



Koalisjonen for sjeldne sykdommer takker for muligheten til å komme med innspill til arbeidet med ny prioriteringsmeldingen for spesialisthelsetjenesten. Vi ønsker i dette innspillet å legge vekt på det følgende:

- Nasjonal finansiering for behandling for sjeldne sykdommer
- Mengden dokumentasjonskrav i metodevurderinger for sjeldne og svært sjeldne sykdommer som er på linje med dokumentasjonen som kreves for regulatorisk markedsføringstillatelse
- Behovet for økt betalingsvillighet for sjeldne og svært sjeldne sykdommer som reflekterer utviklingskostnadene og pasientpopulasjonen
- Operasjonaliseringen av prioriteringsmeldingen, gjennom DMPs retningslinjer som ivaretar involvering og likebehandling.
- Utrede forenklete og mer pragmatiske evalueringsmetoder for metoder til behandling av sjeldne sykdommer.
- At diskontering av helsegevinst reduseres for engangsbehandlinger
- Bedre utnyttelse av helsedata, såkalt «Real World Evidence»
- Korrigere ordningen med særskilt små pasientgrupper

Nasjonal finansiering

For å sikre likebehandling og lik tilgang til legemidler for pasienter med sjeldne sykdommer, er det avgjørende at finansieringen av disse legemidlene løftes til et nasjonalt nivå. I dagens system kan finansieringen variere betydelig mellom ulike regioner og helseinstitusjoner, noe som skaper en ulikhet i tilgjengeligheten av behandling. Ved å overføre ansvaret for finansiering til nasjonalt nivå, vil det bidra til en mer enhetlig og rettferdig tilnærming, hvor alle pasienter, uavhengig av bosted, har lik tilgang til viktige medisiner. Dette vil ikke bare forbedre livskvaliteten for individer som lever med sjeldne sykdommer, men også fremme et mer inkluderende helsesystem som anerkjenner og adresserer behovene til alle pasientgrupper. En nasjonal finansieringsmodell vil også bidra til bedre ressursutnyttelse og mer effektiv bruk av medisinske ressurser på tvers av landet.

Metodevurderinger må ha likt dokumentasjonskrav som markedsføringstillatelse

Koalisjonen mener at det i den nye prioriteringsmeldingen for spesialisthelsetjenesten, er essensielt å vurdere justering av dokumentasjonskravene i metodevurderinger for sjeldne og svært sjeldne sykdommer, slik at de samsvarer med kravene for regulatorisk markedsføringstillatelse. Dette vil ikke bare forenkle prosessene ved å redusere byråkrati og akselerere tilgang til behandling for pasienter, men også sikre overensstemmelse med internasjonale standarder, noe som er særlig relevant gitt de unike utfordringene knyttet til forskning på sjeldne sykdommer. Ved å tilpasse disse kravene, kan Norge stimulere til økt forskning og utvikling av nye behandlinger, samtidig som vi ivaretar en pasientfokuset tilnærming. Dette er ikke bare et steg mot mer effektiv helsehjelp, men også en anerkjennelse av



behovet for rettferdighet og tilgjengelighet i behandlingen av sjeldne sykdommer, noe som er grunnleggende for et balansert og rettferdig helsevesen.

Betalingsvillighet som reflekterer forholdet mellom kostnader og antall mennesker med sykdommerna

Økt betalingsvillighet for behandlinger for sjeldne og svært sjeldne sykdommer, som tar hensyn til både høye utviklingskostnader og de faste utgiftene som distribusjon og overvåkning, er et viktig hensyn i helsepolitikken. Disse faste utgiftene forblir konstante uavhengig av pasientens antall, noe som utgjør en betydelig utfordring i tilfeller av sjeldne sykdommer med små pasientgrupper. Videre behandler de nåværende retningslinjene legemidler for svært små pasientpopulasjoner med samme betalingsvillighet som de for større populasjoner, noe som ikke tar hensyn til de unike omstendighetene og utfordringene som følger med sjeldne sykdommer. Dette inkluderer blant annet høyere forsknings- og utviklingskostnader pr. pasient, og ofte en mangel på alternativ behandling. Denne tilnærmingen kan virke urimelig og urettferdig, da den ikke anerkjenner den ekstra verdien og nødvendigheten av disse spesialiserte behandlingene for de som lider av sjeldne sykdommer.

