



Rapport

# Rapport fra ekspertgruppen om tilgang og prioritering

Rapport fra ekspertgruppen om tilgang og prioritering  
nedsatt av Helse- og omsorgsdepartementet



# Forord

Ekspertgruppen som legger frem denne rapporten, ble oppnevnt 7. juli 2023, med frist for å levere resultatet av arbeidet innen 1. februar 2024. Hovedtyngden av arbeidet foregikk høsten 2023. Ekspertgruppen har invitert sentrale aktører til dialog og har også fått en rekke skriftlige innspill. Ekspertgruppen har fått egne redegjørelser fra Helsedirektoratet og de regionale helseforetakene. Stipendiat Joar R. Fystro ved Universitetet i Oslo har dessuten bidratt med en kartlegging av ordninger for tilgang til nye metoder og unntak i helse- og omsorgstjenesten i utvalgte land i Europa.

Medlemmene i ekspertgruppen har ulik faglig bakgrunn og har dekket forskjellige perspektiver. Ekspertgruppen mener det er viktig at samfunnet, innenfor gjeldende økonomiske rammer, legger til rette for rask tilgang til effektive metoder i helse- og omsorgstjenesten for flest mulig, og at tilgangen er rettferdig fordelt. Ekspertgruppen mener systemene for prioritering og tilgang må være forutsigbare og transparente og ha legitimitet i befolkningen. Ekspertgruppen mener det er viktig å fremme systemforståelse og kompetanse i prioritering blant helsepersonell.

Problemstillingene i mandatet reiser en rekke medisinske, regulatoriske, økonomiske, juridiske og organisatoriske spørsmål som denne rapporten forsøker å besvare i ulik grad. Det vil være mulig å gå mer i dybden på disse spørsmålene enn det Ekspertgruppen har funnet hensiktsmessig.

Ekspertgruppen står samlet om ti anbefalinger som vi mener vil bidra til å fremme de overordnede målene vi har pekt på.

*Oslo, 15. februar 2024*

Jan Frich

# Innhold

<b>Forord</b> .....	<b>3</b>
<b>Sammendrag og anbefalinger</b> .....	<b>6</b>
<b>Summary and recommendations</b> .....	<b>8</b>
<b>1 Om ekspertgruppen, mandat og arbeidsform</b> .....	<b>10</b>
1.1 Ekspertgruppens sammensetning .....	10
1.2 Mandat .....	10
1.3 Arbeidsprosess og involvering .....	12
1.4 Disposisjon .....	13
<b>2 Innledning</b> .....	<b>14</b>
<b>3 Medisinsk-teknologisk kontekst</b> .....	<b>17</b>
3.1 Etablert, eksperimentell og utprøvende behandling .....	17
3.2 Kunnskap og dokumentasjon .....	19
3.3 Usikkerhet om effekt og risiko .....	19
3.4 Persontilpasset medisin .....	20
3.5 Sjeldne sykdommer .....	20
3.6 Undergrupper i studiepopulasjoner .....	23
3.7 Utviklingen av nye legemidler .....	23
3.8 Bruk av legemidler utenfor godkjent indikasjon .....	26
<b>4 Prioriteringskriteriene og helseøkonomiske prinsipper</b> .....	<b>28</b>
4.1 Hva er gode leveår, eller QALY-er? .....	29
4.2 Kostnad-effekt-analyser .....	29
4.3 Prioriteringskriteriene på hovedgruppenivå .....	30
4.4 Prioriteringskriteriene på undergruppenivå .....	31
4.5 Prioriteringskriteriene på individnivå .....	32
<b>5 Juridisk kontekst</b> .....	<b>34</b>
5.1 Gruppebasert tilgang til behandlingsmetoder i spesialisthelsetjenesten .....	34
5.2 Forvaltningslovens anvendelse .....	35
5.3 Likebehandling og ikke-diskriminering .....	36
5.4 Sentrale menneskerettigheter ved tilgang til helsetjenester .....	36
5.5 Tilgang til nye behandlingsmetoder for enkeltpasienter .....	37
5.6 Innføring av nye metoder på gruppenivå og tilgang for enkeltpasienter .....	39

<b>6</b>	<b>Systemene for prioritering og beslutninger om tilgang .....</b>	<b>42</b>
6.1	Ordninger for tilgang før markedsføringstillatelse .....	42
6.2	Regulatoriske forhold og metodevurderinger .....	43
6.3	Ordninger for tilgang i Nye metoder .....	44
6.4	Blåreseptordningen .....	48
<b>7</b>	<b>Vurderinger og anbefalinger .....</b>	<b>53</b>
7.1	Nullalternativet .....	53
7.2	Sentrale spørsmål .....	53
7.3	Anbefalinger .....	60
<b>8</b>	<b>Økonomiske og administrative konsekvenser .....</b>	<b>70</b>
	<b>Referanser .....</b>	<b>71</b>
	<b>Vedlegg. Kortbiografier .....</b>	<b>76</b>

## Sammendrag og anbefalinger

Stortinget har sluttet seg til de tre prioriteringskriteriene *nytte, ressursbruk* og *alvorlighet*. Norge har to sentrale systemer for prioritering av offentlig tilgang til nye metoder i helse- og omsorgstjenesten: systemet for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten (Nye metoder) og ordningen for forhåndsgodkjent refusjon og individuell stønad i blåreseptordningen (blåreseptordningen). De to systemene bidrar til at metodene som innføres, oppfyller prioriteringskriteriene og kravene til åpenhet, likebehandling og ressursbesparelser.

Gjennom ti møter, flere eksterne rapporter og råd og innspill fra en rekke fag- og interesseorganisasjoner har Ekspertgruppen om tilgang og prioritering (heretter omtalt som «Ekspertgruppen») utredet dagens situasjon for Nye metoder og blåreseptordningen med hensyn til forholdet mellom prioriteringsbeslutninger på gruppe- og individnivå. Fremveksten av persontilpasset medisin og nye genterapier, samt øvrige avanserte og dyre nye metoder, utfordrer dette forholdet.

Ekspertgruppen har vært opptatt av at flest mulig i befolkningen skal få rask og rettferdig tilgang til effektive metoder, innenfor gjeldende økonomiske rammer. Vurderingene som gjøres i de to prioriteringssystemene (Nye metoder og blåreseptordningen), skal i tillegg være forståelige og velbegrunnede, særlig ved beslutning om å ikke innføre en ny metode. I tråd med verdigrunnet i den norske offentlige helse- og omsorgstjenesten har prinsippet om likebehandling stått sterkt i utredningsarbeidet: Like tilfeller skal behandles likt.

Ekspertgruppen anbefaler følgende ti tiltak som sammen skal fremme rettferdig tilgang til effektive metoder i den offentlige helse- og omsorgstjenesten:

1. forbedre informasjon om prioriteringssystemene og styrke kunnskap om prioritering hos klinikere og andre beslutningstakere
2. målrette arbeidet med metodevurderinger og undergruppeanalyser
3. øke pasienters mulighet for deltakelse i kliniske studier
4. innføre en ordning for vurdering av individuell tilgang etter nei-beslutning i Nye metoder
5. innføre en ordning for vurdering av individuell tilgang og gruppeunntak ved revurdering av metoder i Nye metoder
6. ikke åpne for at privatfinansiert behandling kan utgjøre et selvstendig grunnlag for tilgang til behandling i den offentlige helse- og omsorgstjenesten
7. ikke åpne for unntak før metodevurdering er gjennomført for blåreseptordningen
8. øke bruken av prisavtaler for å håndtere usikkerhet om effekt og risiko, særlig ved sjeldne diagnoser
9. legge til rette for «compassionate use» av legemidler for pasienter med forventet behandlingsvarighet under seks måneder
10. etablere nasjonale systemer for registrering og evaluering av ordninger for unntak og individuell tilgang

## Summary and recommendations

The Norwegian Storting (Parliament) has approved the three criteria for priority-setting: health benefit, resources, and severity (i.e., absolute QALY-shortfall). Norway has two central systems for setting priorities for public access to new health technologies: The national system for managed introduction of new methods in the specialist health care service («New methods») and pre-approved reimbursement under The blue prescription scheme («Blue prescription scheme»). Together, these two systems contribute to ensuring that the technologies introduced fulfil the three priority-setting criteria and the requirements for transparency, equal treatment, and resources savings.

Through ten meetings, several external reports, advice and input from several specialist and interest organizations, The Expert Group for Priority Setting and Access (hereafter «The Expert Group») has investigated the current situation for the two priority-setting systems (New methods and the blue prescription scheme) regarding the relationship between group and individual level decision-making. The development of personalised medicine, novel gene therapies, and other advanced and expensive methods challenge this relationship.

The Expert Group has emphasised that the Norwegian population should be given timely and fair access to effective methods, within the current financial framework. The assessments made in the two priority-setting systems must also be understandable, well founded, and admissible, especially in the case of decision on not adopting a new health technology. In line with the value base of the Norwegian public health and care service, the principle of equal treatment was strongly emphasised in the assessment: «Equal cases must be treated alike».



The Expert Group recommends the following ten action points, which together will promote fair access to effective methods in the public health and care services:

1. improve information about the systems for priority setting and strengthen knowledge on priority-setting among clinicians and other decision-makers
2. tailor health technology assessment processes and subgroup analyses
3. increase the possibility for patients to participate in clinical studies
4. introduce a scheme for assessing individual access to methods that have received a negative reimbursement decision in New methods
5. introduce a scheme for assessing individual access and group exemptions when methods are on reassessment in New methods
6. do not open for that privately funded treatment can constitute an independent ground for access to treatment in the public health and care services
7. do not open for exemptions until the health technology assessment is completed for methods reimbursed through The blue prescription scheme
8. increased use of managed entry agreements to handle uncertainty with regards to effect and risk, particularly for rare diseases
9. facilitate compassionate use of medications for patients with an expected treatment periode of shorter than six months
10. establish national systems for reporting and evaluating the use of exemptions and individual access

# 1 Om ekspertgruppen, mandat og arbeidsform

## 1.1 Ekspertgruppens sammensetning

### Leder

- Jan Frich, professor ved Universitetet i Oslo, og administrerende direktør ved Diakonhjemmet sykehus

### Medlemmer

- Marianne Klungland Bahun, professor ved Universitetet i Agder
- Gina Knutson Barstad, spesialrådgiver i Kreftforeningen
- Reino Heikkilä, medisinsk rådgiver ved Oslo universitetssykehus HF
- Jan Abel Olsen, professor ved UiT Norges arktiske universitet, og forsker ved Folkehelseinstituttet
- Karin Müller Mikaelsen, fylkeslege ved Statsforvalteren i Møre og Romsdal
- Hilde Røshol, seniorrådgiver i Direktoratet for medisinske produkter
- Henrik Vogt, førsteamanuensis ved Universitetet i Oslo

### Sekretariat

- Carl Tollef Solberg, sekretariatsleder i Helse- og omsorgsdepartementet
- Kashif Waqar Faiz, spesialrådgiver i Helse- og omsorgsdepartementet
- Vegard Pettersen, spesialrådgiver i Helse- og omsorgsdepartementet
- Per Thomas Thomassen, seniorrådgiver i Helse- og omsorgsdepartementet
- Gloria Traina, seniorrådgiver i Helse- og omsorgsdepartementet

## 1.2 Mandat

Ekspertgruppen om tilgang og prioritering skal utrede etiske, medisinskfaglige, juridiske og økonomiske problemstillinger ved forholdet mellom beslutninger om innføring av nye behandlingsmetoder på gruppenivå og tilgang for enkeltpasienter.

### Ekspertgruppen er gitt følgende mandat:

Prioriteringsbeslutninger om innføring av nye metoder på gruppenivå er ofte basert på total-, gjennomsnitts- og medianverdier for en pasientgruppe som helhet, eller for definerte undergrupper av pasienter. Hver enkelt pasientgruppe vil imidlertid være heterogen, for eksempel med hensyn til hvordan undergrupper eller enkeltpasienter i gruppen konkret vil respondere på behandlingen. Det kan dreie seg om kjønn, alder, grad av sykdomsutvikling eller andre parametere hvor en enkeltpasient avviker i varierende grad fra gjennomsnittet.

For metoder som er under metodevurdering i System for Nye metoder er det opprettet ordninger både på gruppenivå og for enkeltpasienter, for å gi tilgang til metoder frem til beslutning i Beslutningsforum. De regionale helseforetakene har gjennomgått unntaksordningene og besluttet at det innføres en løsning der man aktivt kartlegger om definerte subgrupper skal gis tilgang til metodene. Unntaksordningen gjelder likevel ikke enkeltpasienters tilgang til metoder som er besluttet ikke innført etter vurdering i System for Nye metoder. Det vil si at etter en nei-beslutning i System for Nye metoder, vil i utgangspunktet ikke metoden inngå i spesialisthelsetjenestetilbudet.

For legemidler under folketrygden og som ikke godkjennes for forhåndsgodkjent refusjon, åpner blåreseptforskriften § 3 for at det til enkeltpasient kan ytes stønad i særskilte tilfeller selv om vilkårene i legemiddelforskriften § 14-5 ikke er oppfylt på gruppenivå. Det er imidlertid ikke mulig å yte stønad mens metodevurderingen pågår.

#### Oppdrag:

Ekspertgruppen skal utrede problemstillinger og evt. foreslå tiltak knyttet til forholdet mellom nasjonale prioriteringsbeslutninger på gruppenivå (i System for Nye metoder og i ordningen for forhåndsgodkjent refusjon) og beslutninger om enkeltpasienters tilgang til disse metodene på individnivå.

Følgende problemstillinger vil være relevante, men ikke uttømmende, for arbeidet:

- Hvorvidt, og i så fall hvordan, den medisinsk-teknologiske utviklingen innen persontilpasset medisin og økende omfang av gen- og celleterapi påvirker forholdet mellom beslutninger om prioritering på gruppenivå og individuelle kliniske vurderinger av pasienter på individnivå. Dette inkluderer usikkerhet i beslutningsgrunnlaget og forholdet mellom etablert behandling og utprøvende behandling og prioriteringsbeslutninger.
- Hvorvidt det bør opprettes en unntaksordning for å gi tilgang til metoder til enkeltpasienter når metoden er besluttet ikke-innført etter vurdering i System for Nye metoder. Vurderingen skal inkludere konsekvenser for likeverdig tilgang og rettferdig prioritering, samt hvilket kunnskapsgrunnlag og dokumentasjon som evt. bør ligge til grunn for slike beslutninger.
- Synliggjøre relevante forskjeller i systemene for prioritering og beslutning på individ- og gruppenivå, hhv. i System for Nye metoder og systemet etablert for blåresept, samt hvilke konsekvenser forskjellene har for tilgang til metoder på individnivå. Ekspertgruppen bør vurdere om det er behov for endringer som kan bidra til harmonisering av systemene for prioritering.
- Vurdere tiltak som kan bidra til å understøtte individuelle vurderinger knyttet til kliniske prioriteringsbeslutninger på individnivå.

Ekspertgruppen skal legge til grunn at foreslåtte endringer skal kunne gjennomføres innenfor eksisterende ressurser og rammer for spesialisthelsetjenesten og folketrygden.

Utredningen skal følge kravene i utredningsinstruksen med de føringer som ligger i mandatet, herunder estimer for forventet helsegevinst/-tap og kostnader (ressurser og helsepersonell) for gruppene som omfattes av tiltaket/tiltakene, samt evt. fordelingsmessige

konsekvenser av tiltak eller endringer for andre pasientgrupper og/eller deler av helse- og omsorgstjenesten eller samfunnet for øvrig.

Ekspertgruppen skal i arbeidet ikke utrede spørsmålet om enkeltpasienter etter gjeldende rett har krav på særskilte metoder eller rett til medvirkning ved valg av ulike behandlingsmetoder. Utvalget kan vurdere etiske, økonomiske og samfunnsmessige perspektiver ved å tilby metoder i de tilfellene det foreligger en nei-beslutning på gruppenivå, herunder når pasienter har mottatt privatfinansiert behandling utenfor den offentlige helsetjenesten. Til orientering har departementet igangsatt et arbeid med å revidere rundskriv I-4/2019. I dette rundskrivet gjør Helse- og omsorgsdepartementet rede for blant annet at alle pasienter i spesialisthelsetjenesten har rett til individuell vurdering. Videre redegjøres det for hvilke pasienter som har rett til nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten, hva innholdet i retten til nødvendig helsehjelp er, og hvilken dokumentasjon som kan legges til grunn for valg av ulike behandlingsalternativ.

Ekspertgruppen forutsettes å benytte seg av tilgjengelig kunnskap som er relevant for utvalgets arbeid. Relevante aktører skal involveres i arbeidet.

#### **Frist**

Ekspertgruppen skal levere sin rapport innen 1. februar 2024 som innspill til arbeidet med ny stortingsmelding om prioritering.

## **1.3 Arbeidsprosess og involvering**

Kjernen i Ekspertgruppens mandat er å utrede problemstillinger og foreslå tiltak knyttet til forholdet mellom nasjonale prioriteringsbeslutninger på gruppenivå og beslutninger om enkeltpasienters tilgang til nye metoder på individnivå. I arbeidet har Ekspertgruppen tatt utgangspunkt i utredningsinstruksen (Direktoratet for økonomistyring 2018), og følgende spørsmål er søkt besvart:

1. Hva er problemet, og hva vil vi oppnå?
2. Hvilke tiltak er relevante?
3. Hvilke prinsipielle spørsmål reiser tiltakene?
4. Hva er de positive og negative virkningene av tiltakene, hvor varige er de, og hvem blir berørt?
5. Hvilke tiltak anbefales, og hvorfor?
6. Hva er forutsetningene for en vellykket gjennomføring?

I perioden fra september 2023 til og med januar 2024 hadde Ekspertgruppen totalt ti møter. Møte 1, 5 og 10 var fysiske heldagsmøter og de øvrige digitale totimers møter. Møtene har vært høyt prioritert blant medlemmene i Ekspertgruppen og sekretariatet. I tillegg har Iselin Næs Bogen fra spesialisthelsetjenesteavdelingen i Helse- og omsorgsdepartementet vært observatør under møtene.

Ekspertgruppen valgte å involvere en rekke eksterne aktører i utredningsarbeidet, og på møte 2–6 deltok eksterne aktører. På møte 2 presenterte Helsedirektoratet en statusrapport om individuell stønad i blåreseptordningen (Helsedirektoratet 2023c). På møte 3 fremla de regionale helseforetakene v/Helse Sør-Øst RHF en rapport om unntaksordningen i Nye

metoder (RHF-ene 2023a). På møte 4 redegjorde Statens legemiddelverk (Legemiddelverket) (fra 1. januar 2024 Direktoratet for medisinske produkter) for sin praksis for metodevurderinger. På møte 6 deltok lederne for henholdsvis Norsk forening for medisinsk genetik og Nasjonalt kompetansenettverk for persontilpasset medisin.

Møte 5 var et fysisk heldagsmøte hvor seks store paraplyorganisasjoner var invitert: Kreftforeningen, Legeforeningen, Sykepleierforbundet, Melanor, Funksjonshemmedes fellesorganisasjon (FFO) og Legemiddelindustrien (LMI). Alle de inviterte organisasjonene møtte, unntatt Melanor. Paraplyorganisasjonene ble i forkant gjort kjent med ekspertgruppens mandat, og de fikk disponere 15–30 minutter for å presentere sine innspill. De inviterte organisasjonene ble også oppfordret til å sende skriftlige innspill til Ekspertgruppen.

Det kom inn totalt tretten skriftlige innspill fra: Blodkreftforeningen, FFO, Hansa Biopharma, Legeforeningen, LMI, Melanor, Nasjonalt kompetansesenter for personlighetspsykiatri, Nasjonalt kompetansesenter for sjeldnediagnoser, Norsk forening for cystisk fibrose, Partnerskap for sjeldne sykdommer, Roche og Sykepleierforbundet.

Ekspertgruppen har i tillegg hatt dialog med andre interessenter, blant annet med representanter for de regionale helseforetakene og gjennom representasjon på et offentlig møte om tilgang og prioritering i regi av LMI, og på en rundbordskonferanse i regi av Legeforeningen.

## 1.4 Disposisjon

Spørsmål om offentlig tilgang til nye metoder berører medisinskfaglige, økonomiske, juridiske, etiske og organisatoriske vurderinger. Ekspertgruppen har søkt å belyse hva som er status for disse områdene, før den har vurdert forslag til endringer. Legemidler utgjør hovedparten av nye metoder som vurderes for innføring gjennom de nasjonale systemene for prioritering, og vektlegges derfor særskilt i denne rapporten.

I denne rapporten gis en innledning til temaet, som peker på relevante verdier og prinsipper. Deretter omtales trekk ved den medisinsk-teknologiske konteksten og utviklingen, prioriteringskriteriene, de helseøkonomiske prinsippene og den juridiske konteksten. Videre beskrives systemene for tilgang, før Ekspertgruppens vurderinger og anbefalinger presenteres. Avslutningsvis peker Ekspertgruppen på økonomiske og administrative konsekvenser av anbefalingene.

## 2 Innledning

Den norske helse- og omsorgstjenesten er i det vesentlige offentlig finansiert, som en del av velferdsstaten. Verdigrunnlaget er forankret i Meld. St. 34 (2015–2016) *Verdier i pasientens helsetjeneste – Melding om prioritering*:

Hvert enkelt menneske har en ukrenkelig egenverdi uavhengig av kjønn, religion, sosioøkonomisk status, funksjonsnivå, sivilstand, bosted og etnisk tilhørighet. Befolkningen skal ha likeverdig tilgang til helsetjenester. Like tilfeller skal behandles likt. En rettferdig fordeling innebærer i tillegg at samfunnet er villig til å prioritere høyere de som har størst behov for helsetjenester. Samtidig må dette sees i sammenheng med hva som gir mest mulig helse i befolkningen over tid. Helsetjenesten er videre del av en bred sosial forsikringsordning for befolkningen, og borgerne skal motta likeverdige tjenester etter behov, uavhengig av økonomi, sosial status, alder, kjønn, tidligere helse mv. (Meld. St. 34 (2015–2016), 11).

Stortinget har i behandlingen av Meld. St. 28 (2014–2015) *Legemiddelmeldingen – Riktig bruk – bedre helse* vedtatt fire legemiddelpolitiske mål: i) sikre god kvalitet ved behandling med legemidler, ii) likeverdig og rask tilgang til effektive legemidler, iii) legemidler skal ha lavest mulig pris, og iv) legge til rette for forskning og innovasjon.

Et offentlig finansiert helsevesen med vekt på likeverdighet, likebehandling og rettferdig fordeling utgjør rammen for helseprioriteringer. Norge har en lang tradisjon for en åpen debatt om helseprioriteringer, og Stortinget har sluttet seg til de tre prioriteringskriteriene *nytte, ressursbruk og alvorlighet*. Disse kriteriene gjelder både i spesialisthelsetjenesten og i den kommunale helse- og omsorgstjenesten, og de gjelder på både gruppe- og individnivå. Et viktig premiss for å kunne prioritere i helse- og omsorgstjenesten er at tiltakenes, eller metodenes, antatte effekter kan dokumenteres. En slik systematisk vurdering av effekter, kostnader og andre forhold ved en metode kalles en *metodevurdering*.

Med *metode* forstår vi i denne rapporten legemidler, men også diagnostiske metoder og andre typer tiltak som benyttes i diagnostikk, behandling og oppfølging av pasienter. Med *tilgang* menes at personer har mulighet til å ta i bruk metoder gjennom den offentlige helse- og omsorgstjenesten. Systemene som regulerer tilgjengeligheten av metoder i den offentlige helse- og omsorgstjenesten, er avhengig av legitimitet.

De tre prioriteringskriteriene er nedfelt i spesialisthelsetjenesteloven § 2-1 a og forskrift 1. desember 2000 nr. 1208 om prioritering av helsetjenester, rett til nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten og rett til behandling i utlandet (prioriteringsforskriften). Systemet for Nye metoder er fra 1. januar 2020 lovfestet i spesialisthelsetjenesteloven § 4-4.

I den senere evalueringen av Nye metoder som Proba samfunnsanalyse utførte, kom følgende frem:

Det er bred støtte for de grunnleggende hovedtrekkene i Nye metoder – at det etableres et faglig beslutningsgrunnlag og at et myndighetsorgan skal anvende prioriteringskriteriene og det faglige grunnlaget til å ta beslutninger om hvilke metoder som skal brukes.

Likevel er det behov for endringer av Nye metoder. Blant annet kan man stille spørsmål om systemet i tilstrekkelig grad er innrettet for å oppnå målet om rask innføring av nye metoder. Videre er Nye metoder lite hensiktsmessig innrettet med tanke på å håndtere medisinsk utstyr og prosedyrer og organisatoriske tiltak. Målbildet er preget av «mål-trengsel» – mange mål som samlet utgjør et urealistisk ambisjonsnivå. Vi oppfatter derfor at det er behov for nærmere anvisninger om hva Nye metoder skal brukes til.

En stor utfordring er manglende tillit mellom systemaktørene på den ene siden og eksterne interessenter på den andre. Vi anbefaler å styrke transparens og medvirkning for å forbedre tilliten mellom systemet og omverdenen.

Omfanget av igangsatte utviklingstiltak tyder på god endringsvilje og -evne med tanke på å møte framtidens utfordringer knyttet til persontilpasset medisin, avanserte terapier og behandlinger av sjeldne tilstander. Det er positivt at man prøver ut ulike former for alternative prisavtaler, men det gjenstår mye utviklingsarbeid – i høy grad utenfor Nye metoder – for å tilrettelegge for bruk av helsedata i slike avtaler (Proba 2021, 2).

Systemet Nye metoder har blitt kritisert for lang saksbehandlingstid og for at mulighetene for å gjøre unntak fra beslutninger for en hovedgruppe er begrenset (Proba 2021). Blåreseptordningen, hvor det eksisterer en ordning for individuell stønad, er også under press. Helfo har i det siste halvåret av 2023 mottatt nærmere 1500 søknader om individuell stønad til fedmebehandling etter blåreseptforskriften § 3, hvorav kun seks prosent ble innvilget.

Nye kostbare metoder og utviklingen av mer presis persontilpasset diagnostikk og behandling forventes å fremme god helse og gi store helsegevinster, men vil også legge økt press på helsebudsjettet. Det er høye forventninger til tilgangen til nye behandlingsmetoder fra pasienter og pårørende, pasientforeninger, kommersielle aktører, medier og politikere. Helsepersonell vil i mange tilfeller være talspersoner for egne pasienters interesser. I tillegg er ny teknologi forbundet med prestisje og et ønske om å samle erfaring. I sum bidrar dette mønsteret til høyere forventninger til hva den norske offentlige helse- og omsorgstjenesten kan tilby. Gapet mellom disse forventningene og de tilgjengelige helseressursene – *forventningsgapet* – vil øke. Prioritering av knappe ressurser vil følgelig bli viktigere.

