

PM 2014:4

Utvärdering av klinikläkemedel – internationella exempel

► vårdanalys
◄

Citera gärna ur Vårdanalys publikationer,
men ange alltid källa.

© Myndigheten för vårdanalys
ISBN: 978-91-87213-36-6
www.vardanalys.se

Utvärdering av klinikläkemedel – internationella exempel



Citera gärna ur Vårdanalys publikationer,
men ange alltid källa.

© Myndigheten för vårdanalys
ISBN: 978-9187213-36-6
www.vardanalys.se

Beslut

Beslut om denna promemoria har fattats av myndighetschefen Fredrik Lennartsson. I den slutliga handläggningen har analyschefen Christofer Montell deltagit. Utredaren Åsa Ljungvall har varit föredragande.

Stockholm 2014-12-18
Myndigheten för vårdanalys

Fredrik Lennartsson
Myndighetschef

Åsa Ljungvall
Föredragande

Förord

Myndigheten för vårdanalys (Vårdanalys) har fått i uppdrag av regeringen (S2012/3857/FS) att utvärdera det så kallade klinikläkemedelsprojektet. Arbetet redovisas i rapporten "Värdefullt men inte fullvärdigt. Om nyttan med hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel" (Vårdanalys 2014). Som en del av arbetet med rapporten genomförde vi en internationell utblick där vi kartlade hur en rad andra länder arbetade med hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel. En del av resultaten från den internationella utblicken redovisas i rapporten som en del av våra förslag till fortsatt utveckling av den svenska processen. Bland annat ges exempel på andra länders handläggningstider; vi föreslår att det kan vara aktuellt att införa ett snabbspår för utvärdering av särskilt angelägna läkemedel (likt Kanada) och Englands arbete med kliniska experter nämns som ett intressant exempel.

Den här promemorian utgör underlagsmaterial till rapporten och redovisar den internationella utblicken i sin helhet. Den består av kortfattade beskrivningar av åtta länders processer för utvärderingar av klinikläkemedel och ger därmed en översikt och introduktion till andra länders arbete. Därefter sammanställs informationen om handläggningstider samt ländernas arbete med externa experter och patientinvolvering, vilket är aspekter av utvärderingsprocessen där vi ser möjligheter för den svenska modellen att utvecklas.

Arbetet med den internationella utblicken har i huvudsak genomförts av utredaren och hälsoekonomen Thomas Eriksson. Åsa Ljungvall och Joakim Ramsberg har också ingått i projektgruppen och bidragit till arbetet. Vi vill tacka Stojan Zavisic för hjälp med kvalitetssäkring. Eventuella kvarstående fel är naturligtvis helt vårt ansvar. Vår förhoppning är att promemorian ska bidra och ge ingångar och inspiration till det fortsatta arbetet med utvecklingen av den svenska modellen.

Stockholm i november 2014

Fredrik Lennartsson
Myndighetschef

Sammanfattning

Myndigheten för vårdanalys (Vårdanalys) har fått i uppdrag av regeringen (S2012/3857/FS) att utvärdera det så kallade klinikläkemedelsprojektet. Resultat, slutsatser och våra förslag till fortsatt utveckling återfinns i rapporten "Värdefullt men inte fullvärdigt. Om nyttan med hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel" (Vårdanalys 2014). I rapporten återfinns också en mer omfattande beskrivning av processerna kring de hälsoekonomiska utvärderingarna i Sverige.

I samband med utvärderingen av klinikläkemedelsprojektet genomförde vi en internationell utblick där vi undersökte hur åtta andra länder arbetar med hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel, i syfte att finna riktmärken och inspel till hur den svenska modellen kan utvecklas vidare. Resultaten från den internationella utblicken redovisas i den här promemorian genom att ge en översikt av hur dessa länder arbetar med introduktion och hälsoekonomiska utvärderingar av nya klinikläkemedel.

Information har huvudsakligen samlats in via offentligt tillgängligt material och hittats via de olika verksamheternas webbsidor och processdokument, samt i olika typer av rapporter, översikter och artiklar. I några fall har vi inhämtat kompletterande information från personer med stor inblick i processerna i de olika länderna. Promemorian reflekterar processerna såsom de beskrivs i dessa källor under vintern och våren 2014. Denna information kan skilja sig mot hur verksamheten faktiskt bedrivs, och är även föremål för förändring över tid.

Länderna som inkluderas i den internationella utblicken är Australien, England, Frankrike, Kanada, Norge, Nya Zeeland, Skottland och Tyskland. Promemorian redogör kortfattat för ländernas hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel, och presenterar därefter en sammanställning av handläggningstider samt ländernas arbete med externa experter och patientinvolvering. Vi bedömer att dessa aspekter utgör centrala delar av utvärderingsprocessen och är dessutom värdefulla att belysa internationellt i syfte att diskutera hur den svenska modellen kan utvecklas. Resultaten från den internationella utblicken sammanfattas i fem punkter som vi anser kan bidra till den fortsatta utvecklingen av den svenska modellen:

► *Det finns flera sätt att öka patienternas delaktighet i utvärderingsprocessen*

Vår internationella utblick visar att det finns rutiner för patientinvolvering i någon form i alla länder utom i Frankrike. På vilket sätt patienter involveras varierar. I många länder ges patienter eller patientgrupper möjlighet att lämna kommentarer om deras perspektiv på hur det är att leva med sjukdomen och lämna synpunkter på preliminära beslut. I andra länder finns det patientrepresentanter i beslutande eller rådgivande organ. Några konkreta förslag att utreda vidare är:

1. Utbilda patientrepresentanterna i grunderna i evidensbaserad medicin, hälsoekonomi och beslutsfattande. Detta skulle ge möjlighet till större reellt inflytande.
2. Patientorganisationerna kan samarbeta mer för att dela på arbetet på det sätt som exempelvis *Cancer Voices Australia* gör. Detta skulle också ge små diagnoser möjlighet till representation.
3. Patienterna kan få mer vägledning och stöd i att lämna synpunkter. Detta kan till exempel ske genom formulär på hemsidan, en kontaktperson och exempel som visar hur det kan se ut.

► *Den internationella utblicken kan fungera som riktmärke för vad som är rimliga handläggningstider*

Handläggningstiderna varierar ganska mycket mellan länder: från två till tre månader i Nya Zeeland och Tyskland till tio månader i England. Även om vi inte har någon ambition att exakt avgöra vad som är en godtagbar handläggningstid, kan vi utifrån den internationella jämförelsen konstatera dels att det är möjligt att genomföra en utvärdering på relativt kort tid och betydligt snabbare än vad som sker i Sveriges i dagsläget, och dels att tio månader är en absolut övre gräns – men då ska det hållas i åtanke att den tio månader långa utvärderingen i England sker *efter* att läkemedlet har introducerats. Sex till åtta månader som riktmärke för *en övre gräns* är därför kanske mer rättvisande.

Informationen att det internationellt verkar fullt möjligt att genomföra utvärderingar på två till tre månader öppnar även upp för möjligheten att skapa ett snabbspår, i likhet med den möjlighet som ges genom *Ontario rapid review* i Kanada. Detta skulle kunna påskynda introduktionen av särskilt angelägna läkemedel även om handläggningstiderna inte kan kortas i den här utsträckningen för samtliga utvärderingar.

► *Välstrukturerade och informativa hemsidor bidrar till transparens, förutsägbarhet och förståelse för processen*

I den internationella utblicken har vi hittat flera goda idéer och exempel på hur transparens, förutsägbarhet och förståelse för processen kan ökas. I Skottland finns det en på förhand bestämd tidsplan, med fastställda datum för olika delar av utvärderingsprocessen, som bidrar till tydlighet och förutsägbarhet. I Nya Zeeland finns det en så kallad *application tracker* där man enkelt kan söka ett läkemedel och få information om var i processen det befinner sig. Det finns alltså flera verktyg och idéer på den internationella arenan att inspireras av för att förbättra den svenska modellen.

► *Arbetet med externa experter kan ske på olika sätt*

Den internationella utblicken ger exempel på olika sätt att rekrytera och arbeta med experter. I några länder finns det fasta nätverk med experter varifrån rekrytering sker. Beroende på hur stort nätverket är, och hur enkelt det är att rekrytera potentiella experter till ett sådant nätverk, skulle detta kunna göra det enklare att hitta experter till de enskilda utvärderingarna.

England använder sig av en annan modell för arbetet med externa experter. Där läggs hela den hälsoekonomiska utvärderingen ut på externa aktörer såsom exempelvis universitet eller konsultbyråer.

► *Mer internationellt samarbete skulle kunna vara en intressant utveckling*

I dagsläget sker många utvärderingar parallellt i flera länder samtidigt, och flera länder bedömer sannolikt samma underlag. För att undvika dubbelarbete och skapa en snabbare process, bör det finnas möjlighet till samarbeten mellan länderna, även om det också finns skillnader mellan länder som måste beaktas i en hälsoekonomisk analys.

Innehåll

1 Inledning	9
1.1 Bakgrund och syfte	9
1.2 Genomförande	10
1.2.1 Val av länder	10
1.3 Disposition	11
2 Introduktion och prissättning av läkemedel	12
2.1 Marknadsgodkännande innebär att läkemedlet kan introduceras i sjukvården	12
2.2 Läkemedel prissätts på olika sätt i olika länder	13
3 Process för utvärdering av klinikläkemedel i olika länder	15
3.1 Australien	15
3.2 England	16
3.3 Frankrike	18
3.4 Kanada	20
3.5 Norge	21
3.6 Nya Zeeland	22
3.7 Skottland	24
3.8 Tyskland	25
4 Sammanställning av ländernas arbete med externa experter, patient- involvering och handläggningstider	29
4.1 Användande av externa experter	29
4.2 Patientinvolvering	30
4.3 Handläggningstid	30
5 Slutsatser	34
6 Referenser	38

1 Inledning

1.1 BAKGRUND OCH SYFTE

Hälsoekonomiska utvärderingar syftar till att jämföra en behandlings hälsovinster med dess kostnader. Sådan kunskap ger ett underlag för att välja mellan olika alternativa behandlingar (exempelvis läkemedel), vilket bidrar till att skapa förutsättningar för bästa möjliga användning av sjukvårdens resurser.

