økning i kapasiteten, vil kunne være å bruke formatet for mini-metodevurderinger som grunnlag for beslutninger på nasjonalt nivå. Dette ble drøftet på januar-møtet i Bestillerforum i 2021, men uten å konkludere. Det pågår et arbeid med å utforme en strategi for mini-metodevurdering i Nye metoder, som blant annet skal omfatte kriterier for hvilke metoder som skal vurderes på lokalt og nasjonalt nivå i Nye metoder.¹⁴³

7.3 Utvidet bruk av fullstendige metodevurderinger?

Vårt inntrykk er at kapasiteten på å gjøre metodevurderinger utnyttes fullt ut i dag (jf. avsnitt 6.3). Det virker sannsynlig at utviklingen i medisinsk teknologi vil bidra til at presset på denne kapasiteten vil øke (jf. kapittel 11). Ett svar på dette kan være å øke kapasiteten. Et annet kan være å frigjøre ressurser ved økt bruk av forenklede metodevurderinger, som vi drøftet ovenfor.

I dag domineres antall saker av hurtige metodevurderinger av legemidler. Legemidler utgjør som tidligere nevnt rundt seks prosent kostnadene i spesialisthelsetjenesten, og som vi så i kapittel 6, kan det spørres om Nye metoder ut fra dagens praksiser dekker en tilstrekkelig stor del av den kliniske praksisen i spesialisthelsetjenesten. I dette avsnittet drøfter vi om økt bruk av fullstendige metodevurderinger kan bidra til økt måloppnåelse.

Kjøp av legemidler og andre medisinske forbruksvarer utgjorde elleve prosent av spesialisthelsetjenestens kostnader i 2020.¹⁴⁴ Lønn og andre personalkostnader utgjorde 60 prosent, mens avskrivninger på blant annet bygg og medisinsk utstyr utgjorde fire prosent. Det er grunn til å spørre hvorfor nesten alle ressursene brukes på metodevurdering til å vurdere legemiddel- og utstyrsbaserte metoder. Riktignok inkluderer disse metodevurderingene også personalkostnader og andre kostnader knyttet til disse metodene, men likevel oppfatter vi dette som et misforhold. En ting er at prioriteringskriteriene skal være førende for all virksomhet i spesialisthelsetjenesten, men det er også viktig å ta i betraktning at et av formålene for Nye metoder er å bidra til kvalitet og pasientsikkerhet i helsetjenesten (jf. punkt 6.1.5).

¹⁴³ Hentet 3. november 2021 fra https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20%28%20innkallinger%20og%20referater%29/Protokoll_Heldagsm%c3%b8te%20i%20Bestillerforum%20RHF_080121.pdf.

¹⁴⁴ Jf. SSB tabell 06464. Kjøp av offentlige helsetjenester er holdt utenfor.

Nye metoder har prosedyrer for å vurdere terapiområder uavhengig av om metodene er nye og hva slags teknologi de er basert på. Vi tenker både på fullstendige metodevurderinger og vurdering av utfasing av enkeltmetoder.

I Danmark brukes ressursene på metodevurdering til et format som ligner mye på hurtige metodevurderinger, slik vi kjenner dem fra Norge, og terapiveiledere, som etter vår mening har mye til felles med fullstendige metodevurderinger, men med en forenklet vurdering av nytte/helseøkonomisk vurdering og med veiledning om hvordan metodene skal anvendes. Det er utformet kriterier for valg av terapiområder som skal vurderes. Kriteriene bygger på en form for kostnad/nytte-vurdering av metodevurderingsressursene, det vil si at de sikter mot å lage terapiveiledere der det kan være mest å hente i form av bedre ressursbruk gjennom endret metodevalg. Vi har fått opplyst at Danmark har hatt et system med metodevurderinger i sykehusene, som ble brukt som modell ved utforming av det norske systemet, men har dessverre ingen opplysninger om dette i vårt materiale.

Vi har ikke forsøkt å avdekke hvordan RHF-ene arbeider med å tilpasse valg av metoder, utenom det som vurderes i systemet for Nye metoder, og har derfor ikke grunnlag for å konkludere om økt satsing på fullstendige metodevurderinger vil gi økt utbytte av ressursene som brukes på metodevurdering. Det arbeides med kvalitet og pasientsikkerhet på alle nivåer i spesialisthelsetjenesten, og Nye metoder kan uansett kun ha en begrenset rolle i dette. Men vi mener RHF-ene bør gjøre en vurdering av hvordan metodevurderingsressursene kan brukes slik at de gir størst mulig bidrag til å oppfylle målene for spesialisthelsetjenesten.

7.4 Retningslinjer om dokumentasjonsgrunnlag for legemidler

Statens legemiddelverks retningslinjer for dokumentasjonsgrunnlag for legemidler fastsetter krav til dokumentasjonen som leverandørene skal innlevere i forbindelse på utarbeiding av hurtige metodevurderinger (SLV, 2020b). Vi drøfter her om disse kravene er hensiktsmessige – men på et relativt overordnet nivå. Unødige krav vil kunne føre til økt tidsbruk på å framskaffe dokumentasjonen, og det er tenkbart at leverandører vil kunne prioritere det norske markedet lavere i sine markedsføringsplaner.

Jo mer avvik det er mellom det som er levert til andre land og det som kreves av norske myndigheter, jo mer tid må man regne med at leverandøren vil bruke på å oppfylle dokumentasjonskravene.

I intervjuer med interessenter og innspill fra referansegruppa var det ingen som på eget initiativ hevdet at de norske dokumentasjonskravene er urimelig eller uhensiktsmessig omfattende. På direkte spørsmål svarer imidlertid LMI at de mener at retningslinjene er for omfattende slik de utformet i dag. I hovedsak består mulige forenklingstiltak i å unnlate å be om opplysninger som framkommer i andre tilgjengelige kilder, som SPC.¹⁴⁵

Hver metodevurdering må «skreddersys» til de spesifikke forholdene som gjelder for metoden. Til en viss grad er det allerede i dag en avveining mellom hensyn til best mulig beslutningsgrunnlag og tiden og kostnadene med å etablere grunnlaget. I Bestillerforum besluttes det overordnede løp, men det gis veiledning på hvordan den enkelte sak kan løses i formøte. Dette er et møte mellom leverandør og Statens legemiddelverk. Alle firmaer som ønsker et slik veiledende formøte, får tilbud om dette hos Legemiddelverket.

¹⁴⁵ Personlig kommunikasjon med Karoline Knutsen, LMI, 30. september 2021.

Når man avtaler dokumentasjonskrav, kan man blant annet kunne vurdere «nyttene» av ulike krav sett opp mot risikoen for økt tidsbruk hos leverandøren og man kan ta hensyn til hvilken dokumentasjon leverandøren har levert eller skal levere til andre land.

Det er dilemmaer knyttet til graden av standardisering av metodevurderingene. Fordelen med standardisering er at man får et utprøvd format som aktørene vil bli godt kjent med. Dette gir forutsigbarhet og legger til rette for likebehandling. På den andre siden kan stor variasjon i sakenes kompleksitet, konsekvens og informasjonstilgang (for eksempel gode, overførbare vurderinger i andre land) tilsi at man sikrer en fleksibilitet og at prosessen kan tilpasses den enkelte sak. For å kombinere fleksibilitet og forutsigbarhet, kan man etablere en prosedyre og kriterier for valg av vurderingsform/«løp» samt at formatet på metodevurderingen (herunder ulike form for forenklet vurdering) med tidsfrister og rollefordeling, offentliggjøres.

Vi vil her på generelt grunnlag påpeke at man på et mer overordnet nivå må vurdere gevinstene ved pragmatisk skjønnsutøvelse på den ene siden opp mot hensyn til forutsigbarhet for (og muligens likebehandling av) leverandørene.

7.5 Metodevurderinger for små pasientgrupper med alvorlige tilstander

Når pasientgruppene er små, kan det være vanskelig eller umulig å gjennomføre randomiserte studier av god kvalitet. I prioriteringsmeldingen heter det at

- Ved vurdering av tiltak rettet inn mot små pasientgrupper med alvorlig tilstand hvor det er vanskelig å gjennomføre kontrollerte studier av effekt, kan et lavere krav til dokumentasjon aksepteres.
- Ved vurdering av tiltak rettet inn mot særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand, eksempelvis barn med medfødte genetiske sykdommer, der det ofte ikke finnes god dokumentasjon av nytten, kan det aksepteres en høyere ressursbruk enn for andre tiltak. (Meld. St. 34, 2015-2016)

Retningslinjene for dokumentasjonsgrunnlag for hurtige metodevurderinger (SLV, 2020b) gjelder også for små pasientgrupper. Det heter her at i hovedsak skal retningslinjene følges, men det anbefales her å ha formøte med Statens legemiddelverk for å bli enige om hva slags dokumentasjon som skal leveres. Utover dette vises det til Legemiddelverkets notat om sjeldne tilstander (SLV, 2017b).

Dette notatet omhandler kriteriene for «særskilt liten pasientgruppe», alvorlighetsgrad,¹⁴⁶ nyttevurdering,¹⁴⁷ saksgang, dokumentasjonskrav, monitorering samt – meget kortfattet – medvirkning av klinikere og brukere.

I den hurtige metodevurderingen som ligger til grunn for de to Spinraza-sakene – som ble utarbeidet tre år før Legemiddelverkets notat forelå – ble det lagt til grunn at kriteriene for «særskilt liten pasientgruppe» var oppfylt. Statens legemiddelverk opplyser at det ble avholdt formøte med leverandøren,¹⁴⁸ og ytterligere et møte etter at leverandøren hadde levert dokumentasjon, der leverandøren forklarte modellen som var levert.

¹⁴⁶ Alvorlighetsgrad målt ved absolutt prognosetap tilsvarer minimum ca. 30 tapte gode leveår.

¹⁴⁷ Forventet nytte av den aktuelle behandlingen er betydelig og minimum ca. 2 vunnet gode leveår sammenliknet med standard behandling.

¹⁴⁸ Personlig kommunikasjon fra HOD, 19. oktober.

7.6 Metodevurdering av medisinsk utstyr

Medisinsk utstyr har egenskaper og særtrekk som gjør at de må metodevurderes annerledes enn legemidler. For det første foreligger det som regel ikke dokumentasjon av sikkerhet og effekt i et omfang og innhold tilsvarende det som må sendes inn i forbindelse med søknader om markedsføringstillatelse for legemidler. Gitt målsetningen i Nye metoder om å bidra til kvalitet og pasientsikkerhet, så må disse forholdene i høy grad undersøkes i forbindelse med metodevurderingene.

Disse teknologiene preges av høy innovasjonstakt, kortere produktcyklus, og større overlapp i konkurranseforhold på grunn av stor bredde og variasjon i produkter, som kan ha ulikt formål og effekt. Effektene er i sin tur ofte avhengige av riktig bruk av både klinikere og brukere, noe som igjen øker antall parametere.

Først og fremst har dette betydning for hvordan effekt og nytte kan dokumenteres. Melanor hevder i innspill til prosjektgruppa at dokumentasjonskravene som stilles i for høy grad er tilpasset legemidler, og at det ikke tas tilstrekkelig hensyn til særtrekke ved medisinsk utstyr. Dette poengteres også i intervjuer med brukerrepresentanter (FreeStyle Libre-saken), hvor det ble reist spørsmål både ved inkludering av utfallsmål og forskningsdesign. Den bredere tilnærmingen til utfallsmål som etterspørres, er i overensstemmelse med pasientorienterte utfallsmål (PROM) som mer presist kan fange opp flere dimensjoner av nytte hos pasienter og pårørende (Skogli m. fl., 2021).

Folkehelseinstituttet baserer sine metodevurderinger i høy grad på randomiserte kliniske studier. Dette kan det være svært vanskelig å gjennomføre for medisinsk utstyr, og ifølge en rapport fra EU-kommisjonen er Norge ett av kun fem land som rapporteres å kun basere seg på slik dokumentasjon i metodevurderinger på dette feltet (Kristensen, 2017).

Folkehelseinstituttet bestrider denne påstanden, og viser til at deres metodevurderinger er basert på data fra ulike forsøksdesign:

FHI er imidlertid bevisst på at [randomiserte kliniske studier] gir best svar på spørsmål om kausalitet. I fravær av [randomiserte kliniske studier] er det naturlig å åpne for inklusjon av andre design, men da må det gjøres en vurdering av om fordelene av å få til dels usikre data på bordet veier opp for de ulempene det medfører (mer omfattende og mer ressurskrevende metodevurderinger).¹⁴⁹

Denne uoverensstemmelsen kan skyldes feil i EU-kommisjonens rapport, eller at Folkehelseinstituttet kan ha endret sin metodikk siden tidspunktet for datainnsamlingen (desember 2016–februar 2017). Uansett, sum synes det å være uenighet mellom Folkehelseinstituttet og andre aktører når det gjelder hva som er egnede design og metoder for vurdering av medisinsk utstyr.

Spørsmålet om håndtering av medisinsk utstyr ble behandlet på januar-møtet i Bestillerforum i 2021. I sekretariatets innledning ble det fastslått at det er:

[...] delvis tilfeldig hvilke andre metoder enn legemidler som går igjennom Nye metoder på nasjonalt nivå. Hovedutfordringen er at det ikke har blitt utarbeidet klare kriterier for hva slags medisinsk utstyr (og andre metoder) som skal gå igjennom Nye metoder hverken på nasjonalt eller lokalt nivå. Folkehelseinstituttet har utfordringer med å vite hva spesialisthelsetjenesten mener er relevante metoder innenfor feltet, og uten kriterier eller tydelig kobling til innkjøp er det utfordrende å drifte en strategisk metodevarslingsfunksjon.¹⁵⁰

¹⁴⁹ Personlig kommunikasjon, 19. oktober 2021.

¹⁵⁰ Hentet 3. November 2021 fra https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20%28%20innkallinger%20og%20referater%29/Protokoll_Heldagsm%c3%b8te%20i%20Bestillerforum%20RHF_080121.pdf.

Møteprotokollen dokumenterer en debatt med mange konstruktive innspill, blant annet å styrke samarbeidet mellom Folkehelseinstituttet og Sykehusinnkjøp, samt å hente erfaringer fra konseptet «Tidlig beslutningsstøtte» i Helse Vest. Det ble besluttet å

Starte et overordnet prosjekt som skal resultere i gode kriterier for hvilke metoder, andre enn legemidler, som skal prioriteres for vurdering i Nye metoder på nasjonalt og lokalt nivå.

Også en av RHF-fagdirektørene erkjenner i et intervju at håndteringen av medisinsk utstyr er en utfordring. Antallet potensielle metoder gjør det umulig å kjøre samme prosess som ved metodevurderinger av legemidler. Fagdirektøren er opptatt av at de må bruke det som allerede finnes i kvalitetskontrollen, f.eks. CE-merking. Det trekkes også frem at legemiddelindustrien har systemet mer under huden enn mange utstyrsleverandører. En annen fagdirektør forteller at en annen utfordring er at utstyr ofte brukes på tvers av diagnoser.

I dette spørsmålet observerer vi adskillig avstand mellom Melanor på den ene siden, og Nye metoder-aktører på den andre. Leverandørenes posisjon er at dokumentasjonskravene må harmoniseres med dokumentasjonskravene i lov om medisinsk og *in vitro* diagnostisk utstyr, og ikke bygge på mal for legemidler. Dette regelverket, som bygger på EU-direktiver, trådte i kraft så seint som våren 2021. Det er uvisst for oss hvor velegnet denne dokumentasjonen er for å dokumentere nytte.

Fagdirektør Baard-Christian Schem i Helse Vest påpeker at ansvaret for å dokumentere nytte av en teknologi ligger hos leverandøren, og gir uttrykk for at leverandørene selv bør framsette forslag til hvordan det kan gjøres.

Folkehelseinstituttet framholder i intervju at de ser et dilemma mellom det å gjøre leverandøren ansvarlig for å dokumentere effekt av sine produkter, samtidig som kravene må være rimelige og realistiske.

Folkehelseinstituttet publiserte i september 2021 «Guidelines for the submission of documentation for single technology assessments (STAs) of medical devices and diagnostic interventions».¹⁵¹ Vi har ikke hatt kapasitet til å vurdere denne inngående på så kort varsel, men i et skriftlig innspill uttrykker Melanor misnøye med svært begrenset involvering i utarbeidelsesprosessen. Det hevdes også at retningslinjene i høy grad er tuftet på tilsvarende verktøy for legemidler og at særtrekk og grunnleggende forutsetninger for vurdering av medisinsk utstyr i langt større grad burde reflekteres i retningslinjene.

Innovasjon innen medisinsk utstyr utfordrer den tradisjonelle grensedragningen mellom primær- og spesialisthelsetjenesten. Teknologier som for eksempel administreres hjemme, krever et metodevurderingssystem som inkluderer kostnader og besparelser i både primær- og spesialisthelsetjenesten. Selv om prioriteringsforskriften sier at effekter i ressursbruk på tvers av den kommunale helse- og omsorgstjenesten og spesialisthelsetjeneste skal inkluderes i metodevurderingen, kan implementingselementet i Nye metoder og plassering av finansieringsansvar vanskelig gjøres. Derfor kan dagens system gjøre det vanskelig å innføre metoder som går på tvers av helsetjenesten (Skogli m. fl., 2021). Denne rapporten (fra Menon Economics) går lenger ved å hevde at vurderingene av medisinske innovasjoner bør også inkludere kostnader og besparelser fra andre sektorer enn helsesektoren, slik at man synliggjør den totale verdien for samfunnet, men dette er da ikke i samsvar med prioriteringskriteriene.

¹⁵¹ *Guidelines for the submission of documentation for single technology assessments (STAs) of medical devices and diagnostic intervention*. Hentet 7. oktober 2021 fra <https://www.fhi.no/globalassets/guidelines-for-the-submission-of-documents-for-stas-2021.pdf>

Landstudien har ikke omfattet noen beskrivelse eller vurdering av beslutningsgrunnlag for medisinsk utstyr i sammenlikningslandene.

7.7 Kvalitet og innhold i metodevurderingene

Er Nye metoder hensiktsmessig utformet ut fra målene for spesialisthelsetjenesten? Én forutsetning for at beslutningssystemet skal fungere godt, er det etablerer gode beslutningsgrunnlag.

Vi mener det kan være rom for å heve kvaliteten på metodevurderingene. Det er fem forhold vi mener det grunn til å drøfte:

- Hvilke spørsmål skal metodevurderingene besvare?
- Hvordan skal usikkerhet belyses og behandles?
- Er klinikermedvirkningen hensiktsmessig?
- Kan man etablere en form for kvalitetssikring ved hjelp av eksterne interessenter?
- Er det behov for veiledere for utarbeiding av metodevurderinger?

7.7.1 Hvilke spørsmål bør besvares?

Slik vi oppfatter metodevurderingene, besvarer de spørsmålet: Basert på hvordan metoden eventuelt vil bli brukt i Norge, bør den innføres? Vi er usikre på om det er dette spørsmålet som bør stilles, og om man også bør vurdere metodebruken ut fra et annet perspektiv.

For kvalitativt nye metoder, kan man i utgangspunktet ikke definere hva som er klinisk praksis. Vi mener derfor at ett av spørsmålene som bør besvares er hvordan metoden eventuelt *bør* brukes i Norge. Den første hurtige metodevurderingen av Ocrevus kan illustrere betydningen av dette. I Statens legemiddelverk sin metodevurdering heter det at kliniker er blitt spurt om hvordan metoden vil bli brukt i Norge. Den gang fantes det ingen høy-effektive legemidler mot PPMS i klinisk praksis Norge. I rapporten heter det at klinikerne sa at «det ikke er naturlig å stoppe behandling basert på klassifiseringen EDSS 7». Hvis man i stedet hadde etablert forutsetningen om bruken ut fra en form for optimalisering – best mulig bruk av metoden – ville den framstått som mer kostnads-effektiv.

I den fullstendige metodevurderingen av PPMS endret man forutsetningene om bruken, men likevel ble ikke metoden innført. Dette kan imidlertid ha sammenheng med at man da brukte et annet høy-effektivt legemiddel – rituximab – som komparator.

Vurdering av optimal bruk kan bygge blant annet på analyser av subpopulasjoner av pasienter samt kunnskap om hvor effektive eksisterende metoder er for ulike pasienter, stadier, mv. Forskningen som metodevurderingene bygger på, sammenlikner gjerne effekter av to ulike metoder for hele grupper av pasienter. Man kan da ikke få fram nyanserte vurderinger, for eksempel skifte av metode for pasienter som responderer dårlig på behandlingen som prøves først. Kanskje kan det være rom for at flere legemidler innføres med ulike vilkår som gjør at bruken begrenses til relativt få pasienter?

I metodevurderingene stilles heller ikke spørsmålet: Med de metodene som er innført, kan vi gi forsvarlig helsehjelp til alle pasienter? Ett mulig eksempel er begrunnelsen for hurtig metodevurdering av Gilenya, i etterkant av den fullstendige metodevurderingen på MS-feltet. Forslaget om vurdering av Gilenya bygde på et argument om at ingen av de andre høy-effektive legemidlene mot MS var godkjent for og utprøvd på barn. Markedsføringstillatelsen for bruk av Gilenya på barn kom etter at den fullstendige vurderingen var påbegynt, men før den var ferdigstilt. Hovedpoenget er likevel at spørsmålet bør stilles.

Vi oppfatter at det er uklart hvilken bruk av metodene som skal legges til grunn i vurderingene. Man kan definere minst tre ulike forutsetninger om bruk:

1. Den som er utprøvd i relevant klinisk forskning
2. Den som samsvarer best med etablert klinisk praksis
3. Den som gir best helseøkonomisk lønnsomhet for terapiområdet

Hvis metodevurderingen legger til grunn den bruken som er utprøvd i forskning, er dette det metodisk enkleste alternativet fordi resultatene av forskningen ofte kan antas å være direkte gyldig for virkningene av metoden hvis den innføres i Norge. Eventuelle forskjeller i komparator er ett element som kan bidra til å komplisere analysene.

Det andre alternativet gir mening bare om metoden ikke representerer noe kvalitativt nytt. Hvis metoden representerer noe helt nytt, gir det kanskje ikke mening å definere etablert klinisk praksis. Når etablert praksis kan defineres og denne avviker fra den bruk som er utprøvd i forskning, vil det kunne være utfordringer å bruke forskningsresultatene til å predikere hvilke virkninger metoden vil ha på kostnader og helseutfall i på norske pasienter.

Det er vanlig at ulike metoder har ulik effekt på ulike pasienter, herunder på ulike stadier i et forløp. Det vil være eksempler der en metode kan framstå som kostnadseffektiv hvis man bruker den der den er mest kostnadseffektiv. Denne avgrensningen kan avvike fra den som er utprøvd i forskning. Den kan videre innebære at metoden ikke fullt ut erstatter en eksisterende behandling, men bare for deler av pasientpopulasjonen med den aktuelle indikasjon.

Blant eksempelsakene finner vi flere eksempler på at avgrensning av bruken er sentralt for vurderingen. Ett eksempel er Spinraza (for barn) der klinikere laget handlingsregler for bruk, basert på at metoden skulle brukes bare på de pasienter som hadde store helsemessige gevinster av bruken.

Ocrevus-saken er som tidligere nevnt et eksempel på en metode der avgrensningen av pasientpopulasjonen var viktig for kostnadseffektiviteten. Ocrevus kunne den gang sies å representere noe kvalitativt nytt – det første høyeffektive legemiddelet mot PPMS. En annen høy-effektiv metode – rituksimab – var i bruk utenfor indikasjon, men ble ikke nevnt som alternativ i Statens legemiddelverks rapport. Hovedalternativet i beregning av kostnadseffektiviteten av Ocrevus ble basert på en vurdering av etablert klinisk praksis. Når man baserte analysen på at Ocrevus skulle brukes på samme måte som de etablerte metodene på det tidspunktet, gjorde dette at kostnadseffektiviteten ble beregnet til å være mye svakere enn om man i stedet hadde forutsatt at metoden bare skulle brukes til de pasientene som hadde best effekt av behandlingen. Statens legemiddelverks sensitivetsanalyse i rapporten om Ocrevus mot PPMS viste at IKER ble redusert med 1/3 ved å sette en stoppregel på EDSS-score på 7 i stedet for 9, som var hovedalternativet.

Vi mener også at vurderingene av akromionreseksjon og TAVI/TAVR er relevante eksempler. I begge metodevurderingene bygget analysen på en forutsetning om at alle eller ingen av pasientene med den relevante indikasjonen behandles med metoden som vurderes. I realiteten vil det være mer nyanserte prosesser bak valg av behandling. Vi tror imidlertid ikke at drøfting og analyse av mer nyanserte metodevalg ville gitt andre hovedkonklusjoner.

Vi oppfatter at metodevurderingene i all hovedsak tar utgangspunkt i den bruk som forskningsresultatene er basert på, og uten at det er omfattende drøfting av subpopulasjoner blant pasienter med den aktuelle diagnosen.

Folkehelseinstituttet har kommentert at hvis deres oppdrag spesifiserer relevante subpopulasjoner og/eller forskningen er bygget opp rundt subgrupper, vil dette reflekteres i resultatpresentasjonen i metodevurderingene.

Statens legemiddelverk har kommentert at de presenterer subgruppe-analyser dersom det er relevant og der man har gode nok data til å gjøre troverdige analyser. Videre kommenterer de at utgangspunktet for metodevurderinger er den godkjente indikasjonen, det vil si tilgang for alle pasienter som faller innenfor markedsføringstillatelsen. Hvis prioriteringskriteriene ikke er oppfylt for hele populasjonen, blir det vurdert om det finnes subgrupper hvor prioriteringskriteriene kan være oppfylt. Dette må i så fall være subgrupper som norske klinikere mener er relevante, som er mulig å definere og identifisere i klinisk praksis, og som det finnes gode nok data på fra kliniske studier. Vi er klar over at det kan være betenkelig å gjøre subgruppe-analyser i kliniske studier, men i vurdering om en metode skal innføres, bør man gjøre slike betraktninger.

Vi vil bemerke god klinikermedvirkning trolig er avgjørende for å legge til grunn en annen metodebruk enn det som er utprøvd i forskning.

7.7.2 Håndtering av usikkerhet i metodevurderinger

Politiske føringer om usikkerhet i metodevurderinger

Prioriteringsmeldingen angir at nytte, ressursbruk og alvorlighet er de tre sentrale beslutningskriterier og at forholdene mellom dem skal avgjøre om et helsetiltak skal prioriteres. Meldingen anfører imidlertid at andre tilleggskriterier kan bli tillagt vekt, og her nevnes blant annet usikkerhet og budsjettvirkninger. Når det gjelder usikkerhet, sier meldingen:

Basert på metodevurderinger skal skjønnsmessige vurderinger inngå i en totalvurdering av tiltak. Dette er særlig knyttet til vurderinger av: kvalitet og *usikkerhet* ved dokumentasjon. *Stor usikkerhet* knyttet til dokumentasjon og beregningsmetoder skal, alt annet likt, gi lavere prioritet. (Meld. St. 34, 2015-2016)

Dette innebærer at beslutningene skal være basert på en form for risikoaversjon (forventet netto nytte avveies mot usikkerhet/risiko), og ikke risikonøytralitet. Beslutningen skal bygge på en avveining av de tre andre prioriteringskriteriene, på den ene siden, og usikkerhet, på den andre.

Magnussen-gruppen foreslo grenser for betalingsvilje for helseforbedringer ved ulike grader av alvorlighet. Gruppen mente imidlertid at det må gjøres skjønnsmessige vurderinger ved bruk av grensene. Som eksempler på forhold som bør inngå i slike vurderinger trakk gruppen fram verdighet, usikkerhet knyttet til tiltakenes kostnader og/eller effekt og tiltakenes samlede budsjettvirkninger (Magnussen m. fl., 2015). Prioriteringsmeldingen og dens forarbeider inneholder ingen nærmere drøfting av usikkerhet hverken hva angår definisjon, typer usikkerhet eller håndtering av usikkerhet.

I samfunnsøkonomisk analyser skal usikkerheten om netto nytten av et tiltak normalt ikke vektlegges i beslutningen om gjennomføring av tiltaket.¹⁵² Vi har lagt til grunn konklusjonene i prioriteringsmeldingen, det vil si at usikkerhet skal veies opp mot fordelene når man tar beslutninger om innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten.

Det er mange kilder til usikkerhet om netto nytte av behandlingsmetoder. Én kilde vil være at det ofte vil være vesentlige svakheter i kunnskapsgrunnlaget for vurdering av nytten for pasientene. I økende grad blir medisinsk behandling personrettet, med mindre mulighet for dokumentasjon gjennom store, langvarige randomiserte studier. I en rapport om midlertidig innføring av og revurdering av metoder i Nye metoder heter det:

¹⁵² Jf. DFØ (2018). Beslutninger skal i hovedsak baseres på forventet netto nytte. Usystematisk risiko skal være hensyntatt i diskonteringsrenten. Hvis det er «systematisk usikkerhet» (usikkerhet som systematisk samvarierer med nasjonalinntekten), skal det brukes et høyere avkastningskrav/en høyere diskonteringsrente

Dataene bygger på studier med små pasientpopulasjoner, kort oppfølgingstid, studier med surrogate endepunkter eller studier uten kontrollarmer (enarmede studier). (RHF, 2021)

En viktig utfordring knyttet til framtidig medisinsk-teknologisk utvikling er derfor større grad av usikkerhet i kunnskapsgrunnlaget. Vi vil her se nærmere på hvordan usikkerhet analyseres og synliggjøres i metodevurderingene.

Retningslinjer for behandling av usikkerhet i dokumentasjon fra leverandører

I retningslinjene fra Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet til leverandørenes dokumentasjon heter det:

Usikkerhet i den helseøkonomiske analysen skal undersøkes og presenteres i sensitivitetsanalyser. Dette bør gjøres ved hjelp av deterministiske og probabilistiske sensitivitetsanalyser, nærmere beskrevet under. Ikke all usikkerhet kan håndteres slik. Det kan for eksempel være krevende å analysere strukturell usikkerhet og generaliserbarhet fullstendig i sensitivitetsanalyser.

Usikkerhet som påvirker analysens resultater vesentlig skal drøftes for å belyse bl.a. hva usikkerheten skyldes, eventuelle systematiske skjevheter, om usikkerheten kan reduseres, om det kan forventes bedre data, og hvordan analysens resultater påvirkes av endringer i parametere/forutsetninger.

[...]

I deterministiske sensitivitetsanalyser varieres utvalgte variabler for å undersøke hvor sensitiv modellen er for endringer. Denne type analyser gjøres i form av en-veis, to-veis og flerveis sensitivitetsanalyser og i scenarioanalyser.

Deterministiske sensitivitetsanalyser vil ikke alene kunne belyse usikkerheten fullt ut, og bør suppleres med probabilistiske analyser og diskusjon.

[...]

Alle parametere undersøkes i enveis sensitivitetsanalyse. Dette bør oppsummeres i en tabell i modellen. De viktigste parametere i enveis sensitivitetsanalyser presenteres både i tabell og i tornadodiagram. Tidshorison, legemiddelpriser for intervensjon og komparator(er), livskvalitetsvekt, parametriseringsfunksjoner for forløpsdata samt effektparametere skal alltid inkluderes.

Vi oppfatter disse kravene/anbefalingene som krevende, og vi oppfatter behandlingen av usikkerhet i metodevurderingsrapportene som mer begrenset enn teksten i retningslinjene for leverandørenes dokumentasjon skulle tilsi, jf. omtalen av eksempelsakene nedenfor.

Analyse av risiko/usikkerhet i eksempelsakene

Vi har gått gjennom metodevurderingsrapportene i eksempelsakene og sett på hovedtrekkene i analyse og omtale av usikkerhet. Det kan synes å være et mønster i hvordan henholdsvis Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet omtaler og analyserer usikkerhet.

Statens legemiddelverk bruker enveis sensitivitetsanalyse¹⁵³ i flere av analysene. Folkehelseinstituttet bruker ikke dette.

Folkehelseinstituttet ser ut til å legge sterk vekt på risiko for skjevheter i studiene. Dette temaet omtales i mindre grad i Statens legemiddelverks rapporter.

Folkehelseinstituttet har brukt probabilistiske sensitivitetsanalyser i rapportene om metoder mot PPMS og i begge rapportene om TAVI/TAVR. Statens legemiddelverk har

¹⁵³ «Hva blir resultatet hvis parameter settes lik Y istedenfor Z?»

ikke brukt denne metoden for å belyse usikkerhet. Folkehelseinstituttet har – slik retningslinjene for leverandørenes dokumentasjon anbefaler – beregnet «cost-effectiveness acceptability curves» (CEAC) begge TAVI/TAVR-rapportene, men ikke rapporten om PPMS.

I tillegg inneholder alle rapportene omtale av kvaliteten på kunnskapsgrunnlaget, særlig knyttet til størrelsen pasientpopulasjonen som har deltatt i forsøkene og/eller oppfølgingstiden (hvor lenge etter behandling pasientene er observert). Dette kan sies å være særlig sentralt i vurderingene av Lorviqua, Luxturna, Spinraza og Zynteglo.

Tabell 7-1: Omtale og behandling av usikkerhet i eksempelsakene

Navn	Saksnummer	Behandling av risiko
Akromion-reseksjon	ID2020_021	Drøfting av risiko for skjevheter i studiene samt i fordeling av pasienter på metoder (budsjettkonsekvenser)
FreeStyle Libre	ID2016_044	Modellen var lukket. Ikke mulighet for følsomhetsanalyse. Drøfting av kvalitet på evidens
Revlimid	ID2017_049	Enveis sensitivetsanalyse. Fire alternative forutsetninger. To nesten nøytrale, to med lavere IKER
Lorviqua	ID2018_092	For svakt kunnskapsgrunnlag til å beregne IKER
Luxturna	ID2016_057	Enveis sensitivetsanalyse. En rekke ulike alternativer, noen gir høyere og noen gir lavere IKER
Ocrevus	ID2016_100	Enveis sensitivetsanalyse. Fem alternative forutsetninger, rimelig jevn fordeling høyere/lavere IKER
PPMS	ID2019_018	Drøfting av risiko for skjevheter i studiene og statistisk usikkerhet. Probabilistiske sensitivetsanalyser (PSA), men ikke CEAC
Spinraza (for barn)	ID2017_001	Omfattende drøfting av kunnskapsgrunnlaget og usikkerhet, men ingen sensitivetsanalyse
Zynteglo	ID2019_046	Enveis sensitivetsanalyse. En alternativ forutsetning. Ville gitt høyere IKER
TAVI/TAVR	ID2016_076	Det er analyse av usikkerhet knyttet til diverse parametere. Probabilistiske sensitivetsanalyser (Monte Carlo-simulering) og beregning av CEAC
TAVI/TAVR	ID2019_089	Det er analyse av usikkerhet knyttet til diverse parametere. Probabilistiske sensitivetsanalyser (Monte Carlo-simulering) og beregning av CEAC

Deterministiske sensitivetsanalyser, slik Statens legemiddelverk har brukt i flere av sakene, kan belyse om usikkerheten om kostnadseffektiviteten i hovedscenariet kan sies å representere et rimelig forventningsrett anslag eller om risikoen for høyere/lavere IKER er ujevnt fordelt mellom oppside og nedside.

Enkelte av aktørene har i media, i skriftlige innspill og i intervjuer framholdt at de mener at Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk ikke alltid er balanserte i sine metodevurderinger, men har en tendens til å undervurdere metodenes kostnadseffektivitet. Vi mener analysene av usikkerhet i rapportene kan indikere om det er hold i denne påstanden.

Hvis usikkerhetsanalysene dekker de viktigste risiki på en balansert måte, kan analysene også brukes som en indikasjon på om Statens legemiddelverks hovedalternativ er forventningsrett eller ikke. I forbindelse med Revlimid, tyder Statens legemiddelverks analyse på at det er liten risiko for at IKER skal bli høyere enn i Statens legemiddelverks hovedalternativ, men to faktorer som tilsier at IKER kan bli betydelig lavere. Dette kan, isolert sett tyde på at Statens legemiddelverks hovedalternativ ikke er forventningsrett, men tenderer til å undervurdere metodens kostnadseffektivitet. I de andre sakene der Statens legemiddelverk har brukt sensitivitetsanalyse, framstår risikoen som mer balansert.

Begge de nevnte to viktige risikofaktorene Statens legemiddelverk belyser i sensitivitetsanalysene for Revlimid, er hentet direkte fra den innsendte dokumentasjonen fra leverandøren. Analysen kan dermed sies å belyse betydningen av at Statens legemiddelverk ikke har brukt samme forutsetninger som leverandøren. Vi oppfatter at sensitivitetsanalysen gjerne brukes til dette, det vil si å belyse betydningen av at Statens legemiddelverk har fraveket fra forutsetninger brukt av leverandøren. I så fall vil ikke sensitivitetsanalysen heller nødvendigvis belyse faktorer som Statens legemiddelverk mener er usikre: Statens legemiddelverk kan mene at leverandørens forutsetninger er helt urealistiske.

Når det gjelder Revlimid, mener vi ikke at leverandørens forutsetninger var klart urealistiske. Dette framgår også av Statens legemiddelverks omtale i rapporten. Når Statens legemiddelverk lager et hovedalternativ som ikke tillegger leverandørens forutsetninger om dosering og betydning av crossover noen vekt, mener vi at det anslaget for metodens kostnadseffektivitet som Statens legemiddelverk legger til grunn for sin konklusjon, er ubalansert.¹⁵⁴

Håndtering av usikkerhet i metodevurderingene

I innspill til prosjektgruppa skriver Legemiddelindustrien:

LMI har tidligere tatt til orde for økt bruk av forventningsverdier, fremfor vektlegging av kun ett scenario. Ved å anvende et slikt vektet snitt av sannsynlige utfall, vil en del usikkerhet inkluderes i hovedanalysen på en lettfattelig måte for beslutningstaker, fremfor at usikkerhet blir fremhevet som et upresist og ensidig negativt forhold.¹⁵⁵

Vi mener at kostnadseffektivitet skal vurderes ut fra et forventningsrett anslag. Usikkerhet skal belyses som et mulighetsrom og helst en sannsynlighetsfordeling rundt punktanslaget. Det er ikke alltid realistisk å lage verken ett anslag eller en sannsynlighetsfordeling. Da kan scenarier være et alternativ.

På oppdrag fra LMI leverte Vista analyse høsten 2021 en rapport om usikkerhet i helseøkonomiske analyser av innovative legemidler (Dalen og Godeseth, 2021), hvor det argumenteres for at metodevurderinger som basisalternativ bør presentere en analyse med forventningsverdien (gjennomsnittsverdien) av IKER, men med et tillegg av et optimistisk og et pessimistisk alternativ.

¹⁵⁴ Noen måneder etter at metoden var avvist av Beslutningsforum, tok Sykehusinnkjøp opp saken på nytt og konkluderte med at leverandørens forutsetning om dosering var realistisk, men denne fornyede behandlingen er ikke relevant for drøftingen av behandlingen av usikkerhet i metodevurderingen.

¹⁵⁵ Personlig kommunikasjon, 10. september 2021.

Legemiddelverkets dokumentasjonskrav til leverandørene har spesifikke krav til metoder for å belyse usikkerhet i legemiddeløkonomiske analyser (SLV, 2020b). Vi mener likevel det kan stilles spørsmål ved om usikkerhet belyses i metodevurderingene slik som beskrevet ovenfor, eller om hovedalternativet som brukes til å vurdere kostnadseffektivitet av metodene, alltid er forventningsrette anslag. For oss ser en del av anslagene på kostnadseffektivitet ut til å være «forsiktede», det vil si at hovedalternativet tar høyde for usikkerhet. Her kan kanskje anslagene i vurderingen av Revlimid være et eksempel der hovedalternativet var basert på forutsetninger om dosering og om betydningen av crossover i utprøvingen som vi oppfatter som ubalanserte. Den foreliggende dokumentasjonen ga ikke noen sikre holdepunkter for å avgjøre om en redusert dosering (21 av 28 dager) ga like god effekt som et 28-av-28-dagers regime. Metodevurderingen la da til grunn sistnevnte alternativ, noe som resulterte i vesentlig høyere estimerte kostnader.

Vi oppfatter ikke at det er noen uenighet om prinsippene for hvordan usikkerhet skal behandles i forbindelse med vurdering og beslutning om metoder: I analysene skal man sikte mot forventningsrette anslag, men i beslutningene skal usikkerhet vektlegges negativt. Hvis metodevurderingene er «forsiktede», står man i fare for at usikkerheten «teller dobbelt».

Beslutningsusikkerhet, midlertidig innføring og alternative prisavtaler

Nye metoders rammeverk for prisavtaler fra 2020 omhandler ikke hvordan usikkerhet i datagrunnlaget skal håndteres i avtalene.¹⁵⁶ Men i rapporten om midlertidig innføring heter det:

Det kan skilles mellom usikkerhet knyttet til beregningen av kostnad per vunnet kvalitetsjustert leveår (QALY) og usikkerhet knyttet til beslutningen. Eksempelvis kan det være stor usikkerhet til anslag på kostnad per vunnet QALY, men dersom anslaget er langt over hva som vurderes som øvre grense for betalingsvillighet, kan usikkerheten rundt en eventuell nei-beslutning være liten. (RHF, 2021)

Sveriges *Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket* bruker samme tilnærming: det skilles mellom usikkerhet i kunnskapsgrunnlaget og beslutningsusikkerheten (TLV, 2021). RHF-rapporten beskriver hvordan man ser for seg det videre arbeidet med denne problematikken:

Det pågår et kontinuerlig arbeid i Legemiddelverket om hvordan det er mest hensiktsmessig å vurdere, behandle og presentere usikkerhet knyttet til anslag på kostnad per vunnet QALY på en transparent og konsistent måte i metodevurderinger. Dette er viktig for å sikre likebehandling i metodevurderingene. Det er også viktig for legitimiteten og bærekraften til beslutningene som fattes at usikkerheten vurderes på en konsistent og systematisk måte i beslutninger. Dette er forhold som arbeidsgruppen mener det er behov for å se nærmere på i den videre oppfølgingen av denne rapporten. (RHF, 2021)

Nye metoder-rapporten drøfter også muligheten av å ta i bruk såkalte *Value of Information*-analyser (VOI-analyser). VOI-analysen kan blant annet være utgangspunkt for å identifisere utfallvariable som kan benyttes i eventuelle utfallsbaserte betalingsordninger (Henriksson og Gruneau, 2021). Man ser for seg å bygge opp kompetanse på slik metodikk i Statens legemiddelverk i samarbeid med Universitetet i Oslo. Man ser for seg, «på et transparent grunnlag», i en gitt sak å kunne fatte én av tre følgende beslutninger:

¹⁵⁶ *Rammeverk for prisavtaler. Gjeldende fra 23. juni 2020.* Hentet 24. september 2021 fra <https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/Rammeverk%20prisavtaler%20besluttet%2022JUNI2020.pdf>.

Rammeverket ble godkjent av Beslutningsforum 22. juni 2020; se protokoll på <https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/Protokoll%20Beslutningsforum%2022JUNI2020.pdf>.

- i) Legemiddelet bør innføres nå. Ytterligere informasjon gjennom studier er ikke nødvendig eller vil ikke redusere usikkerheten tilstrekkelig.
- ii) Legemiddelet bør ikke innføres nå. Verdien av ny informasjon er stor og beslutning bør derfor avventes til ny informasjon som kan redusere usikkerheten, er tilgjengelig
- iii) Legemiddelet bør innføres nå, av hensyn til pasientene, men med en avtale som har som mål å redusere usikkerheten. Til forskjell fra punkt i) vil verdien av ny informasjon gjennom ytterligere studier kunne være stor. Som en kompensasjon for høy usikkerhet, bør kostnadene reduseres i form av prisreduksjoner.

Vår vurdering er at det pågående arbeidet verdifullt, også fordi det kan danne grunnlag for resultatbaserte prisavtaler.

7.7.3 Klinikere – medvirkning eller samhandling?

Hvis metodevurderingene skal baseres på optimal bruk av metoder samt inkludere vurderinger av det samlede behandlingstilbudet (forsvarlig helsehjelp til alle), vil dette øke behovet bidrag fra klinikere. Kanskje kan det også være behov for å bruke en metode med trekk av ekspertpanel for å vurdere både kostnadseffektivitet og risiko knyttet til en del metoder.¹⁵⁷ Vi mener dette aktualiserer spørsmålet om dagens involvering av klinikere er hensiktsmessig, eller om metodevurderingene heller bør utformes av arbeidsgrupper hvor klinikere deltar som fullverdige medlemmer.

Fordelen med sterkere involvering av klinikere er at det kommer med relevant kompetanse inn i gruppen som analyserer metode. Videre vil dette gjøre det lettere å komme fram til nyanserte vurderinger som ikke er basert utelukkende på publisert forskning, men også erfaringsbasert kunnskap.

Ulempen er at klinikerne trolig ikke er objektive på tvers av terapiområder og metoder: Det er nærliggende å tenke seg at klinikerne vil ha en tendens til å ønske å fremme «sitt» terapiområde og metodene de selv kjenner best. Videre har ikke alle klinikere kunnskap om alle aspekter ved metodevurderinger. Hvis klinikerne skal stå som medansvarlig for metodevurderingen, kan dette kreve at de bygger opp kompetanse som de ikke har og kanskje ikke får bruk for senere.

Det er også mulig at inkludering av klinikere som medlemmer i arbeidsgrupper som utfører metodevurderinger vil øke den samlede ressursbruken på metodevurderinger. Det er ikke opplagt at klinikers bidrag vil erstatte oppgaver som i dag utføres av ansatte i Statens legemiddelverk eller Folkehelseinstituttet. Kanskje vil dermed økt bidrag fra klinikere også gi om lag en like stor økning i samlet ressursbruk.

7.7.4 Ekstern kvalitetssikring?

I flere av eksempelsakene har klinikere kritisert metodevurderingsrapportene. Enkelte av de som har deltatt som eksperter i arbeidet, oppfatter at de ikke er blitt hørt av Statens legemiddelverk eller Folkehelseinstituttet.

Det er ikke uventet at det er uenighet om metodevurderingene. Ofte er også klinikere uenige seg imellom. Men vi mener man kan være tjent med å åpne for kritikk også som en form for kvalitetssikring. Videre vil gjennom en form for høring kunne bidra til at kritikk blir mer faglig og saklig enn det man får gjennom pressen.

Vi mener dette kan tale for at rapportene bør legges ut på en form for høring slik at alle får mulighet til å uttrykke sine synspunkter i et forum alle har lett tilgang til. Helst bør de som har ansvar for metodevurderingene svare på kritikk. Hovedargumentet mot en slik

¹⁵⁷ Jf. drøfting av dette i Dalen og Godeseth (2021): «Usikkerhet i helseøkonomiske analyser i møte med nye og innovative behandlingsmuligheter»

høring er at dette vil forsinke beslutningsprosessen. Se også punkt 8.4.4 om fagdirektørnotatene og kapittel 9 om medvirkning.

7.7.5 Avveining av kvalitet og tids- og ressursbruk

I kapittel 6 viste vi at Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet bruker relativt lang tid på å utarbeide metodevurderingsrapporter. Samtidig innser vi at flere av refleksjonene og vurderingene våre i dette kapitlet kan gi opphav til tiltak som kan føre ytterligere tids- og ressursbruk. Vi har som nevnt ikke noe grunnlag for å vurdere hvor mye som kan være å hente på interne effektiviseringstiltak. I siste rekke er det systemaktørene som – der det er relevant – må foreta avveiningene mellom hensynet til kvalitet på den ene siden og hensynet til tids- og ressursbruk på den andre.

8 Beslutninger, kommunikasjon, åpenhet og tillit

Dette kapitlet starter med en drøfting av maktforholdene i Nye metoder – spesielt knyttet til den formelle beslutningsmakten. Dernext undersøker vi tillitsforholdene mellom systemaktører og interessenter. Videre drøfter vi hvordan beslutninger bør formuleres og kommuniseres i lys av lovfestede og ulovfestede krav til saksbehandling. Enn videre undersøker vi graden av åpenhet rundt en rekke ulike forhold knyttet til saksbehandlingsprosessene i Nye metoder. Vi undersøker også hvordan påstander om feil håndteres i Nye metoder. Til sist diskuterer vi behovene for prosessbeskrivelser, veiledere og annen dokumentasjon.

8.1 Beslutningsmyndigheten i Nye metoder

Sammensetningen av beslutningsorganet har sammenheng med beslutningenes status. I Danmark, England og Skottland deltar aktører som ikke representerer spesialisthelsetjenesten i å fatte beslutninger om innføring av metoder, og her er beslutningene ikke bindende, selv om de utløser pasientrettigheter i det engelske systemet. I Norge og Sverige er det representanter for spesialisthelsetjenesten som alene fatter disse beslutningene, og beslutningene om innføring er rettslig bindende i Norge, og i Sverige så kalles NT-rådets beslutninger «rekommendationer» som det forventes at regionene innfører (se punkt 4.6.4 for detaljert gjennomgang).

Beslutningsmakt – og annen maktutøvelse

Den norske modellen innebærer at det blir en sterk maktkonsentrasjon i Beslutningsforum, hvis medlemmer også har budsjettansvaret i RHF-ene (jf. punkt 3.1). Men det viktig å også være klar over andre maktfaktorer i og utenfor systemet.

Stortinget fastlegger RHF-enes budsjetttrammer, og HOD har styringsmuligheter, blant annet gjennom oppdragsbrevene. Både Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet har innflytelse som premissleverandører gjennom metodevurderingene. Kliniske eksperter utøver også slik kunnskapsmakt. De fire fagdirektørene utarbeider for eksempel saksframlegg med innstillinger for Beslutningsforum (fagdirektørnotat). Det hører med her at prioriteringsbeslutninger tas på alle nivåer i spesialisthelsetjenesten – fra Beslutningsforum og de administrerende direktørene på toppen, og nedover helt til ned beslutninger om behandling av enkeltpasienter i klinikk.

Leverandørene besitter svært stor makt gjennom sitt forsknings- og utviklingsarbeid – ikke minst er det de som bestemmer hvilke metoder de skal tilby spesialisthelsetjenesten. Også disse besitter kunnskapsmakt gjennom utforming av kliniske studier og annen forskning. Til sist utøver pasient- og brukerorganisasjonene påvirkningsmakt – dels direkte gjennom medvirkningsmekanismer i systemet, og dels gjennom påvirkning

direkte mot helsemyndighetene og deltakelse i offentlig debatt. Også leverandørene utøver påvirkningsmakt.

Som tidligere nevnt har både leverandør- og brukerorganisasjoner framsatt kritikk mot at den formelle beslutningsmakten er plassert eksklusivt hos direktørene for de fire RHF-ene (jf. punkt 4.6.1). RHF-direktørene er – ikke overraskende – samstemte i å fastslå at det ville være problematisk om noen andre enn de som har budsjettansvaret for RHF-ene skal bestemme hva de skal bruke penger på:

Sier man ja til å innføre en behandling for en pasientgruppe, brukes det midler som kunne hatt en alternativ anvendelse for andre grupper pasienter.

Når jeg sier ja til å ta inn noe nytt, er det mitt ansvar å si noe om dette og hvilke konsekvenser dette har.

Plasseringen av beslutningsmakten i dette forumet er uansett forankret i Stortinget – dog ikke i lovs form, men gjennom Stortingets behandling av (Prop. 55 L, 2018–2019), jf. punkt 3.1. Men særlig brukerorganisasjonene og leverandørorganisasjonene påpekte i skriftlig innspill behovet for medvirkning – spesielt på et mer overordnet nivå – enn hva som er tilfelle i dag. Er det behov for å skape en motvekt til beslutningsmakten til nåværende medlemmer av Beslutningsforum? Vi vender tilbake til dette forslaget i punkt 9.6.

Perspektivet i beslutningene

Det har blitt påpekt flere mulige svakheter ved den beslutningsmodellen vi har i Norge. Den ene bygger på mulige problemer med avveining mellom ulike mål – og er knyttet til problemet med *måltrengsel*, jf. punkt 6.1.7. Sterkt forenklet, kan man si at RHF-ene har to mål eller krav: De skal levere best mulige helsetjenester, og de skal holde seg innenfor den ressursrammen de er tildelt. Det er krevende å måle hvor gode helsetjenester som leveres, men det er lett å måle om budsjettammene overholdes. Dette kan føre til at ressurskontrollen får for stor vekt.

I intervjuer har flere interessenter uttrykt at de oppfatter at målet om budsjettkontroll får for sterk vekt. Kreftforeningen uttaler for eksempel at hensynet til målet om rask tilgang blir skadelidende:

I enkelte tilfeller kan det ta år før et legemiddel kommer opp til ny vurdering. Hvor lenge kan en metode ligge etter et nei før det blir uforsvarlig at det ikke er et tilbud i spesialisthelsetjenesten? Det fremkommer som at det kun er industriens «ansvar» at legemiddelet kommer opp til ny vurdering, enten ved at de tilbyr en lavere pris, eller kommer med bedre effektdokumentasjon. Dette medfører at det i flere tilfeller tar altfor lang tid før nye behandlinger kommer pasientene til gode.¹⁵⁸

Man kan også forestille seg at kortsiktige budsjettensyn vil kunne bli vektlagt for mye sett i forhold til langsiktige samfunnsøkonomiske effekter, for eksempel for en kurerende behandling med en høy engangskostnad.

En annen mulig svakhet framkommer i et innspill til prosjektgruppa, hvor FFO framholder at indirekte kostnader slik som for eksempel trygdeytelser og bortfall av arbeidsevne ikke medtas i beslutningsgrunnlagene. Implisitt argumenterer FFO her for å anlegge et samfunnsperspektiv, og ikke et helsetjenesteperspektiv, i beslutningsgrunnlagene.

Det kan også være andre overordnede perspektiver som det ikke tilligger RHF-direktørene og Beslutningsforum å ta i betraktning. Det følger imidlertid av prioriteringsmeldingen at beslutningsgrunnlagene skal legge et utvidet helseøkonomisk perspektiv til grunn. Hvis man brukte ordinære samfunnsøkonomiske analyser på vurdering av

¹⁵⁸ Personlig kommunikasjon, 6. oktober 2021.

medisinske metoder, ville man ikke gitt likeverdig helsehjelp til alle, men for eksempel prioritert pasienter med (potensiell) arbeidsevne.

8.2 Transparens, legitimitet og tillit

Beslutningene i Nye metoder har stor betydning både for pasienters tilgang til helsehjelp og for bruk av offentlige midler. Dette reflekteres også at det er betydelig interesse for engasjement rundt Nye metoder. Etter vår mening bør det være et mål at beslutningene i Nye metoder blir akseptert av de ulike aktørene, så langt det er mulig. Kommunikasjon og transparens, både generelt og i tilknytning til enkeltvedtak, kan trolig påvirke tilliten til systemet og aksept for beslutningene.

Ordet «transparens» er nesten ikke brukt i prioriteringsmeldingen. Men i lovproposisjonen fra 2019 heter det

Transparente beslutnings- og saksbehandlingsprosesser er et av formålene med systemet for nye metoder. (Prop. 55 L, 2018–2019), s. 11.

I prioriteringsmeldingen understrekes viktigheten av åpenhet i tilknytning til beslutningsprosessene for å styrke systemets legitimitet og tillit blant pasienter og i befolkningen:

Åpne prosesser som blir presentert på en forståelig måte og som involverer pasienter og brukere vil styrke legitimiteten til beslutningene som tas. (Meld. St. 34, 2015-2016), s. 27.

[Det er] ønskelig at vurderinger basert på prinsippene for prioritering i større grad enn i dag inngår i grunnlaget for beslutninger på administrativt nivå, jf. kapittel 12. (Meld. St. 34, 2015-2016), s. 27.

Det er et mål å beholde den brede tilslutningen til behovet for prioriteringer og om hvilke hensyn som bør legges til grunn. Denne enigheten og den åpne debatten vi har om prioritering, er viktig for tilliten vi har til det offentliges ansvar for helsetjenesten. (Meld. St. 34, 2015-2016), forordet.

Med andre ord, åpenhet er et virkemiddel for at beslutningene skal oppfattes som *legitime*, og for at ulike interessenter og allmennheten skal ha tillit til systemet. Åpenhetsreformer i offentlig sektor og tiltak for å øke åpen informasjonsdeling, datatilgang og ansvarskontroll, er grep som kan tas for å forbedre tilliten mellom myndigheter og offentlig sektor på den ene side, og innbyggerne på den andre (Bouckaert, 2012).