En slik tilnærming til finansiering speiler arbeidet som TLV har utført i å styrke tilgangen til medisiner for sjeldne helseforhold til bærekraftige kostnader. Det er essensielt å utforme helsepolitikk som aktivt bidrar til å ta vare på alle i storsamfunnet, med et spesielt fokus på å utjevne både samfunnsstrukturell og medfødt ulikhet i levekår. Dette innebærer en anerkjennelse av de unike utfordringene som følger med sjeldne og svært sjeldne sykdommer. Ved å øke betalingsvilligheten for behandling av disse sykdommene, tar vi et viktig skritt mot å adressere disse ulikhetene. En slik tilnærming sikrer ikke bare at de med sjeldne sykdommer får tilgang til nødvendige medisinske behandlinger, men også at helsepolitikken reflekterer et prinsipp om inkludering og rettferdighet. Det handler om å skape et helsevesen som ivaretar alle deler av befolkningen, og som aktivt arbeider mot en reduksjon i helseforskjeller, for å sikre at alle har lik tilgang til helsehjelp av høy kvalitet.

Likebehandling av dødelige og ikke-dødelige sykdommer

I operasjonaliseringen av prioriteringsmeldingen gjennom Direktoratet for medisinske produkter (DMP) retningslinjer, er det viktig å anerkjenne betydningen av både harde endepunkter og surrogatendepunkter. Harde endepunkter, som direkte måler klinisk relevante utfall som overlevelse eller forekomst av sykdom, gir en klar indikasjon på behandlingens effektivitet. På den annen side, er surrogatendepunkter, som måler biologiske markører eller fysiologiske parametre, kritiske i evalueringen av behandlinger for sjeldne sykdommer der store kliniske studier kan være utfordrende å gjennomføre. Ved å integrere både harde endepunkter og surrogatendepunkter i retningslinjene, kan DMP sikre en mer omfattende og nyansert vurdering av nye behandlingsmetoder. Denne tilnærmingen gjør det mulig å balansere behovet



for pålitelige data med de praktiske utfordringene knyttet til forskning på sjeldne sykdommer, og sikrer at helseprioriteringene er både evidensbaserte og tilpasset de unike kravene til disse sykdommene.

Problemstillingen rundt vektingen av surrogatendepunkter i helsevesenet er at Direktoratet for medisinske produkter (DMP) i dag ofte behandler disse som mindreverdige sammenlignet med harde endepunkter. Dette synet kan begrense forståelsen og anerkjennelsen av fullstendig helseeffekt ved nye behandlinger, spesielt for sjeldne sykdommer. Surrogatendepunkter gir verdifull innsikt i sykdomsprogresjon og behandlingseffekt, men deres potensielle undervurdering kan føre til forsinkelser i godkjenning og tilgjengeliggjøring av nye terapier som kan være livsendrende for pasienter. Derfor er det et viktig helsepolitisk spørsmål å reevaluere hvordan disse endepunktene vurderes og integreres i beslutningsprosesser relatert til behandlingstilbud.

En mer pragmatisk tilnærming til diskontering

Å redusere diskonteringsrenten av helsegevinst ved engangsbehandlinger er et viktig skritt mot en mer rettferdig og realistisk vurdering av medisinske behandling. Diskontering, som reduserer den fremtidige verdien av helsegevinster til nåverdi, kan være passende for løpende behandlinger, men blir problematisk når det gjelder engangsbehandlinger som potensielt tilbyr langvarige eller varige helseforbedringer. Denne praksisen kan føre til en betydelig undervurdering av de reelle fordelene slike behandlinger gir over tid. Flere andre land har utredet og endret sin diskonteringspolicy for å imøtekomme denne medisinske revolusjonen. DMP sine retningslinjer er blant de mer konservative på området, og det har ikke vært ønske å utrede temaet grunnet manglende ressurser. En justering av diskonteringsrenten vil være viktig for å fjerne et diskriminerende hinder for pasientene, men også sende et tydelig signal til omgivelsene om at man verdsetter engangsterapier fremfor livslange behandlinger.