I Sverige behandlas förmånsläkemedel och klinikläkemedel på olika sätt. Förmånsläkemedel hämtas ut på apotek av patienten och subventioneras av staten medan klinikläkemedel används inom slutenvården och köps in av landstingen. Vidare är det olika beslutsprocesser för förmånsläkemedel och klinikläkemedel. När det gäller förmånsläkemedel ansöker läkemedelsföretag om att deras läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna. Därefter genomför Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) en hälsoekonomisk utvärdering och beslutar om läkemedlet ska ingå i förmånssystemet. För klinikläkemedel har det fram tills nyligen inte gjorts några nationella hälsoekonomiska utvärderingar och därför bedriver TLV, på uppdrag av regeringen (S2010/8066/HS), sedan 2011 en försöksverksamhet inom ramen för det så kallade klinikläkemedelsprojektet. I klinikläkemedelsprojektet genomför TLV hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel och lämnar ett hälsoekonomiskt kunskapsunderlag till Nya Läkemedelsterapigruppen (NLT, en grupp inom Sveriges kommuner och landsting). Utifrån kunskapsunderlagen uttalar sig NLT om ifall de rekommenderar landstingen att läkemedlet ska användas eller inte. Rekommendationerna är inte tvingande. Landstingen väljer därför själva om de vill följa NLT:s rekommendation eller inte.

Myndigheten för vårdanalys (Vårdanalys) har fått i uppdrag av regeringen (S2012/3857/FS) att utvärdera klinikläkemedelsprojektet. Resultat, slutsatser och våra förslag till fortsatt utveckling återfinns i rapporten "Värdefullt men inte fullvärdigt. Om nyttan med hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel" (Vårdanalys 2014). I rapporten återfinns också en beskrivning av processerna kring de hälsoekonomiska utvärderingarna i Sverige.

I samband med utvärderingen av klinikläkemedelsprojektet genomförde vi en internationell utblick och resultaten återfinns i den här promemorian. Promemorian redogör kortfattat för ländernas hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel, och fokuserar därefter särskilt på tre aspekter: patientinvolvering, arbete med externa experter och handläggningstider. Vi bedömer att dessa aspekter utgör centrala delar av utvärderingsprocessen och är dessutom värdefulla att belysa internationellt i syfte att diskutera hur den svenska modellen kan utvecklas. Avsikten med promemorian har således inte varit att vara heltäckande, utan att belysa några internationella exempel av några aspekter.

Ansatsen i den här promemorian är beskrivande, och promemorian gör inte anspråk på att diskutera eller analysera hur processerna i olika länder påverkar exempelvis patientens tillgång till läkemedel och läkemedelspriser – även om detta är högst relevanta aspekter av en utvärderingsprocess. Det kan exempelvis finnas inneboende motsättningar både mellan olika delar av en utvärderingsprocess (exempelvis handläggningstider, patientinvolvering och användning av externa experter) och mellan delar av utvärderingen och processens utfall vad gäller tillgång till läkemedel och läkemedelspriser. Exempelvis kan långa handläggningstider vara ett resultat av intensiva prissförhandlingar. Intensiva prissförhandlingar kan leda till låga läkemedelskostnader, vilket i sin tur kan innebära att läkemedlet blir tillgängligt för många patienter. På ett liknande sätt är korta handläggningstider inte ett mål i sig om det innebär att ansökningar får avslag och läkemedel inte introduceras. Sådana eventuella samband analyseras inte inom ramen för den här internationella utblicken.

Att göra heltäckande och fullt ut rättvisande internationella jämförelser är svårt och kräver en bredare och mer omfattande analys än vad vi har haft för avsikt att göra i den här promemorian. Olika länders system är kontextberoende och för en fullständig analys behöver systemet sättas i ett större sammanhang som även inkluderar bland annat finansiering och organisering av hälso- och sjukvården. Syftet med denna promemoria är att redogöra för hur utvärderingsprocesser ser ut i en rad andra länder och generera inspel till den svenska modellen, men inte att fullt ut analysera systemen och dess konsekvenser.

1.2 GENOMFÖRANDE

Den här promemorian ger en översikt av hur ett urval av andra länder arbetar med introduktion och hälsoekonomisk utvärderingar av nya klinikläkemedel. Information har huvudsakligen samlats in via offentligt tillgängligt material, och hittats via de olika verksamheternas webbsidor och processdokument, samt i olika typer av rapporter, översikter och artiklar. I några fall har vi inhämtat kompletterande information från personer med stor inblick i processerna i de olika länderna.

Promemorian reflekterar processerna såsom de beskrivs i dessa källor under vintern och våren 2014. Denna information kan skilja sig mot hur verksamheten faktiskt bedrivs, och kan ändras över tid.

1.2.1 Val av länder

Den internationella utblicken inkluderar ett urval av länder. Förutom interna diskussioner på Vårdanalys, har vi diskuterat val av länder med TLV, NLT och De forskande läkemedelsföretagen (LIF). De inkluderade länderna är Australien, England, Frankrike, Kanada, Norge, Nya Zeeland, Skottland och Tyskland. Varken Danmark eller Finland genomför hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel och inkluderas därför inte i den här promemorian.

Gemensamt för länderna i urvalet är att deras hälso- och sjukvård är relativt lik den svenska. Även deras BNP per capita är förhållandevis lik den svenska och de lägger en liknande andel av BNP på hälso- och sjukvård och läkemedel (OECD 2013). Vidare

genomför de hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel och de är länder som Sverige troligen har något att lära av.

1.3 DISPOSITION

Kapitel 2 ger en överblick till hur läkemedel introduceras och prissätts. Kapitel 3 beskriver hur olika länder introducerar nya klinikläkemedel och hur hälsoekonomiska utvärderingar används. Kapitel 4 presenterar en sammanställning av handläggningstider och ländernas arbete med externa experter och patientinvolvering. Kapitel 5 innehåller slutsatser som vi anser utgöra värdefulla inspel till utvecklingen av den svenska modellen.

2 Introduktion och prissättning av läkemedel

Processen för införandet av läkemedel skiljer sig åt mellan olika länder. Gemensamt för de allra flesta länder är att det krävs ett marknadsgodkännande innan ett läkemedel börjar användas. Efter marknadsgodkännandet skiljer sig processerna åt mellan olika länder. I exempelvis England och Tyskland introduceras läkemedlet i samband med att det får marknadsgodkännande medan det i exempelvis Skottland och Frankrike krävs ytterligare utvärderingar innan läkemedlet börjar användas. Även om denna promemoria fokuserar på de hälsoekonomiska utvärderingarna av klinikläkemedel, beskrivs nedan processen för marknadsgodkännande kort för att ge bättre förståelse för de hälsoekonomiska utvärderingars roll och när de kan initieras. Vidare ges en introduktion till hur läkemedel prissätts då prissättningen är en central del i vissa länders hälsoekonomiska utvärdering.

2.1 MARKNADSGODKÄNNANDE INNEBÄR ATT LÄKEMEDLET KAN INTRODUCERAS I SJUKVÅRDEN

Innan ett läkemedel kan introduceras i sjukvården krävs ett så kallat marknadsgodkännande. För att ett läkemedel ska få ett marknadsgodkännande behövs kliniska prövningar för att undersöka läkemedlets effekt och biverkningar (Läkemedelsverket 2011).

Det finns olika möjligheter för ett läkemedel att få marknadsgodkännande. I exempelvis Sverige kan Läkemedelsverket ge läkemedel marknadsgodkännande. Vidare kan ett läkemedel få marknadsgodkännande i Sverige genom det Europeiska läkemedelsverket (EMA). När det gäller EMA föregås ett godkännande av ett så kallat *positive opinion* cirka tre månader innan EMA fattar beslut. Ett *positive opinion* kan därför ses som en första indikation på att ett läkemedel kommer att få marknadsgodkännande (EMA 2014a).

Processen för marknadsgodkännande i andra länder liknar den svenska processen. I exempelvis Norge kan ett läkemedel få marknadsgodkännande genom EMA eller *Legemiddelverket* (Norges motsvarighet till Läkemedelsverket). I länder utanför EU, exempelvis Australien, gäller inte EMA:s beslut per automatik. I stället ger Australiens motsvarighet till det svenska Läkemedelsverket (Therapeutic Goods Administration, TGA) marknadsgodkännande. Det kan vara intressant att påpeka att TGA och EMA i april 2014 initierade ett samarbete för att snabba på processen med marknadsgodkännande (EMA 2014 b).

Marknadsgodkännande innebär inte nödvändigtvis att patienter får tillgång till läkemedlet. I många länder finns det ytterligare processer som i olika utsträckning måste gå igenom först. Processerna kan skilja sig åt beroende på om det rör sig om ett klinikläkemedel eller ett läkemedel som ges på recept.

2.2 LÄKEMEDEL PRISSÄTTTS PÅ OLIKA SÄTT I OLIKA LÄNDER

Det finns olika principer för läkemedelsprissättning. Vissa länder prissätter alla sina läkemedel enligt samma princip, medan vissa länder använder olika principer för olika läkemedel. Det finns en omfattande litteratur kring de olika principernas för- och nackdelar. Nedan ges en kort introduktion till de olika principerna. En mer omfattande diskussion återfinns i *Delbetänkande av läkemedels- och apoteksutredning* (SOU 2012:75).