Det kan oppstå spenninger når beslutninger på gruppenivå skal legges til grunn for behandlingen av enkeltpasienter. I Nye metoder finnes det imidlertid ordninger for individuelle unntak og gruppeunntak før det foreligger en beslutning, men slike unntak gjøres relativt sjelden. Ordningen for individuelle unntak har dessuten blitt kritisert for at praksisen er ulik på tvers av både helseregionene og sykehusene. Noen pasienter som har mottatt privatfinansiert behandling utenfor den offentlige helse- og omsorgstjenesten, og fått påvist en forventet effekt, henvender seg til spesialisthelsetjenesten med krav om at den skal videreføre behandlingen for det offentliges regning. Dette reiser

nye spørsmål om likebehandling og rettferdighet i den offentlige helse- og omsorgstjenesten.

I perioden fra 2020 til og med tredje kvartal i 2022 ble det behandlet 412 søknader om unntak fra enkeltpasienter i de regionale helseforetakene. Av disse ble 310 innvilget og de resterende 102 avslått. 300 av søknadene omhandlet somatisk sykdom, hvorav 207 gjaldt kreft (RHF-ene 2023a). Det foreligger lite systematisert kunnskap om hvilke pasienter som søker unntak i Nye metoder, og på hvilket grunnlag. Det hersker også usikkerhet om de ovennevnte tallene, særlig ettersom ikke alle helseforetakene har lik registreringspraksis eller fullstendige tall for 2020.

Ekspertgruppens mandat angir viktige problemområder: Er systemene for prioritering tilpasset den medisinsk-teknologiske utviklingen, med økt vekt på persontilpasset medisin? Åpner dagens systemer for prioritering i tilstrekkelig grad for bruk av prioriteringskriteriene på individnivå? Er kompetansen i helseprioriteringer god nok blant helsepersonell og beslutningstakere? Ekspertgruppen vurderer at viktige mål er å

- legge til rette for rask og rettferdig fordelt tilgang til effektive metoder for flest mulig, innenfor gjeldende økonomiske rammer
- utvikle prioriteringssystemer som er forutsigbare og transparente, og som har legitimitet i befolkningen
- fremme systemforståelse og kompetanse i prioritering blant helsepersonell



## 3 Medisinsk-teknologisk kontekst

### 3.1 Etablert, eksperimentell og utprøvende behandling

Med *behandling* menes spesifikke tiltak for å fjerne eller redusere symptomer og/eller årsak til sykdom. Behandlingsmetoder innbefatter legemidler, prosedyrer og kirurgiske inngrep. Bruk av *diagnostiske metoder* er en forutsetning for å iverksette riktige tiltak, men slike metoder kan også være ledd i oppfølgingen av en gitt sykdomstilstand. Digitale verktøy, inkludert kunstig intelligens, vil få økt betydning for både diagnostikk og behandling. I noen sammenhenger vil legemidler, medisinsk utstyr og digitale verktøy inngå sammen som ett tiltak, eksempelvis glukosemålere og insulinpumper.

Det er vanlig å skille mellom *etablert behandling* og *eksperimentell behandling*. Etablert behandling er veldokumentert, kommer frem av internasjonale eller nasjonale retningslinjer og representerer dagens praksis (Helsenorge 2023).<sup>1</sup> *Eksperimentell behandling* betyr at behandlingen er gjenstand for utprøving gjennom kliniske studier, og at det ikke foreligger tilstrekkelig god dokumentasjon av sikkerhet og effekt. Eksperimentell behandling skal gis innenfor rammen av forskningsprosjekter, med krav om en forskningsprotokoll, forsvarlighet, informasjon, samtykke og rutiner for å overvåke og rapportere bivirkninger.

Begrepet *utprøvende behandling* er også brukt om behandling som ikke er etablert. Meld. St. 10 (2012–2013) *God kvalitet – trygge tjenester — Kvalitet og pasientsikkerhet i helse- og omsorgstjenesten* definerer utprøvende behandling som «all behandling der effekt, risiko og bivirkninger ikke er tilstrekkelig dokumentert til at behandlingen kan inngå i det ordinære behandlingstilbudet» (Meld. St. 10 (2012–2013), 105). Det innebærer at utprøvende behandling omfatter både behandling som prøves ut i kliniske studier, og behandling som gis utenfor kliniske studier. Nasjonale føringer som er formulert i Meld. St. 10 (2012–2013) og i *Nasjonal veileder for utprøvende behandling* (Helsedirektoratet 2021), tilsier at

---

<sup>1</sup> Et sentralt punkt i enkelte klagesaker til statsforvalteren har vært om en behandling er *etablert* om den er innført andre steder i Europa og/eller i andre helseforetak i Norge.

man unntaksvis kan gi utprøvende behandling til pasienter på individuell basis når det er

- Konkludert med at behandlingen er faglig forsvarlig med utgangspunkt i en vurdering av tilgjengelig kunnskap og/eller erfaringer om metodens mulige effekt og sikkerhet
- Gitt tilstrekkelig informasjon om behandlingstilbudet og pasienten aktivt har medvirket i valg av behandlingsmetode
- Etablert protokoller for bruk av metoden
- Utarbeidet rutiner for oppfølging og overvåkning av pasienter som mottar behandlingen
- Etablert rutiner for rapportering av bivirkninger og effekt av behandlingen som systematisk kan sammenstilles for alle pasienter som får behandlingen (Helsedirektoratet 2021, 15).

Grenseflatene mellom etablert, eksperimentell og utprøvende behandling kan være uklare. Det kan for eksempel foreligge god dokumentasjon for bruk av et legemiddel hos én pasientgruppe, men ikke hos en annen. Hos den ene pasientgruppen vil behandlingen da være etablert, mens behandlingen for den andre pasientgruppen er å betrakte som eksperimentell eller utprøvende.

Godkjenningen av bruksområdet for et legemiddel er basert på innsendt dokumentasjon av legemiddelets kvalitet, sikkerhet og effekt. Som hovedregel skal legemidler benyttes i tråd med preparatomtalen (SPC), herunder godkjent indikasjon (bruksområde). I en del sammenhenger brukes legemidler utenfor de rammene preparatomtalene setter. Slik legemiddelbruk utenfor godkjent bruksområde (ofte kalt *off label*-bruk) er vanligvis ansett som utprøvende behandling og er ofte basert på konsensus i fagmiljøet og eventuelt et forskningsgrunnlag. Det finnes eksempler på at den forskningsmessige dokumentasjonen er så god at legemiddelbruk utenfor godkjent bruksområde i praksis er å oppfatte som etablert, selv om legemiddelet formelt ikke har markedsføringstillatelse for det aktuelle bruksområdet.

Kunnskapsgrunnlaget for metoder er dynamisk. Utviklingen av ny kunnskap fortsetter også etter at legemiddelet har fått markedsføringstillatelse eller medisinsk utstyr har oppnådd sertifisering. Det kan være aktuelt å gjennomføre studier for å avklare langtidseffektene av en behandling selv om metoden er godkjent. Følgelig kan man gjennomføre klinisk forskning på etablert behandling for å styrke dokumentasjonsgrunnlaget eller for å sammenlikne den etablerte behandlingen med en ny behandlingsmetode. Ny informasjon om alvorlige bivirkninger kan også føre til at man revurderer bruken av en etablert metode.

## 3.2 Kunnskap og dokumentasjon

Gode prioriteringsbeslutninger forutsetter kunnskap om metodens forventede effekt. I medisin og helsefag er det vanlig å rangere kvaliteten i kunnskapsgrunnlaget etter kilde, som vist i tabell 1. I en senere metodevurdering vil man også gjøre en vurdering av kvaliteten i dokumentasjonen som foreligger.

**Tabell 1. Kunnskapsnivåer i medisinen**

Type studie	Kunnskapsnivå	Studiefase
Systematiske oversikter og metaanalyser av randomiserte kontrollerte studier (RCT-er)	1a	
Minst én randomisert kontrollert studie	1b	Fase III
Minst én godt utformet kontrollert studie uten randomisering	2a	Fase II
Minst én annen godt utformet studie uten kontrollgruppe og uten randomisering	2b	Fase I/II
Godt utformede deskriptive studier, som sammenliknende studier, korrelasjonsstudier, kasuistikker eller små pasientserier	3	
Rapporter eller oppfatninger fra eksperter, komiteer og/eller klinisk ekspertise hos respekterte autoriteter	4	

**Tabell 1.** Tabellen illustrerer et dominerende syn på medisinsk kunnskap, rangert etter kunnskapsnivåer for dokumentasjonens kvalitet. Øverst finner man systematiske oversikter og metaanalyser av randomiserte kontrollerte studier (RCT-er). Nederst finner man ekspertoppfatninger. Tabellen viser dessuten at utviklingen av et legemiddel – fra fase I til fase III – innebærer en forflytning opp i kunnskapshierarkiet. Fase IV-studier gjennomføres på ulike kunnskapsnivåer og er følgelig ikke ført inn i denne tabellen (Helsedirektoratet 2023a, Statens legemiddelverk 2023a).

### 3.3 Usikkerhet om effekt og risiko

Utviklingen gjør at sykdomskategorier som tidligere ble oppfattet som ensartede, i økende grad blir mer presist klassifisert i undergrupper basert på biologiske, ofte molekylærgenetiske, karakteristika. Dette medfører at studiedesignet baseres på mindre undergrupper av pasienter som deler biologiske trekk, i stedet for større og biologisk mangfoldige grupper. I noen tilfeller kan det også være aktuelt å gjennomføre single-case-studier med én pasient. Innenfor persontilpasset medisin og sjeldne tilstander kan det være utfordrende å gjennomføre studier av god vitenskapelig kvalitet og statistisk styrke.

### 3.4 Persontilpasset medisin

Regjeringen lanserte i 2023 *Nasjonal strategi for persontilpasset medisin 2023–2030*, hvor *persontilpasset medisin* (også kalt *presisjonsmedisin*) defineres som «økt grad av tilpasning til den enkeltes biologi, som ideelt sett øker sannsynligheten for at valgte terapeutiske tiltak gir effekt og ledsages av færre bivirkninger» (Regjeringen 2023, 13).

Målet er å skreddersy behandlingen til den enkeltes biologiske sykdomstilfelle gjennom presis diagnostikk og behandling. Sentralt i persontilpasset medisin står

molekylærbiologiske undersøkelser av pasientens genmateriale eller molekylære egenskaper ved selve sykdommen. Tilstrekkelig kapasitet og kompetanse i analyser av gener og molekylære egenskaper ved biologiske prosesser er avgjørende for å identifisere distinkte undergrupper og individer.

Ganske ofte vil persontilpasset medisin innebære en tilnærming hvor man konsentrerer seg om undergrupper av pasienter med like egenskaper. Det tar tid å samle et stort nok antall mennesker i en klinisk studie, og internasjonalt samarbeid for å rekruttere pasienter er derfor viktig. Imidlertid vil dokumentasjonen i slike studier kunne ha lavere kvalitet enn det man normalt forventer for større pasientgrupper, noe som kan føre til usikkerhet om effekten og risikoen ved behandlingen.

Det finnes eksempler hvor man bruker metoder for individualiserte behandlingsopplegg der den enkelte pasienten representerer enheten som blir gjenstand for en klinisk studie, kalt *single-case design studies*, som blant annet inkluderer «n-of-1 trials». Omfanget av slike studier er begrenset, men det er grunn til å tro at forekomsten vil øke med videreutviklingen av persontilpasset medisin. Kunnskap om et forventet forløp og ulike mål (biomarkører) for sykdomsaktivitet vil være viktig for å vurdere om det man observerer i denne ene pasienten, representerer en reell behandlingseffekt. I den grad det foreligger pålitelig dokumentasjon om effekten, vil man kunne foreta en vurdering av forholdet mellom behandlingens kostnad og dens forventede effekt.

Utviklingen i persontilpasset medisin innebærer at det vil være behov for mer dynamiske systemer for metodevurdering og prioritering (Regier et al. 2022).

### 3.5 Sjeldne sykdommer

En sjelden tilstand er definert som en helsetilstand med lav prevalens, det vil si at den veiledende forekomsten er færre enn 5 av 10 000 innbyggere (HOD 2021a). I Norge har vi ingen egen definisjon av «ultrasjeldne» diagnoser. Internasjonalt er det vanlig å definere en ultrasjelden sykdom som en sykdom som færre enn 1 av 50 000 har.

Sjeldne sykdommer er temmelig vanlige på befolkningsnivå. Nasjonalt kompetansesenter for sjeldne sykdommer anslår at det finnes om lag 7000 ulike sjeldne sykdommer i Norge, og at 3,5–5,9 prosent av befolkningen har en sjelden diagnose. 80 prosent av disse sjeldne sykdommene er arvelige (Helsenorge 2023).

Utviklingen av legemidler frem mot markedsføringstillatelse følger i prinsippet samme trinnvise vei (jf. tabell 1), uavhengig av forekomst. På sjeldenfeltet har det vært en utfordring å ha tilstrekkelig forskningsaktivitet og utvikling av behandlinger, blant annet på grunn av de økonomiske ulempene knyttet til utviklingen av legemidler for svært små pasientgrupper. I både EU og USA er det utviklet egne virkemidler som skal stimulere til utvikling av legemidler for sjeldne

sykdommer (såkalt *orphan designation*). Regelverket er del av EØS-avtalen og gjelder som forskrift, jf. forskrift 18. desember 2009 nr. 1839 om legemidler til mennesker (legemiddelforskriften) § 15-7 (Norsk legemiddelhandbok 2023). Det finnes spesielle regulatoriske godkjenningsordninger som også kan være aktuelle for legemidler for sjeldne sykdommer. Såkalt *betinget markedsføringstillatelse* kan være aktuelt for legemidler som fyller et udekket behov for behandling av alvorlig sykdom, selv om data som normalt kreves for godkjenning, mangler. Det er en forutsetning at fordelene ved rask tilgang oppveier risikoen ved mangel på kliniske data.

Noen få legemidler godkjennes under eksepsjonelle omstendigheter, eksempelvis når det er svært få pasienter, eller når det vil være uetisk å gjennomføre ytterligere kliniske studier. Begge disse godkjenningsordningene er ledsaget av spesifikke oppfølgingskrav om fortsatt kunnskapsgenerering.

Metoder rettet mot særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand vurderes i dag i de etablerte beslutningssystemene på gruppenivå, dvs. i spesialisthelsetjenesten innenfor Nye metoder og under systemet for forhåndsgodkjent refusjon (§ 2). Ved metodevurdering og beslutning om innføring av slike legemidler kan det aksepteres et lavere krav til dokumentasjon og en høyere ressursbruk enn det som normalt aksepteres (Meld. St. 34 (2015–2016), 13). I 2017 ble det etablert tre veiledende kriterier som alle må være oppfylt for at metoder kan kvalifisere til ordningen for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig sykdom. Disse er som følger:

1. Særskilt liten pasientgruppe: a) Mindre enn ca 1 pasient per 100 000 innbyggere på verdensbasis per legemiddel b) Mindre enn cirka 50 pasienter i Norge per legemiddel.
2. Svært alvorlig tilstand: Alvorlighetsgrad målt ved absolutt prognosetap tilsvarer minimum cirka 30 tapte gode leveår.
3. Stor forventet nytte av legemiddel: Forventet nytte av den aktuelle behandlingen er betydelig og minimum cirka 2 vunnet gode leveår sammenlignet med standard behandling.

Alle disse tre veiledende kriteriene skal som et utgangspunkt være oppfylt for at et legemiddel skal kunne vurderes iht. legemiddelforskriften § 14-5 tredje ledd (Statens legemiddelverk 2023b).

Det er få (kun en håndfull) legemidler som er vurdert å oppfylle kriteriene for denne ordningen siden den ble innført. Kravene til kunnskap og dokumentasjon for prioritering som er differensiert basert på sykdommers sjeldenhet, er også beskrevet i kapittelet om prioritering av *off label*- og *off licence*-bruk (kapittel 3.8) og er etablert for å ivareta en rettferdig prioritering for disse pasientene sammenliknet med pasienter med vanligere diagnoser.

Man forventer at større presisjon ved diagnostiske metoder og nye, målrettede behandlingsmetoder vil åpne for økt differensiering av sykdommer. Antallet sjeldne og svært sjeldne undergrupper innenfor allerede kjente sykdomsgrupper vil dessuten øke med den molekylærteknologiske og biologiske utviklingen. I tillegg får man stadig mer detaljert kunnskap om de molekylære årsakene (driverne) for sykdomsutviklingen. Slik kunnskap om molekylære sykdomsdrivere

gir ofte muligheten til å utvikle nye målrettede legemidler. Eksempelvis ble det i USA i perioden 2011–2020 gitt markedsføringstillatelse årlig for 40 nye virkestoff (*New Molecular Entities*), som er en økning sammenlignet med perioden 2001–2010 (PhRMA 2021).

Å fremlegge nødvendig dokumentasjon av kvalitet, sikkerhet og effekt for å oppnå markedsføringstillatelse er mulig selv ved svært sjeldne sykdomstilstander. Et illustrerende eksempel er den sjeldne sykdomsgruppen arvelig retinal dystrofi (se boks 1).

### **Boks 1. Retinal dystrofi som et eksempel på vurdering ved sjeldenhet**

Retinal dystrofi er en sykdom som gir gradvis økende synstap. Det er estimert at det finnes nærmere 300 ulike gener hvor en mutasjon kan forårsake en tilstand som tilhører denne sykdomsgruppen. For en svært liten pasientgruppe med genfeil i ett av disse 300 genene, RPE65, er det utviklet et legemiddel som kan bedre synsevnen. Dette legemiddelet fikk markedsføringstillatelse basert på en innledende fase I-studie og en oppfølgende randomisert kontrollert fase III-studie med under 50 deltagere. Kunnskapsgrunnlaget for å beregne kostnadseffektiviteten av denne behandlingen er ennå svært usikkert, men det vil bli sikrere med lengre oppfølgingsstid. Legemiddelet ble godkjent av Beslutningsforum for nye metoder, med forbehold om senere endringer, avhengig av oppfølgende data. I utgangspunktet gir man behandlingen bare én gang, og det hersker i skrivende stund fortsatt usikkerhet om hvordan effekten (og eventuelle bivirkninger) vil utvikle seg over tid (Statens legemiddelverk 2021).

De fleste sjeldne tilstander som er kjent i dag, har en forekomst som gjør det mulig å gjennomføre kliniske studier på fase I-nivå med mer enn én deltaker. Det er imidlertid publisert minst ett tilfelle der man i dag bare kjenner til én pasient med den aktuelle tilstanden, og hvor det er utviklet et legemiddel for denne (Kim et al. 2019).

Det stilles store krav til dokumentasjon av sikkerhet før et legemiddel gis til mennesker, uavhengig av hvor mange pasienter man planlegger å inkludere i studieprogrammet. Slik preklinisk dokumentasjon forelå også i eksempelet ovenfor; typen legemiddel (*antisense-oligonukleotid*) var kjent, og det var liten sannsynlighet for at legemiddelet ville kunne gi irreversibel og alvorlig skade. Legemidler av denne typen reparerer ikke genfeilen, men kan påvirke proteinsyntesen i en ønsket retning. Etterlevelse av god forskningsetikk, i særdeleshet krav til frivillig, informert samtykke og ivaretagelse av integritet og personvern, blir imidlertid særlig krevende i situasjoner som den som er beskrevet ovenfor. Det vil kunne være en tett kobling mellom pasient, utviklere og patentiere, og det kan oppstå urealistiske forventninger til legemiddelets nytte-/risikoforhold. Videre vil det kunne oppstå uklarheter eller uenighet om hvilke resultatmål som er nødvendige eller tilstrekkelige for å videreføre behandlingen, som i dette tilfellet vil kunne være livsvarig.

Det kan være krevende å gjennomføre metodevurderinger for behandlingen av sjeldne sykdommer, fordi kunnskapsgrunnlaget er usikkert. Fra et

prioriteringsståsted synes hovedproblemet i første rekke å være kostnadene. Den videre teknologiske utviklingen vil vise om kostnad-effekt-forholdet kommer på et nivå som gjør det mulig å prioritere metoder i situasjoner med målrettede legemidler skreddersydd for svært sjeldne sykdommer. Den amerikanske etaten U.S. Food and Drug Administration (FDA) har arbeidet med å etablere et regelverk som skal ivareta problemstillinger om sjeldne sykdommer (FDA 2021).

### 3.6 Undergrupper i studiepopulasjoner

Det vil alltid være variasjon blant pasienter som deltar i en klinisk studie. Følgelig er det vanlig å undersøke i hvilken grad effekten av studieintervensjonen (f.eks. behandling med et nytt legemiddel) varierer i definerte undergrupper. Disse undergruppene bør være basert på karakteristika som man med rimelighet tror har betydning for effekten av behandlingen, som kjønn, alder, sykdomsutbredelse, omfang av tidligere behandling, kliniske funn og definerte biomarkører (biologiske egenskaper ved pasienten eller sykdommen). Slike karakteristika for undergrupper definerer man oftest i en tidlig studiefase (fase I eller II). Fase III-studiedata er imidlertid oftest nødvendig for å skille mellom underliggende faktorer som kan si noe om forløpet (prognose), og forskjeller som skyldes ulik effekt av selve intervensjonen.

### 3.7 Utviklingen av nye legemidler

Legemidler kan utvikles i laboratorium og eventuelt ved bruk av forsøksdyr. Sikkerhet og effekt for legemiddelet blir undersøkt i kliniske studier på mennesker. Dette skjer i ulike studiefaser, fra fase I inntil fase III, der målet er å oppnå regulatorisk godkjenning (markedsføringstillatelse, MT) fra legemiddelmyndighetene på et definert bruksområde (indikasjon).

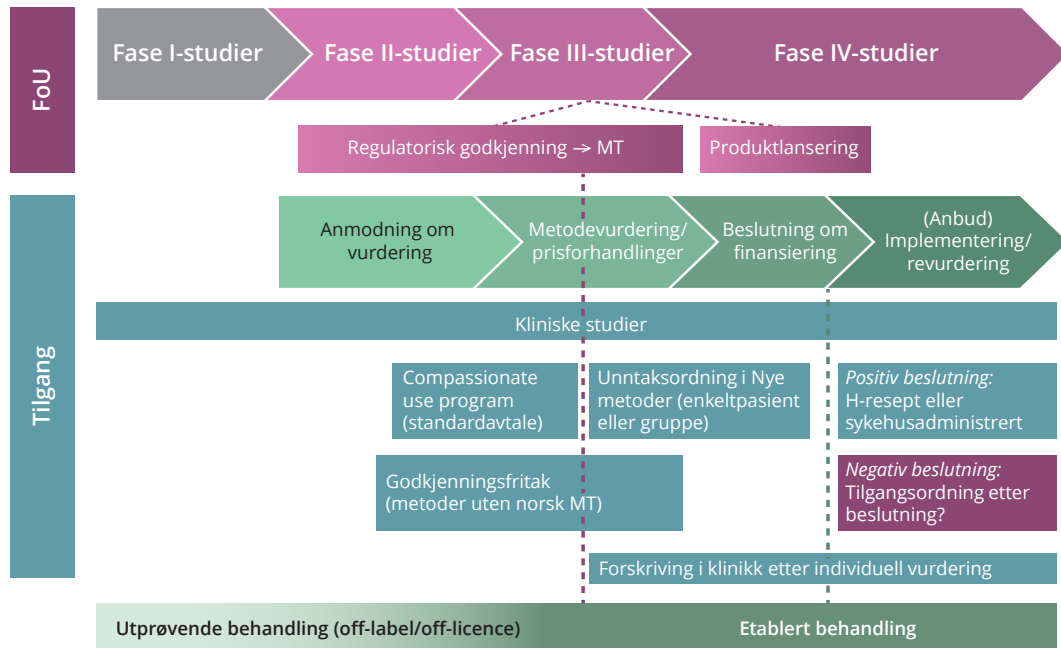
I fase I av utprøvingen blir sikkerhetsprofilen (dvs. bivirkninger) ved bruk dokumentert. I tillegg blir legemiddelets egenskaper og sannsynlighet for effekt undersøkt med en tilnærming som gir en pekepinn om effekt. I fase II blir effekt og bivirkninger dokumentert med data fra flere pasienter, lengre observasjonstid og sikrere endepunkter. Som regel foregår også fase II uten noen kontrollgruppe. I fase III inkluderer man en kontrollgruppe som får etablert behandling, som regel basert på randomisering. Dette kalles en randomisert klinisk studie. Antallet pasienter blir dessuten ytterligere økt. Slik blir det, i fase III, mulig å dokumentere effektstørrelsen for det nye legemiddelet, målt med et ønsket endepunkt og sammenliknet med etablert behandling.

Etter at man har oppnådd markedsføringstillatelse på en gitt indikasjon, blir det av og til gjennomført såkalte fase IV-studier hvor formålet er å innhente ytterligere informasjon om sikkerhet og effekt i en bredere pasientpopulasjon. Disse studiene er utformet for å fange opp eventuelle sjeldne bivirkninger og langtidseffekter, eller undersøke nye kliniske eller helseøkonomiske utfallsmål

(Statens legemiddelverk 2023a). Det er i tillegg ganske vanlig at et legemiddel som har oppnådd markedsføringstillatelse på én indikasjon, blir undersøkt i kliniske studier for bruk på andre indikasjoner, eller over en lengre periode. Slike studier kan ha så vel fase II- som fase III-design. Figur 1 og 2 nedenfor gir en oversikt over tilgang til nye metoder gjennom henholdsvis de regionale helseforetakene (RHF-ene) og folketrygden.

