

Årsberetning

2020



Indholdsfortegnelse

1.	2020, et år i coronaens tegn.....	2
2.	Endnu et travlt år.....	5
3.	Stiger udgifterne til sygehusmedicin stadig?.....	10
4.	Medicinrådet i medierne 2020.....	14
5.	Debatten om lægemidler til sjældne sygdomme.....	17
6.	QALY og de nye metoder	21
7.	Rådet	23
7.1	Observatører	24
7.2	Udtrådte rådsmedlemmer/observatører.....	24
8.	Fagudvalgene.....	25
9.	Sekretariatet.....	27

© Medicinrådet, 2021
Publikationen kan frit refereres
med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk
Format: pdf
Udgivet af Medicinrådet, 2. februar 2021



1. 2020, et år i coronaens tegn

At 2020 stod i coronaens tegn, kan ingen være i tvivl om.

Hele samfundet forandrede sig. Danmark lukkede ned, efter at statsminister Mette Frederiksen på pressemødet den 11. marts sendte offentligt ansatte hjem og lukkede skoler og børnehaver. Samtidig pointerede hun, at der var brug for personalet i sundhedssektoren mere end nogensinde før.

I Medicinrådet skete der også store forandringer. Alle medarbejdere i sekretariatet blev bedt om at arbejde hjemme, mens fysiske råds- og fagudvalgsmøder blev aflyst. Men lægemidlerne til landets patienter skulle stadig vurderes – pandemi eller ej. I løbet af marts og april fandt Medicinrådet derfor andre måder at arbejde på. Fagudvalg og sekretariat begyndte ret hurtigt at mødes virtuelt. Rådet vurderede og anbefalede lægemidler og godkendte behandlingsvejledninger skriftligt. Fra maj blev de skriftlige godkendelser, vurderinger og anbefalinger suppleret med drøftelser på videomøder.

Arbejdet gik ikke i stå. Men pandemien fik indflydelse på sagsbehandlingstiden, netop fordi dele af personalet i sundhedssektoren – herunder også nogle af Medicinrådets fagudvalgsmedlemmer – var i nødberedskab. Samtidig skulle Medicinrådets sekretariat finde nye måder at organisere arbejdet på.

Danske Regioner vedtog i slutningen af marts en nødprocedure, som blandt andet gav Rådet mulighed for at træffe beslutninger, selvom flere medlemmer skulle være forhindret i at deltage i rådsmøder. Heldigvis blev det ikke nødvendigt at tage nødprocedurerne i brug.

Mange anbefalinger og behandlingsvejledninger blev færdigbehandlet i marts, april, maj, juni og august på skrift og videomøder. Men i de mere komplicerede sager savnede Rådet at mødes ansigt til ansigt for at drøfte sagerne til bunds.

Derfor genoptog vi så vidt muligt de fysiske møder hen over efteråret. Det gjorde vi, fordi vi oplevede, at Rådet fik en meget bedre drøftelse af sagerne, når de fleste af rådsmedlemmerne kunne være til stede i et fysisk rum sammen.

I december blev rådsmødet igen virtuelt.

Vi kan ikke komme uden om, at coronaen har haft betydning for den hurtighed, vi ellers sætter en ære i i Medicinrådet.

Den gennemsnitlige sagsbehandlingstid for nye lægemidler og indikationsudvidelser blev for hele 2020 på 17 uger og 3 dage for lægemidler i den almindelige vurderingsproces, som må tage 12 uger.

Dermed blev 2020 det år i Medicinrådets 4-årige levetid, hvor vi har haft den længste sagsbehandlingstid.

Der er en række forskellige årsager til, at sagerne har taget længere tid i det forgangne år.



Rådet, fagudvalgene og sekretariatet har siden marts 2020 enten slet ikke eller kun i begrænset omfang kunnet mødes fysisk. Det har påvirket arbejdet i Medicinrådet bredt – og vil også gøre det i 2021.

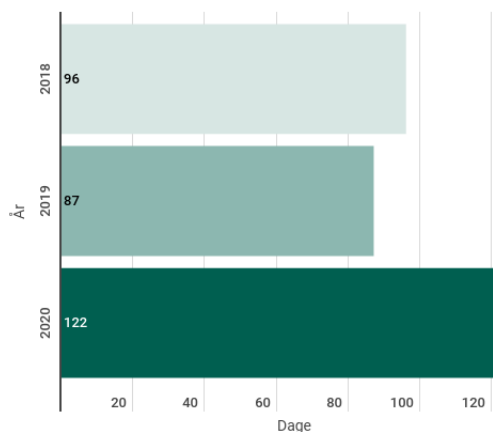
Medicinrådet har også skullet integrere et nyt fagområde, nemlig sundhedsøkonomien, som tidligere lå hos Amgros, og har udarbejdet helt nye metoder baseret på QALY (kvalitetsjusterede leveår).

Vi kan ikke komme uden om, at vi i 2020 har været udfordret af corona-pandemien, og det kan desværre ses på hastigheden af vores arbejde. Men vi har arbejdet med sagerne så hurtigt, som det er fagligt forsvarligt, fordi der er patienter, sundhedspersonale og virksomheder, der venter på vores anbefalinger.

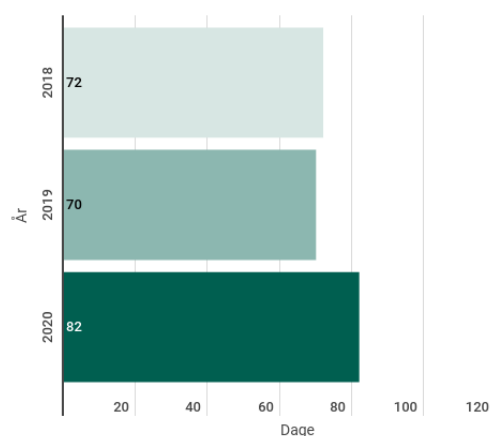
Sagsbehandlingstider

Medicinrådets gennemsnitlige tid fra ansøgning til anbefaling år for år

12-ugers proces



7-ugers proces



NB: 2017 er udeladt, fordi Rådet blev etableret samme år og kun færdiggjorde tre anbefalinger.



Sagsbehandlingstider i 2020

Hvor lang tid tog Medicinrådets anbefalinger i gennemsnit?



17 uger og 3 dage

for lægemidler i 12-ugers proces.



11 uger og 5 dage

for lægemidler i 7-ugers proces.

Clock-stops i 2020

Hvor ofte er en sag blevet udskudt ved et såkaldt clock-stop?



1

Er antallet af gange, Medicinrådet har sat processen på pause ved et clock-stop.

Det sker, hvis der er fejl eller mangler i en ansøgning af en sådan karakter, at det medfører en forsinkelse i vurderingsprocessen.



7

Er antallet af gange, Medicinrådet har bestemt sig for et udvidet clock-stop.

Fx hvis der i forbindelse med vurderingen af et lægemiddel er behov for at indhente nye oplysninger eller kvalificere data yderligere.

Ved begge typer clock-stop sættes sagsbehandlingstiden på pause, indtil Medicinrådet har de nødvendige oplysninger.