Den första principen är så kallad fri prissättning. Fri prissättning innebär att läkemedelsföretagen själva får bestämma priserna på läkemedel. Exempelvis har Sverige fri prissättning på receptfria läkemedel och priserna kan även skilja mellan olika apotek (Janusinfo 2013).

Den andra principen är så kallad värdebaserad prissättning (VBP). VBP innebär att läkemedelspriset speglar värdet av läkemedlet – om hälsoförbättringen är stor är priset högre än om hälsoförbättringen är liten. Ett exempel på VBP är när TLV beslutar om ett läkemedel ska ingå i det svenska förmånssystemet. Då vägs läkemedelskostnaden mot värdet av läkemedelseffekten, och om värdet på läkemedelseffekten överstiger läkemedelskostnaden får läkemedlet ingå i förmånssystemet, annars inte.

Den tredje principen är så kallad intern referensprissättning (IRP). IRP innebär att priset på ett nytt läkemedel speglar priserna på jämförbara läkemedel. Om ett läkemedel bedöms vara jämbördigt med andra läkemedel får det nya läkemedlet ett pris i linje med dessa läkemedel. Om ett läkemedel däremot bedöms vara bättre än andra läkemedel, kan läkemedlet få ett högre pris än andra läkemedel. Definitionen på jämförbara läkemedel varierar mellan länder. Exempelvis använder Frankrike IRP i de fall där det finns flera läkemedel med jämförbart terapeutiska värden (HAS 2014a).

Den fjärde principen är så kallad extern referensprissättning (ERP), även kallad internationell referensprissättning. Det innebär att priset på ett läkemedel i ett land sätts i relation till läkemedelspriset i andra länder. Ett exempel på detta är Island, vars policy är att priserna i Island ska vara jämförbara med priserna i Sverige, Norge, Danmark och Finland (IMPRC 2011). ERP kan leda till strategier för i vilka länder som företag väljer att introducera läkemedel i först, och i vilka länder företag väljer att avvakta med lansering – beroende på vilka länder som ingår i andra länders referensprissättning. ERP kan också leda till att avtal om läkemedelspriser sekretessbeläggs för att referenspriser inte ska påverkas. Detta gäller exempelvis för Sverige där läkemedelsföretag vill sekretessbelägga de svenska läkemedelspriserna eftersom Sverige ingår i andra länders referensgrupp för prissättning (Vårdanalys 2013 s. 40).

Läkemedelspriser skiljer sig mellan länder. En europeisk jämförelse visar att Sverige ligger ungefär i mitten när det gäller läkemedelspriser för förmånsläkemedel introducerade 2007–2011 (Arnberg 2012). Läkemedelspriserna i Frankrike, England och Norge är lägre än i Sverige medan läkemedelspriserna i Tyskland är högre än i Sverige. När det gäller äldre läkemedel är dessa dyrare i Sverige och en möjlig förklaring är att en del länder använder extern referensprissättning, vilket leder till att priserna kontinuerligt justeras (SOU 2012:75 s. 24).

Läkemedelspriset påverkas av olika faktorer. I en studie jämfördes priserna för sär-läkemedel i Belgien, Nederländerna, Tjeckien, Frankrike, Italien och England (Picavet 2014). Läkemedelspriset påverkades av konkurrerande läkemedel på så vis att om det finns liknande läkemedel blir priset lägre än annars. Författarna kunde även visa att läkemedel med flera användningsområden är dyrare än läkemedel med ett eller ett fåtal användningsområden. Slutligen redovisas i studien att det inte gick att visa något samband mellan läkemedelspriser och hur läkemedel prissätts eller subventioneras.

3 Process för utvärdering av klinikläkemedel i olika länder

Processerna för de hälsoekonomiska utvärderingarna av klinikläkemedel skiljer sig åt mellan olika länder. I detta kapitel beskriver vi kortfattat hur de hälsoekonomiska utvärderingarna av klinikläkemedel fungerar i Australien, England, Frankrike, Kanada, Norge, Nya Zeeland, Skottland och Tyskland. Utifrån beskrivningarna sammanställs i nästa kapitel informationen som berör tre viktiga aspekter: användning av externa experter, patientinvolvering och handläggningstider.

3.1 AUSTRALIEN

Sjukvården i Australien finansieras till största delen av statliga medel och det förekommer privata sjukförsäkringar. Ansvaret för sjukvården är delegerat till Australiens delstater och territorier.

Process för utvärdering i korthet

I Australien kan både förmånsläkemedel och klinikläkemedel subventioneras. Exempelvis subventioneras klinikläkemedlet Yervoy. Subventionsbeslutet fattas av hälso- och finansministeriet, medan *Pharmaceutical Benefits Advisory Committee* (PBAC) utvärderar läkemedel i syfte att lämna en rekommendation om subvention. Utvärderingen tar cirka åtta månader (PBS 2014a) och PBAC består av kliniker, hälsoekonomer samt patientföreträdare.

En utvärdering initieras när läkemedelsföretaget lämnar in en ansökan till PBAC. Ansökan ska både innehålla medicinskt och hälsoekonomiskt underlag. PBAC skickar ansökan till *Drug Utilisation Sub-Committee* (DUSC) och *Economics Sub-Commission* (ESC). DUSC prognostiserar det framtida användandet av läkemedlet och beräknar den totala subventionskostnaden för staten. Vidare kan DUSC få i uppdrag att följa upp den faktiska läkemedelsanvändningen och, vid behov, ändra förskrivningsföreskrifter (PBS 2013). ESC bedömer evidensen i det medicinska och hälsoekonomiska underlaget. När ESC gjort en preliminär bedömning, skickas den till läkemedelsföretaget för synpunkter innan bedömningen skickas till PBAC.

PBAC kan rådfråga experter när de ska lämna en rekommendation om subvention. Exempelvis kan de rådfråga kliniska experter eller patientgrupper inom det aktuella terapiområdet. Vidare har PBAC fasta samarbeten när det gäller vissa typer av läkemedel, exempelvis tillfrågas alltid *Australian technical advisory group on immunisation* när det gäller vacciner.

Patienter och patientgrupper kan även påverka PBAC via så kallade *consumer comments*. *Consumer comments* lämnas via PBAC:s hemsida och består av ett formulär.

Genom formuläret kan patienten beskriva hur det är att leva med en viss sjukdom, vilka fördelar som ses med den nya behandlingen och hur den nya behandlingen troligen skulle förändra vardagen för patienten (Department of Health 2014). PBAC är mån om att inkludera patienterna genom *consumer comments*. Enligt företrädare för *Cancer Voices Australia* (CVA), en stor patientgrupp, för PBAC en kontinuerlig kontakt med olika patientgrupper i syfte att förvarna om när nya läkemedel utvärderas så att patienter och patientgrupper hinner skicka in *consumer comments*. (PBS 2014b, 2014c)

Subventionsbesluten är utförliga. I besluten framgår exempelvis när läkemedlet fick marknadsgodkännande, när läkemedelsföretaget ansökte om att ingå i PBS samt PBAC:s bedömning av det kliniska och hälsoekonomiska underlaget. Beslutet motiveras och i motiveringen ingår hur patienternas synpunkter har påverkat beslutet.

3.2 ENGLAND

Sjukvården England är statligt finansierad genom *National Health Service* (NHS). Utvärderingar i genomförs av *National Institute for Health and Clinical Excellence* (NICE).

Process för utvärdering i korthet

I England introduceras läkemedel i samband med att de får marknadsgodkännande. Visserligen kan en hälsoekonomisk utvärdering initieras innan läkemedlet fått marknadsgodkännande men de flesta läkemedlen utvärderas efter att de introducerats.

Det finns en process för att välja ut vilka läkemedel som ska utvärderas som kallas *scoping*. Målet med en *scoping* är att identifiera läkemedelsutvärderingar som kan få stor påverkan på praxis inom sjukvården eller där det råder osäkerhet om praxis.

En *scoping* initieras av att Hälsoministeriet ger NICE ett antal förslag på olika utvärderingar (NICE 2009). NICE tar därefter fram en så kallad *draft scope*, vilket sätter ramarna för utvärderingen. Detta innebär bland annat att jämförelsealternativen identifieras och att läkemedelsföretagen ombeds att skicka in medicinska och hälsoekonomiska underlag. Vidare ger NICE ett oberoende center (exempelvis universitet eller konsultbyrå) i uppdrag att sätta upp en så kallad *Evidence Review Group* (ERG). Det är sedan ERG:s uppgift att bedöma de kliniska och hälsoekonomiska underlagen. Om ERG bedömer att underlaget inte är tillräckligt kan de själva samla in underlag, exempelvis genom att genomföra en studie.