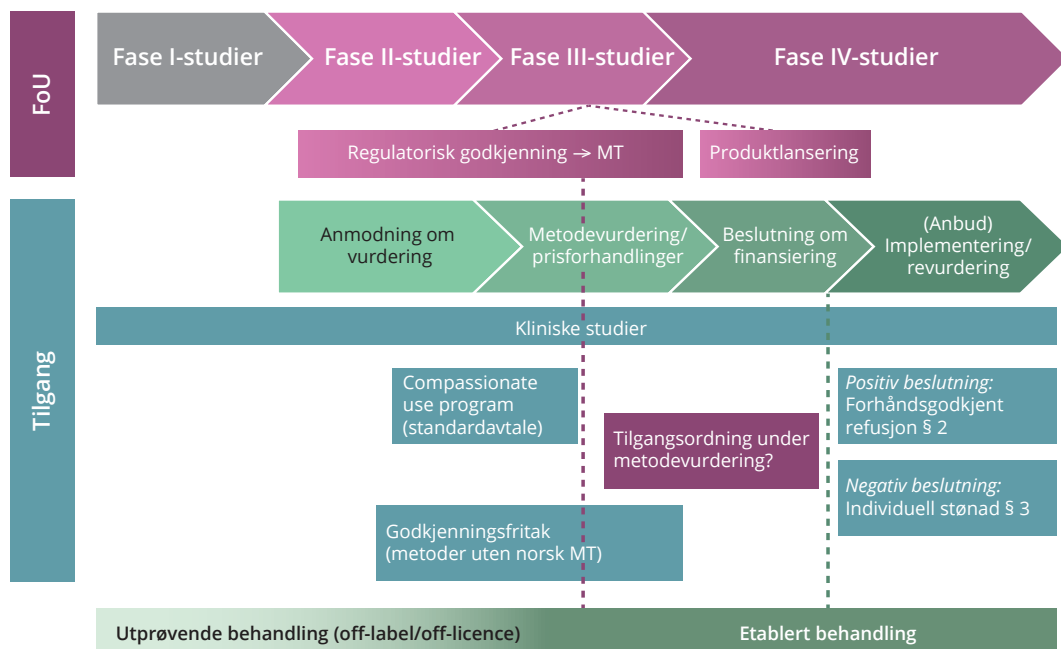


**Figur 1. Tilgang til nye sykehusfinansierte legemidler**



**Figur 1.** Prosessen frem mot offentlig tilgang til nye metoder gjennom de regionale helseforetakene.

**Figur 2. Tilgang til nye folketrygdfinansierte legemidler**



**Figur 2.** Prosessen frem mot offentlig tilgang til nye metoder gjennom folketrygden (blåreseptordningen).

Alle nye og innovative legemidler skal vurderes i sentral prosedyre. Legemidler som godkjennes i sentral prosedyre, får markedsføringstillatelse i alle EU/EØS-land. Får et legemiddel innvilget regulatorisk godkjenning, innebærer det at det europeiske legemiddelbyrået European Medicines Agency (EMA) har vurdert at legemiddelet har et dokumentert positivt forhold mellom forventet nytte og risiko. Den regulatoriske godkjenningen innebærer imidlertid ikke at legemiddelet skal finansieres av den offentlige helsetjenesten. Slike beslutninger tas nasjonalt, i mange land basert på en metodevurdering (Health Technology Assessment (HTA)) som beregner helsegevinster og kostnader ved å ta i bruk den nye metoden, sammenliknet med eksisterende standard behandling for en pasientgruppe. I Norge gjøres metodevurderinger gjennom Nye metoder for sykehusfinansierte metoder, og gjennom blåreseptordningen for legemidler finansiert av folketrygden.

Vurderinger i Nye metoder og blåreseptordningen forutsetter at det foreligger troverdige data for sikkerhet og effekt både for den aktuelle pasientgruppen (case) og for en mest mulig lik kontrollgruppe med standardbehandling. I praksis innebærer denne forutsetningen at det i de fleste tilfellene må foreligge dokumentasjon på nivå 1b eller bedre (jf. tabell 1), men det er ikke et krav om at det må foreligge slik dokumentasjon for å gjøre en metodevurdering. Randomiserte kliniske studier representerer gullstandarden, men de siste 10–15 årene har man i økende grad sett studier med bare én gruppe (*enarmede studier* (*single arm*-studier)), spesielt på kreftområdet. Nivå 1b foreligger vanligvis for *legemidler* som har fått markedsføringstillatelse, og langt sjeldnere for andre metodekategorier i helsetjenesten (f.eks. tester og prosedyrer).

### 3.8 Bruk av legemidler utenfor godkjent indikasjon

Det er en åpning for at leger kan rekvirere legemidler utenfor godkjent indikasjon (*off label*) eller legemidler uten norsk markedsføringstillatelse (*off licence*). Særlig for metoder hvor det ikke foreligger markedsføringstillatelse verken på europeisk eller nasjonalt nivå, vil dokumentasjonen kunne være mangelfull, eventuelt at markedsføringstillatelse ikke er søkt. Både *off label*- og *off licence*-bruk anses å være utprøvende behandling og stiller krav til registrering, til at pasienten er informert, og til at behandleren er spesielt årvåken for eventuelle bivirkninger. De regionale helseforetakene har laget et *Rammeverk for legemiddelbehandling utenfor godkjent indikasjon i spesialisthelsetjenesten* (RHF-ene 2022) og *Retningslinjer for bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse* (Nye metoder 2023).

I sine kommentarer til forskrift 28. juni 2007 nr. 814 om stønad til dekning av utgifter til viktige legemidler mv. (blåreseptforskriften) § 3 fjerde ledd oppgir Helsedirektoratet krav til dokumentasjon for refusjon ved så vel *off label*- som *off licence*-bruk:

Som hovedregel kreves det at det foreligger randomiserte og kontrollerte studier av en viss størrelse. Der aktuell studie viser særlig god og klinisk relevant effekt, kan Helfo senke kravet til studiepopulasjonens størrelse. For mindre pasientpopulasjoner (inntil 400 personer i Norge) kan observasjonsstudier i form av kohort-studier eller kasus-kontrollstudier unntaksvis godtas. Studiene må vise til god og klinisk relevant effekt. Kravet anses som oppfylt hvis den aktuelle legemiddelbehandlingen er anbefalt i nasjonale faglige retningslinjer utarbeidet eller godkjent av Helsedirektoratet (Helsedirektoratet 2023b, 18–19).

Dette innebærer at dokumentasjonsgrunnlaget i enkelte saker ikke behøver å være på høyere kunnskapsnivå enn 3 (se tabell 1). Helsedirektoratet angir også eksempler på dokumentasjon som *ikke* vektlegges:

Som følge av krav til vitenskapelig godt dokumentert effekt vektlegges ikke

1. klinisk erfaring eller opplevd effekt hos den enkelte pasienten.
2. retningslinjer fra andre land og norske retningslinjer utarbeidet av ulike spesialistmiljøer (unntak barn og gravide).
3. sannsynlig effekt ut fra kjemisk struktur eller effekt på beslektede diagnoser/symptomer (Helsedirektoratet 2023b, 19).

For *off licence*-behandling er det etablert en nasjonal avtaleordning som skal sikre lik tilgang for alle aktuelle pasienter i avtaleperioden. *Off label*-bruk er regulert i *Rammeverk for legemiddelbehandling utenfor godkjent indikasjon i spesialisthelsetjenesten* (RHF-ene 2022). Rammeverket angir dokumentasjonskrav som likner de i blåreseptordningen, med differensiering etter pasientgruppens størrelse.

Fase-II studier, eventuelt retrospektive pasientserier/registerdata, kan være tilstrekkelig, enten for små pasientgrupper der fase-III studier ikke er gjennomførbare, eller for større pasientgrupper hvor dokumentasjonen foreløpig er utilstrekkelig for markedsføringstillatelse. Et minimumskrav er at dokumentasjonen må foreligge i form av en fullverdig originalartikkel i et anerkjent fagfelleverdert fagtidsskrift. For svært små pasientgrupper (insidens færre enn 5 pasienter per år i Norge) kan kasuistikk være tilstrekkelig, særlig dersom gruppen er mulig å identifisere med en prediktiv markør som sannsynliggjør effekt («persontilpasset behandling») (RHF-ene 2022, 12).

På samme vis som ved praktisering av individuell stønad i blåreseptordningen kan kunnskapsgrunnlaget være av lav kvalitet (nivå 3). Videre er det presisert at ordningen er ment å skulle gi konsistent prioritering, uavhengig av populasjonsstørrelse: «Kostnaden ved behandlingen, relativt til helsegevinsten, må etter beste skjønn kunne vurderes til å være i samme størrelsesorden som kostnad-nytte-nivåer i saker som er besluttet i Beslutningsforum» (RHF-ene 2022, 12–13).

## 4 Prioriteringskriteriene og helseøkonomiske prinsipper

Gjennom behandlingen av Meld. St. 34 (2015–2016) *Verdier i pasientens helsetjeneste – Melding om prioritering* og Meld. St. 38 (2020–2021) *Nytte, ressurs og alvorlighet – Prioritering i helse- og omsorgstjenesten* har Stortinget gitt sin tilslutning til følgende prioriteringskriterier i helse- og omsorgstjenesten: *nytte, ressursbruk og alvorlighet*. Stortinget har lagt til grunn at samfunnet skal få mest mulig nytte (målt som gode leveår) ut av ressursene, og at alvorlige tilstander skal prioriteres høyere enn tilstander med lavere alvorlighet. Disse stortingsmeldingene har også forankret verdigrunnlaget for helse- og omsorgstjenesten: Hvert enkelt menneske har en ukrenkelig egenverdi uavhengig av kjønn, religion, sosioøkonomisk status, funksjonsnivå, sivilstand, bosted og etnisk tilhørighet. Videre skal tilgangen til helse- og omsorgstjenestene være likeverdig, og like tilfeller skal behandles likt. De tre prioriteringskriteriene skal gjelde på gruppe- og individnivå og for både spesialisthelsetjenesten og den kommunale helse- og omsorgshelsetjenesten.

I prinsippet er målsettingen med en behandling å gi størst mulig helsegevinst. I daglig klinisk praksis er det vanlig å betegne behandlingens formål mer intuitivt, som forebyggende, livreddende, kurativ, livsforlengende, symptomlindrende, palliativ og mulige kombinasjoner av disse.

En behandling som gir høy sannsynlighet for tilnærmet normal gjenværende levetid, der fraværet av samme behandling sannsynligvis innebærer betydelig redusert levetid, betegnes som *kurativ* eller *helbredende*. *Forebyggende* behandling søker å redusere risikoen for utvikling av livstruende sykdom, som for eksempel hjerneslag eller tilbakefall av kreftsykdom. Sammenhengen mellom forebyggende behandling og senere utfall er ikke like direkte som ved kurativ behandling. Behandling som i hovedsak gir økt forventet gjenværende levetid eller bedre livskvalitet, omtales på sin side gjerne som *livsforlengende*, *symptomlindrende* eller *palliativ*.

Benevnelsen *livreddende* blir ofte brukt om ulike typer behandlinger. Ekspertgruppen mener at betegnelsen livreddende bør begrenses til akutte og subakutte situasjoner som åpenbart innebærer risiko for død innen kort tid om man ikke iverksetter en effektiv intervensjon. Slike livreddende tiltak er typisk for øyeblikkelig-hjelp-situasjoner som følge av alvorlige ulykker eller akutt livstruende sykdom.

## 4.1 Hva er gode leveår, eller QALY-er?

*Kvalitetsjusterte leveår (quality-adjusted life years (QALY-er))* er en måleenhet for helsegevinster som benyttes for å kunne sammenlikne nytten av ulike tiltak. Noen tiltak forlenger liv, enkelte forbedrer liv, og noen gjør begge deler. Noen tiltak gir en kortvarig forbedring, mens andre gir langvarig bedring. Videre vil livskvaliteten forbedres langs ulike helsedimensjoner i forskjellige pasientgrupper. Hensikten med QALY-er er nettopp å utgjøre en felles måleenhet hvor ulike typer og størrelser på helsegevinster kan sammenliknes.

Helserelatert livskvalitet måles normalt på en skala mellom 0 og 1, der den best tenkelige tilstanden har verdien 1, mens den verst tenkelige tilstanden (eller død) har verdien 0. Alle *ikke-ønskelige* helsetilstander vil følgelig ha ulike helsetilstandsvekter, eller livskvalitetsindekser, mellom 0 og 1. Jo høyere en helsetilstand verdsettes, desto høyere livskvalitetsindeks. Formelen er enkel, idet man regner produktet av økt livslengde og økt livskvalitet. Et vunnet leveår i den best tenkelige helsen teller som 1 QALY. Hvis helsegevinsten i stedet dreier seg om å forbedre livskvaliteten, uten at levetiden øker, beregnes forbedringen av livskvalitetsindeksen og multipliseres med antallet år forbedringen antas å vare. For eksempel vil en forbedret livskvalitet fra 0,8 til 0,9 som varer i ti år, telle som 1 QALY [altså  $(0,9 - 0,8) \times 10$ ].

Ved vurdering av nye behandlingsmetoder er man opptatt av hvor mye større QALY-gevinsten forventes å bli, sammenliknet med eksisterende behandling. Tallgrunnlaget er gjerne basert på randomiserte kliniske studier, hvor man måler helseforbedringen i en intervensjonsgruppe, sammenliknet med kontrollgruppen. Oppmerksomheten vil da være på *mereffekten* av det nye tiltaket, målt i QALY-er.<sup>2</sup>

## 4.2 Kostnad-effekt-analyser

*Mereffekten* sammenholdes med *merkostnadene* av det nye tiltaket for å vurdere kostnadseffektiviteten, eller kostnad-effekt-ratioen, IKER (inkrementell kostnad-effekt-ratio). Dersom merkostnaden per vunnet QALY er lavere enn en gitt terskelverdi, ofte omtalt som «samfunnets betalingsvilje», betrakter man tiltaket som kostnadseffektivt, og vil normalt anbefale tilgang til det nye tiltaket gjennom offentlig finansiering. I motsatt fall, dersom merkostnaden per vunnet QALY overstiger terskelverdien, er tiltaket ikke kostnadseffektivt, og man vil i utgangspunktet ikke anbefale det nye tiltaket for offentlig finansiering.

I henhold til norske retningslinjer vil imidlertid tiltak som ikke er kostnadseffektive, likevel kunne anbefales dersom sykdommens alvorlighetsgrad

<sup>2</sup> Begrepet «effekt» brukes i medisinsk forskning, og «kostnad-effekt-analyser» er en vanlig betegnelse innen helseøkonomi. I Nye metoder brukes imidlertid betegnelsen «kostnad-nytte-analyser», særlig siden denne er tettere på prioriteringskriteriene begrepsmessig.

er høy. I Norge måles alvorlighetsgrad ut fra absolutt prognosetap, det betyr det antallet QALY-er pasientene i gjennomsnitt vil tape som følge av den aktuelle sykdommen. Jo større det absolutte prognosetapet som er forbundet med sykdommen, er, desto høyere kostnad per vunnet QALY vil myndighetene akseptere.

### 4.3 Prioriteringskriteriene på hovedgruppenivå

De norske retningslinjene for prioriteringer er som tidligere nevnt basert på flere omfattende offentlige utredninger, med påfølgende høringsuttalelser og drøfting i ekspertgrupper, og Stortinget har gitt sin tilslutning til prioriteringskriteriene *nytte, ressursbruk og alvorlighet*. Nyttekriteriet innebærer at jo større nytten er, desto høyere prioritet. Ressurskriteriet innebærer at jo lavere ressursbruken er, desto høyere prioritet. Og alvorlighetskriteriet innebærer at jo større alvorligheten er, desto høyere prioritet.

Nytten av en behandling dreier seg først og fremst om hvor stor helseforbedringen forventes å være for pasientene som behandles. Nytte måles i QALY-gevinst, også kjent som «gode leveår». QALY-gevinsten legges så til grunn for beregning av effekt i kostnad-effekt-analyser (se ovenfor, også kalt kostnad-nytte-analyser). I tråd med føringene fra Meld. St. 34 (2015–2016) kan helseforbedringer for pårørende i relevante tilfeller telles med i beregning av nytte. Dette er operasjonalisert gjennom retningslinjene for metodevurderinger fra Folkehelseinstituttet og Direktoratet for medisinske produkter, der det påpekes at man i tillegg til pasientenes QALY-gevinster også vil kunne ta hensyn til QALY-gevinster for pårørende, i den grad slike er dokumentert.

Ressurser dreier seg i all hovedsak om helse- og omsorgstjenestens kostnader. Størrelsen på helsebudsjettet er bestemt av myndighetene, og enhver bruk av helse- og omsorgstjenestens tilgjengelige ressurser har alternative anvendelser. Et dyrt tiltak vil medføre at tilsvarende mindre ressurser blir tilgjengelig for andre formål. Derfor, jo mindre ressurser et tiltak legger beslag på, desto høyere prioritet. I tillegg til helse- og omsorgstjenestens ressursbruk knyttet til behandlingen vil man kunne ta hensyn til kostnader forbundet med pasientens transport og tidsbruk i forbindelse med behandlingen. Den samlede ressursbruken vurderes opp mot nytten, for å kunne prioritere tiltaket som oppnår størst helsegevinster målt ved QALY-er.

Med alvorlighetsgrad mener man det *absolutte prognosetapet* som er forbundet med den aktuelle sykdommen med dagens tilgjengelige behandling. Slikt absolutt prognosetap handler om hvor mange gode leveår (dvs. QALY-er) som tapes som følge av sykdomstilstanden, gjennom reduksjoner i livskvalitet og levetid. For alle praktiske formål vil absolutt prognosetap være det samme som fremtidig helsetap. En sykdom eller hendelse som medfører tap av mange gode leveår, anses som grunnleggende mer urettferdig å bli rammet av, og derfor mer alvorlig, enn en sykdom eller hendelse forbundet med små helsetap.

Begrunnelsen for å ta hensyn til et slikt absolutt prognosetap er at man vil redusere ulikheter i helse. Alvorlighetskriteriet sier at jo større prognosetapet er, målt ved tapte QALY-er, desto høyere prioritet. Følgelig vil man vekte nytten av et tiltak høyere dersom det retter seg mot sykdommer med store prognosetap, alt annet likt. Uttrykt på en annen måte kan vi si at man er villig til å bruke mer ressurser per QALY på tiltak som retter seg mot alvorlige sykdommer.

#### 4.4 Prioriteringskriteriene på undergruppenivå

Beslutningene om å innføre nye tiltak er basert på de ovennevnte tre prioriteringskriteriene, og tallgrunnlaget kommer fra studier som er utført på hovedgruppenivå (jf. intervensjonsgruppe vs. kontrollgruppe). Hovedregelen ved metodevurderinger er at vurderingen av nytte og alvorlighet er basert på pasientpopulasjoner i kliniske studier som samsvarer med «målpopulasjonen» for legemiddelet, dvs. legemiddelets godkjente indikasjon (markedsføringstillatelse). I praksis er det ofte hele studiepopulasjonen(e) i studien(e) som inngår i dokumentasjonsgrunnlaget for godkjent indikasjon. Tallene for effekten av tiltaket vil som regel dreie seg om størrelsen på den gjennomsnittlige QALY-gevinsten blant alle pasientene som inngår i hovedgruppene, noe som da uttrykker hvor stor helsegevinst som kan forventes. Når det gjelder ressursbruk, er det tale om gjennomsnittskostnader per pasient, mens alvorlighet er målt som gjennomsnittlig prognosetap blant pasientene i hovedgruppen.

Utfordringen blir så å vurdere eventuell heterogenitet i pasientgruppen, altså i hvilken grad det er store variasjoner i nytte, ressursbruk og alvorlighet mellom pasientene i hovedgruppen. I første rekke dreier det seg om å identifisere karakteristika ved pasienter der nytten av behandlingen avviker fra gjennomsnittet. Dette kan være undergrupper definert etter alder, kjønn og eventuelle kliniske indikatorer. Pasientene vil også kunne variere avhengig av sitt prognosetap, der unge pasienter normalt vil ha større prognosetap enn eldre. Som regel vil det være liten variasjon i kostnader mellom pasienter, spesielt i situasjoner med behandling med legemiddel der anbefalt døgndose er identisk for alle innenfor samme behandlingsvarighet.

Dersom en undergruppe viser seg å ha større effekt av tiltaket enn den gjennomsnittsnyttens som har ligget til grunn for analysen som har vist at tiltaket ikke er kostnadseffektivt, vil det være aktuelt å gjøre målrettede kostnad-effekt-analyser for undergrupper. Slike analyser vil kunne belyse kostnadseffektivitet av tiltaket for ulike undergrupper. Utfordringen blir å finne frem til hvilke karakteristika (kjønn, alder og genetiske og kliniske forhold) som best identifiserer de pasientene som vil ha størst nytte av tiltaket. Den grunnleggende utfordringen i små undergrupper er imidlertid begrenset tallgrunnlag for å predikere effekt.

Det er viktig å minne om at dersom effekten i en undergruppe viser seg å være vesentlig større enn gjennomsnittet for hovedgruppen, vil den gjennomsnittlige nytten i den gjenværende hovedgruppen bli tilsvarende mindre. Følgelig kan tiltaket fremstå mindre kostnadseffektivt i den gjenværende hovedgruppen. Analyser på undergruppenivå vil altså kunne medføre at tiltaket blir tilbudt et snevrere utvalg av pasienter.

Sammenliknet med å analysere en hovedgruppe med stor variasjon mellom individene, ser ikke Ekspertgruppen noen spesifikke etiske problemer i å anvende prioriteringskriteriene for å analysere undergrupper. Hensikten med å betrakte undergrupper vil nettopp være å identifisere hvilke pasienter som har størst forventet effekt, hvilket er i tråd med nyttekriteriet. Når vi beveger oss videre fra undergruppe til individnivå, blir spørsmålet i hvilken grad operasjonaliseringen av de tre prioriteringskriteriene fortsatt er relevant, og eventuelt hvilke øvrige faktorer som bør vurderes.

## 4.5 Prioriteringskriteriene på individnivå

Nytte-kriteriet er i tråd med prinsippet om *å gjøre mest mulig godt*. I hvilken grad et individ har *behov* for en behandling, avhenger grunnleggende sett av hvor stor helseforbedring behandlingen kan forventes å gi (eller hvor stor helseforverring behandlingen kan forhindre). Beregning av denne *forventede helsegevinsten* vil for det første dreie seg om *hvor mange QALY-er* det er tale om hvis behandlingen viser seg å virke, og for det andre, *hvor sannsynlig* det er at denne behandlingen virker. I tillegg vil det kunne være *usikkerhet* knyttet til negative virkninger, som også må tas hensyn til ved beregningen av den forventede QALY-gevinsten. Ved kliniske beslutninger på individnivå vil nyttekriteriet følgelig være like relevant som det er på hovedgruppenivå.

Meld. St. 38 (2020–2021) har fastsatt følgende kliniske operasjonalisering av nyttekriteriet:

Et tiltaks prioritet øker i tråd med den forventede nytten av tiltaket. Den forventede nytten av et tiltak vurderes ut fra om kunnskapsbasert praksis tilsier at tiltaket kan øke pasientens livslengde og/eller livskvalitet gjennom å gi økt sannsynlighet for:

- overlevelse
- forbedring eller redusert tap av mestring og/eller fysisk eller psykisk funksjon
- reduksjon av smerter, fysisk eller psykisk ubehag (Meld. St. 38 (2020–2021), 8).

Ressurskriteriet er knyttet til begrepet *alternativkostnader*. Når de totale ressursene er gitt, vil den delen av ressursene som ett individ legger beslag på, ha alternative anvendelser for andre pasienter. Alternativkostnaden dreier seg om hvor store helsegevinster *andre pasienter* går glipp av som følge av at de får *tilsvarende redusert tilgang* til ressurser. Den etiske utfordringen for tilbydereren blir derfor å vurdere hvor stor den forventede helsegevinsten er for individet vedkommende har foran seg, sammenliknet med hvor store tapte helsegevinster andre *tause tapere* påføres ved at de får mindre ressurser. I prinsippet vil



ressurskriteriet ha samme etiske relevans for beslutninger om tilgang til behandling på individnivå som for beslutninger om innføring av et nytt tiltak på hovedgruppenivå.

Alvorlighetskriteriet dreier seg om å ta hensyn til det absolutte prognosetapet. Med andre ord, jo større sykdomsbyrden er for et individ uten ny behandling, målt ved fremtidige tapte QALY-er, desto høyere prioritet bør individet ha. Ekspertgruppen finner at den etiske begrunnelsen for dette kriteriet har samme relevans på individnivå som på hovedgruppenivå. På bakgrunn av vurderingene til henholdsvis Magnussen-arbeidsgruppen (HOD 2015) og Blankholm-utvalget (NOU 2018: 16 *Det viktigste først*) har man i Meld. St. 38 (2020–2021) foreslått følgende kliniske operasjonalisering av alvorlighetskriteriet:

Et tiltaks prioritet øker i tråd med alvorligheten av tilstanden. En tilstands alvorlighet vurderes ut fra:

- risiko for død eller tap av mestring og/eller funksjon
- graden av tap av mestring og/eller fysisk eller psykisk funksjon
- smerter, fysisk eller psykisk ubehag

Både nå-situasjonen, varighet og tap av fremtidige leveår har betydning for graden av alvorlighet. Graden av alvorlighet øker jo mer det haster å komme i gang med tiltaket (Meld. St. 38 (2020–2021), 8).

De tre prioriteringskriteriene skal ligge til grunn for beslutninger på individnivå, men andre tilleggshensyn vil kunne være relevante. Når det gjelder nyttekriteriet, kan det være relevant å inkludere nytten for *pårørende*, som vil kunne variere. Alvorlighetskriteriet vil tilsvarende kunne utvides ved også å ta hensyn til den samlede sykdomsbyrden for de pårørende.

Ekspertgruppen er åpen for at andre hensyn også kan trekkes inn ved beslutninger om tilgang på individnivå, men minner om at disse må begrunnes utover klinisk skjønn. Videre mener Ekspertgruppen at slike tilleggshensyn uansett ikke kan erstatte prioriteringskriteriene. Overordnet bør tilgang til behandling alltid være begrunnet i størrelsen på en forventet positiv helsegevinst, i at ressursene ikke fortrenger realisering av større helsegevinster i andre pasientgrupper, og i sykdommens alvorlighetsgrad.

Ekspertgruppen understreker at unntak på individnivå ikke dreier seg om unntak fra prioriteringskriteriene, men begrunnes i at enkeltindivider kan avvike fra gjennomsnittet i den gruppen som en metodevurdering er basert på, for eksempel at nytten, målt ved forventet QALY-gevinst, er vesentlig større enn gruppegjennomsnittet, og/eller at alvorligheten, målt ved absolutt prognosetap, er vesentlig større.

## 5 Juridisk kontekst

### 5.1 Gruppebasert tilgang til behandlingsmetoder i spesialisthelsetjenesten

#### 5.1.1 Innledning

Det følger av mandatet at ekspertgruppen skal utrede juridiske problemstillinger i forholdet mellom beslutninger om innføring av nye behandlingsmetoder på gruppenivå (i Nye metoder og i blåreseptordningen) og tilgang for enkeltpasienter. Nedenfor omtales gjeldende rett for beslutninger om nødvendig helsehjelp i spesialisthelsetjenesten. Tilgangen til nye behandlingsmetoder på gruppenivå handler om hvordan staten organiserer helsetjenestene for å kunne tilby pasienter nødvendig helsehjelp. Med «tilgang» menes hvorvidt en metode eller type helsehjelp er tilgjengelig i den norske offentlige spesialisthelsetjenesten.

#### 5.1.2 Organisering av nødvendige helsetjenester i spesialisthelsetjenesten

Det er staten som skal sørge for at innbyggerne får nødvendig helsehjelp, jf. lov 2. juli 1999 nr. 61 om spesialisthelsetjenesten m.m. (spesialisthelsetjenesteloven) §§ 2-1. Plikten til å yte helsehjelp utenfor øyeblikkelig-hjelp-situasjonen oppstår når pasientens behov for helsehjelp fremstår som «nødvendig», jf. lov 2. juli 1999 nr. 63 om pasient- og brukerrettigheter (pasient- og brukerrettighetsloven) § 2-1 b andre ledd.

For å ivareta dette ansvaret er sykehusene organisert i helseforetak, og deres lovbestemte formål er blant annet «å yte gode og likeverdige spesialisthelsetjenester til alle som trenger det når de trenger det», uten noen form for diskriminering, jf. lov 15. juni 2001 nr. 93 om helseforetak m.m. (helseforetaksloven) § 1 andre ledd. De regionale helseforetakene har finansieringsansvar for blant annet legemidler brukt i sykehus (NOU 2018: 16). Det følger av spesialisthelsetjenestelovens formål at loven blant annet særlig skal bidra til et likeverdig tjenestetilbud, til at ressursene utnyttes best mulig, og til at tjenestetilbudet blir tilpasset pasientenes behov, jf. § 1-1.