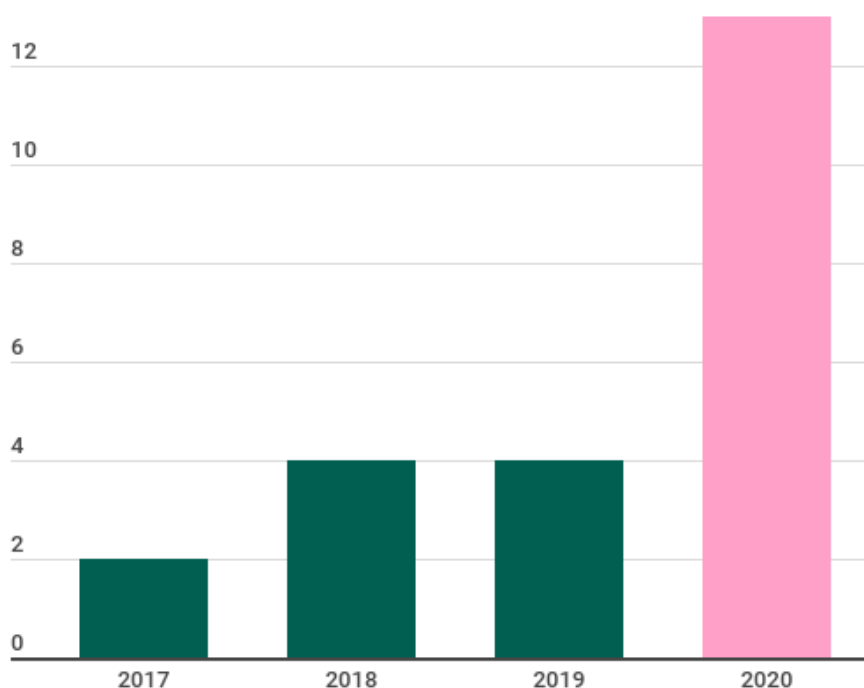
2. Endnu et travlt år

Samtidig med at Medicinrådet skulle finde nye måder at arbejde og holde møder på, har Medicinrådet også haft travlt i 2020 – både med anbefalinger af nye lægemidler og udarbejdelse af behandlingsvejledninger og lægemiddelrekommandationer.

Rigtig mange behandlingsvejledninger blev gjort færdige i 2020 – også flere end tidligere år.

Behandlingsvejledninger 2017-2020

Antal behandlingsvejledninger fordelt på år:



I 2017 færdiggjorde Medicinrådet to behandlingsvejledninger, i 2018 og i 2019 blev det til fire begge år og i 2020 til 13. Det sker efter, at Medicinrådet de seneste to år har sat ekstra ind på at få udarbejdet mange flere behandlingsvejledninger, og at den tidligere regering og Dansk Folkeparti i april 2019 afsatte otte millioner kroner til Medicinrådets arbejde med behandlingsvejledninger i perioden 2019 til 2022.

Medicinrådet udstedte også 26 lægemiddelrekommandationer i 2020. Desuden blev arbejdet med yderligere 10 nye behandlingsvejledninger sat i gang i 2020.



Medicinrådets behandlingsvejledninger skal sikre, at patienter over hele landet får den bedste medicinske behandling.

Samtidig giver behandlingsvejledningerne mulighed for store besparelser. Hvis Medicinrådet vurderer, at der inden for en behandling er flere lægemidler, som er lige gode og sikre, kan Rådet ligestille lægemidlerne.

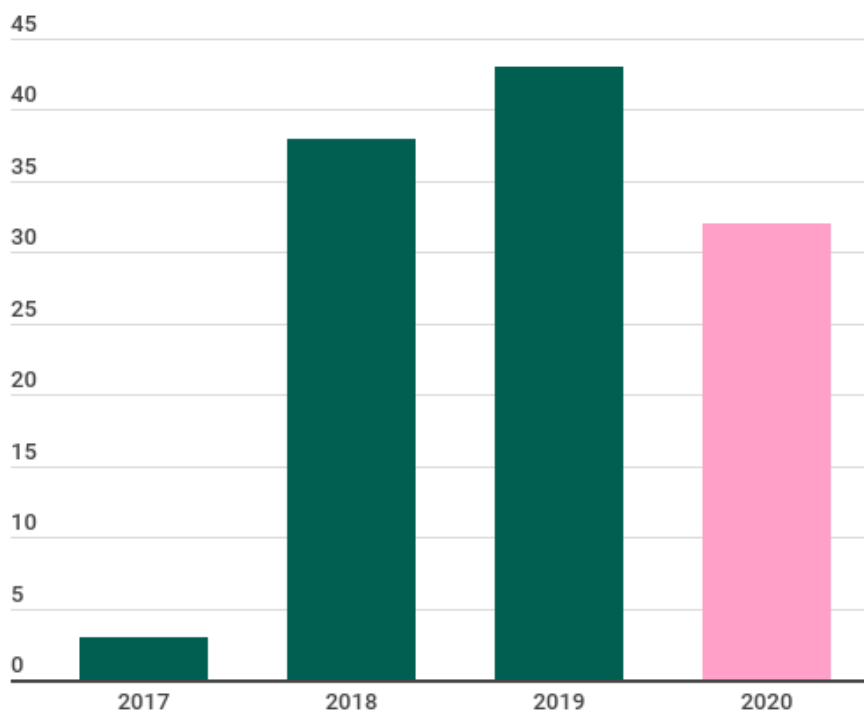
Når Medicinrådet har ligestillet to eller flere lægemidler til samme sygdom, bliver de konkurrenceudsat. Amgros starter et udbud, og firmaerne sætter en pris på lægemidlet, der nu er i konkurrence med flere andre. Herefter anbefaler Medicinrådet det lægemiddel – af de lige gode – der bliver tilbudt til den bedste pris.

De penge, regionerne sparer på at få presset priserne på de ligestillede lægemidler ned, kan bruges andre steder i sundhedsvæsenet.

Vi slog altså rekord med antallet af behandlingsvejledninger i 2020. Til gengæld færdiggjorde Medicinrådet færre anbefalinger af nye lægemidler og indikationsudvidelser end de to foregående år: 32 mod 38 i 2018 og 43 i 2019. I 2017, hvor Medicinrådet blev etableret, blev det til tre anbefalinger.