I denne sammenhengen kan åpenhet og transparens forstås i to ulike grader. For det første kan det forstås som at saksdokumenter skal være *åpent* og enkelt tilgjengelig for interessenter og allmennheten. For det andre kan det forstås som at saksdokumentene i sitt innhold skal reflektere og redegjøre for de kunnskapsgrunnlagene, momentene og avveiningene som ligger til grunn for beslutningene som fattes.

I tråd med både Lønning II-utvalget og Norheimutvalget mener Regjeringen at prioriteringskriteriene må vurderes samlet, og at de i tillegg må veies mot hverandre. (Meld. St. 34, 2015-2016), s. 16.

Vi oppfatter det slik at kravet til åpenhet og transparens innebærer at det må framkomme i beslutninger eller beslutningsgrunnlag hvordan ulike kriterier har blitt anvendt og vektet.

I intervjuene har flere, både klinikere og representanter for leverandører og brukere, uttrykt tvil om prioriteringskriteriene faktisk er styrende for beslutningene i Nye metoder. Det hevdes at mål om å holde legemiddelprisene nede og begrense utgiftene blir dominerende hensyn, slik at de øvrige prioriteringskriteriene tillegges liten vekt. På Kreftforeningens hjemmeside kom det 4. mai 2021 et oppslag med Kreftforeningens generalsekretær Ingrid Stenstadvold Ross:

I dag synes lavest mulig pris å være det eneste som teller når beslutningene tas. Vi insisterer på at også andre hensyn skal veie tungt, som likeverdig og rask tilgang, og tilrettelegging for forskning og innovasjon, argumenterer Ross.¹⁵⁹

Andre uttrykker tvil om Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet er objektive i sine metodevurderinger eller om de «farger» analysene for å underbygge at metoder avvises. LMI opplever at Statens legemiddelverk ikke er risikonøytrale i sine vurderinger, og at deres rolle i større grad bør være å legge frem ett objektivt beslutningsgrunnlag for å vise om et legemiddel er kostnadseffektivt eller ikke, basert på forventningsverdier som reflekterer usikkerhet i estimater. Både fra brukerrepresentanter, klinikere og leverandører har det blitt uttrykt tvil om alle metodevurderingene bygger på beste faglige skjønn. Uten at vi tar stilling til slike påstander vil vi påpeke at det er en del som har slike oppfatninger, noe vi anser som et problem for et prioriteringssystem som bør nyte allmenn tillit. De er etter vår oppfatning uttrykk for at mange aktører og interessenter har liten tillit til systemet for Nye metoder. I et felles innspill til denne evalueringen fra Melanor, LMI, Kreftforeningen og FFO heter det:

For utenforstående aktører fremstår Nye Metoder som et silobasert system hvor ingen tar et reelt ansvar for helheten, hvor utenforstående ikke har innsyn, hvor betydningen av tidsfrister og tidsforløp ikke forstås og hvor ønske om å ivareta sentrale helse- og legemiddelpolitiske mål utover lavest mulig pris, virker fraværende.¹⁶⁰

Selv om det må ventes uenighet både om faglige spørsmål og verdivalg knyttet til denne typen beslutninger, og at det ikke er unikt at aktører tyr til mistenkeliggjøring av andre for å fremme egne interesser, oppfatter vi at konfliktnivået rundt Nye metoder er høyt. Dette må også ses på bakgrunn av at det er enighet om at prioritering er nødvendig og prioriteringsmeldingens grunnleggende prinsipper.

Vi er på det rene med at det står store økonomiske interesser på spill. Vi innser også at beslutninger om ikke å ta i bruk en ny metode under enhver omstendighet vil kunne oppfattes som kontroversielle, og det er ikke slik at offentlig debatt om beslutninger er et uttrykk for liten tillit til systemet. Men Kreftforeningen uttaler seg såpass sterkt at «tilliten til systemet svekkes av at pasienter dør mens de venter på vedtak», og at:

Den største utfordringen systemet står overfor er sviktende tillit og legitimitet i befolkningen til de beslutningene som tas.

FFO uttaler:

Om folks inntrykk blir at dette er et system som kun er opptatt av å redusere bruk av offentlig midler, og ikke for å muliggjøre ny behandling/nye behandlingsmetoder, vil hele systemet miste nødvendig tillit.

Når kommunikasjon mellom aktørene går i offentlige kanaler, og da særlig pressen, blir kritikernes tone gjerne skjerpet for å sikre oppmerksomhet. Fra bruker- og leverandørsiden har enkelte framholdt at de ikke føler at de når fram til viktige beslutningstakere i RHF-ene gjennom andre kanaler. Dette kan trolig utløse ekstra spissede utspill for å sikre oppmerksomhet.

Vi oppfatter offentlig meningsutveksling og uttalelser til oss i intervjuer og innspill som såpass tilspissede, at det er grunn til å karakterisere situasjonen slik at det moderat eller svak tillit mellom systemaktørene (Statens legemiddelverk, Folkehelseinstituttet og RHF-ene) på den ene siden, og representanter for leverandører, klinikere og pasienter på den andre siden.

¹⁵⁹ *Somling rammer kreftsyke*, 4. mai 2021. Hentet 25. september 2021 fra: <https://kreftforeningen.no/aktuelt/somling-rammer-kreftsyke/>.

¹⁶⁰ *Felles innspill fra leverandører, pasient- og interesseorganisasjoner*. Personlig kommunikasjon, 2. juli 2021.

Det skal nevnes at man blant annet i Folkehelseinstituttet er oppmerksom på utfordringen med å oppnå:

Tilstrekkelig oppslutning i befolkningen gitt at gapet mellom muligheter og tilgjengelige ressurser forventes å øke, prioritering vil forbli «upopulært» og stadig mer krevende, og at eksplisitt prioritering gjør «nei-ene» enda klarere.

Men vi vil også bemerke at ingen av klinikerne eller representantene for brukerorganisasjonene har bedt om å ikke bli sitert på kritikk. Dette oppfatter vi som et positivt tegn. Det er enkelte leverandører som har bedt om ikke å bli sitert på alt de har sagt. Dette oppfatter vi som et faresignal. Hvis leverandørene eller andre aktører frykter for at det kan få negative konsekvenser for dem hvis de fremmer kritikk, er dette et hinder for åpen debatt. Dette svekker mulighetene for å forbedre systemet. Vi er oppmerksomme på at alle leverandørene vi har vært i kontakt med arbeider i internasjonale selskaper, og at de norske representantene kan være underlagt føringer for ekstern kommunikasjon fra sine hovedkontorer. Motviljen mot å framstå med kritikk, kan avspeile forhold mellom myndigheter og private aktører i andre land.

Vi har også i intervjuer og skriftlige innspill fanget opp utsagn og kommentarer fra systemaktørhold som vi tolker som at mangel på tillit er gjensidig. I forbindelse med spørsmål om klinikermedvirkning har det blitt påpekt at klinikere ofte blir «advokater» for sine fagfelt, og når det gjelder brukermedvirkning har det blitt påpekt at representanter for brukerorganisasjoner lett kan bli talspersoner for «sine egne» sykdommer. Vi er ikke fremmede for å være oppmerksom på interesser når man diskuterer faglige spørsmål, men vi opplever stadig at interessentenes posisjoner og meninger om *fag* i høy grad søkes redusert til å være et uttrykk for deres *interesser*. I arbeidet med denne rapporten har vi for eksempel fanget opp signaler fra systemaktører som går sterkt i retning av å ville tvile på innholdet i en rapport fra IQVIA *med henvisning til* at den er utarbeidet på oppdrag fra LMI.

Svak tillit til systemet blant ulike interessenter og aktører er et av våre hovedfunn. Vi mener det kan være grunn til å se på muligheter for å styrke direkte kontakt slik at aktørene får fremmet sine synspunkter overfor hverandre og får svar på synspunktene. Vi mener at det må skapes flere arenaer eller fora for slik interaksjon, for å øke åpenhet og transparens, redusere konfliktnivået, og i sin tur styrke legitimitet og tillit.

Aktuelle tiltak kan være økt medvirkning fra leverandører, brukerorganisasjoner og klinikere før metodevurderinger blir offentlige og før anbefalinger og beslutninger utformes samt mer konsultasjon på systemnivå, det vil si utenom behandlingen av enkeltsaker (se kapittel 9). Videre ser vi rom for forbedringer i hvordan beslutninger formuleres (jf. avsnitt 8.3.1).

8.3 Er beslutningene i tråd med rettslige og politiske føringer?

Beslutningene i Nye metoder er ikke å regne verken som forvaltningsvedtak (spesialisthelsetjenesteloven § 4-4 tredje ledd) eller som forskrifter. Dersom beslutningene hadde hatt status som enkeltvedtak, ville forvaltningsloven i utgangspunktet stilt krav til saksbehandlingen, blant annet om partsinnsyn, krav til begrunnelsen for vedtak og mulighet for å påklage vedtakene til en annen instans eller et annet organ. Dersom beslutningene hadde hatt status som forskrifter, ville det blant annet normalt være krav om medvirkning i form av forutgående høringsrunde til aktuelle interessenter.

Disse alminnelige bestemmelsene i forvaltningsloven suppleres av det som ofte kalles prinsipper om «forsvarlig saksbehandling». Sivilombudsmannen peker i sin uttalelse om Nye metoder også på slike normer:

Det er på det rene at det gjelder et ulovfestet krav til forsvarlig saksbehandling ved forvaltningens handlemåte, enten denne er av privat- eller offentligrettslig karakter. Dette må nå anses fastslått av Høyesterett, se f.eks. Rt. 2009 s. 1356 (Nordea). Prinsippet supplerer i noen grad enkelte av forvaltningslovens saksbehandlingsregler, men hva som nærmere kan utledes av prinsippet, må vurderes konkret.¹⁶¹

Nå må beslutningene i Nye metoder vurderes opp mot generelle forvaltningsrettslige prinsipper som krav til forsvarlig saksbehandling mv. for å vurdere hvorvidt behandling av saker er i tråd med regelverk og nasjonale føringer, samt håndtering av saksbehandlings- og prosedyrefeil i systemet.

Også ulovfestet forvaltningsrett kan gi føringer for blant annet mulighet for medvirkning til interessenter som ville hatt partsstilling eller rettslig klageinteresse dersom beslutningene skulle vurderes som enkeltvedtak. Videre kan det være spørsmål om det kan stilles krav om fornyet vurdering av beslutninger dersom aktuelle interessenter framsetter påstander om at beslutningene ikke er i tråd med de rettslige kravene som framgår av helselovgivningen. Dette gjelder særlig spesialisthelsetjenesteloven og pasient- og brukerrettighetsloven, der slike krav – blant annet om hvilke prioriteringskriterier som skal legges til grunn for beslutningene – er nærmere nedfelt.

Også påstander om alvorlige feil i saksbehandlingen som kan ha virket inn på beslutningene, vil være av interesse vedrørende spørsmål om mulighet for å kunne anmode eller kreve en revurdering av foretatte beslutninger. Tilsvarende vil kunne gjelde påstander om at det er lagt feil faktum til grunn for beslutningene.

En siste mulig innsigelse overfor beslutninger vil være om interessenter mener de kan sannsynliggjøre «usaklig forskjellsbehandling». Dette likhetsprinsippet ble i 2014 en rettslig forankret norm i Grunnloven § 98, men gjelder *direkte* bare for personer, ikke for selskaper mv.

Den rene skjønnsutøvelsen – innenfor de nevnte rettslige rammene – tilligger beslutningsorganet selv, dersom det ikke kan sannsynliggjøres en prosess eller en avgjørelse som er i strid med det lovmessige grunnlaget (kravet til prioritering i tråd med lovens krav), som er beheftet med alvorlige saksbehandlingsfeil, eller som er basert på et feilaktig faktumgrunnlag.

Det er dermed nødvendig å blant annet undersøke hvorvidt det er etablert andre måter å håndtere saksbehandlings- og prosedyrefeil på enn gjennom en ordinær klageadgang slik forvaltningsloven normalt gir anvisning på. Om slike prosedyrer ikke er etablert, kan det være en aktuell del av evalueringen å foreslå etablering av slike.

For å kunne vurdere saksbehandlingen ut fra et rettslig perspektiv, må utgangspunktet være å undersøke om det foreligger detaljerte beskrivelser av hvordan konkrete enkelt-saker skal behandles før beslutningene blir fattet.

Det kan for øvrig nevnes at forvaltningslovutvalget i NOU 2019:5 (2019) *Ny forvaltningslov* foreslår å lovfeste visse krav til avgjørelsers innhold, i tråd med hva også utvalget påpeker til nå har vært ulovfestet rett. Dette gjelder for eksempel § 40 om utøving av forvaltningsskjønn der lovutkastet er gitt følgende ordlyd:

Forvaltningsorganet skal ikke legge vekt på utenforliggende hensyn. Forvaltnings-skjønnet skal ikke være vilkårlig eller innebære usaklig forskjellsbehandling.

Utkastet § 40 reserverer denne bestemmelsen til enkeltvedtak, men peker på krav til saklighet som må ha betydning også utenfor enkeltvedtak.

¹⁶¹ Hentet 28. oktober 2021 fra <https://www.sivilombudet.no/uttalelser/sporsmal-om-det-er-klageadgang-pa-avgjorelser-fattet-av-beslutningsforum-for-nye-metoder-sak-av-eget-tiltak/>.

8.3.1 Føringer for formulering av beslutninger

Selv om forvaltningslovens krav til henholdsvis enkeltvedtak og forskrifter ikke gjelder for beslutningene i Nye metoder, mener vi at beslutningenes betydning kan tilsi at Nye metoder som system kan holdes opp mot en del av kravene i forvaltningsloven. Blant annet mener vi at kravene til formulering av og begrunnelse for enkeltvedtak kan ses som relevante. Kravene til slike vedtak er utformet ut fra hensyn som også er relevante for Nye metoder, herunder mål om at vedtakene skal aksepteres.

Vi viser her til NOU 2019:5 (2019) *Ny forvaltningslov*, avsnitt 23.2.4. Mens begrunnelsene i enkeltvedtak etter forvaltningsloven har relevans for adgangen til å klage på vedtak, kan begrunnelsene for beslutninger i Nye metoder heller sikte mot å sikre transparens, legitimitet og aksept samt å gi signaler til framtidige forslag om innføring eller utfasing av metoder. Nedenfor har vi brukt det nevnte avsnittet i NOU-en til å utlede mulige positive virkninger av begrunnelsene for beslutninger i Nye metoder.

Følgende avsnitt er en omskrivning av det nevnte avsnittet i NOU 2019:5 (2019):

For det første har en begrunnelse betydning for interessentene (*leverandør, klinikere, pasientorganisasjoner og andre*). Begrunnelsen kan sette interessentene i stand til å forstå *beslutningen*. Det er gjerne lettere å forsones seg med et negativt utfall når det er kjent hvilke premisser det bygger på. Begrunnelsen kan også overbevise interessentene, slik at *beslutningen* godtas som riktig og rettferdig. En oppklarende begrunnelse kan bidra til å skape tillit til *Nye metoder*.

Begrunnelsen gir interessentene mulighet til å forstå om *beslutningen* skyldes uriktig bruk av *prioriteringskriteriene* eller om den bygger på uriktige faktiske opplysninger, og gir dermed interessentene bedre muligheter til å vurdere om det er grunnlag for å forsøke å få fornyet behandling og i så fall med hvilken begrunnelse.

I den grad begrunnelsen evner å overbevise eller oppklare, kan den også bidra til å hindre unødige klager. En slik besparelse kan til en viss grad veie opp for ressursene som går med til å utarbeide begrunnelse.

Begrunnelsen vil også kunne ha betydning for nye forslag, idet begrunnelsen kan gi innblikk i hva *Beslutningsforum* vektlegger, og hvordan det resonnerer. Interessentene kan dermed få mer innsikt i hva det nytter å foreslå, og hvordan forslaget bør begrunnes.

For det annet har begrunnelsen en verdi for forvaltningsorganet selv. Å skrive en begrunnelse som skal kunne presenteres utad, kan bidra til å bevisstgjøre den som forbereder saken og oppfordre til større grundighet og nøyaktighet. Slik kan begrunnelsen bidra til kvalitet i beslutningssystemet. Begrunnelsen kan også bidra til å skape en konsekvent og stabil praksis. (NOU 2019:5, 2019) (Våre omskrivninger i kursiv)

I mange av sakene som behandles i Nye metoder vil de ulike prioriteringskriteriene trekke i ulike retninger, for eksempel ved at en metode er kostnadseffektiv, men at innføring vil gi sterk budsjettøkning. Beslutningen vil da bygge på en avveining mellom disse hensynene. Utfordringen vil være å begrunne beslutningen slik at avveiningen blir forstått og helst akseptert. Aksept kan her forstås enten som en aksept for at beslutningen er basert på konsekvent bruk av prioriteringskriteriene, eller også aksept for den avveiningen (det verdivalget) som Beslutningsforum legger til grunn.

NOU 2019: 5 (2019) *Ny forvaltningslov* omhandler også krav til utforming av en begrunnelse, herunder for begrunnelser som bygger på en avveining mellom ulike motstridende hensyn. Det samme temaet drøftes også i en forskningsartikkel skrevet av en tidligere visesentralbanksjef og en tidligere høyesterettsjustitiarius (Qvigstad og Schei, 2018). De drøfter også temaet knyttet til sentralbankers rentebeslutninger, som ikke er enkeltvedtak etter forvaltningsloven. I artikkelen konkluderer de med krav til en god begrunnelse for sentralbankers rentevetdakt. Vi gjengir her bare helt overordnede konklusjoner:

Kriterium 1: Begrunnelsen bør være faglig profesjonell

- Kan man sjekke ut at prosedyrene er fulgt?
- Er det referanse til de dokumenter som er underlagsmateriale?

Kriterium 2: Begrunnelsen bør være funksjonell

- Er begrunnelsen logisk? Det vil si, er det redegjort for premisser, sammenhenger, avveiningene og konklusjon?
- Er det beskrevet om beslutningen var vanskelig eller lett?

Kriterium 3: Begrunnelsen bør reflektere veien frem mot beslutning

- Den eksterne begrunnelsen bør reflektere den interne beslutningsprosess
- Hvordan var prosessen frem mot det endelige resultat? Hvilke punkter var krevende?

Kriterium 4: Begrunnelsen bør utformes med henblikk på at den påvirker forventningene

- Er begrunnelsen skrevet med tanke på å opplyse om (Nye metoders) reaksjonsmønster?

(Qvigstad og Schei, 2018)

8.3.2 Begrunnelser i eksempelsakene

Vi har sett at en del av beslutningen i Beslutningsforum er svært kortfattede og med liten eller ingen substansiell begrunnelse. For eksempel ble følgende beslutning fattet 27. februar 2017:

Elotuzumab (Empliciti) innføres ikke til behandling av myelomatose.

Går man inn i sakspapirene, finner man et saksframlegg fra fagdirektørene som viser at myelomatose er en svært alvorlig lidelse, at metoden som vurderes gir signifikant helsegevinst, men at kostnaden er så høy at fagdirektørene likevel mener at metoden ikke bør innføres.

Fagdirektørenes anbefaling knyttet til Empliciti bygde på en helhetsvurdering hvor to av prioriteringskriteriene som taler for innføring (alvorlighet og helsegevinst) stilles opp mot et tredje (kostnad).

Et annet eksempel er vår eksempelsak Revlimid (ID2017_049). I protokollen fra Beslutningsforum er hele beslutningen formulert på følgende måte:¹⁶²

Beslutningen som er fattet av Beslutningsforum for nye metoder er resultat av en lang prosess og en grundig vurdering av de menneskelige konsekvenser som følger både av beslutning om innføring så vel som beslutning om ikke å innføre en behandlingsmetode.

Dersom det tilkommer nye opplysninger (herunder pasientsikkerhet, kostnadseffektivitet, pris, generika, overlevelsestall mm. som endrer resultatet vesentlig), vil beslutningen kunne vurderes på nytt.

Lenalidomid (Revlimid®) innføres ikke til vedlikeholdsbehandling av voksne pasienter med nydiagnostisert myelomatose som har gjennomgått autolog stamcelletransplantasjon.

De to første avsnittene fra protokollen er en standardtekst, som går igjen i svært mange av beslutningene om innføring. Det tredje avsnittet er alt som sies om denne spesifikke saken. Den oppgir kun hva beslutningen er, ikke hvilket grunnlag og hvilke vurderinger den bygger på. Det opplyses heller ikke om det har vært usikkerhet knyttet til kunnskapsgrunnlaget – til tross for usikkerhetene knyttet til doseringsregimet (se punkt

¹⁶² Hentet 28. oktober 2021 fra

<https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/17DES2018%20forel%C3%B8pig%20protokoll%20til%20publisering.pdf>.

7.7.2). På Nye metoders hjemmeside, er det kun det tredje avsnittet som framkommer.¹⁶³ I tillegg er det lenke til protokollen.¹⁶⁴

I alle sakene inneholder sakspapirene en langt mer utførlig redegjørelse for grunnlaget for saken og en avveining mellom ulike kriterier som underbygger en anbefaling til Beslutningsforum. Det skal dog sies at heller ikke fagdirektørnotatet drøfter usikkerheten knyttet til doseringsregimet – det fastslås kun at man har lagt 28-av-28-dagers-regimet til grunn for beregningene:

SLV mener det er svært usikkert om en slik redusert dosering ikke vil ha noen innvirkning på effekten av behandlingen, og har derfor brukt samme dosering som ble benyttet i studien og godkjent preparatomtale i sin hovedanalyse, dvs. dosering på dag 1-28 av hver 28-dagerssyklus.¹⁶⁵

Det framgår her at anbefaling om avslag er begrunnet med at metoden ikke er kostnadseffektiv. I Revlimid-saken ligger dette fagdirektørnotatet et annet sted på hjemmesiden, og det er ikke lenket opp.¹⁶⁶ Det kreves med andre ord en del arbeid å finne fram til disse sakspapirene, og i mange saker har de et omfang og en form som krever en del av leseren.

Mange av beslutningen i Beslutningsforum som vi har sett, er mye mer utførlige enn eksemplene over. Vi kan ikke spore noe klart mønster for når det redegjøres utførlig for grunnlaget og avveiningene, og når det kun er selve beslutningen som oppgis.

8.3.3 Formulering av beslutninger i sammenlikningslandene

Vi har sett på hvordan beslutninger formuleres i sammenlikningslandene. Hovedinntrykket er at de andre landenes beslutninger er mer utførlige enn de norske, men også at det er stor variasjon i hva som omtales i beslutningene.

Beslutningene i England og Skottland har preg av sammendrag av hele saken, herunder den aktuelle indikasjonen og pasientpopulasjonen, kunnskapsgrunnlaget, effekten av metoden opp mot andre metoder, mv.

I Sverige inneholder beslutningen en vurdering av metoden opp mot hvert av de ulike prioriteringskriteriene og hva som er vektlagt i den samlede vurderingen. Som nevnt veier *Rådet för Nya Terapier* også fire kriterier mot hverandre: Alvorlighet, metodens effekt, påliteligheten av kunnskapsgrunnlaget og sjeldenhet. Hver av disse kriteriene graderes etter en skala med trinnene «svært høy», «høy», «moderat» og «lav».

I Danmark framstår formatet på gjengivelse av beslutningene på *Medicinrådets* hjemmeside som mindre standardisert enn i de andre sammenlikningslandene. Vi har sett på en del beslutninger for legemidler som ikke er innført. På *Medicinrådets* hjemmeside er det for hver beslutning en kort tekst med omtale av effekt, usikkerhet om effekt, alvorlighet og/eller kostnadseffektivitet samt hva som er vektlagt i den samlede

¹⁶³ *Lenalidomid (Revlimid) – Indikasjon II*. Hentet 26. september 2021 fra: <https://nyemetoder.no/metoder/lenalidomid-revlimid-indikasjon-ii>

¹⁶⁴ Hentet 26. september 2021 fra: <https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/17DES2018%20forel%C3%B8pig%20protokoll%20til%20publisering.pdf>

¹⁶⁵ *Beslutningsforum for nye metoder: Innkalling og saksdokumenter, 17. desember 2018*. Hentet 28. oktober fra <https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/Beslutningsforum%20for%20nye%20metoder%20M%C3%B8te%2017DES2018%20Innkalling%20og%20saksdokumenter%20offentlig%20versjon.pdf>.

¹⁶⁶ *Beslutningsforum for nye metoder: Innkalling og saksdokumenter, 17. desember 2018*. Hentet 28. oktober 2021 fra: <https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/Beslutningsforum%20for%20nye%20metoder%20M%C3%B8te%2017DES2018%20Innkalling%20og%20saksdokumenter%20offentlig%20versjon.pdf>

vurderingen. Teksten i beslutningene er gjerne på om lag ti linjer. I tillegg er det lenke til et kort standardisert dokument (1-2 sider) som omtaler verdi for pasientene, kostnader for helsevesenet og alvorlighet.

8.3.4 Drøfting og anbefaling

Korte beslutninger med lite eller ingen begrunnelse kan etterlate et inntrykk av at saken er behandlet overfladisk eller at det skulle være en slags motvilje mot å offentliggjøre den faktiske begrunnelsen for beslutningen.

Man kan velge å se på drøftingen i sakspapirene som en del av begrunnelsen for beslutningen, men denne drøftingen er skrevet av fagdirektørene og ikke av Beslutningsforum. Det krever noe arbeid å finne fram til fagdirektørenes vurdering og anbefalinger, blant annet fordi de står i et dokument hvor alle sakene til det aktuelle møtet i Beslutningsforum er presentert. Det samlede dokumentet er ofte på 150-200 sider. Fagdirektørenes saksframlegg inneholder heller ikke en systematisk vurdering opp mot hvert av prioriteringskriteriene.

Vi vil anbefale at man som hovedregel inkluderer følgende i beslutninger i Beslutningsforum om innføring, ikke innføring eller utfasing av metoder:

- (Svært) kort innledende tekst om indikasjonen og eksisterende og foreslått metode
- Hvilket faglig grunnlag (metodevurdering fra Statens legemiddelverk /Folkehelseinstituttet, innspill fra interessenter og eventuelt annet grunnlag) beslutningen bygger på
- Antall aktuelle pasienter og effekt av beslutningen på helsegevinst/helsetap (vunne/tapte leveår og QALYs per pasient)
- Kort historikk om saken (forslag, metodevurdering, prisforhandling, tidligere behandling i Beslutningsforum og andre viktige begivenheter)
- Korte innspill fra brukere, klinikere og produsenter
- Kort redegjørelse for viktige usikkerhetsfaktorer og hvordan de har blitt håndtert i metodevurdering og beslutning
- Vurderingen av metoden opp mot hvert av prioriteringskriteriene, med vektlegging av hva som eventuelt har vært vanskelige avveininger i saken. Hvis andre forhold, som for eksempel mål om innovasjon, rask innføring og lave legemiddelkostnader, også er blitt tillagt betydelig vekt, bør de omtales.

Dette forslaget har mye til felles med måten NT-rådet i Sverige formulerer sine beslutninger. Etter vår mening framstår de løsningene som er valgt for formulering av beslutninger i Danmark og Sverige som bedre enn løsningene i England og Skottland. Hovedvekten bør legges på å belyse anvendelsen av prioriteringskriteriene og eventuelle vanskelige avveininger. Det er trolig viktigere å legge arbeid i formulering av avvisning enn av innføring av metoder. Dette gjelder særlig hensyn til å bidra til tillit og aksept. For interne formål, det vil si for egen læring eller for å etablere en form for presedensarkiv, er det like viktig begrunne beslutninger om innføring.

8.4 Om åpenhet i saksbehandlingen

Det er et mål at Nye metoder skal være transparent. Åpenhet og transparens bidrar til tillit og ansvarliggjøring. Vi vil her kort omtale debatten om åpenhet om prisene på legemidler og utstyr samt drøfte åpenhet om øvrige forhold knyttet til Nye metoder. Bortsett fra informasjon om direkte eller indirekte avslører priser og betalingsvilje, er det ikke, så vidt vi vet, noe av kunnskapsgrunnlaget eller øvrig informasjon om beslutningsprosessene i Nye metoder som er unntatt offentlighet. På den andre siden, er det en god

del informasjon som ikke er lett tilgjengelig, enten fordi informasjonen ikke ligger åpent eller fordi det er vanskelig å forstå innholdet.

8.4.1 Åpenhet om priser

Ofte vil kostnadseffektiviteten være avgjørende for vurdering av metoder i spesialisthelsetjenesten. Blant annet vil manglende åpenhet om prisene begrense eksterne interessenters mulighet for å ettergå beslutningene.

Etter at LIS ble en del av HINAS,¹⁶⁷ bestemte ledelsen i HINAS at enhetspriser på legemidler til spesialisthelsetjenesten ikke lenger skulle være offentlige. Ifølge en artikkel i Norsk Farmaceutisk Tidsskrift ble det vist til en utredning som ikke er offentlig tilgjengelig og uten at endringen ble gjenstand for høring.¹⁶⁸

En arbeidsgruppe opprettet av RHF-ene la i 2018 fram en rapport om rutiner for «Håndtering av enhetspriser for legemidler og prinsipper for rutiner for prisinformasjon» (Sykehusinnkjøp, 2018). I rapporten refererer man til en analyse om fordeler og ulemper ved offentlighet versus fortrolighet om priser på legemidler. Analysen ble laget av KPMG på oppdrag fra Amgro (den danske søsterorganisasjonen til Sykehusinnkjøp). I rapporten fra arbeidsgruppen gjengis KPMGs hovedkonklusjon som følger:

KPMG konkluderer i denne rapporten at det på kort sikt, og da særlig ved forhandlinger av pris på nye dyre patenterte legemidler, vil være størst økonomisk fordel for innkjøper å ha fortrolige priser. Men de konkluderer også med at mindre transparens på legemiddelpriser på lang sikt kan føre til høyere priser fordi dette vil forbedre leverandørenes forhandlingsposisjon. (Sykehusinnkjøp, 2018)

Arbeidsgruppen refererer også til prioriteringsmeldingen (Meld. St. 34, 2015-2016), avsnitt 14.1.1). Der argumenterer regjeringen prinsipielt for åpenhet, men også for at åpenhet om priser på legemidler *kan* ha en kostnad for kjøper. Regjeringen konkluderer med at legemiddelpriser kan unntas offentlighet, og at et vedtak om offentlighet må tas i fellesskap på europeisk nivå. I dette ligger at legemiddelpriser også kan offentliggjøres.

I en lovproposisjon for endringer i legemiddeloven (Prop. 83 L, 2015-2016) vises det for eksempel til Sivilombudsmannen:

Sivilombudsmannen peker også på allmennhetens behov for innsyn i disponeringen av offentlige midler vil ha betydning i vurderingen av om taushetsplikt gjelder. (Prop. 83 L, 2015-2016)

Økonomen Kurt Brekke i Konkurransetilsynet har i et foredrag argumentert for at hemmelige rabatter på lengre sikt kan tenkes å gi høyere priser enn offentlige. Både LMI og enkeltfirmaer har argumentert med at rabatter må være hemmelige av forretningsmessige grunner. Godkjent maksimalpris på legemidler er offentlig, men HOD har besluttet at såkalte rabatterte priser skal unntas offentlighet.

Hvis man hadde offentliggjort prisene og hele den helseøkonomiske analysen i metodevurderingene, ville dette trolig bidratt til økt tillit til at beslutningene var godt begrunnet. Hvis norske myndigheter hadde satt vilkår om at prisdata kunne offentliggjøres, ville dette gitt en merkostnad for legemidler. Grunnen er at det ville vært vanskelig for leverandørene å ta høyere pris i andre land enn i Norge hvis innkjøperne i andre land hadde fått kunnskap om hvilken pris leverandørene hadde akseptert i Norge.

¹⁶⁷ I juni 2015 ble LIS virksomhetsoverført fra Sykehusapotekene HF til Helseforetakenes innkjøpsservice AS (Hinas). I 2016 ble HINAS overtatt av Sykehusinnkjøp.

¹⁶⁸ *Fagrådet til LIS ut mot prishemmelighold*. Norsk Farmaceutisk Tidsskrift, 29. august 2016. Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://www.farmatid.no/artikler/nyheter/fagradet-til-lis-ut-mot-prishemmelighold>.

Dette taler for at Norge hadde måttet betale like høy eller høyere pris enn andre land. Trolig vil det være vanskelig – og ikke minst kostbart – for Norge å unilateralt innføre åpenhet om rabatterte priser. Direktør for Helse Midt, Stig Slørdahl, formulerer dilemmaet slik i et intervju:

Det er én ting vi liker dårligere enn hemmelighet, og det er urimelig høye priser!

Internasjonalt tas det til orde for økt transparens når det gjelder prisinformasjon på medisinsk teknologi – blant annet i form av en resolusjon i Verdens helseorganisasjon (WHO).

The Seventy-second World Health Assembly, [...]

Seriously concerned about high prices for some health products, and inequitable access to such products within and among Member States, as well as the financial hardships associated with high prices which impede progress towards achieving universal health coverage; [...]

1. URGES Member States in accordance with their national and regional legal frameworks and contexts: [...] (1) to take appropriate measures to publicly share information on the net prices of health products.¹⁶⁹

8.4.2 Åpenhet om terskelverdi for kostnadseffektivitet

Det er imidlertid ikke bare størrelsen på rabattene som er unntatt offentlighet, men også hvilke terskelverdier Beslutningsforum har med hensyn til betalingsvilje for gode leveår (QALYs). Det er riktignok heller ikke én klar grense, men en avveining mellom ulike hensyn.

I England, men ikke i de andre sammenlikningslandene, er betalingsviljen for QALYs offentlig. NICE angir et intervall for terskelverdien for kostnad per QALY. Når det oppgis et intervall og ikke bare en øvre grense, er det fordi betalingsviljen også avhenger av en rekke andre forhold som inngår i en helhetsvurdering.

Et slikt intervall gjør det mulig for leverandørene å se hvordan metodens kostnadseffektivitet ligger i forhold til det som er akseptabelt. Med en tilsvarende ordning sikrer man seg bedre mot mistanke om at beslutningskriterier ikke følges konsekvent. Leverandøren, som kjenner både den rabatterte pris og den IKER Beslutningsforum legger til grunn, vil kunne bekrefte eller avkrefte om kriteriene er fulgt. En ulempe med offentlig kjent betalingsvilje for QALYs er at leverandørene kan sette pris og rabatter etter betalingsviljen. Flere av leverandørene vi har intervjuet har gitt uttrykk for at de allerede vet ganske mye om betalingsviljen. Dette tilsier at offentliggjøring av et intervall kan få begrenset betydning.

Vi kan ikke se at offentliggjøring av et intervall for betalingsvilje per QALY vil bidra vesentlig til transparens og andre aktørers muligheter til ansvarliggjøring av aktørene i Nye metoder. Kanskje vil imidlertid offentliggjøring styrke tilliten til at det er en rimelig konsekvent praksis og at kostnadseffektivitet tillegges sterk vekt i beslutningene.

8.4.3 Redegjørelse for aggregerte effekter av beslutningene

Beslutningsforum kan – billedlig talt – framstå som «julenisse» når man beslutter å innføre en ny metode, og som «gjerrigknark» når man beslutter å ikke innføre. Begge disse inntrykkene er feilaktige, gitt at beslutninger i Nye metoder fattes innenfor faste budsjetttrammer.

¹⁶⁹ *Improving the transparency of markets for medicines, vaccines, and other health products*. Seventy-second World Health Assembly, Agenda item 11.7, 28. mai 2019. Hentet 28. September 2021 fra: https://apps.who.int/gb/ebwha/pdf_files/WHA72/A72_R8-en.pdf.

Man kan se på beslutningene om Nye metoder som uttrykk for hvor store ressurser vi som samfunn er villige til å betale for å bedre helsen til en pasientgruppe. Men de som tar beslutningene i Nye metoder, står ikke i en slik valgsituasjon: De skal velge mellom ulike metoder, ofte metoder på ulike terapiområder. Vi mener økt synliggjøring av de avveiningene ledelsen i RHF-ene står overfor kan bidra til å gi økt legitimitet til beslutningene.

Innføring av en ny metode som medfører høyere netto kostnad for helseforetakene innebærer at man må redusere andre kostnader. Dette gjøres trolig i de interne budsjettprosessene i hvert av RHF-ene, trolig i form av en rekke større eller mindre «mikro-beslutninger» der ressurser til enkelt-aktiviteter og enheter reduseres. Med andre ord, når man prioriterer noe opp, så må noe annet prioriteres ned. Det er et tankekors at det ikke er mulig å finne ut hvilke metoder eller pasientgrupper som prioriteres ned, og om alle disse «mikro»-beslutningene er i tråd med prioriteringskriteriene. Likevel spør vi om det er mulig å synliggjøre virkninger av beslutninger i større grad enn hva som er tilfelle i dag.

Beslutningsforum redegjør ikke for slike virkninger, verken i enkeltbeslutningene eller i årsoppsummeringene. Er det mulig å redegjøre for budsjettvirkning og helsegevinst eller -tap som følge av enkeltbeslutninger, uten å måtte avsløre konfidensialitetsbelagt informasjon? Og videre, er det mulig å redegjøre for de samlede virkningene av beslutninger i Nye metoder, for eksempel i årsoppsummeringene fra Beslutningsforum?

Vi mener det vil styrke tilliten til Nye metoder om Beslutningsforum kunne redegjøre for virkninger av beslutningene. Slike redegjørelser ville trolig være et nyttig kunnskapsgrunnlag for en forsterket referansegruppe (jf. punkt 9.6). Vi er dog usikre på om det er mulig å anskueliggjøre slike effekter på en meningsfull måte. Vi er også usikre på om ressursinnsatsen som utarbeiding av slike redegjørelser ville kreve, ville være forholdsmessig.

8.4.4 Fagdirektørens arbeid

Eksempler på informasjon som ikke er åpent tilgjengelig er fagdirektørens arbeid. De spiller en viktig rolle særlig ved å utforme anbefalinger («Notat» eller fagdirektørnotat) til Beslutningsforum. Anbefalingene – eller innstillingene – er i hovedsak basert på metodevurderingene, men fagdirektørene kan også velge å trekke inn andre forhold. Inntil beslutningene er fattet, er ikke fagdirektørens arbeid offentlig. De er heller ikke generelt åpne for innspill.

Dette må ses i sammenheng med behovet for kvalitetssikring av metodevurderingene, jf. punkt 7.7.4. Vi mener prosessen fra metodevurderingen foreligger og fram til fagdirektørnotatet publiseres i etterkant av beslutningen i Beslutningsforum framstår som en «svart boks» i saksbehandlingen, som bidrar til å svekke tilliten til systemet. En åpen høring i etterkant av utarbeidingen av fagdirektørnotatet, som vi foreslo ovenfor, er ment å avhjelpe dette.

En høring vil måtte ha korte tidsfrister, og det bør være varslingsrutiner som gjør at interessenter får tid til å starte forberedelsen av innspill før høringsgrunnlaget publiseres. Selve høringen bør trolig gjennomføres skriftlig, det vil si på en digital plattform. Vi ser for oss at fagdirektørene i RHF-ene bør ha «regien», og ansvar for å respondere på høringsinnspillene.

En slik høringsprosess bør utformes av RHF-ene i samarbeid med de andre systemaktørene og de eksterne interessentene – trolig vil en styrket referansegruppe for Nye metoder kunne være en egnet arena. Det vil blant annet være viktig å veie behovet for denne typen åpenhet og medvirkning opp mot den ekstra tid og de ekstra ressurser en slik mekanisme vil kreve. Særlig fagdirektørene vil få en betydelig ekstrabelasting med en slik høringsordning.

8.4.5 Åpenhet i metodevurderingene

Faglige forutsetninger for å forstå metodevurderingene

Vi oppfatter at mange av metodevurderingsrapportene kan være relativt vanskelig å forstå. Beregningene i rapportene er ofte helt avgjørende for beslutningene om innføring. Derfor er det en klar fordel om rapportene i størst mulig grad gir en kompetent leser mulighet for å etterprøve beregningene.

Som eksempel har vi sett på rapportene for vurdering av Ocrevus i Norge og de fire sammenlikningslandene. Både Norge og Sverige offentliggjorde beregninger av helsegevinst (QALY) og kostnadseffektivitet (IKER, før rabatt på legemiddelet). Dette gjorde ikke Skottland og England. Danmark hadde ikke begynt å bruke QALY i sine analyser. Vi oppfatter det som positivt at Norge offentliggjorde disse beregningene.

Statens legemiddelverk offentliggjør alltid IKER basert på den offentlige maksimalprisen (maksimal AUP). I enkelte tilfeller leveres det også helseøkonomiske analyser basert på rabatterte priser som ikke er offentlige. IKER basert på slike rabatterte priser vil unntas offentligheten. Dette er årsaken til at det i en del rapporter fra Statens legemiddelverk presenteres to analyser; en basert på maksimal AUP der resultatene er offentlige, og en basert på rabattert pris der resultatene unntas offentligheten. Leverandør kan også be om at upubliserte resultater fra klinisk studier unntas offentligheten. I slike saker vil resultatene fra studiene som ikke er publisert, kunne bli unntatt offentligheten. Resultatene fra den helseøkonomiske analysen, blant annet IKER vil ikke unntas offentligheten på grunnlag av upubliserte resultater fra kliniske studier. Heller ikke modellert helsegevinst i modellen vil unntas offentligheten basert på upubliserte studiedata.¹⁷⁰ TLV har tilsvarende policy for offentlighet.

Videre har vi forsøkt å avdekke hvorfor resultatene i den svenske og den norske metodevurderingen av Ocrevus ble svært ulike, blant annet når det gjelder helseeffekt (målt ved QALY) og kostnadseffektivitet (målt ved IKER). De to rapportene er i hovedsak basert på den samme forskningen. Én viktig forskjell, som framgår av sammenlikning av de to rapportene, er at Statens legemiddelverk i sitt hovedalternativ la til grunn enn annen stoppregel for behandling enn det TLV gjorde. Betydningen av dette kan man i hovedsak anslå ved hjelp av sensitivitetsanalysen i rapporten fra Legemiddelverket. Men dette forklarer langt fra hele forskjellen mellom beregningsresultatene.

Når vi ikke klarer å avdekke årsakene til de store forskjellene mellom resultatene i henholdsvis Norge og Sverige, mener vi dette er uheldig, fordi det reflekterer at viktige deler av forutsetningene eller analysene er skjult for leseren. Samtidig kan vi ikke påstå at det er praktisk mulig å skrive rapportene slik at selv personer med relevant kompetanse kan forstå hvordan resultatene er framkommet. Vi vil derfor begrense oss til å påpeke at rapportene kan være såpass vanskelig å gjennomskue at det kreves stor grad av tillit til utarbeidelsesprosessen, institusjonen og forfatterne for at man skal ha tillit til resultater og konklusjoner.

Åpenhet om samhandling og medvirkning i metodevurderingene

I metodevurderingsrapportene oppgis det når klinikere er blitt kontaktet, når dokumentasjon er mottatt, og når tilleggsinformasjon er bestilt og mottatt. I tillegg gjengis vanligvis en del av synspunktene fra klinikerne, men bare hvilke forutsetninger i analysen som bygger på innspill fra klinikerne. Leverandørene får utkast til hurtige metodevurderingsrapporter til gjennomlesning, og får dessuten anledning til å kommentere ferdige rapporter. Kommentarene vedlegges rapportene.

¹⁷⁰ Personlig kommunikasjon, Elisabeth Bryn, Statens legemiddelverk, 8. oktober 2021.

I en del av eksempelsakene våre har særlig klinikere, men i visse tilfeller også brukerrepresentanter, uttrykt misnøye med at de ikke er blitt hørt i prosessen. Enkelte oppfatter at deres synspunkter ikke blir synliggjort eller hensyntatt. Videre har vi oppfattet motstridende beskrivelser av medvirkningen. Folkehelseinstituttet oppgir at de har referater og arkiv med skriftlig materiale som dokumenterer medvirkning. Det krever imidlertid en betydelig innsats hvis man skal få tilgang til denne informasjonen. Vi mener det bør beskrives nærmere hvilken rolle klinkerne og brukerrepresentanter har hatt. Videre bør klinikerne gis mulighet til å legge ved innspill til rapporten, enten slik leverandørene gjør det til rapportene fra Statens legemiddelverk i dag eller i form av høringsinnspill til utkast (jf. forslag i avsnitt 9.2). Hvis man legger ansvaret for metodevurderinger til arbeidsgrupper av klinikere og representanter for Statens legemiddelverk eller Folkehelseinstituttet, vil behovet for annen medvirkning av klinikere reduseres.

8.4.6 Åpenhet og transparens fra landanalysen

I alle land har HTA-institusjonene nettsteder som beskriver både prosessen, interessenter og hvilke produkter som er under evaluering eller har blitt evaluert. Imidlertid er utformingen og oversikten forskjellig når det gjelder metode- og prosessbeskrivelser.

Danmark publiserte nye retningslinjedokumenter for både prosess og metode i 2021, og ser dermed ut til å ha samlet sine retningslinjer på en annen måte enn de andre landene. England og Sverige har informasjonen fordelt på ulike websider og under ulike menyvalg, og man finner ingen samlet dokumentasjon slik som i Danmark. Også Skottland har laget kortfattede dokumenter som beskriver prosessene knyttet til metodevurderinger, herunder de ulike aktørenes roller i ulike ledd, men igjen, ikke i form av ett enkelt dokument som i Danmark.

Både Danmark og England publiserer også løpende milepæler med status i prosessen underveis i vurderingene. Vi har ikke informasjon om graden av innsyn i Sverige.

Alle land har nettsteder der man kan søke etter hvilke legemidler, indikasjoner og produkter som er evaluert. Beslutninger og beslutningsgrunnlag er lenket opp. Imidlertid har dokumentene forskjellige detaljer. I alle land kan faktisk tilbudt pris eller IKER (etter rabatt) sladdes.

8.4.7 Tilgjengeliggjøring av saksdokumenter

På nettsidene til Nye metoder tilgjengeliggjøres informasjon og saksdokumenter om metoder fra forslag til beslutning. Det er mulig å søke opp informasjon om alle metoder, status og relevant dokumentasjon for den enkelte sak. Sekretariatet for Nye metoder, som er ansvarlig for nettsidene, mener dette bidrar til god transparens i systemet. De viser til at antall innsynsbegjæringer er redusert etter at det ble bestemt at alle sakspapirer skulle legges ut.

Informasjonen på nettsidene er imidlertid lite tilgjengelig, og preges av omfattende PDF-dokumenter. I tillegg er det vanskelig å finne frem i lenkestrukturen på nettsidene. Klikker man seg inn på en sak, er ikke alle sakslister, protokoller, fagdirektørnotater og lignende lenket opp. Sekretariatet gjør mye manuelt arbeid, noe som øker muligheten for saksbehandlingsfeil. Dette utfordrer etter vår vurdering også systemets transparens, som er avhengig av at eventuelle feil enkelt skal kunne avdekkes.

For eksempel, for å kunne følge vår eksempelsak om Spinraza (ID2017_001), så finnes forslagsskjema, metodevarsel og innspill på sakssiden på nyemetoder.no.¹⁷¹ Saksliste og protokoll fra Bestillerforum er ikke direkte lenket opp her, men må hentes gjennom en

¹⁷¹ Nusinersen (Spinraza). Hentet 2. oktober 2021 fra: <https://nyemetoder.no/metoder/nusinersen-spinraza>.

egen nettside for møter i Bestillerforum.¹⁷² Tilsvarende gjelder for Beslutningsforum.¹⁷³ Fagdirektørnotatet må letes fram i sakspapirene til Beslutningsforum, som består av en rekke lenker til innkalling, saksdokumenter og protokoll for angjeldende år.

For Spinraza er det ikke utarbeidet noen LIS-anbefaling, men om vi her bruker et MS-legemiddel som eksempel, så må man til sykehusinnjop.no, og via menyvalget «Avtaler» må man bla seg fram til menyvalget «Multipl sklerose (MS)», hvorpå «Anbefalinger/avtaleprodukter» åpner selve anbefalingsdokumentet.

Vi ser at altså at selv om svært mye er tilgjengelig, så er det arbeidskrevende å finne fram til alle dokumentene i en sak, og det kreves egentlig at man på forhånd har god kjennskap til både saksgangen i Nye metoder og til arkitekturen på nyemetoder.no og sykehusinnkjop.no.

For å tilpasse seg økende saksmengde og endringer i systemet er det nå satt i gang et verktøystøtteprosjekt av sekretariatet i Nye metoder. Formålet med prosjektet er en mer brukervennlig og funksjonell nettside for Nye metoder og redusert behov for manuelt arbeid. Verktøystøtteprosjektet er foreløpig i en konseptfase, og det er ikke klart når et mer tilgjengelig offentlig dokumentarkiv vil være operativt.

8.5 Hvordan håndteres påstander om feil i saksbehandlingen Nye metoder?

I forbindelse med lovfestingen av Nye metoder, ble det også gjort klart at beslutninger i Nye metoder ikke er å anse som enkeltvedtak eller forskrifter i forvaltningslovens forstand. Dette betyr at de krav som loven stiller til enkeltvedtak og forskrifter ikke gjelder for Nye metoder, slik at verken leverandører eller andre kan anke beslutningene til en annen instans, jf. punkt 1.2.1.

Folkehelseinstituttet har informert om at det er mulig å få beslutninger i Nye metoder behandlet på nytt hvis det er tilkommet avgjørende, ny informasjon eller omstendighetene er endret.

Man kan se beslutningen om innføring av Lorviqua som eksempel på fornyet behandling av en metode. Metoden ble først avvist, men ble senere innført etter at det var innført en ny alternativ behandling/en ny «komparator». Den fornyede behandlingen var imidlertid ikke resultat av klage, og var heller ikke initiert av leverandøren.

Nye metoder er basert på ulike beslutningsgrunnlag (metodevurderinger, prisnotater, etc.). I hver enkelt sak foreligger det store mengder informasjon og dokumenter. Man må derfor regne med at det kan oppstå feil i beslutningsgrunnlagene, eller at det gjøres vurderinger som kan bli gjenstand for mer eller mindre berettiget kritikk. I fravær av en formell klageordning er det viktig at påstander om feil håndteres på en forsvarlig måte. Nye metoder har imidlertid kun i liten grad mekanismer som kan ivareta dette hensynet.

Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet har interne systemer for kvalitetssikring av metodevurderinger. Man kan også se ordningen med at leverandører får mulighet til å skrive et kort vedlegg til metodevurderingene fra Legemiddelverket som en måte å gjøre oppmerksom på mulige feil på.

I flere av enkeltsakene som vi har gjennomgått, har ulike aktører kommet med påstander om at beslutningsgrunnlagene og/eller beslutningene er feil. En del innspill er blitt kjent offentlig, enten i saksgangen eller gjennom pressen, men vi har også fått slike

¹⁷² Møter i Bestillerforum RHF. Hentet 2. oktober 2021 fra: <https://nyemetoder.no/moter-i-bestillerforum-rhf>.

¹⁷³ Møter i Beslutningsforum for Nye metoder. Hentet 2. oktober 2021 fra: <https://nyemetoder.no/Sider/M%C3%B8ter-i-Beslutningsforum-for-nye-metoder.aspx>

synspunkter i intervjuer med aktørene, uten at synspunktene er blitt fremmet i offentlighet, så vidt vi vet.

Etter at saker er behandlet i Beslutningsforum er det ofte kritikk av beslutningene i pressen. Vi har ikke sett kritikk av beslutninger om innføring, bare av beslutninger om ikke-innføring. Kritikken blir kommentert av representanter for Nye metoder, men vi kjenner ikke til eksempler på at saker er blitt tatt opp til fornyet behandling som følge av påstander om feil.

Eksempler på behandling av påstander om feil finner man blant annet i den fullstendige vurderingen på MS-feltet (PPMS). Der initierte leverandøren både en juridisk betenkning av bruk av legemidler utenfor indikasjon og et notat med kritikk av den helseøkonomiske analysen fra Folkehelseinstituttet. Begge disse innspillene er publisert på Nye metoders hjemmeside sammen med andre dokumenter knyttet til saken. Folkehelseinstituttet utformet et notat hvor noe av kritikken ble imøtegått, men hvor det også ble uttrykt at noe av kritikken var berettiget. Folkehelseinstituttet laget en revidert helseøkonomisk analyse som svar på kritikken. Kritikken ble også kommentert av fagdirektørene i deres saksframlegg til Beslutningsforum.

I andre saker har fagdirektørene kommentert innkomne innspill som en del av saksframlegget.

Det er ett eksempel på klage i våre enkeltsaker. Dette gjelder en klage fra Arntzen de Besche Advokatfirma AS på vegne av Abbott Norge, leverandør av FreeStyle Libre. Klagen gjaldt beslutningen om å vurdere metoden. I svarbrevet av 30. august 2016, fra Helse Vest, besvares først innholdet i klagen. Det heter videre:

Det er ikke etablert et særskilt regelverk for Nye metoder (benevnt Nasjonalt system for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten frem til november 2015), og det er heller ikke etablert et eget klageorgan som behandler klager. Dette henger i hovedsak sammen med at helsevesenets valg av behandlingsmetoder ikke er utøvelse av offentlig myndighet og at beslutninger som tas om valg av metode derfor ikke blir enkeltvedtak etter forvaltningsloven. Det er derfor heller ikke noe krav om begrunnelse av metodevalget og ingen klagerett etter forvaltningslovens § 28. For å sikre at ulike hensyn og forhold ivaretas er det imidlertid, i samsvar med alminnelige forvaltningsrettslige prinsipper, lagt vekt på og tilrettelagt for muligheten for alle til å kunne gi kommentarer og innspill til de enkelte saker som håndteres, bl.a. gjennom hjemmesiden Nye metoder. I dette ligger også at det skal være åpenhet om beslutningsprosessen og av begrunnelsen for valget av behandlingsmetode.

Dette innebærer at systemaktørene i Nye metoder mener at det ikke er formelt grunnlag for å påklage beslutningene i Nye metoder. Dette er også understreket i Sivilombudsmannens uttalelse av 4. april 2018 (jf. punkt 1.2.1). I systemet er det tilrettelagt for kommentarer og innspill. Formuleringen sier ikke at RHF-ene ser seg forpliktet til å besvare innspill og kommentarer.

Vi mener det er grunn til å etablere en mekanisme for å håndtere påstander om feil i kunnskaps- og/eller beslutningsgrunnlag – for eksempel en høring slik vi foreslo i punkt 8.4.4 ovenfor.

8.6 Prosessbeskrivelser og -dokumentasjon

Det finnes ikke noen utførlige, offentlig tilgjengelige, arbeidsbeskrivelse for Nye metoder. Det finnes prosesskart og korte beskrivelser på nettstedet for Nye metoder. I tillegg har Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet dokumenter som hver seg beskriver deler av deres rolle. Informanter fra Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet har i intervju sagt at de har interne rutinebeskrivelser, noe som bør være egnet til å sikre en form for standardisering.

Men det mangler en samlet framstilling som tar utgangspunkt i målene for Nye metoder og som så skisserer hva en metodevurdering skal være, valg av hvilke metoder som skal vurderes, hvilke kunnskapsgrunnlag de skal baseres på, valg av vurderingsform, medvirkningsprosesser, mv. En samlet framstilling i form av en veileder kan, etter vår mening, bidra til transparens og forutsigbarhet, og vil gjøre det enklere å etterprøve om metodevurderingsrapportene er i henhold til den etablerte faglige standard.

Videre bør arbeidsrutinene til Bestillerforum, fagdirektørene og Beslutningsforum også beskrives mer utførlig og offentliggjøres. Her kan en mal for beslutningsformulering inngå. Vi vil her bemerke at selv etter å ha arbeidet i lang tid med evalueringen, har vi helt fram til ut i slutfasen fått ny informasjon om arbeidsprosessene. Dette oppfatter vi som en indikasjon på at beskrivelsene av arbeidsprosessene er lite tilgjengelige. Blant sammenlikningslandene mener vi Danmark har lyktes best med å beskrive både den overordnede tenkingen bak arbeidsprosessene samt de enkelte ledd i arbeidsprosessene slik at man ser både helhet og detaljer.

Vi mener at det også bør utvikles en veileder for helseøkonomiske analyser. Den siste veilederen ble utgitt i 2012 er ikke lenger gyldig. Den samsvarer ikke med de prinsippene som ble fastlagt i prioriteringsmeldingen. Vi mener det er behov for en oppdatert veileder. Veilederen bør ikke være spesielt tilpasset arbeidet i Nye metoder, men dekke alle helseøkonomiske analyser, herunder trekke grensene for bruk av henholdsvis helseøkonomiske og samfunnsøkonomiske analyser. Det er ikke naturlig at en slik veileder utarbeides som en del av metodebeskrivelsen for Nye metoder.