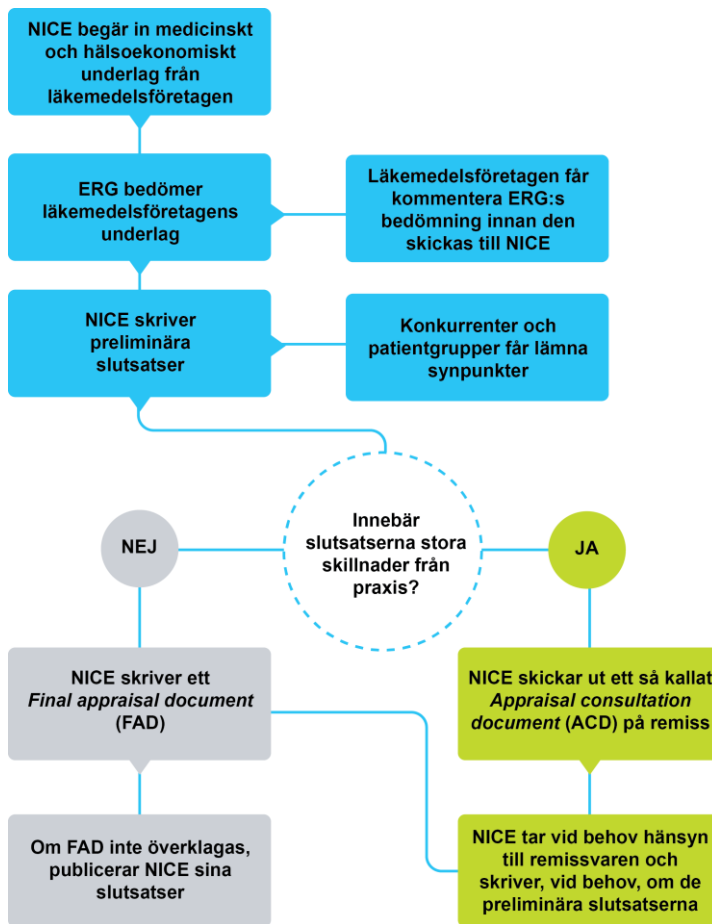
Olika intressenter, exempelvis läkemedelsföretag och patientgrupper, kan lämna synpunkter på *draft scope*. När NICE tagit fram ett *draft scope* försöker de identifiera de olika intressenterna. *Draft scope* skickas till de olika intressenterna som uppmanas att kommentera innehållet. Olika intressenter kan även bjudas in till ett öppet möte för att diskutera *draft scope*. NICE tar därefter fram och skickar ett *final scope* till Hälsoministeriet. Hälsoministeriet beslutar sedan vilka läkemedel som ska utvärderas.

NICE utför två typer av utvärderingar; *Single Technology Assessment* (STA) och *Multiple Technology Assessment* (MTA). En STA utvärderar en viss behandling (exempelvis ett specifikt läkemedel) medan en MTA utvärderar flera behandlingar inom

visst terapiområde. Fortsättningsvis diskuteras endast STA eftersom den är mest relevant i vår internationella jämförelse om hälsoekonomiska utvärderingar.

Själva utvärderingen sker i olika steg och beskrivs i figur 1.

Figur 1. Beskrivning av process för hälsoekonomisk utvärdering i England.



Källa: Vårdanalys egen illustration utifrån NICE 2009.

I figuren framgår att den hälsoekonomiska utvärderingen initieras i och med att NICE begär in medicinskt och hälsoekonomiskt underlag. ERG bedömer underlagen innan NICE skriver preliminära resultat. Om de preliminära resultaten innebär stora skillnader från praxis, exempelvis att ett läkemedel inte längre ska användas i engelsk sjukvård, skickar NICE ut en *Appraisal Consultation Document* (ACD) på remiss. Under remissomgången har exempelvis patientgrupper, tillverkare och sjukvårdsrepresentanter möjlighet att kommentera de preliminära resultaten. NICE skriver sedan en *Final Appraisal Document* (FAD) som, om den inte överklagas, fastställs till NICE:s riktlinje. Företagen har möjlighet att erbjuda ett så kallat *patient access scheme* (PAS) som en del av sitt underlag. Sådana

lösningar syftar till att öka kostnadseffektiviteten och därmed öka möjligheterna att patienter får tillgång till effektiva behandlingar (NICE 2009). Det innebär att företagen erbjuder rabatt på det offentliga listpriset, exempelvis i form av rak rabatt eller någon form av kostnadsdelning där sjukvården endast betalar för behandlingen av de patienter där läkemedlet visar sig ha effekt.

Det finns flera möjligheter för olika intressenter (exempelvis läkemedelsföretag och patientgrupper) att skicka in synpunkter under utvärderingens gång. Bland annat kan läkemedelsföretaget vars produkt utvärderas, kommentera ERG:s bedömning, kommentera ACD och överklaga FAD. Även konkurrenter och patientgrupper får möjlighet att kommentera ERG:s bedömning och NICE:s preliminära slutsatser. Till varje utvärdering finns en kontaktperson knuten för att svara på frågor och ge information.

Handläggningstiden beror på antalet remissomgångar. Tiden från att en utvärdering initieras till att en FAD publiceras är 26 veckor, och om ärendet går genom en ACD tar det 34 veckor. Om tiden då det är möjligt att överklaga FAD:s och NICE:s slutsatser inkluderas, är handläggningstiden 34 veckor utan ACD och 42 veckor med ACD. (NICE 2009)

I samband med att NICE publicerar riktlinjerna sätts en tidsplan upp för när utvärderingen kommer att uppdateras. Om det exempelvis väntas nya studier inom kort kan en uppföljning göras inom ett år. Om det däremot inte väntas några studier inom kort, kan en uppföljning göras om 3–5 år.

3.3 FRANKRIKE

Sjukvården i Frankrike finansieras av statliga medel och beslut kring läkemedel fattas av den franska staten. För att skapa beslutsunderlag finns ett antal expertorgan och dessa är samlade under *Haute Autorité de Santé* (HAS).

Process för utvärdering i korthet

Det finns två expertorgan för utvärdering av läkemedel, *Transparency Committee* (TC) och *Comité Economique des Produits de Santé* (CEPS). Om ett nytt läkemedel ska användas inom den franska sjukvården, ansöker läkemedelsföretaget till TC och CEPS efter att läkemedlet fått marknadsgodkännande. CEPS ansvarar för läkemedlets prissättning medan TC bedömer om klinikläkemedlet ska användas eller inte (när det gäller förmånsläkemedel bedömer TC om ett läkemedel ska subventioneras eller inte). Processen för utvärdering av läkemedel beskrivs i figur 2.

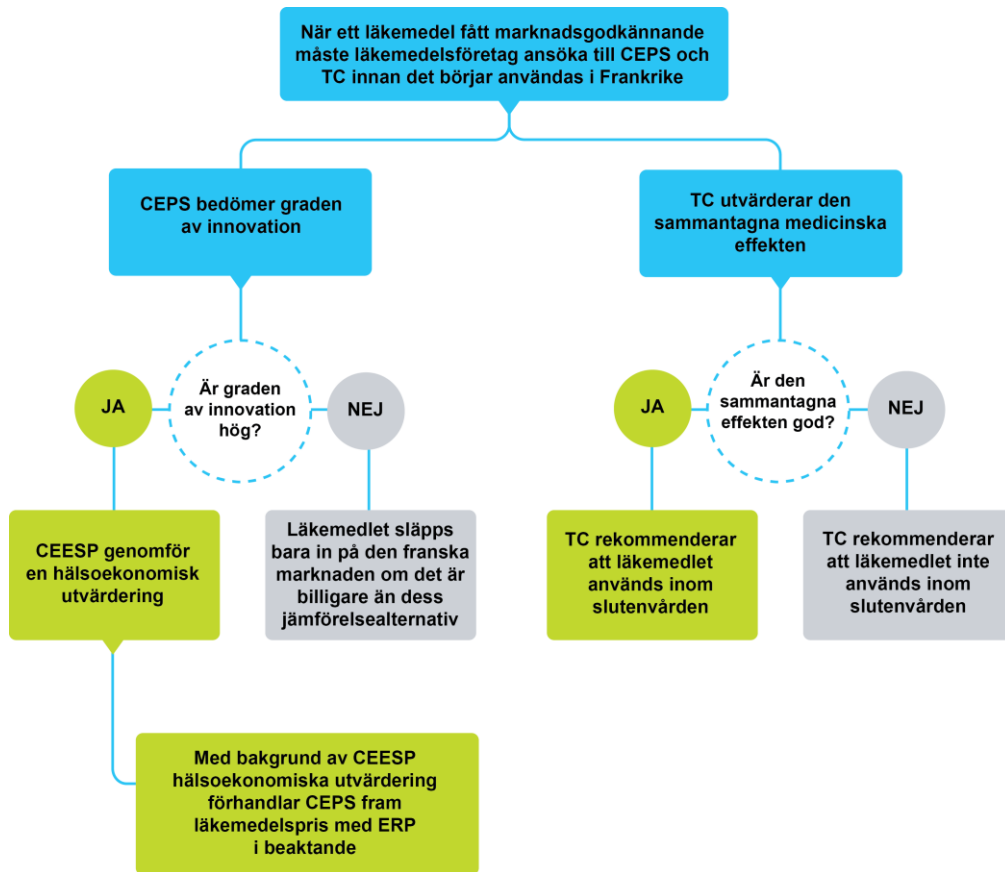
I figuren framgår att utvärderingen följer två spår. I det vänstra spåret beskrivs hur läkemedel prissätts av CEPS och det högra spåret beskriver hur TC arbetar.

När CEPS bedömer läkemedlets prissättning utvärderas läkemedlets grad av innovation jämfört med dess jämförelsealternativ. Jämförelsealternativen utgörs av andra läkemedel med liknande klinisk effekt. Om läkemedlet inte bedöms vara innovativt, använder CEPS intern referensprissättning och läkemedlet får antingen samma eller lägre pris än dess jämförelsealternativ. Om läkemedlet bedöms vara innovativt, jämfört med dess jämförelsealternativ, genomför *Commission Évaluation Économique et de Santé Publique*

(CEESP) en hälsoekonomisk utvärdering (Legifrance 2012). Den hälsoekonomiska utvärderingen initieras genom att läkemedelsföretaget skickar in ett medicinskt och hälsoekonomiskt underlag till CEESP. CEESP kan ta hjälp av HAS nätverk, som består av 3000 externa experter, för att bedöma underlaget (HAS 2013). När CEESP är klar med bedömningen, skickas den tillbaka till CEPS. CEPS bestämmer sedan läkemedelspriset med hjälp av den hälsoekonomiska utvärderingen och extern referensprissättning (HAS 2014a). Utvärderingen uppdateras inom fem år, beroende på när nya vetenskapliga bevis blir tillgängliga. Patientgrupper eller enskilda patienter har ingen möjlighet att påverka HAS.