Anbefalinger 2017-2020

Antal anbefalinger fordelt på år:



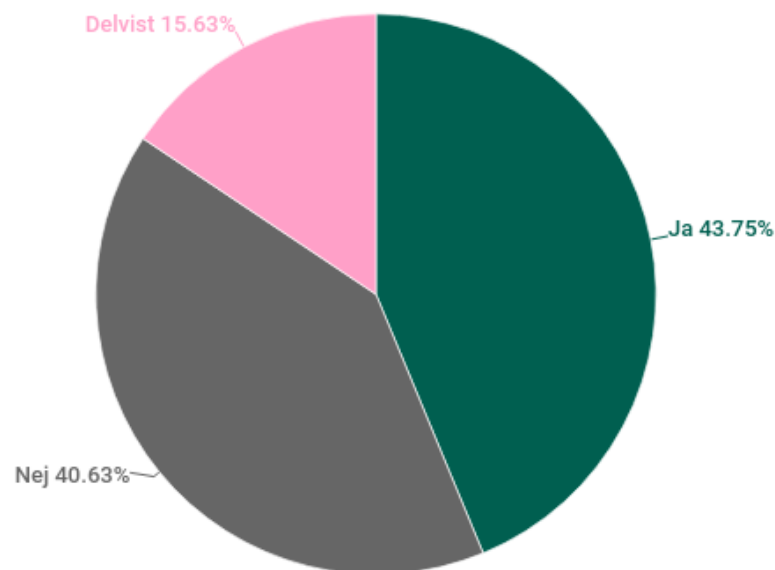


Det lavere antal skyldes dels færre ansøgninger om vurderinger af nye lægemidler i slutningen af 2019 og i de tre første kvartaler af 2020 sammenlignet med året før, dels at sagsbehandlingstiderne blandt andet på grund af corona-pandemien var længere i 2020 end de foregående år.

Mere end halvdelen af de 32 nye lægemidler blev anbefalet eller delvist anbefalet som standardbehandling: Medicinrådet anbefalede således 14 lægemidler til hele patientgruppen, 5 til en del af patienterne, mens 13 lægemidler ikke blev anbefalet som standardbehandling.

Anbefalinger 2020

Fordelt på ja, nej og delvist

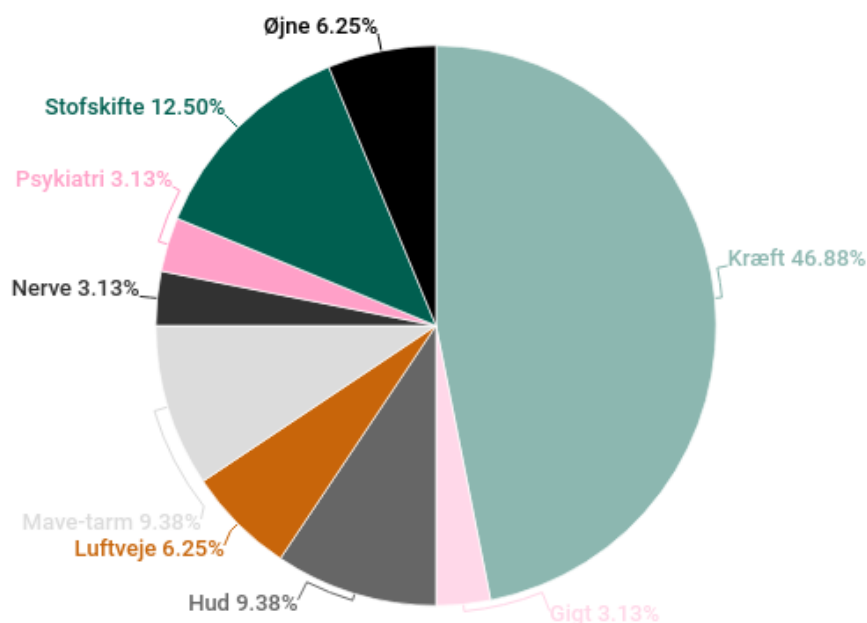


Igen i 2020 så vi rigtig mange kræftlægemidler. 15 af de 32 anbefalinger i 2020 var således af nye kræftlægemidler. Resten var fordelt på medicinske behandlinger til en række andre sygdomsområder.



Sygdomsområder 2020

Anbefalinger 2020 fordelt på sygdomsområder



Alt i alt, hvad har Medicinrådet så nået de fire første år?

Ved årsskiftet nåede Rådet alt i alt op på 116 anbefalinger af nye lægemidler og 23 behandlingsvejledninger.

De mange vurderinger af nye lægemidler, anbefalinger, behandlingsvejledninger, lægemiddelrekommandationer og udvidede sammenligningsgrundlag lægger en stor arbejdsbyrde på Rådets medlemmer. Sådan har det været siden begyndelsen, men arbejdspresset er absolut ikke aftaget i 2020.

På et typisk rådsmøde er der mere end 20 punkter på dagsordenen, og Rådet får i gennemsnit tilsendt 2.000 siders studier, vurderinger, analyser, rapporter og andet.

Desuden har Medicinrådet oplevet en stigning i eksterne henvendelser, vi skal besvare, og vi har flere sager, der kører skriftligt sideløbende med rådsmøderne.



Arbejdspres

Mange anbefalinger, behandlingsvejledninger og andre sager giver et stort arbejdspress på rådsmedlemmerne.



20

er det antal punkter, der typisk er på dagsordenen til et rådsmøde.



2000

er det antal sider, rådsmedlemmerne i snit får fremsendt som forberedelse forud for hvert rådsmøde.



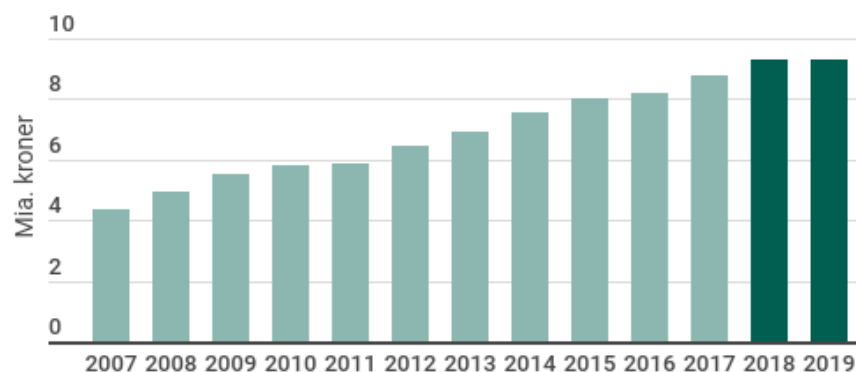
3. Stiger udgifterne til sygehusmedicin stadig?

Da Medicinrådet blev nedsat, var udgifterne til sygehusmedicin i en årrække steget mærkbart. I 2007 brugte regionerne 4,3 milliarder kroner på lægemidler på landets sygehuse, mens det tal var steget til 8,8 milliarder kroner i 2017. Der skete således en fordobling i regionernes udgifter til sygehusmedicin på ti år.

Derfor besluttede Danske Regioner, at Danmark fra 1. januar 2017 skulle have et medicinråd, som vi også kender det fra andre lande – herunder NICE i Storbritannien, G-BA i Tyskland og Beslutningsforum for nye metoder i Norge.

Udgifter til sygehuslægemidler

Udgifterne er opgjort i løbende priser (ikke korregeret for prisudviklingen)



Medicinrådet kom med sin første anbefaling i oktober 2017. Derfor kan Rådets effekt på udgifterne tidligst aflæses ud af udgifterne fra 2018.