Videre savner vi en beskrivelse av mandat, instruks og arbeidsform for LIS-spesialistgruppene (jf. punkt 3.6 og 10.1). Gruppene er ikke en del av Nye metoder, men er viktige, særlig i tilknytning til implementering av beslutninger om innføring av nye metoder. Det finnes, så vidt vi vet, heller ikke noen god beskrivelse av tiltak for implementering av beslutninger i Nye metoder. Dette skyldes kanskje at det ikke er utformet en strategi for dette.

Endelig anbefaler vi at det utarbeides en utviklingsstrategi for Nye metoder. Dette behandles nærmere i kapittel 11.

9 Medvirkning

I dette kapitlet beskriver og drøfter vi medvirkningen av brukere, kliniske eksperter og leverandører i de ulike delene av Nye metoders beslutningssystem. Deretter setter vi våre funn i perspektiv ved en kort beskrivelse av medvirkningsmekanismene i de fire sammenlikningslandene. Til sist diskuterer vi behovet for sterkere medvirkning av interessenter på systemnivå.

Ulike typer aktører medvirker i ulike delprosesser i beslutningsprosessene. Tabell 9-1 viser delprosessene i hurtige metodevurderinger og stikkord for medvirkning eller mulighet for medvirkning i ulike ledd.

Tabell 9-1. Medvirkning i ulike delprosesser i hurtige metodevurderinger

Delprosess	Medvirkning
Forslag om metodevurderinger	Alle kan foreslå og komme innspill
Beslutning om metodevurderinger (Beslutningsforum)	En brukerrepresentant er observatør med talerett. Ingen annen systematisk medvirkning
Metodevurdering hos SLV, FHI, SSV	Se beskrivelser i avsnitt 9.1, 9.2 og 9.3
Bestillerforum vurderer rapport	En brukerrepresentant er observatør med talerett. Ingen annen medvirkning
Fagdirektørene utformer anbefaling	Ikke standardisert. Anbefalingen er unntatt offentlighet til beslutning er fattet
Beslutningsforum fatter beslutning	To brukerrepresentanter er observatører med talerett. Ingen annen medvirkning

Tabell 9-2 viser medvirkning i forbindelse med utarbeidelse av ulike typer metodevurderingsrapporter i Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet slik det er dokumentert i veiledere og liknende.

Tabell 9-2: Standarder for medvirkning i Statens legemiddelverks og Folkehelseinstituttets arbeid med metodevurderinger

	Hurtige, SLV	Hurtige, FHI	Fullstendige, FHI
Leverandører	Tilbud til leverandør om formøte etter at metodevurdering er bestilt. Leverandør sender dokumentasjon, får spm. Inviteres til å kommentere på ferdig rapport	Bes om å levere dokumentasjon. Oppstartsmøte ikke standard	Ikke standardisert
Klinikere	Som hovedregel er klinikergruppe tilknyttet. Ikke standardisert hvordan klinikere skal medvirke.	Alltid klinikergruppe tilknyttet. Ikke standardisert hvordan klinikere skal medvirke.	Ikke standardisert
Brukere	Ikke standardisert. SLV har gjennomført flere piloter for å teste ut metodikken.	Veileder: Besvare spørreskjema i oppstartsfasen, kommentere utkast til rapport	Veileder: Deltakelse i oppstartsmøte, kommentere utkast til prosjektplan og rapport

9.1 Brukermedvirkning

Brukermedvirkning er i teksten en fellesbetegnelse på medvirkning i pasientrollen og lekmannsrollen. Brukermedvirkning i pasientrollen er den definerte medvirkningen i metodevurderingene, hvor representantene gjennom å ha et pasientperspektiv rekrutteres fra pasientorganisasjonene og brukerutvalgene i RHF-ene. Brukermedvirkning i lekmannsrollen finner sted på et systemnivå.

9.1.1 Brukermedvirkning i Nye metoder

Brukere har rett til å medvirke, og tjenestene har plikt til å involvere brukeren. Dette gjelder ved undersøkelser, utarbeidelse av tjenestetilbud og tilgjengelige behandlingssvalg. Samtidig har brukermedvirkning en egenverdi, den kan ha en terapeutisk verdi og er et virkemiddel for å forbedre og kvalitetssikre tjenester på individnivå, tjenestenivå og systemnivå.

I Nye metoder skjer brukermedvirkning på systemnivå.¹⁷⁴ Brukerorganisasjonene er representert på ulike måter for å ivareta brukernes erfaringer med basis i brukerkompetansen. Dette skjer gjennom brukerutvalg, møter, høringer og deltakelse i prosjekter. På systemnivå – i *spesialisthelsetjenesten* – reguleres brukermedvirkning i helseforetaksloven § 35 om «Pasienters og andre brukeres innflytelse». Der framgår det at RHF-ene skal sørge for at representanter for pasienter og andre brukere blir hørt i forbindelse med utarbeidelse av de årlige planene.¹⁷⁵ Videre skal RHF-ene sørge for at virksomheter som yter spesialisthelsetjenester og andre tjenester som hører naturlig sammen med dette, etablerer systemer for innhenting av pasienters og andre brukeres erfaringer og synspunkter.

På systemnivå er det ikke den enkelte bruker som deltar, men brukerorganisasjonene gjennom oppnevnte representanter. Brukermedvirkning på systemnivå kan sies å være en form for kollektiv brukermedvirkning eller representerende brukermedvirkning.

¹⁷⁴ Brukermedvirkning på individ- og tjenestenivå omtales ikke her.

¹⁷⁵ I henhold til helseforetaksloven § 34 andre ledd andre punktum.

Brukerorganisasjonene fremhever og ivaretar brukernes erfaringer, og skal med grunnlag i brukerkompetansen bidra til å utvikle gode helsetjenester. På systemnivå bidrar brukerorganisasjonene ved oppnevnte representanter som deltar i møtevirk-somhet, høringer og prosjekter. Brukerrepresentantene deltar på systemnivå blant annet i regionale etiske komiteer, fagråd, styringsgrupper og referansegrupper. Det oppnevnes også rådgivende brukerutvalg ved hvert enkelt helseforetak. Representanter fra brukerutvalg har gjerne møterett i styrene til de enkelte helseforetakene.

Også når det utarbeides faglige retningslinjer mv. på sentralt nivå deltar som regel representanter fra brukerorganisasjonene for å sikre slik medvirkning. Dette framgår også av IS-1870 *Veileder for utvikling av kunnskapsbaserte retningslinjer*, utgitt av Helsedirektoratet i 2012.¹⁷⁶ Her heter det:

Pasienter bør være representert i arbeidsgruppen, helst med mer enn én deltaker. De bør involveres i alle stadier av retningslinjeutviklingen, og spesielt i tidlig fase under utforming av effektmål/utfallsmål ettersom helsepersonell og pasienter i mange tilfeller kan vektlegge betydningen av ulike utfallsmål forskjellig.

På nettsidene til Nye metoder beskrives hvordan brukermidvirkningen ivaretas i systemet.¹⁷⁷ Det vises blant annet til at pasient- og brukerorganisasjoner er representert i referansegruppen, Beslutningsforum og Bestillerforum. I de to sistnevnte deltar brukerne som observatører med talerett. Det kommer frem at alle, også pasienter og brukere, kan sende inn egne forslag og gi innspill til innmeldte forslag og metodevarsel.

Folkehelseinstituttet har utarbeidet en egen rutine for brukermidvirkning i metodevurderinger. De ønsker at prosessen skal være transparent, og involvere brukere i alle metodevurderinger der det er mulig og hensiktsmessig.¹⁷⁸ Folkehelseinstituttet ønsker også å synliggjøre brukerperspektivet i metodevurderingene ved å beskrive hvordan brukerne har vært involvert, og inkludere utfallsmål som er viktige for brukergruppen. Folkehelseinstituttet opplyser i intervju at de forsøker å ivareta brukermidvirkning systematisk i alle metodevurderinger. Som oftest rekrutteres brukerrepresentanter via FFO. Folkehelseinstituttet opplyser videre at brukerrepresentanter på lik linje med klinikere involveres både i oppstartsfasen og underveis i metodevurderingsprosessen.

Statens legemiddelverk har ingen tilsvarende ordning, men opplyser at de ønsker å forbedre brukermidvirkningen i metodevurderingene. Et pilotprosjekt de trekker fram er Luxturna-saken,¹⁷⁹ hvor eksempelvis livskvalitet utover i livsløpet var et viktig tema for brukerrepresentantene. En utfordring var imidlertid personvern og vurderinger av objektivitet, i en sak hvor utrederne opplevde å få beskrevet sterke historier. Statens legemiddelverk gir uttrykk for at ressurser til å ta i bruk brukermidvirkning på en god måte også kan være en utfordring. De opplyser videre at de arbeider med å få på plass et system for brukermidvirkning i de enkelte hurtige metodevurderingene.

¹⁷⁶ IS-1870 *Veileder for utvikling av kunnskapsbaserte retningslinjer*. Helsedirektoratet, oktober 2012. Hentet 30. september 2021 fra: [https://www.helsedirektoratet.no/veiledere/utvikling-av-kunnskapsbaserte-retningslinjer/Veileder%20for%20utvikling%20av%20kunnskapsbaserte%20retningslinjer%20\(fullversjon\).pdf/attachment/inline/efa406d5-9fe5-4ff5-9a8c-3f0e143c55c8:2cc6aceb8963dcfec76bc036a10402f12729b8ad/Veileder%20for%20utvikling%20av%20kunnskapsbaserte%20retningslinjer%20\(fullversjon\).pdf](https://www.helsedirektoratet.no/veiledere/utvikling-av-kunnskapsbaserte-retningslinjer/Veileder%20for%20utvikling%20av%20kunnskapsbaserte%20retningslinjer%20(fullversjon).pdf/attachment/inline/efa406d5-9fe5-4ff5-9a8c-3f0e143c55c8:2cc6aceb8963dcfec76bc036a10402f12729b8ad/Veileder%20for%20utvikling%20av%20kunnskapsbaserte%20retningslinjer%20(fullversjon).pdf)

¹⁷⁷ *Pasient- og brukermidvirkning*. Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://nyemetoder.no/om-systemet/pasient-og-brukermidvirkning>

¹⁷⁸ *Rutine for brukermidvirkning i metodevurderinger ved Folkehelseinstituttet*. Hentet 10. august 2021 fra: <https://www.fhi.no/globalassets/folkehelseinstituttets-produktportefolje-i-nye-metoder.pdf>

¹⁷⁹ *Voretigene Neparvovec (Luxturna)*. Hentet 1. oktober 2021 fra <https://nyemetoder.no/metoder/voretigene-neparvovec-luxturna>

9.1.2 Brukerrollen og lekmannsrollen i medvirkningen

Det er viktig å avklare mål og roller i brukermedvirkningen. Ifølge en studie av Gagnon m. fl. (2021) skjelles det mellom to hovedstrategier for brukermedvirkning, deltagende versus konsulterende/indirekte deltagende. I den sistnevnte er brukernes rolle hovedsakelig å gi informasjon og komme med innspill i prosessen. Denne strategien er vanligst i flest land og samsvarer med slik brukermedvirkning er praktisert og beskrevet av Nye metoder.¹⁸⁰ En strategi hvor brukerrepresentanter deltar direkte i beslutningsprosessene kan være mer hensiktsmessig i noen tilfeller, særlig ved såkalt inngripende teknologier. Slike saker er typisk komplekse, blant annet med uklare avgrensinger og flere og usikre utfall, som i FreeStyle Libre-saken hvor uenighet omkring valg og vektlegging av ulike utfall ble en hovedinnvending mot Nye metoders arbeid. Deltakelse i beslutningsprosessene fra de faktiske brukerne (her personer med diabetes) ville trolig gitt bedre behandling og resultat i Nye metoder systemet.

Metoden for rekruttering av brukerrepresentanter tar ikke høyde for slik deltagelse fra faktiske brukere i beslutninger. I dagens system rekrutteres brukerrepresentanter fra brukerutvalgene i RHF-ene og får i oppgave å «Representere alle pasienter og pårørende uavhengig av type sykdom og funksjonsnivå, alder, kjønn, geografi og etnisk tilhørighet.»¹⁸¹ Denne rollen kan ikke sies å gi et brukerperspektiv i begrepetts rette forstand, men har mer karakter av en lekmannsrolle (*patient* versus *public involvement*). En lekmann vil ha et mer generelt samfunnsperspektiv, heller enn et pasientperspektiv (Boothe, 2019).

I intervjuer med fagdirektører og administrerende direktører i RHF-ene understrekes det at brukerrepresentantene i de besluttede organene må kunne «løsrive seg» fra sine egne pasient- eller brukerorganisasjoner, slik at de kan se helheten i prioriteringsutfordringene. Direktørene henviser her implisitt til lekmannsperspektivet, men tilsynelatende uten å kjenne til den prinsipielle distinksjonen i medvirkningslitteraturen. Når brukerorganisasjoner argumenterer for mer innflytelse kan det skyldes at et «løsrevet»-lekmannsperspektiv ikke fungerer godt for å få fram de faktiske brukernes erfaringer/synspunkter/perspektiv.

9.1.3 Om brukermedvirkning i skriftlig innspill og intervjuer

Alle systemaktørene gir uttrykk for at brukermedvirkning er viktig, men det er kun Folkehelseinstituttet som har utviklet egne rutiner for brukermedvirkning. Sekretariatet for Nye metoder forteller imidlertid at det gjennomføres egne brukerseminarer. Seminaret *Brukerstemmen i Nye metoder* ble for eksempel gjennomført i september 2019, med deltakelse fra pasientorganisasjonene og sentrale aktører.¹⁸² Formålet med seminaret var økt kunnskap om systemet og bedre dialog om brukermedvirkning. Slike brukerseminarer oppleves ifølge Sekretariatet som nyttige for deltakerne og andre som ønsker å gi innspill til brukermedvirkning i Nye metoder.

Pasientorganisasjonene er mer kritiske til brukermedvirkningen i Nye metoder. FFO har i skriftlig innspill gitt uttrykk for bekymring knyttet til blant annet rekruttering av brukerrepresentanter. I dag fungerer rekrutteringen på den måten at de regionale brukerutvalgene på RHF-nivå utpeker representanter på et overordnet nivå. Som beskrevet

¹⁸⁰ *Pasient- og brukermedvirkning*. Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://nyemetoder.no/om-systemet/pasient-og-brukermedvirkning>

¹⁸¹ *Mandat for brukerrepresentant i Bestillerforum RHF*. Hentet 5. oktober 2021 fra: [https://nyemetoder.no/Documents/Administrativt%20\(brukes%20kun%20av%20sekretariatet!\)/Vedlegg%201%20Mandat%20brukerrepresentant%20Nye%20metoder_V2_til%20nettside.pdf](https://nyemetoder.no/Documents/Administrativt%20(brukes%20kun%20av%20sekretariatet!)/Vedlegg%201%20Mandat%20brukerrepresentant%20Nye%20metoder_V2_til%20nettside.pdf)

¹⁸² *Stort engasjement på seminaret Brukerstemmen i Nye metoder*. Hentet 1. oktober 2021 fra: <https://nyemetoder.no/nyheter/stort-engasjement-pa-seminaret-brukerstemmen-i-nye-metoder>.

overfor går representantene på denne måten mer inn i lekmannsrollen enn brukerrollen. Det er et ønske fra FFO at representantene i stedet rekrutteres gjennom brukerorganisasjoner eller paraplyorganisasjoner.¹⁸³

FFO etterlyser også mer systematisk medvirkning i metodevurderingsprosessen. Vi viser også til omtalen av hurtig metodevurdering av FreeStyle Libre, hvor det framkommer kritikk mot Folkehelseinstituttet fra Diabetesforbundet knyttet til brukermedvirkningen.

Kreftforeningen er også opptatt av å sette brukermedvirkningen mer i system. Ifølge Kreftforeningen vil god medvirkning bidra til systemets legitimitet. Videre mener de utvelgelsen av brukerrepresentanter er vilkårlig, og at Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet burde samarbeide om hvordan brukerrepresentanter kan involveres i metodevurderingene. De peker også på hva de oppfatter som en ovenfra-ned holdning, noe som gjør at brukermedvirkningen ikke oppfattes som reell.

Vi har observert møter i Bestillerforum og Beslutningsforum. Vårt inntrykk er at brukerrepresentantene ikke har vesentlig innflytelse i disse fora. Likevel er deres rolle som observatør med talerett viktig. Vi har fått tilbakemeldinger fra aktører i systemet om at det kan være utfordrende for brukerrepresentantene å finne sin plass i systemet. De sitter sammen med sekretariatet for Nye metoder i alle saker, og har fulltidsjobber ved siden av. Imidlertid får vi også tilbakemeldinger om at det har skjedd en stor endring, at de nå er mer åpne for nye ideer og kanskje legger mindre vekt på risikoaversjon.

FFOs største ankepunkt mot brukermedvirkningen i Nye metoder er at brukerrepresentantene blir sittende som et alibi eller gissel i forumene. Vi er usikre på hvordan dette kan avhjelpest innenfor rammene av dagens plassering av beslutningsmakten.

9.1.4 Om medvirkning – fra eksempelsaker og intervjuer

Selv om brukermedvirkning har vært innlemmet i Nye metoders arbeid siden oppstart, viser eksempelsaker at brukerne ikke oppfatter fremgangsmåten for dette som optimal. Dette gjelder kanskje særlig vi har kalt «inngripende teknologier», dvs. teknologier som griper inn og tar plass i pasienters hverdag, enten fordi de krever en aktiv rolle i anvendelsen av teknologiene og/eller fordi de påvirker muligheten til livsutfoldelse.

FreeStyle Libre er et eksempel på en slik teknologi. Det forventes at helseteknologier i økende grad vi bli tatt i bruk utenfor spesialisthelsetjenestens institusjoner, og slik kreve mer aktiv deltagelse fra brukerne, for eksempel ulike typer sensor for helseovervåkning. Foruten et tettere samarbeid med kommunehelsetjenesten, vil flere enn kjerne-spørsmål om klinisk nytte og kostnader være relevante for brukerne før implementering. For eksempel kan det være vesentlig å inkludere spørsmål om brukernes oppfatning av teknologien mht. opplæringsbehov og innvirkning på hverdagsaktiviteter. Brukernes stemme er også viktig ved slike teknologier for etiske spørsmål om autonomi, rett til privatliv, relasjonelle forhold etc. (Hofmann, 2010).

Hovedinntrykket fra eksempelsakene er at brukermedvirkningen er ganske begrenset i de fleste sakene.

MS-forbundet er kritisk til brukermedvirkningen i behandlingen av Ocrevus og den fullstendige vurderingen av MS-feltet. De sa i intervju at de ikke ble invitert inn i Statens legemiddelverks vurdering av Ocrevus. De ble invitert til møte med Folkehelseinstituttet i tilknytning til den fullstendige metodevurderingen, men var forhindret fra å delta. De leverte også innspill til Nye metoder før behandlingen i Beslutningsforum. Dette innspillet

¹⁸³ Tilsvarende uttrykker Legeforeningen i skriftlig innspill at de ønsker at klinikere rekrutteres gjennom deres medisinske fagaker.

er ikke omtalt i sakspapirene. Også Kreftforeningen oppfatter at de i liten grad inviteres til medvirkning i metodevurderingene.

Diabetesforbundet har i intervju uttrykt sterk misnøye med mulighetene for medvirkning i vurderingen av FreeStyle Libre. Forbundets misnøye bygger imidlertid på en situasjonsbeskrivelse som Folkehelseinstituttet ikke er enig i.

Det finnes ikke noen organisasjon for pasienter og pårørende for SMA, sykdommen som behandles med Spinraza. Av sakspapirene til Beslutningsforum framgår det at en av fagdirektørene hadde et møte med foreldrene til et barn med SMA. Vi har ikke intervjuet noen representanter for brukere i denne saken.

Ikke bare Spinraza, men også Zynteglo og flere andre av eksempelsakene illustrerer at det kan være vanskelig å få til god brukermedvirkning i forbindelse med metoder for små pasientgrupper. På den andre siden finner man også at heller ikke pasienter med mer vanlige lidelser er organisert. Eksempler her kan være pasienter med skulder «impingement», jf. vurderingen av akromionreseksjon.

9.1.5 Brukermedvirkning – sammenfatning og anbefaling

Den store mengden litteratur på temaet tyder på at HTA-organisasjoner internasjonalt strever med å finne fram til gode strategier og metoder for brukermedvirkning. Vårt inntrykk er at dette også er tilfellet i Norge. Bortsett fra Folkehelseinstituttet har ingen systemaktører så langt skriftliggjort rutiner for brukermedvirkning i systemet.

For det pågående arbeidet i Norge anbefaler vi at aktørene klargjør mål og roller, og utarbeider differensierte strategier ut fra de ulike teknologienes egenart, der man opererer med klare skiller mellom pasient- og lekmannsrollen.

Beslutningsforum besluttet i møte 25. oktober 2021 å øke brukerrepresentasjonen fra én til to representanter.¹⁸⁴ Brukerrepresentantene skal fremdeles oppnevnes fra de regionale brukerutvalgene, og skal oppnevnes fra hvert sitt regionale helseforetak. I foreløpig protokoll fra møtet i Beslutningsforum kommer det også frem at representantene skal velges for en fireårsperiode, med rullering annethvert år. Tidligere ble representantene valgt for to år av gangen. Denne endringen i brukerrepresentasjon er å tråd med forslag fra FFO og Kreftforeningen.

9.2 Klinikermedvirkning

Med utgangspunkt i skriftlige innspill og intervjuer oppfatter vi fra flere aktører en ganske sterk misnøye med klinikermedvirkningen i Nye metoder, men det er andre som er fornøyd. Misnøyen handler om at mange metodevurderinger, og dermed også beslutninger, ikke bygger forutsetninger som samsvarer med god klinisk praksis. Videre inviteres klinikere ofte ikke inn i hele vurderingsprosessen, men blir kun bedt om å besvare enkelte spesifikke spørsmål. Klinikermedvirkningen blir heller ikke alltid dokumentert. Vi får også opplyst at RHF-ene i noen tilfeller bruker lang tid på å oppnevne klinikere, og at de som oppnevnes ikke alltid er så engasjerte. Et spørsmål er om dette kan ha sammenheng med at klinikerne ikke har så stor innflytelse, og derfor ikke prioriterer arbeidet.

Legeforeningen har i intervju lagt særlig vekt på tidlig og tett involvering av kliniske eksperter. For framtida vurderer Legeforeningen at det vil være både tids- og ressurs sparende å få inn de mest relevante fagekspertene tidlig. De fremhever også

¹⁸⁴ Møte i Beslutningsforum 25. oktober 2021. Protokoll – (til godkjenning). Sak 145-2021. Hentet 11. november 2021 fra https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/Beslutningsforum%2025102021_Protokoll%20.pdf

viktigheten av at ekspertene som har gitt innspill, etter at en beslutning er tatt i Beslutningsforum, kan dokumentere at de har vært involvert. De peker, som flere andre, på at involveringen er spesielt dårlig i fasen mellom metodevurdering og beslutning i Beslutningsforum.

Som følge av misnøyen med dagens klinikermedvirkning har Legeforeningen i skriftlig innspill foreslått at deres fagmedisinske foreninger gis forslagsrett når klinikere skal oppnevnes til å delta i utarbeiding av metodevurderinger. Legeforeningen anser det fremdeles for viktig at RHF-ene oppnevner klinikerne, slik at ressursbruken i metodevurderingene er lederforankret. Det er også viktig at oppnevnte klinikere deltar i utredningsarbeid og andre oppgaver i kraft av sitt ansettelsesforhold i helseforetakene, og ikke som representanter for organisasjonen som foreslo dem. Legeforeningen hevder at dette tiltaket vil kunne bidra til at det er de fremste ekspertene på sine felt som oppnevnes. Dette vil, ifølge Legeforeningen, kunne bidra til å styrke beslutningenes legitimitet i fagmiljøene, noe som igjen vil kunne bidra til styrket lojalitet til beslutningene i implementeringen i den kliniske praksis i tjenesten.

På møtet i Bestillerforum 8. januar 2021 drøftet man klinikermedvirkning i metodevurderingsarbeidet i sammenheng med klinikernes rolle i Bestillerforums innspillprosess. Som tidligere nevnt ble det besluttet å nedsette en arbeidsgruppe med representanter fra Sekretariatet for nye metoder, RHF-koordinatorene, Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet, som blant annet fikk i oppdrag

å utarbeide forslag til en prosedyre som viser en modell hvor klinikerne involveres på et tidlig tidspunkt og hvor hele prosessen i Nye metoder sees i sammenheng.¹⁸⁵

Samtidig ble det besluttet at:

RHF-koordinatorene lager en oppsummering på tiltak som fungerer for å få inn innspill og identifisere fageksperter til Nye metoder. Et slikt «Best practice» dokument kan brukes til å lære av hverandre og bidra til styrket koordinering på tvers av regionene

9.2.1 Klinikermedvirkning fra eksempelsakene

Vi oppfatter at mulighetene for klinikerinvolvering i eksempelsakene framstår som ganske enhetlig, men klinikernes tilfredshet med hvordan deres bidrag er blitt mottatt, varierer betydelig.

I flere av sakene uttrykker klinikerne vi har intervjuet tilfredshet med hvordan de er blitt involvert i metodevurderingen. I hovedsak oppfatter vi at klinikerne får konkrete spørsmål, heller enn at de inviteres til å delta i arbeidet med å drøfte hvordan metoden skal vurderes. De er for eksempel ikke inne prosessen fra starten av, herunder i møte med leverandøren der det avtales hvilken dokumentasjon som skal leveres. Enkelte av klinikerne ønsker seg et annet format på medvirkningen ved at de i større grad deltar i hele arbeidet med å etablere beslutningsgrunnlaget, slik man finner i England, Skottland og Danmark.

Vi vil også peke på at en kliniker som hadde vært involvert i flere metodevurderinger, framholdt at klinikernes engasjement også varierer betydelig. Mange klinikere prioriterer ikke arbeidet med metodevurderinger, trolig på grunn av stor arbeidsbelastning i sin kliniske praksis. Vi mener at mangel på engasjement hos klinikerne kanskje også kan være et resultat av at klinikerne oppfatter at de har liten innflytelse. Klinikermedvirkningen har tilsynelatende fungert godt i flere av sakene, herunder i vurdering av Zynteglo, akromionreseksjon, TAVI/TAVR og Spinraza.

¹⁸⁵ Hentet 12. november 2021 fra https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20%28%20innkallinger%20og%20referater%29/Protokoll_Heldagsm%c3%b8te%20i%20Bestillerforum%20RHF_080121.pdf.

Legeforeningen har i sin begrunnelse for å velge Spinraza som eksempelsak framhevet denne som et eksempel på god involvering av klinikere. Vår vurdering er at klinikernes involvering i arbeidet med rapporten fra Statens legemiddelverk ikke skiller seg ut fra det som er vanlig. Klinikere fikk spørsmål fra Legemiddelverket, som de besvarte, og de fikk mulighet til å lese og kommentere utkast. Det som skiller saken fra andre, er klinikerinvolveringen etter at rapporten var levert. En gruppe klinikere utarbeidet da ganske detaljerte retningslinjer for hvordan metoden skulle brukes. Retningslinjene la opp til både å avgrense bruken til de pasientene som hadde størst nytte av den, til å sikre kvalitet i beslutninger knyttet til den enkelte pasient og til å forbedre kunnskapsgrunnlaget, som var svakt i utgangspunktet. Da Beslutningsforum etter hvert besluttet at Spinraza skulle innføres, ble det satt som vilkår at de nevnte retningslinjene skulle følges.

I en del andre saker er klinikere langt mer kritiske til hvordan de er blitt brukt. Dette gjelder blant annet Lorviqua, Revlimid og den fullstendige metodevurderingen av MS-feltet. I disse sakene oppfatter klinikere at synspunktene deres er blitt lite hensyntatt.

Kliniker som ble intervjuet om arbeidet med Revlimid-saken, opplyste at vedkommende hadde vært invitert til møter i Statens legemiddelverk sammen med andre klinikere. Opplevelsen var at klinikere hadde liten innflytelse på Legemiddelverkets vurderinger og liten mulighet til å lese metodevurderingen før den ble publisert. Erfaringen hadde skapt forundring over at Legemiddelverket konkluderer i såpass viktige spørsmål uten reell klinikermedvirkning. Kliniker hadde senere takket nei til tilsvarende invitasjoner fordi arbeidet ble oppfattet som lite meningsfylt.

Legeforeningen og en av klinikere har uttrykt sterk misnøye med klinikermedvirkning i arbeidet med den fullstendige metodevurderingen på MS-feltet og i den påfølgende beslutningsprosessen. Legeforeningen har i intervju beskrevet klinikermedvirkningen i den fullstendige metodevurderingen som nærmest fraværende. Legemidler som ble mye brukt, ble i ettetid faset ut, mens legemidler som nesten ikke ble brukt, ble videreført. I tillegg til misnøyen med klinikermedvirkningen i utarbeidelsen av rapporten, er misnøyen også knyttet til at da den fullstendige metodevurderingen ble behandlet av Beslutningsforum, kom beslutningen overraskende på mange. De så ikke at rapporten ga grunnlag for en slik beslutning.

9.2.2 Diskusjon

Vi mener det bør tydeliggjøres hvilken rolle klinikere skal ha, og det bør dokumenteres i metodevurderingsrapportene hvilken rolle de har hatt. Hvis man viderefører hovedtrekkene i dagens modell for klinikermedvirkning, bør man tydeliggjøre klinikernes bidrag og synspunkter. De bør sikres rimelig tid på å lese utkast til sluttrapport fra metodevurderingen.

Hvis man i metodevurderingene velger å legge sterkere vekt på å vurdere optimal og realistisk bruk av metodene og mindre vekt på oppsummering forskning, er det behov for sterkere involvering av klinikere. Da vil det trolig også være hensiktsmessig å inkludere klinikere som fullverdige deltakere i arbeidsgrupper som gjennomfører metodevurderinger – såfremt de har tid og kapasitet til dette.

Selv om man skulle velge å endre innretningen av metodevurderingene, kan det være hensiktsmessig at klinikere involveres helt fra begynnelsen, herunder i dialog med leverandør om hvilken dokumentasjon som bør leveres.

Det vil også være problemer og ulemper med økt klinikermedvirkning. Blant annet har de fleste klinikere trolig lite kompetanse om metodevurderingene, noe som kan svekke kvaliteten på deres bidrag. Det er mulig at det kan være hensiktsmessige å etablere fagutvalg knyttet til brede terapifelt, slik de har i tilknytning til det *Medicinrådet* i Danmark.

De klinikerne som sitter i slik utvalg vil kunne opparbeide seg en kompetanse på metodevurderinger.

Vi mener det er positivt at Bestillerforum har startet et arbeid med å vurdere klinikermedvirkningen. Vi mener også at det er all grunn til å vurdere legeforeningens forslag om at de fagmedisinske foreningene skal ha forslagsrett. En forutsetning bør da være at en slik mekanisme ikke fører til vesentlig økt tids- og ressursbruk for systemaktørene.

9.3 Medvirkning av leverandører

Vi opplever med bakgrunn i skriftlig innspill fra og intervjuer med leverandører en rimelig tilfredshet med medvirkning overfor Statens legemiddelverk. Involveringen oppleves mindre tilfredsstillende overfor vurderinger i Folkehelseinstituttet. Leverandørene gir som tidligere nevnt uttrykk for at de ikke kommer ikke i inngrep med fagdirektørene etter at metodevurderingsrapportene er ferdigstilt. Hva skjer i tiden mellom ferdig metodevurdering og rapport fra Statens legemiddelverk til beslutning i Beslutningsforum?

9.3.1 Skriftlige innspill og intervjuer

Leverandørene mener de har god kunnskap på nisjeområder, og at økt leverandørmedvirkning kan bidra til tillit, bedre informasjonsgrunnlag, bedre avklaringer og gode beslutninger i systemet. De oppfatter at dialogen i dag er for dårlig. Leverandørene etterlyser også mer direkte kontakt mellom leverandører og beslutningstakere. Som flere andre, peker de på fasen mellom metodevurdering og beslutning som en utfordring. Det at de kun har direkte kontakt med Folkehelseinstituttet og Statens legemiddelverk gjør at en del informasjon glipper. Bedre avklaringer underveis kunne hindret dette. Leverandørene undrer seg også over hvorfor beslutningstakerne ikke ønsker samhandling på dette området. Manglende transparens gjør også medvirkningen vanskelig:

Hvilke eksperter man bruker er av stor betydning. Medisinsk utstyr skal fungere inn i en tjeneste, et av flere ledd i behandlingsskjeden. For liten involvering av eksperter og brukere. Ingen ankemulighet også et problem. Sier egentlig at det ikke er rom for feil underveis. Gjennomgående er det lite transparens gjennom hele forløpet. - reduserer mulighet for å bidra med relevant informasjon. Kastes fra tue til tue. Står litt med hendene i været som leverandør. Opplever at dette med at det er tuftet på legemiddelformatet viktigste årsaken til at det fungerer så dårlig som det gjør.

LMI mener de som aktør i dag mangler noen å henvende seg til for prinsipielle spørsmål, og ønsker at leverandørene skal kunne bidra med en tydelig stemme gjennom hele prosessen. LMI mener dette vil kunne bidra til mer åpenhet rundt beslutningene som fattes. Leverandørene involveres allerede i dag, men de opplever å komme inn på feil tidspunkt.

9.3.2 Leverandørmedvirkning fra eksempelsakene

Leverandørmedvirkningen framstår nå som ganske standardisert. Ved hurtige metodevurderinger arrangeres det vanligvis tidlig et møte mellom Statens legemiddelverk/Folkehelseinstituttet og leverandør(e). På møtet avtales det blant annet hvilken dokumentasjon som skal leveres.

Senere i prosessen er det ikke tilsvarende faste rutiner. Unntaket er at leverandører får anledning til å lese utkast til ferdig rapport og skrive en kommentar som vedlegges rapporten.

Det er vanlig at Statens legemiddelverk/Folkehelseinstituttet ser behov for tilleggsmasjon, noe som innebærer at det er kontakt underveis.

Flere av leverandørene vi har intervjuet, har oppfattet dialogen med Statens legemiddelverk som ryddig og god. Andre har vært mer kritiske. I noen eksempelsaker er det i intervjuer framkommet kritikk, blant annet av manglende forutsigbarhet ved at avgjørelser er blitt fattet uten forvarsel og på en måte som er uvanlig. Dette gjelder blant annet unntaket for bruk av rituksimab mot MS (utenfor indikasjon) og revurderingen av Lorviqua.

Vi oppfatter at leverandørenes syn på medvirkningen preges av om Statens legemiddelverk i hovedsak har akseptert leverandørens modell og forutsetninger og om metoden faktisk er innført. Andre leverandører har opplevd at Legemiddelverket har gjort store endringer i forutsetningene og at dette har ledet til at metoden er blitt avvist. Et par av disse har sagt at de gjerne skulle hatt mulighet for dialog underveis i arbeidet.

Begge de to utstyrssakene vi har studert, har hatt uvanlige forløp. I forbindelse med FreeStyle Libre var det strid om det var riktig å gjennomføre hurtig metodevurdering. Vi oppfatter også at leverandøren ikke oppfylte kravene til dokumentasjon.¹⁸⁶ I forbindelse med TAVI/TAVR, ble det besluttet hurtig metodevurdering, men dette ble endret til fullstendig vurdering fordi flere leverandører ville levere dokumentasjon. Etter endring av vurderingsform var det, så vidt vi kjenner til, ikke medvirkning fra leverandører.

Zynteglo ble underlagt felles-nordisk vurdering i FINOSE. Leverandøren opplevde prosessen var transparent og at det var en god dialog med TLV og Fimea, som hadde ansvaret for analysen. Intervjuobjektet syntes at prosessen med FINOSE fungerte bra, med pågående spørsmål fra Fimea og TLV parallelt, men at det fra begynnelsen kunne vært klart at spørsmålene ville bli stilt kontinuerlig, hvordan tidslinjer så ut, mv. Intervjuobjektet understreket også viktigheten av innledende møter for å kunne avklare komplekse deler av helseøkonomi fra begynnelsen. modellen osv. Statens legemiddelverk var kvalitetssikrer («reviewer») for rapporten.

9.4 Medvirkning fra landanalysen

I alle land er klinikker, pasienter og leverandører involvert på ulike måter, og arbeidet er mer eller mindre formalisert. I Sverige kan leverandører delta tidlig i prosessen med såkalt «horizon scanning», og leverandørene gir også helseøkonomiske underlag til TLV. Leverandøren har også under det etterfølgende arbeidet dialog med ansatte i TLV. Denne tilnærmingen er lik i de forskjellige landene. I Sverige har NT-rådet en pasientdeltakelsespolitikk og et tilleggsmedlem som er rådgiver for pasientmedvirkning. I Danmark deltar klinikere og pasienter både i Fagudvalget og i Rådet, og har stemmerett.

I England oppfordrer NICE til klinikerinvolvering og brukermedvirkning.¹⁸⁷ NHS England m.fl. oppnevner aktuelle klinikere og brukere til vurderingskomiteen for metodevurdering («Technological appraisal committee»). Andre aktuelle eksperter inviteres fortløpende. Normalt benyttes to kliniske eksperter, to brukere og to eksperter fra NHS i vurderingskomiteen. I vurderingskomiteen deltar klinikere og lekpersoner. Rene pasientrepresentanter er imidlertid ikke inkludert i beslutningsorganene. I SMC i Skottland deltar klinikere, representanter fra helseregionene (NHS), legemiddelindustrien og borgere.¹⁸⁸

¹⁸⁶ Gjelder krav om «åpen» modell, dvs. en modell der FHI kunne se alle relasjoner og forutsetninger og legge inn alternative parametre

¹⁸⁷ *Guide to the processes of technology appraisal*. National Institute for Health and Care Excellence, 2. september 2014. Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/process/pmg19/resources/guide-to-the-processes-of-technology-appraisal-pdf-72286663351237>

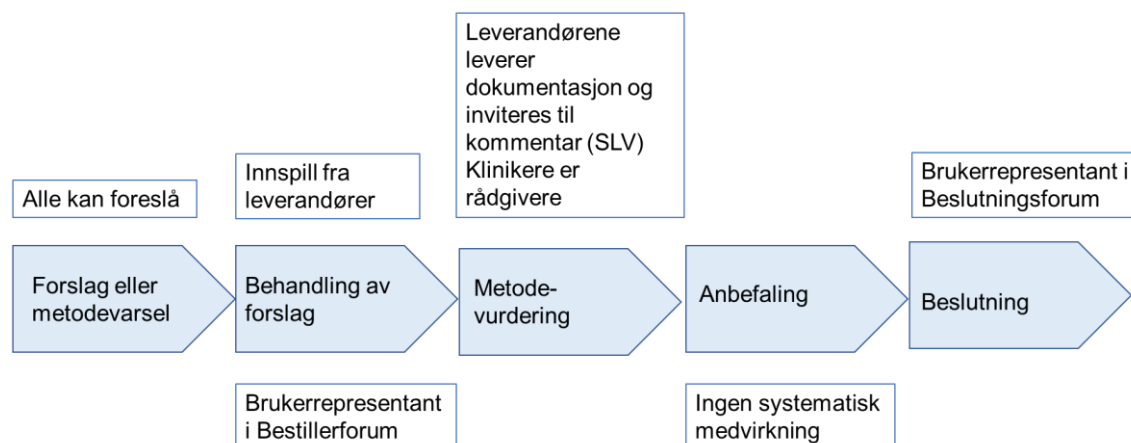
¹⁸⁸ *A Guide to the Scottish Medicines Consortium*. Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://www.scottishmedicines.org.uk/media/3574/20180712-a-guide-to-the-scottish-medicines-consortium.pdf>

Tre lekpersoner («volunteer public partners») ivaretar pasient- og brukerperspektivet i beslutningsprosessen. De ulike interessegruppene deltar altså i prosessen i samtlige land, men det er vanskelig å trekke faste konklusjoner om deres innflytelse i praksis.

9.5 Medvirkning i ulike faser

Man kan se på en beslutningsprosess som en sekvens som forenklet framstilt i Figur 9-1.

Figur 9-1: Systematisk medvirkning i ulike faser i beslutningsprosessene.



Figuren omfatter ikke forhandlinger, som gjennomføres av leverandør og Sykehusinnkjøp, og ikke implementering, som omfatter tilbud og LIS-anbefalinger, hvor klinikere og representanter for RHF-ene deltar.

Inntrykket fra intervjuene er at på legemiddelfeltet, er det ingen som er misfornøyd med medvirkning før Bestillerforum har fattet beslutning om bestilling av metodevurdering. Vi har imidlertid registrert misnøye med medvirkning i forkant av beslutning om metodevurdering av utstyr.

Vi har nevnt at flere klinikere og brukerrepresentanter er misfornøyd med hvordan de får mulighet til å medvirke i tilknytning til metodevurderingene, men det er også eksempler på at disse aktørene er fornøyd med prosessene.

Vi har registrert betydelig misnøye med manglende mulighet for medvirkning etter at metodevurderingene er ferdige. Det er særlig mulighet for å komme i dialog med fagdirektørene som etterlyses, særlig av leverandører, men også enkelte brukerrepresentanter.

Vi oppfatter det som ganske entydig at fagdirektørenes arbeid med utforming av forslag til Beslutningsforum er lukket, og vi har forståelse for at brukerrepresentanter og leverandører gjerne vil ha mulighet til å fremme sine synspunkter før saken behandles i Beslutningsforum. Med den saksmengden det nå er i Nye metoder og med den kompleksiteten det er i mange av sakene, mener vi det ikke er praktisk mulig at fagdirektørene skal stille seg til disposisjon for møter med enhver som måtte ha legitime interesser i sakene.

Kanskje kan man forbedre situasjonen hvis det oppnevnes en representant for leverandørene til Beslutningsforum, og denne og brukerrepresentanten får talerett? Disse ville ikke kunne påvirke selve anbefalingene, men ville kunne fungere som talsmenn for de aktørgruppene de representerer. Ut fra vår observasjon av et møte i

Beslutningsforum anser vi imidlertid at det på dette stadiet i prosessen vil være lite hensiktsmessig å ta opp feil og mangler i beslutningsgrunnlaget.

Man kan også sikre bedre medvirkning hvis metodevurderingene legges ut på høring. Da vil brukere, leverandører og andre kunne bruke innspill til rapportene til å påpeke det de oppfatter som svakheter i rapportene. Eventuelt kan utkast til fagdirektørnotater være utgangspunkt for slike høringer. Se punkt 8.4.4 for nærmere drøfting.

9.6 Medvirkning på systemnivå

9.6.1 Referansegruppa er primært en informasjonskanal

Referansegruppa i Nye metoder er en viktig medvirkningsarena på systemnivå. Vi har gjort en gjennomgang av sakene som har vært oppe til behandling, og vi finner en sterk overvekt av orienteringssaker. I noen grad diskuteres prosess-spørsmål. Vi finner ingen diskusjon av Beslutningsforums avgjørelser eller anvendelse av prioriteringskriteriene i disse. Det later til å være sekretariatet i Nye metoder som arrangerer – og «eier» – referansegruppa og som leder møtene. Fra RHF-ene møter som regel saksbehandlere, av og til fagdirektører, men aldri de administrerende direktørene. Referansegruppa framstår således som primært en informasjonskanal ut i fagmiljøer og interessenter. Sekretariatet for Nye metoder opplyser i intervju at referansegruppen har hatt viktige innspill til utviklingsoppgaver i Nye metoder men at de nå ser at gruppen er stor, og at det blir mye enveisinformasjon fra sekretariatet.

En brukerrepresentant (ansatt i Kreftforeningen) opplyste at praktiske innspill fra brukerne ikke ble tatt hensyn til, og at vedkommende følte at ansatte i Nye Metoder var lite interesserte i synpunkter utenfra. Det siste året var disse forhold endret til det bedre. En annen representant fra Kreftforeningen påpeker at det er mulig å fremme forslag for referansegruppa i Nye metoder, men det at gruppen mangler myndighet gjør at man opplever at forslag «parkeres» i referansegruppa. De mener derfor at de kun eksisterer for syns skyld, og etterlyser en evaluering av referansegruppa.

Sekretariatet for Nye metoder gir i intervju uttrykk for at de er enige i at referansegruppa etter åtte år bør evalueres og eventuelt justeres. Sekretariatet påpeker også at mindre pasientgrupper ikke kommer tydelig nok fram i referansegruppearbeidet. Her kan de fortelle at de har dialogmøter med flere aktører på feltet, blant annet Legeforeningen, Legemiddelindustrien og Melanor. Sekretariatet gir videre uttrykk for at ressursene kanskje kan benyttes på en annen måte, f.eks. gjennom økt bruk av seminarer og direkte dialogmøter.

Vi ser et klart behov for en styrking av medvirkningen på systemnivå. Dette er også knyttet til behovet for å skape en motvekt til den sterke maktkonsentrasjonen som Beslutningsforum utgjør. Spørsmålet er hvordan dette best gjøres. Vi tar et kort historisk tilbakeblikk.

9.6.2 Tidligere medvirkningsorganer på systemnivå i spesialisthelsetjenesten

Nasjonalt råd for prioritering i helsevesenet ble opprettet i 2000. Dette rådet skulle gi råd om prioritering innen somatiske og psykiatriske helsetjenester i sykehus, spesialisthelsetjeneste og kommunehelsetjeneste. Det tidligere Statens sykehusråd, som har en betraktelig lengre historie, inngikk i det nye prioriteringsrådet. Sekretariatet ble lagt til Sosial- og helsedepartementet.

Nasjonalt råd for prioritering i helsevesenet skulle ikke uttale seg om prioritering overfor enkeltpasienter, men gi råd om hvordan både nye og etablerte behandlingstilbud og

tjenester skal prioriteres i forhold til hverandre. Dette omfatter forebyggende tiltak, tiltak for kronisk syke, tiltak for døende og mennesker med uhelbredelige sykdommer og alternative behandlingsmetoder. Spørsmål knyttet til effektiv ressursutnyttelse for å sikre et likeverdig tilbud uavhengig av kjønn, pasientgruppe og geografisk bosted, ble også lagt til det nye rådet. Rådet skulle også gi råd om fordeling av høyspesialiserte sykehus-tjenester. Ved innføring av nye behandlingsmetoder skulle rådet uttale seg om spørsmål av faglig/etisk karakter og samarbeide med sykehus og aktuelle organer.

Det er noe uvisst hvilken historie dette rådet etter hvert fikk, men i 2007 ble det på nytt oppnevnt at nasjonalt prioriteringsråd, opprinnelig kalt *Nasjonalt råd for kvalitet og prioritering i helsetjenesten*.

Nasjonalt råd for kvalitet og prioritering i helse- og omsorgstjenesten hadde som formål å bidra til mer helhetlig tilnærming til problemstillinger om kvalitet og prioritering i helse- og omsorgstjenesten. Rådet skulle bidra til felles situasjons- og problemforståelse hos aktørene i helse- og omsorgstjenesten slik at de ulike institusjoners tiltak og prosesser kunne bli godt koordinert. Rådet skulle medvirke til dialog mellom myndigheter, tjenesteytende virksomheter, brukerorganisasjoner og profesjonsorganisasjoner. Rådet hadde en rådgivende funksjon, og er var sammensatt av medlemmer fra virksomheter med ansvar for helse- og omsorgstjenesten, fra forvaltningen, fra brukerorganisasjoner og fra universiteter og høgskoler. Fra opprettelsen hadde rådet flere navn: Nasjonalt råd for kvalitet og prioritering i helsetjenesten (2007–2010), Nasjonalt råd for kvalitet og prioritering i helse- og omsorgstjenesten (2011–2015) og Nasjonalt råd for prioritering i helse- og omsorgstjenesten (2015–2017). Rådet avholdt 4–5 møter årlig i løpet av disse årene.¹⁸⁹

Rådet ble evaluert i 2015 av konsulentbyrået Agenda Kaupang på oppdrag fra Helse- og omsorgsdepartementet (HOD), og en konklusjon var at det er behov for et nasjonalt prioriteringsråd. De anbefalte en videreføring av daværende rådsform, men gikk inn for et spissere mandat, med tydelig vekt på prioriteringsoppgaven (Agenda Kaupang, 2015).

I prioriteringsmeldingen erklærte regjeringen at den ville:

Vurdere Nasjonalt råd for prioritering i helse og omsorgstjenesten sin rolle og utvikling i lys av oppfølgingsarbeidet til denne meldingen og innstillingen fra utvalget som skal vurdere prioritering i den kommunale helse- og omsorgstjenesten. (Meld. St. 34, 2015-2016)

Ved utløpet av 2017 ble rådet besluttet nedlagt. Helseminister Høie kommenterte nedleggelsen slik i en nyhetsartikkel i *Dagens Medisin*:¹⁹⁰

Etter min oppfatning har rådet bidratt til å sette viktige prioriteringsspørsmål på dagsordenen og det har virkelig tjent sin funksjon i flere år. Men jeg har et klart inntrykk av at nå, spesielt etter at Prioriteringsmeldingen ble vedtatt i Stortinget, er arbeidet med prioritering satt mer i system i tjenesten, og rådets rolle har på en måte avtatt ganske kraftig.

Tidligere generalsekretær i Kreftforeningen og 2. nestleder i rådet, Anne Lise Ryel, tilsluttet seg regjeringens beslutning, og begrunnelsen for den, i en uttalelse i samme avisoppslag.

¹⁸⁹ Helsedirektoratets webside inneholder en oversikt over rådets viktigste saker, med tilhørende beslutninger og oversikt over tilhørende sakspapirer og utredninger.

Hentet 14. september 2021 fra: <https://www.helsedirektoratet.no/tema/prioritering-i-helsetjenesten/saker-behandlet-av-prioriteringsradet-2007-2017>.

¹⁹⁰ *Legger ned prioriteringsrådet*. Dagens medisin, 3. oktober 2017. Hentet 13. september 2021 fra: <https://www.dagensmedisin.no/artikler/2017/10/03/legger-ned-prioriteringsradet/>.

9.6.3 Innspill fra bruker- og leverandørorganisasjoner

I et felles innspill til prosjektgruppa har Kreftforeningen, Funksjonshemmedes fellesorganisasjon, Legemiddelindustrien og Melanor foreslått å opprette et uavhengig organ for løpende utvikling av Nye metoder.¹⁹¹

Et slikt organ burde være ledet av en aktør som er uavhengig av systemet, [...] Medlemmer av organet bør være involverte aktører fra leverandører, SLV, FHI og Sykehusinnkjøp. I tillegg må også andre relevante aktører som departementet, Legeforeningen, pasientforeninger og leder av helse- og omsorgskomiteen være med. Organet/utvalget bør også ha representasjon fra akademia, med kunnskap innen helseøkonomi, jus og etikk.

Organet bør ha årlig møte/rundbordskonferanse for diskusjon rundt prinsipiell måloppnåelse. Aktørene bør ha mulighet til å spille inn saker for gjennomgang. De ulike aktørene kan gis et antall saker årlig for vurdering og som bakgrunn for diskusjon. Dette kan bøte på dagens mangel på klageordning og mangel på transparens.

Basert på rundbordskonferansen og egne evalueringer, vil organet utarbeide årsrapport som leveres til HOD og politisk ledelse som vil kunne danne grunnlag for at systemet jevnlig utvikles i tråd med medisinsk utvikling, sentrale mål i helsetjenesten og for kvalitets forbedring.

Vi mottok også andre innspill knyttet til dette forslaget fra prosjektets referansegruppe og i intervjuer med systemaktører og interessenter. Statens legemiddelverk gir uttrykk for at et slikt organ vil få en krevende oppgave, og ser for seg mye støy spesielt knyttet til nei-sakene. RHF-ene viser til at dagens system er tuftet på noen fastlagte og ønskede strukturer. Styrene i RHF-ene måtte eventuelt gått inn i en diskusjon om HOD skulle ønske å opprette et slikt uavhengig organ. RHF-ene ser også for seg at et slikt organ ville være interessant for mange grupper å påvirke, et sted hvor flere ville ønske å kjøre omkamper. De stiller også spørsmål ved organiseringen og sammensetningen av organet.

9.6.4 Vurdering og anbefaling

Selv om vi vurderer det slik at samlingen av beslutningsmyndighet i prioritering, budsjettansvar og implementeringsansvar har noen viktige fortrinn, innebærer denne konstellasjonen en sterk maktkonsentrasjon i Beslutningsforum. Det er snakk om både formell myndighet og reell innflytelse på forståelsen av prioriteringskriteriene, på systemets prosesser og virkemåte, og på konkrete utfall i enkeltsaker.

Vi anbefaler å skape en motvekt til denne beslutningsmakten ved å forsterke referansegruppa i Nye metoder. Det er mulig et slikt forum bør gis et annet navn, da det mandatet som her foreslås innebærer en vesentlig utvidelse i forhold til det som referansegruppa har i dag. Forumet bør ha følgende hovedoppgaver:

- 1) Vurdere fortløpende behov for justeringer og endringer i systemets organisering og virkemåte, og ha en pådriverrolle i fornying og utvikling av Nye metoder.
- 2) Vurdere om Nye metoders samlede beslutninger er i samsvar med prioriteringskriteriene og andre føringer og målsetninger. I dette ligger å vurdere sammensetningen av den samlede saksporteføljen slik den utformes av Bestillerforum sett i forhold til systemets mål og kapasitet, samt å drøfte

¹⁹¹ Felles innspill fra leverandører, pasient- og interesseorganisasjoner. Personlig kommunikasjon, 2. juli 2021.

Forslaget ble også framsatt i en felles kronikk i Dagens Medisin 14. juli 2021, *Slik kan systemet for Nye metoder forbedres*. Hentet 14. september 2021 fra: <https://www.dagensmedisin.no/artikler/2021/07/14/slik-kan-systemet-for-nye-metoder-forbedres/>.

Beslutningsforums anvendelse av prioriteringskriteriene på et overordnet, prinsipielt nivå.

For å kunne gjøre slike overordnede vurderinger vil forumet ha behov for et kunnskapsgrunnlag, blant annet i form av redegjørelser fra RHF-ene om de aggregerte direkte helsemessige og økonomiske effektene av beslutningene. Altså hvor mye beslutningene om innføring har medført av netto kostnadsøkning og hvor mange QALY som er vunnet, og omvendt, hvor mye kostnader som er spart og QALY tapt som følge av avslag. Det vil trolig ikke være mulig å framstille de indirekte konsekvensene for prioriteringer for øvrig i spesialisthelsetjenesten på noen meningsfull måte.

Enkelt saker bør bare behandles i den grad de er egnet til å belyse prinsipielle spørsmål. Forumet bør også kunne ta initiativ til egne utredninger – for eksempel kunne man tenke seg å anskaffe en analyse av ulike aktørers roller og innflytelse i systemet i et organisasjonsteoretisk perspektiv.

Vi mener et slikt forum vil bidra til å styrke medvirkningen i systemet, og til at diskusjoner om omstridte beslutninger vil bli ført i et egnet forum, uten at det dermed legges opp til «omkamper» om beslutninger. Det bør være offentlig innsyn i kunnskapsgrunnlag, sakspapirer og møtereferater, og det bør vurderes å gjennomføre åpne møter. På denne måten vil forumet bidra til å styrke tilliten til Nye metoder.

For å sikre en viss uavhengighet, bør forumet ledes av en ekstern, interessentuavhengig person. Det bør være partssammensatt, med representasjon fra brukere, klinikere og leverandører, men muligens med færre medlemmer enn dagens referansegruppe. Lederne for Beslutningsforum og Bestillerforum bør møte som observatører eller bisittere med talerett.

Det kan stilles spørsmål ved hva som vil være den mest hensiktsmessige måten å sikre nødvendig kontakt mellom forumet og HOD. Mandatet som her foreslås er betydelig snevrere enn det nedlagte Nasjonalt råd for prioritering i helse- og omsorgstjenesten. Det er likevel uvisst om departementet vil se det som hensiktsmessig å re-etablere en liknende konstruksjon. Dersom HOD velger å oppnevne et slikt forum, kan departementet selv fastsette hvilke kommunikasjonsformer som vil være mest hensiktsmessige mellom dette forum, RHF-ene og departementet selv. Gitt RHF-enes sørge-for-ansvar kan det være usikkert om det er i tråd med gjeldende rett at et slikt forum blir direkte underlagt HOD. På den annen side kan det være fare for at kontakten med departementet blir for svak og uforpliktende dersom forumets sekretariatsfunksjon legges til Nye metoder-sekretariatet.

