

## Saksframlegg

**Saksgang:**

Styre	Møtedato
Styret Helse Sør-Øst RHF	19. august 2021

**Sak 091-2021**

**Midlertid innføring og revurdering av nye metoder for å fremme persontilpasset medisin**

***Forslag til vedtak:***

Styret tar rapporten «*Utredning og implementering av ordninger for midlertidig innføring og revurdering av nye metoder i Nye metoder for å tilrettelegge for innføring av persontilpasset medisin i tjenesten*» til orientering.

Hamar, 11. august 2021

Jan Frich  
konstituert administrerende direktør

## 1. Hva saken gjelder

De regionale helseforetakene fikk i 2020 i oppdrag å utrede og innføre ordninger for midlertidig innføring og revurdering av nye metoder for å tilrettelegge for innføring av persontilpasset medisin i tjenesten.

Rapporten «*Utredning og implementering av ordninger for midlertidig innføring og revurdering av nye metoder i Nye metoder for å tilrettelegge for innføring av persontilpasset medisin i tjenesten*» legges i denne saken frem for styret. Rapporten er oversendt Helse- og omsorgsdepartementet innen fristen 1. juli 2021.

## 2. Hovedpunkter og vurdering av handlingsalternativer

### ***Bakgrunn for saken***

I oppdragsdokument for 2020 ga Helse- og omsorgsdepartementet de regionale helseforetakene følgende oppdrag:

*«De regionale helseforetakene skal, under ledelse av Helse Midt-Norge RHF, utrede og implementere ordninger for midlertidig innføring og revurdering av nye metoder i Nye metoder for å tilrettelegge for innføring av persontilpasset medisin i tjenesten».*

### ***Nye metoder***

Helse- og omsorgsdepartementet etablerte Nye metoder (tidligere Nasjonalt system for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten) i 2013 og delegerte oppgaven med beslutning om innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten til styrene i de regionale helseforetakene. Styret i Helse Sør-Øst RHF ga i sak 023-2014 administrerende direktør fullmakt til å ta beslutninger innenfor Nye metoder.

I desember 2019 vedtok Stortinget endringer i spesialisthelsetjenesteloven og pasient- og brukerrettighetsloven gjeldende fra 1. januar 2020. Endringene innebar en lovfesting av at de regionale helseforetakene skal sørge for et felles system for å beslutte hvilke metoder som kan tilbys i spesialisthelsetjenesten (spesialisthelsetjenesteloven § 4-4 første ledd). Videre fastslår spesialisthelsetjenesteloven § 2-1 a at de regionale helseforetakene skal innrette sitt tjenestetilbud basert på tre prioriteringskriterier: nytten av tiltaket, ressursbruken og alvorlighetsgraden av de tilstander som skal behandles.

Beslutningsforum for nye metoder er en del av Nye metoder og er satt sammen av de administrerende direktørene i de fire regionale helseforetakene i tillegg til at Helsedirektoratet og de regionale brukerutvalgene begge har en representant med observatørstatus. Bestillerforum for nye metoder er organet i Nye metoder som bestiller metodevurderinger, hvor fagdirektørene i de fire regionale helseforetakene er medlemmer, i tillegg til representanter fra Folkehelseinstituttet, Statens legemiddelverk, Helsedirektoratet og Direktoratet for strålevern og atomsikkerhet.

### ***Persontilpasset medisin og presisjonsmedisin***

Det aktuelle oppdraget omfatter midlertidig innføring og revurdering av legemidler i Nye metoder. Oppdraget er tuftet på et ønske om en mer dynamisk tilnærming til innføring av legemidler for ulike sykdommer og underkategorier av sykdom. Utviklingen innen molekylærbiologi og genetik har åpnet muligheten for mer differensiert medisinsk behandling. Der man tidligere behandlet pasienter ut fra grove overordnede kliniske kategorier, vil behandlingen i økende grad bli rettet mot undergrupper med bestemte biologiske karakteristika. Et legemiddel kan ha god effekt på en undergruppe, og ha liten nytte eller ha negative virkninger hos andre pasienter. Den faglige utviklingen åpner på denne måten for en mer målrettet eller presis behandling som ofte betegnes som persontilpasset medisin, evt. det noe nyere begrepet presisjonsmedisin.