Det følger av spesialisthelsetjenesteloven § 2-1 a andre ledd at det regionale helseforetaket skal innrette sitt tjenestetilbud i tråd med prioriteringskriteriene nytte, ressursbruk og alvorlighetsgrad. Prioriteringskriteriene er godt innarbeidet og sentrale elementer i en forsvarlig forvaltning av helseressursene. Prioriteringskriteriene er grunnlaget for all prioritering i spesialisthelsetjenesten, og ikke kun begrenset til vurderingen av «nødvendig helsehjelp» (Prop. 55 L (2018–2019), 32). Bestemmelsen fikk sin nåværende ordlyd ved endringslov av 20. desember 2019 og kom sammen med en ny bestemmelse i § 4-4 som

pålegger de regionale helseforetakene å «sørge for et felles system for å beslutte hvilke metoder som kan tilbys i spesialisthelsetjenesten».

I Nye metoder «tas det stilling til om metoder skal gjøres tilgjengelig for bruk i spesialisthelsetjenesten» (Prop. 55 L (2018–2019), 53). I pasient- og brukerrettighetsloven ble det presisert i § 2-1 b andre ledd siste punktum at den individuelle retten til nødvendig helsehjelp «gjelder de tjenestene som spesialisthelsetjenesten har ansvaret for å yte og finansiere», med henvisning til spesialisthelsetjenesteloven §§ 2-1 a og 4-4. Ifølge lovforarbeidene kommer kriteriene for prioritering «på den måten rettslig sett til uttrykk både når det gjelder de regionale helseforetakenes innretning av tjenestetilbudet i spesialisthelsetjenesten og ved pasienters tildeling av rett til nødvendig spesialisthelsetjeneste» (Prop. 55 L (2018–2019), 32). Tilgangen til nye behandlingsmetoder på gruppenivå er dermed som hovedregel avgrenset til metodene som er godkjent i Nye metoder. Dersom en metode er til vurdering i Nye metoder, skal den som hovedregel ikke tas i bruk til nye pasienter i spesialisthelsetjenesten mens den er til vurdering. Muligheten for å søke om unntak på individ- og undergruppenivå er omtalt i kapitlet om Nye metoder (kapittel 6.3).

De regionale helseforetakene må organisere sykehus og helseinstitusjoner på en slik måte at den helsehjelpen som ytes, er forsvarlig, jf. spesialisthelsetjenesteloven § 2-2. Helsepersonell har en personlig plikt til å yte forsvarlig helsehjelp, jf. lov 2. juli 1999 nr. 64 om helsepersonell mv. (helsepersonelloven) § 4. Tilgangen til nye behandlingsmetoder må ikke være så snever eller tilfeldig at det kan oppstå konflikt med kravet til forsvarlighet eller være i strid med spesialisthelsetjenestens formål om blant annet å motvirke sykdom, lidelse og funksjonshemming, samt sikre tjenestetilbudets kvalitet, likeverdighet og tilgjengelighet, jf. spesialisthelsetjenesteloven § 1-1. Helsetjenester som tilbys av private virksomheter uten avtale med det offentlige, er også omfattet av krav til forsvarlighet.

## 5.2 Forvaltningslovens anvendelse

Når det gjelder helsehjelp, uavhengig av om den gis av den kommunale helse- og omsorgstjenesten eller spesialisthelsetjenesten, er det særlige bestemmelser som følger av pasient- og brukerrettighetsloven § 2-7, knyttet til anvendelsen av lov 10. februar 1967 om behandlingsmåten i forvaltningsaker (forvaltningsloven). Det fremgår av § 2-7 at forvaltningsloven kapittel IV og V, som er særlige regler for enkeltvedtak, (i all hovedsak) ikke gjelder for vedtak som treffes etter pasient- og brukerrettighetsloven kapittel 2, som blant annet regulerer pasienters rett til helsehjelp. Særlige regler for pasienter som ønsker å klage, blant annet over brudd på retten til nødvendig og forsvarlig helsehjelp, følger av pasient- og brukerrettighetsloven kapittel 7. Det er i utgangspunktet forvaltningslovens saksbehandlingsregler for enkeltvedtak som skal gjelde ved

klagesaksbehandlingen, uavhengig av om avgjørelsen det klages over, kan anses som et enkeltvedtak eller ikke, se pasient- og brukerrettighetsloven § 7.

For saksbehandlingen i Nye metoder gjelder forvaltningslovens regler om habilitet og veiledningsplikt. Beslutninger om hvilke metoder som tilbys i spesialisthelsetjenesten, regnes ikke som vedtak etter forvaltningsloven § 2 første ledd bokstav a, jf. spesialisthelsetjenesteloven § 4-4 siste ledd. Saksbehandlingsreglene ved enkeltvedtak gjelder derfor ikke. Det er heller ikke noen klagerett i Nye metoder (Prop. 55 L (2018–2019), 45–46).

### 5.3 Likebehandling og ikke-diskriminering

Både spesialisthelsetjenesten og den kommunale helse- og omsorgstjenesten har plikt til å fremme likebehandling og ikke-diskriminering. Kravene til likebehandling og ikke-diskriminering kan utledes av blant annet Grunnloven, formålsbestemmelsene i de ulike helselovene samt lov 16. juni 2017 nr. 51 om likestilling og forbud mot diskriminering (likestillings- og diskrimineringsloven). Ikke-diskriminering i tilgangen til helsetjenester følger også av den internasjonale konvensjonen om økonomiske, sosiale og kulturelle rettigheter (ØSK) artikkel 2 (2), jf. artikkel 12, som er inkorporert i menneskerettsloven (Høstmølingen 2012). Likebehandling og ikke-diskriminering innebærer at mennesker skal behandles likt og få den samme tilgangen til helsehjelp (Befring 2022).

I den offentlige helse- og omsorgstjenesten vil likhetsprinsippet uttrykke rettferdighet når tjenester skal fordeles på landsbasis og gruppenivå. Manglende tilgang til tjenester kan medføre at mennesker ikke får likeverdig behandling (Befring 2022). Lovens prioriteringskriterier skal tolkes i lys av diskrimineringsforbudet og helselovenes formålsbestemmelser, slik at også sjeldne tilstander hvor det kan være utfordrende å fremskaffe like god dokumentasjon som for større grupper, får likeverdig tilgang. Nødvendigheten av å prioritere, og prioriteringskriteriene slik de følger av spesialisthelsetjenesteloven, har en nær sammenheng med likhetsprinsippet, da manglende prioriteringer vil kunne skape ulik tilgang og skjevheter mellom pasientgrupper og enkeltpasienter.

### 5.4 Sentrale menneskerettigheter ved tilgang til helsetjenester

Helsetjenestene må organiseres i samsvar med menneskerettigheter Norge er forpliktet til å følge, jf. Grunnloven § 92. Det følger av Grunnloven § 93 at ethvert menneske har rett til liv, og av § 98 at alle er like for loven og ikke må utsettes for usaklig eller uforholdsmessig forskjellsbehandling. Ved lov 21. mai 1999 nr. 30 om styrking av menneskerettighetenes stilling i norsk rett (menneskerettsloven) ble blant annet den europeiske menneskerettskonvensjon

(EMK), den internasjonale konvensjonen om økonomiske, sosiale og kulturelle rettigheter (ØSK) og FNs konvensjon om barnets rettigheter (BK) gjort til gjeldende norsk rett, med forrang foran andre lovbestemmelser ved motstrid, jf. menneskerettsloven §§ 2 og 3.

For konvensjoner som Norge har ratifisert, men som ikke er tatt inn i menneskerettsloven, er det et presumsjonsprinsipp at norsk rett forutsettes å være i samsvar med våre menneskerettslige forpliktelser. Retten til helse er regulert i ØSK artikkel 12, i BK artikkel 24 og i FNs konvensjon om rettigheter til mennesker med nedsatt funksjonsevne (CRPD) (2006) artikkel 25, som krever likebehandling og aktiv tilrettelegging. EMK artikkel 2 verner om retten til liv, artikkel 8 verner om den enkelte pasients selvbestemmelsesrett, og artikkel 14 har et diskrimineringsforbud knyttet til konvensjonens rettigheter.

Biomedisinkonvensjonen (1997) er også relevant for hvordan helsetjenestene organiseres og lovreguleres. I biomedisinkonvensjonen artikkel 3, som har overskriften «Rettferdig og rimelig adgang til helsetjenester», er det presisert at «det tas hensyn til helsebehovene og de tilgjengelige ressurser, [og at de ratifiserende partene skal] treffe hensiktsmessige tiltak for å sikre rettferdig og rimelig adgang til helsetjenester av tilfredsstillende kvalitet [...]». Prioriteringer i spesialisthelsetjenesten og den kommunale helse- og omsorgstjenesten kan stride mot lovpålagte og menneskerettslige krav dersom de ikke oppfyller en forsvarlig minstestandard, jf. Fusa-dommen (Rt-1990-874), eller er diskriminerende.

## 5.5 Tilgang til nye behandlingsmetoder for enkeltpasienter

### 5.5.1 Retten til nødvendig helsehjelp i spesialisthelsetjenesten

Pasienters tilgang til nye behandlingsmetoder styres som utgangspunkt av deres rettigheter etter pasient- og brukerrettighetsloven § 2-1 b andre ledd, hvor det følger at en pasient har rett til nødvendige helsetjenester fra spesialisthelsetjenesten. Det er den enkelte pasientens behov ut fra en helsefaglig vurdering som er avgjørende (HOD 2019). Beslutninger på gruppenivå kan ikke overstyre retten til en konkret og individuell vurdering av nødvendige og forsvarlige helsetjenester til den enkelte. Pasienter har et rettskrav på nødvendig helsehjelp dersom vilkårene er oppfylt. Det innebærer at dersom en pasient opplever å få rettigheten krenket, kan vedkommende klage etter reglene i pasient- og brukerrettighetsloven kapittel 7.

«Nødvendig helsehjelp» er en rettslig standard hvor innholdet vil kunne utvikles og endres over tid. Det ligger i stor grad et helsefaglig skjønn i hva som defineres som «nødvendig». Et slikt skjønnsmessig tolkningsrom åpner opp for rettslig og politisk styring. Både politiske mål og økonomiske rammer setter grenser for tilbudet (Aasen 2022).

I spesialisthelsetjenesten er retten til nødvendig helsehjelp presisert gjennom prioriteringsforskriften § 2, hvor det er uttrykt at pasientens rett til helsehjelp er betinget av at pasienten «kan ha forventet nytte av helsehjelpen», og at «den forventede ressursbruken står i et rimelig forhold til den forventede nytten av helsehjelpen», se bokstav a og b. Det følger videre av prioriteringsforskriften § 2 a at helsehjelpens prioritet øker i takt med den forventede nytten og tilstandens alvorlighetsgrad, og at prioriteten øker jo mindre ressurskrevende hjelpen er.

Når det gjelder det forhold at retten til nødvendig helsehjelp er begrenset til tjenester spesialisthelsetjenesten har ansvaret for å yte og finansiere, jf. pasient- og brukerrettighetsloven § 2-1 b andre ledd siste punktum, følger det av lovforarbeidene at tjenester utover dette kan ytes, da «[s]pesialisthelsetjenesten kan tilby pasienten tjenester som går utover nødvendig helsehjelp», men at pasienten i slike tilfeller ikke har et rettskrav på slik helsehjelp (Prop. 55 L (2018–2019), 68). Presiseringen i § 2-1 b andre ledd siste punktum utgjør en tilgjengelighetsbegrensning på individnivå og er kritisert for å kunne komme i konflikt med retten til en konkret individuell vurdering og dermed muligheten til å motta et individuelt helsetilbud (Befring 2022).

Det er fattet et lovvedtak om å endre pasient- og brukerrettighetsloven, og kriteriene i prioriteringsforskriften vil tas inn i lovbestemmelsen. Presiseringen knyttet til hvilke tjenester retten til nødvendig helsehjelp gjelder, videreføres i et eget ledd.<sup>3</sup>

Pasientens rett til behandling i utlandet er begrenset av at vedkommende må ha tilsvarende rett i Norge, se pasient- og brukerrettighetsloven § 2-4 a, EØS-avtalen artikkel 36 og trygdeforordningen artikkel 20. Det innebærer at metoder som det er besluttet ikke å ta i bruk i Norge, har pasienten heller ikke rett på å få dekket i utlandet. Av pasient- og brukerrettighetsloven § 2-4 a kommer det frem flere grunnlag som gir pasienter rett til å få dekket utgifter til helsehjelp i utlandet. Felles for grunnlagene er ifølge bestemmelsens tredje ledd at «utgifter til helsehjelp som er besluttet ikke innført i Norge, jf. spesialisthelsetjenesteloven § 4-4», ikke dekkes. Dette gjelder likevel ikke helsehjelp under midlertidig opphold i andre EØS-land som omfattes av trygdeforordningen.

### 5.5.2 Forsvarlighetskravet

All helsehjelp som ytes av spesialisthelsetjenesten, skal være forsvarlig både i innhold og i organisering, jf. helsepersonelloven §§ 4 og 16 og spesialisthelsetjenesteloven § 2-2. Begrepet «forsvarlig» er en rettslig standard som åpner for innslag av konkrete vurderinger og avveining av ulike hensyn (Aasen og Bahus 2022). Forsvarlighetskravet forstått som en minstestandard er en nedre grense for hva som kan tilbys av helsehjelp uten at den blir uforsvarlig,

<sup>3</sup> Lovvedtak 49 (2022–2023) Lov om endringer i pasient- og brukerrettighetsloven mv. (pasientforløp i spesialisthelsetjenesten). Det er vedtatt en ny § 2-2 i pasient- og brukerrettighetsloven til erstatning for dagens § 2-1b.

jf. Fusa-dommen (Rt-1990-874). Den nedre grensen for forsvarlighetskravet vil også være i bevegelse i lys av ny forskning, nye metoder, tilgjengelige ressurser og den generelle velferdsøkningen.

For pasienten vil forsvarlighetskravet innebære at dersom det bare foreligger en bestemt metode som oppfyller kravet til forsvarlig helsehjelp, så er det i teori og praksis lagt til grunn at pasienten har krav på denne bestemte behandlingen (Syse 2015; Statens helsetilsyn 2019b). Det er argumentert for at dette må gjelde selv om metoden ikke er tilgjengelig (Befring 2022). Det reiser spørsmålet om forsvarlighet kun skal vurderes innenfor rammen av det som er besluttet innført på gruppenivå, og som er tilgjengelig behandling, eller om vurderingen skal gjøres uavhengig av tilgang. Likhetsprinsippet tilsier at vurderingen er begrenset til de tjenestene som spesialisthelsetjenesten har ansvaret for å yte og finansiere. Det er også i samsvar med at metodene som blir vurdert, eller som er vurdert og ikke godkjent, normalt er i sjiktet fra god til best tilgjengelig behandling og dermed godt over det som kreves med hensyn til forsvarlig helsehjelp. Samtidig er det avklart i Fusa-dommen at det ikke kan tilbys helsetjenester under en minstestandard med begrunnelse i økonomi. Samlet tilsier dette at vurderingen av forsvarlighet på individnivå ikke skal begrenses til de tjenestene som er tilgjengelige.

Forsvarlighetskravet må også ses i lys av ressurshensyn, som kan leses ut av blant annet helsepersonelloven § 6, hvor det kommer frem at helsepersonell ikke skal «[påføre] pasient, helseinstitusjon, trygden eller andre unødvendig tidstap eller utgift», og spesialisthelsetjenesteloven § 1-1 og lov 24. juni 2011 nr. 30 om kommunale helse- og omsorgstjenester m.m. (helse- og omsorgstjenesteloven) § 1-1, hvor det kommer frem at et av formålene er at ressursene utnyttes best mulig. Forsvarlighetskravet åpner dermed opp for prioriteringer på både gruppenivå og individnivå så lenge den helsehjelpen som tilbys, er forsvarlig.

## 5.6 Innføring av nye metoder på gruppenivå og tilgang for enkeltpasienter

Forholdet mellom beslutninger om innføring av nye behandlingsmetoder på gruppenivå, og tilgang for enkeltpasienter, handler om balansen mellom individuell rett og konkurrerende hensyn. Det er, slik Gulating lagmannsrett har uttalt med henvisning til lovforarbeidene, store utfordringer «i samvirket mellom en lovbestemt rett til helsehjelp på den ene siden, og medisinsk-faglige, etiske, ressursmessige og andre typer vurderinger på den andre siden» (Gulating 2007, e6).

Pasientens rettskrav på nødvendig helsehjelp er begrenset til nødvendig og forsvarlig helsehjelp, ikke til en bestemt metode. For at metoden skal inngå i pasientens rett til nødvendig helsehjelp, må den være tilgjengelig i spesialisthelsetjenesten, og forsvarlig. Det regionale helseforetaket skal innrette sitt tjenestetilbud i tråd med prioriteringskriteriene, jf.

spesialisthelsetjenesteloven § 2-1 a andre ledd. I tillegg må behandlende helsepersonell vurdere at akkurat denne metoden er rett helsehjelp for pasienten. Det er derfor ikke «automatikk mellom hva som oppfyller prioriteringskriteriene for å ta en metode eller et legemiddel i bruk», og hva den enkelte pasienten har et rettskrav på (Prop. 55 L (2018–2019), 52).

Beslutninger i Nye metoder kan bli innarbeidet i anbefalinger som utgis av Sykehusinnkjøp HF, eller i nasjonale retningslinjer som utarbeides av Helsedirektoratet. Helsepersonell er ikke rettslig bundet av slike anbefalinger eller retningslinjer og står i utgangspunktet fritt til å foreta en konkret individuell vurdering av hvilken behandling pasienten bør tilbys, uavhengig av hva retningslinjene tilsier. Men dersom en annen behandling enn det som følger av retningslinjene velges, bør behandlingen ifølge lovforarbeidene til innføringen av Nye metoder i spesialisthelsetjenesteloven «være basert på en konkret og begrunnet vurdering og dokumenteres i pasientens journal» (Prop. 55 L (2018–2019), 52).

Videre påpekes det i lovforarbeidene at «[d]et er særlig viktig at helsepersonell er bevisst på forholdet mellom beslutninger som fattes i systemet for nye metoder og de individuelle vurderingene de skal gjøre i møte med pasienten», og at «[d]ersom beslutningene i systemet for nye metoder ikke følges når helsepersonellet gjør individuelle vurderinger, så vil beslutningene som blir tatt i realiteten ha liten eller ingen funksjon og det vil kunne gi like pasienter ulik tilgang til behandlingstilbud» (Prop. 55 L (2018–2019), 56). I tillegg kommer presiseringen i pasient- og brukerrettighetsloven § 2-1 b andre ledd om at rettigheten til nødvendig helsehjelp kun «gjelder de tjenester spesialisthelsetjenesten har ansvar for å yte og finansiere». Dette tilsier samlet sett at helsepersonell som hovedregel skal følge de faglige retningslinjene slik at beslutninger i Nye metoder har en tydelig kobling til helsepersonells beslutninger overfor enkeltpasienter.

I utgangspunktet skal Nye metoder fungere slik at det ikke er en spenning mellom generelle beslutninger om metode og individuelle beslutninger om helsehjelp til enkeltpasienter.<sup>4</sup> Av forarbeidene til spesialisthelsetjenesteloven § 4-4 følger det at systemet ikke vil bryte med den individuelle rettigheten til spesialisthelsetjeneste (Prop. 55 L (2018–2019), 52–55). Presiseringen i pasient- og brukerrettighetsloven § 2-1 b andre ledd siste punktum skaper imidlertid en spenning mellom overordnede generelle metodevedtak og individuelle beslutninger om helsehjelp til enkeltpasienter. Det er bare de nevnte tjenestene rettigheten gjelder, og parallelt skal helsepersonell i utgangspunktet følge de faglige retningslinjene i den konkrete individuelle vurderingen for at ikke Nye metoder skal undergraves slik at det skapes ulikhet.

Dersom en aktuell metode er vurdert for dyr på gruppenivå, og derfor ikke tilbys som en del av helsetjenesten, kan nytten for en bestemt pasient, etter en konkret

---

<sup>4</sup> Bakgrunnen for dette er beskrevet i Prop. 55 L (2018–2019), 53–54.



individuell helsefaglig vurdering, likevel tilsi at metoden burde gis i det spesifikke tilfellet. Dersom to behandlingsalternativer er forsvarlige og bare ett av dem er gjort tilgjengelig i spesialisthelsetjenesten, er det denne tilgjengelige metoden som pasienten har et rettskrav på. Behandling med det andre alternativet kan fortsatt ytes, men er ikke noe pasienten har et rettskrav på. Dersom det bare foreligger én bestemt metode som oppfyller kravet til forsvarlig helsehjelp, så har pasienten som nevnt et krav på denne bestemte behandlingen. Hvor ofte denne situasjonen oppstår, er uklart. Det er uttrykt i forarbeidene at det er «ytterst sjelden at det [...] kun [vil være] en type tjeneste eller metode som vil innebære at pasienten får forsvarlig helsehjelp» (Prop. 55 L (2018–2019), 48). I en rapport fra de regionale helseforetakene fremkommer det imidlertid at «[e]rfaring har vist at det ikke er så ytterst sjelden at denne situasjonen oppstår» (RHF-ene 2023a, 18). Det bør avklares nærmere hva som kreves for å kunne konstatere at det kun foreligger ett behandlingsalternativ som er forsvarlig.

I vurderingen av en individuell rett er det den ene pasienten som er i fokus. Rettskildebildet har imidlertid endret seg gjennom at man har tydeliggjort behovene for å prioritere samt å tenke ressursbruk kontra nytte også på individnivå. Den individuelle rettigheten må kunne vurderes i lys av lovens formål om lik tilgang på tjenester og best mulig ressursutnyttelse så lenge det gis tilgang over minstestandarden.

Da helsepersonell ikke er rettslig forpliktet til å følge de nasjonale faglige retningslinjene, vil det at metoden ikke er omtalt i retningslinjene som etablert behandling, ikke være avgjørende dersom helsepersonell mener at metoden er den eneste forsvarlige. Nye metoder har ikke myndighet til å definere hva som er faglig forsvarlig eller ikke for den enkelte pasient, og i sum tilsier dette at pasienten vil kunne ha et rettskrav i slike situasjoner.

Ekspertgruppen viser til at det kommer frem av mandatet at departementet har igangsatt et arbeid med å revidere rundskriv I-4/2019 (HOD 2019), inkludert omtale av spørsmålet om enkeltpasienter etter gjeldende rett har krav på særskilte metoder. Beslutningsforum for nye metoder («Beslutningsforum») beslutter kun hvilke metoder som skal tas i bruk i spesialisthelsetjenesten, ikke hva som er forsvarlig behandling for den enkelte pasient. Pasienter som mener at de ikke har fått oppfylt sin rett til nødvendig og forsvarlig helsehjelp, kan klage til statsforvalteren samt få prøvd spørsmålet for domstolene. I en behandling av klagen vil det tas stilling til om helsehjelpen som pasienten tilbys, oppfyller retten til nødvendig og forsvarlig helsehjelp (Helsetilsynet 2021).

## 6 Systemene for prioritering og beslutninger om tilgang

I Norge er det etablert et nasjonalt system for å prioritere hvilke medisinske metoder eller tiltak som skal innføres i og finansieres av spesialisthelsetjenesten (Nye metoder), jf. spesialisthelsetjenesteloven § 4-4. Det er Beslutningsforum som fatter beslutninger om innføring av ny behandling i spesialisthelsetjenesten. For behandling som ikke styres av spesialisthelsetjenesten, gjelder blåreseptordningen, jf. blåreseptforskriften § 1 b. Nye behandlingsmetoder vurderes for forhåndsgodkjent refusjon (blåreseptforskriften § 2 og legemiddelforskriften kapittel 14) eller individuell stønad (§ 3). Vedtak om forhåndsgodkjent refusjon fattes av Direktoratet for medisinske produkter, mens Helfo behandler søknader om individuell stønad. Gjennom ulike prisreducerende mekanismer, forhandlinger og anbudskonkurranser bidrar systemene til betydelige besparelser. Ifølge Sykehusinnkjøp kan det oppnås 40–50 prosent rabatt gjennom prisforhandlinger og anbud for spesialisthelsetjenesten.

### 6.1 Ordninger for tilgang før markedsføringstillatelse

Pasienter kan få tilgang til eksperimentell eller utprøvende behandling gjennom kliniske studier eller enkeltvis. Kliniske studier kan være industrifinansierte eller forskerinitierte. Det har vært en helsepolitisk målsetting å øke antallet pasienter som gis mulighet til å delta i kliniske studier, da det anses som ønskelig at utprøvende behandling skjer innenfor rammen av kliniske studier, jf. *Nasjonal handlingsplan for kliniske studier 2021–2025* (HOD 2021b).

I fasen frem til legemiddelet får markedsføringstillatelse, vil legemiddelet kunne tilbys i programmer for tidlig tilgang. Direktoratet for medisinske produkter vurderer og eventuelt godkjenner søknader om klinisk utprøving, godkjenningssfritak (*compassionate use named patient*) og etablering av *compassionate use program* (CUP). Rekvirent kan søke om *godkjenningssfritak* for bruk i praksis. Det skilles mellom *compassionate use-programmer* (CUP) (hvor den som har søkt markedsføringstillatelse kan benytte ordningen for å gjøre legemidler uten markedsføringstillatelse tilgjengelig for en gruppe pasienter) og *compassionate use named patient* (søknad fra lege til Direktoratet for medisinske produkter om rekvirering på godkjenningssfritak til enkeltpasient eller til bruk

ved institusjon). Produsenten av det aktuelle legemiddelet kan søke om slik godkjenning. Følgende forutsetninger må være oppfylt:

- Bruken av legemiddelet i programmet gjelder kun for pasienter med kroniske, livstruende, langvarige eller alvorlig invalidiserende sykdommer.
- Bruken av legemiddelet i programmet gjelder kun pasienter som ikke kan inkluderes i eventuelle pågående studier og som ikke har nytte av behandling med legemidler som har markedsføringstillatelse.
- Det finnes tilstrekkelig dokumentasjonen på at legemiddelets effekt og sikkerhet der nytte-risikoforholdet anses som overveiende positivt for den aktuelle pasientgruppen.
- Søker skal ha sendt inn søknad om markedsføringstillatelse og/eller ha pågående kliniske studier på det aktuelle produktet (Statens legemiddelverk 2023c).