Det er mulig at det vil være krevende for et slikt forum å drøfte anvendelse av prioriteringskriteriene kun innenfor rammene av Nye metoder, uten å se dette i sammenheng med andre prioriteringsbeslutninger som tas på ulike nivåer i spesialisthelsetjenesten. Vi viser også til at det som nevnt ikke tilligger Beslutningsforum å anlegge et samfunnsperspektiv (jf. punkt 3.3.2), og det er mulig at dette i noen grad kunne ivaretas av et annet forum. Det ligger imidlertid utenfor vårt mandat å gå nærmere inn på en eventuell re-etablering av Nasjonalt råd eller en liknende konstruksjon. Evalueringsrapporten fra 2015 omhandler flere momenter og erfaringer som vi mener bør tas i betraktning i eventuelt videre arbeid med å etablere et nytt medvirkningsforum (Agenda Kaupang, 2015).

10 Implementering

I dette kapitlet undersøker vi først ulike implementeringsverktøy som benyttes i spesialisthelsetjenesten. Dernest evaluerer vi unntaksordningen i Nye metoder. Til sist presenterer vi våre funn fra en registeranalyse som har tatt sikte på å undersøke om nye kreftlegemidler tas i bruk på en likeverdig måte i helseforetakene.

10.1 Retningslinjer og LIS-anbefalinger

Når det fattes beslutning om innføring eller utfasing av metoder, bygger disse på forutsetninger om klinisk praksis. Både for å sikre god klinisk praksis og likeverdig tilgang til metodene, kan det være behov for ulike typer tiltak rettet mot klinikere på de aktuelle terapiområdene. I tillegg må beslutningene understøttes av innkjøpsbeslutninger, gitt at metoden er basert på legemidler eller utstyr.

Prosessene for implementering av beslutninger i Beslutningsforum avhenger av hva beslutningen omfatter, herunder om det omfatter innføring/utfasing, legemidler/utstyr/ andre metoder, og hvilke systemer som finnes for styring av metodevalg på det aktuelle feltet.

Man kan se implementering som to hovedprosesser:

1. Gjøre metoden tilgjengelig gjennom nasjonale innkjøp
2. Sørge for at klinisk bruk samsvarer med forutsetningene i beslutningene

Vi vil i dette kapitlet presentere systemer på nasjonalt gruppenivå for implementering av beslutninger i Nye metoder.

Nye metoder som er besluttet innført gjøres tilgjengelig gjennom nasjonale innkjøp, det vil si gjennom Sykehusinnkjøp. Alt tyder på at legemiddelbaserte metoder som blir innført, blir raskt gjort tilgjengelige, se registeranalysen i punkt 10.3. Det skal dog sies at de to utstyrs-eksempelsakene kan tyde på at implementeringen er svakere på dette området.

Sykehusinnkjøp varsler grossist og apotek straks beslutning i Beslutningsforum for nye metoder foreligger. Prosessen fram til nytt legemiddel og akseptert pris er registrert i apotekene avhenger av hvordan møtet i Beslutningsforum for nye metoder sammenfaller med de faste tidspunktene for oppdatering i apotekenes vare- og prissystem (1. og 15. hver måned). Det konkrete tidspunktet avhenger også av om legemiddelet er et såkalt H-reseptlegemiddel eller et sykehuspreparat. Men typisk vil et H-reseptlegemiddel kunne tas i bruk den første i neste påfølgende måned etter Beslutningsforums beslutning, og sykehuslegemidler den 15. i måneden etter Beslutningsforums beslutning.

Enkelte som er involvert i metoder basert på utstyr, mv, har uttrykt tvil om beslutningene i Nye metoder har vesentlig betydning for bruken av metodene. Men det er trolig ikke i Sykehusinnkjøps innkjøp implementeringen eventuelt svikter.

Svakhetene i implementeringen er knyttet til mangel på systematisk styring av klinisk praksis, også på gruppenivå. Balansen mellom faglig autonomi og styring er imidlertid vanskelig og omdiskutert. Det mangler redskaper for styring, med unntak av økonomi. Det mangler også retningslinjer og andre typer støtteverktøy for klinikerens arbeid på en rekke terapiområder. Videre fungerer retningslinjer bare delvis, selv om de er viktige. Fagfolk blir mer styrt utenfra (internasjonale forum, internasjonale retningslinjer, faglige nettverk osv.) enn ovenfra (gjennom linja).

I de eksempelsakene som vi har gjennomgått, har vi sett at det varierer hva slags type normer og føringer som anvendes av klinikerne i valg av metoder. Valg av metoder avgrenses av nasjonale beslutninger om innføring av ulike metoder. I tillegg utformes det ulike typer retningslinjer eller materiale som gir faglig støtte til klinikerens arbeid. Enkeltsakene vi har gjennomgått etterlater et inntrykk av at implementeringen i klinikk styres av en rekke ulike typer normer og regler på nasjonalt og internasjonalt nivå:

- Helsedirektoratet utformer retningslinjer på utvalgte terapiområder
- LIS-anbefalinger/RHF-instrukser utformes for terapiområder hvor legemiddelbaserte metoder brukes, men kun der det finnes faglig likeverdige behandlingsalternativer.
- Faglige nettverk og fagmedisinske foreninger for ulike terapiområder utformer anbefalinger om valg av metoder for sine respektive områder
- EU og andre lands nasjonale myndigheter utformer anbefalinger som også anvendes av norske klinikere

I det følgende vil vi først omtale Helsedirektoratets retningslinje, og dernest anskaffelsesprosedyrene. Framstillingen dekker kun forholdet til prioriteringskriteriene og beslutninger i Nye metoder, ikke øvrige hensyn i innkjøpsprosessene. Videre omtaler vi nærmere situasjonen omkring implementering i klinikk.

10.1.1 Helsedirektoratets normerende produkter

Helsedirektoratet publiserer ulike normerende produkter som gir råd og anbefalinger til helsetjenestene og til befolkningen, og har et lovfestet ansvar for å utvikle Nasjonale faglige retningslinjer.¹⁹² Slike retningslinjer er et verktøy for implementering av systemets beslutninger i klinikken. Arbeidet er forankret i en egen veileder.¹⁹³ En ferdig utviklet retningslinje inngår i en vurdering av hva som er faglig forsvarlig, og skal beskrive god faglig praksis.¹⁹⁴ Videre skal rådene og anbefalingene bidra til å redusere uønsket variasjon og fremme god kvalitet i helse- og omsorgstjenestene. Selv om de er ikke rettslig bindende, skal avvik fra faglige anbefalinger i en retningslinje dokumenteres og

¹⁹² Fra 2011 er det i tjenestelovene innenfor helse- og omsorgstjenestene klarlagt at Helsedirektoratet er delegert en normerende oppgave for kvalitetssikring, jf. helse- og omsorgstjenesteloven § 12-5 og spesialisthelsetjenesteloven § 7-3.

¹⁹³ *IS-1870 Veileder for utvikling av kunnskapsbaserte retningslinjer*. Helsedirektoratet, oktober 2012. Hentet 30. september 2021 fra: [https://www.helsedirektoratet.no/veiledere/utvikling-av-kunnskapsbaserte-retningslinjer/Veileder%20for%20utvikling%20av%20kunnskapsbaserte%20retningslinjer%20\(fullversjon\).pdf/_attachment/inline/efa406d5-9fe5-4ff5-9a8c-3f0e143c55c8:2cc6aceb8963dfec76bc036a10402f12729b8ad/Veileder%20for%20utvikling%20av%20kunnskapsbaserte%20retningslinjer%20\(fullversjon\).pdf](https://www.helsedirektoratet.no/veiledere/utvikling-av-kunnskapsbaserte-retningslinjer/Veileder%20for%20utvikling%20av%20kunnskapsbaserte%20retningslinjer%20(fullversjon).pdf/_attachment/inline/efa406d5-9fe5-4ff5-9a8c-3f0e143c55c8:2cc6aceb8963dfec76bc036a10402f12729b8ad/Veileder%20for%20utvikling%20av%20kunnskapsbaserte%20retningslinjer%20(fullversjon).pdf)

¹⁹⁴ Vi beskriver i det følgende kun bruken av Helsedirektoratets nasjonale faglige retningslinjer. Andre normerende produkter, som veiledere, faglige råd og rundskriv omtales ikke.

begrunnes.¹⁹⁵ Ifølge Helsedirektoratets veileder er det likevel viktig at helsepersonell tar hensyn til individuelle behov og viser faglig skjønn i vurderingen av hver enkelt pasient.

Videre framgår det av Helsedirektoratets veileder at de normerende produktene ikke har noen innbyrdes rangering. Grad av normering angis av teksten i hver enkelt anbefaling og råd, uansett hvilken produkttype de står i. Det understrekes at – og dette er helt sentralt for å forstå den normerende kraften i de aktuelle dokumentene:

- Når Helsedirektoratet sier «skal», betyr det at anbefalingen/rådet er basert på lov eller forskrift, eller når det er så klart faglig forankret at det sjelden er forsvarlig ikke å gjøre som anbefalt.
- Når det står «bør» eller «anbefaler» er det en sterk anbefaling/råd som vil gjelde de aller fleste.
- Når det står «kan» eller «foreslår» er det en svak anbefaling/råd der ulike valg kan være riktig for ulike pasienter.

Retningslinjer bør følges opp med effektiv implementering i tjenesten, slik at praksis justeres etter retningslinjenes anbefalinger. Implementeringsarbeidet bør tilpasses retningslinjens formål og målgruppe, og kan for eksempel gjøres gjennom fagmøter og konferanser. Når det gjelder implementering av en beslutning fra Beslutningsforum i en retningslinje, opplyser Helsedirektoratet at de kun forholder seg til beslutninger som er fattet av Beslutningsforum. De vurderer derfor ikke egne anbefalinger opp mot for eksempel LIS-anbefalinger.

Helsedirektoratet opplyser at deres retningslinjer blir ikke utarbeidet på alle fagområder i spesialisthelsetjenesten. I tillegg er det slik at flere av direktoratets retningslinjer er på et overordnet nivå, og ikke inneholder detaljerte anbefalinger om legemidler eller andre metoder. Helsedirektoratet utvikler nasjonale faglige retningslinjer først og fremst på områder med behov for normering. På flere fagområder kan det være tilstrekkelig at fagmiljøene selv utvikler veiledere/faglige retningslinjer. Helsedirektoratet påpeker videre at de utvikler normerende produkter på områder med prioritert behov og i tett samarbeid med relevante fagmiljøer og pasient-/bruker-representanter. Områder som prioriteres er der man ser behov for å sikre god kvalitet og riktige prioriteringer i forhold til nytte, alvorlighet og ressursbruk, bidra til å hindre uønsket variasjon, løse samhandlingsutfordringer og sikre helhetlige pasientforløp.

Helsedirektoratet opplyser at en beslutning i Nye metoder som oftest vil medføre behov for oppdatering av en enkelt anbefaling i eksisterende retningslinjer. En pågående digitaliseringsprosess i Helsedirektoratet gjør dette arbeidet enklere. For eksempel revideres for tiden retningslinjen på MS-feltet.¹⁹⁶ I grunnlaget for retningslinjen inngår metodevurderinger utarbeidet av Folkehelseinstituttet, sammen med relevant litteratur og klinisk erfaring.

10.1.2 Implementering i Helsedirektoratets retningslinjer

På Helsedirektoratets hjemmeside er det listet opp 78 nasjonale faglige retningslinjer.¹⁹⁷ Retningslinjene inneholder systematisk utarbeidede råd og anbefalinger knyttet til

¹⁹⁵ Jf. pasientjournalforskriften § 6 bokstav g): «Opplysninger om overveielser som har ledet til tiltak som fraviker fra gjeldende retningslinjer».

¹⁹⁶ *Multipel sklerose*. Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://www.helsedirektoratet.no/retningslinjer/multipel-sklerose>.

¹⁹⁷ *Nasjonale anbefalinger, råd og pakkeforløp*. Hentet 30. september 2021 fra <https://www.helsedirektoratet.no/produkter?tema=retningslinje>.

Det oppgitte tallet inkluderer også kreft-handlingsprogrammene. Helsedirektoratet opplyser videre at de har retningslinjer for både primær- og spesialisthelsetjenesten. Med andre ord er ikke alle disse 78 retningslinjene relevante for Nye metoder.

forebygging, diagnostikk, behandling og/eller oppfølging innenfor helse- og omsorgstjenestene. Helsedirektoratet opplyser videre at det blant de 78 retningslinjene finnes 24 nasjonale handlingsprogrammer på kreftområdet.¹⁹⁸ I Nasjonal kreftstrategi (2018-2022) omtales de som viktige bidrag for kvalitet og likeverdighet på kreftområdet (HOD, 2018). Handlingsprogrammene inneholder retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging, og er utarbeidet i et samarbeid mellom Helsedirektoratet, fagmiljøene, helseregionene og Folkehelseinstituttet. Handlingsprogrammene beskriver hvordan pasientene skal utredes, behandles og følges opp i helsetjenesten. De danner også grunnlag for pakkeforløp på kreftområdet.

Helsedirektoratet opplyser videre at det er egne faggrupper for hvert enkelt handlingsprogram på kreftområdet. En positiv beslutning i Beslutningsforum vurderes av faggruppene, og implementeres i de enkelte handlingsprogrammene. Faggruppen diskuterer blant annet ordlyden på de konkrete anbefalingene som skal gis, før de tas inn i handlingsprogrammene. Beslutning om innføring av en metode på kreftfeltet tas dermed ikke umiddelbart inn i handlingsprogrammene. Samtidig påpeker direktoratet at spesielt nei-beslutninger i Beslutningsforum er førende, og at de generelt implementeres raskt i retningslinjene. Det er Helsedirektoratet som er ansvarlig for den endelige ordlyden og publisering av oppdatert retningslinje eller handlingsprogram.

På enkelte terapiområder, for eksempel kreftområdet, oppdateres retningslinjene raskt. Et eksempel er *Nasjonalt handlingsprogram med retningslinjer for diagnostikk, behandling og oppfølging av spiserørskreft*. I retningslinjen skriver Helsedirektoratet at det kan være behov for endring fordi behandlingen er utdatert, eller at det er behov for en prosess med vurdering av ny, ofte kostbar kreftbehandling.¹⁹⁹ De skriver videre at innholdet i retningslinjen og eventuelt behov for oppdatering vurderes årlig. Diabetesforbundet sa også i intervju i forbindelse med FreeStyle Libre-saken at retningslinjene på diabetesfeltet oppdateres årlig og fungerer godt.

Vi oppfatter at tilgangen på verktøy for å sikre god og lik praksis varierer mellom ulike terapiområder. Ett skille går mellom legemidler og andre metoder, men det er også stor variasjonen innenfor disse gruppene av metoder. Videre vurderer vi at grundigheten og den brede representasjonen i arbeidet med retningslinjene gjør at de oppfattes som autoritative. Helsedirektoratet bekrefter i skriftlig innspill at retningslinjearbeidet er tid- og ressurskrevende, og at forvaltningsprosessen kan bli bedre. Helsedirektoratet påpeker også at ressursknapphet i direktoratet, særlig under pandemien, har medført forsinkelser og manglende mulighet for utvikling og revisjon på noen områder der de ser det kunne vært behov for oppdaterte normerende produkter. Vi vurderer likevel at det er en utfordring at retningslinjene ikke dekker alle terapiområder, og at de på en del områder ikke er oppdatert med ny forskning og nye metoder.

10.1.3 LIS-anbefalinger

LIS-anbefalingene utarbeides av spesialistgrupper som i hovedsak består av klinikere og forskere på feltet. Gruppene oppnevnes av RHF-ene, og har to hovedoppgaver.

For det første er LIS-gruppene rådgivere i utforming av anbudsprosessene. Blant annet tar de stilling til hvilke legemidler som skal anses som faglig likeverdige. Med faglig likeverdig menes terapeutisk tilsvarende med hensyn til effekt og sikkerhet (Sykehusinnkjøp, 2020c).

¹⁹⁸ Se også Helsedirektoratets hjemmesider. *Tema: Kreft*. Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://www.helsedirektoratet.no/tema/kreft>

¹⁹⁹ Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://www.helsebiblioteket.no/retningslinjer/spiserorskreft/utarbeiding-av-retningslinjene/oppdatering-av-retningslinjene>

Hva som vurderes som faglig likeverdig vil variere over tid, blant annet også basert på klinikernes erfaring med legemidlene i pasientbehandlingen. Hva som defineres som faglig likeverdig må defineres for hvert enkelt terapiområde i det til enhver tid gjeldende konkurransegrunnlag. (Sykehusinnkjøp, 2020a)

For det andre utformer LIS-gruppene de såkalte LIS-anbefalingene i etterkant av gjennomførte anbudskonkurranser, som da representerer en implementering av resultatene av konkurransene. Her bygger man på de samme betraktningene om faglig likeverdighet, men også på eventuelle andre kriterier som har vært anvendt i konkurransen. RHF-ene har vedtatt å benytte LIS-anbefalingene som instruksjer i egne organisasjoner.

Vi er ikke kjent med at det finnes noen nærmere beskrivelse av kriteriene for faglig likeverdighet, men Sykehusinnkjøp opplyser at for hver anskaffelse må tas stilling til:

[...] hva som gir oppdragsgiver merverdi og ikke. Det er med andre ord ikke slik at enhver forskjell vil ha premierbar verdi. Dersom det hersker betydningsfull usikkerhet, kan det antas at legemidler ikke vil anses sammenliknbare inntil klinisk erfaring foreligger. Dersom usikkerheten anses uvesentlig fordi gode grunner taler for minimale forskjeller i klinikken, kan dette stille seg annerledes. I begrepet faglig likeverdig er det derfor et iboende dynamisk element, som er foranderlig avhengig av ny viten. Det kan også tenkes tilfeller hvor det for to legemidler er stor overlappende effekt for deler av pasientpopulasjonen, mens det for subpopulasjoner er vesensforskjeller.²⁰⁰

LIS-anbefalingene kritiseres ut fra to ulike synsvinkler. Den ene kritikken bygger på at LIS-anbefalingene i hovedsak grupperer legemidlene for en gitt indikasjon ut fra pris. Den andre kritikken bygger på at anbefalingene ikke reflekterer hvordan man arbeider i klinisk praksis. Vi drøfter disse i tur og orden.

Rangering etter pris – ikke IKER

Legemiddelindustrien har uttrykt misnøye med måten Sykehusinnkjøp grupperer legemidler på i sine anbefalinger. Det framholdes at mange legemidler blir kategorisert som faglige likeverdige der det kan reises tvil om likeverdighet og at man ut fra det rangerer dem i LIS-anbefalingene kun basert på pris. I henhold til denne kritikken tillegges dermed effektforskjeller liten vekt. Det hevdes videre at dette er i strid med prioriteringskriteriene. For å følge disse, må legemidlene rangeres etter den relative kostnytt (IKER).

Legemiddelindustrien framholder at praksis viser at et lavere rangert legemiddel ofte oppnår svært lite salg. Sykehusinnkjøp har bekreftet at rangeringene har stor betydning for hvor mye legemidler blir brukt.

Vi illustrerer disse prosessene gjennom et konkret eksempel. Legemiddelet Gazyvaro for lymfekreftsykdommen follikulær lymfom kan illustrere hvordan systemet fungerer. Beslutningsforum besluttet 2. februar 2018 at legemiddelet Gazyvaro i kombinasjon med kjemoterapi (cellegift) kunne innføres som førstelinjebehandling ved avansert langsomtvoksende follikulært lymfom.²⁰¹ Statens legemiddelverk sammenliknet Gazyvaro med rituksimab (begge i kombinasjon med kjemoterapi) som allerede var i bruk. Legemiddelverket anslår i sin metodevurdering at pasientene vil oppnå henholdsvis 8,6 og 8,1 QALYs (10,52 og 9,93 leveår) ved å behandles med de to metodene. Forskjellen mellom anslått effekt var altså omlag 0,5 QALY og 0,59 leveår (SLV, 2017a). I Statens legemiddelverks rapport er all informasjon om legemiddelkostnader slettet, også kostnader basert på maksimal AUP. Legemiddelverket fant etter prisforhandlinger at IKER trolig «ligger

²⁰⁰ Personlig kommunikasjon, 19. oktober 2021.

²⁰¹ Sak ID2017_004. Hentet 3. november 2021 fra <https://nyemetoder.no/Documents/Rapporter/Obinutuzumab%20-%20HVMV%20med%20prisnotat.pdf>.

i øvre sjikt av det som kan anses som kostnadseffektiv behandling...», men Beslutningsforum vedtok innføring av Gazyvaro. I LIS-anbefalingen for onkologi²⁰² er Gazyvaro rangert etter rituksimab for behandling av follikulært lymfom. Dette bygger på at de to metodene anses som «faglig likeverdige».

Vi mener saken viser at faglig likeverdighet kan skjule forskjeller i nytte av ulike metoder. Når metoder med ulik nytte grupperes sammen og rangeres i LIS-anbefalingen kun etter pris, tar man ikke lenger hensyn til disse effektforskjellene, slik Prioriteringsmeldingen tilsier.

Vurderingene av faglig likeverdighet gjøres av grupper dominert av klinikere som er spesialister på feltet. Dette bør kunne sikre at medisinskfaglige hensyn tillegges stor vekt.

Vi ser at LMIs kritikk av systemet med LIS-anbefalinger bygger på en prinsipiell korrekt forståelse og anvendelse av prosessene og prioriteringskriteriene. Dagens system bidrar til konkurranse mellom legemidler og leverandører og dermed til å oppnå legemiddel-meldingens mål om lave legemiddelpriser. Om dagens praksis gir en rimelig avveining mellom ulike hensyn, har vi ikke grunnlag for å avgjøre. Vi mener rangering etter IKER kan være et alternativ.

LIS-anbefalinger/RHF-instrukser og klinisk praksis

Noen få klinikere har i intervju påpekt at LIS-anbefalingene ikke reflekterer de kriterier klinikere faktisk bruker når de velger mellom metoder, der flere metoder er aktuelle. Valg av metode bygger ofte på langt flere forhold og mer kompliserte avveininger enn de LIS-anbefalingene bygger på. Disse klinikerne mente at dette gjorde at anbefalingene ikke alltid etterleves selv om de omgjøres til instruksjoner internt i RHF-ene.

Det er enighet om at LIS-anbefalingene ikke kan anses som behandlingsveiledere. Dette er heller ikke målet med anbefalingene. Kanskje kan et alternativ være at man endrer formatet på LIS-anbefalingene slik at de i større grad får preg av behandlingsveiledere og med kriterier for valg mellom metodene.

10.1.4 Metoder som ikke er legemiddelbasert

På terapiområder som ikke er legemiddelbasert, finnes det ikke alltid retningslinjer fra nasjonale myndigheter. Da finnes det heller ikke noe nasjonalt system for å sikre likeverdig implementering og heller ikke noe system som er felles for RHF-ene. Valg av behandling er da opp til den enkelte kliniker eller styringsenheter mellom RHF-ene og klinikeren. Dette åpner trolig for en del forskjeller i tilgang til ulike typer behandling, for eksempel på basis av bosted/behandlingssted.

10.1.5 Andre faglige veiledere

I enkeltsakene har vi eksempler på terapiområder hvor det ikke finnes noen nasjonale føringer på valg av metode. Klinikere kan da bruke andre kilder til oppdaterte veiledninger om metodebruk. På de fleste terapifelt finnes det fagmedisinske foreninger²⁰³ som utformer materiale som kan understøtte god klinisk praksis. I tillegg finnes det tilsvarende veiledninger fra andre land eller internasjonale organisasjoner. De sistnevnte vil imidlertid ofte ikke reflektere forhold i klinikk i Norge.

Blant våre eksempelsaker er TAVI/TAVR (kunstige hjerteklaffer) og akromionreseksjon (kirurgisk inngrep i skulder) eksempler på terapiområder hvor det ikke finnes nasjonale

²⁰² Hentet 3. november 2021 fra <https://sykehusinnkjop.no/seksjon/avtaler-legemidler/Documents/Onkologi/Onkologiske-og-kolonistimulerende-legemidler.pdf>.

²⁰³ Disse utgjør ifølge Legeforeningen «rygggraden» i Legeforeningens fagakse.

veiledere. På begge feltene oppga klinkere at valg av metode på disse feltene delvis kunne bygge på veiledere fra faglige nettverk og internasjonale veiledere, men kanskje primært på klinikernes faglige skjønn. På begge feltene vil klinikerens faglige bakgrunn/spesialisering kunne spille en viktig rolle.

10.1.6 Konklusjon

Vi mener det er betydelige svakheter i systemer som skal bidra til at beslutninger i Nye metoder implementeres godt og likeverdig. LIS-anbefalingene gir føringer som bidrar til at beslutninger får virkning i klinikk, men dette gjelder kun enkelte legemidler. For de legemidlene som ikke dekkes av LIS-anbefalinger, og for beslutninger om andre typer metoder, er det uklart hvor sterkt gjennomslag beslutningene har. Med unntak for terapiområder der Helsedirektoratet har tilstrekkelig oppdaterte retningslinjer, finnes det ikke på nasjonalt nivå systemer som sikrer at beslutningene blir implementert likeverdig og i samsvar med god klinisk praksis. Det er også viktig å påpeke at anbefalingene i Helsedirektoratets retningslinjer og LIS-anbefalingene ikke er koordinert, og at de utarbeides uavhengig av hverandre.

10.2 Unntaksordningen i systemet for Nye metoder

10.2.1 Innledning

Metoder som er under vurdering i Nye metoder skal som hovedregel ikke brukes før de er besluttet innført. Begrunnelsen for dette er målet om likeverdig helsetjeneste for alle, og følger prinsippet om at det skal være én vei inn for metoder til ordinær klinisk bruk (Prop. 55 L, 2018-2019). I 2014 besluttet Beslutningsforum at det kan gis unntak fra denne hovedregelen for metoder som er til vurdering i Nye metoder. Unntaksordningen skal være en sikkerhetsventil for spesielle tilfeller. Ordningen gjelder for enkeltpasienter eller pasientgrupper med alvorlig livstruende sykdom som skiller seg klart fra pasientgruppen for øvrig. Markedsføringstillatelse for bruk av legemidler er nødvendig på både enkeltpasientnivå og pasientgruppenivå.

En beskrivelse av unntaksordningen finner vi på nettsidene til Nye metoder:²⁰⁴

En metode skal ikke tas i bruk til nye pasienter når metoden er til vurdering i Nye metoder. Pasienter som har påbegynt behandling med metoden før beslutning om vurdering i Nye metoder, kan fullføre behandlingen. Det kan oppstå situasjoner der unntak fra denne regelen kan være aktuelt.

Vårt oppdrag er å undersøke om unntaksordningen i Nye metoder er i tråd med intensjonen, og om den praktiseres likeverdig i de fire helseforetakene. Dette gjelder både på gruppenivå og for enkeltpasienter. Vi forstår oppdraget dithen at dette omhandler beslutninger i systemet for Nye metoder, og ikke vurdering av rett til nødvendig helsehjelp i spesialisthelsetjenesten. Sentrale spørsmål å stille i undersøkelsen av unntaksordningen er hvor mye ressurser man skal bruke, hvordan ordningen brukes geografisk, og om den totalt sett brukes i riktig omfang.

10.2.2 Unntak på gruppenivå

På *gruppenivå* kan et fagmiljø i et eller flere helseforetak formidle et begrunnet ønske om unntak til ledelsen i sitt eller sine helseforetak. Ledelsen i angjeldende helseforetak avgjør om saken skal legges frem for det interregionale fagdirektørmøtet. Fagdirektørene beslutter deretter om det skal gis unntak, og hvordan et eventuelt unntak skal være

²⁰⁴ Unntaksordning. Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://nyemetoder.no/om-systemet/unntaksordning>

avgrenset på indikasjoner, og om det skal legges føringer for funksjonsfordeling mellom helseregionene.²⁰⁵

Ifølge en fagdirektør i Bestillerforum er unntak på gruppenivå aktuelt der fagdirektørene mener at det finnes sterke holdepunkter for at prosessen vil ende med en ja-beslutning i Beslutningsforum, eller der man vurderer at det ikke vil være hensiktsmessig å stoppe en metode som allerede er i bruk – mens metodevurderingen pågår. Fagdirektøren beskriver to ulike situasjoner når unntak på gruppenivå for genuint nye metoder skal vurderes:

1. Medikamenter som forventes brukt til hver pasient i en avgrenset periode. Typisk er det kreftmedikamenter brukt ved metastatisk sykdom. Gruppeunntak vil her få konsekvens i en begrenset periode, selv om pasienter som starter behandling fullfører denne også etter en senere nei-beslutning.
2. Livslang behandling over mange år eller tiår for hver pasient. Dette gjelder ved kroniske, ikke-maligne sykdommer, f.eks. cystisk fibrose. Hvis man her gir et gruppeunntak før man har en ja-beslutning, vil i praksis alle aktuelle pasienter starte behandling, og vil kontinuere den så lenge det er medisinsk indikasjon, i mange år eller tiår. Et midlertidig gruppeunntak blir derfor i praksis en innføring.²⁰⁶

Sekretariatet for Nye metoder publiserer beslutninger og søknader om unntak på nyemetoder.no.²⁰⁷ Per oktober 2021 var det listet opp fire gjeldende beslutninger om unntak på gruppenivå. På nettsidene listes det også opp tidligere unntak og vurderinger (ikke gjeldende) og avslåtte søknader på gruppenivå. Til sammen omtales 13 tidligere unntak og vurderinger og to avslåtte søknader på gruppenivå.

10.2.3 Unntak for enkeltpasienter

Unntak for *enkeltpasienter* håndteres i det enkelte helseforetak som har behandlingsansvar for pasienten. Prosedyren ved unntak for enkeltpasienter er som følger:²⁰⁸

1. Ved individuelle søknader etter unntaksregelen er det en forutsetning at det finnes markedsføringstillatelse i Norge for aktuell indikasjon.
2. Etablert behandling skal være kontraindisert, eller forsøkt og ikke tolerert på grunn av bivirkninger
3. Det er grunn til å tro med bakgrunn i forelagt dokumentasjon, at effekt av behandling vil være vesentlig større enn for gruppen som helhet.

Den praktiske fremgangsmåten innebærer at en avdeling eller enhet diskuterer saken med fagdirektør eller fagsjef i eget helseforetak. Beslutning om unntak gjøres av fagdirektør eller fagsjef, som deretter sender kopi av beslutningen til fagdirektøren ved angjeldende regionale helseforetak.

Det enkelte RHF har oversikt over unntak som er gitt på enkeltpasientnivå. Fra fagdirektøren i Helse Nord har vi fått informasjon om innvilgede søknader om unntak så

²⁰⁵ Unntaksordning. Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://nyemetoder.no/om-systemet/unntaksordning>

²⁰⁶ Personlig kommunikasjon, fagdirektør Baard-Christian Schem, Helse Vest RHF, 26. september 2021.

²⁰⁷ Faser ved innføring av nye metoder: Metodevurdering. Hentet 19. september 2021 fra <https://nyemetoder.no/metodevurdering>

²⁰⁸ Unntaksordning. Hentet 19. september 2021 fra: <https://nyemetoder.no/om-systemet/unntaksordning>

langt i 2021.²⁰⁹ Innvilgelsesraten og antall unntak i RHF-ene for perioden 2014–2017 og 2021 er sammenstilt i Tabell 10-1.²¹⁰

Tabell 10-1. Innvilgede individuelle unntak, 2014–2017 og 2021.

RHF	2014–2017*		2021**	
	Unntak per 100 000 innbyggere	Antall unntak	Unntak per 100 000 innbyggere	Antall unntak
Helse Sør-Øst RHF	1,4	42	0,8	24
Helse Vest RHF	0,6	7	2,0	22
Helse Midt RHF	0,3	2	1,2	9***
Helse Nord RHF	0,2	1	1,5	7

* Oversikten fra 2017 er basert på tall innhentet av Dagens medisin i 2017 for perioden 2014–2017.²¹¹ Vi legger til grunn at tallene gjelder for hele perioden for alle RHF-ene.

** Vi legger til grunn at det er rapportert for månedene til og med oktober 2021.

*** Vi fikk oppgitt 18 unntak i Helse Midt RHF samlet for 2020 og 2021. I tabellen har vi lagt 9 unntak til grunn for 2021.

Vi har ikke oversikt over det totale antall søknader om unntak, men i Helse Nord ble seks søknader (46 prosent) om unntak avslått.

Tallene for 2014–2017 og 2021 er dessverre ikke direkte sammenliknbare, og vi kjenner heller ikke fordelingen av saker i perioden 2014–2017. Med forbehold om fordeling av saker på hvert av årene i fireårsperioden 2014–2017, så tyder tallene våre på at de regionale forskjellene har blitt vesentlig redusert per i dag. Likevel er innvilgelsesraten dobbelt så høy i Helse Vest som for Helse Sør-Øst. Det har også vært en økning i antall innvilgede unntak i alle regioner siden 2017, bortsett fra i Helse Sør-Øst.

Selv om det er noen unøyaktigheter i denne fremstillingen på grunn av uklårheter i periodiseringen, og vi også må ta forbehold om RHF-ene har brukt tall for samme måneder i 2021, så tyder tallene på at det fortsatt er vesentlige forskjeller mellom helse-regionene.

Det er imidlertid vanskelig å vurdere betydningen av disse forskjellene, så lenge det ikke brytes ned på indikasjon og legemiddel. Siden nåløyet er så trangt – unntaksordningen gjelder nettopp veldig spesielle pasienter – så er sannsynligheten for geografisk variasjon i dette pasientgrunnlaget ganske stor.

²⁰⁹ Personlig kommunikasjon, fagdirektør Geir Tollåli, Helse Nord RHF, 31. oktober 2021.

²¹⁰ Oversikten per 100 000 innbyggere tar utgangspunkt i *Tabell 07459: Befolkning, etter region, statistikkvariabel og år*. Hentet 4. november 2021 fra <https://www.ssb.no/statbank/table/07459/tableViewLayout1/>.

²¹¹ *Store forskjeller i bruk av dyr unntaksmedisin*. Dagens medisin, 1. februar 2017. Hentet 19. september 2021 fra: <https://www.dagensmedisin.no/artikler/2017/02/01/store-forskjeller-i-bruk-av-dyr-unntaksmedisin/>. Tallene fra 2017 og 2021 er imidlertid ikke direkte sammenliknbare. Tallene fra Dagens medisin omfatter perioden 2014–2017, mens tallene fra fagdirektørene i hovedsak gjelder så langt i 2021. Tall fra Helse Midt gjelder for 2020 og 2021.

10.2.4 Et kritisk blikk på unntaksordningen

Unntaksordningen består som beskrevet ovenfor av enkle prinsipper og regler om unntak, som følges opp i hver region. Dagens regelverk er ment som en pragmatisk løsning for å unngå urimelige følger av å måtte avvente avgjørelser i Beslutningsforum.

En fagdirektør i Bestillerforum hevder at leverandørene ser seg tjent med at et gruppeunntak opprettholdes så lenge som mulig, fordi unntak på gruppenivå vil gi salg for leverandørene (ofte til maksimalpris). Dette igjen vil ifølge fagdirektøren redusere eller fjerne leverandørenes motivasjon for å stille opp under metodevurdering av data – og gi de rabatter som er nødvendig for å at metoden skal bli kostnadseffektiv. Videre vil leverandørene ifølge fagdirektøren også være tjent med å trekke ut prosessen hvis det er innvilget gruppeunntak, fordi bruken i stadig større grad blir del innarbeidede rutiner, som det blir stadig vanskeligere å snu. Fagdirektøren forteller at RHF-ene grunnet kravet om kostnadseffektivitet ønsker maksimalt trykk på leverandørene for å få fortløp i prosessen mot en ja-beslutning. Hvis metoden eller medikamentet skal innføres, skal det skje så raskt som mulig for alle med relevant indikasjon.

Fagdirektøren i Helse Vest RHF påpeker at fagdirektørene i de ulike helseforetakene er godt kjent med unntaksordningen, og at de derfor er beste til å følge opp dette i sin organisasjon. Fagdirektøren vi har snakket med har et klart inntrykk av at legene ved de relevante avdelinger er vel kjent med ordningen. De enkelte helseforetakene, med sine aktuelle spesialister og fagdirektører, og full tilgang til pasientenes journal, har i den enkelte sak langt bedre forutsetninger for disse vurderingene enn man har i RHF. RHF-ene går ifølge fagdirektøren derfor ikke inn i enkeltsaker.

Fagdirektøren vurderer det heller ikke som realistisk å utvikle et desentralisert system for å sikre likebehandling på tvers av leger, spesialister og sykehus. RHF-enes samlede sørge-for-ansvar er ifølge fagdirektøren også et argument for å holde bruken av unntaksordningen på et lavt nivå.

Fagdirektøren påpeker at det er ønskelig at unntaksordningen brukes lite, og at mer bruk i stedet vil øke de regionale forskjellene. Det har heller aldri vært et mål å bygge opp en stor organisasjon med et omfattende regelverk. Fagdirektøren viser til at det i dag er enighet om at ordningens enkle prinsipper er så langt de ønsker å gå i styring av svært ulike, kliniske enkeltbeslutninger.

For enkeltpasienter påpeker fagdirektøren at beslutninger må fattes raskt, nær der pasienten er. Det at kliniske beslutninger om enkeltpasienter fattes i møtet mellom enkeltpasient og lege, gjør at man vil finne betydelig variasjon mellom leger, sykehus og regioner. Dette gjelder selv på områder hvor man har nasjonale faglige retningslinjer. Fagdirektøren peker på at å kartlegge denne variasjonen med *Helseatlas*²¹² er meget tids- og ressurskrevende, og ikke mulig å gjennomføre på en hensiktsmessig måte i dag.

Siden det ikke foreligger noen beslutning i Nye metoder, så må legemiddelet kjøpes inn til maksimalpris (listepriis), som ofte er vesentlig høyere enn den «rabatterte» og ofte hemmelige prisen som ligger til grunn for en ja-beslutning i Beslutningsforum.

Unntaksordningen har på tross av dens enkle regler og prinsipper over flere år vært omdiskutert, spesielt på enkeltpasientnivå. I flere oppslag i Dagens medisin i 2017 og

²¹² *Helseatlas* er et verktøy som er utviklet for å sammenlikne befolkningens bruk av helsetjenester, uavhengig av geografisk bosted og behandlingssted. RHFenes «sørge-for-ansvar» ligger til grunn for analyser av variasjon i bruk av helsetjenester.

Hentet 28. september 2021 fra: <https://helseatlas.no>

2018 ble det påpekt store regionale forskjeller i bruk av unntaksordningen.²¹³ Kliniske fagmiljøer ga i medieoppslagene uttrykk for at tallene dokumenterte de regionale forskjellene, og etterlyste klarere kriterier for unntak og mer lik forvaltning mellom sykehusene. De undret seg også over tregheten i saksbehandlingen, og ønsket mer åpenhet rundt og innsyn i prosessen.

I 2017 og 2018 hadde også VG flere oppslag om ordningen.²¹⁴ Også her var store forskjeller mellom sykehusene tema. Klinikere VG hadde snakket med mente kriteriene for ordningen var for vage, og stilte spørsmål ved om pasienter som burde fått en gitt behandling, ikke fikk det.

Medieoppslagene førte til at HOD 22. august 2017 i brev form ba RHF-ene sikre at unntaksordningen ble mer kjent, og sørge for lik praktisering i hele landet.²¹⁵ Fagdirektørene foretok i 2018 en gjennomgang av ordningen.²¹⁶ Gjennomgangen omtales kort i referat fra møte i Bestillerforum 28. januar 2019:²¹⁷

Kriteriene for unntak ble behandlet i interregionalt fagdirektørmøte 27. august 2018 (sak 100-2018) og stadfestet til Nasjonalt AD-møte 10. september 2018 (sak 080-2018). Det ble gjort en presisering og tydeliggjøring av kriteriene for unntak, samt en gjennomgang av praktisering av ordningen. Den reviderte utgaven av prosedyre for unntak er publisert på Nye metoders nettside.

Ytterligere dokumentasjon framkommer verken i referater fra Beslutningsforum og Bestillerforum, eller på nettsidene til Nye metoder. Fagdirektøren i Helse Vest har imidlertid på forespørsel gitt oss en oversikt over arbeidet som ble gjort. Oversikten viser at det i en tidligere versjon av nettsiden kun var et krav om at aktuelle pasienter skiller seg klart fra gjennomsnittet, når det gjelder det som er de vanlige konsekvenser i pasientgruppen for øvrig. Fagdirektøren påpeker at det var en utfordring å finne formuleringer som var rimelig enkle og dekkende, og at de på oppfordring til kritikere av formuleringene ba om innspill – uten å få slike innspill. Sekretariatet for Nye metoder

²¹³ *Store forskjeller i bruk av dyr unntaksmedisin.* Dagens medisin, 1. februar 2017. Hentet 19. september 2021 fra: <https://www.dagensmedisin.no/artikler/2017/02/01/store-forskjeller-i-bruk-av-dyr-unntaksmedisin/>.

Fortsatt store sprik i bruk av unntaksmedisin. Dagens medisin, 13. februar 2018. Hentet 19. september 2021 fra: <https://www.dagensmedisin.no/artikler/2018/02/13/fortsatt-store-sprink-i-bruk-av-unntaksmedisin/>.

-Urimelig at pasienter skal dø uten å ha prøvd denne behandlingen. Dagens medisin, 13. februar 2018. Hentet 23. september 2021 fra: <https://www.dagensmedisin.no/artikler/2018/02/13/-urimelig-at-pasienter-skal-do-uten-a-ha-provd-denne-behandlingen/>.

²¹⁴ *Nye medisiner: Kreftleger reagerer på forskjellsbehandling.* VG, 15. oktober 2017. Hentet 23. september 2021 fra: <https://www.vg.no/nyheter/innenriks/i/r0PQm/nye-medisiner-kreftleger-reagerer-paa-forskjellsbehandling>.

Store forskjeller i tilgangen på ny medisin – Terje (66) fikk nei på søknad om unntak. VG, 27. juli 2018. Hentet 23. september 2021 fra <https://www.vg.no/nyheter/innenriks/i/8wAJg1/store-forskjeller-i-tilgangen-paa-ny-medisin-terje-66-fikk-nei-paa-soeknad-om-unntak>.

Norske leger raser over ulik tilgang til ny medisin: - Fører til forskjellsbehandling. VG, 8. august 2018. Hentet 23. september 2021 fra <https://www.vg.no/forbruker/helse/i/4d8pJo/norske-leger-raser-over-ulik-tilgang-til-ny-medisin-foerer-til-forskjellsbehandling>.

²¹⁵ *Oppfølging og utvikling av system for Nye metoder.* Hentet 19. september 2021 fra: https://www.regjeringen.no/no/dokument/dep/hod/anbud-konsesjoner-og-brev/brev/utvalgte_brev/2017/oppfolging-og-utvikling-av-system-for-nye-metoder/id2568160/.

²¹⁶ *Varsler gjennomgang av unntaksordning.* Hentet 19. september 2021 fra: <https://helse-nord.no/nyheter/varsler-gjennomgang-av-unntaksordning>.

²¹⁷ *Nye metoder – Bestillerforum RHF – Årsoppsummering 2018.* Hentet 26. september 2021 fra: <https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20%28%20innkallinger%20og%20referater%29/Bestillerforum%20RHF%2028012019.%20Offentlige%20sakspapirer.pdf>

opplyser at revisjonen av unntaksbestemmelsen kun ble behandlet i fagdirektørmøtet og AD-møtet i RHF-ene, og ikke i Nye metoder.

Kliniske fagmiljøer og interesseorganisasjoner har i intervju og skriftlige innspill gitt uttrykk for at gjennomgangen i 2018 ikke var tilstrekkelig. Et poeng som trekkes frem, er at endringen i prosedyren ved unntak for enkeltpasienter faktisk har gjort det vanskeligere for klinikerne å søke unntak. FFO hevder at enkelte klinikere velger å ikke søke om unntak fordi de erfaringsmessig får mange avslag. Forventningen om avslag begrunnes dels med klinikernes egen tidsbruk, dels med å ikke gi pasienten falske forhåpninger om ny behandling.

Kreftforeningen har også erfaring med at klinikere ikke søker om unntak, fordi de erfarer at ordningen ikke fungerer. De hevder videre at ordningen ble strammet inn etter gjennomgangen i 2018, og at den nå er så snever at den sannsynligvis gjelder for de færreste. De etterlyser en mer åpen og tydelig unntaksordning, slik at klinikerne lettere kan vurdere om det er grunnlag for å søke unntak eller ikke.

Legeforeningen understreker i et innspill viktigheten av å vurdere hvordan prioriteringsbeslutninger på gruppenivå påvirker enkeltpasienters tilgang til metoder. De mener videre at det er viktig å vurdere om unntak på enkeltpasientnivå i tilstrekkelig grad ivaretar pasientenes udekkede medisinske behov, i situasjoner der gruppebeslutninger i Nye metoder hindrer behandlingstilgang. Legeforeningen ønsker økt klinikermedvirkning på gruppenivå, og en tydeliggjøring av klinikernes handlingsrom på enkeltpasientnivå.

Enkelte av innspillene vi har fått omhandler forslag til store endringer og utvidelse av unntaksordningen. Vi har også opplevd informanter som blander sammen ulike ordninger og forhold; for eksempel er det noen som oppfatter at pasienter som bruker legemidler som ble overført fra folketrygden, er omfattet av en unntaksordning. I et skriftlig innspill fremmer Kreftforeningen forslag om at unntaksordningen erstattes av et rammeverk, prinsipper eller retningslinjer som beskriver hvordan klinikere kan gå frem for å søke om å ta i bruk legemidler med markedsføringstillatelse, som ennå ikke er besluttet innført. De presiserer at de med dette mener at ordningen må inkludere metoder som har fått beslutning om å ikke innføres. Kreftforeningens begrunnelse for forslaget er at saker etter beslutning i Beslutningsforum sendes tilbake til Sykehusinnkjøp og industrien for videre forhandlinger om pris. Kreftforeningen argumenterer med at saken på denne måten ikke er avsluttet i systemet for Nye metoder.

Med dette følger Kreftforeningen opp en tidligere høringsuttalelse, hvor de påpekte at det er viktig at det åpnes for unntak, slik at behandling som ennå ikke er vedtatt innført kan brukes.²¹⁸ I høringsuttalelsen påpeker de at det er dokumentert at det gis få unntak, og at unntak ikke praktiseres likt for alle. Kreftforeningen sier videre at HOD har erkjent dette, ved at de ba helseforetakene om å innføre tiltak – blant annet for å sikre likebehandling.

Legeforeningen ønsker også store endringer i unntaksordningen. I skriftlig innspill og intervjuer forslår de et bredere og mer omfattende sett med unntaksbestemmelser enn vi finner i dagens ordning. Et slikt rammeverk vil ifølge Legeforeningen fungere som beslutningsstøtte for klinikere og ledere i helseforetakene, og dermed kunne forebygge ulikhet i behandlingstilbudet. De foreslår i tillegg til dagens ordning blant annet unntak for metoder som er faset ut eller ikke er innført, metoder som faller utenfor godkjent bruksområde («off-label»), og legemidler som ennå ikke har fått markedsføringstillatelse for noe bruksområde («compassionate use»). Når det gjelder *compassionate use*

²¹⁸ Høring – juridisk oppfølging av forslag i prioriteringsmeldingen og presiseringer av regelverket om helsehjelp i utlandet. Hentet 8. oktober 2021 fra <https://www.regjeringen.no/no/dokumenter/horing---juridisk-oppfolging-av-forslag-i-prioriteringsmeldingen-og-presiseringer-av-regelverket-om-helsehjelp-i-utlandet/id2604609/?uid=40a46558-2f9b-4445-998c-db293f4cc55d>.

ordningen, ble RHF-ene og legemiddelindustrien i 2021 enige om en standardavtale om kortvarig bruk.²¹⁹ Den nye standardavtalen skal normalt gjelde for legemidler som skal brukes inntil seks måneder.

Legeforeningen ønsker også økt bruk av klinisk kompetanse i de gruppebaserte beslutningene. Dette vil ifølge Legeforeningen kunne gi bedre beslutninger som ivaretar behandlingstilgang til viktige undergrupper av pasienter. Videre gir de uttrykk for at gode gruppebeslutninger vil kunne redusere behovet for bruk av unntaksordninger.

10.2.5 Diskusjon og konklusjon

Vi har hatt som premisse at unntaksordningen kun skal gjelde for metoder som ikke er ferdigbehandlet i Nye metoder. I evalueringen har ikke Proba fanget opp alvorlig misnøye med unntaksordningen på gruppenivå. Vi tilslutter oss fagdirektørens vurderingen om at det ikke er noe betenkelig i seg selv at unntaksordningen blir lite brukt.

På enkeltpasientnivå er det store forskjeller regionalt. Med utgangspunkt i de små og heterogene pasientgruppene, er ikke dette nødvendigvis betenkelig i seg selv. Ifølge fagdirektøren i Helse Vest snakker vi i praksis om enkeltpasienter når det gjelder unntak. Dessuten fattes som nevnt kliniske beslutninger om enkeltpasienter desentralisert i møte mellom enkeltpasient og lege, noe som også gi opphav til variasjon i bruk av unntaksordningen.

Fagdirektøren i Helse Vest har påpekt at det hele tiden har vært enighet mellom fagdirektørene om at det ikke skal bygges opp en stor og komplisert unntaksordning.

Pasientforeningene på sin side har vært kritiske til praktiseringen av unntaksordningen. De var også kritiske til arbeidet som ble gjort med å presisere og tydeliggjøre kriteriene for unntak som ble gjort av RHF-ene i 2018, og ønsker en mer grundig gjennomgang.

Med bakgrunn i de regionale forskjellene og pasientforeningenes kritikk av unntaksordningen, er vi usikre på om ordningen fungerer tilfredsstillende. Vi vurderer at det kan være behov for en mer grundig gjennomgang enn det som ble gjort i 2018. Vi foreslår at det gjøres en gjennomgang av noen saker, hvor de brytes ned på indikasjonsnivå. En slik gjennomgang vil kunne avdekke om ordningen praktiseres likeverdig eller ikke. Ut fra dette vil man også kunne se om det er behov for å «kalibrere» ordningen. Med dette mener vi at RHF-ene mer systematisk sammenlikner bruken av unntaksordningen mellom helseforetak og regioner. Man vil da kunne fange opp regionale forskjeller, lang saksbehandlingstid og liknende.

Vi anser at det må være opp til RHF-ene og HOD å avgjøre om det er behov for en gjennomgang og eventuelt kalibrering av unntaksordningen, og vurdere dette opp mot ressursene som ville kreves for dette.

Trolig vil saksmengden i Nye metoder øke de nærmeste årene. Dersom dette skulle medføre lange saksbehandlingstider i systemet, er det en viss risiko for at det vil kunne føre til økt behov for å ta i bruk unntak. Men allerede i dag er det et stort antall saker som venter på ferdigbehandling i systemet, uten at dette gir opphav til søknader om unntak i stort omfang.

Selv om unntaksordningen i Nye metoder oppleves som tilgjengelig og enkel isolert sett, blir det samlede bildet av «unntak» imidlertid mer komplekst hvis man tar i betraktning andre unntak og forhold, som *compassionate use*, *off-label*, godkjenningssfritak, overføring av finansieringsansvar, etc. Det er trolig utfordrende for både klinikere, enkeltpasienter og brukerorganisasjoner å «navigere» i dette farvannet. Både Legeforeningen og

²¹⁹ Nå er den nye CUP-avtalen klar: - En god avtale. Hentet 4. november 2021 fra <https://www.dagensmedisin.no/artikler/2021/10/19/na-er-cup-avtalen-klar/>

Kreftforeningen har gitt uttrykk for at de ønsker en bredere og mer omfattende unntaksordning. Etter vår vurdering dreier dette seg imidlertid mer om rett til forsvarlig helsehjelp og hvordan individuelle pasientrettigheter kan oppfylles, enn om unntaksordningen i Nye metoder som sådan. Det ligger derfor utenfor vårt oppdrag å vurdere dette nærmere.

10.3 Registeranalysen

10.3.1 Bakgrunn for studien

Norsk helsetjeneste skal gi alle innbyggere likeverdig behandling uavhengig av alder, kjønn, bosted mv. En nylig publisert undersøkelse basert på data fra Norsk pasientregister (NPR) tyder på at kjønn ikke har betydning for omfang og kostnader ved kreftbehandling (Bugge, Saether, m. fl., 2021). Dataene tyder imidlertid på at innbyggere i Helse Nord har noe lavere bruk av cellegift i livets slutfase (Bugge, Kaasa, m. fl., 2021).

10.3.2 Metode

For å undersøke spørsmålet om likeverdig tilgang til behandling (som inngår i evalueringstema 10) valgte vi ut 16 kreftbehandlinger godkjent av Beslutningsforum i perioden 2014–2020 (Tabell 10-2). Utgangspunktet for valg av behandlinger var oversikten over saker i Nye metoder og beskrivelse av de enkelte saker. Behandlingene ble valgt ut både med tanke på å få et tilstrekkelig stort pasientantall, og med tanke på at legemidlene skulle kunne identifiseres i Norsk pasientregister (NPR). Vi valgte behandlinger der diagnose–legemiddel-kombinasjonen var den først godkjente (i Beslutningsforum) for de aktuelle legemidler. Fire immunlegemidler for lungekreft ble også inkludert, slik at vi kunne tallfeste samlet bruk, fordi bruken av hvert legemiddel vil variere over tid i takt med fortløpende utfall av Sykehusinnkjøps legemiddelanbud.

Beslutningsforum godkjenner nye kreftbehandlinger etter *behandlingsindikasjon* ut fra legemiddel (ATC-kode), diagnose (ICD10-kode), histologi (hva slags type vev sykdommen utgår fra) og hvilken annen type behandling pasienten tidligere har fått. I noen tilfeller er også genetiske egenskaper ved svulstcellene et kriterium for behandlingsindikasjon. Bare ATC-kode og diagnose er registrert i NPR. Vi kunne derfor ikke velge diagnose–legemiddel-kombinasjoner på grunnlag av de indikasjoner som er godkjent av Beslutningsforum. For å omgå dette problemet valgte vi derfor, med ett unntak, legemidlet med den første godkjenning innenfor hver diagnose–legemiddel-kombinasjon. Unntaket var immunbehandling med PD1/PDL1-hemmere for lungekreft, fordi vi her ville undersøke den samlede bruken av immunbehandling for denne krefttypen.

NPR leverte data for pasienter som hadde fått de 16 diagnose–legemiddel-kombinasjonene som er vist i tabellen. Behandlingsepisoder ble tatt med til og med 30. april 2021. Legemiddelbehandling kan registreres i NPR som ATC-kode, nasjonal særkode, eller såkalt kur-ID. Alle disse kriteriene ble brukt for å ekstrahere data. Utlevering av kreftlegemidler direkte til pasienten på apotek skjer med såkalt H-resept, som registreres i et eget register i NPR. NPR koplete data fra sykehusregisteret og H-resept-registeret, pasient for pasient, slik at vi skulle kunne fange opp legemiddelbehandling enten den var registrert i NPRs sykehusregister eller H-reseptregisteret.

For de 16 valgte behandlingene leverte NPR data om hver enkelt pasient, deres alder og kjønn og bosted, og når behandlingen ble startet for den enkelte pasient. For å hindre mulighet for å identifisere den enkelte pasient, fikk vi informasjon om behandlingskvartal, men ikke behandlingsdato. På basis av informasjonen har vi, for hver av de 16 behandlingene, registrert i hvilket kvartal den enkelte pasient første gang fikk behandling. Vi beregnet antall nye pasienter på behandling per kvartal per 100 000 innbyggere i helseregionene. Regiontilhørighet ble basert på pasientenes bostedsfylke. Vi beregnet

behandlingsinsidens som antall nye pasienter på behandling per kvartal per 100 000 innbyggere. Når vi ikke brukte forekomst av de aktuelle kreftformer i nevneren, var årsaken at aktuelle data ikke er lett tilgjengelige.

