



Holbergsgade 6
DK-1057 København K

T +45 7226 9000
F +45 7226 9001
M sum@sum.dk
W sum.dk

Sundhedsministeren

Folketingets Sundheds- og Ældreudvalg

Dato: 23-03-2018
Enhed: MEDINT
Sagsbeh.: DEPRHH
Sagsnr.: 1802085
Dok. nr.: 566989

Vedr. samrådsspørgsmål BE, BF og BG

Forud for samråd den 3. april 2018 om samrådsspørgsmål BE, BF og BG fremsendes hermed til orientering Medicinrådets gennemgang af, hvordan Medicinrådet princip for princip har taget hensyn til Folketingets 7 principper for prioritering for sygehusmedicin ifbm. afgørelsen om at afvise Spinraza som standardbehandling. Nedenstående gennemgang vurderes særlig relevant i forhold til besvarelsen af samrådsspørgsmål BE.

Medicinrådet har den 14. marts 2018 oplyst følgende:

"I det følgende gennemgås Medicinrådets iagttagelse af Folketingets syv principper for prioritering af sygehuslægemidler i vurderingen og anbefalingen vedrørende nusinersen (Spinraza) til spinal muskelatrofi. Hvor det er relevant, har Medicinrådet endvidere kommenteret mere generelt på anvendelsen af det enkelte princip.

1. Faglighed

Faglig ekspertise og udvalg med faglige eksperter er en integreret del af Medicinrådets konstruktion. For hvert sygdoms område nedsætter Medicinrådet et fagudvalg med 10-12 personer, der består af læger med behandlingsansvar eller særlig ekspertise fra regionerne, farmaceuter, patientrepræsentanter mv. Der lægges ved sammensætningen af fagudvalget vægt på, at den ledende faglige ekspertise i landet er repræsenteret i udvalget.

Fagudvalgene foretager grundige, systematiske, kliniske vurderinger af lægemidlet, og disse vurderinger udgør det faglige grundlag for Medicinrådets anbefalinger. Det sker inden for rammerne af Medicinrådets metoder, der er beskrevet i "Metodehåndbog for Medicinrådets arbejde med at udarbejde fælles regionale vurderinger af nye lægemidlers og nye indikationers kliniske merværdi" (http://medicinraadet.dk/media/6309/metodehaandbog-12-nye-laegemidler_med-aendringslog_opd05122017.pdf).

Fagudvalgene forholder sig ikke til omkostningerne ved at anvende lægemidlet, og de kender ikke den forhandlede pris for lægemidlet. Den faglige vurdering foregår uafhængigt af de økonomiske vurderinger af lægemidlet.

Når Medicinrådet modtager en foreløbig ansøgning om et nyt lægemiddel, udarbejder det relevante fagudvalg en protokol, der definerer de faglige kriterier, der skal ligge til grund for vurderingen af lægemidlet. Fagudvalgets udkast til protokol godkendes af Medicinrådets formænd efter dialog med fagudvalget.

Fagudvalget vurderer derefter de studier af det pågældende lægemiddel, som den ansøgende virksomhed har indsendt, og udarbejder et udkast til en kategorisering af lægemidlets kliniske merværdi, som fagudvalget præsenterer for og drøfter med Rådet. Når Rådet har godkendt kategoriseringen af lægemidlet, er fagudvalgets arbejde afsluttet.

Fagudvalget involveres ikke i Rådets drøftelser om anbefalingen vedrørende lægemidlet.

2. Uafhængighed

Medicinrådet er et uafhængigt råd. Hverken Danske Regioner eller de fem regioner har nogen instruktionsbeføjelse i forhold til Medicinrådet. Det er således alene Medicinrådet, som beslutter, om et lægemiddel anbefales som mulig standardbehandling.

Princippet om uafhængighed sikres endvidere gennem stringente krav til de enkelte rådsmedlemmers, fagudvalgsmedlemmers og sekretariatsmedarbejders habilitet. Medicinrådet har besluttet, at alt arbejde i Medicinrådet som minimum er underlagt samme habilitetsregler som beskrevet i forvaltningsloven. Ingen, der deltager i Medicinrådets arbejde, kan medvirke ved beslutninger, vurderinger, anbefalinger og lignende i et sagsforløb, hvis den pågældende ville have været inhabil, såfremt beslutningen havde været en afgørelse i forvaltningslovens forstand.

Medicinrådets habilitetspolitik og de under princip 1 om faglighed nævnte retningslinjer for faglighed sikrer, at Medicinrådets anbefalinger og vejledninger ikke er påvirket af uvedkommende hensyn, men hviler på objektive, saglige kriterier.