Den senaste sammanställningen, från 2010, visar att den genomsnittliga handläggningstiden var 209 dagar (7 månader) (CEPS 2011).

Figur 2. Beskrivning av processen för hälsoekonomisk utvärdering i Frankrike.



Källa: Vårdanalys egen illustration utifrån HAS 2014a, 2014b.

3.4 KANADA

Sjukvården i Kanada är decentraliserad till provinser och läkemedelskostnaderna (förmånsläkemedel) bekostas till största delen av privata försäkringar (ISPOR 2011). Även om läkemedelskostnaderna till största delen täcks av privata försäkringar, finns det en central process för utvärdering av läkemedel. *Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health* (CADTH) förser federala, regionala och lokala beslutsfattare med evidens, analys, råd och rekommendationer. Bland annat genomförs utvärderingar av nya läkemedel. Två enheter inom CADTH är väsentliga i sammanhanget. Utvärderingen genomförs av *Common Drug Review* (CDR), och utifrån utvärderingen ger *Canadian Drug Expert Committee* (CDEC) en rekommendation till regionala beslutsfattare. (CADTH 2014a)

För närvarande hanteras cancerläkemedel i en separat process. Cancerläkemedel utvärderas av en separat organisation och processen för utvärdering skiljer sig från andra läkemedel. Eftersom det för närvarande pågår ett arbete med att inkorporera cancerläkemedel i den vanliga processen (pCODR 2014, CADTH 2014b och 2013a s. 7), beskrivs inte processen för cancerläkemedel närmare här.

Process för utvärdering i korthet

CDR:s utvärdering ska, utöver information om medicinsk effekt och säkerhet, i de flesta fall även innehålla en beräkning av kostnadseffektiviteten. Information om kostnadseffektivitet krävs om läkemedlet är det första tillgängliga för ett visst sjukdomsstadium eller om läkemedlet har uppvisat skillnader vad gäller säkerhet eller effektivitet, jämfört med befintliga läkemedel. I andra fall begärs analyser av kostnadskonsekvenser eller detaljerade prisjämförelser. (CADTH 2013b s. 11–17 och 86)

När ett läkemedel tas upp för utvärdering meddelas patientgrupper via en e-postlista. Patientgrupper ges sedan möjlighet att lämna information om hur de ser på det aktuella läkemedlet, hur viktigt det är för patienterna och hur livskvaliteten ser ut och kan tänkas påverkas av det aktuella läkemedlet. Informationen lämnas genom ett särskilt formulär. Enskilda patienter eller vårdgivare kan inte lämna information, utan det måste göras via en patientgrupp. (CADTH 2013a s. 14–13)

Ansökan och eventuella patientkommentarer går igenom och granskas av en grupp bestående av bland annat kliniska och hälsoekonomiska experter. Genomgången resulterar i ett underlag som skickas till det aktuella läkemedelsföretaget för kommentarer. Underlaget och eventuella kommentarer från läkemedelsföretaget, samt svar på dessa, skickas sedan till CDEC och till de regionala beslutsfattarna. CDEC formulerar en preliminär rekommendation och meddelar läkemedelsföretagen samt de regionala beslutsfattarna. Vid detta tillfälle skickas även det slutliga utvärderingsunderlaget till läkemedelsföretagen. (CADTH 2014a och 2013a s. 3)

Härefter inträder en period om två veckor då läkemedelsföretag har möjlighet att begära en omvärdering eller lämna in ett reducerat pris, och de regionala beslutsfattarna kan begära förtydliganden. När eventuella förtydliganden har gjorts och om ingen omvärdering eller ny ansökan begärs, formuleras en slutlig rekommendation.

Rekommendationen kan vara av tre slag: att läkemedlet ska listas, att det ska listas med begränsning eller att det inte ska listas. Det är sedan upp till var och en av de regionala beslutsfattarna att besluta om läkemedlet ska ingå i den provinsiala försäkringen eller inte. (CADTH 2013a s. 1–3)

Såvida inte någon omprövning begärs eller företaget väljer att göra en ny ansökan med ett lägre pris tar processen enligt de angivna tidsramarna 19–25 veckor (5–6 månader). En omprövning eller ansökan med nytt pris tar enligt tidsramarna ytterligare fem veckor (CADTH 2013a s. 4). Bland annat på grund av hög arbetsbelastning kan initieringen av en utvärdering fördröjas, och ansökningar ställs i kö (CADTH 2014c), vilket innebär att tidpunkten från ansökan till rekommendation i praktiken kan överstiga de 19–25 veckorna. Ansökningar kan lämnas in tre månader före förväntat marknadsgodkännande (CADTH 2013a s. 6).

En utvärdering kan få prioriterad status. Detta beviljas om ansökan gäller ett läkemedel med marknadsgodkännande och som är antingen i) effektivt mot ett direkt livshotande tillstånd eller en allvarlig sjukdom där det gör betydande skillnad för patientens hälsotillstånd, eller ii) är kostnadsbesparande. Ansökningar med prioriterad status går igenom hela utvärderingsprocessen, men ges företräde på CDEC:s mötesagenda och går före i de fall flera utvärderingar står i kö att utvärderas. (CADTH 2013a s. 6 och 9, 2014c)

I provinsen Ontario ges möjlighet till ett snabbspår för utvärdering, i syfte att ge patienter snabbare tillgång till särskilt innovativa läkemedel. Om ansökningar lämnas in två månader före marknadsgodkännande är riktmärket att det ska finnas en rekommendation en månad efter marknadsgodkännande. Det innebär att utvärderingen i det här fallet görs på tre månader. (Ontario Ministry of Health and Long-Term Care 2014)

3.5 NORGE

I Norge finansieras sjukvården genom offentliga medel och de fyra *Regionala Helseforetaken* (RHF) styr över slutenvården. Norge tar för närvarande fram nya processer för utvärdering av behandlingar (exempelvis läkemedel) inom slutenvården. Det leder till att alla detaljer för den nya processen ännu inte är bestämda. Det innebär också att den här beskrivningen av processerna är preliminär.

Process för utvärdering i korthet

Det finns tre typer av utvärderingar: *Mini-metodvurdering*, *hurtig metodvurdering* och *fullständig metodvurdering*. *Mini-metodvurdering* genomförs på lokal nivå (RHF) och gäller ett begränsat område. Ett exempel på begränsat område är en viss procedur, exempelvis en ny diagnostik. *Hurtig metodvurdering* genomförs på nationell nivå och använder NICE:s STA som förebild. En *hurtig metodvurdering* genomförs av *Legemiddelverket* om det rör läkemedel, annars utförs den av *Kunnskapssenteret*. En *fullständig metodvurdering* genomförs på nationell nivå och rör ett helt behandlingsområde (använder NICE:s MTA som förebild). Dessa utförs av *Kunnskapssenteret*, även om det gäller läkemedel. Eftersom det för denna promemoria är

mest relevant att beskriva *hurtig metodvurdering*, kommer vi fortsättningsvis att bara beskriva denna. Hela processen beskrivs utförligt av Helsedirektoratet (2013).

En utvärdering initieras av *Bestillerforum RHF*. *Bestillerforum RHF* består av representanter från de fyra RHF, *Helsedirektoratet* och observatörer från *Legemiddelverket* och *Kunnskapssenter*. Till *Bestillerforum RHF* kan alla intressenter, exempelvis patientorganisationer, läkemedelsföretag och sjukhus, lämna förslag om vilka behandlingar (exempelvis läkemedel) som ska utvärderas (*Helsedirektoratet* 2014). *Bestillerforum RHF* har inga uttalade kriterier för vilka läkemedel som ska utvärderas. Däremot anger *Legemiddelverket* att läkemedel med stor budgetpåverkan, eller om det gäller en ny typ av behandling, bör utvärderas. (*Helsedirektoratet* 2012)

Bestillerforum RHF är en ny verksamhet och det första mötet hölls i september 2013. På *Legemiddelverkets* hemsida finns information om vilka uppdrag de fått från *Bestillerforum RHF*, när de börjat utvärdering av ett visst läkemedel och när utvärderingen är klar. I skrivande stund (april 2014) är åtta utvärderingar initierade (däribland Halaven och Perjeta) och inga utvärderingar är avslutade. (*Legemiddelverket* 2014)

Legemiddelverket genomför den hälsoekonomiska utvärderingen av läkemedel. När *Bestillerforum RHF* beslutat att en viss behandling ska utvärderas, begär *Legemiddelverket* in underlag från läkemedelsföretaget. Under själva utvärderingen är det tänkt att *Legemiddelverket* ska samarbeta med läkemedelsföretag, kliniska experter, *Legemiddelverket*, *Helsedirektoratet*, RHF och patienter. Eftersom *hurtig metodvurdering* fortfarande utvecklas, finns ännu inga fasta rutiner för utvärderingen (*Helsedirektoratet* 2012).

RHF:en beslutar sedan enskilt hur den hälsoekonomiska utvärderingen ska implementeras. Vid behov ändras även nationella riktlinjer. Själva utvärderingen beräknas ta 180 dagar.

3.6 NYA ZEELAND

I Nya Zeeland är all sjukvård, förutom läkemedelssubvention, decentraliserad till regionala *District Health Boards* (DHB). Läkemedelssubvention finansieras centralt genom det så kallade *Combined Pharmaceutical Budget* (CPB). Storleken på den årliga CPB:en bestäms av Nya Zeelands hälsominister (PHARMAC 2013a).

Pharmaceutical Management Agency (PHARMAC) har stort inflytande över läkemedelsanvändningen i Nya Zeeland. PHARMAC bestämmer ifall läkemedel ska subventioneras. Detta gäller både läkemedel i öppen- och slutenvården. Vidare förhandlar PHARMAC med läkemedelsföretagen när det gäller inköp av alla läkemedel till slutenvården.