Tabell 10-2. De 16 valgte diagnose–legemiddel-kombinasjoner

Panel	Kreftdiagnose	Legemiddel	Beslutning
A	Lungekreft	Alektinib	25.06.2018
Utelatt*	Melanom	Ipilimumab + nivolumab	09.06.2017
B	Lungekreft	Nivolumab	18.12.2017
C	Hode-/halskreft	Nivolumab	24.10.2016
D	Gynekologisk kreft	Olaparib	15.10.2015
E	Lungekreft	Pembrolizumab	24.04.2017
F	Brystkreft	Pertuzumab	16.03.2015
G	Melanom	Pembrolizumab	25.11.2015
H	Lungekreft	Atezolizumab	02.02.2018
I	Benmargskreft	Daratumumab	23.10.2017
J	Lungekreft	Durvalumab	21.10.2019
Utelatt*	Melanom	Nivolumab	09.06.2017
K	Prostatakreft	Kabazitaksel	21.08.2017
L	Nyrekreft	Kabozantinib	23.10.2017
M	Benmargskreft	Karfilzomib	21.08.2017
N	Gynekologisk kreft	Niraparib	25.05.2020

* To av diagnose–legemiddel-kombinasjonene er utelatt fra analysene grunnet mulighet for forveksling av datafilene

10.3.3 Forskningsspørsmålene

For hvert av de 16 diagnose–legemiddel-kombinasjonene stilte vi spørsmålene:

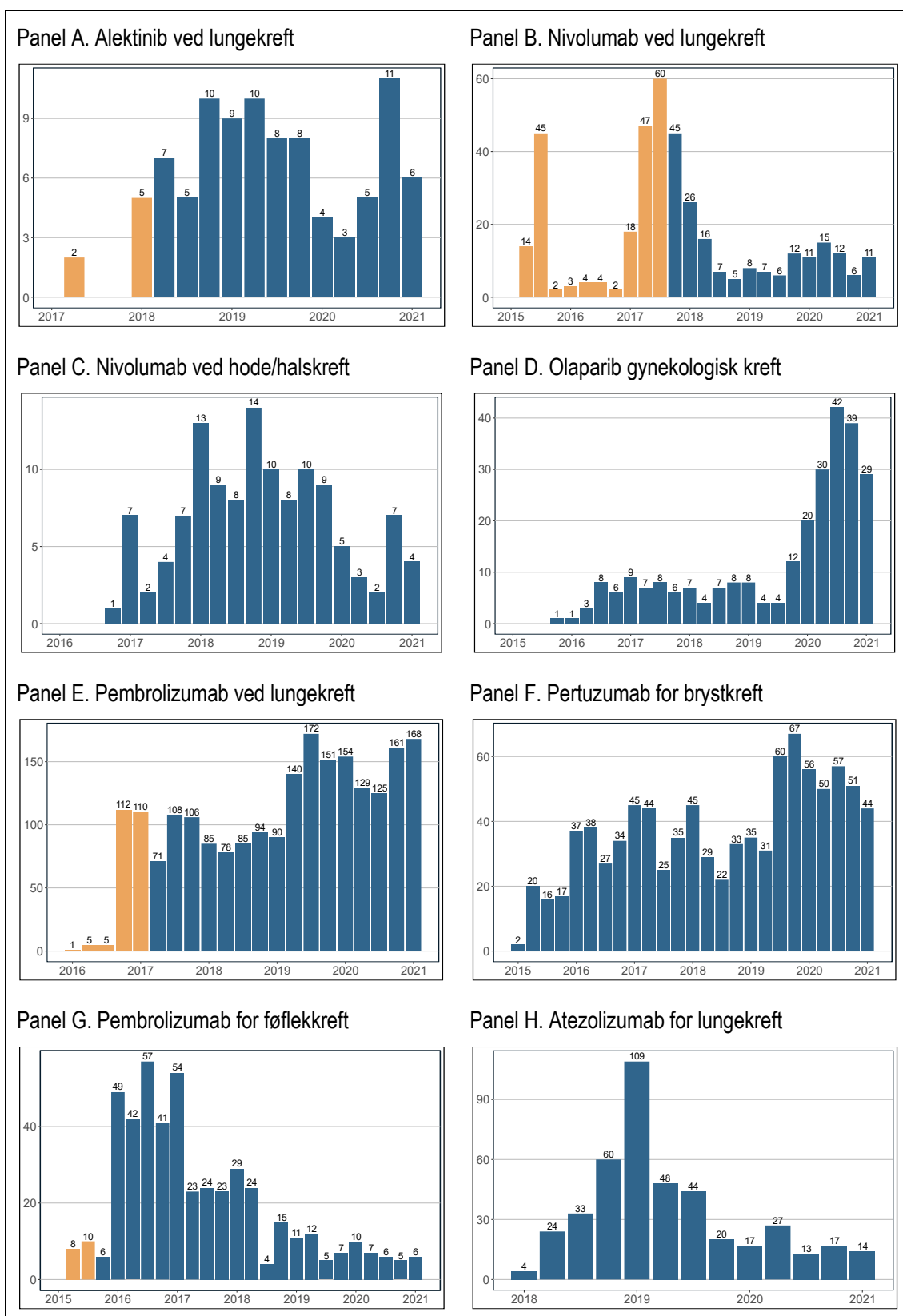
- 1) Hva er behandlingsinsidensen (antall nye pasienter på behandling per kvartal per 100.000 innbyggere) i tiden etter godkjenning i Beslutningsforum?
- 2) Er det variasjon i behandlingsinsidensen etter alder, kjønn eller pasientenes bostedsregion.

10.3.4 Resultater

De 16 datasettene for hver av de 16 diagnose–legemiddel-kombinasjonene omfattet totalt 8179 pasienter med til sammen 79 842 behandlingsepisoder (innleggelser, dagbehandlinger eller poliklinikkbesøk). Datasettene ble sjekket med hensyn til ICD10-koder og ATC-koder. To av datasettene gjaldt bruk av nivolumab ved føflekkreft, men det var usikkerhet med hensyn til hvilken av de to filene som gjaldt nivolumab alene, henholdsvis ipilimumab i kombinasjon med nivolumab. Begge datasettene hadde pasienter med dette legemiddelet, hvilket kan tyde på registreringsfeil i sykehusene. Disse datasettene blir derfor ikke presentert. I de øvrige datasett fant vi et lite antall

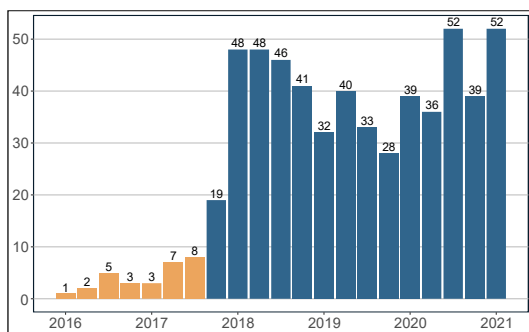
behandlingsepisoder med legemidler som ikke skulle ha vært med. Vi antar at disse gjelder feilkoding i sykehusene, og antallet er så lavt at det neppe får betydning for tolkning av resultatene.

Figur 10-1. Panel A–H.

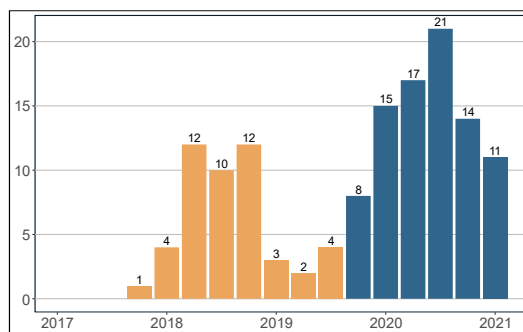


Figur 10-2. Panel I–O.

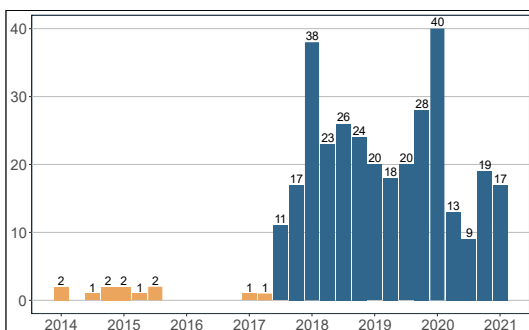
Panel I. Daratumab for benmargskreft



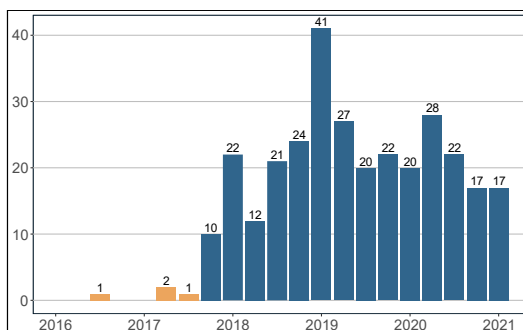
Panel J. Durvalumab for lungekreft



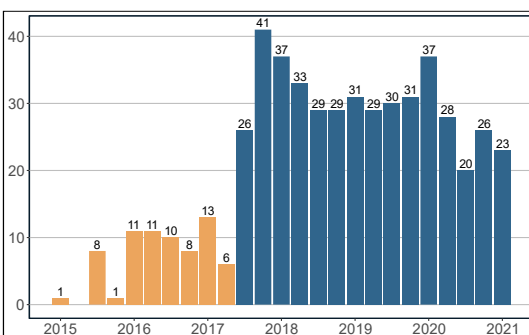
Panel K. Kabazitaksel for prostatakreft



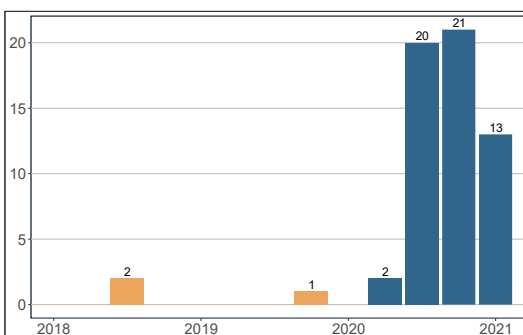
Panel L. Kabozantinib for nyrekreft



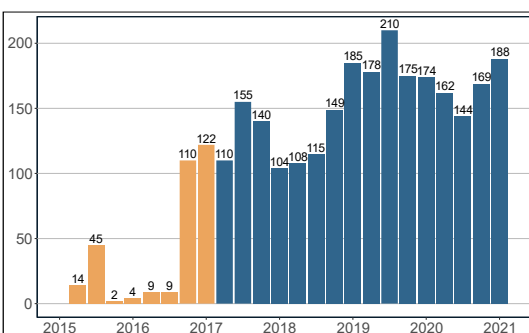
Panel M. Karfilzomib for benmargskreft



Panel N. Niraparib for gynekologisk kreft



Panel O. Atezolizumab, pembrolizumab, nivolumab for lungekreft



Panelene i Figur 10-1 og Figur 10-2 belyser spørsmål 1) ovenfor. I panelene A-N nedenfor vises antall nye pasienter på behandling for 14 diagnose- og legemiddelkombinasjoner for perioden 1. januar 2014 til og med 30. april 2021. De gule stolpene viser antall pasienter før godkjenning i Beslutningsforum. I panelene uten gule stolper har det ikke vært registrert bruk i forkant av beslutning i Beslutningsforum. Panel O viser samlet for panelene B, E og H antall pasienter på PD1/PDL1-hemmerne atezolizumab, nivolumab og pembrolizumab for lungekreft.

Når vi finner behandling før godkjenning i Beslutningsforum, kan det skyldes feilregistrering av legemiddel eller diagnose i NPR, at pasientene har vært i et *compassionate use*-program, at pasientene har fått unntak etter unntaksordningen, eller at legene har startet behandling uten formell godkjenning. Vi vet konkret at durvalumab og nivolumab for lungekreft var med i *compassionate use*-program, men trolig gjelder det også flere behandlinger.

Det kan være flere grunner til at antall nye pasienter stiger over tid, se for eksempel panel D. Den vanligste årsaken er trolig at legemiddelet først blir godkjent for én indikasjon, og senere for andre indikasjoner, for eksempel andre genetiske typer, ved samme kreftsykdom. Jo lengre et legemiddel har vært i bruk, jo bedre blir kunnskapsgrunnlaget for behandling. Bedre kunnskapsgrunnlag kan øke bruken dersom behandlingseffekten viser seg å være bedre enn først antatt. Noen legemidler er godkjent for spesielle genetiske eller molekylærbiologiske krefttyper. Økt bruk av genetiske eller molekylærbiologiske tester vil da kunne øke legemiddelbruken dersom testkapasiteten initialt har vært begrenset. For noen behandlinger synker antall pasienter over tid, se for eksempel panel B. Slike fall kan skyldes at det kommer nye og bedre behandlinger, eller at et legemiddel rangeres lavere i etterkant av et tilbud der det er flere likeverdige legemidler. I noen tilfeller synker bruken fordi behandlingseffekten er mindre enn først antatt eller fordi bivirkningene er større.

I panelene A, E, F, G, I, K, L, M og N øker legemiddelbruken relativt raskt etter godkjenning i Beslutningsforum. I de øvrige panelene er bildet mer blandet.

Vi analyserte også regional variasjon i de 14 kreftbehandlingene, men her viste dataene et markert og uforklarlig fall for lungekreft i Helse Nord for perioden 2019–2021. Vi antar at dette skyldes feil i NPRs data eller dataekstraksjon, og vi har derfor valgt å ikke gjengi resultatene fra den regionale analysen. Da NPR-dataene ble levert så sent som 5. oktober 2021, var det dessverre ikke tid til å utføre analyser etter alder og kjønn.

10.3.5 Styrker og svakheter ved undersøkelsen

Resultatene må tolkes i lys av metodens styrker og svakheter. Styrken ligger først og fremst i at de er basert på nasjonale data for en relativt lang tidsperiode. Metoden har imidlertid en lang rekke svakheter. NPR inneholder ikke informasjon om kreftstadium eller behandlingsindikasjon. Da vi ikke har tilgang til NPR-databasen, har vi ikke hatt mulighet til å kontrollere om pasienter eller behandlingsepisoder er utelatt. Når Helse Nord hadde et uforklarlig fall i lungekreftbehandlingen fra 2019, må det bety at noen data har falt ut. Da vi ikke fikk informasjon om kur-ID eller særkode i datasettene, kom relativt mange behandlingsepisoder uten legemiddelinformasjon, men vi må anta at datautleveringen har vært korrekt på dette punkt. For to datasett kunne vi ikke med sikkerhet identifisere kriteriene dataekstraksjonen var basert på, fordi NPR brukte en annen rekkefølge på datafilene enn vi hadde i bestillingen, og fordi vi fant to legemidler og ikke ett i datasettene. Som ventet fant vi et lite antall legemidler utenom hva vi hadde bestilt. Vi antar at dette beror på feilkoding i sykehusene. Omfanget av feilkoding i materialet kan vi ikke si noe sikkert om, men for den påviste feilkodingen er antallet lavt og vil ikke true konklusjonen.

10.3.6 Konklusjon

Undersøkelsen tyder på at kreftbehandlingene som regel blir raskt innført i sykehusene etter at de blir godkjent av Beslutningsforum. Resultatene må imidlertid tolkes med stor varsomhet da vi vet at datasettene ikke er komplette.

Denne undersøkelsen ga også noen viktige erfaringer i bruk av registerdata. Det tok svært lang tid å få utlevert dataene. Det viste seg også at det var kun et fåtall diagnose–legemiddel-kombinasjoner som egnet seg for å belyse spørsmål om implementering, og det var ikke forsvarlig å bruke datamaterialet til å belyse spørsmålet om regionale forskjeller. Dette viser at administrative data, som NPR, er lite egnet til monitorering av høyspesialiserte tjenester av den typen som inngår i denne undersøkelsen. For å få tilstrekkelig komplett og detaljeringsgrad må det trolig etableres spesialregistre for formålet.

11 Er Nye metoder rustet for framtida?

11.1 Framtidens utfordringer – i et nøtteskall

I kapittel 2 redegjorde vi for noen viktige utfordringer for beslutningssystemet som i noen grad er til stede allerede, og som vil melde seg med stadig større tyngde i løpet av de nærmeste årene. Vi gjentar oppsummeringspunktene her:

- Legemiddelkostnadene er økende og må ventes å øke ytterligere i de nærmeste årene.
- Det kan ventes en økende saksmengde i Nye metoder de nærmeste årene.
- Både innenfor persontilpasset medisin og sjeldne sykdommer kommer det stadig flere metoder der dokumentasjonsgrunnlaget er preget av stor usikkerhet.
- Stadig flere legemidler får flere godkjente indikasjoner. Dette gjelder tumoragnostisk behandling, men også mange andre kreftlegemidler. Dels bidrar dette til økende saksmengde. Og dels oppstår en motsetning mellom leverandørene som på den ene siden vil ønske indikasjonsspesifikke priser, og RHF-ene som på den andre siden vil foretrekke én pris for alle indikasjoner.
- Persontilpasset medisin – herunder tumoragnostisk behandling – innebærer at et legemiddel eller en legemiddelbasert metode brukes sammen med en diagnostisk metode. Det kan være vanskelig å bestemme hvor mye av den samlede helsenytten som kan tilskrives diagnostikk og behandling.
- En liknende utfordring melder seg ved kombinasjonsbehandling, hvor det ofte er flere leverandører involvert i hver kombinasjon.
- Beslutningssystemene – og særlig metodevurderingene – er ikke i tilstrekkelig grad tilpasset særegenhetene ved medisinsk utstyr.
- Leverandørene tilbyr i stadig større grad alternative prisavtaler – ofte resultatbaserte – for å oppnå risikodeling i saker med usikkert dokumentasjonsgrunnlag.
- Resultatbaserte avtaler forutsetter bruk av informasjon om behandlingsutfall i klinisk praksis, ofte omtalt som «Real World Evidence». Dette forutsetter at helsetjenesten har systemer og kapasitet til å registrere og tilgjengeliggjøre slik informasjon.

I de følgende punktene drøfter vi hvordan systemet for Nye metoder er rustet til å håndtere disse utfordringene – dels i lys av hvordan systemet er «rigget» i dag, og dels ut fra dets evne til utvikling og fornyelse.

Et samlet inntrykk fra intervjuer med og innspill fra systemaktører er at man anser at man har tilstrekkelig kunnskap om hvilke utfordringer systemet vil bli stilt overfor i overskuelig framtid, og at man har evne til å løse dem fortløpende etter hvert som de måtte materialisere seg. Det råder ingen krisestemning, om man kan si det på den måten.

Et viktig funn i vår evaluering er at om man ser dokumentasjon, innspill og intervjuer under ett, så er det et godt stykke på vei en omforent forståelse av utfordringsbildet systemaktørene imellom og mellom systemaktørene og eksterne interessenter, selv om det er nyanseforskjeller i oppfatningene. De ulike interessentene ga heller ikke uttrykk for at systemet står overfor u håndterlige problemer. Men noen sterke bekymringer ble likevel formidlet.

Melanor mener som tidligere nevnt at dagens system ikke er rigget for utfordringene knyttet til ny medisinsk utstyr og digitalisering. I følge LMI er en av hovedutfordringene med dagens system er at det ikke er rigget for å håndtere nye innovative behandlingsmetoder i form av for eksempel mer utstrakt bruk av nye pris- og betalingsløsninger framfor flate rabatter.

Legeforeningen uttrykker bekymring om at Nye metoder står overfor er knyttet til at persontilpasset medisin utfordrer «gruppetenkningen» i de tradisjonelle metodevurderingene og de tilhørende beslutningene, og at «gruppe»-beslutningene blir for «grovmaskede». Det er behov for å videreutvikle Nye metoder slik at systemet også kan ta beslutninger som ivaretar behovet for undergrupper og/eller små pasientgrupper.

Kreftforeningen påpeker at kombinasjonsbehandlinger og produkter med flere indikasjoner kan ha varierende effekt. Utfordringen er å finne prisløsninger i forhandlinger med industrien. En av FFOs bekymringer er knyttet til at systemet virker lite egnet til å belyse sjeldne diagnoser på grunn av mangelfulle pasient- og kvalitetsregistre.

Og ikke minst er det uenigheter om hvordan utfordringer skal møtes og hvordan problemer bør løses. Det er også høy grad av samsvar mellom aktørenes og interessentenes problemforståelse og det utfordringsbildet som tegnes i den internasjonale forskningslitteraturen.

Spørsmålet om systemet for Nye metoder er rustet til å møte framtidens utfordringer bør besvares både ut fra hva som er *status quo*, og ut fra i hvilken grad systemet har evne til fornying og utvikling. Begge deler belyses fortløpende i de følgende punktene.

11.2 Hvordan er dagens system rustet for framtida?

11.2.1 Økende legemiddelkostnader

Økende legemiddelkostnader, og særlig svært høye priser på en del nye legemidler, er en utfordring for både spesialisthelsetjenesten som sådan og for nasjonale helsemyndigheter. For Nye metoder er utfordringen etter vårt syn å minimere omfanget av nei-beslutninger slik at man ikke bidrar til å berede grunnen for et «todelt» helsevesen, samtidig som man bidrar til å oppnå målsetningene om rask og likeverdig tilgang til trygge og virkningsfulle behandlingsmetoder og lave legemiddelpriser.

I punkt 6.1.7 drøftet vi Nye metoders rolle som «prisfastsettelsessystem», og det synes klart at systemet har tilstrekkelig fokus på utfordringen med høye priser på mange nye legemidler. Tallmaterialet i Viktigere i denne sammenhengen er at kostnadene til legemidler er økende, og uten tegn til utflating. Man har de senere årene fått introdusert en del legemidler med svært høy legemiddelkostnad per pasient. Dette gjelder blant annet introduksjon av potensielt kurative behandlinger for langvarige og alvorlige sykdommer (CAR-T, genterapi mv.) der produsentene setter svært høye priser. Mange mener at dette vil forsterkes i årene som kommer. I EUs *Pharmaceutical Strategy for Europe* heter det for eksempel:

The affordability of medicines has implications for both public and household finances. It poses a growing challenge for the majority of Member States. The business model has moved from selling blockbusters to marketing 'niche-busters'. Often, new products are priced even higher, with growing uncertainty as to their real-life effectiveness and related overall costs. This puts the budgetary sustainability of health systems at risk, and reduces the possibilities for patients to have access to these medicines. (EU, 2020)

Figur 2-3 på side 37 kan tyde på at man i Norge har et relativt effektivt forhandlings- og anskaffelsessystem for legemidler, og det later til å være en «gjengs oppfatning» at Norge er gode på å «presse priser», men det tilligger ikke vårt evalueringsoppdrag å vurdere dette.

Dessverre later det til at situasjonen med at saker må til opp stadig nye beslutninger inntil prisen er «titrert» ned til et nivå der metoden kan anses som kostnadseffektiv, vil vedvare. Større grad av transparens, slik vi har anbefalt i kapittel 8, vil forhåpentligvis bidra til større grad av aksept for nei-beslutninger blant ulike interessenter og i befolkningen.

11.2.2 Økende saksmengde

Både Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet opplyser at metodevurderingskapasiteten er en utfordring. I punkt 6.3.6 konkluderte vi med at de to virksomhetene later til å bruke lengre tid på metodevurderinger enn det man gjør i sammenlikningslandene, men at også ventetid på dokumentasjon utgjør en stor del av samlet behandlingstid for hurtige metodevurderinger.

Både Statens legemiddelverk og Folkehelseinstituttet har i løpet av de siste årene utviklet nye og differensierte produktporteføljer, det vil si standardiserte formater for metodevurderinger. Standardformatet er hurtige metodevurderinger, men det er totalt fire ulike «løp» for metodevurderinger. Folkehelseinstituttet har i tillegg sine fullstendige metodevurderinger (jf. punkt 7.1.2). Dette utviklingsarbeidet har vært viktig for å redusere ressursbehovet i saker hvor man anser at hurtige metodevurderinger ikke er nødvendig for å ha et tilfredsstillende kunnskapsgrunnlag for å ta en beslutning. Folkehelseinstituttets porteføljeutvikling inngår i en «Utviklingsplan for metodevurdering (HTA) i Folkehelseinstituttet» fra 2018 (FHI, 2018b).

Vi antar at det fortsatt er et utnyttet potensiale i å optimalisere ressursene ytterligere i forbindelse med metodevurderinger, herunder om det er metodevurderinger som ikke trenger å bli bestilt, eller om man i større utstrekning kan velge forenklede løp framfor hurtige metodevurderinger. Siden det er uvisst hvor mye saksmengden kommer til å øke, er det ikke mulig å vurdere noe nærmere om systemet er godt nok rustet i så måte.

11.2.3 Håndtering av medisinsk utstyr

På spørsmålet om systemet er rustet for framtidens utfordringer innen medisinsk utstyr er det særlig to forhold vi vil framheve. For det første har vi beskrevet at det fortøner seg som tilfeldig hvilke medisinsk utstyr som blir gjenstand for vurdering i Nye metoder, og at ansvaret for utvelgelse av metoder trolig hviler for tungt på fagmiljøene. Det forventes selvsagt ikke at utviklingstakten innen medisinsk utstyr vil reduseres i fremtiden. En styrking av utvalgsprosessen vil derfor gjøre systemet bedre rustet for fremtiden. Dette kan handle om organisering av ressurser for overvåkning av nye teknologier (horizon scanning), samt revurdere eksisterende metoder med tanke på mulig utfasing, som dermed legger til rette for systematikk og rimelighet i utvalg av metoder.

Et nytt prosjekt på dette feltet er initiert. På møtet i Bestillerforum 8. januar 2021 ble det besluttet å starte et overordnet prosjekt som skal resultere i gode kriterier for hvilke

metoder, andre enn legemidler, som skal prioriteres for vurdering i Nye metoder på nasjonalt og lokalt nivå.²²⁰

Det andre forholdet gjelder den «lineære modellen» for arbeidet i Nye metoder, som forutsetter at man kan starte med en velavgrenset og klart definert teknologi og avslutter med en beslutning om implementering som har gyldighet i «overskuelig fremtid». Denne modellen fungerer ikke godt for medisinsk utstyr, som er i mange tilfeller er i kontinuerlig utvikling. For å få til gode vurderinger av slike metoder kreves mer fleksibilitet i metodisk tilnærming, for eksempel ved bruk av Real World Evidence (Fleurence og Shuren, 2019), og i arbeidsprosessen, for eksempel ved bruk av oppfølgingsstudier etter implementering – såkalt *post-market surveillance*.²²¹

Som det fremgår av land-analysen (kapittel 3) skiller Norge seg ut ved ikke å ha et separat organ for vurderinger og beslutninger for medisinsk utstyr. Slike organ er etablert i Sverige (*Medicintekniska produktrådet*) i 2020, i Danmark (Behandlingsrådet) i 2021 og i Skottland (se vedlegg 1). Det er grunn til å spørre om et separat organ vil kunne gjøre Norge bedre rustet til å håndtere de overstående – og kanskje også andre – framtidige utfordringer ved vurderinger og beslutninger for medisinsk utstyr. I og med at beslutningsmakten i Nye metoder er fastlagt av Stortinget, ligger det utenfor vårt oppdrag å gå nærmere inn på dette.

11.2.4 Prisavtaler

«Alternative prisavtaler» er et uttrykk som brukes i noen grad i Norge, men internasjonalt bruker man som regel betegnelsen Managed Entry Agreements (MEA), som på norsk gjerne kan kalles *prisavtaler*. Hvilke avtaler som er «alternative» er relativt til hva som i en gitt sammenheng er å betrakte som «tradisjonelt». En prisavtale er i korthet en avtale mellom leverandøren og betaleren for å gjøre en behandling tilgjengelig under bestemte, avtalte vilkår, og omfatter et stort spekter av avtaletyper – fra «tradisjonelle», «flate» rabattavtaler til kompliserte resultatbaserte avtaler.

En OECD-rapport fra 2019 samler litteraturen om resultatbaserte avtaler og kartlegger en undersøkelse blant medlemslandene om deres bruk av resultatbaserte avtaler (OECD, 2019). Informasjon om resultatbaserte avtaler var tilgjengelig i 14 land, og England og Italia var landene med flest avtaler. Flere avtaler var innen kreftområdet. Avtalene var hovedsakelig basert på data fra helseregistre og helseforsikringssystemer, men noen land, som Italia, har opprettet spesielle registre for å håndtere resultatbaserte avtaler.

Rapporten konkluderer blant annet slik:

It is difficult to assess to what extent performance-based MEAs²²² have so far been successful. Few countries have formally evaluated their experience. Confidentiality of agreements continues to be a barrier to independent evaluation and little evidence is public. However, information available from expert interviews and from prior studies indicates that CED agreements have so far had a poor track record of reducing uncertainty around the performance of medicines. (OECD, 2019)

Rapporten anbefaler likevel fire prinsipper for beste praksis for prisavtaler: 1) Prisavtaler bør brukes strategisk, 2) usikkerhet må identifiseres, og hver avtale bør tilpasses de

²²⁰ Hentet 12. november 2021 fra https://nyemetoder.no/Documents/Bestillerforum%20RHF%20-%20%28%20innkallinger%20og%20referater%29/Protokoll_Heldagsm%c3%b8te%20i%20Bestillerforum%20RHF_080121.pdf.

²²¹ Regulation (EU) 2017/745 of the European parliament and of the council of 5 April 2017 on medical devices. Official Journal of the European Union, 5. april 2017. Hentet 5. oktober 2021 fra: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/PDF/?uri=CELEX:32017R0745>

²²² MEA: Managed Entry Agreement; alternativ prisavtale.

konkrete usikkerhetsforholdene, 3) det bør utformes og implementeres et rammeverk, og 4) rammeverket og avtalene bør være transparente.

Sykehusinnkjøp utarbeidet det saksforberedende notatet i forkant av Beslutningsforums godkjenning av rammeverket for prisavtaler (Sykehusinnkjøp, 2020b). Notatet bygger i høy grad på OECD-rapportens kunnskapsgrunnlag og anbefalinger.

Ulike typer prisavtaler

Betalingsmodeller deles vanligvis in i to kategorier: Resultatbaserte modeller og ikke-resultatbaserte (finansielle) modeller (OECD, 2019), se Tabell 11-1 og Tabell 11-2.

De ikke-resultatbaserte betalingsmodellene kan ha forskjellige formål, blant annet å håndtere den finansielle usikkerheten om budsjetteffektene til betaleren. En betalingsmodell reduserer risikoen for at de totale kostnadene for pasientpopulasjonen blir større enn forventet, og gjør kostnadene for betaleren håndterbare og forutsigbare innenfor budsjettet. Slike modeller krever vanligvis ingen ytterligere datainnsamling eller -analyse, og kan implementeres både på pasientnivå og på populasjons- eller kohortnivå.

Tabell 11-1. Ikke-resultatbaserte (finansielle) prisavtaler.

Konfidensielle rabatter	Den forhandlede konfidensielle prisen skiller seg fra de offentlige listeprisene, og er enten i form av en forhåndsrabatt eller en rabatt i etterkant.
Volum- eller utgiftstak på pasientnivå (expenditure cap)	En grense for behandling på pasientnivå (antall produkter, dosering eller varighet) eller utgiftstak er avtalt, men uten begrensinger i levert kvantitet (firmaet leverer resterende gratis).
Rabatterert behandlingsstart (discounted treatment initiation)	Produsenten tilbyr innledende behandlingssenheter gratis opptil et avtalt nivå for hver pasient som behandles, hvorefter ytterligere enheter kjøpes til avtalt pris.
Utgiftstak på populasjonsnivå (expenditure cap)	Et samlet utgiftstak for alle pasienter eller et definert antall pasienter som behandles, er avtalt, og produsenten tilbyr produkter som overstiger taket gratis.
Pris-volumavtale	Enhetskostnadene reduseres etter at et avtalt nivå av kjøpt volum er nådd

Kilde: OECD (2019).

En avtalestype som ikke nevnes i OECD-rapporten, men som kan oppfattes som en variant av en pris-volum-avtale, er en abonnementsordning (noen ganger kalt en Netflix-modell), hvor man betaler en årlig avgift for et ubegrenset volum. Blant annet Australia og delstaten Louisiana i USA har anvendt dette for hepatitt C-behandlinger (Moon og Erickson, 2019). I Sverige pågår for tiden en pilot med garantert årlig kompensasjon for antibiotika basert på hva det ville ha kostet staten å opprettholde et tilstrekkelig lager av antibiotika. Hensikten er å sikre tilgang til antibiotika, men ikke å skape insentiver for å utvikle nye antibiotika (Persson m. fl., 2021). Den årlige avgiften er ikke knyttet til verdien behandlingen gir, siden volumet er ubegrenset, men kan likevel være basert på en beregning av volum og forventet nytte, og i ettertid kan det være mulig å beregne om avtalen har vært kostnadseffektiv.

De ikke-resultatbaserte betalingsavtalene – de såkalt «flate» rabattene som i hovedsak brukes i Nye metoder – er vanligvis konfidensielle for å gjøre det mulig for leverandøren

å redusere prisen uten å påvirke listeprisen som brukes i de ulike landenes referanseprissystemer (Persson og Jönsson, 2016).

I resultatbaserte avtaler er formålet å håndtere usikkerhet ved introduksjon av en ny behandlingsmetode ved å gjøre betalingen betinget av å vise effektivitet i klinisk praksis. Hensikten er at risikoen knyttet til usikkerheten om behandlingens kostnadseffektivitet fordeles mellom leverandøren og betaleren, for eksempel ved at betalingen reduseres hvis effekten hos enkeltpasienter, eller hvis andelen pasienter som responderer på behandlingen, er lavere enn forventet. Tabell 11-1 og Tabell 11-2 viser noen utvalgte eksempler på resultatbaserte avtaler fra OECD-rapporten.

Tabell 11-2. Eksempler på resultatbaserte prisavtaler.

Kompensasjon knyttet til bevisdokumentasjon på pasientnivå (Coverage with evidence development, CED)	Behandlingen dekkes midlertidig av betaleren bare for pasienter som godtar å melde seg på en studie som evaluerer behandlingen. Basert på studieresultatene forlenges eller trekkes kompensasjonen tilbake eller så justeres prisene
Betaling ut fra resultat på pasientnivå (Payment-by-result, PbR)	Betaling skjer bare hvis pasienten når et forhåndsbestemt og avtalt mål. Betalere kan holde tilbake betaling (helt eller delvis) eller motta refusjon for pasienter som ikke responderer på behandling, eller de mottar gratis tilleggsprodukter for å behandle påfølgende pasienter.
Betinget behandling og betaling (Conditional treatment continuation, CTC)	Behandlingen fortsetter bare for pasienter som oppnår en forhåndsbestemt respons på behandlingen. Produsenten tilbyr produkter gratis eller med rabatt for pasienter som ikke oppnår det avtalte resultatmålet.
Kompensasjon knyttet til bevisdokumentasjon på populasjonsnivå (Coverage with evidence development, CED)	Behandlingen dekkes midlertidig av betaleren for alle behandlingsberettigede pasienter mens en studie evaluerer behandlingens utførelse. Basert på resultatene av studien opprettholdes, trekkes eller forlenges dekningen, eller prisene justeres.
Betaling ut fra resultat på populasjonsnivå (Payment-by-result, PbR)	Betaling til firmaet for behandlinger er betinget av oppnåelse av et avtalt resultat i den behandlede befolkningen. Betalere kan tilbakeholde betalingen helt eller delvis til resultatet er oppnådd, motta full eller delvis refusjon hvis resultatet ikke oppnås, eller motta gratis tilleggsprodukter.

Kilde: OECD (2019).

Nye metoders nye modell for midlertidig innføring (se nedenfor) er et eksempel på «Kompensasjon knyttet til bevisdokumentasjon på populasjonsnivå» i tabellen. Etter vårt syn har Nye metoder med god grunn vært skeptiske til resultatbaserte betalingsmodeller på pasientnivå. OECD-rapporten trekker følgende generelle lærdommer – riktignok på noe mangelfull evidens – om resultatbaserte avtaler:

- Significant administrative burden and costs for providers, firms or payers involved in executing the agreement and collecting and/or analysing data.
- Difficulties for payers in reducing prices, recouping payments already made to firms or de-listing treatments from coverage if the data analysed under MEAs show that the treatment is less effective than expected.
- Difficulties in obtaining data that are informative about relevant health outcomes and, particularly for oncology treatments, identifying easily-measured and validated surrogate endpoints or biomarkers.

- Uncertainty for firms as to the financial returns from the additional research, and the potential impact that the new evidence could have on future prices or revenues, can create disincentives for additional data collection once an agreement has been put in place or when conditional coverage has been granted.

Andre problemer med resultatbaserte avtaler er at de kan skape insentiver for legene til å behandle flere pasienter enn nødvendig fordi det ikke er nødvendig å betale pasienter uten effekt. Det kan også tenkes at klinikerne der de er i tvil om effekt, angir manglende effekt for å spare penger. Det kan også skape insentiver for leverandører å sette en ekstra høy startpris for å ta hensyn til forventet redusert inntekt hvis behandlingen ikke virker. Tilbaketrekking av en behandling som ikke virker, kan også oppfattes som kontroversiell og føre til protester blant pasientene.

Leverandørene ønsker å kunne prisdiskriminere på tvers av markeder. Resultatbaserte modeller er en effektiv metode for å tilsløre priser, slik at prisdiskriminering blir lettere. Mot dette kan det dog hevdes at rabatterte priser er hemmelige uansett.

Flere land er i fred med å ta i bruk resultatbaserte prisavtaler, og erfaringer fra disse vil trolig være av stor verdi i implementering av slike avtaler i Nye metoder (Jørgensen m. fl., 2020; Jørgensen og Kefalas, 2021)

Rammeverket for alternative prisavtaler i Nye metoder

I juni 2020 besluttet Beslutningsforum å etablere et rammeverk for unntaksvis bruk av alternative prisavtaler. Innkjøpsavtaler skal likevel som hovedregel baseres på flat rabatt.²²³ Her fastslås en rekke betingelser som må være oppfylt for å inngå alternative avtaler, blant annet knyttet til enkelhet, transparens, framtidig evaluering og samsvar med prioriteringskriteriene. Om usikkerhet heter det at:

Avtaleform og -struktur skal ikke være beheftet med stor usikkerhet rundt faktisk pris og/eller budsjettkonsekvens. Legemiddelselskapene må kunne sannsynliggjøre risikoen som er knyttet til avtalen. Variablene må være objektive og basere seg på et tilstrekkelig dokumentasjonsgrunnlag.

Rammeverket gjelder både enkle avtaleforslag, slik som pris-volum-modeller, og mer kompliserte modeller. Avtaler som kan være mer kompliserte å håndtere, for eksempel detaljregistrering av behandling eller etablering av start- og stoppkriterier for behandling må forhåndsgodkjennes av Beslutningsforum for nye metoder før Sykehusinnkjøp kan igangsette forhandlinger.

Sykehusinnkjøp har utarbeidet en mal for innsending av opplysninger for vurdering av forslag til alternative prisavtaler. Det skal begrunnes hvorfor en avtale med flat rabatt ikke kan brukes, det skal forklares hvilke utfordringer eller usikkerhetsforhold avtalen er ment å håndtere, og det skal redegjøres for hvordan den skal kunne operasjonaliseres, for eksempel hvordan data skal samles inn til en utfallsbasert avtale.

Rapport om midlertidig innføring

I juni 2021 forelå sluttrapporten i et utviklingsprosjekt om midlertidig innføring og revurdering av metoder i Nye metoder (RHF, 2021). Her fastslås det at:

Etter etableringen av rammeverket i juni 2020 og fram til februar 2021 er det mottatt et titalls forslag til avtaler, hvor brorparten er såkalte pris-volum-avtaler. Erfaringen er at rammeverket har bidratt til forutsigbare og tydelige rammer for dialog rundt denne type

²²³ Møte i Beslutningsforum 22. juni 2020. Saksdokumenter, hentet 5. oktober 2021 fra <https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/Saksdokumenter%20Beslutningsforum%20for%20nye%20metoder%2022.06.2020.pdf>, s. 13. Protokoll, hentet 5. oktober 2021 fra <https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/Protokoll%20Beslutningsforum%2022JUNI2020.pdf>.

avtaler og større grad av struktur i innspillene fra leverandørene og vurderingene fra Sykehusinnkjøp.

Videre slås det fast at midlertidig innføring skal benyttes unntaksvis, og følgende betingelser må være oppfylt i hver enkelt sak:

- Legemiddelfirma (MT-holder) må sannsynliggjøre at tilfredsstillende data som er relevante for en kostnad-nytte vurdering kan leveres innen en klart definert tidsperiode, for eksempel innen tre år.
- Legemiddelfirma (MT-holder) må, allerede under metodevurderingen, presentere en konkret plan som viser hvilke data som vil bli tilgjengelig når, samt hvordan disse er tenkt brukt i en kostnad-nytte vurdering. Legemiddelfirma har dokumentasjonsplikten.
- Legemiddelfirma (MT-holder) må dekke kostnader og ressursbruk som er nødvendig for å samle inn relevante data.
- Klinikere involveres i vurderinger av hvilke fremtidige data som vil være relevante å framskaffe.
- Som beslutningsgrunnlag for midlertidig innføring bør Statens legemiddelverk minimum presentere de data som foreligger på MT-tidspunktet, samt en vurdering av den planen firma har levert for en framtidig kostnad-nytte vurdering.
- Også for tidsperioden for avtale om midlertidig innføring må det sannsynliggjøres at prioriteringskriteriene er oppfylt.
- Ved en midlertidig innføring må det være mulighet for å reversere beslutningen, og fase ut behandlingen, det vil si ikke lenger kunne tilby tiltaket, evt. for deler av pasientgruppen, dersom det viser seg ikke å oppfylle prioriteringskriteriene. Avtalen må inneholde en exit-plan.

Rapporten gir en grundig gjennomgang og drøfting av brukermedvirkning, klinikerinvolvering og aktuelle datakilder for «Real World Data» (RWD) til bruk i slike saker. Avslutningsvis konkluderes det med at det må arbeides videre med operasjonalisering av kriteriene, at det må vurderes hvordan helseregistre og kvalitetsregistrene kan videreutvikles for formålet, at det må samhandles med Handlingsplan for kliniske studier, og at man bør vurdere muligheter for et felles nordisk samarbeid for midlertidig innføring.

I intervju viser representanter for Sykehusinnkjøp til rapporten om midlertidig innføring, der det står at i tilfeller med stor usikkerhet rundt relativ effekt og langtidseffekter, kan en løsning heller være at prisen i stedet følger den dokumenterte effekten av legemiddelet. Legemidler kan i dag få markedsføringstillatelse tidlig i utviklingsfasen, hvor det ikke er mulig å fastslå størrelsen på mereffekten. En løsning kan være at prisen starter på et lavt nivå, når det er størst usikkerhet om effekten. Dette kan ses på som et samarbeid der helseforetakene bidrar med å framskaffe mer dokumentasjon i tidlig fase, mens leverandøren gjør metoden tilgjengelig til en lavere kostnad. Dersom ny effektdokumentasjon fra legemiddelfirma eller myndighetene etter hvert tilsier at metoden kan ha høyere kostnad, kan legemiddelprisen øke. Det gir insentiver til å bringe fram ny informasjon. Trolig vil dette kunne anses som ugunstig sett fra leverandørens ståsted, da en slik lavere pris kan spre seg til andre markeder blant annet gjennom referanseprising.

Bruk av alternative prisavtaler i Nye metoder

Norge har i hovedsak brukt flate rabatter – i henhold til hovedregelen. På et web-seminar i juni 2021 fortalte en representant for Sykehusinnkjøp at et år etter at man hadde åpnet opp for alternative prisavtaler så hadde ti konkrete forslag blitt forelagt for RHF-ene. Av disse fikk seks avtaleforslag konseptgodkjenning, hvorav Beslutningsforum siden har

fattet beslutninger om midlertidig innføring av Luxturna, Libtayo og Xospata,²²⁴ samt om en alternativ prisavtale for Zolgensma – den første sitt slag i Nye metoder.²²⁵ De øvrige fire ble avvist fordi de ikke oppfylte prioriteringskriteriene.

I notatet til Beslutningsforum (Sykehusinnkjøp, 2020b) framgår det at Norge tidligere har inngått en pris-volumavtale for Perjeta (pertuzumab, mot brystkreft), samt besluttet midlertidig innføring av Opdivo (nivolumab, mot hudkreft; ID2017_115)²²⁶ og Keytruda (pembrolizumab, mot hudkreft; ID2018_067).²²⁷ Også Kymriah og Yescarta skal være omfattet av alternative prisavtaler (Jorgensen m. fl., 2020). Det finnes ingen samlet oversikt over bruk av ulike prisavtaler i Nye metoder,²²⁸ og det kan være at det finnes flere tilfeller enn de som er nevnt her.

Indikasjonsavhengig prising eller «flate rabatter»

Tumoragnostisk behandling går per definisjon på tvers av tradisjonelle indikasjoner, i likhet med flerindikasjonslegemidler, som for eksempel Revlimid-eksempelsaken. Mens leverandørene ut fra det prisdifferensieringsprinsippet som ligger til grunn for deres markedsføringsstrategi ønsker separate priser på de ulike indikasjonene, legger Nye metoder til grunn at hvert legemiddel skal ha én pris uansett bruksområde. Sykehusinnkjøp gjør følgende observasjon i sitt notat:

Midlertid ser Sykehusinnkjøp eksempler på at tilgang for legemidler utfordres med dagens system fordi leverandører ikke er villige til å senke prisen tilstrekkelig lavt for en liten indikasjon, når dette påvirker salget og inntjeningen for alle andre, og betydelig større, indikasjoner. I noen tilfeller blir leverandørens inntjening lavere for legemidlet samlet sett, selv om den nye indikasjonen innføres, fordi prisen senkes. Videre er firmaene erfaringsmessig nølende til å sette ned prisen i et lite marked som Norge med risiko for at rabatten kan ha smitteeffekt over til andre større markeder.

For å håndtere verdien av et legemiddel varierer etter indikasjon, kan man bruke en «vektet gjennomsnittspris» der gjennomsnittsverdien er vektet etter forventet pasientvolum. Frankrike, Tyskland og Australia bruker systemer i tråd med slike veide gjennomsnittspriser (Mestre-Ferrandiz og Dellamano, 2015).

En annen tilnærming er som nevnt prisdifferensiering etter indikasjoner. Dette forutsetter gode helsedata, slik at pasientvolumene kan spores etter indikasjon og tillate prissetting etter indikasjonene. En forutsetning for dette systemet er streng datainnsamling slik at volumet kan spores per indikasjon og tillate separate rabatter. Italia har utviklet risikodelingsavtaler basert på indikasjonsspesifikke pasientregistre for å spore volumer og til en viss grad utfall for hver indikasjon. Leverandører betaler € 30 000 per år for hvert register som er relevant for produktene (Mestre-Ferrandiz og Dellamano, 2015).

Vi har ikke registrert at noen har konkrete forslag til hvordan denne interessemotsetningen kan løses. Sykehusinnkjøp påpeker:

OECD trekker fram at [indikasjonsavhengig prising] forventes å gi bedre tilgang og innebærer at en større del av konsumentoverskuddet flyttes til legemiddelselskapene, (Sykehusinnkjøp, 2020b)

²²⁴ Hentet 5. oktober 2021 fra <https://nyemetoder.no/metoder/voretigene-neparovvec-luxturna>, <https://nyemetoder.no/metoder/cemiplimab-libtayo>, og <https://nyemetoder.no/metoder/gilteritinib-xospata>.

²²⁵ Hentet 29. oktober 2021 fra <https://nyemetoder.no/metoder/onasemnogene-abeparovvec-zolgensma>.

²²⁶ Hentet 4. november 2021 fra <https://nyemetoder.no/metoder/nivolumab-opdivo-indikasjon-xii>.

²²⁷ Hentet 4. november 2021 fra <https://nyemetoder.no/metoder/pembrolizumab-keytruda-indikasjon-x>.

²²⁸ Q&A - Rammeverk for prisavtaler. Hentet 4. november 2021 fra <https://sykehusinnkjop.no/seksjon/nyheter/Documents/Informasjonsm%C3%B8te%20beslutningsforum/QA%20Rammeverk%20-%20prisavtaler.pdf>.

... noe som med andre ord innebærer økte kostnader for spesialisthelsetjenesten. Både når det gjelder alternative prisavtaler og indikasjonssprising står Nye metoder overfor det dilemmaet at man på den ene siden må ivareta RHF-enes interesser *vis-à-vis* leverandørene, mens på den annen side må forholde seg til risikoen for at Norge blir et mindre attraktivt marked.

Kombinasjonsbehandlinger

Kombinasjonsbehandlinger representerer liknende utfordringer som med «companion diagnostics» – at det er vanskelig å vite hvordan man skal fordele den tilskrevne nytteverdien på de to komponentene. Sykehusinnkjøp bemerker:

I en metodevurdering beregnes verdien av kombinasjonen av to (eller flere) produkter sammenliknet med komparator. I de tilfeller der to kostbare legemidler kombineres, ligger merkostnaden ofte over betalingsvilligheten. (Sykehusinnkjøp, 2020b)

Det er utarbeidet noen generelle prinsipper for å tildele forskjellig verdi til komponentene i kombinasjonsterapi (Towse m. fl., 2021). Towse er også delforfatter på en artikkel som konkluderer:

Price flexibility is needed for all components of a combination, otherwise it remains likely that some clinically useful high cost combinations will fail to meet cost-effectiveness requirements. This is likely to require some form of multi-use pricing. Value attribution frameworks could help to support price negotiations and represent an interesting academic area of research. More discussion is needed of the respective roles of companies and HTA/payer bodies in price negotiations, and of potential legal challenges and ways to address them in different jurisdictions. (Latimer m. fl., 2021)

Forhandlinger mellom leverandører må altså føres uten å bryte forbudet mot prissamarbeid i konkurranselovgivningen.

I Sverige er det utviklet en forhandlingsplattform som et pilotprosjekt for at leverandørene og betaleren skal kunne inngå en avtale basert på at en viss pris bare gjelder dersom ett produkt brukes sammen med et annet, og en annen pris som monoterapi. Pilotprosjektet identifiserte en rekke utfordringer, hovedsakelig med hensyn til de juridiske forholdene og mulighetene for oppfølging bruken av forskjellige legemidler i mono- eller i kombinasjon. Differensiert prisfastsetting, der prisen på et produkt varierer mellom bruksområdene, forutsetter oppfølgingsdata på individnivå. I dag er det ingen mulighet for å følge bruken av legemidler på en strukturert og automatisert måte, noe som begrenser anvendbarheten av en slik modell (TLV, 2020).

Vi ser at dette er en problematikk som ikke det finnes implementerte løsninger på – løsningene befinner seg i høy grad fortsatt på tegnebrettet. Verken Sykehusinnkjøps notat eller LMIs innspilldokument i saken²²⁹ antyder konkrete løsninger.

Bruk av nye datakilder i prisavtalene

En forutsetning for både utfallsbaserte prisavtaler og midlertidig innføring er at man kan dokumentere pasientens respons på behandlingen; såkalt Real World Evidence (RWE). Norge har god mulighet til å generere store mengder helsedata om hver enkelt innbygger, fra fødsel til død. Det er usikkert i hvilken grad de nasjonale helseregistrene kan videreutvikles for å støtte utviklingen og implementeringen av persontilpasset medisin i helsetjenesten, men nye kvalitetsregistre kan trolig utvikles for formålet. Norsk pasientregister er i dag ikke tilstrekkelig detaljert. Samtidig må tiltak innen

²²⁹ *Innspill til behov og løsning for nye pris- og betalingsmodeller*. Notat 11. mars 2020 fra LMI. Hentet 5. november 2021 fra <https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/Saksdokumenter%20Beslutningsforum%20for%20nye%20metoder%2022.06.2020.pdf>.

helseregisterfeltet ivareta alle sider av personvernet og individets selvbestemmelse, så som informert samtykke, vern mot urettmessig tilgang til helseopplysninger og misbruk av helseopplysninger til andre formål enn de er samlet inn og behandlet for.

Det fremgår av Helsedirektoratets strategi for persontilpasset medisin fra 2016 at innføring av persontilpasset medisin forutsetter endringer av organisatoriske, rettslige og økonomiske (finansiering) systemer (Helsedirektoratet, 2016). Dette skyldes blant annet innslaget av klinisk utredning som fast ledd i pasientforløpet (Befring, 2019). I denne rapporten er det ikke mulig å foreta en evaluering av betydningen av – eller en vurdering av behov for – disse omfattende endringene.

Gjennom Helsedataprogrammet utvikles nye tjenester og løsninger for å gi raskere og sikrere tilgang til helsedata fra landets mange helseregistre, kvalitetsregistre, helseundersøker og biobanker. Programmet skal gjøre det enklere å gjennomføre analyser og sette sammen helsedata på tvers av ulike datakilder. Programmets effektmål er for eksempel bedre personvern og informasjonssikkerhet, mer og bedre helseforskning, mer kunnskapsbasert helsetjeneste, bedre administrasjon og styring.²³⁰

Det har blitt etablert en nasjonal organisatorisk og teknisk løsning for å gjøre helsedata enklere tilgjengelig; Helsedataservice og Helseanalyseplattformen.

Helse Midt-Norge innfører nå felles elektronisk pasientjournal, «Helseplattformen», for spesialisthelsetjenesten og primærhelsetjenesten i Midt-Norge. Mulighetene i Helseplattformen beskrives nedenfor som et eksempel på hvordan journalsystemer kan tilrettelegges for høsting av data til registrene, og dermed forbedre muligheten for oppfølging ved midlertidig innføring av legemidler i Nye metoder. Helseregistre (de som ikke høster data rett fra NPR) og nasjonale kvalitetsregistre vil kunne fange data direkte fra Helseplattformen. (RHF, 2021)

De første datakildene i Helseplattformen blir tilgjengelig i løpet av første halvår 2022.²³¹

En mulighet for utnyttelse av slike data er at sykehusene kan levere detaljerte pasientdata, som fanges direkte fra pasientens journal, til separate registre som kan gjøres tilgjengelig for partene i risikodelingen gjennom prisavtalene og/eller i revurdering av midlertidig innførte legemidler. Det er uvisst når disse systemene blir fullt ut operative.

Et svært viktig tiltak er CONNECT-konsortiet,²³² hvor flere helseforetak, Statens legemiddelverk, Folkehelseinstituttet og Helsedirektoratet deltar sammen med Legemiddelindustrien, flere leverandører, samt Kreftforeningen. Samarbeidet, som koordineres av Oslo Cancer Cluster, knytter sammen flere viktige initiativ som skal bidra til implementering av persontilpasset medisin på kreftområdet, herunder InPreD, IMPRESS og INSIGHTH.²³³ InPreD og IMPRESS er resultat av strategiske valg og finansiering fra RHF-enes side.²³⁴

Metodevurdering av behandling og diagnostikk

Bestillerforum har gitt til Folkehelseinstituttet (ID2019_074) i oppdrag å utarbeide en rapport som presenterer ulike tilnæringsmåter og viktige veivalg for utforming og gjennomføring av metodevurderinger av tester for valg av kreftbehandling. Hensikten

²³⁰ Hentet 8. oktober 2021 fra <https://www.ehelse.no/programmer/helsedataprogrammet/bakgrunn-for-helsedataprogrammet>.

²³¹ Hentet 8. oktober 2021 fra <https://www.ehelse.no/programmer/helsedataprogrammet/helseanalyseplattformen>.

²³² CONNECT: Norwegian Precision Cancer Medicine Implementation Consortium.

²³³ Se <https://www.connectnorway.org/?lang=nb>.

²³⁴ Hentet 7. november 2021 fra <https://oslo-universitetssykehus.no/om-oss/nyheter/stor-nasjonal-precisionsmedisinstudie-innen-kreft>.

med rapporten er å avklare når det er hensiktsmessig å gjennomføre metodevurderinger av farmakogenetiske tester og hvilket datagrunnlag som skal inngå i slike metodevurderinger. Rapporten utarbeides i samarbeid med fagekspertene, og har foreløpig resultert i et forslag til rammeverk for fremtidige metodevurderinger som skal piloteres i spesifikke oppdrag. Det påpekes at det i dette utviklingsarbeidet vil være nødvendig å involvere Bestillerforum og Statens legemiddelverk.²³⁵

Det er også andre initiativer på området. Blant annet skal Nasjonalt nettverk for persontilpasset medisin levere en rapport om «Next-Generation Sequencing» (NGS) for kreft i 2021 med innhold som til dels sammenfaller med Folkehelseinstituttets problemstillinger. Sistnevnte har derfor fått utsatt frist (i Bestillerforum 26. april 2021) på leveransen, som opprinnelig skulle leveres i mars 2020.

