



## NOTAT

14-10-2021  
EMN-2017-00578  
1484072

### Model for brug af betingede anbefalinger i Medicinrådet

#### Indledning

Lægemidler kommer i stigende grad på markedet med væsentlig usikkerhed om effekt og sikkerhed. Det skyldes bl.a. udviklingen i de regulatoriske standarder f.eks. brug af accelereret godkendelse og den teknologiske udvikling, som betyder, at flere lægemidler er målrettet meget små patientgrupper. Den dokumentation, som virksomhederne forelægger Medicinrådet, er derfor ofte behæftet med betydelig usikkerhed. Det indebærer, at det er vanskeligt for Medicinrådet at vurdere lægemidlernes effekt og dermed også, om omkostningerne ved behandlingen står mål med den effekt, som lægemidlet tilbyder.

Ansvar for at dokumentere et lægemiddels effekt, sikkerhed og omkostningseffektivitet over for Medicinrådet påhviler lægemiddelvirksomhederne. Medicinrådet stiller derfor krav til virksomheden om at levere tilstrækkelig dokumentation for effekt, sikkerhed og omkostningseffektivitet til, at Medicinrådet kan vurdere, om lægemidlet skal anbefales som standardbehandling.

I situationer, hvor usikkerhederne om effekt er meget store – eventuelt i sammenhæng med relativt høje omkostninger for lægemidlet – kan Medicinrådet håndtere dette ved:

- At undlade at anbefale lægemidlet, indtil virksomheden har fremskaffet tilstrækkelig dokumentation for lægemidlets effekt.
- At kræve en pris på lægemidlet, som er så lav, at usikkerhederne kan accepteres. Det vil sige, at forholdet mellem effekt og omkostninger vil være rimeligt, selv hvis effekten skulle vise sig at være mindre end forventet.

I praksis betyder det, at Medicinrådet vil undlade at anbefale et lægemiddel, hvis Medicinrådet finder usikkerhederne uacceptabelt store, og prisen ikke kan forhandles tilstrækkeligt ned til at afspejle usikkerhederne.

En anden løsning, som andre lande i varierende grad gør brug af, er betingede anbefalinger, hvor et lægemiddel tages i brug på trods af usikkerheder i en tidsbegrænset periode, mens der indsamles yderligere data vedr. lægemidlets effekt.

Nedenfor beskrives Medicinrådets model for anvendelse af betingede anbefalinger, som træder i kraft 1. januar 2022.

## Formål

Formålet med modellen for betingede anbefalinger er at gøre det muligt for Medicinrådet at anbefale lægemidler i en tidsbegrænset periode, mens der indsamles yderligere data for lægemidlets effekt, sikkerhed og eventuelt omkostninger. Indsamlingen af flere data kan forbedre Medicinrådets mulighed for at vurdere, om effekten af det nye lægemiddel står mål med omkostningerne.

Modellen skal understøtte, at Medicinrådet lever op til Folketingets syv principper for prioritering af sygehuslægemidler. Særligt vil modellen kunne understøtte principperne om *faglighed, hurtig ibrugtagning af ny, effektiv medicin og mere sundhed for pengene*.

## Hvad er en betinget anbefaling?

En betinget anbefaling er en anbefaling, hvortil der på anbefalingstidspunktet knytter sig betingelser til selve anbefalingen. Det vil typisk være betingelser om indsamling af data for et lægemiddels effekt, sikkerhed og/eller omkostninger i en tidsbegrænset periode. Når dataindsamlingen er afsluttet, tager Medicinrådet stilling til, om det vil anbefale lægemidlet som standardbehandling.

Tildeling af en betinget anbefaling vil medføre et øget ressourcetræk flere steder, herunder i sundhedsvæsenet, Amgros og Medicinrådet.

## Forudsætninger for at give en betinget anbefaling

I vurderingen af, om en betinget anbefaling kan være relevant, bør sygdommens alvorlighed og eksisterende behandlingsmuligheder for patientgruppen have en karakter, hvor det ikke skønnes rimeligt at afvente resultater af yderligere indsamling af data, før der gives en anbefaling om generel ibrugtagning.