Kilde: Danske Regioner og Danmarks Statistik

Idéen var, at et råd bestående af fagfolk skulle løse to opgaver: Rådet skulle lave behandlingsvejledninger og vurdere, om de nye lægemidler, som kommer på markedet, er pengene værd, når man ser samlet på effekt, bivirkninger og omkostninger forbundet ved at indføre dem. Kun hvis lægemidlet så at sige er pengene værd, skal det anbefales af Medicinrådet som standardbehandling på sygehusene. Ellers risikerer vi som samfund at bruge penge på ny dyr medicin, som måske ikke virker så godt, som vi håber, samtidig med at beslutningen kan få betydning andre steder i sundhedsvæsenet.



Som det fremgår af [Folketingets principper for prioritering af sygehuslægemidler](#), skal midlerne i sundhedsvæsenet bruges med omtanke, da det ellers kan få konsekvenser for forebyggelse, behandling eller pleje i andre dele af sundhedsvæsenet.

Den problemstilling og flere andre fortæller rådsmedlem og professor i sundhedsøkonomi Dorte Gyrd-Hansen om i denne podcast fra Medicinrådets podcastserie Indefra. [Du kan lytte til hendes fortælling ved at klikke her.](#)

Med Medicinrådet bliver der nu sagt nej til at anbefale lægemidler som standardbehandling, hvis de er for dyre, eller hvis effekten ikke er dokumenteret godt nok.

Men nok så vigtigt: At der nu er et Råd, der aktivt tager stilling til, om omkostningerne ved at indføre et nyt lægemiddel som standardbehandling er rimelige, betyder, at lægemiddelfirmaerne har et incitament til at tilbyde deres produkter til en lavere pris eller en mere fordelagtig betalingsordning for at få en anbefaling og dermed komme ind på det danske marked.

Det er sket i en række tilfælde. Eksempelvis har et bedre tilbud fra firmaet betydet, at Rådet – efter først at have sagt nej – anbefalede lægemidler som voretigene neparvovec mod øjensygdommen arvelig RPE65-relateret nethindedystrofi, cemiplimab mod hudkræftsygdommen avanceret planocellulært karcinom og patisiran mod sygdommen transthyretin amyloidose med polyneuropati. I en række andre tilfælde har en lavere pris ikke rykket ved anbefalingen, enten fordi lægemidlets effekt ikke er dokumenteret godt nok til den pågældende patientgruppe, eller fordi omkostningerne stadig er urimeligt høje. Eller som oftest: At usikkerheden om lægemidlets effekt er for stor til at retfærdiggøre de meget høje omkostninger.

I 2020 inddrog Medicinrådet for første gang det såkaldte forsigtighedsprincip. Det var i forbindelse med beslutningen om, hvorvidt lægemidlet tafamadis skulle anbefales som standardbehandling af patienter med sygdommen transthyretinmedieret amyloidose med kardiomyopati.

Medicinrådet vurderede tafamidis til to varianter af sygdommen: En arvelig variant og en ikke-arvelig variant, også kaldet vildtype.



Forsigtighedsprincippet



2020

blev året, hvor Medicinrådet for første gang inddrog forsigtighedsprincippet.

Det skal sikre, at Rådet ikke anbefaler et nyt lægemiddel som standardbehandling, hvis det betyder, at en uforholdsmæssig stor andel af sundhedsvæsenets midler skal bruges på netop den ene medicinske behandling.

Det er Danske Regioner, der har besluttet, at Medicinrådet i særlige tilfælde kan inddrage forsigtighedsprincippet i sine beslutninger.

Medicinrådet besluttede kun at anbefale tafamidis til behandling af den arvelige variant af sygdommen. Årsagen er, at behandlingen af patienter med den ikke-arvelige variant af sygdommen i gennemsnit for et typisk behandlingsforløb på fire til fem år koster cirka 2,9 millioner kroner pr. patient i officielle priser. Der er dog givet en rabat, der efter firmaets ønske er fortrolig.

Den pris mente Rådet var for høj i forhold til effekten. Samtidig lagde Medicinrådet vægt på, at der er usikkerhed om, hvor mange patienter med den ikke-arvelige variant der skal behandles. Medicinrådet estimerede, at cirka 700 patienter ville påbegynde behandlingen med tafamidis inden for fem år, hvis det blev anbefalet som standardbehandling til begge patientgrupper.

Men tallet kan være endnu højere. Hvis tafamidis blev anbefalet som standardbehandling til både den arvelige og den ikke-arvelige variant, ville hospitalerne muligvis begynde at screene mere for sygdommen. Antallet af patienter, der skulle behandles, ville derfor blive endnu højere, samtidig med at de ville blive diagnosticeret tidligere og derfor skulle behandles i længere tid.

Centralt står også Medicinrådets behandlingsvejledninger, der både har stor betydning for patienter og læger og for økonomien i sundhedsvæsenet. Medicinrådet rådgiver med sine behandlingsvejledninger lægerne om den bedste medicinske behandling til en given sygdom. De er på den måde med til at sikre patienterne en ensartet behandling af høj kvalitet i hele landet.

Samtidig er behandlingsvejledningerne med til at presse priserne på lægemidler ned og dermed frigøre midler til andre opgaver i sundhedsvæsenet. Det sker som beskrevet ovenfor, fordi Medicinrådet i sine behandlingsvejledninger ligestiller lægemidler til behandling af samme sygdom, hvis der er flere lige gode medicinske behandlinger. Amgros, der står for udbud og forhandlingerne med lægemiddelfirmaerne, beder efter ligestillingen firmaerne om at byde ind med priser på deres produkter, og det billigste af de ligestillede lægemidler bliver førstevalg i behandlingsvejledningen. Altså igen et incitament for firmaerne til at tilbyde lægemidlerne til en bedre pris.



Sådan en ligestilling og et udbud har for eksempel betydet, at [regionerne fra juni 2020 sparer omkring 100 millioner kroner årligt på lægemidler til en bestemt type brystkræft](#). Lægemidlerne er de samme – de er bare blevet billigere, fordi de er blevet konkurrenceudsat. De 100 millioner kroner kan således bruges til andre vigtige sundhedsopgaver, uden at behandlingen til brystkræftpatienterne bliver ringere. [Fra januar 2021 har regionerne udsigt til endnu en besparelse på mindst 100 millioner kroner om året på lægemidler til en række udbredte øjensygdomme](#) efter samme mekanisme.

Medicinrådet er altså sat i verden for at sikre mest mulig sundhed for pengene for de danske patienter. Hvilken betydning Medicinrådet reelt har på udgifterne til sygehusmedicin, kan vi dog endnu ikke konkludere håndfast på.



4. Medicinrådet i medierne 2020

I 2020 udsendte Medicinrådet 32 anbefalinger, 13 behandlingsvejledninger og 26 lægemiddelrekommandationer.

Det gik ikke ubemærket hen. Ifølge mediedatabasen Infomedia blev 'Medicinrådet' nævnt i flere end 1.000 artikler og indslag i 2020 – også selvom corona/COVID-19 har domineret sundhedsstoffet i medierne.