11.2.5 Håndtering av usikkerhet – i metodevurderinger og beslutninger

I punkt 8.3.4 anbefalte vi å redegjøre for usikkerhet i noe mer utførlige beslutningstekster, men først og fremst av hensyn til transparens. I saker hvor usikkerhet skal ligge til grunn for prisavtaler må usikkerhetsforholdene undersøkes og drøftes med robust metodikk, og dernest formidles til beslutningstakerne. I punkt 7.7.2 redegjorde vi for Statens legemiddelverks utviklingsarbeid for å håndtere usikkerhet i datagrunnlaget på en måte som kan tilrettelegge for alternative prisavtaler. Dette er et positivt og viktig tiltak.

11.3 Diskusjon og konklusjon

Samlet sett – og ut fra de forholdene som ligger innenfor rammene av denne evalueringen – later det til at systemet på noen viktige punkter er i ferd med å møte framtid utfordringene. Det later også til at det finnes en god endringsvilje og -evne innenfor systemet.

De største svakhetene er håndteringen av medisinsk utstyr, som vi allerede har påpekt flere steder ovenfor i rapporten, og etablering av systemer for bruk av «Real World Evidence».

Det er fortsatt uløste utfordringer – særlig gjelder dette verdiberegning og prissetting av kombinasjonsbehandlinger – men dette er utfordringer som alle vestlige land står overfor.

Det er viktig å generere erfaringer fra praktisk anvendelse av både midlertidig innføring og resultatbaserte avtaler basert på individuelle pasientutfall. Vi registrerer at det gjenstår til dels omfattende utviklingsarbeid med ulike registre og fagsystemer for å kunne implementere alternative prisavtaler i stort omfang.

De andre landene som er beskrevet i denne rapporten har enten nylig fullført reformering av sine nasjonale beslutningssystemer eller er i ferd med å tilpasse dem til utfordringene som ligger foran oss. Danmark har nylig omarbeidet både organisering og prosesser. Skottland reviderte sin håndbok i september 2021. I Sverige har *Svenska Tandvårds- och läkmedelsförmånsverket* (TLV) nylig utarbeidet en rapport om metodevurdering og mulige betalingsmodeller for persontilpasset medisin (TLV, 2021). I England pågår en

²³⁵ *Utredning og implementering av ordninger for midlertidig innføring og revurdering av nye metoder i Nye metoder for å tilrettelegge for innføring av persontilpasset medisin i tjenesten.* Helse Midt-Norge, 23. juni 2021. Hentet 7. oktober 2021 fra: <https://ekstranett.helse-midt.no/1001/Sakspapirer/sak%2072-21%20vedlegg%20Sluttrapport%20-%20Utredning%20og%20impl%20av%20ordninger%20for%20midl%20innf%C3%B8ring%20og%20revurd%20av%20nye%20metoder.pdf>

systemutviklingsprosess der NICE har gjennomført en omfattende høringsrunde om foreslåtte endringer i beslutningssystemet med tanke på både utvalgelse, prosess og metoder.²³⁶ Her inngår også betraktninger om hvordan ny medisinsk teknologi krever tilpasninger i beslutningssystemet og metodevurderingsmetodikken.²³⁷

Det er Bestillerforum som har det overordnede utviklingsansvaret i Nye metoder. Men det kommer også føringer og oppdrag fra HOD; for eksempel, i 2020 fikk Helse Midt-Norge i oppdrag å lede utredning og implementering av ordninger for midlertidig innføring og revurdering av nye metoder og for å tilrettelegge for innføring av persontilpasset medisin i tjenesten – og rapporten fra dette oppdraget forelå som nevnt i juni 2021 (RHF, 2021). Likeledes, rammeverket for unntaksvis bruk av alternative prisavtaler ble vedtatt i juni 2020.²³⁸ Helse Midt-Norge fikk i 2019 i oppdrag å lede utvikling av modeller for utfasing av behandlingsmetoder i spesialisthelsetjenesten i systemet for Nye metoder. Mange av oppdragene utføres i samarbeid med andre systemaktører.

I løpet av de tre siste årene er det satt i gang en rekke utviklings- og forbedringstiltak. På bestilling fra prosjektgruppa har sekretariatet satt opp en oversikt med 33 større og mindre initiativer som har blitt igangsatt i løpet av de tre siste årene. Blant disse finner man selvfølgelig de tre ovenfor nevnte, men også sekretariatets verktøystøtteprosjekt, piloter med brukermedvirkning i metodevurderingsarbeid, utvikling av kriterier for utvalgelse av ikke-legemidler i Bestillerforum, med mer.²³⁹

Vi registrerer at det pågår et aktivt og framoverskuende utviklingsarbeid med stor bredde, og at flere av tiltakene skjer i samarbeid mellom flere systemaktører. Samtidig registrerer vi at utviklingsarbeidet ikke er beskrevet samlet i et strategidokument eller handlingsplan. Det finnes heller ingen samlet oversikt eller analyse av utfordringer og problemer som kan forventes å oppstå i løpet av de nærmeste årene. Vi anbefaler at det utarbeides et strategidokument som kan hvordan metodevurderingene og beslutningene som fattes i systemet for Nye metoder kan bidra mest mulig til at målene for spesialisthelsetjenesten oppnås. Et slikt strategidokument bør utarbeides i samarbeid med en forsterket referansegruppe, jf. punkt 9.6.

²³⁶ *Reviewing our process for health technology evaluation: consultation*. Hentet 7. oktober 2021 fra <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/reviewing-our-process-for-health-technology-evaluation--consultation>.

²³⁷ *The NICE methods of health technology evaluation: the case for change*. Høringsnotat. Hentet 11. november 2021 fra <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/health-technology-evaluation--consultation>.

²³⁸ Møte i Beslutningsforum 22. juni 2020. Saksdokumenter, hentet 5. oktober 2021 fra <https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/Saksdokumenter%20Beslutningsforum%20for%20nye%20metoder%2022.06.2020.pdf>, s. 13. Protokoll, hentet 5. oktober 2021 fra <https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/Protokoll%20Beslutningsforum%2022JUNI2020.pdf>.

²³⁹ Personlig kommunikasjon, Helene Örhagen, sekretariatet for Nye metoder, 9. september 2021.

Referanser

- Agenda Kaupang. (2015). *Evaluering av Nasjonalt råd for kvalitet og prioritering i helse- og omsorgstjenesten*. Utarbeidet for Helse- og omsorgsdepartementet.
- Aitken, M., Kleinrock, M., Simorellis, A. and Nass, D., 2018. . (2018). *Global oncology trends 2018, innovation, expansion and disruption* Hentet 18 Maj 2021 fra Available at: <https://www.iqvia.com/-/media/iqvia/pdfs/institute-reports/global-oncology-trends-2018.pdf>
- Allen, N., Liberti, L., Walker, S. R. og Salek, S. (2017). A Comparison of Reimbursement Recommendations by European HTA Agencies: Is There Opportunity for Further Alignment? *Frontiers in pharmacology*, 8, 384-384. <https://doi.org/10.3389/fphar.2017.00384>
- Befring, A. K. (2019). *Persontilpasset medisin: Rettslige perspektiver*. Gyldendal.
- Beslutningsforum. (2020). *Beslutningsforum for Nye metoder. Årsoppsummering 2019*. Hentet 18. mars 2021 fra <https://nyemetoder.no/Documents/%C3%85rsrapporter/%C3%85rsoppsummering%202019%20Beslutningsforum%20for%20nye%20metoder%20-%20signert.pdf>
- Bestillerforum. (2020). *Bestillerforum RHF – Årsoppsummering 2019. Årsrapport utarbeidet av sekretariatet for Bestillerforum RHF*. Bestillerforum RHF. Hentet 17. mars 2021 fra <https://nyemetoder.no/Documents/%C3%85rsrapporter/Bestillerforum%20RHF%20-%20%C3%85rsoppsummering%202019.pdf>
- Bestillerforum. (2021). *Bestillerforum RHF – Årsoppsummering 2020. Årsrapport utarbeidet av sekretariatet for Bestillerforum RHF, sak 051-21*. Bestillerforum RHF. Hentet 17. mars 2021 fra <https://nyemetoder.no/Documents/%C3%85rsrapporter/Sak%20051-21%20Bestillerforum%20RHF%20-%20%C3%85rsoppsummering%202020.pdf>
- Boothe, K. (2019). "Getting to the Table": Changing Ideas about Public and Patient Involvement in Canadian Drug Assessment. *J Health Polit Policy Law*, 44(4), 631-663. <https://doi.org/10.1215/03616878-7530825>
- Bouckaert, G. (2012). Trust and public administration. *Administration*, 60(1), 91-115. file:///C:/Users/uz25/Downloads/Bouckaert%20(2).pdf
- Brustugun, O. T., Møller, B. og Helland, A. (2014). Years of life lost as a measure of cancer burden on a national level. *Br J Cancer*, 111(5), 1014-1020. <https://doi.org/10.1038/bjc.2014.364>
- Bryman, A. (2008). *Social Research Methods* (3. utg.). Oxford University Press.
- Bugge, C., Kaasa, S., Sæther, E., Melberg, H. og Sonbo Kristiansen, I. (2021). What are determinants of utilisation of pharmaceutical anticancer treatment during the last year of life in Norway? A retrospective registry study. *BMJ Open*, 11(9), e050564. <https://doi.org/10.1136/bmjopen-2021-050564>
- Bugge, C., Saether, E. og Kristiansen, I. (2021). Men receive more end-of-life cancer hospital treatment than women: fact or fiction? *Acta Oncologica*, 60(8), 984-991. <https://doi.org/10.1080/0284186X.2021.1917000>
- Chambers, J., Silver, M. C., Lin, P. J., Cohen, J. T., Paramore, C., Baumann, S. og Neumann, P. J. (2019). PMU77 CELL AND GENE THERAPIES ARE ASSOCIATED WITH SUBSTANTIALLY LARGER QUALITY-ADJUSTED LIFE

- YEAR GAINS THAN CONVENTIONAL DRUGS AND BIOLOGICS. *Value in Health*, 22, S263. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2019.04.1238>
- Chamova, J. og Stellalliance, A. B. (2017). *Mapping of HTA national organisations, programmes and processes in EU and Norway*. Publications Office of the European Union. P. O. o. t. E. Union
- Dalen, D. M. og Godeseth, S. M. (2021). *Usikkerhet i helseøkonomiske analyser i møte med nye og innovative behandlingsmuligheter*. Vista Analyse.
- de Groot, F., Capri, S., Castanier, J.-C., Cunningham, D., Flamion, B., Flume, M., Herholz, H., Levin, L.-Å., Solà-Morales, O., Rupprecht, C. J., Shalet, N., Walker, A. og Wong, O. (2017). Ethical Hurdles in the Prioritization of Oncology Care. *Applied Health Economics and Health Policy*, 15(2), 119-126. <https://doi.org/10.1007/s40258-016-0288-4>
- Detiček, A., Locatelli, I. og Kos, M. (2018). Patient Access to Medicines for Rare Diseases in European Countries. *Value in Health*, 21(5), 553-560. <https://doi.org/https://doi.org/10.1016/j.jval.2018.01.007>
- EU. (2020). *Pharmaceutical Strategy for Europe*. European Commission. https://ec.europa.eu/health/sites/default/files/human-use/docs/pharma-strategy_report_en.pdf
- FHI. (2018a). *Metodehåndbok. Slik oppsummerer vi forskning*. Folkehelseinstituttet. <https://www.fhi.no/globalassets/dokumenterfiler/rapporter/2018/slik-oppsummerer-vi-forskning-2018v2-endret-2021.pdf>
- FHI. (2018b). *Utviklingsplan for metodevurdering (HTA) i Folkehelseinstituttet* (Upubliseret dokument, Issue. Folkehelseinstituttet.
- FHI. (2020). *Folkehelseinstituttets produktportefølje i Nye Metoder* (Upubliseret dokument, Issue. Folkehelseinstituttet.
- FHI. (2021). *Guidelines for the submission of documentation for single technology assessments (STAs) of medical devices and diagnostic interventions*. Folkehelseinstituttet. <https://www.fhi.no/globalassets/guidelines-for-the-submission-of-documents-for-stas-2021.pdf>
- Fleurence, R. L. og Shuren, J. (2019). Advances in the Use of Real-World Evidence for Medical Devices: An Update From the National Evaluation System for Health Technology. *Clin Pharmacol Ther*, 106(1), 30-33. <https://doi.org/10.1002/cpt.1380>
- Gagnon, M.-P., Tantchou Dipankui, M., Poder, T. G., Payne-Gagnon, J., Mbemba, G. og Beretta, V. (2021). Patient and public involvement in health technology assessment: update of a systematic review of international experiences. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 37(1), e36, Artikkel e36. <https://doi.org/10.1017/S0266462321000064>
- Helsedirektoratet. (2013). *Systembeskrivelse. Nasjonalt system for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten – for bedre og tryggere pasientbehandling*. Et arbeidsdokument fra De regionale helseforetak, Statens legemiddelverk, Nasjonalt kunnskapssenter for helsetjenesten, Helsedirektoratet. Versjon: 1.0, 7. juni 2013.
- Helsedirektoratet. (2016). *Nasjonalt strategi for persontilpasset medisin i helsetjenesten (2017-2021)*. Helsedirektoratet. https://www.helsedirektoratet.no/rapporter/strategi-for-persontilpasset-medisin-i-helsetjenesten/Nasjonalt%20strategi%20for%20persontilpasset%20medisin%20i%20helsetjenesten.pdf/_attachment/inline/b1d01025-21b2-4efc-a38a-

d310781b5e10:81b9e4f8918378a1380704f2d18219960c688859/Nasjonal%20strategi%20for%20persontilpasset%20medisin%20i%20helsetjenesten.pdf

- Henriksson, M. og Gruneau, L. (2021). *Hälsoekonomiska utvärderingsaspekter av precisionsmedicin och ATMP*. Centrum för utvärdering av medicinsk teknologi. <https://liu.se/dfsmedia/dd35e243dfb7406993c1815aaf88a675/45964-source/options/download/dokument-rapport-cmt-2021-liu-1000-152>
- HOD. (2018). *Leve med kreft. Nasjonal kreftstrategi (2018-2022)*. Helse- og omsorgsdepartementet,. https://www.regjeringen.no/contentassets/266bf1eec38940888a589ec86d79da20/regjeringens_kreftstrategi_180418.pdf
- Hofmann, B. (2010). *Etiske utfordringer med velferdsteknologi*. Kunnskapssenteret i Folkehelseinstituttet. https://www.fhi.no/globalassets/dokumenterfiler/notater/2010/notat_2010_etiske_utfordringer_velferdsteknologi.pdf
- Hofmarcher, T., Brådvik, G., Svedman, C., Lindgren, P., Jönsson, B. og Wilking, N. (2019). *Comparator Report on Cancer in Europe 2019 – Disease Burden, Costs and Access to Medicines*. IHE The Swedish Institute for Health Economics. https://ihe.se/wp-content/uploads/2020/10/IHE-Report-2019_7_.pdf
- Innst. 93 L. (2019-2020). *Innstilling til Stortinget fra helse- og omsorgskomiteen om Endringer i spesialisthelsetjenesteloven og pasient- og brukerrettighetsloven (lovfesting av systemet for nye metoder m.m.)*. Helse- og omsorgskomiteen. <https://www.stortinget.no/no/Saker-og-publikasjoner/Publikasjoner/Innstillinger/Stortinget/2019-2020/inns-201920-093/?all=true>
- Jeong, I. C., Bychkov, D. og Searson, P. C. (2019). Wearable Devices for Precision Medicine and Health State Monitoring. *IEEE Trans Biomed Eng*, 66(5), 1242-1258. <https://doi.org/10.1109/TBME.2018.2871638>
- Jorgensen, J., Hanna, E. og Kefalas, P. (2020). Outcomes-based reimbursement for gene therapies in practice: the experience of recently launched CAR-T cell therapies in major European countries. *J Mark Access Health Policy*, 8(1), 1715536. <https://doi.org/10.1080/20016689.2020.1715536>
- Jørgensen, J. og Kefalas, P. (2021). The use of innovative payment mechanisms for gene therapies in Europe and the USA. *Regen Med*, 16(4), 405-422. <https://doi.org/10.2217/rme-2020-0169>
- Kristensen, F. B. (2017). *Mapping of HTA methodologies in EU and Norway*. European Commission, Directorate-General for Health and Food Safety, Directorate B — Health systems, medical products and innovation, Unit B4— Medicinal Products: quality, safety, innovation. https://ec.europa.eu/health/sites/default/files/technology_assessment/docs/2018_mapping_methodologies_en.pdf
- Kunnskapssenteret. (2016). *Metodevarsling som del av Nasjonalt system for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten – Erfaringer fra 2015 og veien videre*. Kunnskapssenteret i Folkehelseinstituttet.
- Latimer, N. R., Towse, A. og Henshall, C. (2021). Not cost-effective at zero price: valuing and paying for combination therapies in cancer. *Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research*, 1-4. <https://doi.org/10.1080/14737167.2021.1879644>
- Magnussen m. fl., J. (2015). *På ramme alvor. Alvorlighet og prioritering. Rapport fra arbeidsgruppe nedsatt av Helse- og omsorgsdepartementet*. Helse- og

- omsorgsdepartementet.
https://www.regjeringen.no/contentassets/d5da48ca5d1a4b128c72fc5daa3b4fd8/paa_ramme_alvor.pdf
- Meld. St. 10. (2012–2013). *God kvalitet – trygge tjenester. Kvalitet og pasientsikkerhet i helse- og omsorgstjenesten*. Helse- og omsorgsdepartementet.
- Meld. St. 16. (2010-2011). *Nasjonal helse- og omsorgsplan (2011–2015)*. Helse- og omsorgsdepartementet.
<https://www.regjeringen.no/contentassets/f17befe0cb4c48d68c744bce3673413d/no/pdfs/stm201020110016000dddpdfs.pdf>
- Meld. St. 28. (2014-2015). *Legemiddelmeldingen. Riktig bruk – bedre helse*. Helse- og omsorgsdepartementet.
- Meld. St. 34. (2015-2016). *Verdier i pasientens helsetjeneste. Melding om prioritering*. Helse- og omsorgsdepartementet.
- Mestre-Ferrandiz, J. T., A og Dellamano, R. P., M. (2015). *Multi-indication Pricing: Pros, Cons and Applicability to the UK*. Seminar Briefing 56,
- Moon, S. og Erickson, E. (2019). Universal Medicine Access through Lump-Sum Remuneration — Australia’s Approach to Hepatitis C. *New England Journal of Medicine*, 380(7), 607-610. <https://doi.org/10.1056/NEJMp1813728>
- NHS. (2019). *Evidence-Based Interventions: Response to the public consultation and next steps*. NHS England Medical directorate and Strategy and Innovation directorate. <https://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2018/11/ebi-consultation-response-document-v2.pdf>
- NOU 1987:23. (1987). *Retningslinjer for prioriteringer innen norsk helsetjeneste*. Sosialdepartementet.
- NOU 1997:18. (1997). *Prioritering på ny - Gjennomgang av retningslinjer for prioriteringer innen norsk helsetjeneste*. Sosial- og helsedepartementet
<https://www.regjeringen.no/contentassets/e2c9e765bf484b2ba4e05dd545a6302d/no/pdfa/nou199719970018000dddpdfa.pdf>
- NOU 2014:12. (2014). *Åpent og rettferdig – prioriteringer i helsetjenesten*. Helse- og omsorgsdepartementet.
<https://www.regjeringen.no/contentassets/16a0834c9c3e43fab452ae1b6d8cd3f6/no/pdfs/nou201420140012000dddpdfs.pdf>
- NOU 2019:5. (2019). *Ny forvaltningslov. Lov om saksbehandlingen i offentlig forvaltning (forvaltningsloven)*. Justis- og beredskapsdepartementet.
<https://www.regjeringen.no/contentassets/8d681c58c7a94929954ca9538a2476a6/no/pdfs/nou201920190005000dddpdfs.pdf>
- O'Rourke, B., Oortwijn, W. og Schuller, T. (2020). The new definition of health technology assessment: A milestone in international collaboration. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 36(3), 187-190.
<https://doi.org/10.1017/S0266462320000215>
- OECD. (2018). *Pharmaceutical Reimbursement and Pricing in Germany*. OECD.
<https://www.oecd.org/health/health-systems/Pharmaceutical-Reimbursement-and-Pricing-in-Germany.pdf>
- OECD. (2019). *Performance-based managed entry agreements for new medicines in OECD countries and EU member states*. <https://www.oecd-ilibrary.org/docserver/6e5e4c0f->

en.pdf?expires=1621358162&id=id&accname=guest&checksum=B0D43F9B25BF8C207656E6C02DECFE4C

- Persson, U. og Jönsson, B. (2016). The End of the International Reference Pricing System? *Applied Health Economics and Health Policy*, 14(1), 1-8. <https://doi.org/10.1007/s40258-015-0182-5>
- Persson, U. og Norlin, J. M. (2018). Multi-indication and Combination Pricing and Reimbursement of Pharmaceuticals: Opportunities for Improved Health Care through Faster Uptake of New Innovations. *Appl Health Econ Health Policy*, 16(2), 157-165. <https://doi.org/10.1007/s40258-018-0377-7>
- Persson, U., Olofsson, S. og Althin, R. (2021). *Värdering av och betalning för antibiotika – Litteraturöversikt och utarbetande av förslag för tillämpning i Sverige*. Institutet för Hälso- och Sjukvårdsekonomi.
- Pomp, M. og Vujić, S. (2008). *Rising health spending, new medical technology and the Baumol effect*. CPB Netherlands Bureau for Economic Policy Analysis. <https://www.cpb.nl/sites/default/files/publicaties/download/rising-health-spending-new-medical-technology-and-baumol-effect.pdf>
- Prop. 1 S. (2019-2020). *Proposisjon til Stortinget (forslag til stortingsvedtak). For budsjettåret 2020*. Finansdepartementet. <https://www.regjeringen.no/contentassets/11946afc8a1549059074d11382a77585/nn-no/pdfs/prp201920200001findddpdfs.pdf>
- Prop. 55 L. (2018–2019). *Endringer i spesialisthelsetjenesteloven og pasient- og brukerrettighetsloven (lovfesting av systemet for nye metoder m.m.)*. H.-o. omsorgsdepartementet.
- Prop. 83 L. (2015-2016). *Endringer i legemiddeloven (refusjonskontrakter og rabatter)*. {Meld. St. 28, 2014-2015 #11}.
- Qvigstad, J. F. og Schei, T. (2018). Kriterier for "gode" begrunnelser. Working paper. *Norges Bank Research*, (6). https://www.norges-bank.no/contentassets/6c4730e4787045bfa5c2778ae6c25c2b/working_paper_6_18_no.pdf?v=04/30/2018094940&ft=.pdf
- Rafferty, J. (2010). Multiple sclerosis risk sharing scheme: a costly failure. *BMJ*, 340, c1672. <https://doi.org/10.1136/bmj.c1672>
- RHF. (2021). *Sluttrappport: Utredning og implementering av ordninger for midlertidig innføring og revurdering av nye metoder i Nye metoder for å tilrettelegge for innføring av persontilpasset medisin i tjenesten*.
- Riksrevisjonen. (2021a). *Riksrevisjonens undersøkelse av helse- og omsorgstjenester til barn med funksjonsnedsettelse* Riksrevisjonen. <https://www.riksrevisjonen.no/globalassets/rapporter/no-2020-2021/helse-og-omsorgstjenester-til-barn-med-funksjonsnedsettelse.pdf>
- Riksrevisjonen. (2021b). *Riksrevisjonens undersøkelse av psykiske helsetjenester*. Riksrevisjonen. <https://www.riksrevisjonen.no/globalassets/rapporter/no-2020-2021/psykiske-helsetjenester.pdf>
- SBU. (2020). *Utvärdering av metoder i hälso- och sjukvården och insatser i socialtjänsten: en metodbok*. . Statens beredning för medicinsk och social utvärdering. <https://www.sbu.se/metodbok>
- Scannell, J. W., Blanckley, A., Boldon, H. og Warrington, B. (2012). Diagnosing the decline in pharmaceutical R&D efficiency. *Nat Rev Drug Discov*, 11(3), 191-200. <https://doi.org/10.1038/nrd3681>
- Scriven, M. (1991). *Evaluation Thesaurus* (4. utg.). SAGE Publications.

- Skogli, E., Karttinen, E., Halvorsen, C. A., Stokke, O. M. og Vikøren, S. (2021). *Verdien av medisinsk innovasjon – for pasienten, helsetjenesten og samfunnet*. Menon Economics. <https://www.menon.no/wp-content/uploads/2021-39-Verdien-av-medisinske-innovasjoner.pdf>
- SLV. (2017a). *Hurtig metodevurdering Gazyvaro (obinutuzumab) til førstelinjebehandling av avansert langsomt voksende follikulært lymfom i kombinasjon med kjemoterapi Vurdering av innsendt dokumentasjon*. Statens legemiddelverk. <https://nyemetoder.no/Documents/Rapporter/Obinutuzumab%20-%20HVMV%20med%20prisnotat.pdf>
- SLV. (2017b). *Ordning for hurtig metodevurdering av legemidler for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand*. Statens legemiddelverk.
- SLV. (2020a). *Legemiddelverket i 2019*. Statens legemiddelverk.
- SLV. (2020b). *Retningslinjer for dokumentasjonsgrunnlag for hurtig metodevurdering av legemidler*. Statens legemiddelverk. <https://legemiddelverket.no/Documents/Offentlig%20finansiering%20og%20pris/Dokumentasjon%20til%20metodevurdering/Retningslinjer%2020.05.2020.pdf>
- Stene m.fl., L. C. (2020). Hvor mange har diabetes i Norge i 2020? *Tidsskriftet Den norske legeforening, tidsskr.20.0849*. <https://doi.org/10.4045>
- Sykehusinnkjøp. (2018). *Håndtering av enhetspriser for legemidler og prinsipper for rutiner for prisinformasjon*. Sykehusinnkjøp HF. Hentet 5. mai 2021 fra <https://sykehusinnkjop.no/Documents/Legemidler/Andre%20dokumenter/Rapport-Ha%CC%8Andtering-av-enhetspriser.pdf>
- Sykehusinnkjøp. (2020a). *Håndbok – Retningslinjer for innføring av nye indikasjoner og nye legemidler i spesialisthelsetjenesten i sammenheng med anskaffelser*. Sykehusinnkjøp HF.
- Sykehusinnkjøp. (2020b). *Prisavtaler – behov og løsninger ((Sladdet versjon))*. Sykehusinnkjøp. <https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/Saksdokumenter%20Beslutning sforum%20for%20nye%20metoder%2022.06.2020.pdf>
- Sykehusinnkjøp. (2020c). *Rapport – Retningslinjer for innføring av nye indikasjoner og nye legemidler i spesialisthelsetjenesten i sammenheng med anskaffelser*. Sykehusinnkjøp HF.
- TLV. (2020). *Rapport om utvecklingsarbeite för kombinationsbehandlingar*. Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket.
- TLV. (2021). *Hur ska vi utvärdera och hur ska vi betala? Hälsoekonomiska bedömningar och betalningsmodeller för precisionsmedicin och ATMP*. Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. https://www.tlv.se/download/18.6dab39ff179179457163974e/1622641397743/Rapport_atmp_20210430.pdf
- Towse, A., Lothgren, M., Steuten, L. og Bruce, A. (2021). *Why we need a new Outcomes-based Value Attribution Framework for Combination Regimens in Oncology*. OHE Consulting Report, London: Office of Health Economics. Available at: <https://www.ohe.org/publications/why-we-need-new-outcomes-based-value-attribution-framework-combination-regimens-0#>.
- Uyl-de Groot, C. A., Heine, R., Krol, M. og Verweij, J. (2020). Unequal Access to Newly Registered Cancer Drugs Leads to Potential Loss of Life-Years in Europe. *Cancers*, 12(8). <https://doi.org/10.3390/cancers12082313>

Yin, R. (1994). *Case study research* (2. utg.). Sage Publications.

Zisis, K., Naoum, P. og Athanasakis, K. (2021). Qualitative comparative analysis of health economic evaluation guidelines for health technology assessment in European countries. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 37(1), e2, Artikkel e2. <https://doi.org/10.1017/S0266462320002081>

Vedlegg 1: Landstudien – beslutningssystemene i Danmark, England, Skottland og Sverige

1 Helsevesenet i Sverige

Sverige hadde 10,4 millioner innbyggere i januar 2021²⁴⁰ og er delt inn i 21 regioner. Regionene finansierer og yter mesteparten av all helsehjelp, mens regjeringen har ansvar for lovgivning og tilsyn. De 274 kommunene finansierer og yter kommunal helsehjelp, det vil si langtidspleie til eldre og personer med nedsatt funksjonsevne.²⁴¹ Helsevesenet finansieres primært gjennom skatt.²⁴²

Klinikklegemidler kan omfattes av det nasjonale beslutningssystemet for legemidler – Nationellt ordnat införande av nya läkemedel – innenfor rammen av NT-rådets arbeid. For medisinsk utstyr er det et tilsvarende system, som kalles Nationellt ordnat införande av nya medisinsk-tekniska produkter. Prosessen for MTP-rådet er beskrevet i avsnitt 1.2.

1.1 Nye legemidler

Sveriges 21 regioner samarbeider om innføring av nye legemidler, som kalles Nationellt ordnat införande av nya läkemedel, og gjennomføres av Rådet for nye terapier, NT-rådet. NT-rådet avgjør hvilke nye legemidler eller nye indikasjoner på eksisterende legemidler som skal omfattes av det nasjonale beslutningssystemet. Rådet har også regionenes mandat til å komme med anbefalinger om bruk av nye legemidler i regionene.²⁴³ Anbefalingene gjelder hovedsakelig sykehuslegemidler, men i noen tilfeller kan det også referere til «blåresept-legemidler» avhengig av regionenes behov.²⁴⁴

NT-rådets oppgave er å vurdere fordelene, sett opp mot kostnadene, ved et legemiddel, i forhold til andre behandlinger som er tilgjengelige i Sverige. Målet med NT-rådets nasjonale anbefalinger er å sikre at helsevesenet er rettferdig og likt over hele landet. Alle bør ha lik tilgang til effektive legemidler uansett hvor i landet de bor.²⁴⁵

NT-rådet ble dannet i 2015 (vedtaket ble fattet i 2014) og er en videreutvikling av NLT-gruppen, som ble dannet i 2009.

²⁴⁰ SCB. *Befolkningsstatistik*. Hentet 22. juni 2021 fra: [Befolkningsstatistik \(scb.se\)](https://www.scb.se)

²⁴¹ Socialstyrelsen (2020) *Kommunal hälso- och sjukvård*. Meddelandeblad9/2020. Hentet 22. Juni 2021 fra: [Meddelandeblad - Kommunal hälso- och sjukvård \(socialstyrelsen.se\)](https://www.socialstyrelsen.se/meddelandeblad)

²⁴² OECD, European Observatory on Health Systems and Policies, in cooperation with the European Commission (2019) *State of Health in the EU Sweden Country Health Profile 2019*. Hentet 23. juni 2021 fra: [Country-Health-Profile-2019-Sweden.pdf \(who.int\)](https://www.who.int/country-profiles/sweden)

²⁴³ Läkemedelsutredningen (2018) *Tydligare ansvar och regler för läkemedel*. Slutbetänkande. SOU2018:89. Hentet 22. Juni 2021 fra: [Tydligare ansvar ochregler för läkemedel, SOU 2018:89 \(regeringen.se\)](https://www.regeringen.se/tydligare-ansvar-och-regler-for-lakemedel) Sid 300-331

²⁴⁴ Janusinfo. *NT-Rådet (Nya terapier)* Hentet 22. Juni 2021 fra: [NT-rådet \(nya terapier\) - Janusinfo.se](https://www.janusinfo.se/nt-radet-nya-terapi)

²⁴⁵ Sveriges Kommuner och Regioner, SKR. *Frågor och svar om NT-rådet*. Hentet 22. Juni 2021 fra: [NT-rådet fragorsvar.pdf \(janusinfo.se\)](https://www.skr.se/fragor-och-svar-om-nt-radet)

1.1.1 Organisering

Rådet for nye terapier, NT-rådet, er en ekspertgruppe med representanter for Sveriges regioner. NT-rådet møtes to ganger i måneden, og består av en leder og seks fullverdige medlemmer med medisinsk eller farmasøytisk kompetanse. Disse syv har stemmerett²⁴⁶ og oppnevnes etter nominasjon fra regioner i hver helseregion. NT-rådets leder og koordinator er ansatt i Sveriges Kommuner och Regioner, mens de regionale medlemmene er ansatt i en av regionene, og deres deltakelse i NT-rådet skjer innenfor deres vanlige ansettelse. Utnevnelsen av medlemmer og rådsleder er gyldig i to år.²⁴⁷

NT-rådet har også ytterligere to medlemmer, en helseøkonom og en etiker, som ikke har stemmerett. I tillegg er det åtte medlemmer uten stemmerett. Et tilleggsmedlem er rådgiver for pasientmedvirkning.

1.1.2 Det rettslige grunnlaget for beslutningstakerne

NT-rådet blir sett på som et frivillig samarbeid mellom Sveriges 21 regioner. Det var Sveriges Kommuner og Regioner (SKR, tidligere SKL), som foreslo innføring av en samarbeidsmodell for legemidler. SKR har uttalt at NT-rådet er en del av SKR. Samtidig foreligger det en oppfatning om at rådets anbefalinger skal komme fra regionene, ikke fra SKR, fordi NT-rådet utfører sitt arbeid med regionenes mandat. Dette betyr at den juridiske stillingen er uklar; er det en del av regionene, og et område som styres av offentlig lov? Eller er det en del av SKR, og et område som er underlagt privatrett? Det betyr blant annet at det er uklart om Lagen om offentlighet och sekretess (2009:400) gjelder. Anbefalingene fra NT-rådet er ikke bindende, og det kan i prinsippet variere mellom regioner hvordan en anbefaling innføres, og om den er bindende eller ikke. Det er har derfor også vært diskutert om anbefalingene bør ses på som statlige vedtak, som kan påklages av den som vedtaket går imot.²⁴⁸

1.1.3 Saksbehandlings- og beslutningsprosess

Proessen med Nationellt ordnat införande består av en rekke trinn illustrert i figur 1 og beskrevet i teksten nedenfor.²⁴⁹

- «Horizon scanning»
- Valg
- Beslutninger om nasjonalt samarbeid
- Helseøkonomisk vurdering
- Forhandling
- Anbefaling
- Introduksjon
- Oppfølging

²⁴⁶ Janusinfo. *NT-Rådets ledamöter*. Hentet 23. juni 2021 fra: [NT-rådets ledamöter - Janusinfo.se](https://janusinfo.se/nt-radets-ledamoter)

²⁴⁷ Janusinfo. *Uppdragsbeskrivning NT-rådet*. 3. juni 2020. Hentet 22. Juni 2021 fra: [Uppdragsbeskrivning NT-rådet \(janusinfo.se\)](https://janusinfo.se/nt-radet)

²⁴⁸ Läkemedelsutredningen (2018) *Tydligare ansvar och regler för läkemedel*. Slutbetänkande. SOU2018:89. Hentet 22. Juni 2021 fra: [Tydligare ansvar och regler för läkemedel, SOU 2018:89 \(regeringen.se\)](https://www.regeringen.se/sou/2018/89) sid 331-333

²⁴⁹ Janusinfo. *Så arbetar vi*. Hentet 22. Juni 2021 fra [Så arbetar vi - Janusinfo.se](https://janusinfo.se/sa-arbetar-vi)

Figur 1: Saksbehandlingsprosess for legemidler



«Horizon scanning»

En arbeidsgruppe bestående av fire regioner (Stockholm, Skåne, Västra Götaland og Østergötland) gjennomfører en «horizon scanning» som består av innsamling, dokumentasjon og evaluering av hvilke nye stoffer og indikasjoner som forventes å bli godkjent i løpet av de neste 1-2 årene. Arbeidsgruppen har dialog med kontaktpersoner i regionene.

Hvis et legemiddel ikke skal håndteres i den felles prosessen med Nationellt ordnat införande, håndteres det særskilt av den respektive regionen.

Utvalgs- og prioritetskriterier

For at et legemiddel eller en indikasjon skal inkluderes i «horizon scanning» og til slutt foreslås som del av det nasjonale beslutningssystemet for legemidler, skal det oppfylle minst ett av følgende kriterier:

- Stor pasientpopulasjon
- Betydelig sykkelighet forbundet med tilstanden
- Kan potensielt gi kliniske fordeler
- Innovativ måte å behandle sykdommen på
- Potensielle kostnadsimplikasjoner
- Kan føre til behov for omorganisering av helsetjenestene
- Kan potensielt påvirke behandlingsretningslinjer og andre anbefalinger
- Potensielle sikkerhetsaspekter å vurdere
- Potensielt høy medie-/pasientinteresse
- For rask eller for langsom introduksjon kan forventes etter godkjenning
- Kan være interessant i et politisk, etisk eller lov-perspektiv

Andre faktorer tas også i betraktning, for eksempel om virkestoffet eller indikasjonen tilhører en voksende legemiddelgruppe eller terapiområde, er en ny måte å behandle på, eller er en ny legemiddelgruppe som er relevant for svenske forhold.

Basert på den tidlige vurderingsrapporten fra «horizon scanning», kan regionene prioritere om et legemiddel skal inkluderes i Nationellt ordnat införande, og viderestyrer av NT-rådet, under veiledning av følgende generelle kriterier: alvorlighetsgrad av sykdommen; behandlingseffekt sammenlignet med alternativ behandling; hvordan det påvirker ressursbruk, og etiske aspekter.

Beslutninger om nasjonalt samarbeid

NT-rådet bestemmer om et legemiddel eller en indikasjon skal inngå i det nasjonale beslutningssystemet, enten basert på den tidlige vurderingsrapporten i «horizon scanning», eller ved at en region nominerer et legemiddel til vurdering av NT-rådet.²⁵⁰

Når beslutninger om nasjonalt samarbeid er fattet, varsles det aktuelle legemiddelselskapet og pasientforeningen. Vedtaket om at et legemiddel ikke skal inkluderes i det nasjonale beslutningssystemet, betyr ikke at legemiddelet ikke vil tas i bruk. Potensiell innføring av legemiddelet vil i stedet håndteres i henhold til prosedyrer hvor Vårdprogramgrupper og regioner gjør sin vurdering, og bestemmer seg for bruk.

Metodevurdering

Tandvårds- og Läkemedelsförmånsverket (TLV) gjennomfører helseøkonomiske vurderinger. Legemiddelselskapene gir TLV grunnlag for sin vurdering. De helseøkonomiske dataene som er tilgjengelige for TLV i forbindelse med vurderingene, er helt eller delvis konfidensielle.²⁵¹

TLVs data for sykehuslegemidler produseres i henhold til TLVs generelle råd, og andre etablerte helseøkonomiske metoder.²⁵² TLVs generelle råd for økonomiske vurderinger ble oppdatert i 2017.²⁵³

De generelle rådene sier at helseøkonomisk analyse bør gjennomføres fra et samfunnsøkonomisk perspektiv, og at alle relevante kostnader og inntekter for behandling og sykdom bør identifiseres, kvantifiseres og verdsettes, både for region, kommune, stat, pasient, og pårørende. Imidlertid har det samfunnsøkonomiske perspektivet siden 2015 blitt tolket smalere fordi det var en risiko for at grupper langt fra arbeidsmarkedet kunne diskrimineres dersom legemiddeltilgjengeligheten baseres på arbeidskapasitet og produktivitet. Dette vil igjen være i strid med prinsippet om menneskeverd i den etiske plattformen for prioriteringer i helsevesenet som beskrives under.²⁵⁴ De generelle rådene sier dermed at beregningen skal utføres både med og uten indirekte kostnader (tap av produksjon), men i praksis inngår ikke den økonomiske verdien som skapes av

²⁵⁰ Janusinfo. *Nominering av läkemedelsbehandling* för rekommendation av NT-rådet. Hentet 22. juni 2021 fra: [Nominering av läkemedelsbehandling för rekommendation av NT-rådet \(janusinfo.se\)](#)

²⁵¹ Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV (2009) *Ska TLV genomföra hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel?* Sid 8 Hentet 24. juni 2021 fra: [Slutrapport - ska TLV genomföra hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel inom slutenvården](#)

²⁵² Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV (2019) *Underlag för beslut i regionerna Opdivo (nivolumab) Yervoy (ipilimumab) kombinationsbehandling* 2019-05-15. Hentet 23. juni 2021 fra: [Hälsoekonomisk kunskapsunderlag av Opdivo och Yervoy kombinationsbehandling \(tlv.se\)](#)

²⁵³ Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV (2017) *Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets allmänna råd* TLVAR 2017:1. Hentet 23. juni 2021 fra: [TLVAR 2017:1](#)

²⁵⁴ Riksrevisionen (2021) *Mesta möjliga hälsa för skattepengarna – statens subventionering av läkemedel*. RIR 2021:14. Hentet 29. juni 2021 fra: [Mest möjliga hälsa för skattepengarna - statens subventionering av läkemedel \(RiR 2021:14\) \(riksrevisionen.se\)](#)

arbeid i analysen. På en annen side gjenspeiles arbeidsevnen i livskvaliteten som inngår i analysen.

Kostnadsdata skal gjelde svenske forhold, og enhetskostnader og antall skal presenteres separat. Apotekets utsalgspris (AUP) skal brukes for legemidler.

Sammenligningsalternativet bør være det (eller de) mest kostnadseffektive legemidlene som er klinisk relevant i Sverige. I mangel av relevante behandlingsalternativer kan sammenligningsalternativet være «ingen behandling». Direkte komparative studier er mest hensiktsmessige, men indirekte sammenligninger kan aksepteres i fravær av direkte komparative studier.

Hele pasientpopulasjonen bør inkluderes i analysen, men det bør også gjøres beregninger for ulike pasientgrupper der behandling forventes å ha ulik kostnadseffektivitet (f.eks. menn og kvinner, ulike aldre, eller ulik alvorlighetsgrad av sykdom).

Kostnadseffektivitetsanalyse anbefales, hovedsakelig samfunnsøkonomiske analyser med kvalitetsjusterte leveår (QALYs) som effektivitetsmål. QALY-vekter bør baseres på verdiene til personer som har den aktuelle helsetilstanden. Kostnadseffektforhold skal beregnes på grunnlag av forskjellene i kostnader og effekter (QALYs) mellom behandlingstilbud (inkrementell analyse, IKER). Dersom legemidlet det søkes om har samme helseeffekt som sammenligningsalternativet, kan en kostnadsminimeringsanalyse aksepteres.

Tidshorizonten for analysen skal dekke den perioden der de viktigste helseeffektene og kostnadene oppstår. For behandlinger som påvirker overlevelse, må et livslangt perspektiv brukes for analysen.

En diskonteringsrente på 3 prosent brukes til både kostnader og helseeffekter. I sensitivitetsanalysen bør det også gjøres beregninger med 0 og 5 prosent.

Forhandling/innkjøp

Regionene samarbeider om vilkårene og prisingen av legemidler som er kvalifisert for Nationellt ordnat införande. Regionene og TLV samarbeider også om øvrige sykehuslegemidler, samt om «blåresept-legemidler»

Dersom TLV sin helseøkonomiske vurdering viser at kostnadene ved det nye medikamentet overstiger betalingsvilligheten, kan NT-rådet starte en forhandling med selskapet, for å få rabatt som gjør behandlingen kostnadseffektiv.

Forhandlingslederne i NT-rådet oppnevner en forhandlingsdelegasjon med representanter fra regioner. TLV bidrar til dette arbeidet med helseøkonomisk støtte. Når forhandlingene er avsluttet og en anbefaling om bruk av legemiddelet er kommunisert av NT-rådet, kan alle regioner signere avtaler med selskapet. Rabatten oppnådd gjennom forhandlinger er vanligvis konfidensiell, på selskapets forespørsel.

Anbefaling og prinsipper

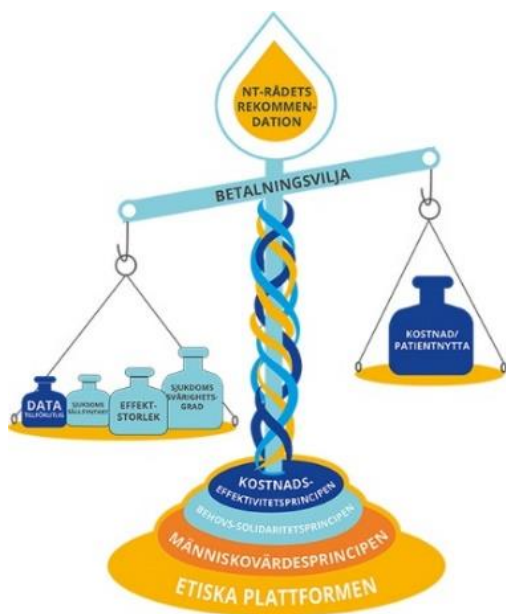
For å vurdere om og hvordan samfunnets ressurser skal brukes til et legemiddel, er det nødvendig med en helseøkonomisk analyse, og et anslag over samfunnets betalingsvillighet. TLV presenterer den helseøkonomiske rapporten som er beskrevet over. NT-rådet estimerer samfunnets betalingsvillighet basert på prinsippene i den etiske plattformen for prioriteringer. Betalingsvilligheten kan derfor variere fra sak til sak.

Sveriges riksdag har vedtatt en etisk plattform som gjelder prioriteringer i helsevesenet. Den etiske plattformen har tre prinsipper i hierarkisk rekkefølge, men bør forvaltes som en helhet:²⁵⁵

- Prinsippet om menneskeverd – alle mennesker har lik verdi og like rettigheter uavhengig av personlige egenskaper og funksjoner i samfunnet.
- Prinsipp om behov og solidaritet – hvis prioriteringer må gjøres blant effektive tiltak, bør mer av omsorgsressursene gis til de mest trengende, de med de mest alvorlige sykdommene og de med lavest livskvalitet.
- Prinsippet om kostnadseffektivitet – ved valg mellom ulike aktiviteter eller tiltak, bør det etterstrebes et rimelig forhold mellom kostnader og effekt, målt i form av bedre helse og forbedret livskvalitet.

NT-rådet hensyntar fire kriterier i sin vurdering: alvorlighetsgraden av tilstanden, behandlingens effekt, påliteligheten til det vitenskapelige grunnlaget og tilstandens sjeldenhet. De fire kriteriene vurderes på fire nivåer: svært høy, høy, moderat og lav. De fire kriteriene vurderes samlet for å estimere betalingsvilligheten når NT-rådet vurderer samfunnets villighet til å betale for et legemiddel.²⁵⁶ NT-rådet har utarbeidet en policy for denne vurderingen.²⁵⁷

Figur 2: NT-rådets vurdering av samfunnets betalingsvillighet



Kriteriene vektlegges ulikt, og tilstandens alvorlighetsgrad veier tyngst. Betalingsvilligheten kommer i prinsippet til uttrykk i SEK per kvalitetsjustert leveår (KR/QALY), men i dag gjøres anslaget primært i form av en beskrivelse, i stedet for en

²⁵⁵ Sveriges Kommuner och Regioner, SKR. *Frågor och svar om NT-rådet*. Hentet 22. Juni 2021 fra: [NT-radet_fragorsvar.pdf \(janusinfo.se\)](#)

²⁵⁶ Janusinfo. *Bedömning av betalningsvilja*. Hentet 22. Juni 2021 fra: [Bedömning av betalningsvilja - Janusinfo.se](#)

²⁵⁷ Janusinfo. *Policy för NT-rådets uppskattning av samhällets betalningsvilja*. 20. mai 2021. Hentet 22. juni 2021 fra: [Policy för NT-rådets uppskattning av samhällets betalningsvilja \(janusinfo.se\)](#)

beregnet verdi. Hvis betalingsvilligheten er høyere enn kostnaden, er det mulighet for å gi en positiv anbefaling. De ulike delene av vurderingen er beskrevet i figur 2.

Etter senest to år revurderer NT-rådet en gitt innstilling. Hvis det fortsatt oppfattes at anbefalingen bidrar til å sikre lik bruk, opprettholdes den. Hvis legemidlet anses å ha blitt innført i samsvar med anbefalingen, så overføres ansvaret til regionene.

Dersom anbefalingen er utdatert, for eksempel ved at legemidlet har fått utvidet indikasjon, at det er lagt til nye kontrakter, eller at andre nye legemidler innføres på indikasjonstidspunktet, kan anbefalingen revideres.

NT-rådet kan gi tre typer anbefalinger:

- avstå fra å introdusere legemiddelet
- legemiddelet innføres
- legemiddelet kan innføres (dette gir mer handlingsrom for regionen til å bestemme selv)

Innføring

Etter at NT-rådet har kommet med sin innstilling, er det opp til hver region å avgjøre om medisinen skal innføres i regionen. Dette gjøres i henhold til lokale prosedyrer i hver region. Det er et mål at regionene følger anbefalingene, for å sikre like helsetjenester på tvers av regionene.

I regionene er farmasøytiske komiteer og deres terapigrupper ekspertorganer for legemidler. Deres arbeid kan blant annet omfatte utarbeidelse av legemiddelbefalinger og terapiråd, samt overvåking og evaluering av nasjonale kunnskapsgrunnlag.

Oppfølging

Formålet med nasjonal oppfølging av et nytt legemiddel er å overvåke om legemidlet brukes i tråd med anbefalinger, til riktig pasientgruppe (indikasjoner, kontraindikasjoner), om det brukes korrekt (dose, doseintensitet), og om en lik innføring er oppnådd. Dette skjer ofte i samarbeid mellom Läkemedelsverket, TLV och Socialstyrelsen. Generelt skal oppfølgingen vare i to til tre år.

1.1.4 Annet

I mai 2021 rapporterte TLV et oppdrag til regjeringen om å utvikle helseøkonomiske vurderinger for presisjonsmedisin, og undersøke mulige betalingsmodeller for gen- og celleterapi (ATMP).²⁵⁸ Oppdraget inkluderer å foreslå hvordan helseøkonomiske vurderinger av presisjonsmedisin kan utformes i hele behandlingsskjeden, og å utvikle nye betalingsmodeller.

1.2 Medisinsk utstyr

NT-rådets ekvivalent for den nasjonalt ordnede innføringen av medisinsk utstyr er Medicintekniska produktrådet, MTP-rådet. MTP-rådet avgjør om medisinsk utstyr skal innføres i fellesskap i det nasjonale beslutningssystemet for medisinsk utstyr, basert på «horizon scanning», eller etter synspunkter fra regionene. MTP-rådet har mandat til å

²⁵⁸ Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV (2021) *Hur ska vi utvärdera och hur ska vi betala? Hälsoekonomiska bedömningar och betalningsmodeller för precisionsmedicin och ATMP – 2021* Hentet 1. juli 2021 fra: [Hur ska vi utvärdera och hur ska vi betala? \(tlv.se\)](https://www.tlv.se/utvarderingar/hur-ska-vi-utvardera-och-hur-ska-vi-betala/)

komme med anbefalinger til regionene i landet om bruk av visse nye typer medisinsk utstyr. Målet er å oppnå lik, kostnadseffektiv og effektiv bruk av en rekke nye medisinsk-tekniske produkter, for alle pasienter over hele landet, slik at felles ressurser brukes på best mulig måte. MTP-rådet ble etablert i 2020. Før ble innføringen av medisinsk utstyr behandlet av NT-rådet.

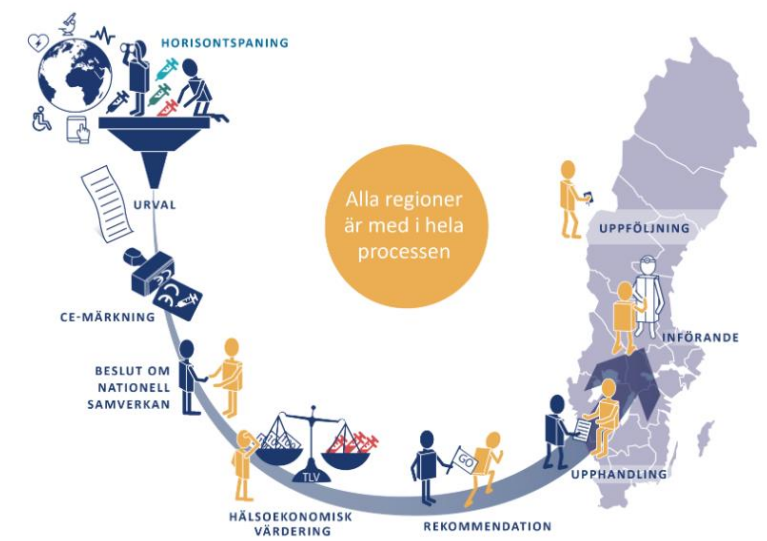
1.2.1 Organisasjon

MTP-rådet er en ekspertgruppe med representanter fra Sveriges regioner. Lederen av rådet har, i likhet med medlemmene, stemme- og beslutningsrett i MTP-rådet.²⁵⁹ Rådets medlemmer er nominert av de seks samarbeidsregionene for helsetjenester. Regionenes samarbeidsmodell for medisinsk teknologi koordineres og administreres av SKR, på oppdrag fra samtlige regioner, og arbeidet gjøres i samarbeid med TLV. Ett medlem i rådet er rådgiver for pasientmedvirkning.

1.2.2 Saksbehandlings- og beslutningsprosess

Proessen med Nationellt ordnat införande av nya medisinsk-tekniska produkter består av en rekke trinn illustrert i figur 3, og beskrevet i teksten nedenfor.²⁶⁰

Figur 3: Saksbehandlingsprosess for medisinsk utstyr



²⁵⁹ Janusinfo. Ledamöter i Medicintekniska produktrådet. Hentet 1. juli 2021 fra: [Ledamöter i Medicintekniska Produktrådet - Janusinfo.se](https://janusinfo.se/ledamoter-i-medicintekniska-produktradet)

²⁶⁰ Janusinfo. Så arbetar vi. Hentet 1. juli 2021 fra: [Så arbetar vi - Janusinfo.se](https://janusinfo.se/sa-arbetar-vi)

«Horizon scanning»

MTP-rådets «horizon scanning» innebatter innsamling, dokumentasjon og vurdering av informasjon om nye medisinske enheter, eller indikasjoner på at enheter/metoder er i ferd med å gå inn i CE-merkingsprosessen.²⁶¹

Siden MTP-rådet først ble opprettet i 2020, har arbeidet med «horizon scanning» for medisinsk teknologi vært under bearbeiding. Allerede kan selskaper som ønsker å informere om produktet sitt – som en del av arbeidet med «horizon scanning» – fylle ut et skjema, og kontakte TLV. Hvis det sendes inn et utfylt skjema, betyr ikke det automatisk at selskapets produkt vil bli evaluert, men det er en mulighet for å presentere og informere om medisinsk utstyr.

Sammenstillingen av mottatt informasjon formidles til regionenes samarbeidsmodell for medisinsk teknologi, som deretter tar stilling til en mulig videre prosess.

Utvalgs- og prioritetskriterier

Alt medisinsk utstyr kan være gjenstand for Nationellt ordnat införande. Det fokuseres imidlertid på nytt medisinsk utstyr, eller metoder som inkluderer medisinsk utstyr der det er behov for regionalt samarbeid, for at bruken av utstyret skal være kostnadseffektiv, likeverdig og effektiv.

Følgende prioriteringskriterier brukes både i første utvelgelse av forslag til nasjonalt samarbeid, og i MTP-rådets beslutning om å inkludere medisinsk utstyr i Nationellt ordnat införande av nya medisinsk-tekniska produkter. Grunnleggende forutsetninger er:

- Produktet er relevant for svenske forhold.
- Produktet er CE-merket, eller forventes å være CE-merket om kort tid.
- Det må være mulig å utarbeide et beslutningsgrunnlag som med tilgjengelige ressurser gjør det mulig å vurdere produktet.

Viktige kriterier for å bestemme hvorvidt et medisinsk produkt skal inngå i det nasjonale beslutningssystemet.

