



Vedr.: forslag til forordning om Medicinsk Teknologi Vurdering (MTV / HTA)

Notits fra Sjældne Diagnoser

En lignende tekst er bragt som nyhed på Sjældne Diagnosers hjemmeside d. 27. september 2018, <http://sjaeldnediagnoser.dk/mere-europaeisk-medicin-samarbejde-tak/>

Når nye lægemidler skal vurderes, sker det på EU-plan. Men det sker også i de enkelte medlemslande. Det er spild af ressourcer og giver ikke en bedre kvalitet i vurderingerne. Derfor skal EU spille en større rolle, selvom det stadig vil være op til de enkelte lande at bringe ny medicin i anvendelse. Sjældne Diagnoser støtter forslag fra Europa-Kommissionen.

Der kommer mange nye lægemidler til sjældne sygdomme i disse år. En stor del af dem er til cancer-sygdomme, som i Danmark ikke regnes blandt sjældne sygdomme. Men der kommer også nye lægemidler til andre sygdomme. Det er særligt glædeligt, når der er tale om sygdomme, hvor der ikke er nogen form for behandling i forvejen. Det gælder langt de fleste sjældne sygdomme.

Ofte omdiskuterede

De nye lægemidler er ofte omdiskuterede. Dels fordi det er svært at afprøve lægemidlerne efter standardmetoder, når patienterne er få – det er svært at lave store blind-forsøg med tusinder af deltagere, hvis der kun er 4 patienter i Danmark og 300 i hele Europa. Og dels fordi der ofte er tale om meget dyre lægemidler målt pr. patient – også selvom udgifterne til medicin til sjældne sygdomme kun udgør et lille hjørne af det samlede budget.

Derfor er det godt, at der er et europæisk samarbejde omkring at vurdere de nye lægemidler. Det har der været i mange år, men materialet bliver ikke brugt godt nok på nationalt niveau i de enkelte EU-lande. Herud over er der brug for et endnu bedre samarbejde.

Nyt forslag fra Europa-Kommissionen

Europa-Kommissionen foreslår et tættere samarbejde mellem nationale myndigheder, der bruger mange kræfter på at vurdere de nye lægemidler (Forslag til EUROPA-PARLAMENTETS OG RÅDETS FORORDNING om medicinsk teknologivurdering og om ændring af direktiv 2011/24/EU). Det drejer sig om at indsamle og vurdere klinisk baseret information om nye lægemidler med særligt fokus på ekstra fordele ("added benefit") i forhold til eksisterende behandlinger. For sjældne sygdomme er de ekstra fordele ofte meget store, fordi der for de allerfleste sygdomsgrupper slet ikke findes eksisterende behandling.

Europa-Kommissionen foreslår et struktureret samarbejde mellem de nationale myndigheder, så de 27 lande slår deres ekspertise sammen og undgår dobbeltarbejde. Indeholdt i forslaget er også, at landene forpligter sig til at bruge de rapporter, der laves i fællesskab og ikke lave sine egne. Man kan dog godt tilføje ny information nationalt, men ikke duplikere det arbejde, der allerede er gjort. Det vil fortsat være en national beslutning, om man vil tage et nyt lægemiddel i brug og hvad man vil betale for det.

Godt forslag

Sjældne Diagnoser støtter Europa Kommissionens forslag til EU-forordning. Dels fordi det er mere effektivt og vil give en højere kvalitet i vurderingerne. Og dels fordi det vil give en større gennemsigtighed, når det er de samme metoder, der anvendes på tværs af landene. Det vil gøre det nemmere for os som patientrepræsentanter at forstå de nationale beslutninger og forholde os til dem.

På nationalt niveau er man mange steder, også i Danmark, skeptiske overfor Europa-Kommissionens forslag. Man påberåber sig retten til selv at bestemme. Men der bliver ikke pillet ved retten til selv at bestemme om man vil bruge de nye lægemidler og hvad man vil betale for dem. Og det kan da ikke passe, at man er skeptiske, fordi der bliver større gennemsigtighed og højere kvalitet i beslutningsgrundlaget omkring de nye lægemidler?

EURORDIS Rare Diseases Europe er paraplyorganisation for sjældne patientorganisationer i Europa og Sjældne Diagnoser er et meget aktivt medlem. EURORDIS støtter også både forordningen og et tættere samarbejde omkring lægemidler til sjældne sygdomme i øvrigt.

Læs kort fremstilling af idéen med den nye forordning [her >>](#) (på engelsk)

Læs EURORDIS' samlede papir om nødvendigheden af et tættere europæisk samarbejde på lægemiddelområdet [her >>](#) (på engelsk)