Medicinrådet har meget klart markeret de høje krav, Rådet stiller til objektivitet og uafhængighed hos de personer, der medvirker til, og i de processer der leder frem til, udarbejdelsen af Rådets anbefalinger vedrørende mulig anvendelse af et nyt lægemiddel som standardbehandling. En markering, der har givet anledning til betydelig opmærksomhed.

I Medicinrådets behandling af anbefalingen vedrørende nusinersen (Spinraza) er uafhængigheden iagttaget ved, at den faglige vurdering, som Medicinrådets metoder og processer foreskriver, er udarbejdet af fagudvalget vedrørende spinal muskelatrofi. Fagudvalget har p.t. 11 medlemmer; sammensætningen og medlemmernes habilitetserklæringer er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.

Rådet traf beslutningen om anbefalingen. Som beskrevet i Medicinrådets kommissorium kan ingen andre end rådsmedlemmerne pålægge Rådet at træffe bestemte beslutninger. Sammensætningen af Rådet og rådsmedlemmers habilitetserklæringer er offentliggjort på Medicinrådets hjemmeside.

Medicinrådets habilitetspolitik: <http://medicinraadet.dk/ommedicinraadet/habilitet>
Medicinrådets kommissorium: <http://medicinraadet.dk/media/6642/redigeret-kommissorium.pdf>

3. Geografisk lighed

Medicinrådets beføjelse er alene at anbefale, hvorvidt et nyt lægemiddel kan anvendes som mulig standardbehandling.

Medicinrådet udarbejder fagligt kvalificerede beslutningsgrundlag (anbefalinger) til de fem regioner. anbefalingerne er ikke bindende for regionerne, og Medicinrådet kan derfor ikke sikre geografisk lighed, men alene skabe et stærkt fagligt fundament for at regionerne kvalificeret kan vælge deres behandlingsstrategier.

For at facilitere geografisk lighed indgår behandlende læger fra de tre regioner i Danmark, som behandler børn med SMA (Region Hovedstaden, Region Syddanmark og Region Midtjylland) samt fra de to øvrige regioner i Medicinrådets fagudvalg vedrørende spinal muskelatrofi SMA. I Rådet er der endvidere repræsentanter fra alle fem regioner.

4. Åbenhed

Medicinrådet skaber størst mulig åbenhed om arbejdet og muliggør, at alle kan følge og læse om processer, metoder, kriterier og dokumenter vedrørende konkrete vurderinger.

Medicinrådet gør i videst muligt omfang dokumenter tilgængelige på Medicinrådets hjemmeside – det gælder blandt andet dagsordener og referater fra rådsmøder, habilitetserklæringer, sammensætning af fagudvalg, anbefalinger, vurderingsrapporter, protokoller m.v.

Alle kan i procesindikatoren for en vurdering på Medicinrådets hjemmeside følge med i processen og læse offentliggjorte dokumenter, efterhånden som ansøgningen behandles. Dermed kan alle følge med i grundlaget og begrundelse for anbefalingerne, jf. transparensdirektivets krav.

For anbefalingen vedrørende nusinersen (Spinraza) har Medicinrådet løbende offentliggjort relevante dokumenter. Alle kan derfor læse fagudvalgets protokol for vurderingen, vurderingen af klinisk merværdi samt Rådets anbefaling. Endvidere kan man se sammensætning af og habilitetserklæringerne for fagudvalget vedrørende spinal muskelatrofi.

5. Hurtig ibrugtagning af ny, effektiv medicin

Medicinrådet vurderer ansøgninger om nye lægemidler og nye indikationer på 12 uger, fra virksomheden bag et lægemiddel indsender en endelig ansøgning. Det er hurtigere end flere af de lande, vi normalt sammenligner os med. Medicinrådet har vurderet nusinersen (Spinraza) på 16 uger. Vurderingen kunne have været gennemført på 12 uger, men blev forsinket fordi den ansøgende virksomhed valgte at udskyde deres prisforhandlinger.

Medicinrådet offentliggjorde, som det første land i Skandinavien, den 12. oktober 2017 den første anbefaling om ibrugtagning af nusinersen (Spinraza). Anbefalingen om ibrugtagning begrænser sig til patientgruppen med den alvorligste type af spinal muskelatrofi (SMA type I) samt til præsymptomatiske spædbørn, som er spædbørn med en genetisk disposition for SMA, men som endnu ikke har udviklet symptomer.