Der er altid nogle sager, der fylder mere i mediedækningen end andre. Det er typisk, hvis Medicinrådet siger nej til at anbefale et nyt lægemiddel, at vi får henvendelser fra pressen, og sagen efterfølgende fylder i spalter og indslag. Hvis det bliver et ja, bliver sagen sjældent dækket.

"Der er altid nogle sager, der fylder mere i mediedækningen end andre. Det er typisk, hvis Medicinrådet siger nej til at anbefale et nyt lægemiddel, at vi får henvendelser fra pressen, og sagen efterfølgende fylder i spalter og indslag. Hvis det bliver et ja, bliver sagen sjældent dækket."

Citat Jørgen Schøler Kristensen

Øjenlægemidlet Luxturna (voretigene neparvovec) var dog lidt af en undtagelse – måske fordi det først blev et nej og senere et ja, efter at firmaet kom med et tilbud på en ny prisaftale, så regionerne kun skal betale, hvis Luxturna virker.

Luxturna er den første gentterapi til behandling af øjensygdommen arvelig RPE65-relateret nethindedytrofi, der i sidste ende fører til blindhed – typisk når patienterne er i 30'erne. Luxturna har en vigtig klinisk merværdi, men der er usikkerhed om langtidseffekten og eventuelle bivirkninger.

Da Medicinrådet [i april 2020 anbefalede Luxturna](#) som standardbehandling, blev sagen dækket af blandt andet Ude og Hjemme, Ekstra Bladet, TV2 og DR – DR med tv-dokumentaren [Kostbare øjne](#), der dog først blev sendt i september 2020. DR lavede også webdokken [Når alt bliver mørkt](#).

Men det lægemiddel, der løb med flest overskrifter i 2020, var – igen – nusinersen, kendt under handelsnavnet Spinraza. Det er et lægemiddel til behandling af muskelsvindsygdommen spinal muskelatrofi. Ifølge mediedatabasen Infomedia optræder ordene Spinraza og Medicinrådet i 320 artikler i 2020.

I alt er der fra 1. januar 2017 til 31. december 2020 ifølge Infomedia blevet skrevet flere end 1.300 artikler og indslag, der indeholder de to ord: Spinraza og Medicinrådet.

Anledningen til den fornyede medieinteresse var, at Medicinrådet selv havde sat Spinraza på dagsordenen igen. Rådet ønskede at undersøge, om der var grundlag for at udvide anbefalingen, så den kunne omfatte en større og ældre gruppe patienter.



2017 - 2020

Medicinrådets beslutninger om Spinraza

1

Oktober 2017

Medicinrådet anbefaler Spinraza til nogle patienter med SMA type 1, som er den mest alvorlige form af sygdommen, samt spædbørn som endnu ikke har vist symptomer på sygdommen.

2

Januar 2018

Medicinrådet udvider anbefalingen til flere patienter med SMA type 1.

3

Maj 2018

Anbefalingen bliver udvidet til også at omfatte mindre børn med SMA type 2, som er en mildere form af sygdommen. Børnene må ikke have haft symptomer på sygdommen i mere end 4 år. Det betyder i praksis, at barnet ikke kan være ældre end 6 år, når det starter på behandlingen.

4

Oktober 2020

Medicinrådet justerer anbefalingen for spædbørn, som endnu ikke har haft symptomer på sygdommen, med henblik på at åbne mulighed for tidligere behandling via et nationalt screeningsprogram.

Ved Rådets møde i maj 2020 fremlagde Medicinrådets fagudvalg på området resultatet af den dataindsamling, som Medicinrådet selv havde igangsat sammen med fagudvalget i jagten på mere evidens for effekten af Spinraza hos større børn og voksne. I kølvandet på fagudvalgets rapport fulgte også tilbud om en ny pris, som Rådet ikke var tilfreds med.

Sagen blev herefter drøftet igen ved Rådets møde i juni – både på et planlagt rådsmøde og et ekstraordinært hasteindkaldt rådsmøde i slutningen af juni, hvor Spinraza var det eneste punkt på dagsordenen.

Rådet konkluderede afslutningsvis, at de patientgrupper, hvor der er dokumentation for effekt af Spinraza, allerede i dag er omfattet af anbefalingen.



Derfor besluttede Rådet at fastholde sin anbefaling fra maj 2018. Anbefalingen gælder de fleste børn med SMA type 1 og 2, som er under seks år ved behandlingens start.

I oktober måned besluttede Rådet – på opfordring af fagudvalget – at justere sin anbefaling, så den nu omfatter lidt flere såkaldt præsymptomatiske spædbørn. Det er børn født med en gendefekt, der gør, at de senere vil udvikle symptomer på muskelsvindssygdommen. Justeringen var en vigtig forudsætning for, at Sundhedsstyrelsen kan behandle et forslag om at indføre et nationalt screeningsprogram af nyfødte, som vil betyde, at behandlingen kan starte, inden børnene taber muskelkraft.

Sagen har fået meget opmærksomhed, og der har ikke altid været fuld enighed mellem Medicinrådet og fagudvalget om, hvordan evidensen for Spinrazas effekt skal tolkes. Samtidig har patienterne forskellig adgang til Spinraza i de lande, vi i Danmark normalt sammenligner os med. Det skyldes blandt andet forskellige finansieringssystemer og forsøgsordninger, og at prisen på Spinraza, som er fortrolig, kan være forskellig fra land til land. Prisen i Danmark er fortsat meget høj. Den officielle pris på Spinraza er ifølge Medicinpriser.dk cirka 3,3 millioner kroner det første år og cirka 1,7 millioner kroner hvert år efterfølgende. Der er forhandlet en fortrolig rabat.

Også i Folketinget er Spinraza blevet diskuteret, og sundhedsministeren er blevet stillet udvalgs- og samrådsspørgsmål om sagen.



5. Debatten om lægemidler til sjældne sygdomme

Allerede ved årets begyndelse blussede diskussionen om Medicinrådets håndtering af lægemidler til sjældne sygdomme op. Spinraza og Luxturna er blot to af de mange nye dyre lægemidler til behandling af små patientgrupper, der i disse år udvikles lægemidler til.

I januar havde Dansk Folkepartis sundhedsordfører indkaldt ministeren og resten af ordførerne på området til en debat om emnet i folketingsalen.

Problemstillingen er ifølge nogle politikere, lægemiddelfirmaer, læger og patientorganisationer, at det er for svært at få anbefalet lægemidler til mindre patientgrupper med sjældne sygdomme, netop fordi patientgrundlaget er lille, og det derfor er vanskeligt at levere et datagrundlag for lægemidlets effekt, der lever op til Medicinrådets krav. Og samtidig, at lægemidlerne er dyrere, fordi firmaerne har et mindre marked at sælge deres produkter på. Det får ofte – ifølge kritikerne – Medicinrådet til at vende tommelfingeren nedad.

Men man kan også vende argumentet om: Lægemidler til små patientgrupper er ofte dyre. Eksempelvis har Medicinrådet i 2020 anbefalet lægemidlet voretigene neparovovec (Luxturna), som kan bremse patienternes synstab. Behandlingen koster i officielle priser 5,1 millioner kroner pr. patient. Rådet har også anbefalet lægemidlet patisiran til behandling af transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati. Meromkostningerne til behandlingen af en gennemsnitlig patient i 16 år er cirka 20 millioner kroner, hvis man tager udgangspunkt i listepriiserne. Der er forhandlet rabatter, men de er efter firmaernes ønske fortrolige.