Process för utvärdering i korthet

För att ett läkemedel ska subventioneras måste läkemedelsföretaget själv ansöka till PHARMAC. Ansökan ska både innehålla medicinskt och hälsoekonomiskt underlag. PHARMAC vidarebefordrar ansökan till *Pharmacology and Therapeutics Advisory Committee* (PTAC), vars uppgift är att bedöma innehållet i ansökan och som

rekommenderar PHARMAC om läkemedlets användning. Till sin hjälp har PTAC 21 subkommittéer med olika specialområden. Ett exempel är *cancer treatment subcommittee* och ett annat exempel är subkommittén för diabetes. PTAC eller respektive subkommitté kan även rådfråga externa experter och expertgrupper om de anser att det behövs. (PHARMAC 2010, 2013b)

När PHARMAC har genomfört en hälsoekonomisk utvärdering, inleds en prispförhandling med läkemedelsföretaget. PHARMAC använder intern referensprissättning där läkemedlen delas in i subgrupper. Läkemedel inom en subgrupp har samma eller liknande medicinsk effekt. Läkemedel inom en subgrupp subventioneras upp till kostnaden för det billigaste läkemedlet. Det innebär att patienter som vill ha ett läkemedel vars kostnad är högre än det billigaste i subgruppen själv betalar mellanskillnaden. PHARMAC kan även ingå avtal med kostnadstak. Kostnadstak innebär att läkemedelskostnader över ett visst tak bekostas av läkemedelsföretaget. Hela utvärderingen tar 60–75 dagar (2–2,5 månader). (PHARMAC 2010)

Patientgrupper kan påverka processen genom de så kallade *Consumer Advisory Committee* (CAC). CAC möts minst två gånger per år och även om de kan lämna rekommendationer till PHARMAC om enskilda läkemedel, har CAC inget direkt inflytande över PHARMAC. Av CAC:s mötesprotokoll följer att de inte diskuterar enskilda läkemedel utan andra frågor. Exempelvis diskuterar de hur följsamhet till läkemedelsordinationen kan ökas och hur instruktioner till patienter kan förbättras (PHARMAC 2014).

Det är lätt att följa ansökningsprocessen för ett visst läkemedel i den nyzeeländska processen. PHARMAC har en så kallad *application tracker* på sin hemsida, med vilken det är möjligt att följa ansökningsprocessen för ett läkemedel. Bland annat framgår det när läkemedelsföretaget lämnade in ansökan till PHARMAC och vilka beslut som tagits i samband med ett visst läkemedel. I figur 3 finns *application tracker* för Yervoy som ett exempel. Av figuren framgår att ansökan för Yervoy lämnades in i maj 2012. Vidare framgår det att PTAC i februari 2013 rekommenderade att Yervoy inte skulle omfattas av subvention.

Figur 3. Application tracker för Yervoy.

Application activity

Event	Received application
Date	May '12
Event	Referred to committee
Date	Aug '12
Event	PTAC
Date	Aug '12
Outcome	Recommended for decline
Link to document	PTAC minutes
Event	Referred to committee
Date	Oct '12
Event	CaTSoP Subcommittee
Date	Oct '12
Outcome	Recommended for decline
Link to document	CaTSoP subcommittee minutes
Event	PTAC
Date	Feb '13
Outcome	Recommended for decline
Notes	PTAC accepted subcommittee recommendation

Källa: PHARMAC 2012.

3.7 SKOTTLAND

Det brittiska NHS finansierar sjukvården i Skottland och det skotska NHS ansvarar för vården i Skottland. Vidare är ansvaret för sjukvården delegerat till regionala sjukvårdshuvudmän. Det skotska NHS har en självständig utvärderingsprocess men en MTA som tas fram av NICE gäller även i Skottland.

Process för utvärdering i korthet

Alla läkemedel som ska användas i Skottland utvärderas av *Scottish Medicine Consortium* (SMC). Ett läkemedel får först användas efter att SMC utvärderat läkemedlet. En utvärdering initieras när läkemedelsföretagen lämnar in en ansökan. Ansökan ska både innehålla ett kliniskt och ett hälsoekonomiskt underlag.

SMC består av dels ett beslutande organ och dels ett utredningsstöd, *New Drug Committee* (NDC). Det beslutande organet består av omkring 40 personer, inklusive representanter från de regionala sjukvårdshuvudmännen och från läkemedelsindustrin. De beslut som fattas är tvingande. NDC bistår med underlag inför besluten och består av omkring 20 kliniker, hälsoekonomer och farmaceuter. De har i uppgift att granska kliniska och ekonomiska data. NDC gör en bedömning av ansökan och lämnar sin rekommendation till SMC. (SMC 2014a)

SMC anlitar experter om de själva inte har relevant kunskap. Experterna kommer antingen från det nätverk av experter som finns hos SMC eller från direktrekryteringar ifall SMC anser att de vill knyta en specifik expert till ett projekt. I regel tillfrågas fem experter. De tillfrågade får inledningsvis besvara en rad frågor kring läkemedlet. Bland annat får experterna ange vad de anser om den kliniska evidensen och hur många patienter som kan bli aktuella för behandling i Skottland. Experterna får även ange eventuella jävsförhållanden. När experterna besvarat frågorna, läggs deras synpunkter in i SMC:s bedömning (SMC 2014b och 2014c).

SMC följer ett strikt tidsschema. Figur 4 illustrerar detta genom att redovisa hållpunkterna för de olika delarna av utvärderingsprocessen för första halvåret av 2014. En ansökan kan lämnas in i början av varje månad. Därefter följer en process med bland annat preliminärt beslut, patientkommentarer och kommunikation med läkemedelsföretaget. Drygt fyra månader senare är utvärderingen klar och en riktlinje publiceras på SMC:s hemsida.

Figur 4. Tidpunkter för olika delar i SMC:s utvärderingsprocess 2014.



Källa: SMC 2014d.

Två ytterligare aspekter i SMC:s arbetssätt är intressanta att lyfta fram. För det första finns det möjlighet för intressenter (exempelvis patientgrupper och konkurrenter) att komma in med synpunkter. På SMC:s hemsida framgår det när läkemedel ska utvärderas och när det är möjligt att lämna synpunkter. Vidare har intressenterna mallar där det framgår vilken information de kan lämna. För det andra har SMC en tydlig koppling till de regionala sjukvårdshuvudmännen genom att kommittén till största delen består av representanter från de regionala sjukvårdshuvudmännen. Detta leder till att det finns en direkt förankring till de beslut SMC fattar.

SMC kan godkänna nya läkemedel av två skäl: i) läkemedlet är billigare men har samma effekt som tidigare läkemedel och ii) läkemedlet erbjuder en hälsoförbättring som är rimlig i förhållande till kostnaden. SMC har ingen fastställd tröskel för kostnad per hälsoförbättring, utan poängterar att rimligheten exempelvis påverkas av sjukdomens svårighetsgrad (SMC 2012).

3.8 TYSKLAND

Sjukvården i Tyskland finansieras genom ett privat försäkringssystem (det finns även en offentlig försäkring för dem som inte har möjlighet att skaffa sig en privat). Genom det privata försäkringssystemet är individer kopplade till olika försäkringsbolag

(*Krankenkasse*) och dessa försäkringsbolag har stort inflytande på den tyska sjukvården. Försäkringsbolagen har två samarbetsorgan. Dels finns *National Association of German Sick Fund (GKV-SV)* där enbart försäkringsbolagen är representerade och dels finns *the Federal Joint Committee (G-Ba)* som förutom försäkringsbolag, även inkluderar företrädare för tyska sjukhus.

Process för utvärdering i korthet

Utvärderingar av läkemedel i Tyskland fokuserar på prispförhandlingar. Innan 2011 kunde enskilda försäkringsbolag förhandla med läkemedelsföretag. Efter 2011 har prispförhandlingar centraliserats genom den så kallade *Act on the Reform of the Market for Medical Products (AMNOG)*. I samband med AMNOG:s introduktion bildades även *Institute for Quality and Efficiency in Healthcare (IQWiG)*, för att utvärdera den tyska sjukvården. IQWiG fungerar som ett utredningsstöd åt G-Ba genom att IQWiG kan hjälpa G-Ba med utvärderingar, både medicinska och hälsoekonomiska.

AMNOG innebär i korthet att priser på läkemedel bestäms utifrån hur effektiva de är jämfört med andra läkemedel. Det betyder att ett läkemedel som har större effekt än liknande läkemedel tillåts ha ett högre pris. I gengäld betyder detta att ett läkemedel som bedöms vara lika bra som andra läkemedel, får ett liknande pris som andra läkemedel.

Figur 5 sammanfattar hur processen för utvärderingar ser ut i Tyskland. Läkemedel introduceras i samband med att de får sitt marknadsgodkännande och läkemedelsföretagen får, fram till första prispförhandlingen, fritt bestämma priset. När ett läkemedel introduceras, initierar G-Ba en första utvärdering av läkemedlet, en så kallad *rapid assessment*. En *rapid assessment* görs antingen av G-Ba själva eller av IQWiG och G-Ba bestämmer ifall utvärderingen ska utföras av dem själva eller av IQWiG. I en *rapid assessment* undersöks ifall det nya läkemedlets effekt skiljer sig från tidigare läkemedel. Om det nya läkemedlet bedöms ha jämförbar effekt med tidigare läkemedel, sätts priset genom intern referensprissättning (det nya läkemedlet ges samma pris som tidigare läkemedel). Om det nya läkemedlet däremot bedöms ha en större effekt, jämfört med andra läkemedel, inleds en prispförhandling mellan läkemedelsföretaget och G-Ba. Om de inte når en överenskommelse bestämmer *arbitration board* ett pris som baseras på priserna inom EU-15 (IMS 2012a, Kifmann och Neelsen 2010). Om läkemedelsföretagen och G-Ba inte kom överens om ett pris i prispförhandlingen, inleds en ny utvärdering, en så kallad *full assessment*. En *full assessment* genomförs alltid av IQWiG och innehåller, till skillnad från en *rapid assessment*, även alltid en hälsoekonomisk utvärdering. Till den hälsoekonomiska utvärderingen begär IQWiG in medicinskt och hälsoekonomiskt underlag från läkemedelsföretaget och bedömer underlagen. Målet är att IQWiG ska vara färdig med sin *full assessment* senast tre månader efter att läkemedelsföretaget skickat underlaget till IQWiG.