Tidspunkt for anbefalinger i udvalgte europæiske lande¹ – bemærk at sundhedssystemerne ikke er direkte sammenlignelige:

¹ 1 Norge: <https://nyemetoder.no/metoder/nusinersen-spinraza>

Sverige:

[http://www.janusinfo.se/Documents/Nationellt_inforande_av_nya_lakemedel/Nusinersen-\(Spinraza\)-171220.pdf](http://www.janusinfo.se/Documents/Nationellt_inforande_av_nya_lakemedel/Nusinersen-(Spinraza)-171220.pdf)

Finland: <https://www.otakantaa.fi/fi/hankkeet/62/osallistuminen/432/kysely/>

- *Norge: Første anbefaling om ikke at ibrugtage nusinersen (Spinraza) blev offentliggjort den 23. oktober 2017.*
- *Sverige: Anbefalingen om at ibrugtage nusinersen (Spinraza) til en begrænset patientgruppe blev offentliggjort den 20. december 2017.*
- *Finland: Finlands anbefaling om ibrugtagning af nusinersen (Spinraza) til en begrænset patientgruppe blev offentliggjort den 15. januar 2018.*
- *Tyskland: Tysklands anbefaling om at ibrugtage nusinersen (Spinraza) blev offentliggjort den 21. december 2017.*
- *Holland: Holland har for nuværende en midlertidig ordning, som gør nusinersen (Spinraza) tilgængelig for en begrænset patientgruppe. Ordningen gælder indtil 1. maj 2018.*
- *England: England forventer først at offentliggøre en anbefaling den 21. november 2018.*

6. Mere sundhed for pengene

Medicinrådet iagttager princippet om "mere sundhed for pengene" i alle anbefalinger ved at vurdere, om der er et rimeligt forhold mellem prisen og den kliniske merværdi, lægemidlet vurderes at kunne tilbyde sammenlignet med eksisterende standardbehandling.

Medicinrådet anvender Amgros' sundhedsøkonomiske analyse som grundlag for den økonomiske del af den samlede vurdering.

I anbefalingen vedrørende nusinersen (Spinraza) har Medicinrådet vurderet, at der ikke er et rimeligt forhold mellem prisen på nusinersen (Spinraza) og den dokumenterede effekt af at tage nusinersen (Spinraza) i brug som standardbehandling til spinal muskelatrofi.

7. Adgang til behandling

Medicinrådets opgave er at vurdere, om lægemidler kan anbefales som mulig standardbehandling til en patientgruppe. Medicinrådet tager ikke stilling til behandling af enkelte patienter, men udarbejder fagligt veldokumenterede vurderinger af de nye lægemidlers kliniske kvalitet så den enkelte behandlende læge og sygehusafdelingerne har et kvalificeret grundlag for deres valg af behandling.

Ekspertene i fagudvalget vedrørende spinal muskelatrofi har valgt at opdele deres vurderinger, så de dækker alle typer af spinal muskelatrofi for at sikre en faglig vurdering, der bedst muligt støtter lægen i at foretage et kvalificeret valg til behandling af patienten.

Medicinrådets metoder, der er fastlagt af Danske Regioner, vil af og til udfordre det syvende princip, om at alle patientgrupper, store som små, skal have lige adgang til behandling. Medicinrådet tager højde for dette ved at inddrage "alvorlighedsprincippet" i vurderingen. Ved Medicinrådets udarbejdelse af anbefalingen vedrørende nusinersen (Spinraza) var alvorlighedsprincippet således et væsentligt element i Rådets overvejelser."

Tyskland: https://www.g-ba.de/downloads/40-268-4722/2017-12-21_AM-RL-XII_Nusinersen_D-294_TrG.pdf

Holland: <https://www.rijksoverheid.nl/actueel/nieuws/2017/12/11/akkoord-over-spinraza>

England: <https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-ta10281>

Danske Regioner desuden bl.a. supplerende oplyst følgende den 14. marts 2018 ift. det 7. princip om adgang til behandling:

"Oprettelsen af Medicinrådet ændrer ikke ved, at der kan være tilfælde, hvor den behandlingsansvarlige læge efter at have foretaget en samlet vurdering af en patient vurderer, at der er særlige forhold, som gør, at man bør overveje at tilbyde patienten lægemidlet. Vurderingen skal altid forelægges for den ledende overlæge og på en lægekonference, hvor flere speciallæger vurderer fordele og ulemper ved behandlingen for den konkrete patient. Før beslutningen effektueres, bør sagen forelægges for et fagligt forum fx den regionale lægemiddelkomité, om man kan anbefale ibrugtagning. Det er herefter op til den behandlingsansvarlige læge at træffe endelig beslutning om behandling. Eventuel ibrugtagning af lægemidlet skal altid foregå protokolleret og med systematisk opfølgning.

Det kan oplyses, at Danske Regioner har drøftet muligheden for at få behandling med lægemidler, som ikke er anbefalet af Medicinrådet, med regionernes sundhedsdirektører. Sundhedsdirektørerne er enige i den procedure, som er beskrevet ovenfor, og som samtidigt vil leve op Folketingets 7. princip."

Med venlig hilsen

Ellen Trane Nørby