- Om tilstanden har høy alvorlighetsgrad. Alvorlighetsgraden bestemmes ut fra tilstanden til den aktuelle pasientgruppen. Kriterier for hva som er en alvorlig tilstand er beskrevet i NT-rådet og MTP-rådets policy for fastsettelse av betalingsvillighet.²⁶²
- Forventningene til nytte hos pasientene, og hvorvidt denne er stor eller manglende. Produkter som gir betydelig pasientnytte bør – hvis de også senere viser seg å ha høy kostnadseffektivitet – være gjenstand for rask og likeverdig introduksjon over hele landet.
- Hvorvidt innføringen har betydelige konsekvenser for kostnader, tilgang til kompetanse, eller alternativ bruk av ressurser.
- Hvis teknologien innebærer omorganisering av helsetjenester.
- Hvorvidt man kan forvente for rask, for langsom eller ulik introduksjon mellom regioner.
- Hvorvidt innføringen er juridisk, etisk eller politisk utfordrende.

²⁶¹ Janusinfo. *Horisontspaning*. Hentet 1. juli 2021 fra: [Horisontspaning - Janusinfo.se](https://janusinfo.se/horisontspaning)

²⁶² Janusinfo. *Policy för NT-rådets uppskattning av samhällets betalningsvilja*. 20. mai 2021. Hentet 22. juni 2021 fra: [Policy för NT-rådets uppskattning av samhällets betalningsvilja \(janusinfo.se\)](https://janusinfo.se/policy-for-nt-radets-uppskattning-av-samhallets-betalningsvilja) [Policy för NT-rådets](https://janusinfo.se/policy-for-nt-radets-uppskattning-av-samhallets-betalningsvilja)

CE-merking

Alt medisinsk utstyr som selges på det europeiske markedet må være CE-merket og oppfylle spesifikke krav.

Beslutninger om nasjonalt samarbeid

Beslutninger om hvorvidt medisinsk utstyr skal inkluderes i Nationellt ordnat införande av nya medisinsk-tekniska produkter, tas av MTR-rådet, enten basert på «horizon scanning», eller ved nominasjon fra en region, eller annet relevant nasjonalt nettverk.

MTP-rådet tar beslutninger om nasjonalt samarbeid under veiledning av de nevnte prioriteringskriteriene. For alt medisinsk utstyr som foreslås for samarbeid, gjennomgår rådet kriteriene, og ønskene til regionene, og foretar deretter en samlet vurdering av om nasjonalt samarbeid er nødvendig.

Metodevurdering

Alle medisinsk utstyr som dekkes av Nationellt ordnat införande skal gjennomgå en helseøkonomisk vurdering. Dette gjøres vanligvis av TLV. TLVs grunnlag knyttet til medisinsk utstyr produseres i samsvar med TLVs generelle råd, og andre helseøkonomisk etablerte metoder. Disse beskrives under punkt 1.1.3.

Leverandøren skal avlevere et helseøkonomisk grunnlag som viser kostnadene og fordelene for samfunnet ved bruk av produktet, i forhold til det mest relevante behandlingsalternativet når produktet brukes. Leverandørens grunnlag bør inneholde en beskrivelse av produktet, og av relevante sammenligningsalternativer, samt en beskrivelse av den kliniske tilstanden, og av pasientpopulasjonen. Det bør dessuten også inneholde en sammenligning av kostnaden for produktet under normal bruk, sammenlignet med kostnaden for sammenligningsalternativet. Videre bør grunnlaget inneholde dokumentasjon som viser nytten (inkludert bivirkninger) for pasienten ved bruk av produktet, sammenlignet med nytten som komparatoren gir. TLV gjennomfører en vurdering av det helseøkonomiske grunnlaget.²⁶³

Anbefaling og prinsipper

MTP-rådet ger anbefalinger om bruk av medisinsk utstyr, og medisinsk utstyr for in vitro-diagnostikk, innenfor rammen av Nationellt ordnat införande. Prosessen med å vurdere samfunnets betalingsvillighet er beskrevet i avsnitt 1.2.3.

MTP-rådet kan si nei til et produkt, for eksempel hvis prisen er høy per produkt, eller hvis fordelene med å introdusere produktet er lav eller usikker. I tilfeller der innføring av ny medisinsk teknologi medfører store juridiske problemer, organisatoriske problemer eller økt behov for nøkkelkompetanse, noe som vil føre til fortrenkning av annen, like viktig omsorg, kan dette også tas i betraktning når anbefalingen gis. Dette kan bety at rådet ikke anbefaler å inkludere produktet i det nasjonale beslutningssystemet, selv om produktet oppfyller kravene til prioritering, basert på andre faktorer.

MTP-rådet vil senest innen to år revurdere en anbefaling som er gitt.²⁶⁴ Hvis det oppfattes at anbefalingen fortsatt fyller en funksjon for å sikre lik bruk, forblir den i maksimalt to år til. Hvis det medisinske utstyret anses å ha blitt innført i samsvar med den utstedte

²⁶³ Janusinfo. *Hälsoekonomisk värdering*. Hentet 2. juli 2021 fra: [Hälsoekonomisk värdering - Janusinfo.se](https://janusinfo.se/halsoekonomisk-vaerding)

²⁶⁴ Janusinfo. *Rekommendation*. Hentet 2. juli 2021 fra: [Rekommendation - Janusinfo.se](https://janusinfo.se/rekommendation)

anbefalingen, avsluttes den nasjonalt ordnede innføringen, og regionene informeres om dette.

Hvis anbefalingen har blitt utdatert, for eksempel at et lignende produkt er i ferd med å bli introdusert, vil anbefalingen bli revidert.

MTP-rådets anbefalinger baseres på de samme prinsippene som NT-rådets anbefalinger (prinsippet om menneskeverd, prinsippet om behov og solidaritet, og prinsippet om kostnadseffektivitet). Disse beskrives i avsnitt 1.1.3.

MTP-rådet kan gi tre typer anbefalinger:

- MTP-rådet avstår fra å introdusere det medisinske utstyret.
- Det medisinske utstyret innføres.
- Det medisinske utstyret kan innføres (dette gir mer handlingsrom for regionen til å bestemme selv).

Anskaffelser

En innkjøpsfunksjon er under bygging, og informasjon om denne er ennå ikke tilgjengelig.

Innføring

Hver region bestemmer om de skal innføre det medisinsk-tekniske produktet/produktgruppen. Ambisjonen er at innføringen skal være den samme i alle regioner. Regionene administrerer innføringen i henhold til de lokale prosedyrene i hver region.

Oppfølging

Nasjonal overvåking av bruk av nytt medisinsk utstyr gjøres for å sikre at det medisinske utstyret er brukt som anbefalt, og om lik innføring er oppnådd. Systemet er under bygging.²⁶⁵

2 Danmark

2.1 Legemidler og helsetjenester i Danmark

Danmark har ca. 5,7 millioner innbyggere og er delt inn i fem regioner. Regionene har ansvar for både spesialisthelsetjenester og en betydelig del av primærhelsetjenesten, herunder allmennlegetjenester. De fem regionene har en felles interesseorganisasjon – Danske Regioner – for å samarbeide, og ivareta regionenes interesser. Kommunene har ansvar for en del andre primærhelsetjenester.²⁶⁶ Helsetjenestene er finansiert primært gjennom skatt. Anbefalinger av nye sykehuslegemidler gis av Medicinrådet, mens anbefalinger av medisinsk utstyr og helseteknologier (utstyr, prosedyrer og behandlingsteknologi) utarbeides av Behandlingsrådet.

²⁶⁵ Janusinfo. *Uppföljning*. Hentet 2. juli 2021 fra: [Uppföljning - Janusinfo.se](https://janusinfo.se)

²⁶⁶ Sundhedsministeriet og Healthcare Denmark (2017) *Healthcare in Denmark. An overview*. Hentet 2. juni 2021 fra: <https://www.healthcaredenmark.dk/media/ykedbhsl/healthcare-dk.pdf>

2.2 Prosess og metode for nye legemidler

Medicinrådet har ansvar for å utarbeide anbefalinger for nye sykehuslegemidler og indikasjoner, for regionene. Medicinrådet utvikler også behandlingsveileder og legemiddelanbefalinger. I prinsippet må alle nye sykehuslegemidler evalueres av Medicinrådet. Medicinrådet ble stiftet 1. januar 2017, etter et vedtak fra Danske Regioner. Rådet er en videreutvikling av RADS (Rådet for anvendelse af dyr sygehusmedicin) og KRIS (Koordineringsrådet for ibrugtagning af sygehusmedicin).²⁶⁷

Per 1. januar 2021 har det vært endringer i det danske systemet. I denne forbindelse har det blitt laget en ny metodeveileder²⁶⁸ og en ny prosessveileder²⁶⁹. En av endringene er at både QALY og ICER nå brukes i evalueringene av nye sykehuslegemidler.

2.2.1 Organisasjon

Medicinrådet rådet består av tre deler: Rådet, Fagutvalgene og Sekretariatet. Rådet består av 16 medlemmer, og fire observatører. Flertallet av rådsmedlemmene er leger i ledende stillinger på danske sykehus, og inkluderer også en akuttøkonom, to kliniske farmakologer, to pasientrepresentanter og en sykehusfarmasøyt. Rådets leder velges av Danske Regioner, mens de øvrige medlemmene er utpekt av regionene, Lægevidenskabelig Selskaber (LVS), Danske Pasienter og av Rådet selv.²⁷⁰

Ved vurdering av et legemiddel opprettes et fagutvalg som har spisskompetanse. En leder foreslås av Lægevidenskabelig Selskaber, og velges av Rådet. Medlemmer pekes ut av regionene, samt av Dansk Selskab for klinisk farmakologi, Dansk Selskab for Sygehusapoteksledelse og den vitenskapelige organisasjonen for den aktuelle sykdommen. Dans Sygepleje Selskab oppnevner 1-2 sykepleiere og Danske Patients oppnevner 1-2 pasientrepresentanter. Fagutvalget oppløses ikke, og kan kalles inn senere om nødvendig. Medlemmene oppnevnes for to årlige perioder med mulighet for forlengelse.²⁷¹

Sekretariatet støtter både Rådet og Fagutvalget i sitt arbeid. Sekretariatet skriver utkast til referater, evalueringsrapporter og anbefalingsdokumenter. Hver evaluering er knyttet til en prosjektgruppe fra sekretariatet, som er prosess- og metodeleder for evalueringen. Gruppen består av medisinsk og helseøkonomisk kompetanse. Sekretariatet har også for eksempel biostatistikere som kan hjelpe om nødvendig.

2.2.2 Det rettslige grunnlaget for beslutningstakerne

Etablering av Medicinrådet er forankret i sundhedslovens §78, pkt. 3: Stk. 3.

²⁶⁷ Medicinrådet. *Om os*. Hentet 8. juni 2021 fra: [Om Medicinrådet \(medicinraadet.dk\)](https://www.medicinraadet.dk)

²⁶⁸ Medicinrådet. (2021) *Medicinrådets metodevejledning for vurdering af nye lægemidler*. Hentet 2. juni 2021 fra: [Medicinrådets metodevejledning for vurdering af nye lægemidler version 1.2 \(medicinraadet.dk\)](https://www.medicinraadet.dk)

²⁶⁹ Medicinrådet. (2020) *Medicinrådets procesvejledning for vurdering af nye lægemidler*. Hentet 2. juni 2021 fra: [Medicinrådets procesvejledning for vurdering af nye lægemidler-vers. 1.1 \(medicinraadet.dk\)](https://www.medicinraadet.dk)

²⁷⁰ Medicinrådet. *Rådet*. Hentet 2. juni 2021 fra: [Rådet \(medicinraadet.dk\)](https://www.medicinraadet.dk)

²⁷¹ Medicinrådet. (2020) *Medicinrådets procesvejledning for vurdering af nye lægemidler*. Hentet 2. juni 2021 fra: [Medicinrådets procesvejledning for vurdering af nye lægemidler-vers. 1.1 \(medicinraadet.dk\)](https://www.medicinraadet.dk)

Et regionsråd kan samarbejde med offentlige myndigheder og private virksomheder, herunder i selskabsform, om løsningen af fælles opgaver efter afsnit VI, XI, XII og XIV-XVI og opgaver, der har tilknytning hertil, og som regionsrådet lovligt kan varetage efter anden lovgivning, samt påtage sig dermed forbundne udgifter, jf. dog [stk. 4](#)

Medicinerådets mandat (Kommisjon) og ordningen fremgår av egne dokumenter.²⁷²

2.2.3 Saksbehandlings- og beslutningsproces

Medicinerådet har publisert en veileder som beskriver prosessen med å vurdere nye legemidler.²⁷³ Prosessen for evaluering av nye legemidler og indikationsforlengelser foregår i en rekke trinn, illustrert i figur 4, og nærmere beskrevet i teksten nedenfor. Prosessen starter med en forespørsel om metodevurdering og slutter med en (eventuell) beslutning om anbefaling:

- Anmodning om vurdering
- Dialog før søknad
- Søknad
- Vurderingsrapport
- Forhandling
- Beslutning om anbefaling

Forespørsel om vurdering

Det første trinnet er at leverandøren ber om at metoden vurderes. Når søknaden er mottatt, vil Sekretariatet opprette et nytt fagutvalg dersom dette ikke allerede eksisterer. Så snart Medicinerådet mottar søknaden, publiseres leverandørens navn, det generiske navnet og indikasjonen på virkestoffet og en «prosessindikator» på Medicinerådets nettsider. Denne indikatoren oppdateres deretter fortløpende.

Figur 4: Prosesskart for nye legemidler



²⁷² Medicinerådet. *Kommissorium for Medicinerådet*. Hentet 2. juni 2021 fra: [Kommissorium ændret 2020 \(efter bestyrelsesmøde i november\) \(medicinraadet.dk\)](#). Forretningsorden for medicinerådet. Hentet 2. juni 2021 fra: [forretningsorden-for-medicineradet-aendret-21-10-2020_adlegacy.pdf \(medicinraadet.dk\)](#)

²⁷³ Medicinerådet. (2020) *Medicinerådets procesvejledning for vurdering af nye lægemidler*. Hentet 2. juni 2021 fra: [Medicinerådets procesvejledning for vurdering af nye lægemidler-vers. 1.1 \(medicinraadet.dk\)](#)

Møte før søknad

Leverandøren kan be om et møte med sekretariatet for informasjon om søknadsprosessen. Før møtet skal selskapet sende spørsmål og materiale slik at sekretariatet kan forberede seg. Noen ganger deltar noen fagutvalgsmedlemmer i et slikt møte.

Søknad

Leverandørens søknad skal utarbeides i standardisert form: en søknadsplan, en helseøkonomisk analyse og en analyse av budsjettmessige implikasjoner. Når dette er mottatt av Sekretariatet, kontrollerer de at alle dokumenter er inkludert, og varsler leverandøren etter senest 10 dager hvis søknaden oppfyller dokumentkravene.

Evalueringsrapport

Sekretariatet og Fagutvalget jobber deretter sammen, og gjennomgår dokumentasjonen fra leverandøren. Fagutvalget evaluerer resultatene og kvaliteten på kliniske studier, og hvor godt dette er i samsvar med dansk klinisk praksis. Sekretariatets prosjektgruppe er ansvarlig for teknisk gjennomgang av metoder som brukes i analysen, og identifiserer hvilke deler av den helseøkonomiske analysen og budsjettkonsekvensvurderingen Fagutvalget vil gjennomgå.

Medisinrådet gjennomfører evalueringen, inkludert den helseøkonomiske analysen. Leverandøren gir Medicinrådet dokumentasjon for sin vurdering.

Etter 1. januar 2021 gjelder nye retningslinjer om metode, og disse er publisert i en veiledning som beskriver metode med å håndtere nye legemidler.²⁷⁴

Den helseøkonomiske analysen skal baseres på et begrenset samfunnsperspektiv.²⁷⁵ Dette betyr at ytelser bør beskrives gjennom forventet levetid, livskvalitet og QALY. Alle kostnader forbundet med behandling, inkludert bivirkninger, bør inkluderes. Produksjonstap og fremtidige helseutgifter skal ikke inngå.

Sammenligningsalternativet er det eksisterende behandlingsalternativet eller behandlingene i dansk klinisk praksis. Hvis det ikke finnes behandlingstilbud, er komparatoren placebo eller ingen behandling.

Finansministeriet bestemmer hvilken diskonteringsrente som skal brukes i samfunnsøkonomiske analyser. I 2021 ble diskonteringsrenten redusert til 3,5 prosent for effekter i årene 0-35 år og til 2,5 prosent for årene 36-70 år. Siden 2021 har Medicinrådet brukt QALY, som delvis var en effekt av evalueringen av Medicinrådet. Terskelverdier for IKER brukes ikke i Danmark.

De metodologiske retningslinjene for evaluering av nye legemidler diskuterer ulike typer usikkerhet knyttet til helseøkonomiske analyser. Leverandørene skal identifisere, analysere og diskutere i søknaden de viktigste usikkerhetskildene i dagens analyse. Leverandøren skal også utarbeide sensitivitetsanalyser, som er beskrevet i det metodologiske retningslinjedokumentet. Det er ingen standardiserte krav til hvordan usikkerhet skal analyseres, men det er først og fremst probabilistisk sensitivitetsanalyse samt relevante deterministiske sensitivitetsanalyser.

²⁷⁴ Medicinrådet. (2021) *Medicinrådets metodevejledning for vurdering af nye lægemidler*. Hentet 2. juni 2021 fra: [Medicinrådets metodevejledning for vurdering af nye lægemidler version 1.2 \(medicinraadet.dk\)](https://www.medicinraadet.dk/medicinraadets-metodevejledning-for-vurdering-af-nye-lægemedler-version-1.2)

²⁷⁵ Medicinrådet. (2021) *Medicinrådets metodevejledning for vurdering af nye lægemidler*. Hentet 2. juni 2021 fra: [Medicinrådets metodevejledning for vurdering af nye lægemidler version 1.2 \(medicinraadet.dk\)](https://www.medicinraadet.dk/medicinraadets-metodevejledning-for-vurdering-af-nye-lægemedler-version-1.2)

Fagutvalget og Sekretariatet samarbeider om en evalueringsrapport. Hvis de oppdager feil eller mangler i dokumentasjonen, kommer de tilbake til leverandøren, som deretter kan fremskaffe utfyllende dokumentasjon.

Deretter sendes utkast til evalueringsrapport til Amgros, som er de danske regionenes felles innkjøpsorgan, og til leverandøren. Leverandøren vil gjennomgå utkastet for å se etter feil, og vil også få anledning til å legge ved et notat på inntil to sider for rådet til å vurdere saken.

Figur 5: Folketingets syv prioriteringsprinsipper

1. Faglighet: Ved vurdering af lægemidler skal der ske en grundig og systematisk vurdering af den behandlingsmæssige gevinst for patienterne samt den dokumentation, der ligger til grund herfor. Ved vurderingen af lægemidler skal der inddrages den nødvendige og tilstrækkelige faglige ekspertise.
2. Uafhængighed: Vurdering af lægemidler skal ske ud fra objektive kriterier og på baggrund af faglige vurderinger, således at der sikres et uafhængigt udarbejdet beslutningsgrundlag og derved armslængde til det politiske niveau.
3. Geografisk lighed: Der skal ske en ensartet ibrugtagning og anvendelse af lægemidler på tværs af hele landet. Der skal desuden være entydighed i, hvordan de forskellige regioner og sygehuse håndterer de tilfælde, hvor lægemidler afvises til ibrugtagning som standardbehandling.
4. Åbenhed: Der skal være størst mulig åbenhed i vurderingen af lægemidler. Dvs. at der skal være åbenhed om både processer, metoder, kriterier og det materiale, der udarbejdes i forbindelse med vurderingen af lægemidler. Det skal således være muligt for alle at se grundlaget og begrundelserne for at til- eller fravælge nye lægemidler, jf. også Transparensdirektivets krav i forhold til objektivitet og gennemsigtighed. Åbenheden har også til formål at facilitere en offentlig debat.
5. Hurtig ibrugtagning af ny, effektiv medicin: Patienter skal have gavn af behandlingsmæssige fremskridt. Danmark skal fortsat være et af de lande, der hurtigst ibrugtager nye lægemidler, hvor der er dokumenteret mereeffekt.
6. Mere sundhed for pengene: Midlerne i sundhedsvæsenet, herunder til sygehuslægemidler, skal bruges med omtanke, da det ellers kan få konsekvenser for forebyggelse, behandling eller pleje i andre dele af sundhedsvæsenet. Nye lægemidler, som har en veldokumenteret mereeffekt skal ikke afvises alene på grund af økonomi. Såfremt et nyt lægemiddel skal være standardbehandling, skal der således være et rimeligt forhold mellem prisen på det nye lægemiddel og den merværdi, som lægemidlet vurderes at kunne tilbyde sammenlignet med eksisterende standardbehandling.
7. Adgang til behandling: Der skal sikres lige adgang for både store og små patientgrupper og tages højde for patienters individuelle behov. Det skal være muligt ud fra en konkret lægefaglig vurdering at behandle med lægemidler, som er afvist til standardbehandling. Det gælder eksempelvis i forhold til at kunne yde behandling af høj kvalitet til patienter med sjældne sygdomme eller i forhold til at kunne behandle for at undgå funktionsnedsættelse.

Prinsippene om forsvarlighed og alvorlighed:

Et sygdomsområde med stor *alvorlighed* - eksempelvis livstruende eller særligt invaliderende sygdom - kan give anledning til accept af større omkostninger forbundet med et nyt lægemiddel, end det er tilfældet for sygdomsområder med mindre alvorlighed.

Forsigtighedsprincippet skal bl.a. sikre, at Medicinrådet ved opstart af en behandling ikke afgiver anbefalinger om ibrugtagning af et nyt lægemiddel, der vil indebære, at en uforholdsmæssig stor andel af sundhedsvæsenets økonomiske midler allokeres i retning af én medicinsk behandling.

Veiledning for behandling

I tilfeller der et nytt legemiddel eller en indikasjonsforlengelse har en tilsvarende effekt- og sikkerhetsprofil som eksisterende medisin, kan evalueringen i stedet utføres ved å oppdatere eller utvikle en ny behandlingsveiledning. For behandlingsveiledning utføres ikke fulle helseøkonomiske analyser, men sammenligne effekter. Hvis det er medisiner som er medisinsk likeverdige, er de rangert etter pris.

Forhandling

Mens leverandøren kontrollerer rapportutkastet, starter Amgros prisforhandlinger med leverandøren. Dette skjer vanligvis over en periode på to uker. Når prisforhandlingen er ferdig, sender Amgros et forhandlingsnotat til Sekretariatet der de fremforhandlede prisene presenteres, og Sekretariatet oppdaterer rapporten med den fremforhandlede prisen.

Beslutninger om anbefaling og prioriteringskriterier

Basert på rapporten og Amgros' forhandlingsnotat vil Sekretariatet gi et beslutningsgrunnlag til Rådet. Prosjektgruppen og Fagutvalget presenterer evalueringsrapporten, mens Amgros presenterer forhandlingsnotatene. Rådet fatter vedtak om anbefaling. I vedtaket skal rådet vurdere om effekten og sikkerheten til legemidlet er proporsjonal med kostnadene ved å ta i bruk legemidlet.

Vurderingen er basert på Folketingets syv overordnede prinsipper for prioritering mellom sykehuslegemidler, og prinsippene om forsvarlighet og alvorlighet, se figur 5.²⁷⁶ Medicinrådet offentliggjør deretter anbefalingen. Medicinrådet er ikke ansvarlig for gjennomføringen.

Øvrig informasjon

I 2019, to år etter at Medicinrådet ble etablert, ble det evaluert av analyseselskapet Oxford Research på vegne av Danske Regioner.²⁷⁷ Konklusjonen var at Medicinrådet oppfyller sitt formål, men samtidig identifiserte evalueringen en rekke forbedringsområder, som å gjennomgå og forlenge varigheten av behandlingen, og inkludere QALY når man vurderer effekten av et virkestoff. Forslag til metodeveilederen og prosessveilederen ble sendt på høring i organisasjoner som representerer klinikere, pasienter og industrien. Endringene skulle tre i kraft 1. oktober 2020, men som følge av pandemien ble dette utsatt til 1. januar 2021.

I forbindelse med Medicinrådets nye veiledere for prosess og metode ble det besluttet at bruk av QALY skal evalueres etter to år, det vil si fra høsten 2022.²⁷⁸

2.3 Prosess og metode for medisinsk utstyr

Medicinrådets ekvivalent til det nasjonale beslutningssystemet for medisinsk utstyr er Behandlingsrådet. Behandlingsrådet evaluerer og utvikler anbefalinger om medisinsk utstyr, behandlingsmetode, diagnostikk, etc. Evalueringene vil bygge på vurderinger av effekter og kostnader i hele helsevesenet. Behandlingsrådet kan både evaluere nye løsninger, og løsninger som allerede brukes bredt i helsevesenet. Det må finnes dokumentasjon, både av effekter og av kostnader, og alt medisinsk utstyr skal være CE-merket. Behandlingsrådet kan evaluere både enkeltprodukter og produktkategorier.

Formålet med Behandlingsrådets arbeid er å fokusere helseressurser på teknologiene og tiltakene som gir mest helse for pengene, gi bedre kvalitet og dempe utgiftsøkningene. Utover dette arbeider Behandlingsrådet innenfor følgende prinsipper: 1) Mere sundhed for pengene 2) Faglighed og armslængde 3) Åbenhed og 4) Lighed.

²⁷⁶ Sundheds- og aeldeministeriet (2018) *Princippapir om prioritering for sygehuslægemidler*. 31. mars 2018. Hentet 2. juni 2021 fra: [folketingets-7-prinsipper-for-prioritering-af-sygehuslaegemidler.pdf](https://www.folketingets-7-prinsipper-for-prioritering-af-sygehuslaegemidler.pdf) (regioner.dk)

²⁷⁷ Oxford Research (2019). *Evaluering af Medicinrådet*. Udarbejdet af Oxford Research, på vegne af Danske Regioner April 2019. Hentet 4. juni 2021 fra: [Titel på rapport](https://www.regioner.dk/~/media/Regioner/2019/04/20190423_Evaluering_af_Medicinraedet.pdf) (regioner.dk)

²⁷⁸ MedWatch (2019) Medicinrådet ændrer i fremgangsmåden for vurdering af ny medicin og forlænger sagsbehandlingstiden. 22 november 2019. Hentet 2. juni 2021 fra: [Medicinrådet ændrer i fremgangsmåden for vurdering af ny medicin – og forlænger sagsbehandlingstiden](https://www.medwatch.dk/~/media/Regioner/2019/11/20191122_Medicinraedet_aendrer_i_fremgangsmaden_for_vurdering_af_ny_medicin_-_og_forlaenger_sagsbehandlingstiden.pdf) (medwatch.dk)

Behandlingsrådet ble opprettet i 2021, etter en beslutning gjort av Danske Regioner.²⁷⁹ Et begrenset antall evalueringer vil bli gjennomført hvert år, noe som betyr at selskaper kan selge sine produkter på det danske markedet uten en anbefaling fra Behandlingsrådet.²⁸⁰ Behandlingsrådet har – som Medicinrådet – én separat veileder for prosess,²⁸¹ og én separat veileder for metode.²⁸²

2.3.1 Organisasjon

Behandlingsrådet består av tre deler: Rådet, Fagutvalgene og Sekretariatet. Rådet har ansvar for å gi rådgivende anbefalinger. Rådet består av 15 medlemmer og tre observatører. Rådet består av representanter fra de fem regionene, men også to helseøkonomer, to pasientrepresentanter, representanter fra faglige miljøer, og en representant for leverandørene. Rådslederen utpekes av Danske Regioner. De resterende medlemmene utpekes av regionene, Lægevidenskabelige Selskaber (LVS), Dansk Sygepleje Selskab (DASYS), Danske pasienter, Danske Handicaporganisation, Sundhedsstyrelsen, Lægemiddelstyrelsen, leverandørene og Rådet selv.

Før en ny evaluering skal gjennomføres, opprettes en Fagutvalg. Fagutvalgets leder oppnevnes av Rådet etter forslag fra Lægevidenlig Selskaber (LVS) og/eller Dansk Sygepleje Selskab (DASYS). Fagutvalgets medlemmer utpekes av regionene, relevante faglige organisasjoner og Dansk Sygepleje Selskab. En pasientrepresentant utpekes av Danske Pasienter.

Sekretariatet bistår både Fagutvalget og Rådet. Når en ny evaluering skal gjennomføres, opprettes det en prosjektgruppe med passende kompetanse.

2.3.2 Det rettslige grunnlaget for beslutningstakerne

Etablering av Behandlingsrådet er forankret i sundhedslovens §78, pkt. 3: Stk. 3.

Et regionsråd kan samarbejde med offentlige myndigheder og private virksomheder, herunder i selskabsform, om løsningen af fælles opgaver efter afsnit VI, XI, XII og XIV-XVI og opgaver, der har tilknytning hertil, og som regionsrådet lovligt kan varetage efter anden lovgivning, samt påtage sig dermed forbundne udgifter, jf. dog [stk. 4](#).

Behandlingsrådets mandat (Kommisjon) og ordningen fremgår av egne dokumenter.²⁸³

2.3.3 Saksbehandling- og beslutningsprosess

Behandlingsrådet har laget en veileder som beskriver prosessen med å håndtere medisinsk utstyr.²⁸⁴ Evalueringprosessen består av tre trinn illustrert i figur 6 og nærmere beskrevet i teksten nedenfor.

²⁷⁹ Behandlingsrådet. Om *Behandlingsrådet*. Hentet 2. august 2021 fra: [Om Behandlingsrådet \(behandlingsraadet.dk\)](https://www.behandlingsraadet.dk)

²⁸⁰ Behandlingsrådet. Om *Behandlingsrådet*. Hentet 3. august 2021 fra: [Om Behandlingsrådet - Behandlingsrådet \(behandlingsraadet.dk\)](https://www.behandlingsraadet.dk)

²⁸¹ Behandlingsrådet (2021) *Behandlingsrådets proceshåndbog*. Hentet 3. august 2021 fra: [proceshaandbog.pdf \(behandlingsraadet.dk\)](https://www.behandlingsraadet.dk)

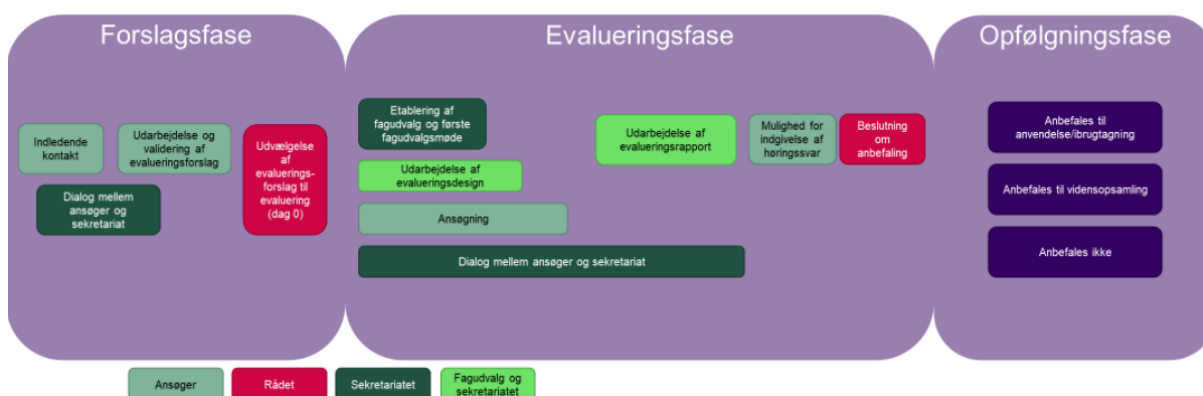
²⁸² Behandlingsrådet (2021) *Behandlingsrådets metodevejledning til evaluering af sundhedsteknologi*. 2. august 2021 [metodevejledning.pdf \(behandlingsraadet.dk\)](https://www.behandlingsraadet.dk)

²⁸³ Behandlingsrådet (2021) *Kommissorium for behandlingsrådet*. Hentet 3. august 2021 [kommissorium-for-behandlingsraadet-nov-2020.pdf \(behandlingsraadet.dk\)](https://www.behandlingsraadet.dk)

²⁸⁴ Behandlingsrådet (2021) *Behandlingsrådets proceshåndbog*. Hentet 3. august 2021 fra: [proceshaandbog.pdf \(behandlingsraadet.dk\)](https://www.behandlingsraadet.dk)

- Forslagsfase
 - Søkeren legger inn en forespørsel om evaluering på Behandlingsrådets nettside
 - Sekretariatet kontakter søkeren
 - Søkeren forbereder et evalueringsforslag
- Evalueringsfase
 - Etablering av fagutvalg og første fagutvalgsmøte
 - Utarbeidelse av evalueringsdesign
 - Utarbeidelse av søknad
 - Utarbeidelse av evalueringsrapport
 - Rådet kommer med en anbefaling
- Oppfølgingsfase
 - Implementering

Figur 6: Behandlingsrådets prosess for evaluering av helseteknologi²⁸⁵



Forslagsfasen

Sykehus, regioner og leverandører kan foreslå evaluering av medisinsk utstyr og behandlingsmetoder til Behandlingsrådet. Rådet selv kan også komme med forslag. Evalueringsforslag gjøres via Behandlingsrådets nettsider. Sekretariatet kontakter deretter søkere til dialog.

Etter dialogen kan søkeren velge å utarbeide et evalueringsforslag som inneholder en kort beskrivelse av teknologi, klinisk kontekst, forventet pasientpopulasjon, effektmål, eksisterende helseøkonomiske analyser, forventede økonomiske implikasjoner m.m. i en mal som er tilgjengelig på Behandlingsrådets nettsider. Når Behandlingsrådet mottar evalueringsforslaget, gjennomgår Sekretariatet forslaget, og sjekker hvorvidt det er ferdigstilt. Dersom dette ikke er tilfelle, må søkeren supplere med mer informasjon.

Basert på disse dataene velger Behandlingsrådet om det medisinske utstyret skal evalueres. Dette tidspunktet er starten på saksbehandlingstiden. Utvalget av medisinsk utstyr som skal evalueres er basert på en rekke prioriterte faktorer:

- Beskrivelse av medisinsk utstyr og anvendelsesområde
- Pasientpopulasjon

²⁸⁵ Behandlingsrådet (2021) *Behandlingsrådets proceshåndbog*. Hentet 3. august 2021 fra: [proceshaendbog.pdf \(behandlingsraadet.dk\)](https://www.behandlingsraadet.dk/proceshaendbog.pdf)

- Sikkerhets-/risikoklasse
- Organisatoriske eller etiske implikasjoner
- Effekt på helse
- Diagnosens alvorlighetsgrad
- Kostnader

Evalueringsfasen

Så snart Behandlingsrådet har besluttet å starte en evaluering, starter prosessen med å etablere et fagutvalg, se avsnitt 2.2.1 Organisasjon. I samarbeid med Sekretariatet utvikler Fagutvalget et evalueringsdesign som tar sikte på å belyse spørsmålene som evalueringen må besvare for at rådet skal kunne fatte vedtak. Evalueringsdesignet fungerer som en protokoll som avgjør hva søknaden skal inneholde og er basert på Behandlingsrådets metodologiske veiledning. Hvis det er en komparator, vil sekretariatet kontakte byrået som markedsfører komparatoren. Når evalueringsdesignet er godkjent av rådet, kan søkeren fremlegge den "riktige" søknaden, som bør baseres på metodisk veiledning. Sekretariatet validerer søknaden for å oppfylle dokumentasjonskravet. Hvis søknaden ikke blir godkjent, vil søkeren bli varslet, som da vil ha mulighet til å revidere og sende inn på nytt. Søkeren kan også velge å trekke søknaden sin.

Fagutvalget utarbeider sammen med sekretariatet en evalueringsrapport. Evalueringsrapporten inneholder en beskrivelse av klinisk effekt og sikkerhet, pasientperspektiv, konsekvenser for organisasjon og helseøkonomi. Utkast til evalueringsrapport blir sendt til søkeren, og til leverandøren av komparator-produktet, som bes om å gå gjennom rapporten og kontrollere. Både søkeren og komparatoren har mulighet til å sende inn et tosidert notat knyttet til evalueringsrapporten, før Rådets behandling.

Behandlingsrådet gjennomfører evalueringen, inkludert den helseøkonomiske analysen. Gitt det brede spekteret av teknologier på feltet, er det ikke mulig å standardisere den helseøkonomiske analysen, men analysen må tilpasses den respektive konteksten. Hvis teknologien som skal evalueres kan bevise å ha samme effekt som komparatoren, kan en kostnadsanalyse være tilstrekkelig. I øvrige tilfeller skal det gjøres en kostnads-effektanalyse. Den valgte komparatoren skal være den teknologien som utgjør den beste eksisterende behandlingen i dansk klinisk praksis, og som fagutvalget identifiserte i evalueringsdesignet. Effekter omfatter for eksempel overlevelse, bivirkninger, livskvalitet og brukervennlighet.

Analyseperspektivet er et begrenset samfunnsperspektiv, og kostnader fra alle relevante sektorer bør inkluderes, for eksempel sykehus, primærhelsetjenesten, spesialistleger, hjemmesykepleie, sykehjem, hjelpemidler og på det sosiale feltet. Behandlingskostnadene til pasienten og pårørende bør også inkluderes i form av tidsbruk, transportkostnader og reseptbelagte medisiner.

Dersom det medisinske utstyret eller metoden som evalueres kan medføre mindre kontakt med helsetjenesten, raskere tilfriskning og så videre, inkluderes dette i evalueringen. Imidlertid er ikke produktivitetstap eller fortjeneste inkludert i evalueringen.

Tidshorisonten skal være lang slik at eventuelle signifikante forskjeller i klinisk og økonomisk påvirkning, av både metoden som evalueres, og av komparatoren, dekkes.

Diskonteringsrenten som skal brukes er den som anbefales av Finansministeriet, og den gjelder både helseeffekter og kostnader.

For å håndtere usikkerhet anbefales deterministisk sensitivitetsanalyse og muligens en probabilistisk sensitivitetsanalyse.

I tillegg til en helseøkonomisk analyse skal søkeren utarbeide en budsjettmessig konsekvensanalyse som viser forventet innvirkning på regionale sykehusbudsjetter over en periode på fem år. Analysen skal omfatte anslag over forventet markedsopptak, prevalens og forekomst av pasientpopulasjonen som forventes å bli behandlet.

Evalueringsrapporten og notatet offentliggjøres, og eventuell konfidensialitetsinformasjon utleveres.

Basert på evalueringsrapporten gir rådet sin innstilling, og det finnes tre typer anbefalinger:

- Det anbefales at det medisinske utstyret anvendes eller tas i bruk
- Det medisinske utstyret anbefales, men mer data skal samles inn
- Det medisinske utstyret anbefales ikke

Når rådet har kommet med sin innstilling, vil det bli sendt til relevante interessenter, inkludert regionene, Danske Regioner og relevante medisinsk-faglige organisasjoner. Deretter er rådets oppgave fullført. Rådet kan imidlertid ha bestemt seg for en revaluering, noe som betyr at saken kommer tilbake.

Oppfølgingsfase

Ansvaret for å implementere anbefalinger ligger hos regionene. Rådets anbefalinger er ikke juridisk bindende, men det forventes at regionene vil følge dem hvis det ikke er noen spesielle grunner. Regionale innkjøpsorganisasjoner og Regional felles innkjøp (RFI) har ansvar for innkjøpsprosesser. Hvis det bare er en produsent på markedet, forhandles prisen på produktet. Prisen inngår i evalueringen og påvirker dermed Behandlingsrådets vurdering, dersom effekten er i rimelig forhold til kostnadene. Dersom det er flere produsenter på markedet, og hvis rådet vurderer at effekten kan likestilles, gjøres det en anbudsprosedyre.

2.4 Annet

Behandlingsrådet bør evalueres etter to års drift. En anbefaling fra Behandlingsrådet er ikke juridisk bindende, og det er derfor ikke mulig å klage. Det er imidlertid mulig å be om en ny evaluering etter tre måneder dersom noen av de viktige faktorene i evalueringen har endret seg, for eksempel at prisen er lavere, eller det foreligger nye effektdata.

3 England

3.1 Helsevesenet i England

England hadde ca. 67 millioner innbyggere i 2019²⁸⁶ og er inndelt i 7 helseregioner.²⁸⁷ National Health Service (NHS) leverer regionale helsetjenester, og fungerer som støtte for de lokale helsetjenestene. NHS er ansvarlig for kvalitet og økonomi. Helsetjenestene finansieres gjennom skatt.

²⁸⁶ Office for National Statistics. *Population estimates*. Hentet 4. april 2021 fra: <https://www.ons.gov.uk/peoplepopulationandcommunity/populationandmigration/populationestimates>.

²⁸⁷ NHS. *Regional teams*. Hentet 4. april 2021 fra: <https://www.england.nhs.uk/about/regional-area-teams/>. De syv regionene er: East of England, London, Midlands, North East and Yorkshire, North West, South East og South West.

3.2 Prosess og metode for nye legemidler, medisinsk utstyr, etc.²⁸⁸

National Institute for Health and Care Excellence (NICE) gir råd og anbefalinger til NHS i England knyttet til helse og kostnadseffektivitet.²⁸⁹ Dette gjøres blant annet gjennom utvikling av kunnskapsbaserte retningslinjer/veiledere med konkrete anbefalinger for helsetjenesten. NICE gjør også metodevurderinger på oppdrag fra Department of Health and Social Care.²⁹⁰ NICE ble etablert i 1999.²⁹¹ NICE skal gjennom sitt arbeid bidra til standardiserte helsetjenester over hele landet.²⁹²

Den britiske regjeringen og ABPI (Association of the British Pharmaceutical Industry) har inngått en avtale, kalt «The Voluntary Scheme for Branded Medicines Pricing and Access». I avtalen ble partene blant annet enige om å gjennomføre en gjennomgang av systemet i 2019-2020, og at alle nye virkestoffer, og viktige nye indikasjoner, vil bli evaluert fra midten av 2020.²⁹³ Videre ble det avtalt å opprettholde standardterskelen for kostnadseffektiv analyse med samme intervall som før (£ 20,000 - £ 30,000 per QALY).

Den pågående gjennomgangen dekker metoden og prosessen til både legemidler, medisinsk utstyr og diagnostikk. Bakgrunnen for gjennomgangen er avtalen «The Voluntary Scheme for Branded Medicines Pricing and Access», som igjen er en konsekvens av endrede forutsetninger og behov. Nedenfor følger en beskrivelse av det nåværende systemet til NICE, men på et overordnet nivå, etter som det pågår en gjennomgang av systemet nå.

3.2.1 Organisasjon

NICE består av syv avdelinger med ulikt ansvar, der Senter for helseteknologievaluering (CHTE) utvikler retningslinjer for bruk av nye og eksisterende behandlinger i NHS. Dette kan omfatte medisiner, medisinsk teknologi og medisinske prosedyrer. NICE oppretter «vurderingskomiteer» (technical appraisal committee), som undersøker om en metode kan tas i bruk eller ikke. Komiteene er uavhengige, og består av ansatte i Helseregionen (NHS), lekfolk (med f.eks. brukererfaring), personer fra relevante fagmiljøer og legemiddelindustrien. NICE rekrutterer medlemmer til vurderingskomiteene for perioder på tre år. Komiteen er delt i fire grupper.²⁹⁴ Medlemmene blir normalt i samme gruppe gjennom hele oppnevningsperioden. Hver gruppe består av ca. 20 medlemmer.²⁹⁵

²⁸⁸ For eksempel, Sverige: Nationellt ordnat införande, Norge: Nye metoder osv

²⁸⁹ NICE. *What we do*. Hentet 30. mars 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do>

²⁹⁰ NICE (2018) *Guide to the processes of technology appraisal*. Hentet 30. mars 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/Media/Default/About/what-we-do/NICE-guidance/NICE-technology-appraisals/technology-appraisal-processes-guide-apr-2018.pdf>.

²⁹¹ NICE. *History of NICE*. Hentet 30. mars 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/about/who-we-are/history-of-nice>

²⁹² NICE (2018) *Technology appraisal guidance* Hentet 30. mars 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance>

²⁹³ Department of Health and Social care and Abpi (2018) *The 2019 Voluntary Scheme for Branded Medicines Pricing and Access - Chapters and Glossary*. Hentet 29. mars 2021 fra: [The 2019 voluntary scheme for branded medicines pricing and access: chapters and glossary \(publishing.service.gov.uk\)](https://www.publishing.service.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/711111/the-2019-voluntary-scheme-for-branded-medicines-pricing-and-access-chapters-and-glossary.pdf)

²⁹⁴ NICE. *Technology Appraisal Committee*. Hentet 25. mars 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/Get-Involved/Meetings-in-public/Technology-Appraisal-Committee>

²⁹⁵ Committee A = 23 medlemmer, committee B = 23, committee C = 19, committee = 22

3.2.2 Det rettslige grunnlaget for beslutningstakerne

NICE jobber etter nasjonale strategier som skal styrke helsetjenesten, forankret i Health and Social Care Act 2012.²⁹⁶ Målet med strategiene er å redusere variasjoner og ulikhet i helsetjenesten, med hovedfokus på de svakest stilte i samfunnet.

Metodevurderingene følger NICE charter²⁹⁷ og NICE principles²⁹⁸. Disse overordnede prinsippene beskriver hvordan NICE jobber og hvordan deres retningslinjer/veiledere utvikles.

NICE er forpliktet til å fremme likestilling, eliminere ulovlig diskriminering, fremme gode relasjoner mellom mennesker og opprettholde de juridiske forpliktelsene de har, knyttet til likestilling og menneskerettigheter.²⁹⁹ NICE rapporterer om eget likestillingsarbeid på sine nettsider.³⁰⁰

3.2.3 Saksbehandlings- og beslutningsprosess

I denne delen beskriver vi den generelle prosessen³⁰¹ og metoden³⁰². De ulike trinnene kan beskrives som:

- Topic selection - utvalg
- Søknad og vurdering
- Beslutning

NICE evaluerer både legemidler, medisinsk utstyr og diagnostikk. Dette gjøres i forskjellige programmer, avhengig av hva som skal evalueres:

- Technology Appraisal Programme, TA³⁰³ (including Cancer Drugs Fund³⁰⁴)
- Highly Specialised Technology Appraisal programme, HST³⁰⁵, for eksempel sjeldne diagnoser.
- Medical Technologies Evaluation Programme, MTE³⁰⁶
- Diagnostic Assessment Programme, DA³⁰⁷

²⁹⁶Health and Social Care Act 2012. Hentet 25. august 2021 fra:

<https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2012/7/contents>

²⁹⁷ NICE. *Our charter*. Hentet 25. mars 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/about/who-we-are/our-charter>

²⁹⁸ NICE. *Our principles*. Hentet 25. mars 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/about/who-we-are/our-principles>

²⁹⁹ NICE. *Guide to the processes of technology appraisal*

<https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/introduction>, kap. 1.14

³⁰⁰ NICE. *NICE Equality Scheme*. Hentet 26. mars 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/About/Who-we-are/Policies-and-procedures/NICE-equality-scheme>

³⁰¹ NICE (2018) *Guide to the processes of technology appraisal*. Hentet 30. mars 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/Media/Default/About/what-we-do/NICE-guidance/NICE-technology-appraisals/technology-appraisal-processes-guide-apr-2018.pdf>.

³⁰² NICE. *Guide to the methods of technology appraisal* Hentet 30. mars 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/process/pmg9/chapter/foreword>

³⁰³ NICE. *Technology appraisal guidance*. Hentet 30. mars 2021 fra: [NICE technology appraisal guidance | NICE guidance | Our programmes | What we do | About | NICE](#)

³⁰⁴ NICE. *Cancer drugs fund*. Hentet 30. mars 2021 fra: [Cancer Drugs Fund | NICE technology appraisal guidance | NICE guidance | Our programmes | What we do | About | NICE](#)

³⁰⁵ NICE. *Highly specialised technologies guidance*. Hentet 25. mars 2021 fra: [NICE highly specialised technologies guidance | NICE guidance | Our programmes | What we do | About | NICE](#)

³⁰⁶ NICE. *Medical technologies evaluation programme*. Hentet 25. mars 2021 fra: [Medical Technologies Evaluation Programme | NICE guidance | Our programmes | What we do | About | NICE](#)

³⁰⁷ NICE. *Diagnostics assessment programme*. Hentet 25. mars 2021 fra: [Diagnostics Assessment Programme | NICE guidance | Our programmes | What we do | About | NICE](#)

Metodeevalueringer kan utføres på en av tre måter³⁰⁸: Single Technology Appraisal (STA), Fast Track Appraisal (FTA) samt Multiple Technology Appraisal (MTA). NICE vurderer om standard metodevurdering eller «fast track» skal benyttes. Etter at metoden er besluttet innført har den samme status uavhengig av hvilken metodevurdering som er gjort. Disse er beskrevet på en generell måte i Figur 7 under.

Figur 7: Tre typer av metodevurderinger

<p>Single technology appraisal (STA)</p> <p>STA er en metodevurdering for et enkelt legemiddel eller behandling. STA brukes i hovedsak for nye legemidler eller forlengelse av lisens for eksisterende produkter. Enkel metodevurdering gjør det mulig å utvikle retningslinjer kort tid etter at legemidlet eller behandlingen er introdusert i England. Total tidsbruk for STA er inntil 49 uker.</p>
<p>Multiple technology appraisal (MTA)</p> <p>MTA er en metodevurdering for flere legemidler eller behandlingsformer for en indikasjon. MTA benyttes hvis en metode er spesielt komplisert eller ikke passer inn i STA.</p>
<p>Fast track appraisal (FTA)</p> <p>FTA benyttes for metoder som vurderes å være spesielt kostnadseffektive, med mål om å gi pasienter raskere tilgang. NHS England har forpliktet seg til å finansiere disse metodene innen 30 kalenderdager etter at metoden er besluttet innført. En metode vurderes gjennom FTA hvis:</p> <ul style="list-style-type: none">• Leverandørens grunnscenarior IKER vurderes til mindre enn £10,000 pr. QALY• Den mest sannsynlige IKER er mindre enn £20,000 per QALY, og ikke over £30,000 per QALY. <p>eller</p> <ul style="list-style-type: none">• Det kan lages en sammenligning av kostnader som viser større helsemessig gevinst eller lavere kostnader for ny metode, enn eksisterende metoder for samme indikasjon.

Utvalg

Prosessen med å bestemme hvilke teknologier/produkter NICE skal utvikle kalles «topic selection». NICE kan først starte en evaluering etter formell henvisning/henvisning fra Department of Health and Social Care. Det vanligste er at National Institute for Health Research Innovation Observatory (NIHR IO) identifiserer teknologier.³⁰⁹ Helsepersonell, forskere og pasienter kan imidlertid også foreslå mulige teknologier som NICE kan vurdere, ved å kontakte Innovation Observatory, som er et uavhengig forskningssenter ved Newcastle University.

³⁰⁸ NICE. *Technology appraisal processes*. Hentet 25. mars 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance/process>

³⁰⁹ National Institute for Health Research (NIHR) Innovation Observatory. *Who we are and what we do*. Hentet 25. mars 2021 fra: [Who We Are And What We Do | Innovation Observatory \(nihr.ac.uk\)](http://www.nihr.ac.uk/about/who-we-are-and-what-we-do)

Søknad og vurdering

NICE benytter et klinisk og økonomisk kunnskapsgrunnlag i sine metodevurderinger.³¹⁰ Det kliniske kunnskapsgrunnlaget viser nytte/virkning av legemiddelet eller behandlingen. Det økonomiske kunnskapsgrunnlaget viser grad av kostnadseffektivitet. Dokumentet «Guide to the methods of technology appraisals 2013», oppdatert i 2018, gir en oversikt over prinsippene og metodene som brukes i HTA i sammenheng med NICE-evalueringsprosessen. I tillegg er det dokumenter som beskriver prosessen med henholdsvis Single Technology Assessment og Multiple Technology Assessment. NICE outsourcer evalueringene til eksterne parter ved universiteter eller konsulentfirmaer.

I England vil den helseøkonomiske analysen bli utført fra perspektivet til NHS (dvs. helsetjenestene) og pleie- og omsorgstjenestene. Kostnadsdata skal hentes fra NHS og fra pleie- og omsorgstjenestene, og først og fremst listepriiser. Komparatoren bør være standardintervensjonen for den spesifikke sykdommen. I noen tilfeller kan komparatoren være «ingen behandling». Kostnadseffektivitetsstudier, og særlig nytte-kostnadsanalyser med kvalitetsjusterte leveår (QALY) som endepunkter, anbefales. Inkrementelle kostnadseffektivitetsforhold (IKER) beregnes.

Tidshorizonten for estimering av kliniske effekter og kostnadseffekter i analysen skal være tilstrekkelig til å reflektere alle viktige forskjeller i kostnader og effekter mellom teknologier. Diskonteringsrenten for både kostnader og helseeffekter er 3,5 prosent.

Beslutning

NICE klassifiserer anbefalinger om innføring av nye metoder i fem kategorier:³¹¹

- Anbefalt innført
- Anbefalt innført med endringer/justeringer
- Anbefalt kun til forskning
- Ikke anbefalt
- Anbefalt for bruk innen kreftmedisin (Cancer Drug Fund)

Komiteen gir enten en foreløpig anbefaling (ACD = Appraisal consultation document) eller en endelig beslutning (FAD = Final appraisal document). ACD gis normalt bare hvis det er behov for ytterligere informasjon til kunnskapsgrunnlaget/metodevurderingen. NICE vurderer innspill og oppdatert kunnskap/informasjon fra relevante aktører før endelig beslutning (FAD) tas.

Innføring

Vurderingskomiteen (appraisal committee) vurderer eventuelle utfordringer knyttet til implementering, inkludert:³¹²

- Tilgjengelige ressurser (f.eks. opplæring av helsepersonell og behov for nye klinikker)

³¹⁰ NICE. *Technology appraisal guidance*. Hentet 25. mars 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance>

³¹¹ NICE. *Technology appraisal guidance*. Hentet 25. mars 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance>

³¹² NICE (2018) *Guide to the methods of technology appraisal 2013*. Hentet 1. april 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/process/pmg9/resources/guide-to-the-methods-of-technology-appraisal-2013-pdf-2007975843781>

- Grad av endring i eksisterende klinisk praksis
- Grad av enighet mellom NICE og Department of Health and Social Care.

Endelig beslutning innarbeides i aktuelle retningslinjer (NICE guidance).³¹³

3.3 Gjennomgang av systemet

En gjennomgang av NICE evalueringssystemet startet i 2019 og pågår fortsatt i 2021. Den var ment å være ferdig i 2020, men som følge av pandemien ble dette forsinket.

Årsaken til gjennomgangen er avtalen «The Voluntary Scheme for Branded Medicines Pricing and Access», og de endrede forutsetningene og behovene, som er nevnt tidligere. I følge avtalen skulle gjennomgangen gjelde bare to programmer (Technology Appraisal Programme og Highly Specialised Technology Appraisal Program), men NICE valgte å utvide det til to programmer til, Medical Technologies Evaluation Programme og Diagnostic Assessment Programme. NICE beskriver at forbedringene den søker er:

- Øke hastigheten på pasienttilgangen til nye og lovende medisiner og medisinsk teknologi
- Støtte bedre markedsadgang
- Forenkle prosessen med å evaluere medisiner og medisinsk teknologi

Gjennomgangen gjelder både metode og prosess. Metode beskrives som måten bevis samles inn og vurderes ved utforming av retningslinjer, mens prosessen beskrives som trinnene (hvem, hva, når) som tas på ulike evalueringsnivåer, for eksempel hvilke dokumenter som produseres og når, samt hvordan enkeltpersoner og organisasjoner er involvert.