De nævnte eksempler har resulteret i anbefalinger af lægemidlerne, men der er ingen tvivl om, at beslutningen i Medicinrådet har været vanskelig på grund af de høje priser. Medicinrådet valgte eksempelvis ikke at anbefale patisiran i første omgang, fordi prisen var for høj. Efterfølgende har virksomheden tilbudt lægemidlet til en betydeligt lavere pris, og Medicinrådet anbefaler det nu som standardbehandling. Det samme gælder Luxturna, hvor en bedre pris aftale ændrede en ikke-anbefaling til en anbefaling.

Dilemmaet er, hvor meget mere sundhedsvæsenet skal betale, og om vi bør stille anderledes krav til dokumentationen, fordi det er en lille patientgruppe. Sundhedsvæsenets ressourcer skal bruges på lægemidler, som vi ved virker, og som vi får tilbudt til en pris, som er rimelig set i forhold til effekten, da det ellers kan få konsekvenser for forebyggelse, behandling eller pleje i andre dele af sundhedsvæsenet. Det gælder, uanset om vi vurderer lægemidler til små eller store patientgrupper.

”Sundhedsvæsenets ressourcer skal bruges på lægemidler, som vi ved virker, og som vi får tilbudt til en pris, som er rimelig set i forhold til effekten, da det ellers kan få konsekvenser for forebyggelse, behandling eller pleje i andre dele af sundhedsvæsenet. Det gælder, uanset om vi vurderer lægemidler til små eller store patientgrupper.”

Citat Steen Werner Hansen



Medicinrådets metoder har således været omdiskuteret, særligt når det gælder vurderingen af lægemidler til sjældne sygdomme. Der har været fremført kritik af, at metoderne ikke kan tage hånd om de lægemidler, hvor dokumentationen for effekten kan være ganske sparsom.

Fra 1. januar 2019 ændrede Medicinrådet sine metoder. Der opstod hos nogle den opfattelse, at Medicinrådet hermed lempede kravene til evidens, når det gælder lægemidler til sjældne diagnoser. Det var ikke tilfældet. Metodeændringen blev indført for at gøre det mere tydeligt, hvornår der er statistisk sikkerhed for et lægemiddels effekt, og hvornår datagrundlaget er så spinkelt, at vurderingen må baseres på kliniske skøn.

Da vi i slutningen af 2020 analyserede metodeændringens betydning for vurderingen af lægemidler til sjældne sygdomme, var det vores vurdering, at den har levet op til sit formål. Metodeændringen har gjort det mere tydeligt, hvornår Medicinrådets vurderinger af lægemidlernes værdi for patienterne er baseret på sikker dokumentation, og hvornår det er kliniske skøn, der ligger til grund for vurderingen.



Definition: Sjældne sygdomme

Sjældne sygdomme rammer få personer.
Men begrebet er ikke entydigt defineret og afgrænset.
Medicinrådets opgørelse rummer to kategorier, nemlig **sjældne sygdomme** og **sjældne kræftsygdomme**.



500-1000

'Sjældne sygdomme' tager udgangspunkt i Sundhedsstyrelsens afgrænsning af sjældne sygdomme, der er defineret som en prævalens på ca. 1-2 ud af 10.000 eller derunder.

Det svarer til højst ca. 500-1.000 personer i Danmark.

Sundhedsstyrelsens definition rummer herudover et krav om kompleksitet (medfødte, arvelige, kroniske, komplekse, alvorlige sygdomme) og behov for en særlig indsats og faglige/teknologiske ressourcer.



< 50

'Sjældne kræftsygdomme' er kræftsygdomme, hvor der er **færre end 50 patienter pr. år i Danmark**. Medicinrådet vurderer ofte nye lægemidler til kræftsygdomme, hvor patientgrundlaget er meget lille. De indgår ikke i sundhedsstyrelsens definition af sjældne sygdomme, men har her fået sin egen kategori.

Spørgsmålet er selvfølgelig, om metodeændringen har haft en betydning for anbefalingerne af lægemidler til sjældne sygdomme.

I analysen har vi set på Medicinrådets anbefalinger af lægemidler til sjældne sygdomme med udgangspunkt i Sundhedsstyrelsens definition af begrebet. Desuden har vi særskilt set på lægemidler til sjældne kræftsygdomme.

[Vores opgørelse](#) viser, at andelen af lægemidler til sjældne sygdomme efter Sundhedsstyrelsens definition, der er blevet anbefalet eller delvist anbefalet, er stort set uændret efter metodeændringen. Her er det værd at bemærke, at alle lægemidlerne i denne gruppe har opnået en positiv kategorisering efter metodeændringen – det vil sige, at de var dokumenteret bedre for patienten end de eksisterende behandlingsmuligheder – om end der kunne være tvivl om, hvor stor en klinisk merværdi der var ved behandlingen. Lægemiddelfirmaerne kunne altså i disse tilfælde godt indsamle tilstrækkelig dokumentation til at vise en positiv effekt, selvom der er tale om medicin til små patientgrupper.



Men selvom der ofte er dokumentation for, at lægemidlet er bedre for patienten end den nuværende behandling, er der ofte tvivl om, hvor stor effekten er, og hvor længe den varer. Når Medicinrådet ikke anbefaler lægemidler til sjældne sygdomme, skyldes det altså oftest, at omkostningerne til behandlingen er uacceptabelt høje, særligt når disse usikkerheder om lægemidlets effekt tages i betragtning.

Vores optælling viser dog også, at færre lægemidler til sjældne kræftsygdomme blev anbefalet efter metodeændringen. Men idet der i vores opgørelse kun er tale om syv lægemidler i gruppen, er det uvist, om det er metodeændringen, lægemidlets evidensgrundlag, lægemiddelpriisen eller andre forhold, der er den primære årsag til, at færre lægemidler til sjældne kræftsygdomme er blevet anbefalet efter 1. januar 2019.

Det er værd at bemærke, at udfordringen med sparsomme data ikke kun er til stede for lægemidler til sjældne sygdomme. Vores optælling viser således, at Medicinrådet også for ikke-sjældne sygdomme ofte mangler sikre data for lægemidlets effekt og dermed værdien for patienterne. Samtidig vil små patientpopulationer blive mere og mere almindelige, i takt med at en større andel af nye lægemidler bliver målrettet bestemte genotyper eller mutationer. Derfor vil en stadig større andel af nye lægemidler skulle vurderes på baggrund af et meget begrænset datagrundlag.



6. QALY og de nye metoder

2020 stod også i metodeudviklingens tegn.