Når nye behandlingsmetoder gjøres til gjenstand for vurdering i Nye metoder gjøres en helhetlig vurdering med bakgrunn i de tre prioriteringskriteriene. Sykdommens alvorlighet og ressursbruken (inkludert legemiddelets pris) vil gjerne vært kjente størrelser, men det kan i noen saker være stor usikkerhet om nytten ved behandlingen. Det oppstår usikkerhet når dokumentasjonen på nytten av behandlingen er mangelfull for den aktuelle tilstanden. Samtidig kan resultater fra mindre undersøkelser eller biologiske karakteristika ved pasienten eller sykdommen gi grunnlag for å tro at behandlingen vil være nyttig.

For å fremme persontilpasset medisin kan det være aktuelt å håndtere usikkerheten ved at et legemiddel innføres midlertidig i påvente av ny forskningsbasert kunnskap og dokumentasjon. Ved midlertidig innføring av ny behandling legges det opp til at det gjennomføres en ny vurdering av behandlingen på et gitt tidspunkt. Hvis det skulle vise seg at behandlingen ikke er nyttig eller at nytten er liten i forhold til prisen, tatt i betraktningen tilstandens alvorlighet, vil det være aktuelt å utfase behandlingen.

### ***Vurderinger og tiltak i rapporten***

Rapporten legger til grunn at det å etablere systemer for midlertidig innføring og revurdering av behandling vil være et viktig verktøy for å tilrettelegge for innføring av persontilpasset medisin eller presisjonsmedisin. Rapporten omhandler legemidler spesifikt og medisinsk utstyr og diagnostiske tester er ikke blitt vurdert.

Rapporten peker på at midlertidig innføring fordrer at usikkerheten er identifisert og at relevante utfallsmål som kan si noe om forventet effekt er beskrevet. Det er også behov for å identifisere datakilder for hvor utfallsmålene skal rapporteres og hva som vil være en rimelig tidshorison for en fornyet vurdering av metoden. Det må også være avklart hvem som har ansvaret for å fremskaffe og sammenstille data for at det skal være mulig på et senere tidspunkt å gjøre en ny vurdering.

Det understrekes i rapporten at det er avgjørende å ha en systematisk tilnærming til midlertidig innføring som verktøy og det anbefales at det er fastsatt klare kriterier for når midlertidig innføring kan være aktuelt. Videre poengteres det at innføring av presisjonsmedisin også omfattes av de gjeldende prioriteringskriteriene, og skal vurderes på grunnlag av disse. Midlertidig innføring er et unntak, og skal ikke bidra til at det generelle kravet til dokumentasjon senkes.

Rapporten peker på at helseregistre vil kunne gi nyttig informasjon i forbindelse med en fornyet vurdering.

Rapporten peker også på muligheten for nordisk og europeisk samarbeid og nevner noen aktuelle samarbeidsarenaer, særlig knyttet til metodevurderinger og registre.

Hovedtiltakene som foreslås i rapporten for å legge til rette for midlertidig innføring, revurdering og utfasing er kort oppsummert:

- Utvikle metodikk i metodevurderingene for å håndtere og beskrive usikkerhet i metodevurderingene
- Håndtere usikkerhet i beslutningsprosessene
- Benytte alternative prisavtaler som verktøy
- Involvere kliniske fageksperter i hele prosessen
- Utvide brukerrepresentasjonen i Nye metoder
- Utvikle og benytte helseregistre og kvalitetsregistrene slik at de kan benyttes for spesifikk oppfølging knyttet til midlertidig innføring og revurdering
- Etablere dialog mellom Nye metoder og de regionale helseforetakenes strategigruppe for forskning for å fremme nødvendige kliniske studier
- Vurdere om det er hensiktsmessig og av interesse å etablere et nordisk samarbeid for helseøkonomiske vurderinger og prisforhandlinger av legemidler hvor midlertidig innføring er aktuelt

### ***Prosess***

Oppdraget har vært organisert som et prosjekt med en styringsgruppe. Prosjektgruppen har bestått av representanter fra de regionale helseforetakene, Statens legemiddelverk, Folkehelseinstituttet, Sykehusinnkjøp HF, Helsedirektoratet, Kompetansenettverk for persontilpasset medisin og en brukerrepresentant. Det er arrangert møter med kliniske fagmiljøer, Kreftforeningen og legemiddelindustrien.