En ny prispförhandling mellan läkemedelsföretaget och G-Ba följer efter en *full assessment*. Om prispförhandlingen misslyckas även här, fastställer *arbitration board* ett pris som baseras på priserna inom EU-15 (IMS 2012a, Kifmann och Neelsen 2010). Det finns också tecken på att företag som en konsekvens av prispförhandlingarna i några fall

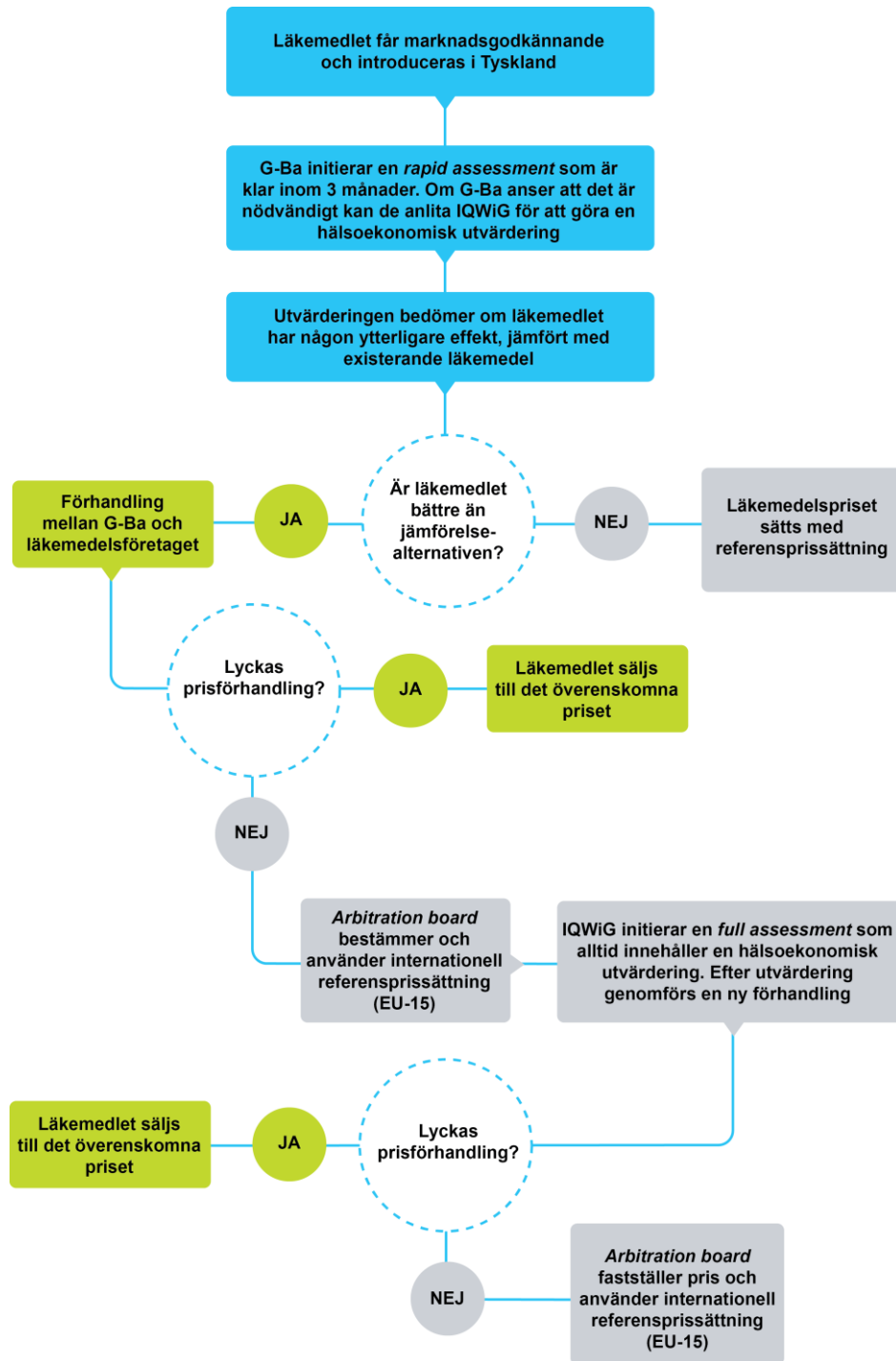
väljer att inte lansera i Tyskland, eller att dra tillbaka läkemedel som lanserats antingen temporärt eller permanent (Schlette 2013, Reese 2014).

IQWiG är enligt lag tvingade att använda externa experter i sina utvärderingar. De externa experternas uppgift är att bedöma det medicinska och hälsoekonomiska underlaget. För att rekrytering av externa experter ska gå snabbt, får potentiella experter anmäla sig till IQWiG:s databas över externa experter, varifrån IQWiG rekryterar. (IQWiG 2013)

För att säkerställa att olika synpunkter kommer till tals, finns det två möjligheter att påverka utvärderingen. För det första kan olika intressenter (exempelvis patientgrupper) lämna in kompletterande material (exempelvis preliminära resultat från en studie) i samband med att IQWiG utvärderar ett läkemedel. Om det råder oklarheter om det kompletterande materialet kan IQWiG bjuda in till en debatt där materialet som lämnades in diskuteras. (IQWiG 2014)

För det andra kan olika intressenter kommentera IQWiG:s slutsatser. När IQWiG presenterar sina slutsatser har intressenter fyra veckor på sig att komma med synpunkter. Precis som med kompletterande material kan IQWiG bjuda in till en debatt för att diskutera IQWiG:s slutsatser och vid behov ändra slutsatserna. (IMS 2012a)

Figur 5. Process för hälsoekonomisk utvärdering av kliniskläkemedel i Tyskland.



Källa: Vårdanalys egen illustration utifrån IMS 2012a samt Kifmann och Neelsen 2010.

4 Sammanställning av ländernas arbete med externa experter, patient-involvering och handläggningstider

I föregående kapitel beskrivs hur klinikläkemedel utvärderas i olika länder. Detta kapitel jämför hur länderna skiljer sig åt när det gäller användande av experter, möjlighet för patienter att vara delaktiga i processen och handläggningstid.

4.1 ANVÄNDANDE AV EXTERNA EXPERTER

Externa experter fyller en viktig roll i bedömningarna av de medicinska och hälsoekonomiska underlagen. De tillför nödvändig och oberoende kompetens. Genom att engagera kliniker i bedömning av de medicinska och hälsoekonomiska underlagen, tas den kliniska kompetensen till vara och kvaliteten på bedömningen ökar. När det gäller oberoende, poängterar Drummond och medförfattare (2008) att experters oberoende från de beslutande organen kan öka beslutens legitimitet och, i förlängningen, efterlevnad.

Gemensamt för alla länder som ingår i vår internationella utblick är att de kan använda externa experter. Däremot skiljer sig länderna åt när det gäller i vilken utsträckning externa experter används. I vissa länder, exempelvis Frankrike (HAS) och Nya Zeeland (PTAC) tillfrågas externa experter ibland. I Nya Zeelands fall innebär detta att de tillfrågar externa experter om de själva inte anser sig ha tillräcklig kunskap inom ett specifikt område. I andra länder, exempelvis Tyskland, är IQWiG skyldiga att använda externa experter. Detta innebär att IQWiG alltid använder externa experter för att bedöma det medicinska och hälsoekonomiska underlaget.

En del länder rekryterar externa experter från nätverk. Exempelvis rekryterar HAS från ett nätverk bestående av 3 000 externa experter. Detsamma gäller SMC:s (Skottland) nätverk av externa experter. Genom att ha nätverk av externa experter kan rekryteringen underlättas. Bland annat kan tidsödande rekrytering undvikas. Detta kan leda till att bedömningarna blir klara snabbare.

England (NICE) skiljer sig från övriga länder när det gäller de externa experternas roll. Genom att NICE lägger ut hela bedömningen på externa experter (så kallade *Evidence Review Group*, ERG), är NICE helt frikopplat från själva bedömningen. Jämfört med andra länder innebär användandet av ERG att England är det land med störst oberoende mellan bedömning och det beslutande organet.

4.2 PATIENTINVOLVERING

Genomgången i kapitel 3 visar att länderna i princip involverar patienter på tre sätt. För det första kan patienter involveras genom att de får lämna synpunkter. Detta kan både innebära att patienter kan lämna generella synpunkter om ett läkemedel (exempelvis Australien) och att patienterna får kommentera preliminära beslut. Genom att patienter får kommentera preliminära beslut, skapas en kvalitetsgranskande funktion som förhindrar att viktiga aspekter (exempelvis bieffekter) glöms bort.

Patienter eller patientgrupper måste känna till att de kan lämna synpunkter. Flera länder arbetar aktivt med att patienters synpunkter ska skickas in. I England finns en uppsökande verksamhet där de skickar de preliminära besluten till berörda patientgrupper. I Skottland finns en uppdaterad hemsida där det framgår när utvärderingar för olika läkemedel är planerade att ske och det finns även mallar att använda för att skicka in synpunkter. I Kanada går det ut ett e-postmeddelande till patientgrupper när en utvärdering initieras så att de uppmärksammas på att det kan vara aktuellt att lämna synpunkter på ett läkemedel som berör dem.