En betinget anbefaling kan som udgangspunkt anvendes i tilfælde, hvor Medicinrådet vurderer, at alle følgende kriterier er opfyldt:

### **1. Medicinrådet vil ikke anbefale lægemidlet som mulig standardbehandling, fordi der er for stor usikkerhed om effekt, sikkerhed og/eller omkostninger**

Medicinrådet vurderer, at lægemidlet udgør en bedre behandling end den eksisterende standardbehandling, men usikkerheder i evidensen medfører, at *størrelsen* på effekten er vanskelig at vurdere. Derfor kan Medicinrådet ikke vurdere, om forholdet mellem effekt og omkostninger er rimeligt, og dermed heller ikke anbefale lægemidlet som mulig standardbehandling.

## **2. Lægemidlet har et sandsynligt potentiale til at være omkostningseffektivt ved den tilbudte pris**

På baggrund af den sundhedsøkonomiske analyse og den pris, Amgros har forhandlet, vurderer Medicinrådet, at der er en rimelig sandsynlighed for, at forholdet mellem lægemidlets effekt i klinisk praksis og omkostningerne, kan være rimeligt. For at kunne anbefale lægemidlet som standardbehandling er det dog nødvendigt at få reduceret de mest betydende usikkerheder i form af yderligere data for lægemidlet, før Rådet kan træffe en endelig beslutning om anbefaling som standardbehandling.

## **3. Flere data vil kunne reducere de kliniske usikkerheder**

Medicinrådet vurderer, at der inden for en rimelig tidshorisont kan indsamles data, som kan reducere de mest betydende usikkerheder. Tidshorisonten vil som udgangspunkt kunne være op til 24 måneder. Data kan f.eks. komme fra igangværende nationale og/eller internationale studier eller fra dansk klinisk praksis via danske registre.

Karakteren af de usikkerheder, som er årsag til, at lægemidlet ikke kan anbefales som standardbehandling, kan variere mellem lægemidler. Tilsvarende vil mulighederne for at indsamle yderligere data fra kliniske studier og/eller dansk klinisk praksis variere mellem lægemidler og sygdomsområder. Det er derfor nødvendigt at udføre en omfattende afdækning af, om det i den konkrete sag er muligt at reducere usikkerhederne. Heri ligger f.eks. en vurdering af:

- om igangværende studier med lægemidlet vil kunne reducere de centrale usikkerheder
- om usikkerhederne kan reduceres gennem dataindsamling i dansk klinisk praksis, herunder
  - o om patientgrundlaget i Danmark er tilstrækkeligt til at få et robust datamateriale
  - o om usikkerhederne kan reduceres inden for en rimelig tidshorisont (som udgangspunkt ca. 24 måneder, dog maksimalt 4 år af hensyn til kontraktlængde mellem Amgros og virksomheden)
  - o om der allerede eksisterer registre, som kan levere de nødvendige data, eller om de kan sættes op til formålet
- om der indsamles data fra klinisk praksis i andre lande, som vil kunne bruges til at reducere de centrale usikkerheder.

## **4. Lægemedelprisen skal afspejle, at størrelsen af lægemidlets effekt er usikker**

Når Medicinrådet giver en betinget anbefaling, skyldes det usikkerhed om forholdet mellem omkostninger og effekt. Mens der indsamles yderligere data om lægemidlets effekt, skal omkostningerne derfor bringes ned på et niveau, som tager højde for usikkerheden om størrelsen på effekten. Herved deler virksomheden og sundhedsvæsenet den økonomiske risiko, der er ved at anvende et lægemiddel, hvor størrelsen på effekten er meget usikker. Det er op til Rådet at vurdere, om den pris, virksomheden tilbyder i perioden, er tilstrækkeligt lav til at give en betinget anbefaling.

## 5. Virksomheden skal finansiere dataindsamlingen

Det er udgangspunktet for Medicinrådets arbejde, at lægemiddelvirksomhederne bærer ansvaret for at dokumentere effekt, sikkerhed og omkostninger forbundet med nye lægemidler. Hvis Medicinrådet skal give en betinget anbefaling, forudsætter det, at virksomheden finansierer dataindsamlingen. Det kan ske på forskellige måder og vil f.eks. være afhængigt af, hvordan data indsamles. Ved dataindsamling gennem igangværende kliniske studier vil virksomheden typisk i forvejen stå for finansieringen af studiet. Hvis data skal indsamles gennem registrering i dansk klinisk praksis, skal virksomheden dække omkostninger forbundet med f.eks. etablering af registre/systemer til dataindsamling og administrationsomkostninger til dataregistrering og analyse. Det kunne for eksempel være i form af et administrationsbidrag.