Legemidlene som gis gjennom CUP, skal være gratis for pasienten. Nye pasienter kan inkluderes frem til legemiddelet har fått fastsatt maksimalpris og er kommersielt tilgjengelig i Norge. Slike ordninger for tidlig tilgang vil være tidsbegrensede og er som regel begrenset i omfang. I Norge har de regionale helseforetakene utarbeidet et eget rammeverk for tidlig tilgang til metoder uten markedsføringstillatelse, hvor legemiddelindustrien må inngå en standardavtale med spesialisthelsetjenesten. Det finnes to standardavtaler, en for pasienter med kort forventet behandlingsvarighet (mindre enn seks måneder) og en avtale for de som ikke omfattes av denne.

## 6.2 Regulatoriske forhold og metodevurderinger

Nye behandlingsmetoder er gjenstand for regulatoriske prosesser og beslutninger. Når det gjelder legemidler, medregnet vaksiner, er markedsføringstillatelse sentralt. Markedsføringstillatelse gis av Direktoratet for medisinske produkter etter søknad fra legemiddelprodusenten. I søknaden må produsenten legge ved dokumentasjon for legemiddelets kvalitet, sikkerhet og effekt. For at legemiddelet skal oppnå markedsføringstillatelse, må dokumentasjonen vise at legemiddelet har et positivt nytte-/risikoforhold ved bruk. Søknaden kan utredes nasjonalt eller i et samarbeid mellom legemiddelmyndighetene i EØS-området.<sup>5</sup> Markedsføringstillatelse gir produsenten rett til å markedsføre legemiddelet i samsvar med godkjenningen, herunder godkjent pakning, pakningsvedlegg og preparatomtale (SPC). All reklame for legemidler må være i samsvar med godkjent preparatomtale.

Når det gjelder medisinsk utstyr, er det produsentens ansvar å påse at produktet er i samsvar med regulatoriske krav. Hvis en vare er påført *CE-merket* (CE står for *Conformité Européenne*), er det en erklæring fra produsenten om at varen er i samsvar med kravene i regelverket, og det legger til rette for fri markedsadgang i hele EU/EØS-området, jf. lov 7. mai. 2020 nr. 37 om medisinsk utstyr § 1 som bestemmer at forordning (EU) 2017/745 om medisinsk utstyr og forordning (EU) 2017/746 om in vitro-diagnostisk medisinsk utstyr gjelder som norsk lov.

<sup>5</sup> Se omtale i Prop. 102 LS (2021–2022) kapittel 12 og 13.

Medisinsk utstyr deles inn i fire risikoklasser – I, IIa, IIb og III – hvor klasse I har lavest risiko og klasse III høyest. For enkelte produkter i klasse I, og samtlige produkter i de øvrige klassene, kreves det at et teknisk kontrollorgan vurderer om kravene til den enkelte klassen er oppfylt.

Markedsføringstillatelse eller CE-merking innebærer ikke at legemiddelet eller det medisinske utstyret formelt er innført for bruk finansiert av den offentlige helsetjenesten. Ulike land og forsikringssystemer har etablert egne prosesser for å vurdere om ny behandling kan og skal tas i bruk, hvor man blant annet vurderer om behandlingen er kostnadseffektiv når man sammenlikner med annen behandling. Behandlingen kan gjøres til gjenstand for en metodevurdering (*health technology assessment* (HTA)), som inngår i beslutningsgrunnlaget når det tas stilling til om behandlingen oppfyller prioriteringskriteriene som gjelder for innføring i helsetjenesten. Metodevurderingene kan ha ulikt omfang avhengig av hvor mange aspekter som blir gjenstand for vurdering. Direktoratet for medisinske produkter og Folkehelseinstituttet har etablert ulike «løp» avhengig av hva som ønskes vurdert i metodevurderingen.

### 6.3 Ordninger for tilgang i Nye metoder

Gjennom Nye metoder fatter man beslutninger om hvorvidt nye metoder innføres eller ikke i spesialisthelsetjenesten. En prioriteringsbeslutning om at metoden innføres, innebærer at alle pasienter i Norge som oppfyller vilkårene for bruk, kan få tilgang til den aktuelle metoden. Nye metoder bidrar til likeverdig tilgang, uavhengig av bosted og andre forhold.

Som hovedregel skal metoder som ikke er innført, ikke benyttes. I Nye metoder eksisterer det unntaksordninger både på individ- og gruppenivå som er tilgjengelige i perioden metoden er *under vurdering*, og frem til beslutning om innføring i spesialisthelsetjenesten er tatt på hovedgruppenivå. Mens metodevurderingen pågår, vil enkeltpasienter ha anledning til å søke *individuelle unntak*. Det er fagdirektøren i helseforetaket/sykehuset som fatter slike beslutninger, etter søknad fra den behandlende legen. Fagdirektørene i de regionale helseforetakene kan gi et *gruppeunntak*, noe som innebærer at samtlige pasienter som oppfyller gitte kriterier, vil kunne få tilgang til behandling i påvente av beslutning fra Beslutningsforum. Hvis det foreligger en beslutning om at en metode ikke skal innføres, inngår ikke metoden i det som tilbys i spesialisthelsetjenesten, og det er i en slik situasjon ikke åpnet for unntak.

Følgende kriterier gjelder for unntaksordningen på individnivå:

1. Legemiddelet har markedsføringstillatelse i Norge for aktuell indikasjon.
2. Etablert behandling skal være kontraindisert, eller forsøkt og ikke tolerert på grunn av bivirkninger. Manglende effekt av etablert behandling er ikke et kriterium for å innvilge unntak.
3. Det er grunn til å tro med bakgrunn i forelagt dokumentasjon, at effekt av behandling vil være vesentlig større enn for gruppen som helhet. Dette gjelder uavhengig av pasientgruppens størrelse (RHF-ene 2023b, 2).

Gruppeunntak vil i hovedsak være aktuelt gjennom følgende kriterier:

1. En metode som allerede er tatt i bruk meldes inn for vurdering i Nye metoder, og det er ikke ønskelig at bruken skal avsluttes mens vurderingen foregår og Beslutningsforum behandler saken.
2. En metode oppfattes som så lovende når det gjelder kost-nytteeffekt at det ikke er ønskelig å avvente bruk til vurderingen er ferdig og Beslutningsforum har behandlet saken (RHF-ene 2023b, 2).

Vurdering av unntak gjøres i begge ordningene før behandlingen starter, og må nødvendigvis ta utgangspunkt i dokumentasjonen som foreligger på det aktuelle tidspunktet. Undergruppeanalyser fra de kliniske studiene som gruppebeslutningen baseres på, vil som regel gi det best tilgjengelige og objektive grunnlaget for å vurdere om det kan være vesentlig større nytte av behandlingen for en gitt pasient i en gitt undergruppe. For nye legemidler som er under vurdering i Nye metoder, vil legemiddelkostnaden erfaringsmessig være høyere enn etter at prisforhandlinger er gjennomført og en eventuell godkjenning i Beslutningsforum foreligger. Det skyldes at legemidlene i denne fasen kjøpes inn uten fremforhandlede rabatter. Følgelig vil ressursbruken per pasient ved behandling gjennom unntaksordningen i Nye metoder være større enn ved senere bruk, etter godkjenning i Beslutningsforum. Man kan heller ikke utelukke at unntaksordninger kan svekke helseforetakenes forhandlingsposisjon i de etterfølgende prisforhandlingene, da etablert bruk gjennom unntaksordninger kan svekke insentivene for å gi rabatter. Dette kan gi høye priser på gruppenivå for alle pasienter som er aktuelle for behandlingen. Dette kan igjen redusere muligheten for å oppnå godkjenning i Beslutningsforum og dermed gi redusert tilgang til legemiddelet. De rettslige og praktiske konsekvensene av dette må drøftes. Tilgang for en eller noen få pasienter kan bety at prisen blir for høy til at metoden kan godkjennes på nasjonalt nivå. Den individuelle tilgangen for de få vil da kunne redusere tilgangen for de mange.

Nye metoder har lenge vært et sentralt virkemiddel for prioritering av metodene som innføres i den norske spesialisthelsetjenesten. Gjennom Nye metoder skal man sikre en rettferdig offentlig tilgang til behandling i befolkningen. Proba samfunnsanalyse publiserte som nevnt sin evaluering av Nye metoder i 2021, og evalueringsrapporten inneholdt flere kritiske bemerkninger. Det ble blant annet påpekt at unntaksordningen ble praktisert ulikt i henholdsvis helseforetakene og sykehusene, og at Nye metoder manglet kapasitet for raske metodevurderinger (Proba 2021).

I 2023 gjorde de regionale helseforetakene en gjennomgang av unntaksordningene i Nye metoder og konkluderte med at det fortsatt ikke bør åpnes for unntak *etter* en nei-beslutning i Beslutningsforum. Hovedbegrunnelsen var at dette ikke vil være en behandling som inngår i spesialisthelsetjenesten, og at det å åpne for slike unntak vil undergrave beslutningene som fattes av Beslutningsforum. De regionale helseforetakene har pekt på at det i stedet må legges mer arbeid i å identifisere undergrupper (blant annet variasjoner i effekt/ nytte og alvorlighetsgrad) i arbeidet med metodevurderingene. Rapporten fra de

regionale helseforetakene foreslår også tiltak som kan bidra til en harmonisering av hvordan unntaksordningene blir praktisert i de ulike helseforetakene.

### 6.3.1 Forvaltningspraksis i klagesaker

Statsforvalterne og Statens helsetilsyn er tilsynsmyndigheter for den offentlige helse- og omsorgstjenesten. De har ingen formell rolle i prioriteringshierarkiet, men ved å føre tilsyn med hvordan helsetjenestene yter helsehjelp, skaffer tilsynsmyndighetene imidlertid et kunnskapsgrunnlag som kan brukes av sentrale myndigheter i forbindelse med prioriteringer. Statsforvalterne fungerer dessuten som sikkerhetsventil ved å være klageinstans (helseforetakene er underinstans) i klager som gjelder individuelle pasientrettigheter.

Siden Nye metoder ble etablert, har helseforetakene og statsforvalterne behandlet flere titalls klagesaker. Klagesakene gjelder både metoder som ikke er meldt inn til vurdering, metoder som er under vurdering, og metoder som har fått avslag i Beslutningsforum. Det finnes ingen systematisk oversikt over antallet klager som kommer inn til helseforetakene og statsforvalterne, tiden klagebehandlingen tar, og utfallet av klagesakene. Grunnen til fraværet av en slik oversikt synes å ligge i måten informasjon om saker blir registrert, hvor særlig hensynet til personvern kan være en begrensende faktor. Det kan ta mange måneder før en rettighetsklage er ferdigbehandlet i alle instanser. Flere enkeltsaker har blitt omtalt i mediene, og enkelte saker har hatt påvirkning på forvaltningspraksis. Særlig to saker har hatt stor innvirkning på klagebehandlingen i helseforetakene og hos statsforvalterne. Begge sakene har blitt gjennomgått av Statens helsetilsyn i sin funksjon som overordnet faglig myndighet for statsforvalterne (Helsetilsynet 2019a). Gjennomgangen ble etterfulgt av en diskusjon om instruksjonsmulighet i rettighetsklager (Syse 2021). Disse to sakene omtales under kapittel 6.3.2 og 6.3.3.

### 6.3.2 Privatfinansiert helsehjelp

I 2019 behandlet Statens helsetilsyn en klage fra en pasient som fikk avslag på søknad om videreføring av immunterapi mot en kreftsykdom. Standardbehandling var gitt av den offentlige helsetjenesten, men hadde ikke lenger ønsket effekt. Legemiddelet var til vurdering i Nye metoder på det aktuelle tidspunktet og hadde ikke markedsføringstillatelse i Norge for pasientens kreftlidelse. En pågående studie av effekten av legemiddelet for pasientens diagnose var lukket og tok ikke inn flere deltakere. Behandling ble påbegynt ved et privat sykehus og betalt av pasienten. Flere eksperter bekreftet svært god effekt av immunterapi hos den aktuelle pasienten. Verken sykehuset eller Statsforvalteren (da Fylkesmannen) mente det var riktig å ta i betraktning de nye opplysningene, og begrunnet dette i et likebehandlingsprinsipp. Helsetilsynet kom frem til at det å avbryte den pågående behandlingen med immunterapi med stor sannsynlighet ville føre til tilbakefall av en livstruende sykdom. Det ble påpekt at informasjon som kom frem som følge av behandling i den private helsetjenesten, burde ha blitt tatt hensyn til og vektlagt av helseforetaket i vurderingen av forsvarlighet. Beslutningen til helseforetaket

om å ikke videreføre den påbegynte private behandlingen i det offentlige, uten å tilby annen behandling som pasienten kunne ha forventet nytte av, ble opphevet. Helsetilsynet påpekte at det var en konkret vurdering av en individuell pasient. Helseforetaket tilbød heretter den aktuelle immunterapien som ledd i behandlingen.

Et sentralt spørsmål som ble drøftet i ettertid, var om det bryter med prinsippet om likeverdig behandling å legge vekt på individuelt fremskaffet dokumentasjon fra behandling utenfor den offentlige helse- og omsorgstjenesten når ikke alle pasienter har mulighet å skaffe slik informasjon. Statsforvalteren (da Fylkesmannen) viste til et høringsnotat av 15. juni 2018 fra Helse- og omsorgsdepartementet. Her påpeker departementet at hvis pasienter med samme behov, men med ulik evne til å kjøpe legemidler privat, skal få ulik tilgang til behandling i den offentlig finansierte helsetjenesten, vil det bryte med prinsippet om likeverdig tilgang og føre til en gradvis uthuling av et universelt utformet helsevesen. Helsetilsynet vurderte det slik at

[...] likhetsprinsippet [ikke] blir brutt ved at [en pasient] tilbys behandling, da alle pasienter har rett på en individuell vurdering, og [pasienten] har fremlagt dokumentasjon for at [pasienten] er i en liten gruppe av pasienter som skiller seg ut, og som har stor effekt av behandlingen (Helsetilsynet 2019b, 6).

Helsetilsynet vurderte at dokumentasjonen var omfattende og entydig.

Helse- og omsorgsdepartementet sendte i november 2019 ut rundskriv I-4/2019 med nye retningslinjer for å klargjøre at pasienter har rett på en individuell vurdering, men ikke rett på utprøvende behandling. I rundskrivet tydeliggjøres at all tilgjengelig helsefaglig relevant dokumentasjon skal legges til grunn ved vurderingen av en persons rett til behandling i den offentlige helse- og omsorgstjenesten, uavhengig av hvor dokumentasjonen er hentet fra (HOD 2019). Dokumentasjonen gir imidlertid ikke automatisk rett til en bestemt behandling i den offentlige spesialisthelsetjenesten. Den endrer ikke på at det er behandlende lege som skal avgjøre hvilken vekt ulik informasjon får. Behandlende lege tar avgjørelsen om hvilken behandling som så tilbys til den individuelle pasienten.

### 6.3.3 Statsforvalterens myndighet

Helsetilsynet svarte den 3. mars 2021 på spørsmål fra Statsforvalteren i Oslo og Viken om statsforvalterens myndighet ved klage over avslag på behandling etter at Nye metoder ble lovfestet 1. januar 2020. Spørsmålet gjaldt situasjoner hvor Beslutningsforum har sagt nei til å innføre en behandlingsmetode, eller hvor metoden ennå ikke har vært til vurdering der. Helsetilsynet viste til forarbeidene til lovendringen, Prop. 55 L (2018–2019), og konkluderte med at statsforvalterne i rettighetsklager må ta stilling til om pasienten etter en individuell vurdering får sin rett til nødvendige og forsvarlige helsetjenester oppfylt med den behandlingen som tilbys av helsetjenesten. Videre skal statsforvalterne vurdere om saksbehandlingen i helsetjenesten var riktig, og om beslutningen bygger på riktig lovanvendelse. Som nevnt under kapittel 5.6 kan pasienter få prøvd sine

rettigheter i domstolene. Verken statsforvalterne eller domstolene skal ta stilling til om en ny metode skal gjøres tilgjengelig i spesialisthelsetjenesten.

I oktober 2021 ble problemstillingen ovenfor aktualisert. Statens helsetilsyn mottok en henvendelse fra Helse Sør-Øst RHF som gjaldt de prinsipielle sidene av et vedtak som Statsforvalteren i Agder hadde fattet i en rettighetsklage. Saken gjaldt et legemiddel som hadde fått avslag i Beslutningsforum, det vil si at legemiddelet ikke var å anse som etablert standardbehandling i den offentlige helse- og omsorgstjenesten. Det var gitt markedsføringstillatelse i Norge for det aktuelle bruksområdet. Statsforvalteren i Agder opphevet i sitt vedtak helseforetakets avslag. Helsetilsynet overprøvde vedtaket til Statsforvalteren med hjemmel i forvaltningsloven § 35 og tolket det slik at lovforarbeidene til pasient- og brukerrettighetsloven § 2-1 b og spesialisthelsetjenesteloven § 4-4 setter noen skranker for statsforvalterens og Helsetilsynets handlingsrom i klagesaker, jf. Prop. 55 L (2018–2019) kapittel 9. Helsetilsynet viste i sin konklusjon til rundskriv I-4/2019 og påpekte at statsforvalteren «må ta utgangspunkt i de rammene som settes av beslutningsforum på gruppenivå» (Helsetilsynet 2021, 7). Helsetilsynet mente det var feil bruk av pasient- og brukerrettighetsloven § 2-1 b, sammenholdt med spesialisthelsetjenesteloven § 4-4, når Statsforvalteren ikke tok hensyn til at pasientens forventede nytte ikke avvek fra gruppen som helhet som Beslutningsforum hadde vurdert. Videre mente Helsetilsynet at etablert behandling i stor grad blir definert av avgjørelser tatt av Beslutningsforum. Helsetilsynet fant at vedtaket til Statsforvalteren lå utenfor den kompetansen som er lagt til statsforvalterne og Statens helsetilsyn.

## 6.4 Blåreseptordningen

I over 100 år har den norske folketrygden hatt ulike stønadsordninger for legemidler. Slik stønad ble innført ved lov om sykeforsikring av 1909 og gjaldt den gang for behandling av yrkesskade hos de lavest lønnede arbeidstakerne. Generelle regler om pliktmessig tilskudd til legemidler (også utenfor yrkesskadeområdet) ble innført ved lovendring i syketrygdloven i 1953. Behovet for å sikre at de økonomiske konsekvensene for folketrygden ikke skulle bli uoverkommelige, gjorde at det i starten bare skulle ytes stønad til livsviktige og kostbare legemidler til 35 nærmere angitte kroniske sykdommer. I 1960 ble diagnoselisten begrenset til kun å omfatte 24 alvorlige sykdommer som krevde livsvarig eller relativt langvarig behandling med legemidler, mens det for en rekke sjeldne, kroniske lidelser kunne ytes godtgjørelse for kostbare legemidler etter individuell søknad til Rikstrygdeverket eller vedkommende trygdekasse (NOU 1997: 7). Sykdomslisten eksisterte frem til 3. mars 2008, da den ble erstattet av en refusjonsliste. Direktoratet for medisinske produkter utarbeider refusjonslisten som blant annet beskriver refusjonsberettiget bruk for det enkelte legemiddelet, refusjonskoder basert på diagnosekodene i ICD og ICPC, og refusjonsberettigede pakninger med tilhørende spesifikke vilkår for refusjon.



Fra 1. januar 2018 har prioriteringskriteriene vært gjeldende for godkjenning av legemidler til forhåndsgodkjent refusjon, jf. legemiddelforskriften § 14-5.

Refusjon under blåreseptordningen forutsetter at legemidlene er vurdert å være kostnadseffektive. Der legemiddelets maksimalpris er for høy til at prioriteringskriteriene er oppfylt, kan det fastsettes en lavere refusjonspris. Det kan også inngås refusjonskontrakter. Ved høye rabatter vil enhetsprisen kunne være taushetsbelagt i samsvar med taushetspliktsbestemmelsene i lov 4. desember 1992 nr. 132 om legemidler m.v. (legemiddeloven) § 30 og forvaltningsloven § 13. Det er også gjennomført en anbudspilot i blåreseptordningen for PCSK-9-hemmere til behandling av familiær hyperkolesterolemi. Her var fullmaktsgrensen på 100 millioner kroner til hinder for at legemidlene kunne tilbys en større pasientgruppe. Anbudspiloten ga rabatter som medførte at PCSK-9-hemmere fra 1. januar 2023 kunne tilbys til en utvidet pasientgruppe. Stortinget har i behandlingen av statsbudsjettet for 2024 besluttet at anbud på blåresept skal innføres som en permanent ordning.

Blåreseptordningen gjelder i hovedsak behandling som initieres og følges opp av fastlege og den kommunale helse- og omsorgstjenesten. Behandling hvor bruksområdet er innenfor spesialisthelsetjenestens ansvar, dekkes innenfor rammen av de regionale helseforetakenes budsjetter, eventuelt som H-resept, forutsatt at legemidlet er besluttet tatt i bruk, jf. folketrygdloven § 5-1 tredje ledd og blåreseptforskriften § 1b annet ledd.

#### 6.4.1 Individuell stønad

Det er gjort rede for utviklingen av ordningen med individuell stønad i Meld. St. 34 (2015–2016):

Denne bestemmelsen er videreført i dagens blåreseptforskrift § 3 første ledd bokstav b. Selv om det har vært langvarig praksis for å yte individuell stønad ved sjeldne sykdommer, er dette først og fremst av praktiske og historiske årsaker, og ikke et uttrykk for at sjeldne tilstander skal ha særskilt prioritet. I 1966 ble muligheten for individuell stønad utvidet til også å omfatte legemidler som ikke var ført opp i preparatlisten ved en av diagnosene i diagnoselisten. Dette tilsvarer dagens blåreseptforskrift § 3 første ledd bokstav a. Det har skjedd store endringer i regelverket for forhåndsgodkjent refusjon siden 1960-tallet, med krav om metodevurderinger og krav basert på de tre prioriteringskriteriene. Disse endringene har imidlertid ikke blitt gjenspeilet i den individuelle stønadsordningen (Meld. St. 34 (2015–2016), boks 11.3, 143).

Videre pekte regjeringen på svakheter i ordningen for individuell stønad:

- Når det ikke gjøres metodevurderinger er det vanskelig å vite om kvaliteten ved legemiddelbehandlingen er tilstrekkelig god, vurdert både i forhold til ressursbruken og annen behandling.
- Innretningen av ordningene gjør at tilfeldigheter kan avgjøre hvilke legemidler som kan dekkes for ulike pasienter. Det blir vanskelig å forene med målet om likeverdig tilgang til legemidler.
- Når verken kostnadseffektivitet eller alvorlighet vurderes, finnes det ikke noe grunnlag for å vurdere om prisnivået er rimelig. Det kan undergrave statens forhandlingsposisjon overfor legemiddelindustrien og bidra til urimelig høye priser (Meld. St. 34 (2015–2016), kapittel 11.3, 148).

Regjeringen foreslo følgende:

Videreføre dagens ordning med individuell stønad for legemidler som allerede finansieres over denne ordningen, men med enkelte justeringer basert på de foreslåtte prinsippene for prioritering. Alvorlighet innføres som et grunnvilkår, og det vil ikke lenger gis stønad på bakgrunn av at en sykdom er sjelden. Det kan i tillegg være aktuelt å gjennomføre metodevurdering av enkelte legemidler som i dag finansieres over individuell stønad. Alle pasienter som har gyldig vedtak, vil fortsatt kunne få stønad uavhengig av de foreslåtte endringene (Meld. St. 34 (2015–2016), kapittel 11.7, 157).

Stortinget sluttet seg til forslagene, jf. Innst. 57 S (2016–2017):

Komiteens flertall, medlemmene fra Arbeiderpartiet, Høyre og Fremskrittspartiet, støtter forslagene til endringer i ordningen med individuell stønad. Flertallet viser samtidig til at det kan finnes pasienter som skiller seg klart ut fra flertallet med samme diagnose når det bl.a. gjelder hvordan sykdommen utvikler seg, og respons på behandling. Selv om en metodevurdering indikerer at det ikke er aktuelt å gi refusjon for hele den aktuelle pasientgruppen, støtter flertallet forslaget i meldingen om at det i noen tilfeller kan settes vilkår om at stønad ytes etter søknad for den enkelte pasient. Prioriteringskriteriene kan i særskilte tilfeller være oppfylt på individnivå selv om de ikke er det på gruppenivå. Flertallet vil derfor understreke at intensjonen bak ordningen med individuell stønad må ivaretas i det oppfølgende forskriftsarbeidet etter Stortingets behandling av meldingen (Innst. 57 S (2016–2017), 22).

#### 6.4.2 Gjeldende rett for individuell stønad

Som en oppfølging av Meld. St. 34 (2015–2016) ble det i 2018 gjennomført endringer i blåreseptforskriften, hvor de tre prioriteringskriteriene – *nytte, ressursbruk og alvorlighet* – ble gjort gjeldende for individuell stønad, jf. blåreseptforskriften § 3. I praksis innebærer denne endringen at man må dokumentere om ressursbruken står i et rimelig forhold til nytten av legemiddelet når man tar hensyn til tilstandens alvorlighetsgrad. Alt annet likt vil man ved en høy alvorlighetsgrad akseptere høyere kostnad for et legemiddel enn ved en lav alvorlighetsgrad. Et annet trekk ved gjeldende rett er at det må foreligge tungtveiende medisinske hensyn for å yte individuell stønad i tilfeller hvor det finnes relevante forhåndsgodkjente legemidler for den aktuelle sykdommen. Fra og med 2018 er det dessuten kommet krav om at det skal være gjennomført metodevurderinger for alle legemidler og indikasjonsutvidelser hvor det er søkt om eller innvilget markedsføringstillatelse, og det kan ikke søkes om individuell stønad før metodevurdering er gjennomført.

Rekvirent kan søke individuell stønad for legemidler brukt utenfor godkjent bruksområde eller for uregistrerte legemidler, forutsatt at legemiddelet har en godt dokumentert og klinisk relevant virkning for den aktuelle sykdommen. Finnes det relevante legemidler med markedsføringstillatelse, må det imidlertid foreligge tungtveiende medisinske hensyn for å yte individuell stønad for slik *off label-* og *off licence-*bruk.

For legemidler som er metodevurdert, og hvor det er fattet nei-vedtak om forhåndsgodkjent refusjon etter blåreseptforskriften § 2 fordi de tre prioriteringskriteriene ikke oppfylles på gruppenivå, kan det likevel ytes

individuell stønad for pasienter som skiller seg klart fra gruppen ellers. Dette refererer Helsedirektoratet til som «unntaksordningen». Søknad om individuell stønad fremmes av lege på vegne av pasienten. Legen må da dokumentere at vilkårene for individuell stønad er oppfylt. Helfo er saksbehandler og må i sin tur vurdere om vilkårene er oppfylt.

I forbindelse med dette ekspertoppdraget ble Helsedirektoratet forespurt om å gi en oversikt over individuell stønad etter blåreseptforskriften. Helsedirektoratet fikk blant annet i oppdrag å belyse hvordan ordningen for individuell stønad etter blåreseptforskriften § 3 fungerer, redegjøre for beslutningsgrunnlaget for dagens ordning og utfordringer ved den og gi forslag til forbedringer. I tillegg forespurte Ekspertgruppen om Helsedirektoratet kunne lage en oversikt over de største legemidlene målt i refusjonsbeløp i perioden 2018–2023.