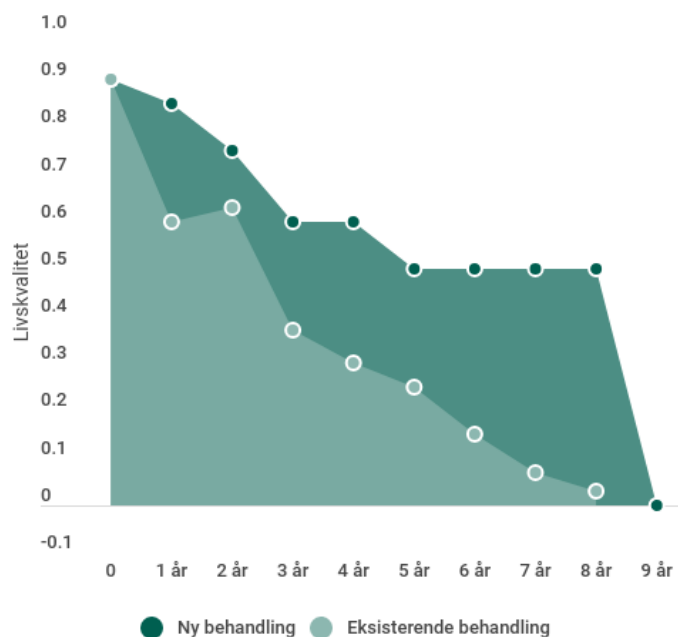
Danske Regioner besluttede nemlig i november 2019, at Medicinrådet skal benytte QALY – eller kvalitetsjusterede leveår – i sine vurderinger. Det er indført fra 1. januar 2021.

Da Medicinrådet oprindeligt blev etableret, havde Danske Regioner kigget mod det tyske prioriteringssystem, hvor lægemidlers værdi kategoriseres, alt efter hvor godt de virker. Den model har dannet grundlag for Medicinrådets vurderinger af nye lægemidler, fra Rådet blev etableret i januar 2017 og frem til årsskiftet 2020/2021.

Efter [evalueringen af Medicinrådet i 2019](#) besluttede Danske Regioners bestyrelse, at Medicinrådets metoder skulle ændres. Bestyrelsen ønskede, at Danmark ligesom for eksempel England, Norge og Sverige skulle bygge sine prioriteringsbeslutninger på den internationalt anvendte måleenhed QALY.

QALY

QALY = livskvalitet gange levetid



QALY-gevinsten udtrykker den forbedring/forværring i livskvalitet og overlevelse, som en ny behandling giver patienten ift. den eksisterende. Det mørkegrønne areal udgør QALY-gevinsten ved den nye behandling (sammenlignet med den eksisterende). Livskvalitet gøres op på en skala, hvor 0 er død og 1 er perfekt helbred. Eksemplet er fiktivt.



QALY – eller kvalitetsjusterede leveår – er et standardiseret mål, der kombinerer patienters livskvalitet og overlevelse i ét tal. Livskvaliteten opgøres på en skala, hvor 0 er død, og 1 er perfekt helbred. Én QALY svarer således til et år i perfekt helbred. QALY kan i princippet beregnes for alle typer behandling. Derfor kan QALY bruges til at se på tværs og giver mulighed for at sammenligne gevinsten af de nye lægemidler, Medicinrådet bliver bedt om at vurdere.

At implementere QALY som måleenhed for lægemidlers effekt medfører, at Medicinrådet kommer til at anvende en metode, der er internationalt anerkendt som værende det bedste værktøj til sammenligning af sundhedseffekter på tværs af behandlinger, og dermed en essentiel del af beslutningsgrundlaget for prioritering inden for sundhedsvæsenet.

Men det er en gennemgribende og markant ændring, som har betydet, at Medicinrådets metoder og processer for vurdering af nye lægemidler skulle skrives helt om. Det er et arbejde, der har stået på i hele 2020. Ansvar for udarbejdelsen af de nye metoder ligger hos Danske Regioner, der har trukket på Medicinrådets sekretariat for udarbejdelsen af de konkrete metoder. Sekretariatet har sparret med eksperter fra ind- og udland, herunder repræsentanter for Legemiddelverket i Norge og NICE i England.

[En ny metodevejledning og en ny procesvejledning er nu på plads.](#) Arbejdet er blevet fulgt tæt af en følgegruppe under Danske Regioner med repræsentanter fra Danske Patienter, Lægevidenskabelige Selskaber, Lægemedelindustriforeningen, Amgros og Medicinrådet.

Fra årsskiftet skal vi altså arbejde på en anden måde, end vi har gjort i Medicinrådets første fire år. Vi skal i gang med at lære en ny metode og proces at kende. Det gælder alle enheder i Medicinrådet – sekretariatet, fagudvalgene og Rådet. Vi skal have det nye system ind under huden, og læringskurven vil være stejl.

I en periode kommer vi til at jonglere mellem de gamle og nye metoder, fordi de nye metoder kun gælder anmodninger om vurdering af lægemidler, der er modtaget fra den 1. januar 2021.

Vi forventer os en del af de nye metoder. Først og fremmest vil indførelsen af QALY gøre det lettere at sammenligne vurderingerne af nye lægemidler på tværs. Vi ser frem til, at data for overlevelse og livskvalitet bliver indarbejdet systematisk og sammenligneligt i alle vurderingerne. Vi ser også frem til at kunne drøfte effekt, sundhedsøkonomi, omkostninger og en eventuel anbefaling samlet. Det var efter de gamle metoder delt op på to møder.

”Nogle udfordringer ændrer metoden dog ikke på. Det gælder blandt andet den grundlæggende udfordring, at vi skal vurdere flere og flere lægemidler på et meget begrænset datagrundlag. Analyserne vil ikke blive mere sikre end de data, de bygger på.”

Citat Steen Werner Hansen

Nogle udfordringer ændrer metoden dog ikke på. Det gælder blandt andet den grundlæggende udfordring, at vi skal vurdere flere og flere lægemidler på et meget begrænset datagrundlag. Analyserne vil ikke blive mere sikre end de data, de bygger på. Vi forventer derfor, at der også fremover vil være sager, hvor sparsomme data gør beslutningerne vanskelige.



7. Rådet

Jørgen Schøler Kristensen, formand

Lægefaglig direktør, Aarhus Universitetshospital
Udpeget af Danske Regioner

Steen Werner Hansen, formand

Vicedirektør, Herlev og Gentofte Hospital
Udpeget af Danske Regioner

Carl-Otto Gøtzsche

Klinikchef, Aalborg Universitetshospital
Udpeget af Region Nordjylland

Jens Friis Bak

Lægefaglig direktør, Hospitalsenheden Vest
Udpeget af Region Midtjylland

Kim Brixen

Lægelig direktør, Odense Universitetshospital
Udpeget af Region Syddanmark

Knut Borch-Johnsen

Vicedirektør, Holbæk Sygehus
Udpeget af Region Sjælland

Per Jørgensen

Vicedirektør, Rigshospitalet
Udpeget af Region Hovedstaden

Henning Beck-Nielsen

Professor, Endokrinologisk Afdeling, Odense Universitetshospital
Udpeget af Lægevidenskabelige Selskaber (DES - Dansk Endokrinologisk Selskab)