Det er op til Amgros at inkludere dette kriterium i forhandlingen med virksomheden i konkrete sager. Amgros og virksomheden aftaler ligeledes øvrige vilkår og ansvar for dataindsamling og analyse som en del af forhandlingen.

### Proces for beslutning om at give en betinget anbefaling

Medicinrådet vil fortsat vurdere alle nye lægemidler efter den fremgangsmåde, som er beskrevet i [Medicinrådets procesvejledning for vurdering af nye lægemidler](#). Hvis Medicinrådet her konkluderer, at lægemidlet ikke kan anbefales som standardbehandling, fordi centrale usikkerheder medfører, at forholdet mellem effekt og omkostninger ikke kan vurderes, kan Medicinrådet beslutte, at det skal undersøges, om lægemidlet er en mulig kandidat til en betinget anbefaling. Denne proces forløber som udgangspunkt efter følgende trin:

1. I forbindelse med, at Medicinrådet beslutter ikke at anbefale lægemidlet som standardbehandling, beslutter Medicinrådet samtidig, om det skal undersøges, om kriterierne for at give en betinget anbefaling kan opfyldes for det pågældende lægemiddel.
2. Medicinrådet udarbejder en protokol, som bl.a. beskriver:
  - a. hvilke patienter der vil være omfattet af en eventuel betinget anbefaling
  - b. hvilke data der skal indsamles, og hvor lang en tidshorisont det vil kræve
  - c. hvordan data skal analyseres og anvendes
  - d. hvordan data i praksis kan indsamles, dvs. om der eksisterer en datakilde, f.eks. et etableret dansk register eller et igangværende klinisk studie, som vil kunne bibringe de nødvendige data
  - e. hvad der vil ske efter dataindsamlingen, herunder også, om patienter, der sættes i gang med behandling under dataindsamlingen, skal kunne fortsætte deres behandling, hvis lægemidlet ikke anbefales som standardbehandling. Velbehandlede patienter bør som udgangspunkt kunne fortsætte behandling – dette forudsætter, at der defineres klare kriterier for, hvad der forstås ved "velbehandlet".

I praksis vil Medicinrådets fagudvalg og sekretariat udarbejde udkast til protokollen efter Medicinrådets beslutning. I den proces forventes der at være behov for at være i dialog med virksomheden om mulighederne for at indsamle data. Virksomheden får mulighed for at kommentere på udkast til protokollen. Herefter vurderer Rådet protokoludkast og eventuelle kommentarer fra virksomheden, inden protokollen godkendes.

3. På baggrund af protokollen forhandler Amgros og virksomheden om en pris på lægemidlet, som skal gælde i den periode, hvor dataopsamlingen finder sted, samt eventuel finansiering af dataindsamlingen. Det vil være en forudsætning for regionernes generelle ibrugtagning af lægemidlet, at protokollen følges.
4. Medicinrådet beslutter, om det vil give en betinget anbefaling af lægemidlet på baggrund af protokollen for dataindsamling og den prisaftaleprisaftale, som Amgros har forhandlet med virksomheden.

At afdække de konkrete behov og muligheder i hver sag vil være et omfattende arbejde, som kræver samarbejde mellem Medicinrådet, Amgros og flere andre aktører på sundhedsområdet, før en betinget anbefaling kan gives.

### Proces for opfølgning på betingede anbefalinger efter endt dataopsamlingsperiode

Når dataindsamlingsperioden er slut, skal Medicinrådet følge op på anbefalingen for at vurdere, om der er grundlag for at anbefale lægemidlet som mulig standardbehandling. Opfølgningen forløber som udgangspunkt efter følgende trin:

1. Medicinrådet modtager de opsamlede data.
2. Data analyseres som beskrevet i protokollen, som fulgte med den betingede anbefaling, og der udarbejdes et tillæg til vurderingsrapporten for lægemidlet, hvori betydningen af de nye data for den samlede vurdering af lægemidlets effekt, sikkerhed og/eller omkostninger beskrives.
3. Amgros forhandler med virksomheden om lægemidlets pris på baggrund af Medicinrådets vurderingsrapport og tillægget til vurderingsrapporten. Amgros informerer Medicinrådet om resultatet af forhandlingen.
4. Rådet beslutter, om det vil anbefale lægemidlet som standardbehandling på baggrund af den samlede tilgængelige evidens for effekt, sikkerhed og omkostninger.