Gjennomgangen omfatter en høring med alle interesserte parter er gjennomført i tre trinn:

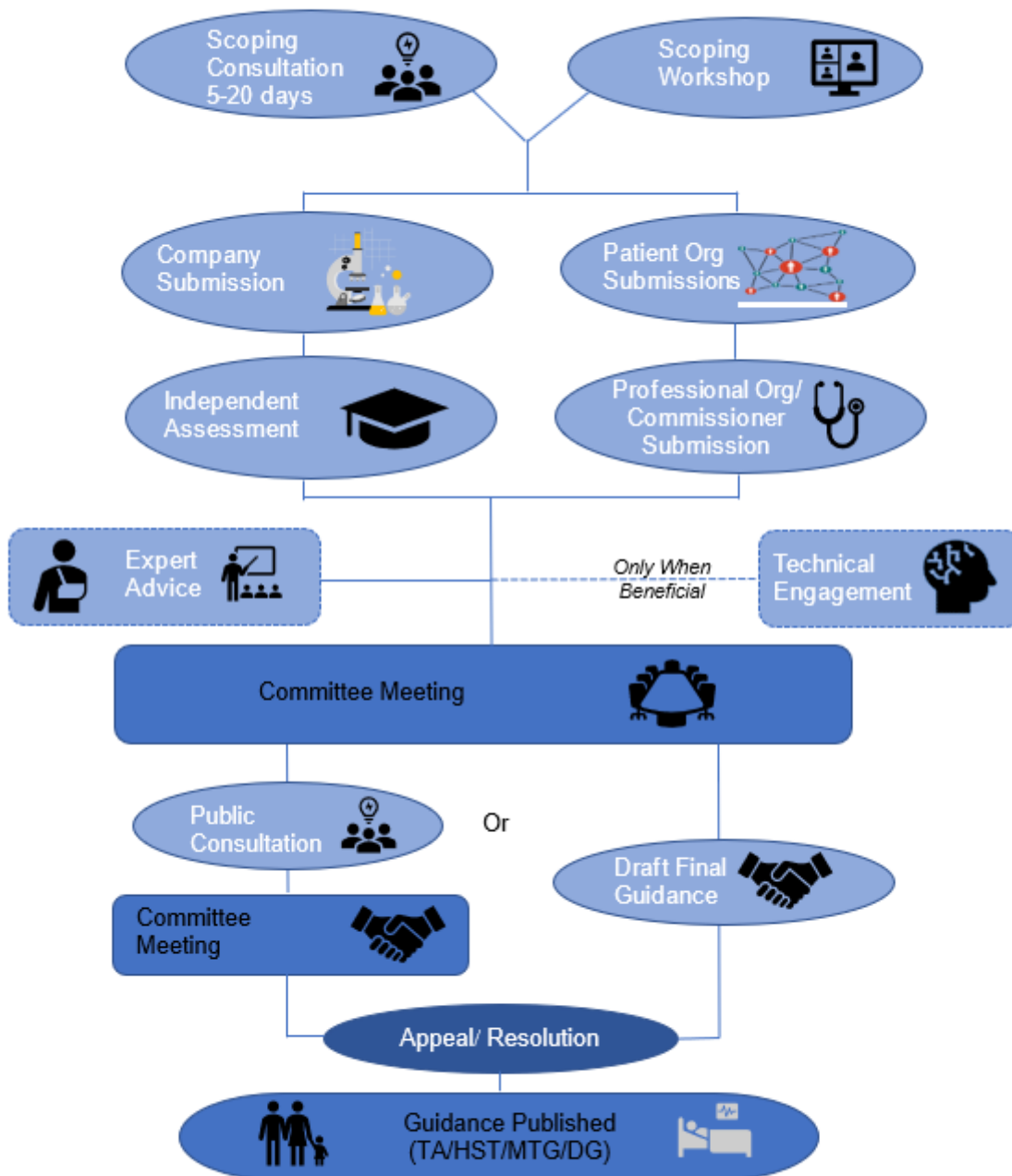
- Utvalg («topic selection»)
- Metoder for helseteknologisk evaluering
- Prosesser for helseteknologisk evaluering

I gjennomgangen av utvalget («topic selection») ser man på hvordan man avgjør hvilke legemidler, medisinsk utstyr etc. som skal evalueres, samt hvordan man velger hvilke vurderingssystemer legemiddelet eller metoden skal omfattes av. Vurderingssystemene er: Diagnostics, Highly specialised technologies, Interventional procedures, Medical technologies, Technology appraisal. I den pågående gjennomgangen, har man laget en ny, felles manual for utvalg, som erstatter de tidligere systemene.

³¹³ NICE. *Technology appraisal guidance*. Hentet 1. april 2021 fra: <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance>

Figur 8: Forslag til fleksibel evalueringsprosess³¹⁴

Appendix 2 - Single Flexible Evaluation Process – TA/HST/DAP/MTEP



³¹⁴ NICE. *Review of the health technology evaluation processes*. 4. februar 2021. Hentet 20. april 2021 fra: [Reviewing our process for health technology evaluation: consultation](#) | [NICE guidance](#) | [Our programmes](#) | [What we do](#) | [About | NICE](#)

Gjennomgangen av metoden i NICE dekker blant annet «modifikatorer», evidens og livskvalitet. «Modifikatorer» er faktorer eller omstendigheter som gjør det hensiktsmessig å avvike fra prinsippet om at alle helsegevinster har samme verdi. Det kan knyttes til hvordan man ser på udekkede behov, kurative behandlinger, sykdomsbyrde og alvorlighetsgrad, grad av innovasjon i en teknologi og så videre. For eksempel kan sjeldne diagnoser da ha en terskelverdi på £ 50,000 per QALY, i stedet for standardterskelverdien på £ 20,000 - £ 30,000 per QALY. Et annet område som inngår i gjennomgangen er evidens. Spørsmål som stilles er for eksempel hvordan man ser på randomiserte og ikke-randomiserte studier, og ulike typer evidens, for eksempel «real world»-evidens, pasientevidens og så videre. I gjennomgangen ser man også på utfordringer ved å måle og vurdere livskvalitet. Dette kan for eksempel gjelde livskvaliteten til barn, omsorgspersoner og personer med sjeldne diagnoser. Diskonteringsrenten dekkes også av gjennomgangen, og det ble diskutert om den skulle endres fra dagens 3,5% til 1,5%. Det har blitt fastslått at diskonteringsrenten på 3,5 % beholdes, men NICE ønsker å senke den til 1,5 % dersom det er mulig.³¹⁵

Gjennomgangen av prosessen³¹⁶ har som overordnet mål å forbedre helsen til personer som bruker NHS, og å underbygge likeverdig tilgang for de mest trengende, samt å sikre «good value» for NHS. Man håper også at gjennomgangen vil bidra til leverandørenes interesse for at Storbritannia skal være et «first-launch» land for viktige og lovende nye teknologier. Dette kan sikre at folk får tilgang til teknologiene så raskt som mulig. Forslagene som er fremmet i tilknytning til gjennomgangen av prosessen, omfatter utvikling av en forenklet felles prosess for alle programmer som «Centre for Health Technology Evaluation» (CHTE) har ansvar for. Høringsdokumentet som omhandler prosessen beskriver hvordan antall teknologier, både legemidler og medisinsk utstyr, forventes å øke. Dokumentet beskriver hvordan dette raskt vil ta opp en stor del av NICE's kapasitet i fremtiden. Det foreslås derfor å vurdere om det i noen tilfeller, med økt indikasjon for en tidligere evaluert teknologi, vil være mulig å gjennomføre en enklere evaluering. Dokumentet beskriver også hvordan en vanlig fleksibel evalueringsprosess kan se ut, se figur 8 over.

Skottland

4.1 Helsetjenester i Skottland

Skottland hadde i 2019 ca. 5,5 millioner innbyggere³¹⁷ og er inndelt i 14 helseregioner. National Health Service Scotland (NHS Scotland) leverer de fleste helsetjenestene, som i Skottland i hovedsak er skattefinansiert. NHS Scotland omfatter både primær- og spesialisthelsetjenester.

The Scottish Medicines Consortium (SMC) gjør metodevurderinger på nasjonalt nivå, og har som oppgave å gi anbefalinger til landets regioner (NHS Boards) omkring status på nye legemidler og nye indikasjoner for legemidler. SMC skal fange opp beste praksis og erfaringer nasjonalt. Alle helseregioner er med i SMC, og deltar i beslutningsprosessen.

³¹⁵ NICE. *Methods, processes and topic selection for health technology evaluation. Proposals for change*. Hentet 10. august 2021 fra: [Methods, processes and topic selection for health technology evaluation: proposals for change | NICE guidance | Our programmes | What we do | About | NICE](#)

³¹⁶ NICE. *Reviewing our process for health technology evaluation. Consultation*. Hentet 20. april 2021 fra: [Reviewing our process for health technology evaluation: consultation | NICE guidance | Our programmes | What we do | About | NICE](#)

³¹⁷ National Records of Scotland. *Population of Scotland*. Hentet 17. mai 2021 fra: <https://www.nrscotland.gov.uk/statistics-and-data/statistics/scotlands-facts/population-of-scotland>.

4.2 Scottish Medicines Consortium (SMC)³¹⁸

4.2.1 Organisasjon

The Scottish Medicines Consortium (SMC) utfører HTA og ble etablert i 2002.³¹⁹ Før etableringen var det lokale komiteer i hver av de 14 helseregionene som ga råd til styret for regionens NHS om innføringen av nye metoder. SMC består av en Executive-gruppe, et støtteteam og de to komiteene SMC og NDC (New Drugs Committee). SMC vurderer både nye legemidler, endring i indikasjoner og hvordan behandlingen gjennomføres.

SMC-komiteen avgjør om det skal innføres et legemiddel i NHS Skottland. Det består av om lag opp til 40 medlemmer som er en del av Healthcare Improvement Scotland. Komiteen møtes en gang pr. måned. Alle 14 helseregioner er representert. Komiteen er bredt sammensatt for å inkludere både klinisk fagekspertise og et bredere samfunns-perspektiv, og er representert med blant annet klinikere, farmasøyter, medlemmer av styret for NHS, legemiddelindustrien og representanter fra offentlig sektor. I komiteen sitter også tre borgere (public partners). Alle medlemmer i komiteen har stemmerett.³²⁰ Borgere rekrutteres ved å fylle ut et nettbasert søknadsskjema og gjennomføre et intervju.

New Drugs Committee (NDC). Dette «arbeidsutvalget» er sammensatt av klinikere, farmasøyter og representanter for legemiddelindustrien. Denne gruppen evaluerer de kliniske og finansielle dataene fra leverandørene. NDC kommer med forslag til anbefalinger til SMC. Executive-gruppen støtter SMC i sitt arbeid med for eksempel prosess- og policyarbeid. Executive-gruppen består av ledere og nestledere i SMC-komiteen og NDC, samt senior-medarbeidere i SMC.

SMC og NDC understøttes av et faglig team med kompetanse innenfor bl.a. medisin og økonomi. NDC trekker også inn råd fra et nettverk av kliniske eksperter for de kliniske spesialitetene som ikke er til stede i komiteene.

PIN-gruppen (Public Involvement Network) består av pasienter og omsorgspersoner som gir informasjon om sine erfaringer. PIN arbeider også med hvordan SMC kan utvikle samarbeidet med pasienter, omsorgspersoner og allmennheten.

Representanter fra legemiddelindustrien utgjør SMC User Group Forum, som jobber med tekniske spørsmål og spørsmål knyttet til prosesser. SMC User Group Forum samarbeider med SMC.

4.2.2 Det rettslige grunnlaget for beslutningstakerne

SMC er forpliktet til å utøve sitt arbeid i tråd med det rettslige grunnlaget i helsesektoren for øvrig.³²¹ Arbeidet og samarbeidet mellom helsemyndighetene og regjeringen er beskrevet i et eget rammeverk.³²²

³¹⁸ SMC. Scottish Medicines Consortium. Hentet 20. mai 2021 fra: [SMC | Scottish Medicines Consortium](#)

³¹⁹ SMC (2018) *A Guide to the Scottish Medicines Consortium*. Hentet 20. mai 2021 fra: [20180712-a-guide-to-the-scottish-medicines-consortium.pdf \(scottishmedicines.org.uk\)](#)

³²⁰ SMC. *Public Partners*. Hentet 20. mai 2021 fra: <https://www.scottishmedicines.org.uk/about-us/public-involvement/public-partners/>

³²¹ SMC. *Policies and publications*. Hentet 13. september 2021 fra: <https://www.scottishmedicines.org.uk/about-us/policies-publications/>

³²² Health Improvement Scotland. *Operating Framework: Healthcare Improvement Scotland and Scottish Government*. December 2018. Hentet 13. september 2021 fra:

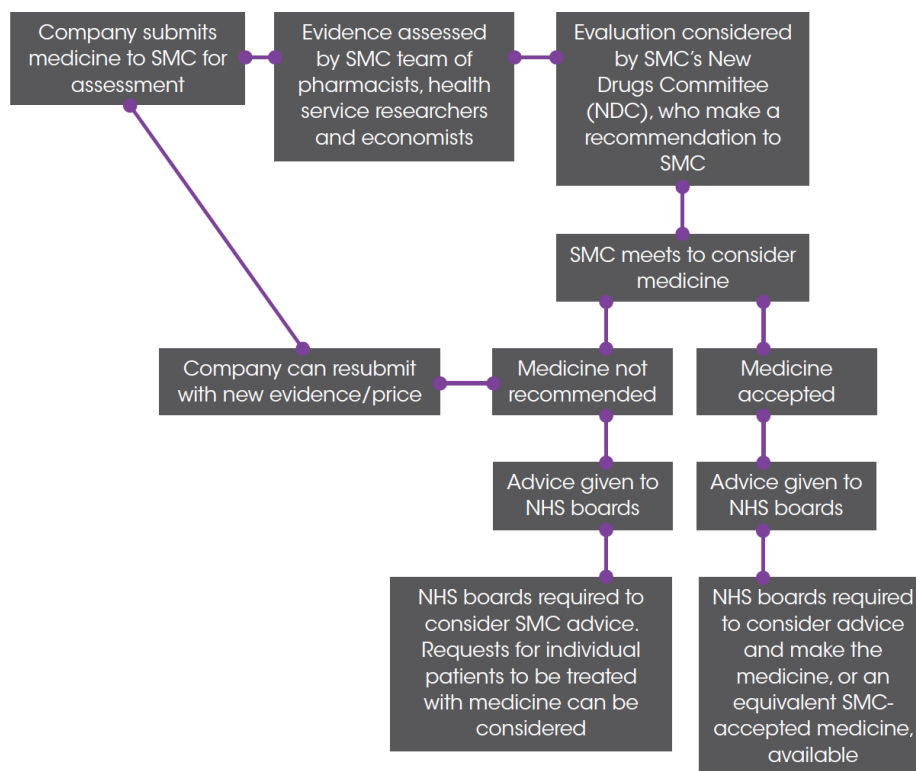
4.2.3 Saksbehandlings- og beslutningsprosess

Prosesen for innføring av produkter (legemidler) i SMC består av flere steg, illustrert i figur 9 og beskrevet nedenfor.³²³

Prosesen starter med at et selskap søker om å bli evaluert og slutter med at SMC kommer med en anbefaling som NHS i utgangspunktet alltid følger.

- Trinn 1: En leverandør ber om å få sende inn en legemiddelsøknad til SMC for vurdering
- Trinn 2: Dokumentasjonen for søknaden vurderes av SMC-teamet
- Trinn 3: Vurderingen behandles i NDC, som gir en anbefaling til SMC
- Trinn 4: SMC beslutter om metoden kan innføres eller ikke, og gir anbefaling til NHS
- Trinn 5: NHS vurderer anbefaling fra SMC

Figur 9: Prosesskart for HTA i Skottland³²⁴



http://www.healthcareimprovementscotland.org/previous_resources/policy_and_strategy/sg_his_operating_framework.aspx

³²³ SMC. (2018) *A Guide to the Scottish Medicines Consortium*. Hentet 18. mai 2021 fra: [20180712-a-guide-to-the-scottish-medicines-consortium.pdf \(scottishmedicines.org.uk\)](https://www.scottishmedicines.org.uk/guides-to-the-scottish-medicines-consortium.pdf)

³²⁴ SMC. (2018) *A Guide to the Scottish Medicines Consortium*. Hentet 18. mai 2021 fra: [20180712-a-guide-to-the-scottish-medicines-consortium.pdf \(scottishmedicines.org.uk\)](https://www.scottishmedicines.org.uk/guides-to-the-scottish-medicines-consortium.pdf)

Prosessen forventes å normalt ta 18 uker. For «orphan» legemidler, og legemidler som brukes ved livets slutfase («end of life treatment»), holdes det noen ganger et ekstra møte innenfor rammen av «Patient and Clinician Engagement» (PACE), noe som betyr at prosessen kan ta 22-26 uker. Selv noen legemidler som er kompliserte på andre måter, for eksempel flere komplekse kliniske studier og analyser, betyr at prosessen tar lengre tid enn 18 uker.³²⁵

SMC publiserer, på en offentlig nettside, tidslinjer med datoer for alle trinn i prosessen i det kommende året, basert på datoene da NDC og SMC har møter. I tidslinjen fremgår datoen for:

- Når leverandøren må levere søknaden,
- Når NDC sender sitt forslag til leverandøren,
- Når pasientgrupper kan sende inn dokumentasjon
- Når leverandøren må svare på spørsmål fra SMC.
- Når SMC holder møte for å beslutte anbefalingen
- Når leverandøren og NHS Scotland mottar anbefalingen
- Når den konkurrerende leverandøren mottar anbefalingen
- Når leverandøren skal svare SMC
- Når SMC-anbefalingen publiseres på SMCs nettsted.

«Horizon scanning»

SMC har også ansvar for horizon scanning.³²⁶ SMC har som mål å forbedre økonomisk planlegging på regionalt nivå gjennom innsamling av data omkring legemidler som er under utvikling.³²⁷

Det lages en årlig rapport som presenterer nye «high impact» legemidler. Dette er legemidler som bl.a. vil kunne føre til bruk tilsvarende 0,5 mill.£ per år.

Søknad

Leverandøren sender inn en søknad om å få sitt legemiddel vurdert. Samarbeidet mellom SMC og legemiddelindustrien er beskrevet i veilederen *Working with SMC – a guide for manufactures*.³²⁸ Det er utarbeidet en mal for innsending av dokumentasjon.

Det nye produktvurderingsskjemaet (The New Product Assessment Form, NPAF) er publisert på SMCs hjemmesider.³²⁹ Det finnes også retningslinjer for hvilke opplysninger som skal inkluderes i dokumentet, som for eksempel klinisk dokumentasjon og økonomi. For «ultra-orphan» legemidler brukes det et spesielt NPAF-dokument .

I tillegg til en såkalt standardprosess, er det prosesser for medisiner ved sjeldne diagnoser og livets slutfase («end of life treatment»), for «ultra-orphan» legemidler, og for medisiner som har betinget godkjenning («conditional approval»).

³²⁵ SMC. *Making a submission*. Hentet 25. mai 2021 fra: [Making a submission \(scottishmedicines.org.uk\)](https://www.scottishmedicines.org.uk/making-a-submission/)

³²⁶ SMC. *Guidance on Horizon Scanning Process*. Hentet 27. mai 2021 fra: <https://www.scottishmedicines.org.uk/media/4492/smc-guidance-on-horizon-scanning-june-2019.pdf>

³²⁷ SMC. *Horizon scanning*. Hentet 28. mai 2021 fra: <https://www.scottishmedicines.org.uk/about-us/horizon-scanning/>

³²⁸ SMC. *Making a submission*. Hentet 25. mai 2021 fra: <https://www.scottishmedicines.org.uk/making-a-submission/>

³²⁹ SMC (2021) *Guidance to submitting companies for completion of New Product Assessment Form (NPAF)* September 2021. Hentet 4. oktober 2021 fra: [Introduction \(scottishmedicines.org.uk\)](https://www.scottishmedicines.org.uk/introduction/)

En leverandør kan søke om at legemidlet kun skal forholde seg til en undergruppe, det vil si at søknaden ikke gjelder hele befolkningen som legemidlet er godkjent for. Dette skal da fremgå av søknaden.

Vurdering av støttedokumenter for søknaden

Så snart en leverandør sender inn en søknad, gjennomfører et team innen SMC en første gjennomgang av søknaden for å sikre at søknaden er fullført. Søknaden går deretter til NDC.

Vurdering av søknaden

NDC evaluerer en leverandørs søknad, og gjennomgår kliniske og økonomiske bevis basert på tilgjengelige retningslinjer.³³⁰ Den helseøkonomiske analysen vil bli utført fra perspektivet til NHS Scotlands perspektiv og pleie- og omsorgstjenestene (social work, tilsvarende Personal Social Services i England).

Kostnadsdata bør se på skotske forhold og først og fremst på listepriser for NHS. Ressursbruksdata skal gjelde for Skottland, men Storbritannia vil også bli akseptert.

Komparator kan være et legemiddel eller annen behandling som nå brukes i klinisk praksis i Skottland, for indikasjonen som søknaden gjelder. Veilederen beskriver at alle relevante komparatorer bør identifiseres, og at praksis noen ganger kan variere mellom Skottland og Storbritannia.

Kostnadsnytte-analyser med kvalitetsjusterte leveår (QALY) anbefales. Kostnadsminimeringsanalyse kan brukes hvis det evaluerte legemidlet har samme helseeffekt som komparatoren.

SMC har ikke en eksplisitt terskelverdi for IKER, men NICE's terskelverdi nevnes som en slags referanse. Tidshorizonten for å vurdere klinisk og økonomisk effekt skal være tiltrekkelig lang, slik at endringer i kostnader og utfall ved sammenligning av legemidler reflekteres.

En diskonteringsrente på 3,5 prosent brukes for både kostnader og helseeffekter. Dersom resultatene er følsomme for diskonteringsrenten, skal det benyttes en sensitivitetsanalyse som vil bruke en diskonteringsrente på både 0 prosent og 6 prosent.

Basert på denne tekniske evalueringen gir NDC foreløpige råd til leverandøren. Leverandøren får da anledning til å sende inn svar på spørsmål, eller avklaringer om tvetydigheter, innen 10 virkedager. Dette overlates til SMC-komiteen for deres behandling.

PACE

Alle legemidler skal først behandles på ordinær måte av NDC. Hvis NDC i standardprosessen anbefaler at metoden ikke skal innføres, kan leverandøren av «orphan» legemidler, og legemidler ved livets slutt («end of life treatment»), kreve at man gjennomfører et møte innenfor rammen av «*Patient and Clinician Engagement*» (PACE).³³¹ PACE er etablert for å styrke medvirkning fra pasientgrupper og klinikere i SMCs beslutninger. Pasienter og klinikere møtes for i fellesskap å fremheve de bredere

³³⁰ SMC (2021) *Guidance to submitting companies for completion of New Product Assessment Form (NPAF)* September 2021. Hentet 4. oktober 2021 fra: [Introduction \(scottishmedicines.org.uk\)](https://www.scottishmedicines.org.uk/introduction)

³³¹ SMC. *Patient and Clinician Engagement (PACE) Meetings Overview*. Hentet 28. mai 2021 fra: [pace-overview-document-v34.pdf \(scottishmedicines.org.uk\)](https://www.scottishmedicines.org.uk/pace-overview-document-v34.pdf)

effektene av behandling som er vanskelig å kvantifisere og fange opp via QALY og den vanlige analysen. Dette forlenger imidlertid prosessen 1-3 måneder.³³² Et PACE-møte ledes av en representant for SMC/NDC og består i tillegg av en representant for en «SMC public partner», klinikere og representanter for pasientforeninger.

Patient Access Schemes (PAS)

Pasienttilgangsordninger (Patient Access Scheme, PAS) er et system som leverandøren kan foreslå for å øke kostnadseffektiviteten for legemidler. Selskapene må be om dette allerede når de sender inn søknaden sin til SMC-sekretariatet. Leverandører som produserer legemidler for sjeldne diagnoser og legemidler ved livets slutt («end of life treatment») kan også søke om Patient Access Scheme til etter at NDC har foreslått å ikke innføre legemiddelet.³³³ PAS skal bidra til å styrke kostnadseffektiviteten av den aktuelle behandlingen. For at et PAS skal legges til grunn for beslutningen i SMC, skal PAS først være akseptert av en egen komite – «the Patient Access Scheme Assessment Group» (PASAG). PASAG skal, på vegne av NHS Scotland, sørge for at vurderingen som gjøres av PAS er målrettet og uavhengig. PASAG gir også råd om implementering i helseregionene. PASAG ledes av en finansdirektør og en legemiddeldirektør, og er bredt sammensatt av medlemmer fra NHS Scotland, primær- og spesialisthelsetjenesten, leverandører/industrien, klinikere m.m.³³⁴ En representant fra Association of the British Pharmaceutical Industry (ABPI) er også medlem av gruppen.

Det finnes to typer PAS, enkle rabattordninger og mer komplekse ordninger.³³⁵ Rabattordninger skal gjelde all bruk av legemiddelet, finansiert av NHS, både i primær- og spesialisthelsetjenesten. Som del av den enkle rabattordningen brukes rabatten på alt innkjøp av et legemiddel i et PAS. Det settes ikke krav til identifisering av enkeltpasienter. Den enkle rabattordningen er den foretrukne i NHS Scotland, ettersom det ikke pålegger NHS eller leverandørene ekstra kostnader.

Komplekse PAS kan bl.a. inneholde bestemmelser om

- Rabatter
- Om gratis leveranse
- Begrensninger i maksimal dosering eller utgift
- Resultatbasert prising

PAS kan også introduseres som et svar på endringer i f.eks. eierskap til legemiddelet, nye pakkestørrelser/doseringer, mv. Normalt skal leverandørene forhandle PAS før SMC behandler søknad om innføring av et nytt legemiddel, men det er også en formell åpning for å foreslå en PAS i løpet av to uker etter at SMC har behandlet saken første gang.

Det er utformet retningslinjer for utforming og bruk av PAS. Det er både absolutte og veiledende krav. I retningslinjene legges det vekt på at komplekse PAS gir til dels store merkostnader for NHS. Derfor legger retningslinjene opp til lav aksept for komplekse PAS.

³³² SMC (2021) *Working with SMC - A guide for manufacturers*. Juli 2021. Hentet 26. august 2021 fra: [working-with-smc.pdf \(scottishmedicines.org.uk\)](https://www.scottishmedicines.org.uk/working-with-smc.pdf)

³³³ SMC (2021) *Working with SMC - A guide for manufacturers*. Juli 2021. Hentet 26. august 2021 fra: [working-with-smc.pdf \(scottishmedicines.org.uk\)](https://www.scottishmedicines.org.uk/working-with-smc.pdf)

³³⁴ En uttømmende liste inkluderer NHS Scotland, i tillegg til spesialister med bakgrunn fra akutt-, primær- og spesialisthelsetjenesten, klinikk, apotek, økonomi, ledelse, anskaffelser, folkehelse og tjeneste- og informasjonsarbeid.

³³⁵ NHS. *Patient Access Scheme (PAS) Guidance*. Hentet 28. mai 2021 fra: [pas801-018-v9-nhsscotland-pas-guidance.pdf \(scottishmedicines.org.uk\)](https://www.scottishmedicines.org.uk/pas-guidance.pdf)

Beslutning

SMCs evaluering er basert på relativ klinisk effekt og kostnadseffektivitet og et solid grunnlag der det kan påvises at virkestoffet gir verdi for pengene. I noen tilfeller aksepteres en høyere usikkerhet i helseøkonomisk evaluering eller høyere IKER, disse faktorene kalles «modifikatorer». En høyere usikkerhet er akseptert for «orhan» legemidler (sjeldne sykdommer som rammer færre enn 5 av 10,000 individer), for eksempel fordi denne gruppen kan ha kliniske studier med færre pasienter, noe som betyr mindre data om effekt og sikkerhet, for eksempel. SMC aksepterer også større usikkerhet og en høyere IKER for legemidler som behandler livstruende sykdommer, legemidler som øker forventet levealder og/eller livskvalitet betydelig, og legemidler som forbedrer pasientens sykdom, og ikke bare stabiliserer den. SMC har ingen formell terskelverdi.³³⁶ Samtidig nevnes terskelverdiene som brukes av NICE.

SMC-komiteen fatter vedtak på sine månedlige møter. Disse møtene er offentlige. Når det diskuteres konfidensiell informasjon, etterfølges det offentlige møtet av et lukket møte. Avstemningen finner også sted i en lukket økt. Utfallet er basert på et enkelt flertall og antall stemmer er konfidensielt.

Mulige utfall kan være³³⁷:

- Legemiddelet innføres
- Legemiddelet innføres med restriksjoner eller bare for deler av pasientpopulasjonen
- Legemiddelet innføres midlertidig
- Legemiddelet innføres ikke

SMC kan gi «ultra-orphan» legemidler midlertidig innføring i tre år, under forutsetning av at SMC vurderer dem som klinisk effektive. I løpet av denne tiden samles det inn ytterligere data. Da denne muligheten ble innført, understreket regjeringen viktigheten av at legemiddelindustrien tar sin del av ansvaret:

Given ultra-orphan drugs are often very expensive, it is also vital that pharmaceutical companies play their part and bring a fair price, first time, to the process.³³⁸

SMC kan også anbefale midlertidig innføring av legemidler som har betinget godkjenning («conditional approval»).

Når SMC har behandlet søknaden, mottar leverandøren som søker informasjon om vedtaket. Deretter informeres den konkurrerende leverandøren (for komparatoren), og NHS Scotland. Beslutningen publiseres ikke umiddelbart, fordi NHS Scotland først må få tid til å gjøre sine forberedelser, for eksempel organisatoriske endringer. Dokumentasjon publiseres på SMCs nettside, der det er mulig å søke etter spesifikke produkter («Medicines Advice», scottishmedicines.org.uk)

Når SMC har bestemt seg for ikke å anbefale et legemiddel, har leverandøren muligheten til å søke på nytt. Fra januar 2020 er det et raskt spor for dette, i tilfeller der selskapet er villig til å gjennomgå prisene for virkestoffet, innen tre måneder etter den opprinnelige SMC-beslutningen. I disse tilfellene kan den håndteres direkte av SMC-

³³⁶ SMC. *SMC modifiers used in appraising new medicines*. Hentet 28. mai 2021 fra: [Microsoft Word - modifiers 2 \(scottishmedicines.org.uk\)](http://scottishmedicines.org.uk/modifiers-2)

³³⁷ SMC (2018) *A Guide to the Scottish Medicines Consortium*. Hentet 20. mai 2021 fra: [20180712-a-guide-to-the-scottish-medicines-consortium.pdf \(scottishmedicines.org.uk\)](http://scottishmedicines.org.uk/20180712-a-guide-to-the-scottish-medicines-consortium.pdf)

³³⁸ Scottish Government. *Treatments for rare conditions*. 18 juni 2018. Hentet 20. mai 2021 fra: [Treatments for rare conditions - gov.scot \(www.gov.scot\)](http://www.gov.scot/Treatments-for-rare-conditions)

komiteen med en estimert tid på 14 uker, det vil si at NDC ikke trenger å behandle saken igjen.³³⁹

Innføring

Når SMC beslutter å godkjenne et legemiddel så forventes det at styret i NHS følger SMCs anbefaling. Et legemiddel kan ikke innføres som standard behandling i NHS Scotland hvis det ikke er anbefalt av SMC. Det heter videre at alle NHS-regionene har prosedyrer for å bruke metoder som er avvist av SMC unntaksvis for individuelle pasienter.³⁴⁰

4.3 Gjennomgang av beslutningssystemet

I desember 2016 ble en uavhengig gjennomgang av beslutningssystemet for legemidler for sjeldne diagnoser, og legemidler for livets slutfase («end of life treatment»), ledet av Dr Brian Montgomery, publisert. Hensikten med gjennomgangen var å sikre tidlig og sikker tilgang til effektive legemidler til rimelige priser.³⁴¹ I 2018 innførte den skotske regjeringen en ny definisjon av «ultra-orphan» legemidler, for å behandle svært sjeldne diagnoser som rammer færre enn 1 av 50.000 individer. Dette ga SMC muligheten til også å gi en midlertidig godkjenning på 3 år mens mer data samles inn, slik at stoffet deretter evalueres i standardprosessen.

4.4 Scottish Health Technologies Group (SHTG)

Scottish Medicine Consortium tilsvarende for det nasjonale beslutningssystemet for medisinsk utstyr er Scottish Health Technologies Group (SHTG). Teknologiene som gjennomgås av SHTG inkluderer tester, utstyr, prosedyrer, digitale hjelpemidler, etc.³⁴²

SHTG består av Executive team, SHTG The Council, SHTG The Evidence Review Team and Medtech Forum.³⁴³

SHTG er det skotske HTA-byrået som gir råd til NHS Scotland om bruk av nye og eksisterende teknologier som kan ha store konsekvenser for helsevesenet i Skottland. Executive Team gir strategisk støtte til å utvikle SHTG. The Council har ansvar for å bestemme seg for anbefalinger til NHS Scotland, og gruppen inkluderer representanter fra myndigheter og helsetjenesten, men også fra Association of British Healthcare Industries og personer med kompetanse innen HTA. Møter finner sted omtrent annenhver måned. Vedtak om anbefalinger fattes ved flertallsvedtak. Evidence Review Team utvikler dokumentasjon og utkast til anbefalinger, samt konsulterer interessenter.

Beslutningene er publisert på SMCs nettsted der man kan søke etter produkter under «Our advice» (shtg.scot).

³³⁹ SMC. Guidance to submitting companies: fast-track resubmission process. Hentet 31. mai 2021 fra: [guidance-to-submitting-companies-fast-track-resubmission-process.pdf](https://www.scottishmedicines.org.uk/guidance-to-submitting-companies-fast-track-resubmission-process.pdf) ([scottishmedicines.org.uk](https://www.scottishmedicines.org.uk))

³⁴⁰ SMC (2018) *A Guide to the Scottish Medicines Consortium*. Hentet 20. mai 2021 fra: [20180712-a-guide-to-the-scottish-medicines-consortium.pdf](https://www.scottishmedicines.org.uk/20180712-a-guide-to-the-scottish-medicines-consortium.pdf) ([scottishmedicines.org.uk](https://www.scottishmedicines.org.uk))

³⁴¹ Scottish Government. *Review of Access to New Medicines*. 14 desember 2016. Hentet 12. mai 2021 fra: [Review of Access to New Medicines - gov.scot](https://www.gov.scot/Review-of-Access-to-New-Medicines) (www.gov.scot)

³⁴² SHTG. What are health technologies? Hentet 12. august 2021 fra: [What are health technologies](https://www.shtg.scot/What-are-health-technologies) ([shtg.scot](https://www.shtg.scot))

³⁴³ SHTG. The Scottish Health Technologies Group (SHTG) Standing orders. Juni 2020. Hentet 12. august 2021 fra: [20200819-standing-orders-10-june20.pdf](https://www.shtg.scot/20200819-standing-orders-10-june20.pdf) ([shtg.scot](https://www.shtg.scot))

Vedlegg 2: Informantliste og deltakere i referansegruppa

Navn	Institusjon
Anonym	Leverandør
Anonym	Leverandør
Bjørnar Allgot	Diabetesforbundet
Einar Andreassen	Statens Legemiddelverk
Anne Grete Bechensteen	Oslo universitetssykehus
Elin Bjørnhaug	Statens Legemiddelverk
Bjørn Magnus Bjørnstad	Legemiddelindustrien (LMI)
Pål Jakob Bodin	Pfizer
Sigrid Bratlie	Kreftforeningen
Aisla Brown	Scottish Medicines Consortium (Executive), Skottland
Kjetil Gundro Brurberg	Folkehelseinstituttet
Odd Terje Brustugen	Drammen sykehus
Elisabeth Bryn	Statens Legemiddelverk
Inger Cathrine Bryne	Helse Vest
Katrine Bryne	Legemiddelindustrien (LMI)
Elisabeth Gulowsen Celius	Institutt for klinisk medisin, UiO
Gry Dahle	Oslo universitetssykehus
Cecilie Daae	Helse Nord
Lars Eikvar	Helse Sør-Øst
Hannes Eriksson	Novartis Luxturna
Sissi Leyell Espetvedt	Helsedirektoratet
Signe Flottorp	Folkehelseinstituttet
Petter Foss	Novartis Oncology
Hege Fredhall	Sekretariatet for Nye metoder
Gunn Fredriksen	Helse Midt-Norge
Magne Wang Fredriksen	MS-forbundet
Jan Frich	Helse Sør-Øst
Katrine Bjørnebek Frønsdal	Folkehelseinstituttet
Odd-Jan Gjeruldsen	Celgene
Veronica G. Gran	Novartis Luxturna
Ingvild Grendstad	Helsedirektoratet
Bjørn Inge Gustafsson	Helse Midt-Norge
Nina Gustavsen	Oslo universitetssykehus

Kåre Birger Hagen	Folkehelseinstituttet
Geir Halfdansen	Ortomedic
Marianne Hammer	Kreftforeningen
Steen Werner Hansen	Medicinrådet (Rådet), Danmark
Niklas Hedberg	Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, Sverige
Reino Heikkilä	Oslo universitetssykehus
Ingrid Bjørseth Heikkilä	Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet
Daniel Heinrich	Den norske legeforening
Jutta Heix	CONNECT
Joachim Henriksen	Pfizer
Jan Peter William Himmels	Folkehelseinstituttet
Camilla Hjelm	Statens Legemiddelverk
Kirsti Hjelme	Statens Legemiddelverk
Stine Høibak-Nissen	Kreftforeningen
Audun Hågå	Statens legemiddelverk
Jan Anders Istad	Celgene
Gunn Signe Jacobsen	Oslo universitetssykehus
Bente Kristin Johansen	Den norske legeforening
Heidi Möller Johnsen	Medicinrådet (Sekretariatet), Danmark
Henriette Ellefesen Jovik	Melanor
Lene Kristine Juvet	Folkehelseinstituttet
Andrej Khanevski	Den norske legeforening
Karoline Knutsen	Legemiddelindustrien (LMI)
Martin Krekling	Abbott
Finn Børlum Kristensen	Syddansk Universitet, Danmark
Maria Kvamme	Pfizer
Beate Charlotte Fagerlund Kvist	Folkehelseinstituttet
Vigdis Lauvrak	Folkehelseinstituttet
Gerd Lärfars	NT-rådet (Rådet for nye terapier), Sverige
Martin Robert Lerner	Folkehelseinstituttet
Jan Liliemark	MTP-rådet (Rådet för Medicintekniska produkter), Sverige
Ulrikke Højslev Lund	Folkehelseinstituttet
Douglas Lundin	Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, Sverige
Thomas Lundquist	Bluebird Bio
Anita Lyngstadaas	Den norske legeforening
Asbjørn Mack	Sykehusinnkjøp HF

Øyvind Melien	Oslo universitetssykehus
Kjell-Morten Myhr	Haukeland universitetssjukehus
Tommy Juhl Nielsen	Sykehusinnkjøp
Ellen Nilsen	Sekretariatet for Nye metoder
Kirsti Nyhus	Abbvie
Tove Ofstad	Roche Diagnostics Norge AS
Audun Ohna	Roche
Karin Oresland	Edwards Lifesciences
Trygve Ottersen	Folkehelseinstituttet
Jennifer Prescott	Programme Director, Process and operations, NICE, England
Magnhild Rasmussen	Oslo universitetssykehus
Nikolai Riise	Sykehusinnkjøp HF
Anne Marthe Ringerud	Sykehusinnkjøp HF
Bjarne Robberstad	Folkehelseinstituttet
Terje Rootwelt	Oslo universitetssykehus
Ingrid Stenstadvold Ross	Kreftforeningen
Hilde Røshol	Statens Legemiddelverk
Kristian Samdal	Statens Legemiddelverk
Ellen Damhaug Scheel	Funksjonshemmedes fellesorganisasjon
Baard-Christian Schem	Helse Vest
Anja Schiel	Statens Legemiddelverk
Stig Arild Slørdahl	Helse Midt-Norge
Sigbjørn Smeland	Oslo universitetssykehus
Andreas Stensvold	Sykehuset i Østfold
Anna Karina Stoinska-Schneider	Folkehelseinstituttet
Camilla Stoltenberg	Folkehelseinstituttet
Grete Strand	Folkehelseinstituttet
Johannes Michael Strehle	Helse Nord
Geir Arne Sunde	Den norske legeforening
Iselin Dahlen Syversen	Sykehusinnkjøp HF
Kjartan Sælensminde	Helsedirektoratet
Halfdan Sørbye	Haukeland universitetssjukehus
Steinar Thoresen	Merck Group
Geir Tollåli	Helse Nord
Maria Julia Bidonde Torre	Folkehelseinstituttet
Malin Lenita Vik	Diabetesforbundet
Hege Wang	Helsedirektoratet
Leung-Ming Yu	Statens Legemiddelverk

Helene Öρθhagen	Sekretariatet for Nye metoder
Jens Østby	Biogen
Gudrun Sofie Østhassel	MS-forbundet
Eline Aas	Avdeling for helseledelse og helseøkonomi, UiO
Morten Aaserud	Statens Legemiddelverk

Deltakere i referansegruppa		
Institusjon	Navn	Stilling
Helse Midt-Norge RHF	Stig Slørdahl	Adm. dir.
Helse Nord RHF	Anita Schumacher	Adm. dir., UNN
Helse Vest RHF	Baard Christian Schem	Fagdirektør
Helse Sør-Øst RHF	Jan Frich	Fagdirektør
Folkehelseinstituttet	Trygve Ottersen	Områdedirektør
Statens legemiddelverk	Audun Hågå	Direktør
Helsedirektoratet	Hege Wang	Seniorrådgiver
Oslo universitetssykehus HF	Reino Heikkilä	Seksjonsleder
Sykehusinnkjøp HF	Tommy Juhl Nielsen	Avdelingsleder
Melanor	Henriette Ellefsen Jovik	Direktør bransjepolitikk
Legemiddelindustrien	Karoline Knutsen	Seniorrådgiver
Den norske legeforening	Geir Arne Sunde	Medlem av Legeforeningens sentralstyre, nestleder i Norsk overlegeforening
Kreftforeningen	Ingrid Stenstadvold Ross	Generalsekretær
Funksjonshemmedes fellesorganisasjon	Ellen Damhaug Scheel	Daglig leder, Norsk forening for cystisk fibrose

Vedlegg 3: Habilitetsvurderinger

Habilitetsvurdering og interessekonflikter, Probas prosjektteam – Evaluering av systemet for Nye metoder

Referansegruppa for evalueringsprosjektet ba i møte 15. januar 2021 om en habilitetsvurdering av prosjektteamet. Til bruk i dette arbeidet har vi anvendt Helsedirektoratets skjema for «Kartlegging av mulige interessekonflikter». Habilitetsspørsmål knyttet til enkeltforhold som har oppstått i løpet av arbeidet med prosjektet, har blitt vurdert fortløpende.

Samtlige medlemmer i prosjektteamet har innlevert signerte vurderingsskjema for kartlegging av mulige interessekonflikter. Dette gjelder:

- Jens Plahte (prosjektleder), Proba
- Audun Gleinsvik, Proba
- Stian Haugen, Proba
- Ivar Sønbo Kristiansen, uavh. fagekspert
- Kristin Bakke Lysdahl, uavh. fagekspert
- Aslak Syse, uavh. fagekspert
- Jenny Norlín, IHE
- Katarina Gralén, IHE
- Olav Helge Førde (kvalitetssikrer), uavh. fagekspert
- Anne Kjersti Befring (kvalitetssikrer), uavh. fagekspert

Probas tidligere og nåværende oppdragsgivere omfatter blant annet Helse- og omsorgsdepartementet (HOD), Helsedirektoratet og Folkehelseinstituttet. Proba AS utfører i perioden 2016-2022 prosjektet *Følgeevaluering av forsøk med statlig finansierte omsorgstjenester* på oppdrag fra Helsedirektoratet. Proba er underleverandør for Agenda Kaupang. Totalt omfang på Probas andel for perioden 2019-2022 er rundt kr. 700 000.

Proba AS utførte i 2020 prosjektet *Kartlegging av husvikartjenester i kommunene* på oppdrag fra HOD. Omfang: Kr. 550 000.

Proba AS utførte i 2019 prosjektet *Dybdeintervjuer – MoBa-undersøkelsen* på oppdrag fra Folkehelseinstituttet. Omfang: Kr. 150 000.

Det er ingen grunn til at Probas engasjement i disse prosjektene kan gi opphav til mulige interessekonflikter i det foreliggende evalueringsarbeidet. Det ble heller ikke lagt til grunn ved tildelingen av oppdraget.

Ansatte i Proba

Gleinsvik har ingen andre oppdrag – utover de forannevnte – som gir opphav til interessekonflikter. *Plahte* og *Haugen* er tidligere ansatte ved henholdsvis Folkehelseinstituttet og Helsedirektoratet. I seg selv gir ikke dette grunnlag for interessekonflikter i et evalueringsoppdrag av denne typen.

Ansatte ved IHE

Norlin og *Gralén* arbeider ved IHE – Institutet för Hälso- och Sjukvårdsekonomi, Gralén som Research Manager og Norlin som Research Director. IHE har oppdrag for myndigheter, foretak og organisasjoner som arbeider med ulike former for helse- og omsorgstjenester. IHE har både private og offentlige oppdragsgivere. Blant de private finnes et stort antall svenske og internasjonale legemiddelfirmaer og medisintekniske

foretak i det svenske markedet. Alle økonomiske oppgjør skjer mellom IHE og respektive oppdragsgivere. Verken Norlin eller Gralén har mottatt økonomisk oppgjør direkte fra IHEs oppdragsgivere. Ut fra disse forholdene foreligger det ikke interessekonflikter for deres deltakelse i dette evalueringsarbeidet.

Spesielt om Norlins habilitet

Fordi evalueringsprosjektet tar for seg Nye Metoder-sak nummer ID2019_046 om behandling av betatalassemi med Zynteglo, ble det 10. mars 2021 gjort en egen habilitetsvurdering av interesseforhold knyttet til Norlins arbeid med følgende rapport: Persson U, Norlin J. (2020). *Opportunities and challenges of an innovative payment model for Advanced Therapy Medicinal Products in Sweden – a hypothetical example in the treatment of β -thalassemia*. IHE Report 2020:3.³⁴⁴ Prosjektet som rapporten var resultat av, hadde som mål å diskutere mulighetene og utfordringene til en innovativ betalingsmodell for en ATMP³⁴⁵ i Sverige, ved å benytte Zynteglo i behandlingen av betatalassemi som et eksempel. Oppdragsgiver var Bluebird BIO, som innehar markedsføringstillatelsen for Zynteglo. Norlin hadde ansvar for den daglige prosjektstyringen, analysene og skriveingen av rapporten.

Habilitetsvurderingen er gjort med utgangspunkt i forvaltningsloven § 6 andre ledd: «Likeså er han ugild når andre særegne forhold foreligger som er egnet til å svekke tilliten til hans upartiskhet; blant annet skal legges vekt på om avgjørelsen i saken kan innebære særlig fordel, tap eller ulempe for ham selv eller noen som han har nær personlig tilknytning til. Det skal også legges vekt på om ugildhetsinnsigelse er reist av en part.»

I vurderingen tas det også hensyn til note 133 til loven i *Norsk Lovkommentar* – sist hovedrevidert 6. desember 2017 – der professor Jan Fridthjof Bernt skriver:

«Ved bruken av ordene «blant annet» går det frem at det ikke bare er slike fordeler og ulemper for vedkommende selv eller hans eller hennes nærstående som kan føre til inhabilitet. Også andre typer interesser kan komme inn – for eksempel der vedkommende i særlig grad har engasjert seg i en sak uten at det er tale om fordeler eller ulemper for ham eller henne selv eller hans eller hennes nærmeste, eller opptrådt som rådgiver eller påvirkningsagent for parten i det aktuelle saksforholdet. Vurderingen her vil imidlertid måtte bli noe ulik avhengig av om det er tale om embets- eller tjenestemann, eller et valgt eller oppnevnt medlem av et kollegialt organ.

For de siste må vi ta høyde for at et slikt engasjement kan være en legitim del av vedkommendes utøving av sitt verv, typisk som folkevalgt i kommunale eller fylkeskommunale organer, eller som interesserepresentant i et annet kollegialt forvaltningsorgan. Engasjement til fordel for et bestemt standpunkt vil da ikke så lett kunne anses som et «særegent forhold». Dette synspunktet er også viktig når det gjelder statsråder, statssekretærer og andre politisk oppnevnte. Her må man skille mellom tidligere engasjement av privat/personlig karakter og engasjement som springer ut av virksomheten som politiker og som er prinsipielt begrunnet, uten noe element av egeninteresse eller personlig forhold til parter. Politikere blir ikke inhabile bare fordi de har inntatt politisk begrunnede standpunkter, personlig eller med utgangspunkt i partiprogram.»

Norlins rolle i utarbeidelsen av denne rapporten er helt sentral, og det kan derfor med rette hevdes å representere et tilfelle av å «i særlig grad har engasjert seg i en sak». Saksforholdet som Proba skal vurdere i denne sammenhengen, er imidlertid om rapporten har vært tatt i betraktning og fått betydning idet Beslutningsforum forberedte og tok stilling til saken om behandling av betatalassemi med Zynteglo. Etter det som

³⁴⁴ Hentet 5. Oktober 2021 fra: https://ihe.se/wp-content/uploads/2020/05/IHE-Report-2020_3_.pdf

³⁴⁵ ATMP: Advanced Therapy Medicinal Products.

framgår av saksdokumentene for Beslutningsforum, var ikke dette et dokument som forelå i saksgrunnlaget, og Norlin kan derfor ikke hevdes å ha «opptrådt som rådgiver eller påvirkningsagent for parten i det aktuelle saksforholdet».

Norlins bidrag i en rapport om tilsvarende tema for svenske beslutningsfattere kan derfor ikke gjøre henne inhabil i vår vurdering av Beslutningsforums saksbehandling og beslutning vedrørende behandling av betatalassemi med Zynteglo. Vi finner derfor at det ikke foreligger forhold «som er egnet til å svekke tilliten til [hennes] upartiskhet» i denne vurderingen. Denne habilitetsavgjørelsen gjelder for de interesseforhold som er knyttet til Norlins arbeid med den angjeldende rapporten.

Ivar Sønbo Kristiansen

Kristiansen har som tidligere oppdragsgivere blant annet ulike virksomheter i offentlig sektor, legemiddel- og utstyrsleverandører, deres bransjeorganisasjoner, samt pasient- og brukerorganisasjoner. Oppdragene er utført gjennom hans enkeltpersonforetak og som assosiert partner i Oslo Economics.

Proba finner – med utgangspunkt i forvaltningsloven § 6 andre ledd som er gjengitt over³⁴⁶ – at Kristiansen ut fra disse forholdene isolert sett ikke har interessekonflikter inn i dette evalueringsarbeidet.

Interesseforhold knyttet til notat for Roche Legemidler Norge

I habilitetsvurdering av 9. mars 2021 fant vi imidlertid at et av Kristiansens tidligere oppdrag for *Roche legemidler Norge* er inhabiliserende for arbeid med MS-feltet i prosjektet, og det ble besluttet at han ikke skal arbeide med MS-relaterte eksempelsaker i evalueringsprosjektet. Vurderingen ble gjort fordi prosjektet tar for seg deler av MS-feltet som eksempelsak («case-studie»), og fordi Kristiansen i 2019 hadde et oppdrag knyttet til feltet som underleverandør for Oslo Economics. Han bidro til utarbeidelsen av et notat – *Effekt og kostnadseffektivitet av sykdomsmodifiserende legemidler ved multipel sklerose* (heretter «OE-notatet»)³⁴⁷ – på oppdrag for *Roche legemidler Norge*, med vurderinger av to FHI-rapporter.

Den første FHI-rapporten er en meta-analyse av ulike legemidler mot attackpreget multipel sklerose (atakk-MS). Folkehelseinstituttet hadde utarbeidet den på oppdrag fra Bestillerforum, som ønsket en gjennomgang av de MS-legemidler som ble brukt eller var godkjent for bruk i Norge. Den andre rapporten er en helseøkonomisk analyse av legemidlene som inngikk i førstnevnte meta-analyse. OE-notatet ble fremlagt for Beslutningsforum i dets møte 18.11.2019, der Folkehelseinstituttets to rapporter ga grunnlaget for beslutninger om bruk av MS-legemidler for atakk-MS.

Habilitetsvurderingen er gjort med utgangspunkt i forvaltningsloven § 6 andre ledd – gjengitt over – og gjengitte utdrag fra note 133 til loven i *Norsk Lovkommentar*, av professor Jan Fridthjof Bernt. Kristiansens rolle i utarbeidelsen av OE-notatet representerer et tilfelle av å «i særlig grad har engasjert seg i en sak», samt å ha «opptrådt som rådgiver eller påvirkningsagent for parten i det aktuelle saksforholdet». Det er av avgjørende betydning at det dreier seg om en konkret sak som har vært behandlet i systemet for *Nye metoder*. Vi finner derfor at det foreligger forhold «som er egnet til å svekke tilliten til hans upartiskhet».

Kristiansens inhabilitet er avgrenset til de konkrete saksforhold som er omfattet av OE-notatet og de to ovenfor nevnte rapportene som notatet omhandler. I praksis er hele MS-feltet berørt, men ikke eventuelle andre terapiområder der de ovenfor nevnte metodene/legemidlene måtte være anvendt. Etter samtale med Kristiansen ble det

³⁴⁶ Første ledd er ikke aktuelt i denne sammenhengen.

³⁴⁷ OE: Oslo Economics

besluttet at han ikke skulle arbeide med MS-relaterte eksempelsaker i evalueringsprosjektet. I praksis innebærer dette at han like fullt har kunnet lese og kommentere tekst og analyser der materiale fra MS-relaterte eksempelsaker har blitt benyttet til å belyse de ulike evalueringstema i prosjektet.

Interesseforhold knyttet til notater for Abbott Norge AS

7. april 2021 ble det også gjort en habilitetsvurdering av Kristiansens interesseforhold knyttet til et annet oppdrag han hadde som underleverandør for Oslo Economics, og i denne sammenheng, hans rolle i utarbeidelsen av tre notater for *Abbott Norge AS*. Habilitetsvurderingen knyttet til dette forholdet er gjort fordi evalueringen av systemet for *Nye Metoder* har tatt for seg Abbotts produkt «FreeStyle Libre» som eksempelsak («case-studie»). Én av vurderingene Kristiansen gjorde var av FHI-rapporten «Single-technology assessment. FreeStyle Libre Flash Self Glucose Monitoring System» utgitt i 2017.³⁴⁸ Folkehelseinstituttets rapport omfattet evaluering av en metodevurdering innsendt av Abbott. Folkehelseinstituttets metodevurdering inngår i beslutningsgrunnlaget for sak ID2016_044 «System (FreeStyle Libre) for egenmåling av blodsukker – Til blodsuktermåling ved diabetes» i *Nye metoder*.

Vurderingen av habilitet er gjort med utgangspunkt i forvaltningsloven § 6 andre ledd – gjengitt over – og gjengitte utdrag fra note 133 til loven i *Norsk Lovkommentar*, av professor Jan Fridthjof Bernt. Kristiansens rolle i utarbeidelsen av de tre notatene representerer et tilfelle av å «i særlig grad har engasjert seg i en sak», samt å ha «opptrådt som rådgiver eller påvirkningsagent for parten i det aktuelle saksforholdet». Det er av avgjørende betydning at det dreier seg om en konkret sak som har vært behandlet i systemet for *Nye metoder*. Vi finner derfor at det foreligger forhold «som er egnet til å svekke tilliten til hans upartiskhet».

Kristiansens inhabilitet er avgrenset til de konkrete saksforhold som er omfattet av FreeStyle Libre-saken. Etter samtale med Kristiansen ble det besluttet at han ikke skulle arbeide med denne saken i evalueringsprosjektet. I praksis innebærer dette at han like fullt har kunnet lese og kommentere tekst og analyser der materiale fra denne saken har blitt benyttet til å belyse de ulike evalueringstema i prosjektet. Like fullt har Kristiansen ikke kunnet kommentere vurderinger som er foretatt i prosjektet vedrørende kvaliteten på FHI-rapporten «Single-technology assessment. FreeStyle Libre Flash Self Glucose Monitoring System» utgitt av Folkehelseinstituttet i 2017.

Øvrige medlemmer i prosjektteamet

Førde har en 20 prosent deltidsstilling ved Helse Nord RHF. Probas vurdering er at denne stillingen er uten betydning for det kvalitetssikringsarbeidet som Førde skal gjennomføre i dette prosjektet.

Lysdahl, *Syse* og *Befring* har ikke meldt inn noen forhold som kan gi opphav til interessekonflikter.

Habilitetsvurderingene over gjelder for medarbeidernes deltakelse i evalueringsprosjektet som sådan. Prosjektteamets signerte vurderingsskjemaer for kartlegging av mulige interessekonflikter – samt grunnlagsdokumentene for vurderingene av habilitet og interessekonflikter tilknyttet enkelte av medlemmene i prosjektteamet – er tilgjengelige på forespørsel.

Oslo, 28. september 2021

Jens Plahte, prosjektleder, Proba AS

³⁴⁸ Bidonde J, Fagerlund BC, Frønsdal KB, Lund UH, & Robberstad B. (2017). *FreeStyle Libre flash glucose self-monitoring system: a single-technology assessment*. Oslo: Norwegian Institute of Public Health.