Niels Obel

Professor, Infektionsmedicinsk Klinik, Rigshospitalet
Udpeget af Lægevidenskabelige Selskaber (DSI - Dansk Selskab for Infektionsmedicin)

Dorte Lisbet Nielsen

Professor, Afdeling for Kræftbehandling, Herlev Hospital
Udpeget af Lægevidenskabelige Selskaber (DSKO - Dansk Selskab for Klinisk Onkologi)

Hanne Rolighed Christensen

Ledende overlæge, Klinisk farmakologisk afdeling, Bispebjerg Hospital
Udpeget af regionerne



Birgitte Klindt Poulsen

Ledende overlæge, Klinisk Farmakologisk Afdeling, Aalborg Universitetshospital
Udpeget af regionerne

Lars Nielsen

Regionsapoteker, Region Hovedstadens Apotek
Udpeget af regionerne

Morten Freil

Direktør, Danske Patienter
Udpeget af Danske Patienter

Leif Vestergaard Pedersen

Forhenværende direktør, Kræftens Bekæmpelse
Udpeget af Danske Patienter

Dorte Gyrd-Hansen

Professor, forskningsleder ved Danish Centre for Health Economics (DaCHE), Syddansk
Universitet
Udpeget af Rådet

7.1 Observatører

Marie Louise Schougaard Christiansen

Speciallæge i klinisk farmakologi, Sundhedsstyrelsen
Udpeget af Sundhedsstyrelsen

Doris Hovgaard

Overlæge, Medicinsk Evaluering og Biostatistik, Lægemiddelstyrelsen
Udpeget af Lægemiddelstyrelsen

Ida Sofie Jensen

Koncernchef, Lægemiddelindustriforeningen
Udpeget af Lægemiddelindustriforeningen

Dorthe Bartels

Senior strategisk rådgiver, Amgros

7.2 Udtrådte rådsmedlemmer/observatører

Lise Grove

Direktør for strategisk indkøb og forsyning af lægemidler, Amgros



8. Fagudvalgene

Medicinrådets fagudvalg består blandt andet af læger, kliniske farmakologer og patienter.

Medicinrådet indkalder sine fagudvalg, når det skal vurdere nye lægemidler eller udarbejde behandlingsvejledninger og lægemiddelrekommandationer. Fagudvalgene er eksperter i det pågældende sygdomsområde. De er faste udvalg, som løbende kan indkaldes. Medicinrådet kan nedsætte nye fagudvalg, hvis der mangler udvalg på områder, hvor der kommer nye lægemidler.

I starten af 2020 publicerede Medicinrådet en række korte podcasts i serien Indefra på Medicinrådets hjemmeside.

I to af disse fortæller to fagudvalgsformænd – henholdsvis forsker og børnelæge Bo Chawes og professor og overlæge Jesper Stentoft, hvorfor de mener, at Medicinrådet løfter en vigtig samfundsmæssig opgave.

Du kan lytte til deres fortællinger ved at klikke på nedenstående links:

[Hør Bo Chawes fortælling her](#) og [hør Jesper Stentofts fortælling her](#).

Ved årsskiftet 2020/2021 havde Medicinrådet 516 fagudvalgsmedlemmer fordelt på 52 fagudvalg. 81 af medlemmerne er patienter eller patientrepræsentanter.

Fagudvalgsmedlemmer

Medicinrådet har **516** fagudvalgsmedlemmer.

81 af dem er patientrepræsentanter.



● Klinisk/fagligt medlem ● Patientrepræsentant



I 2020 evaluerede Medicinrådets sekretariat patientinddragelsen i fagudvalgenes arbejde med behandlingsvejledninger. Evalueringen viste, at der er en generel tilfredshed med patientinddragelsen. Evalueringen viste også nogle forbedringsmuligheder i patientinddragelsen, som sekretariatet arbejder videre med.

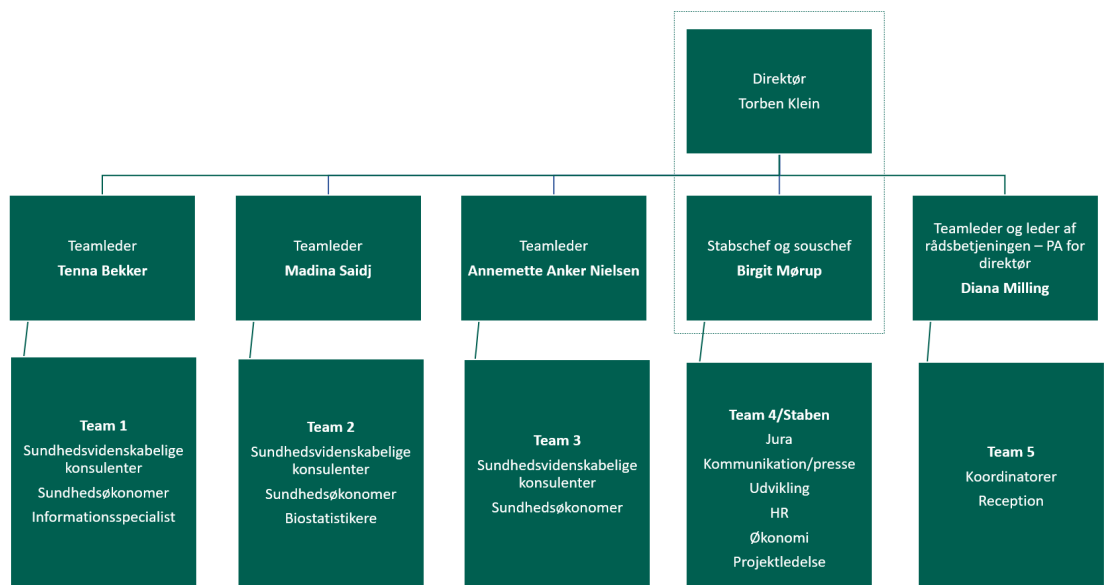
Michael Davidsen er patientrepræsentant i fagudvalget vedrørende øjensygdomme. [Han fortæller i denne podcast, hvorfor han er gået ind i arbejdet i fagudvalget.](#)



9. Sekretariatet

Medicinrådets sekretariat er metodeansvarligt og betjener Rådet og fagudvalgene. Ved årets udgang var der 53 ansatte i sekretariatet. Af de i alt 53 medarbejdere er 43 kvinder og 10 mænd.

Sekretariatet er organiseret i fem teams og ledes af direktør Torben Klein.



Siden 1. januar 2020 har Medicinrådet fået en ny faggruppe i sekretariatet.

På Danske Regioners bestyrelsesmøde i november 2019 blev det nemlig besluttet, at de sundhedsøkonomiske analyser til Medicinrådet fremover skulle udarbejdes i Rådets sekretariat. Det medførte, at fem sundhedsøkonomer skiftede fra Amgros til Medicinrådets sekretariat 1. januar 2020.

Medicinrådets sekretariat

Medicinrådet Dampfærgevej 27-29, 3. th
2100 København Ø

+ 45 70 10 36 00

medicinraadet@medicinraadet.dk

www.medicinraadet.dk