Ordningen med individuell stønad til legemidler blir i hovedsak vurdert etter forhåndsdefinerte kriterier på gruppenivå, snarere enn på individnivå. Videre kan man skille mellom legemidler som er metodevurdert på gruppenivå, og legemidler som ikke er metodevurdert på gruppenivå. Sistnevnte er legemidler som fikk markedsføringstillatelse før 2018, samt legemidler som brukes off-label og off-licence. Legemidler som ikke er metodevurdert på gruppenivå, utgjør hoveddelen av søknadene om individuell stønad (Helsedirektoratet 2023c). For legemidler og bruksområder som ikke er metodevurdert, kompenserer Helfo med å gjøre en svært forenklet (metode)vurdering av de tre prioriteringskriteriene – nytte, ressursbruk, og alvorlighet – på gruppenivå. Helfo vurderer her nytten ut fra informasjon i tilgjengelige publiserte vitenskapelige artikler. Ressursbruken vurderes ut fra legemiddelkostnaden i normaldosering per år/behandling. Alvorlighetsgraden vurderer Helfo ut fra en skjønnsmessig medisinsk vurdering av den generelle alvorligheten av tilstanden.

### **6.4.3 Erfaringer med individuell stønad § 3**

I 2023 har det vært en vesentlig økning i antallet søknader om individuell stønad § 3 etter nei-vedtak i § 2 (unntaksordningen), i særdeleshet etter avslag fra daværende Statens legemiddelverk (fra 1. januar 2024 Direktoratet for medisinske produkter) om forhåndsgodkjent refusjon for to fedmelegemidler. Helfo har i det siste halvåret av 2023 mottatt nærmere 1500 søknader om individuell stønad til fedmebehandling etter blåreseptforskriften § 3, hvorav kun seks prosent ble innvilget.

Ifølge Helsedirektoratet er unntaksordningen for individuell stønad vanskelig å håndtere for både lege (søker) og Helfo (søknadsbehandler), og det er ikke mulig å fastsette detaljerte forhåndsdefinerte kriterier for individuell stønad (se Helsedirektoratet 2023c). Videre har legene og Helfo utilstrekkelig kompetanse i både helseøkonomisk metodevurdering og vurdering av de tre prioriteringskriteriene. I prinsippet om likebehandling heter det at «like tilfeller skal behandles likt, og ulike tilfeller skal behandles ulikt». Helsedirektoratet uttrykker bekymring for at dette prinsippet om likebehandling ikke blir tilstrekkelig ivaretatt ved vurdering av individuell stønad.

For å forbedre ordningen med individuell stønad i fremtiden, foreslår Helsedirektoratet at man vurderer å opprette en egen instans som håndterer søknader om individuell stønad, uavhengig av finansieringsordning. På denne måten tilrettelegger man for at de som skal vurdere søknader etter unntaksordninger, har rett kompetanse og best mulig innsikt i beslutningsgrunnlaget. Videre foreslår Helsedirektoratet at det lages opplysningsmateriell om metodevurderinger og de tre prioriteringskriteriene, som kan være til hjelp for legene når de skal søke om individuell stønad. I tillegg anbefaler Helsedirektoratet at det blir laget en oppsummering av metodevurderinger med nei-vedtak etter § 2, med informasjon som er relevant ved vurdering av individuell stønad etter § 3 (unntaksordningen).

Når det gjelder metodevurdering av legemidler i blåreseptordningen hvor det fattes avslag om forhåndsgodkjent refusjon for en indikasjon, foreslår Helsedirektoratet at det bør kartlegges om det finnes definerte undergrupper som likevel kan oppfylle prioriteringskriteriene, og eventuelt gjennomføre metodevurderinger av disse legemidlene brukt på den definerte undergruppen. Direktoratet for medisinske produkter har hjemmel til å gjøre metodevurderinger for undergrupper i blåreseptordningen, men Helsedirektoratet erfarer at det i begrenset grad gjøres, spesielt ikke for små pasientpopulasjoner.

Dagens metodevurderinger for legemidler i blåreseptordningen baserer seg i stor grad på hvilken dokumentasjon innehaveren av markedsføringstillatelsen sender inn til Direktoratet for medisinske produkter. Innehaveren av markedsføringstillatelsen har dermed stor innflytelse på hvilke bruksområder som blir metodevurdert. For annen bruk (med markedsføringstillatelse) av slike legemidler, som ikke blir metodevurdert, ytes det ingen stønad etter § 3. Helsedirektoratet peker på at dette kan frata pasienter muligheten for tilgang til kostnadseffektive legemidler. Ekspertgruppen vil peke på at Direktoratet for medisinske produkter i samsvar med legemiddelforskriften § 14-4 femte ledd i særlige tilfeller kan metodevurdere et legemiddel uten at det er sendt inn opplysninger av markedsføringstillatelsens innehaver.

Nasjonalt klageorgan for helsetjenesten (Helseklage) behandler hvert år flere hundre klager på vedtak som Helfo fatter. Avgjørelser fra Sivilombudet og tilbakemeldinger fra Helseklage har ført til endringer i forvaltningspraksis (Helsedirektoratet 2023c).

## 7 Vurderinger og anbefalinger

Den ovenstående delen av rapporten er å anse som en utredning av dagens situasjon og, i forlengelsen av dette, hva Ekspertgruppen vurderer vil skje om vi *ikke* iverksetter alternative tiltak. Hittil har utredningen foretatt medisinske, helseøkonomiske, juridiske og organisatoriske betraktninger for seg. I de videre vurderingene og anbefalingene inntar Ekspertgruppen et helhetlig perspektiv.

### 7.1 Nullalternativet

Nullalternativet innebærer å vurdere om Nye metoder og blåreseptordningen med tilhørende unntaksordninger bør fortsette uten endringer. Begge systemene bidrar til ressursbesparelser på utgifter knyttet til legemidler og andre metoder, som i sin tur muliggjør en større tilgang til effektive metoder i den offentlige helse- og omsorgstjenesten. I tillegg bidrar de to systemene til praktisering av likebehandlingsprinsippet og til åpenhet og forutsigbarhet i prosessen frem mot en endelig beslutning om offentlig tilgang til metoder. Nye metoder har blitt kritisert for å ha lang saksbehandlingstid. Det har også vært satt søkelys på enkeltsaker i mediene som følge av at det normalt ikke er mulig å søke unntak mens revurdering pågår, eller etter en nei-beslutning i Beslutningsforum. En opplevd urettferdighet kan bidra til å svekke tilliten og legitimiteten til systemet. Ekspertgruppen vurderer at det samlet sett er tunge hensyn som taler for å opprettholde de eksisterende systemene for tilgang og prioritering, men at det vil være hensiktsmessig å videreutvikle dem.

### 7.2 Sentrale spørsmål

Det er et overordnet helsepolitisk mål å legge til rette for best mulig nasjonal tilgang til effektive metoder. I tråd med mandatet vurderer Ekspertgruppen at følgende spørsmål er særlig sentrale i den videre drøftingen:

- Hvilke problemstillinger oppstår i forholdet mellom gruppebaserte prioriteringsbeslutninger og beslutninger om enkeltindividers tilgang til metoder?
- Hvordan påvirker den medisinsk-teknologiske utviklingen i persontilpasset medisin forholdet mellom gruppe- og individbaserte beslutninger, med henblikk på usikkerhet i beslutningsgrunnlaget og forholdet mellom etablert og utprøvende behandling?
- Bør man opprette en ordning hvor man kan søke om at et enkeltindivid får tilgang til en metode, når Beslutningsforum har besluttet at metoden ikke

skal innføres? Hvis ja, hva slags kunnskapsgrunnlag bør ligge til grunn for vurderingen?

- Hvilke problemstillinger aktualiseres når en pasient har mottatt privatfinansiert behandling utenfor den offentlige helse- og omsorgstjenesten med en metode som ikke er innført?
- Hvilke tiltak kan bidra til å understøtte individuelle vurderinger av kliniske prioriteringsbeslutninger på individnivå?
- Hvilke etiske, økonomiske og samfunnsmessige problemstillinger vil aktualiseres hvis metoder tilbys enkeltindivider når det foreligger en nei-beslutning på gruppenivå?
- Hvilke forventede helsegevinster/-tap og kostnader (ressurser og helsepersonell) vil tiltakene ha for gruppene som omfattes, og hvilke fordelingsmessige konsekvenser vil tiltak eller endringer medføre?

***Hvilke problemstillinger oppstår i forholdet mellom gruppebaserte prioriteringsbeslutninger og beslutninger om enkeltindividers tilgang til metoder?***

Vurderingene av offentlig tilgang til nye metoder skal gjøres på bakgrunn av de tre prioriteringskriteriene nytte, ressursbruk og alvorlighet. Nyttekriteriet er det mest sentrale av de tre. Nytte dreier seg her om størrelsen på en forventet helsegevinst, målt ved kvalitetsjusterte leveår. Positiv helsegevinst er en nødvendig, men ikke tilstrekkelig betingelse for tilgang til en metode. Informasjonen fra en stor representativ pasientgruppe og/eller en intervensjon med stor effekt, vil generelt gi mer sikre estimater, sammenliknet med estimater basert på små pasientgrupper og/eller intervensjoner med liten effekt. Når det gjelder alvorlighetsgrad (absolutt prognosetap), vil man derimot kunne oppnå mer presis informasjon på individnivå enn ved å se på gjennomsnittet av alvorlighetsgrad på hovedgruppenivå.

En første mulig forskjell mellom hovedgruppe- og individnivå er at det kan være stor variasjon i behandlingseffekt, men det kan være utfordrende å identifisere forhold som kan forutsi slik variasjon. Det kan foreligge kunnskap om bestemte undergrupper som har forventet nytte som avviker vesentlig fra gjennomsnittet i hovedgruppen.

En andre mulig forskjell er at det vil være betydelig variasjon i alder i en hovedgruppe. Enkeltindivider som er vesentlig yngre enn gjennomsnittet i hovedgruppen, vil ha et større absolutt prognosetap enn det gjennomsnittlige absolutte prognosetapet for gruppen. Det sentrale er dermed om man unntaksvis kan ha mer *treffsikker* informasjon ved vurdering av prioriteringskriteriene på undergruppe- og individnivå enn på hovedgruppenivå. For eksempel kan det tenkes beslutninger hvor en metode ikke innføres for en hovedgruppe, med henvisning til prioriteringskriteriene, men at alvorlighetsgraden for ett av individene i hovedgruppen er høyere (ved at alderen er vesentlig lavere enn for gjennomsnittet), og/eller at behandlingseffekten – og dermed nytten – er høyere.

En tredje mulig forskjell kan forekomme ved *mereffekten* av en behandling, relativt til tilgjengelige alternativer (jf. IKER, se kapittel 4.2 om kostnad-effekt-analyser). På individnivå kan det vise seg å være individer som på grunn av andre sykdommer og allergier (kontraindikasjoner) eller komplikasjoner ikke kan benytte seg av allerede innført og tilgjengelig behandling. For slike individer vil *mereffekten* av den nye behandlingsmetoden kunne være langt større enn det som er beregnet for hovedgruppen.

Prinsippet om likebehandling og de tre prioriteringskriteriene gjelder som nevnt på både gruppe- og individnivå. Dette kan tale for en ordning hvor man kan søke om individuell tilgang etter nei-beslutning i Beslutningsforum.

***Hvordan påvirker den medisinsk-teknologiske utviklingen i persontilpasset medisin forholdet mellom gruppe- og individbaserte beslutninger, med henblikk på usikkerhet i beslutningsgrunnlaget og forholdet mellom etablert og utprøvende behandling?***

Utvikling av persontilpasset medisin og nye behandlingsmetoder for sjeldne sykdommer innebærer utprøving av lovende behandling med mangelfull dokumentert effekt. Slike metoder bør også i fremtiden tilbys innenfor rammen av utprøvende behandling og kliniske studier. For å fremme utvikling av kunnskap og nye metoder er det viktig med forskningsprogrammer innenfor persontilpasset medisin. Ny og ofte kostbar behandling for sjeldne sykdommer gir spesielle utfordringer knyttet til behovet for et godt kunnskapsgrunnlag om sikkerhet og effekt.

I praksis har fremveksten av mer presis behandling og nye behandlinger for sjeldne diagnoser resultert i at kravet til dokumentasjon for å oppnå markedsføringstillatelse har blitt redusert. Dette kan innebære økt usikkerhet om forventet nytte av behandlingen, men det kan også gjennom mer presis behandling gi bedre effekt og større sikkerhet om effektstørrelsen for en undergruppe. Videre vil flere nye behandlingsmetoder, særlig celle- og genterapier, innebære at behandlingen gis én gang med en forventet, men ikke forhåndsdokumentert effekt. I slike tilfeller kan prisavtaler med risikodeling mellom kjøper og selger være et virkemiddel for å fremme tilgang til den nye metoden, ved at kostnadene speiler effekten som faktisk observeres over tid. I tilfeller med svært få eller bare én forsøksperson må man vurdere kostnaden ved metoden opp mot sannsynlig effekt. Da kan man vurdere bruk av modeller for naturlig forløp uten behandling, biomarkører eller andre utfallsmål som indikerer effekt.

***Bør man opprette en ordning hvor man kan søke om at et enkeltindivid får tilgang til en metode, når Beslutningsforum har besluttet at metoden ikke skal innføres? Hvis ja, hva slags kunnskapsgrunnlag bør ligge til grunn for vurderingen?***

En slik ordning, som gir et enkeltindivid tilgang til en metode som Beslutningsforum har besluttet ikke å innføre, vil kunne fremme likebehandling med hensyn til prioriteringskriteriene for tilfeller hvor det foreligger vesentlige

avvik fra hovedgruppen. Hvor stor variasjon (særlig i nytte) kan vi tillate i en hovedgruppe, før det å behandle alle i hovedgruppen likt med tanke på tilgang vil innebærer et brudd på likebehandlingsprinsippet? Flere land – blant annet Danmark, Island, England, Skottland og Wales – har innført muligheten for å gjøre unntak fra hovedgruppebaserte beslutninger og innvilge tilgang for undergrupper og enkeltpasienter til nye metoder (først og fremst legemidler). En viktig forskjell mellom ordningene i disse landene og Norge er at unntakene i de ovennevnte landene også kan gjøres *etter* at myndighetene har besluttet å avslå offentlig finansiering for hovedgruppen. I Skottland kan man også søke om midlertidig unntak for tilgang til en ny metode mens metoden er under *revurdering* i hovedsystemet (Fystro 2023a og 2023b).

Videre er unntaksordningene for reseptlegemidler som tilbys utenfor sykehusene i de ovennevnte landene, i stor grad sammenfallende med ordningene i Norge. Det kan innvilges unntak for pasienter og pasientgrupper for legemidler både med og uten markedsføringstillatelse, og det kan søkes om unntak også etter at refusjon er vurdert av ansvarlige myndigheter.<sup>6</sup> I Danmark er det etablert en rutine hvor individuell tilgang besluttes i regionale komiteer:

Oprettelsen af Medicinrådet ændrer imidlertid 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 lægekonsultation, hvor flere speciallæger vurderer fordele og ulemper ved behandlingen for den konkrete patient.

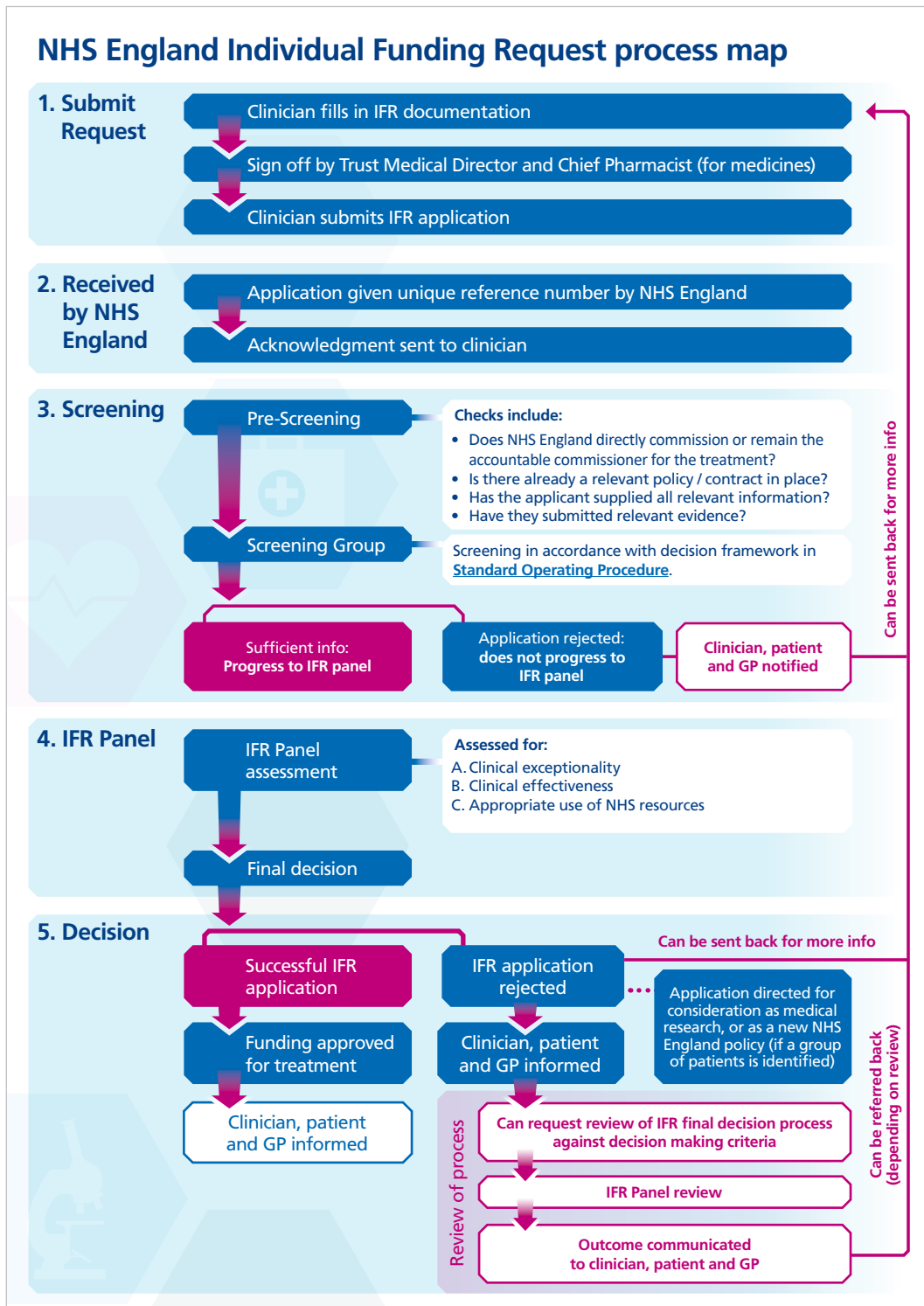
Før beslutningen effektueres, bør sagen forelægges for et fagligt forum fx den regionale lægemiddelkomité, som hurtigst muligt og inden for 14 dage vurderer, om man kan anbefale ibrugtagning. Det er herefter op til den behandlingsansvarlige læge at træffe endelig beslutning om behandling. Eventuel ibrugtagning af lægemidlet skal altid foregå protokollert og med systematisk opfølgning (Danske Regioner 2018, 2).

I helsetjenesten i Storbritannia (NHS) er det etablert en ordning for *individual funding request*, hvor behandlende lege, etter godkjenning fra fagdirektør i sykehuset, kan søke om individuell tilgang for en enkeltpasient i tilfeller hvor det er besluttet at en metode *ikke* skal inngå i det ordinære behandlingstilbudet. Man vil først vurdere hvilke spesielle forhold som knytter seg til pasientens tilstand (*clinical exceptionality*), før spørsmålet om nytte og ressursbruk vurderes (NHS 2023a), se flytdiagram (NHS 2023b) i figur 3 nedenfor.

<sup>6</sup> I tillegg finnes det en rekke ulike ordninger som gir raskere tilgang til nye behandlingsmetoder, uten at det er tale om unntaksordninger. Det eksisterer blant annet mange ulike programmer, rettet for eksempel spesielt mot kreftmedisiner i Storbritannia og mot legemidler til små pasientgrupper (*orphan drugs*) i flere av landene, som er ment å gi raskere tilgang.



Figur 3. Flyttdiagram for NHS



**Figur 3.** Dette flyttdiagrammet viser hvordan man må gå frem i NHS England for «individual funding request». Som flyttdiagrammet viser, består prosessen av fem ulike ledd.

Etter Ekspertgruppens vurderinger legger ordningene i Storbritannia og Danmark til rette for tilgang til metoder når en pasient for eksempel ikke kan benytte standardbehandling eller avviker vesentlig fra gruppen med hensyn til nytte og alvorlighet, og hvor behandlingen av pasienten ellers oppfyller prioriteringskriteriene. En slik ordning vil tilrettelegge for individuell tilgang også i spesielle tilfeller der prioriteringskriteriene anses å være oppfylt på individnivå.

Dokumentasjon på at pasienten ikke kan benytte tilgjengelig behandling, vil være sikker, likeså alvorligheten i form av absolutt prognosetap, da dette ofte er relatert til alder. Tilfeller hvor spørsmålet er om et individ tilhører en undergruppe som har vesentlig bedre effekt enn hovedgruppen, bør håndteres ved å vurdere dokumentasjonen som foreligger på gruppenivå. Som hovedregel bør slike saker håndteres som et spørsmål om revurdering eller eventuelt et gruppeunntak, og ikke som en søknad om individuell tilgang.

Ulike typer begrunnelser for klinisk eksepsjonalitet kan fremmes i en norsk sammenheng:

*I) Nytt:* En pasient kan være «klinisk eksepsjonell» ved å avvike vesentlig fra hovedgruppen med hensyn til forventet nytte av behandlingen. Spørsmålet her blir hvordan man kan vite at nytten for dette enkeltindividet er vesentlig større enn for gjennomsnittet i hovedgruppen. Det finnes behandling med dokumentert effekt som ikke innføres i den offentlige helse- og omsorgstjenesten. Det kan tenkes at det foreligger ny dokumentasjon som definerer en undergruppe med påviselig bedre effekt enn hovedgruppen, og at behandlingsansvarlig lege kan dokumentere at vedkommende tilhører denne undergruppen (f.eks. spesifikke genetiske varianter eller biologiske markører som kommer frem som resultat av ny kunnskap eller teknologi som ikke var tilgjengelig ved vurdering hovedgruppen).

*II) Alvorlighet:* En pasient kan være «klinisk eksepsjonell» fordi vedkommende har vesentlig større alvorlighet enn gjennomsnittet i hovedgruppen. Som regel vil alder (som er en enkelt tilgjengelig størrelse) være den avgjørende faktoren i vurderingen av slik alvorlighetsgrad (dvs. *absolutt prognosetap*). I teorien kunne man gi ulik tilgang til ulike aldersgrupper innenfor en hovedgruppe, men alder som selvstendig kriterium har ikke støtte i det norske prioriteringssystemet. Dog vil individuell informasjon om pasientens alder kunne få betydning gjennom vurderingen av tilstandens alvorlighetsgrad, og dernest i en samlet vurdering av de tre prioriteringskriteriene.

*III) Mereffekt:* En pasient kan være «klinisk eksepsjonell» fordi annen tilgjengelig behandling *ikke* kan gis av medisinske årsaker (annen sykdom eller alvorlige bivirkninger av annen innført behandling). En behandlingsmetode med dokumentert effekt hvor det foreligger en nei-beslutning i Beslutningsforum, kan imidlertid være aktuell for pasienten. Der den nye behandlingsmetoden ikke er innført på gruppenivå, men det for et enkelt individ vurderes å være et kostnad-nytte-forhold som er innenfor betalingsvillighetsgrensen, kan det tale for at dette enkeltindividet bør få offentlig tilgang.

Begrunnelser om nytte, alvorlighet og mereffekt vil kunne opptre samtidig og sammen utgjøre klinisk eksepsjonalitet.

***Hvilke problemstillinger aktualiseres når en pasient har mottatt privatfinansiert behandling utenfor den offentlige helse- og omsorgstjenesten med en metode som ikke er innført?***

Ekspertgruppen mener det er problematisk med en praksis hvor enkeltindivider som har startet ikke-innført behandling privat, får videreført denne behandlingen i regi av den offentlige helse- og omsorgstjenesten med henvisning til at behandlingen har en forventet effekt. Det at en pasient har effekt av en behandling igangsatt utenfor den offentlige helsetjenesten, gir ikke et selvstendig grunnlag for å videreføre behandlingen i det offentlige. En effekt av behandlingen i tråd med det man kan forvente for hovedgruppen, gir ikke i seg selv noen ny medisinsk informasjon som er relevant i en prioriteringssammenheng. Hvis oppstart av privat behandling senere medfører offentlig tilgang uten at dette er i tråd med prioriteringskriteriene, vil det bryte med likebehandlingsprinsippet og i tillegg beslaglegge ressurser i den offentlige helsetjenesten, som i sin tur skaper tause tapere.

Det kan tenkes tilfeller hvor det er tale om en vesentlig større effekt hos det aktuelle enkeltindividet enn for gjennomsnittet i hovedgruppen, og vedkommende vil i slike situasjoner, på lik linje med andre, kunne søke om å bli vurdert innenfor en ordning for individuell tilgang.

Ekspertgruppen mener det vil være viktig å få belyst private aktørers ansvar for å videreføre denne behandlingen selv om pasientens betalingsevne opphører.

***Hvilke tiltak kan bidra til å understøtte individuelle vurderinger knyttet til kliniske prioriteringsbeslutninger på individnivå?***

Den kliniske vurderingen vil som hovedregel gjøres innenfor rammen av det som er tilgjengelig behandling, dvs. behandling som man har besluttet å innføre for bruk i den norske helsetjenesten. Hensynet til likebehandling tilsier at informasjonen om tilgjengelig behandling bør være enkel å få tak i. Helsetjenestens tilgang til informasjon om beslutninger, ordninger for undergruppeunntak og individuell tilgang kan bedres. Det bør lages veiledere og utvikles nettbaserte kurs, og opplæringen bør styrkes i spesialistutdanningen av leger.

***Hvilke etiske, økonomiske, og samfunnsmessige problemstillinger vil aktualiseres hvis metoder tilbys enkeltindivider når det foreligger en nei-beslutning på gruppenivå?***

Like tilfeller skal behandles likt. Dette prinsippet kan begrunne ordninger for individuell tilgang, men kan også skape nye utfordringer hvis ordningene i praksis fører til forskjellsbehandling av pasienter med samme medisinske tilstand. Ordninger for å fremme likebehandling kan følgelig skape uberettiget

variasjon i tilgang hvis det ikke etableres mekanismer for å fremme en ensartet praksis. Ordninger for vurdering av individuell tilgang bør derfor være sentraliserte, slik vi ser eksempler på i andre land, og slik ordningen i blåreseptordningen er i dag. Antallet pasienter som gis tilgang gjennom individuelle ordninger, bør være lavt, slik at ikke likebehandlingsprinsippet, prioriteringssystemet og forhandlingsposisjonen undergraves. Etisk, økonomisk og samfunnsmessig vil det være hensiktsmessig å identifisere relevante undergrupper for å eventuelt differensiere beslutninger om tilgang.