Grunnet koronapandemien ble oppstarten av prosjektet utsatt. Leveringsfristen til Helse- og omsorgsdepartementet var opprinnelig 1. mars 2021, men ble etter anmodning fra Helse Midt-Norge RHF utsatt til 1. juli 2021. Rapporten er oversendt Helse- og omsorgsdepartementet innen fristen.

### **3. Administrerende direktørs anbefaling**

Administrerende direktør viser til at Nye metoder ble etablert i 2013 og har vært under kontinuerlig utvikling siden etableringen. Fra 1. januar 2020 skal de regionale helseforetakene i henhold til spesialisthelsetjenesteloven sørge for et felles system for å beslutte hvilke metoder som kan tilbys i spesialisthelsetjenesten. Loven fastslår at de regionale helseforetakene skal innrette tjenestetilbud basert på de tre prioriteringskriteriene nytte, ressursbruk og alvorlighet.

Den faglige utviklingen, med økt vektlegging av persontilpasset og presis behandling, fordrer en dynamisk tilnærming til innføring av nye behandlingsmetoder, hvor enkelte nye metoder innføres midlertidig og dernest blir gjenstand for fornyet vurdering.

Rapporten gir en analyse av aktuelle problemstillinger og beskriver tiltak som administrerende direktør vurderer vil bidra til å forbedre Nye metoder som system og legge til rette for innføring av mer presis og persontilpasset behandling.

Beslutningsforum for nye metoder har allerede besluttet et rammeverket for alternative prisavtaler som fastsetter prinsippene for slike avtaler. De regionale helseforetakene må sammen med leverandørene utforske mulighetsrommet dette rammeverket gir.

Administrerende direktør vurderer at økt involvering av klinikere og styrket brukerrepresentasjon vil bidra positivt i prosessene i Nye metoder.

Administrerende direktør mener det har stor verdi å videreutvikle et nordisk samarbeid om metodevurderinger og prisforhandlinger.

Administrerende direktør vil spesielt vektlegge betydningen av forskningsbasert kunnskap for å kunne avklare om en behandling er til nytte eller skade for pasienter. Tradisjonelt er det legemiddelindustrien som har ansvaret med å dokumentere sikkerhet, nytte og bivirkninger av behandling. I en situasjon hvor det er aktuelt å benytte etablerte legemidler til nye grupper og undergrupper vil studier i regi av helsetjenesten være nyttig. Behovet for forskningsbasert kunnskap krever en koordinert innsats og samarbeid for å utnytte kvalitetsregistre og for å gjennomføre relevante kliniske studier. De regionale helseforetakene har i 2020 bidratt til å etablere en nasjonal klinisk studie innen presisjonsmedisin (IMPRESS-Norway) med mål om å teste godkjente legemidler på nye pasientgrupper valgt basert på krefttype og genetiske forandringer.

Administrerende direktør vil følge opp det videre arbeidet med tiltakene som er beskrevet i rapporten.

Administrerende direktør anbefaler styret å ta rapporten «Utredning og implementering av ordninger for midlertidig innføring og revurdering av nye metoder i Nye metoder for å tilrettelegge for innføring av persontilpasset medisin i tjenesten» til orientering.

Trykte vedlegg:

- Sluttrapport fra de regionale helseforetakene til Helse- og omsorgsdepartementet: Utredning og implementering av ordninger for midlertidig innføring og revurdering av nye metoder i Nye metoder for å tilrettelegge for innføring av persontilpasset medisin i tjenesten

Utrykte vedlegg:

- Ingen