Real World Evidence

Økt bruk av helsedata (RWE) i Norge, spesielt for sjeldne sykdommer, representerer et viktig skritt mot mer presis og effektiv helsehjelp. For sjeldne sykdommer, hvor tradisjonelle kliniske studier ofte er utfordrende grunnet små pasientpopulasjoner, tilbyr helsedata en unik mulighet til å samle data fra faktiske pasientforløp. Denne dataen kan gi dypere innsikt i behandlingseffektivitet og dermed sikre at kostnad og nytte følger hverandre. Videre kan helsedata bidra til å forme mer nøyaktige behandlingsretningslinjer og politikuttforming, som igjen fører til mer målrettet og effektiv behandling for disse pasientgruppene.

En pragmatisk tilnærming til evaluering av metoder for sjeldne diagnoser

Kun en av tre nye behandlinger for sjeldne tilstander er innført i Norge de senere årene. Legemiddelindustrien peker på at metodevurderingsprosessene for



sjeldne tilstander kolliderer i møte med retningslinjer som i hovedsak er skrevet for større sykdomsgrupper. Mer pragmatiske tilnærminger, kriterier og verktøy bør derfor vurderes. Multi-Criteria Decision Analysis (MCDA) har vært nevnt av flere som et begrep for å bedre lykkes med en effektiv evaluering- og beslutningsprosess. MCDA er en metodikk som tillater en systematisk evaluering av ulike aspekter ved helseintervensjoner, inkludert, men ikke begrenset til, klinisk effektivitet, kostnadseffektivitet, påvirkning på livskvalitet, populasjonsstørrelse, belastning for pasient og pårørende. Man kan nok si at Norge allerede har MCDA-tenkningen innarbeidet i sine rammeverk ved at man blant annet har flere prioriteringskriterier allerede i dag, men for sjeldne sykdommer, hvor behandlingsbeslutninger ofte innebærer komplekse avveininger, kan det å ta et skritt videre tilby en mer balansert og omfattende vurdering sammenlignet med tradisjonelle kostnadseffektivitetsanalyser. Vi etterlyser vilje og evne til å anerkjenne og veie de ulike faktorene som spiller inn i vurderingen av behandling for sjeldne sykdommer, noe som fører til mer rettferdige og gjennomtenkte helsepolitikkbeslutninger. Dette vil i sin tur bidra til å sikre at pasienter med sjeldne sykdommer får tilgang til de behandlingene de trenger, og at disse beslutningene reflekterer en bredere forståelse av hva som bidrar til god helse.

En rausere tilnærming til små pasientgrupper

Direktoratet for medisinske produkter (DMP) retningslinjer for "Særskilt små pasientgrupper" kommer til kort i sin nåværende form, ettersom de setter urimelig høye skranke for sjeldne sykdommer. Disse retningslinjene krever ofte dokumentasjon og effektbevis på et nivå som er sammenlignbart med det som kreves for større pasientpopulasjoner. Dette er en utfordring for sjeldne sykdommer, hvor det er vanskelig, om ikke umulig, å samle store nok pasientgrupper for omfattende kliniske studier. Resultatet er at mange potensielt livsforvandlerende behandlinger for disse små pasientgruppene blir forsinket eller nektet godkjenning på grunn av utilstrekkelig data som måler opp mot standardene satt for større sykdomsgrupper.

Konklusjon

For å adressere disse problemene, er det nødvendig med klare signaler i departementets og Stortingets behandling for å sikre at operasjonaliseringen mer nøyaktig reflekterer de spesielle utfordringene og behovene knyttet til sjeldne sykdommer. Dette vil inkludere mer fleksible krav til dokumentasjon og en mer nyansert tilnærming til betalingsvillighet som anerkjenner den høyere verdien av behandlinger for små pasientgrupper. En slik endring vil ikke bare forbedre tilgangen til nødvendige behandlinger for pasienter med sjeldne sykdommer, men også bidra til en mer rettferdig og balansert helsepolitikk.