***Hvilke forventede helsegevinster/-tap og kostnader (ressurser og helsepersonell) vil tiltakene ha for gruppene som omfattes, og hvilke fordelingsmessige konsekvenser vil tiltak eller endringer medføre?***

Innføring av en ordning for individuell tilgang etter en nei-beslutning vil, som alt annet, gi noe økt ressursbruk. En viktig begrunnelse for denne ekstra ressursbruken er imidlertid at de aktuelle individene i en slik ordning vil likebehandles i tråd med prioriteringskriteriene. Ekspertgruppen legger til grunn at det er snakk om et lite antall pasienter i en slik ordning. Effekten av ekspertgruppens anbefalinger vil dessuten kunne redusere det totale behovet for unntak. Det vil være viktig å etablere registerløsninger hvor man overvåker og evaluerer praksis.

## 7.3 Anbefalinger

På bakgrunn av utredningen om dagens ordninger og implikasjonene av disse fremover (nullalternativet) anbefaler Ekspertgruppen ti tiltak i tråd med det overordnede målet om å sikre best mulig tilgang til effektive nye metoder, rettferdig fordelt, og samtidig opprettholde åpenhet og tillit til de nåværende prioriteringssystemene.<sup>7</sup> Samlet er de ti tiltakene også ment å håndtere fremveksten av persontilpasset medisin og de er et innspill til systemenes håndtering av sjeldne diagnoser:

1. forbedre informasjon om prioriteringssystemene og styrke kunnskap om prioritering hos klinikere og andre beslutningstakere
2. målrette arbeidet med metodevurderinger og undergruppeanalyser
3. øke pasienters mulighet for deltakelse i kliniske studier
4. innføre en ordning for vurdering av individuell tilgang etter nei-beslutning i Nye metoder
5. innføre en ordning for vurdering av individuell tilgang og gruppeunntak ved revurdering av metoder i Nye metoder

<sup>7</sup> Etter Ekspertgruppens vurdering vil tiltakene også understøtte FNs bærekraftsmål, særlig delmål 3.8, som handler om å oppnå blant annet allmenn tilgang til grunnleggende og gode helsetjenester og trygge, virksomme og nødvendige medisiner til en overkommelig pris, og delmål 10.3 og 16.b, som begge innebærer å sikre like muligheter, redusere forskjeller i levekår og avskaffe diskriminerende praksis.

6. ikke åpne for at privatfinansiert behandling kan utgjøre et selvstendig grunnlag for tilgang til behandling i den offentlige helse- og omsorgstjenesten
7. ikke åpne for unntak før metodevurdering er gjennomført for blåreseptordningen
8. øke bruken av prisavtaler for å håndtere usikkerhet om effekt og risiko, særlig ved sjeldne diagnoser
9. legge til rette for «compassionate use» av legemidler for pasienter med forventet behandlingsvarighet under seks måneder
10. etablere nasjonale systemer for registrering og evaluering av ordninger for unntak og individuell tilgang

### **7.3.1 Forbedre informasjon om prioriteringssystemene og styrke kunnskap om prioritering hos klinikere og andre beslutningstakere**

Åpenhet om prioriteringsbeslutningene er viktig for at prinsippet om likebehandling skal fungere i praksis. Åpenhet kan også bidra til lojalitet blant helsepersonell og til tillit til prioriteringssystemene i befolkningen. God kjennskap til de tre prioriteringskriteriene hos klinikerne kan gjøre beslutninger lettere og gi et bedre grunnlag for å begrunne hvilken behandling som er aktuell i møte med den enkelte pasient.

Det er viktig at helsepersonell gjennom grunnutdanningene får tilstrekkelig kompetanse i prioriteringskriteriene og systemene for prioritering. Spørsmål om prioritering må siden følges opp i etter- og videreutdanningene når helsepersonell har fått mer erfaring med prioritering i praksis. Et nasjonalt e-læringskurs kan være et aktuelt tiltak.

Leger trenger kunnskap om prinsipper for prioritering for å kunne prioritere og vurdere om det er aktuelt å søke om individuell tilgang for en pasient. Det er også viktig at relevant informasjon er lett tilgjengelig, som for eksempel eventuelle gruppeunntak i Nye metoder eller forhåndsdefinerte vilkår og kriterier i blåreseptordningen for den aktuelle metoden. Erfaringer fra saksbehandling i helsetjenesten og fra vurderingsinstanser (Helfo) og klageinstanser viser at det er behov for mer kunnskap om prioriteringskriterier, utforming av søknader om individuelt unntak og klageadgang.

Et tiltak for å styrke kompetansen hos helsepersonell og klageinstanser kan være å lage en *veileder for prioritering i klinikken*. En slik veileder bør blant annet inneholde informasjon om ordningene for tilgang til nye metoder, de ulike unntaksordningene, prinsippene for prioritering, hvor metodevurderingene er publisert, klinikerens handlingsrom, verktøy for beslutningsstøtte, og hjelp til kommunikasjon og veiledning vedrørende klager på unntaksordninger.

Veilederen kan med fordel inneholde informasjon om unntaksordninger både i blåreseptordningen og i Nye metoder, og ha med illustrerende eksempler. Den bør også fremheve veiledningsplikten helsetjenesten og forvaltningen har.

Et annet tiltak kan være å videreføre og videreutvikle et nasjonalt elektronisk søknadsskjema eller å utvikle en felles mal der strukturen sørger for at alt

av nødvendig informasjon innhentes og samles, og som, i beste fall, gir beslutningsstøtte og muliggjør automatisert saksbehandling.

Aktuelle tiltak for å styrke kompetansen i forvaltningen kan være å inkludere veiledning om klagesaksbehandling i en eventuell ny nasjonal faglig veileder om klinisk prioritering eller i et nytt kapittel i rundskriv om pasient- og brukerrettighetsloven og å etablere et nettverk i klageorganer som knytter til seg helseøkonomisk kompetanse. Når det gjelder behovet for et register over klagesaker, kan synergi hentes fra aktuelle prosesser hos tilsynsmyndighetene.

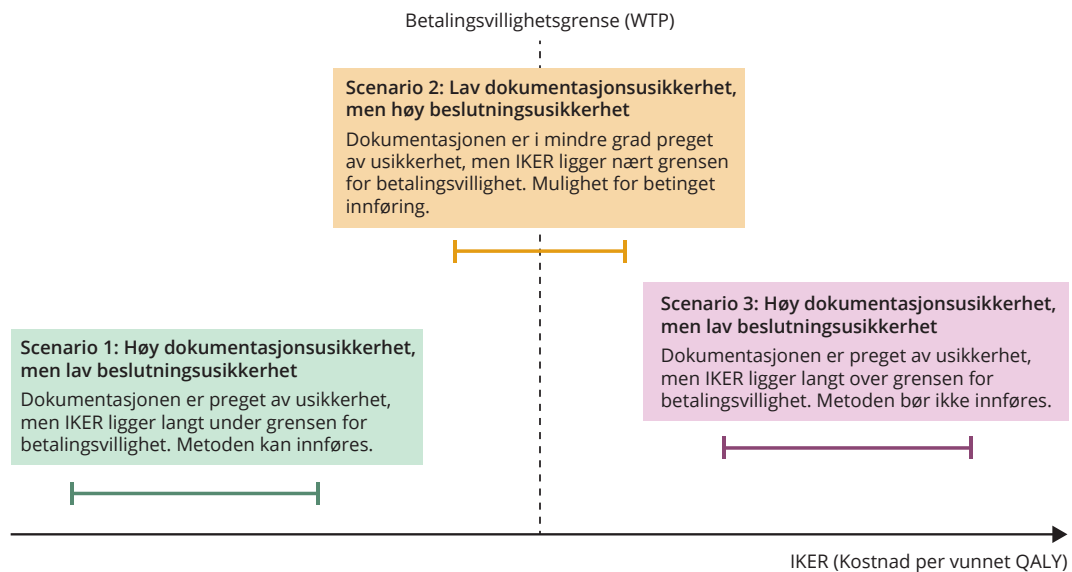
Når det gjelder klageinstanser, anbefales en videreføring av den eksisterende ordningen. Dette er mulig innenfor dagens ressurser. Klageinstansene kjenner godt prinsippene som ligger til grunn for vurderingen av konkrete rettighetsklager, som er en kjerneoppgave for statsforvalterne og Helseklage. Hvis praksis mellom de ulike statsforvalterne varierer, vil Statens helsetilsyn som overordnet faglig myndighet kunne bidra til harmonisering. Alternativt kan oppgavesamling hos noen få embeter vurderes. Ved en slik samling vil imidlertid det helhetlige blikket på de samlede tjenestene til en pasient/bruker og kjennskap til lokale forhold falle bort.

Ulemper med alle nye opplæringstiltak er at de kan være tid- og ressurskrevende. Ekspertgruppen anbefaler derfor å trekke på ressurser som allerede finnes på universitetene, i de kliniske etikkomiteene og i Helsedirektoratet, i tillegg til at kravene til kunnskap om prioritering inkluderes i utdanningsløp som de fleste klinikere skal gjennom. Det overordnede poenget er at dette arbeidet må fortsette, slik at helsepersonell, klinikere, brukere og pasienter bedre kan forstå de etiske begrunnelsene som de norske prioriteringskriteriene er basert på, i tillegg til å ha kunnskap om prosessene og mulighet til å navigere i systemet.

### **7.3.2 Målrette arbeidet med metodevurderinger og undergruppeanalyser**

Et overordnet tiltak er å effektivisere og målrette arbeidet med metodevurderinger. Ekspertgruppen anbefaler at man søker å bedre prioritere mellom hvilke nye metoder det kan brukes mindre ressurser til metodevurdering på, hvilke metoder som bør være gjenstand for forenklede metodevurderinger, og hvilke metoder som bør bli gjenstand for mer omfattende metodevurderinger. Ekspertgruppen anbefaler for eksempel at det brukes mer ressurser til metodevurdering i tilfeller hvor det er svært usikkert om utfallet blir en ja- eller en nei-beslutning (beslutningsusikkerhet). I situasjoner hvor usikkerheten under alle omstendigheter tilsier en nei-beslutning til nasjonal tilgang til metoden, kan man også vurdere å redusere ressursbruken på metodevurderingen. Prisen på et legemiddel kan være uavklart eller endres gjennom prosessen og vil ofte påvirke beslutningsusikkerheten, noe som kan gjøre det vanskelig å vurdere hva som er nødvendig nivå eller ressursbruk til ulike metodevurderinger. Figur 4 nedenfor illustrerer forskjellen mellom dokumentasjonsusikkerhet og beslutningsusikkerhet i metodevurderinger.

**Figur 4. Dokumentasjonsusikkerhet vs. beslutningsusikkerhet**



**Figur 4.** Figuren illustrerer tre scenarier. I scenario 1 kan metoden innføres, i scenario 2 er det vesentlig usikkerhet om innføring av den nye metoden, og i scenario 3 bør metoden ikke innføres.

Ekspertgruppen vurderer likevel at det er mer hensiktsmessig å få en rask nei-beslutning og eventuelt gjøre en grundigere revurdering av metoden hvis prisen gjennom forhandlinger blir lavere.

I tillegg bør det tas høyde for at det kan utvises større pragmatisme enn i dag ved metodevurderinger som omhandler nye metoder hvor de totale kostnadene ved innføring vil være lave og er innenfor en øvre grense per pasient. Det finnes altså flere muligheter for å åpne for forenklede metodevurderinger, som igjen vil gjøre det mulig å allokere tid og ressurser til å gjøre mer omfattende metodevurderinger der hvor det er nødvendig.

I tråd med utviklingen i medisinen som sådan (inkludert persontilpasset medisin og nye behandlingsprinsipper) tar ekspertgruppen til orde for en videreutvikling av metodevurderingene, med vekt på å analysere variasjon mellom relevante undergrupper, jf. kapittel 3.3–3.5 om henholdsvis usikkerhet, persontilpasset medisin og sjeldenhet. Ekspertgruppen tenker her særlig på at det bør gjøres en vurdering av variasjon med hensyn til effekt og absolutt prognosetap. Den medisinske utviklingen vil potensielt kunne gjøre det enklere å identifisere relevante undergrupper for undergruppeanalyser. Ekspertgruppen vil også peke på at fageksperter og klinikere vil kunne bidra til å peke på relevante undergrupper i denne sammenhengen og eventuelt også til å formulere start- og stoppkriterier for behandling.

Ekspertgruppen anbefaler at det gjøres undergruppeanalyser der det er mulig. Bruk av undergruppeanalyser reiser samtidig noen nye sentrale spørsmål i tilfeller hvor hovedgruppen i utgangspunktet er marginalt innenfor eller utenfor en sannsynlig beslutning om tilgang. Om man tar ut en positiv undergruppe

av en hovedgruppe, vil gjennomsnittseffekten i hovedgruppen reduseres. Tilsvarende, om man tar ut en negativ undergruppe fra hovedgruppen, vil gjennomsnittseffekten i hovedgruppen øke. Et tilleggspoeng er at det å fremheve en undergruppe for tilgang (fremfor hovedgruppen) kan innebære et dårligere utgangspunkt for prisforhandlingene, med påfølgende høyere kostnader per behandling.

På den positive siden vil økt vekt på undergruppeanalyser i metodevurderinger bidra til et bedre beslutningsgrunnlag for prioriteringer i en del saker. I dette ligger det en bedre håndtering av heterogenitet for nytte (effekt) og alvorlighet. Dette resonnementet er i tråd med de regionale helseforetakenes egen rapport om unntaksordningen (RHF-ene 2023a), som nettopp vektlegger undergrupper (subgrupper). Godt faglig funderte analyser av undergrupper vil i det store bildet bidra til å redusere beslutningsusikkerheten i vurderinger av om metoder skal innføres på nasjonalt nivå.

På den negative siden vil økt vekt på analyser av undergrupper medføre merarbeid for Direktoratet for medisinske produkter. Undergruppene må være mulige å definere og identifisere i klinisk praksis, og det må finnes både gode nok data og tilstrekkelig faglig kompetanse til å foreta slike analyser. Tilgang på nødvendig datagrunnlag for å gjøre undergruppeanalyser er det ofte kun produsentene selv som har. Det er viktig at det frigjøres ressurser fra annet metodevurderingsarbeid for å få tid til å foreta undergruppeanalyser der dette er nødvendig. Ekspertgruppens anbefaling om forbedret bruk av undergruppeanalyser bør derfor ses i sammenheng med anmodningen om at det i større grad bør gjøres prioriteringer av ressursbruk mellom ulike metodevurderinger i tråd med metodevurderingenes hensikt.

EU har vedtatt forordning (EU) 2021/2282 om metodevurderinger (HTA-regulation). Fra 2025 vil det ligge til rette for et omfattende samarbeid om felles metodevurderinger i EU på definerte teknologiområder: legemidler med nye virkestoffer eller innenfor nye terapiområder som får markedsføringstillatelse gjennom den sentrale godkjenningssprosedyren for legemidler, samt visse typer medisinsk utstyr med høy risiko. Formålet med denne lovendringen er å styrke europeisk HTA-samarbeid ved å redusere dupliseringen av arbeidet innad i EØS-området og øke standardiseringen av arbeidsmetoder. Det er grunn til å tro at et slikt europeisk samarbeid (på «Joint Clinical Assessments») vil redusere omfanget av parallelt nasjonalt arbeid når det gjelder å vurdere relativ effekt og sikkerhet av en metode sammenliknet med dagens behandlingalternativer i EU, og på sikt bidra til at ressurser kan frigjøres til å realisere Ekspertgruppens anbefalinger.

### **7.3.3 Øke pasienters mulighet for deltakelse i kliniske studier**

Et viktig tiltak for økt tilgang til nye metoder handler om å legge bedre til rette for kliniske studier og utprøvende behandling i Norge, herunder programmer for å fremme persontilpasset medisin og behandling av pasienter med sjeldne sykdommer. I tillegg til å gi økt kunnskap om nye behandlingsmetoder vil klinisk



forskning være et gode for enkeltpasienter i form av behandling som er målrettet mot den aktuelle sykdommens karakteristika.

Denne anbefalingen har noen begrensninger. Det er ingen rett til utprøvende behandling, og slik behandling er ikke del av det etablerte helsetjenestetilbudet. Like fullt kan kliniske studier være et verktøy for større tilgang til utprøvende behandling i en tidlig fase. En utfordring er ulik tilgang til kliniske studier basert på geografi. Det er viktig å videreføre myndighetenes eksisterende satsinger på desentraliserte kliniske studier i Norge for å kunne gi mer lik mulighet for deltagelse i kliniske studier, uavhengig av hvor man bor i Norge.

Utprøvende behandling i forskningsøyemed må ikke gå på bekostning av forskningsintegritet og kvalitet i dokumentasjonsgrunnlaget. Initiativer til kliniske studier vil måtte tas av fagmiljøet selv, men Ekspertgruppen oppfordrer til å se på ulike insentiver for å stimulere til flere slike studier i Norge. Det vil bidra til å møte noe av den fremtidige medisinske utviklingen.

Regjeringen har lagt til rette for klinisk forskning og utprøvende behandling gjennom en rekke ulike satsinger og tiltak. Ekspertgruppen vil særlig peke på *Nasjonalt program for klinisk behandlingssforskning i spesialisthelsetjenesten* (KLINBEFORSK), arbeidet med å følge opp *Nasjonal handlingsplan for kliniske studier 2021–2025* (HOD 2021b) med etableringen av NorTrials, *Nasjonal strategi for persontilpasset medisin 2023–2030* (HOD 2023) og arbeidet med å bygge opp diagnostisk kapasitet og infrastruktur for forskning innenfor persontilpasset medisin. Med fremveksten av mer presis diagnostikk og behandling vil nye metoder utvikles og prøves ut i grenseflaten mellom utprøvende og etablert behandling. En tung satsing på forskning bidrar til ny kunnskap til nytte for fellesskapet og gir pasienter tilgang til utprøvende behandling.

#### **7.3.4 Innføre en ordning for vurdering av individuell tilgang etter nei-beslutning i Nye metoder**

En mulighet for individuell tilgang etter en nei-beslutning i Beslutningsforum vil kunne bidra til likebehandling i vurderingen av prioriteringskriteriene i eksepsjonelle tilfeller (vi viser til kapittel 7.2 for utfyllende diskusjon). Ekspertgruppen vurderer at en slik mulighet vil gi systemet økt legitimitet (dvs. tillit) og bidra til en bedre harmonisering mellom Nye metoder og unntaksordningen i blåreseptordningen. Det er viktig å presisere at en vurdering av individuell tilgang etter en nei-beslutning i Nye metoder er tenkt som en sikkerhetsventil. Ordningen bør innrettes slik at den gir lavest mulig sannsynlighet for brudd med likebehandlingsprinsippet. Den bør forbeholdes et lite antall tilfeller slik at den ikke svekker lojaliteten til Beslutningsforum eller systemets forhandlingsposisjon.

Ekspertgruppen mener ordningen bør kalles en ordning for vurdering av individuell tilgang, fordi dette understreker at det ikke er tale om et unntak fra prioriteringskriteriene, men snarere *et unntak fra en gruppebasert beslutning* som systemet har fattet. Hensikten med ordningen er blant annet å kunne gi individer

tilgang til nye metoder i samsvar med prioriteringskriteriene i eksepsjonelle situasjoner. Ordningen vil kreve noe økt ressursbruk for de regionale helseforetakene.

### **7.3.5 Innføre en ordning for vurdering av individuell tilgang og gruppeunntak ved revurdering av metoder i Nye metoder**

En slik ordning vil harmonisere muligheten for individuell tilgang mens en metode er under vurdering. Det gjøres ikke unntak fra prioriteringskriteriene. Det er tale om et unntak fra regelen om at en ikke innført metode ikke skal benyttes. Dette vil sikre likebehandling mellom metoder som er under *vurdering*, og metoder som er under *revurdering*. En slik ordning vil bidra til økt legitimitet og tillit og vil trolig ikke kreve vesentlig ekstra ressurser. En begrunnelse for en slik ordning kan dessuten være at man venter på ny dokumentasjon og/eller ny pris.

### **7.3.6 Ikke åpne for at privatfinansiert behandling kan utgjøre et selvstendig grunnlag for tilgang til behandling i den offentlige helse- og omsorgstjenesten**

Ekspertgruppen anbefaler at privat behandling ikke skal utgjøre et selvstendig grunnlag for tilgang i den offentlige helse- og omsorgstjenesten, fordi dette vil gi variasjoner i tilgang til metoder basert på pasientens betalingsevne. Ekspertgruppen viser her til de eksisterende offentlige unntaksordninger, samt Ekspertgruppens anbefaling vedrørende individuell tilgang etter nei-beslutning i Beslutningsforum (kapittel 7.3.4 og 7.3.5).

### **7.3.7 Ikke åpne for unntak før metodevurdering er gjennomført for blåreseptordningen**

Det er fra 2018 innført et krav om metodevurdering av legemidler og indikasjonsutvidelser hvor det er søkt om eller innvilget markedsføringstillatelse innenfor blåreseptordningen. Det er en del av ekspertgruppens mandat å vurdere om unntaksordningene i Nye metoder og blåreseptordningen burde harmoniseres bedre. I Nye metoder foreligger det en ordning med gruppeunntak og individuelle unntak *før* metodevurdering er gjennomført. Dette vil typisk være tale om svært lovende behandling ved svært alvorlig sykdom. For slike pasienter kan det få store negative helsekonsekvenser å vente på en beslutning i hovedordningen. Et sentralt grunnlag for slike unntak er dermed *hastegrad (urgency) for livstruende sykdom og alvorlig funksjonstap*, altså at de aktuelle pasientene kan risikere stort helsetap eller sykdomsforverring i påvente av en beslutning. Ekspertgruppen vurderer at det *ikke* foreligger tilsvarende tungtveiende grunner for å ha en ordning med mulighet for unntak før metodevurderinger er gjennomført i blåreseptordningen. En viktig forskjell er at legemidlene i blåreseptordningen sjelden omfatter tilstander med hastegrad for livstruende sykdom. I blåreseptordningen er det ofte tale om legemidler for store grupper i befolkningen, med dertil risiko for innlåsingseffekt ved

unntaksordninger før metodevurdering. I praksis vil en slik innlåsingseffekt innebære at om man først har tatt et nytt legemiddel i bruk, så er det vanskelig å senere ta legemiddelet ut av bruk. I tillegg vil unntak før metodevurdering i blåreseptordningen kunne redusere muligheten for en prisfastsettelse som tilsier størst mulig tilgang til legemiddelet i befolkningen. Ekspertgruppens vurdering er dermed at det overordnet kan forsvares å vente med tilgang for hele befolkningen til metodevurderingen er foretatt.

I blåreseptordningen vil det være mest hensiktsmessig å bruke ressursene på å gjennomføre en god metodevurdering og fatte en rask beslutning om tilgang. Ekspertgruppen foreslår også at unntaksordningen med søknad om individuell stønad til Helfo opprettholdes, men at det må være et mål i størst mulig grad å tydeliggjøre premisene for forhåndsgodkjent refusjon og individuell stønad etter blåreseptforskriften. Dette fordrer at man i arbeidet med metodevurderinger for blåreseptordningen må vurdere spørsmål om variasjon og undergrupper.

### **7.3.8 Øke bruken av prisavtaler for å håndtere usikkerhet om effekt og risiko, særlig ved sjeldne diagnoser**

Et ytterligere tiltak for å øke tilgangen til effektive nye metoder er økt bruk av prisavtaler mellom legemiddelselskaper og den offentlige helse- og omsorgstjenesten. Som hovedregel vil prisforhandlingene innebære flate rabatter, men i enkelte tilfeller kan det være hensiktsmessig med alternative prisavtaler. Alternative prisavtaler omfatter en rekke ulike typer avtaler om innkjøp. Særlig relevante er avtalene som inneholder verdibasert eller resultatbasert prising, der prisen justeres etter oppnåelse av forhåndsbestemte kliniske effektmål. I avtalene kan det stilles krav om utvidet kunnskapsgenerering av data for sikkerhet og effekt over tid, med forbehold om reevaluering etter metoden har vært brukt i en bestemt tid. Ekspertgruppen anser at alternative prisavtaler er mest aktuelt innenfor spesialisthelsetjenesten når det er tale om innovativ behandling for et begrenset antall pasienter som følges opp tett.

Den medisinsk-teknologiske utviklingen innebærer at kliniske studier får en annen innretning, som mindre grupper og andre studiedesign, enn store randomiserte kliniske studier. Ved gen- og celleterapi vil det ta tid å dokumentere langtidseffektene. Samtidig vil det være ønskelig å ta i bruk nye og lovende metoder. Prisavtaler er et viktig virkemiddel når behandlingseffekten og sikkerhetsprofilen ved en innovativ behandling er usikker, særlig ved sjeldne diagnoser. Ekspertgruppen mener prisavtaler kan bidra til å redusere beslutningsusikkerheten (knyttet til ja eller nei til tilgang) gjennom en risikodeling mellom legemiddelfirmaene og helsetjenesten.

Man kan se for seg ulike former for avtaler, hvor helsetjenesten betaler ut fra den dokumenterte kliniske effekten eller ut fra salgsvolum. De regionale helseforetakene har utviklet et eget rammeverk for prisavtaler (Sykehusinnkjøp 2020), og det finnes flere eksempler på at prisavtaler har gjort det mulig å gi tilgang til nye metoder, inkludert metoder for sjeldne tilstander. Ekspertgruppen

vurderer at en tilnærming med bruk av prisavtaler er et viktig virkemiddel for å fremme tilgang til nye kostnadseffektive metoder. Arbeid med slike avtaler gir merarbeid og kan være tidkrevende. Samtidig finnes det flere eksempler på at prosesser kan være tid- og ressurskrevende hvis en metode ikke egner seg for standardløpet gjennom Nye metoder.

### **7.3.9 Legge til rette for «compassionate use» av legemidler for pasienter med forventet behandlingstid kortere enn seks måneder**

Et ytterligere tiltak for å fremme tilgang er å legge bedre til rette for økt bruk av ordninger med *compassionate use program* (CUP)<sup>8</sup> (se kapittel 6.1), hvor legemiddelindustrien tilbyr tilgang til legemidler i en begrenset periode. Det er lite bruk av CUP i Norge sammenliknet med andre land. Bruken av merverdiavgift i CUP i Norge har trolig også vært et hinder, og særordninger med fritak for merverdiavgift bør vurderes. Norge har et lite antall avtaler om CUP for spesialisthelsetjenesten, hvor det er ulike avtaleverk avhengig av om forventet levetid for pasienten er over eller under seks måneder. Begrunnelsen for en slik todeling er at CUP gir risiko for en innlåsingseffekt, men at denne risikoen er liten ved kort forventet behandlingstid i pasientpopulasjonen. Innlåsingseffekten innebærer at den offentlige helsetjenesten må overta finansieringsansvaret ved langvarig behandling. En slik innlåsingseffekt kan vanskeliggjøre prioriteringsbeslutninger og prisforhandlinger og på den måten redusere den nasjonale tilgangen til den samme metoden. Det å gi tidlig tilgang til noen få kan dermed ha negative konsekvenser for de øvrige fordi prisforhandlingene og beslutningsprosessene blir mer krevende, trekker mer ut i tid og reduserer muligheten for at andre pasienter får tilgang til samme metode så raskt som mulig. Ekspertgruppen fraråder en utbredt bruk av CUP ved langvarig sykdom, men vurderer samtidig at det kan være rom for å legge bedre til rette for CUP-avtaler for pasienter med forventet kort behandlingstid (dvs. under seks måneder).

### **7.3.10 Etablere nasjonale systemer for registrering og evaluering av ordninger for unntak og individuell tilgang**

I tråd med tiltakene som er nevnt ovenfor, og med hensyn til evaluering og oppfølging av disse, anbefaler Ekspertgruppen at det opprettes et system for registrering og evaluering av unntak og individuell tilgang. Det er mange grunner til at et slikt system vil være av stor verdi. Dagens situasjon innebærer en regionalisering av flere av unntaksordningene og andre mekanismer for tilgang som gjør beslutningene lite transparente, og som svekker likebehandling. Med godt fungerende hovedsystemer for prioritering av tilgang til nye metoder

<sup>8</sup> Ekspertgruppen erkjenner at *compassionate use* (*program* eller *named patient*) er legemiddelindustriens egen betegnelse på en *early access*-mekanisme. «Bruk av legemidler under utprøving» er blitt foreslått som en norsk variant av *compassionate use program*. Den foreslåtte norske betegnelsen er dessverre ikke helt treffende, og Ekspertgruppen har derfor valgt å beholde det etablerte *compassionate use* i sin omtale.

skal det oppstå mindre behov for gruppeunntak og individuelle unntak. Ekspertgruppen erkjenner at det likevel vil være et visst behov for å gjøre unntak fra beslutninger for en hovedgruppe i eksepsjonelle situasjoner.

Eksempelvis vil registerløsninger for unntak og ulike ordninger for individuell tilgang bidra til større transparens i det norske prioriteringssystemet for tilgang. En slik transparens vil bidra til en skjerpet bruk av unntak i tråd med prioriteringskriteriene og i eksepsjonelle kliniske situasjoner. Gjennom en slik oversikt vil man også kunne identifisere mønstre blant unntakene for pasientgrupper som kan tyde på behov for undergruppeanalyser, og blant individuelle unntak som kan peke på nødvendigheten av å gjøre mindre justeringer i hovedsystemet. Videre vil analyser fra et slikt register gi mulighet til å fange opp utilsiktet utvikling, geografiske forskjeller og mønstre i saksbehandlingstiden.

## 8 Økonomiske og administrative konsekvenser

- I Nye metoder og blåreseptordningen må det arbeides med å styrke og målrette metodevurderingene, blant annet med henblikk på undergrupper.
- De regionale helseforetakene må etablere en ordning for vurdering av individuell tilgang etter en nei-beslutning. Hvis dette tiltaket skal fungere, bør ordningen være nasjonal, dvs. på tvers av de fire regionene, for å sikre likebehandling og for å sikre at prioriteringskriteriene er oppfylt. En nasjonal ordning gir dessuten mulighet til å revurdere beslutninger raskt og eventuelt gi gruppeunntak på en måte som vil fremme forutsigbarhet og likebehandling. Det finnes modeller fra andre land som man kan bygge på. En løsning for Norge kan være at saker sendes via fagdirektør i HF/sykehus til en komite av fagdirektører som RHF har nedsatt. Gjennom en slik ordning vil de regionale helseforetakene raskt kunne identifisere behov for gruppeunntak som fremmer likebehandling eller behov for å revurdere en metode. Ekspertgruppen bemerker at kriteriene for alle ordningene for individuell tilgang og gruppeunntak i Nye metoder bør harmoniseres.
- Det må opprettes et nasjonalt register for unntak og individuell tilgang.

### *Hvordan kan en ordning for søknad om individuell tilgang se ut?*

- Alle de tre prioriteringskriteriene vil vurderes for både individuell tilgang og gruppeunntak.
- Behandlende lege, via fagdirektør i sykehuset/helseforetaket, sender søknad til RHF.
- En tverrregional komite vurderer søknaden (av hensyn til likebehandling).
- Den samme komiteen kan også ta stilling til et eventuelt gruppeunntak eller revurdering i Nye metoder. Ekspertgruppen viser her til den danske modellen.

### *Evaluering og oppfølging*

- Alle individuelle unntak og gruppeunntak fra prioriteringsbeslutninger for en hovedgruppe rapporteres inn til en nasjonal løsning for registrering av søknader og beslutninger om tilgang.
- Hvordan søknadene blir vurdert i praksis, og utfallene av søknadvurderingen gjennomgås med jevne mellomrom for å identifisere relevante mønstre i begrunnelsene for unntak, beslutningene m.m. med formål å bidra til systemforbedring i Nye metoder og blåreseptordningen.

## Referanser

- Befring, Anne Kjersti. 2022. *Helseretten*. Oslo: Cappelen Damm akademisk.
- Danske Regioner. 2018. «Vejledning om anvendelse af lægemidler som ikke er anbefalet af Medicinrådet». Notat, Danske Regioner. <https://www.regioner.dk/media/10311/anvendelse-af-ikke-anbefalede-laegemidler.pdf> (Sist besøkt 11. januar 2024).
- Direktoratet for økonomistyring. 2018. *Veileder til utredningsinstruksen -Veileder til utredningsinstruksen til bruk ved utredning av statlige tiltak*. <https://dfo.no/fagomrader/utredning-og-analyse-av-statlige-tiltak/veileder-til-utredningsinstruksen> (Sist besøkt 2. februar 2024).
- EMD (Den europeiske menneskerettighetsdomstolen). (1950). *Den europeiske menneskerettskonvensjon, (4. november 1950)*. [https://www.echr.coe.int/documents/d/echr/Convention\\_NOR](https://www.echr.coe.int/documents/d/echr/Convention_NOR) (Sist besøkt 11. januar 2024).
- FDA. 2021. «FDA statement: FDA Takes Steps to Provide Clarity on Developing New Drug Products in the Age of Individualized Medicine». FDA Press Announcements, statement from Patrizia Cavazzoni. [https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-takes-steps-provide-clarity-developing-new-drug-products-age-individualized-medicine?utm\\_medium=email&utm\\_source=govdelivery](https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-takes-steps-provide-clarity-developing-new-drug-products-age-individualized-medicine?utm_medium=email&utm_source=govdelivery) (Sist besøkt 11. januar 2024).
- FN (De forente nasjoner). 2003. *FNs konvensjon om barnets rettigheter*. Vedtatt av De forente nasjoner 20. november 1989, ratifisert av Norge 8. januar 1991: revidert oversettelse mars 2003 med tilleggsprotokoller. Barne- og familieverndepartementet.
- FN (De forente nasjoner). 2006. *Konvensjon om rettighetene til mennesker med nedsatt funksjonsevne*. Barne-, likestillings- og inkluderingsdepartementet. <https://fn.no/assets/images/FN-kunnskap/Avtaler/FN-konvensjoner-filer/Konvensjon-om-rettighetene-til-personer-med-nedsatt-funksjonsevne.pdf.pdf> (Sist besøkt 11. januar 2024).
- Fystro, Joar R. 2023a. *Ekstern rapport om unntaksordninger etter nei-beslutning i utvalgte lands systemer som ligner på systemet for Nye Metoder*. Overlevert til Ekspertgruppen 15. desember 2023.
- Fystro, Joar R. 2023b. *Kartlegging av unntaksordninger i systemer som er ekvivalente til det norske systemet for Nye metoder og Blåreseptordningen: En ekstern rapport til ekspertgruppen om tilgang og prioritering*. Rapport overlevert til Ekspertgruppen 1. november 2023.
- Helse- og omsorgsdepartementet (HOD). 2015. *På ramme alvor: Alvorlighet og prioritering*. Rapport fra arbeidsgruppe nedsatt av Helse- og omsorgsdepartementet. Oktober 2015.

- Helse- og omsorgsdepartementet (HOD). 2019. «Rundskriv I-4/2019 – Rett til nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten og forholdet til forsvarlighetskravet mm». Helse- og omsorgsdepartementet. [https://www.regjeringen.no/contentassets/83b3c6ec738444fdb2be5262cbae65a/rundskriv-i\\_4\\_2019-\\_rett-til-nodvendig-helsehjelp-fra-spesialisthelsetjenesten-og-forholdet-til-forsvarlighetskravet-mm.pdf](https://www.regjeringen.no/contentassets/83b3c6ec738444fdb2be5262cbae65a/rundskriv-i_4_2019-_rett-til-nodvendig-helsehjelp-fra-spesialisthelsetjenesten-og-forholdet-til-forsvarlighetskravet-mm.pdf) (Sist besøkt 11. januar 2024).
- Helse- og omsorgsdepartementet (HOD). 2021a. *Nasjonal strategi for sjeldne diagnoser*. Helse- og omsorgsdepartementet. <https://www.regjeringen.no/contentassets/1bc4b02a80c04553ba6d95170aa0a272/no/pdfs/i-1209-b-strategi-for-sjeldne-diagnoser.pdf> (Sist besøkt 11. januar 2024).
- Helse- og omsorgsdepartementet (HOD). 2021b. *Nasjonal handlingsplan for kliniske studier 2021–2025*. [Nasjonal handlingsplan for kliniske studier 2021–2025 – regjeringen.no](https://www.regjeringen.no) (Sist besøkt 26. januar 2024).
- Helse- og omsorgsdepartementet (HOD). 2023. *Nasjonal strategi for persontilpasset medisin 2023–2030*. <https://www.regjeringen.no/contentassets/c0ab0380265445e58508c36e51e5561b/no/pdfs/strategi-for-persontilpasset-medisin.pdf> (Sist besøkt 26. januar 2024).
- Helsedirektoratet. 2021. *Utprøvede behandling – nasjonale prinsipper: Nasjonal veileder*, 1–22. Oslo: Helsedirektoratet (sist faglig oppdatert 29. november 2021), <https://www.helsedirektoratet.no/veiledere/utprovende-behandling#referere> (Sist besøkt 11. januar 2024).
- Helsedirektoratet. 2023a. «Brystkreft – handlingsprogram: Kapittel 18.3. Gradering av kunnskapsgrunnlaget.» <https://www.helsedirektoratet.no/retningslinjer/brystkreft--handlingsprogram/metode-og-prosess/gradering-av-kunnskapsgrunnlaget> (Sist besøkt 8. november 2023).
- Helsedirektoratet. 2023b. *Rundskriv til folketrygdloven § 5-14 – legemidler*. <https://www.helsedirektoratet.no/rundskriv/folketrygdloven-kap-5/rundskriv-til-folketrygdloven--5-14--legemidler> (Sist besøkt 12. januar 2024).
- Helsedirektoratet. 2023c. *Besvarelse av oppdrag TTB2023-45 Innspill individuell stønad etter blåreseptforskriften §3*. Ekstern rapport fra Helsedirektoratet på oppdrag fra Ekspertgruppen.
- Helsenorge. 2023. «Sjeldne diagnoser.» <https://www.helsenorge.no/sjeldne-diagnoser/sjeldne-diagnoser/#forekomst> (Sist besøkt 11. januar 2024).
- Helsetilsynet. 2019a. «Strategisk plan for Statens helsetilsyn 2020–2025». [https://www.helsetilsynet.no/globalassets/opplastinger/om\\_helsetilsynet/styringsdok/strategisk\\_plan2020-2025.pdf](https://www.helsetilsynet.no/globalassets/opplastinger/om_helsetilsynet/styringsdok/strategisk_plan2020-2025.pdf) (Sist besøkt 11. januar 2024).
- Helsetilsynet. 2019b. «Vedtak – Statens Helsetilsyn. Ref. 2018/1992 3 JIV». [https://www.helsetilsynet.no/globalassets/opplastinger/tilsyn/rettighetsklager/immunbehandling\\_2019.pdf](https://www.helsetilsynet.no/globalassets/opplastinger/tilsyn/rettighetsklager/immunbehandling_2019.pdf) (Sist besøkt 11. januar 2024).



- Helsetilsynet. 2021. «Avslutning av sak – gjennomgang av Statsforvalterens vedtak i rettighetssak – Statens helsetilsyn omgjør ikke vedtaket. 2021/2483-12, 2A JIV». [https://www.helsetilsynet.no/globalassets/opplastinger/tilsyn/rettighetsklager/hjertesviktbehandling\\_avslutning\\_2021.pdf](https://www.helsetilsynet.no/globalassets/opplastinger/tilsyn/rettighetsklager/hjertesviktbehandling_avslutning_2021.pdf) (Sist besøkt 11. januar 2024).
- Høstmølingen, Njål. 2012. *Internasjonale menneskerettigheter*, 2. utg., Oslo: Universitetsforlaget.
- Innst. 57 S (2016–2017). *Innstilling til Stortinget fra helse- og omsorgskomiteen*. Meld. St. 34 (2015–2016).
- Kim, Jinkuk, Chunguang Hu, Christelle Moufawad El Achkar, et al. 2019. «Patient-Customized Oligonucleotide Therapy for a Rare Genetic Disease.» *The New England Journal of Medicine* 381, 17: 1644–1652. doi: 10.1056/NEJMoa1813279
- LG-2007-100482 – RG-2007-1441 (Gulating lagmannsrett – Kjennelse 2007). <https://lovdata.no/pro/LGSIV/avgjorelse/lg-2007-100482>
- Meld. St. 10. (2012–2013). *God kvalitet – trygge tjenester — Kvalitet og pasientsikkerhet i helse- og omsorgstjenesten*. Helse- og omsorgsdepartementet. <https://www.regjeringen.no/no/dokumenter/meld-st-10-20122013/id709025/>
- Meld. St. 28 (2014–2015). *Legemiddelmeldingen — Riktig bruk – bedre helse*. Helse- og omsorgsdepartementet.
- Meld. St. 34 (2015–2016). *Verdier i pasientens helsetjeneste – Melding om prioritering*. Helse- og omsorgsdepartementet.
- Meld. St. 38 (2020–2021). *Nytte, ressurs og alvorlighet – Prioritering i helse- og omsorgstjenesten*. Helse- og omsorgsdepartementet.
- NHS (National Health Service). 2023a. «Individual funding requests for specialised services: a guide for patients.» <https://www.england.nhs.uk/publication/individual-funding-requests-for-specialised-services-a-guide-for-patients/> (Sist besøkt 11. januar 2024).
- NHS (National Health Service). 2023b. «NHS England Individual Funding Request process map.» <https://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2017/11/IFR-process-map-2023.pdf> (Sist besøkt 11. januar 2024).
- Norsk legemiddelhandbok. 2023. «G26.3 Legemidler ved sjeldne tilstander.» [https://www.legemiddelhandboka.no/G26.3/Legemidler\\_ved\\_sjeldne\\_tilstander](https://www.legemiddelhandboka.no/G26.3/Legemidler_ved_sjeldne_tilstander) (Sist besøkt 11. januar 2024).
- NOU 1997: 7 *Piller, prioritering og politikk: Hva slags refusjonsordning trenger pasienter og samfunn?* Helse- og omsorgsdepartementet.
- NOU 2018: 16 *Det viktigste først – Prinsipper for prioritering i den kommunale helse- og omsorgstjenesten og for offentlig finansierte tannhelsetjenester*. Helse- og omsorgsdepartementet.

- Nye Metoder. 2023. «Retningslinje for bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse (compassionate use).» Nye Metoder. <https://nyemetoder.no/om-systemet/retningslinje-for-bruk-av-nye-legemidler-for-markedsforingstillatelse-compassionate-use> (Sist besøkt 11. januar 2024).
- PhRMA. 2021. *Innovation in the Biopharmaceutical Pipeline*. Prepared by Analysis Group for PhRMA, 1–35. [https://phrma.org/-/media/Project/PhRMA/PhRMA-Org/PhRMA-Org/PDF/G-I/Innovation\\_in\\_Biopharmaceuticals.pdf](https://phrma.org/-/media/Project/PhRMA/PhRMA-Org/PhRMA-Org/PDF/G-I/Innovation_in_Biopharmaceuticals.pdf) (Sist besøkt 11. januar 2024).
- Proba. 2021. *Evaluering av systemet for Nye metoder i spesialisthelsetjenesten*. Proba-rapport 2021-16, Proba samfunnsanalyse, Utarbeidet for Helse- og omsorgsdepartementet, ISSN: 1891-8093, 1–260.
- Prop. 102 LS (2021–2022) *Endringer i legemiddelloven (legemidler til dyr) og samtykke til godkjenning av EØS-komiteens beslutning nr. 371/2021 om innlemmelse i EØS-avtalen av forordning (EU) 2019/6 om legemidler til dyr*. Helse- og omsorgsdepartementet.
- Prop. 55 L (2018–2019) *Endringer i spesialisthelsetjenesteloven og pasient- og brukerrettighetsloven (lovfesting av systemet for nye metoder m.m.)*, Helse- og omsorgsdepartementet.
- Regier, Dean A., Samantha Pollard, Melanie McPhail, Tania Bubela, Timothy P. Hanna, Cheryl Ho, Howard J. Lim, Kevin Chan, Stuart J. Peacock og Deirdre Weymann. 2022. «A perspective on life-cycle health technology assessment and real-world evidence for precision oncology in Canada». *npj Precision Oncology* 6, 76: e1–7. doi: 10.1038/s41698-022-00316-1
- Regjeringen. 2023. *Nasjonal strategi for persontilpasset medisin*. Helse og omsorgsdepartementet, 1–65. <https://www.regjeringen.no/no/dokumenter/strategi-for-persontilpasset-medisin/id2959463/> (Sist besøkt 12. desember 2023).
- RHF-ene (De regionale helseforetakene). 2022. *Rammeverk for legemiddelbehandling utenfor godkjent indikasjon i spesialisthelsetjenesten. Versjon 1.0*. <https://www.nyemetoder.no/492761/siteassets/documents/om-systemet/rammeverk-for-legemiddelbehandling-utenfor-godkjent-indikasjon-i-spesialisthelsen---2022-002.pdf> (Sist besøkt 8. november 2023).
- RHF-ene (De regionale helseforetakene). 2023a. *Unntaksordningen i system for Nye metoder*. Februar 2023. RHF-ene.
- RHF-ene (De regionale helseforetakene). 2023b. «Unntaksordningen innenfor Nye metoder: Oppfølging av RHF-enes rapport etter Helse- og omsorgsdepartementets behandling av denne». [https://www.nyemetoder.no/49f46a/siteassets/documents/om-systemet/signert-unntaksordningen-innenfor-nye-metoder---oppfolging-av-rhf-enes-rapport.\\_00017977.pdf](https://www.nyemetoder.no/49f46a/siteassets/documents/om-systemet/signert-unntaksordningen-innenfor-nye-metoder---oppfolging-av-rhf-enes-rapport._00017977.pdf) (Sist besøkt 9. januar 2024).

- Riska, Solveig Hodne og Henriette Sinding Aasen. 2019. «De juridiske rammene», 82–107, i Henriette Sinding Aasen, Berit Bringedal, Kristine Bærøe, og Anne-Mette Magnussen (red.). *Prioritering, styring og likebehandling: Utfordringer i norsk helsetjeneste*. Oslo: Cappelen Damm Akademisk.
- Rt-1990-874 (291-90). Høyesterett. Lovdata. <https://jusboka.no/wp-content/uploads/2016/01/rt-1990-874-106a1.pdf?x22677> (Sist besøkt 31.01.24).
- Statens helsetilsyn. 2019. «Vedtak – Statens helsetilsyn omgjør Fylkesmannen i – gir rett til nødvendig helsehjelp».
- Statens legemiddelverk 2023c. «Compassionate Use Program». Statens legemiddelverk. <https://www.dmp.no/godkjenning/klinisk-utproving> (Sist besøkt 12. januar 2024).
- Statens legemiddelverk. 2021. «Nye metoder: Voretigene Neparovvec (Luxturna).» <https://nyemetoder.no/metoder/voretigene-neparovvec-luxturna> (Sist besøkt 11. januar 2024).
- Statens legemiddelverk. 2023a. «Utvikling av legemidler». <https://www.legemiddelverket.no/godkjenning/klinisk-utproving/hva-er-en-klinisk-utproving/utvikling-av-legemidler> (Sist besøkt 11. januar 2024).
- Statens legemiddelverk. 2023b. «Særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand.» <https://www.dmp.no/offentlig-finansiering/metodevurdering-av-legemidler/dokumentasjon-for-metodevurdering/hvordan-sikre-tilgang-til-legemidler-for-serskilt-sma-pasientgrupper-med-svert-alvorlig-tilstand> (Sist besøkt 12. januar 2024).
- Stortinget. Lovvedtak 49 (2022–2023). Stortinget, 1–4.
- Sykehusinnkjøp HF. 2020. «Rammeverk for prisavtaler». <https://www.sykehusinnkjop.no/49614b/siteassets/nyheter/beslutningsfourm-22.-juni-2020/rammeverk-prisavtaler-besluttet-22juni2020.pdf>
- Syse, Aslak. 2015. *Pasient- og brukerrettighetsloven: med kommentarer*, 4. utg., Oslo: Gyldendal juridisk.
- Syse, Aslak. 2021. «Helsetilsynets rolle i behandling av klagesaker». *Dagens Medisin*. <https://www.dagensmedisin.no/debatt-og-kronikk/helsetilsynets-rolle-i-behandlingen-av-rettighetsklager/251418> (Sist besøkt 31. oktober 2023).
- ØSK. 1976. *Den internasjonale konvensjonen om økonomiske, sosiale og kulturelle rettigheter*, (I kraft 3. januar 1976), FN-sambandet, 1–9. <https://fn.no/assets/images/FN-kunnskap/Avtaler/FN-konvensjoner-filer/Konvensjon-om-%C3%B8konomiske-sosiale-og-kulturelle-rettigheter.pdf> (Sist besøkt 11. januar 2024).
- Aasen, Henriette Sinding og Marianne Klungland Bahus. 2022. *Menneskerettigheter i helse- og omsorgstjenesten*. Oslo: Universitetsforlaget.
- Aasen, Henriette Sinding. 2022. «Forsvarlighet og menneskerettigheter», 40–93, i Henriette Sinding Aasen og Marianne Klungland Bahus (red.). *Menneskerettigheter i helse- og omsorgstjenesten*. Oslo: Universitetsforlaget.

## Vedlegg. Kortbiografier

### *Ekspertgruppen*

**Jan Frich (leder av Ekspertgruppen).** Administrerende direktør for Diakonhjemmet sykehus, og Professor II ved Avdeling for helseledelse og helseøkonomi, Institutt for helse og samfunn, Universitetet i Oslo (UiO). Frich er tidligere viseadministrerende direktør og fagdirektør i Helse Sør-Øst RHF og områdedirektør for helsetjenester i Folkehelseinstituttet. Han er spesialist i nevrologi.

**Marianne Klungland Bahus (medlem).** Professor i rettsvitenskap ved Universitetet i Agder. Bahus er jurist med en ph.d. i helserett og medisinsk etikk. Hun er blant annet medlem av Regionale komiteer for medisinsk og helsefaglig forskningsetikk (sør-øst) og KEK Sørlandet sykehus HF.

**Gina Knutson Barstad (medlem).** Spesialrådgiver i Kreftforeningen. Barstad sitter blant annet i referansegruppen til Systemet for nye metoder. Hun har en mastergrad i administrasjon og organisasjonsvitenskap fra Universitetet i Bergen (UiB). I tillegg har hun studert fransk og journalistikk (UiB) og har vært vitenskapelig assistent ved NTNU. Barstad har i flere perioder også vært innvalgt på Stortinget for Hordaland SV.

**Reino Heikkilä (medlem).** Spesialist i onkologi og pensjonert seksjonsleder ved Avdeling for kreftbehandling, Oslo universitetssykehus. Blant annet tidligere avdelingsleder ved Hemato-onkologisk avdeling ved Stavanger Universitetssykehus.

**Karin Müller Mikaelsen (medlem).** Fylkeslege, Statsforvalteren i Møre og Romsdal. Mikaelsen har bakgrunn som kliniker, spesialist i nevrologi og samfunnsmedisin, og Fellow of the European Board of Neurology.

**Jan Abel Olsen (medlem).** Professor i helseøkonomi ved Universitetet i Tromsø (UiT), forsker ved FHI og gjesteprofessor ved Centre for Health Economics ved Monash University i Australia. Olsen var også medlem av Norheim-utvalget (NOU 2014: 12).

**Hilde Røshol (medlem).** Seniorrådgiver i Direktoratet for medisinske produkter. Utdannet farmasøyt, utreder i Direktoratet for medisinske produkter, og med ekspertise innenfor blåreseptordningen og Nye metoder.

**Henrik Vogt (medlem).** Førsteamanuensis ved Institutt for helse og samfunn, Universitetet i Oslo. Vogt er lege med bakgrunn fra allmenntilleggsmedisin og med en ph.d. innenfor persontilpasset medisin. Vogt er blant annet medlem av Fagrådet for persontilpasset medisin, som er organisert av Helsedirektoratet.

### *Sekretariatet*

**Carl Tollef Solberg (sekretariatsleder).** Utredningsleder i Seksjon for kompetanse, forskning/innovasjon (KFI), Spesialisthelsetjenesteavdelingen (SHA), Helse- og omsorgsdepartementet (HOD). Lege, filosof, ph.d, førsteamanuensis ved UiO og gjesteprofessor ved Syddansk universitet i Danmark.

**Kashif Waqar Faiz.** Spesialrådgiver i Seksjon for helsefag (SHF), (SHA), HOD, spesialist i nevrologi, MHA, ph.d.

**Vegard Pettersen.** Spesialrådgiver i Helserettsavdelingen (HRA), HOD. Jurist.

**Per Thomas Thomassen.** Seniorrådgiver i Legemiddelseksjonen (LMS), SHA, HOD. Jurist/advokat.

**Gloria Traina.** Seniorrådgiver KFI, SHA, HOD. Mphil., ph.d.



Møte 10, Gardermoen. Fra venstre, Henrik Vogt, Reino Heikkilä, Marianne Klungland Bahus, Jan Abel Olsen, Jan Frich (leder), Karin Müller Mikaelson, Gina Knutson Barstad, Carl Tollef Solberg (sekretariatsleder), Hilde Røshol. Fotograf: Kashif Waqar Faiz.

Utgitt av:  
Helse- og omsorgsdepartementet

Bestilling av publikasjoner:  
Departementenes sikkerhets- og serviceorganisasjon  
[publikasjoner.dep.no](http://publikasjoner.dep.no)  
Telefon: 22 24 00 00  
Publikasjoner er også tilgjengelige på:  
[www.regjeringen.no](http://www.regjeringen.no)  
Publikasjonskode: I-1218 B