I de flesta länder har patienter möjlighet att lämna synpunkter under utvärderingens gång. Bland länderna där det är möjligt att lämna synpunkter, är det i vissa länder (exempelvis Kanada) inte möjligt för enskilda patienter att lämna synpunkter. I stället kan endast patientgrupper lämna synpunkter.

För det andra kan patienter ingå i rådgivande organ. I Nya Zeeland är det möjligt för patienter att sitta med i ett patientråd (CAC). Påverkan på besluten verkar dock vara begränsad. Dels diskuteras inte enskilda läkemedel under CAC:s möten, utan i stället diskuteras andra frågor (exempelvis följsamhet). Dels träffas de bara omkring två gånger per år, vilket leder till att även om de skulle vilja diskutera enskilda läkemedel, skulle de inte ha möjlighet att hinna diskutera alla läkemedel.

För det tredje kan patienter representeras i de beslutande organen. I Australien sitter patientföreträdare, exempelvis *Cancer Voices*, med i PBAC:s styrelse. Genom att representeras i det beslutande organet, har patientföreträdarna möjlighet till direkt inflytande över beslutsprocessen i Australien. Det utmärkande med *Cancer Voices* är att det är en organisation med utbildade, i vissa fall professionella, patientrepresentanter (exempelvis jurister). De har kunskap om beslutsprocessen och hälsoekonomiska modeller. Detta har resulterat i ett förhållandevis stort genomslag jämfört med patientrepresentanter i många andra länder, men *Cancer Voices Australia* (2014) själva beskriver inflytandet över PBAC som "begränsat".

4.3 HANDLÄGGNINGSTID

Långa handläggningstider fördröjer sannolikt patienters tillgång till ett visst läkemedel. Om det inte finns några alternativa behandlingar, kan långa handläggningstider innebära att en patient inte ges någon behandling alls. Tabell 1 visar en sammanställning av de handläggningstider som vi har funnit i vår genomgång av de olika ländernas processer för utvärderingar. De handläggningstider som redovisas är i huvudsak de som anges i officiella beskrivningar av processerna för respektive land. För Frankrike redovisas dock

information från en studie av faktisk handläggningstid (CEPS 2011). Den faktiska handläggningstiden är längre än den information som ges officiellt (sju respektive sex månader). Det är naturligtvis möjligt att samma tendens återfinns i de andra länderna.

Tabell 1. Sammanställning av handläggningstider.

Land	Handläggningstid
Australien	8 månader
England	10 månader
Frankrike	7 månader
Kanada*	3 månader, 5–6 månader
Norge	6 månader
Nya Zeeland	2–2,5 månader
Skottland	4,5 månader
Tyskland	3 månader

* Handläggningstiden om tre månader avser snabbspåret Ontario rapid review. En ordinarie utvärdering inom det nationella systemet tar enligt tidsplanen 5–6 månader.

Av tabell 1 framgår att det finns stora skillnader när det gäller handläggningstider. Exempelvis har Australien och England betydligt längre handläggningstider än Nya Zeeland och Tyskland. Kanadas handläggningstid beror på om det är en så kallad *rapid review* eller inte. Om det är en *rapid review* är handläggningstiden tre månader, annars är den 4,5–6 månader lång.

Eftersom utvärderingsprocesserna i olika länder skiljer sig åt är det svårt att jämföra handläggningstider rakt av. Utvärderingarna kan hålla olika kvalitet, vara olika omfattande och innehålla olika delar. Det är exempelvis möjligt att handläggningstiden påverkas av vilka möjligheter det finns för läkemedelsföretag och patientorganisationer att komma med synpunkter under utvärderingen. Det kan alltså finnas en motsättning mellan de viktiga aspekterna att låta intressenter komma till tals och att inte fördröja tillgången till nya läkemedel.

Vår länderjämförelse ger inget tydligt svar på vad som skapar långa respektive korta handläggningstider, och om det finns en motsättning mellan att ta till vara intressenters intressen och handläggningstider. I England och Australien tillåts läkemedelsföretag att inkomma med synpunkter på preliminära bedömningar av underlag och preliminära beslut, och i båda dessa länder är handläggningstiden relativt lång. I Skottland får läkemedelsföretag inkomma med synpunkter flera gånger under utvärderingens gång. Ändå är handläggningstiden betydligt kortare. Skillnaden mellan processen i Skottland och exempelvis i England är att läkemedelsföretag hos SMC har färre dagar på sig att svara på de preliminära resultaten. Färre antal dagar att svara skulle kunna leda till att läkemedelsföretag inte hinner svara. Men eftersom processen i Skottland följer en på förhand bestämd tidsplan kan företagen förbereda sig innan de preliminära resultaten publiceras.

Handläggningstiden kan troligen påskyndas om det finns ett förutbestämt schema, där det framgår hur lång tid olika aktörer har till sitt förfogande. Det kan exempelvis gälla

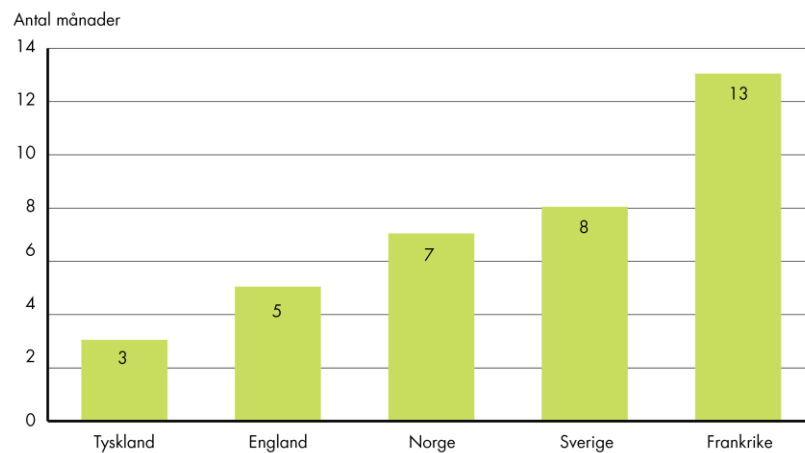
leverans av underlag från externa experter. Vidare, genom att följa ett förutbestämt schema kan aktörer förbereda sina insatser. Detta gäller exempelvis patientgrupper som genom ett förutbestämt schema känner till när de ska lämna synpunkter. Vår länderjämförelse ger inte några tydliga samband mellan uttalade tidsscheman och handläggningstider. Processen i Skottland har tydliga hållpunkter och relativt korta handläggningstider, men även i Australien finns ett tidsschema och här är handläggningstiderna bland de längre i vår jämförelse. Handläggningstiden påverkas sannolikt också av hur stora resurser en viss utvärdering får.

Även om långa handläggningstider sannolikt fördröjer patienters tillgång till läkemedel, påverkas tillgängligheten även av andra faktorer. Ett sätt att mäta tillgänglighet till läkemedel i ett land är att mäta tiden mellan marknadsgodkännande och att läkemedlet börjar användas, där försäljning indikerar att produkten används. Figur 6 presenterar den genomsnittliga tiden mellan ett läkemedels marknadsgodkännande och att försäljning påbörjas, i Sverige och i fyra av de länder som ingår i vår internationella utblick. Figuren visar att det finns stora skillnader mellan länderna. I Tyskland och England är den genomsnittliga tiden under ett halvår medan den är över ett halvår i Norge och Sverige. I Frankrike är den genomsnittliga tiden över ett år. I Australien uppges det ta i genomsnitt 14 månader mellan marknadsgodkännande och att patienter får tillgång till nya cancerläkemedel (Deloitte 2013). Information för Kanada, Nya Zeeland och Skottland saknas.

Resultaten i figuren ovan kan inte direkt relateras till handläggningstiderna i utvärderingsprocesserna. Såsom framgår i tabell 1 har Tyskland förvisso kort handläggningstid, vilket är i linje med figur 6. Men i Tyskland påbörjas en utvärdering först efter att ett läkemedel har introducerats, vilket gör att Tysklands handläggningstid inte är en del av tiden mellan marknadsgodkännande och lansering som redovisas i figur 6. Även i England sker utvärderingen först efter introduktionen – trots relativt lång handläggningstid kan läkemedel börja användas i samband med marknadsgodkännande, och handläggningstiden är längre än tiden mellan marknadsgodkännande och lansering. När det gäller Frankrike är vidare handläggningstiden sju månader medan figur 6 visar att lanseringen kan dröja 13 månader.

En faktor, vid sidan om handläggningstider, som påverkar när patienter får tillgång till läkemedel, och som sannolikt utgör en del av förklaringen till variationen i figur 6, är läkemedelföretagens lanseringsstrategier. Enligt OECD (2008 s. 65) kan det dröja 6–9 månader mellan ett marknadsgodkännande och att läkemedelsföretag skickar in ansökan om pris och subvention. Det finns flera skäl till varför en ansökan kan dröja. Exempelvis kan myndigheten ställa krav på insamlad klinisk evidens och den kan ta lång tid att samla in. Vidare kan prissättning av ett läkemedel i ett land påverka prissättningen i ett annat land (se extern referensprissättning i kap 2). En fördjupad diskussion om lanseringsstrategier för läkemedel finns i SOU 2012:75.

Figur 6. Genomsnittlig tid mellan marknadsgodkännande (EMA) och påbörjad försäljning för läkemedel som fick EMA-godkännande 2006–2010. Figuren baseras på figur 3 i IMS 2012b och bygger på en analys av totalt 96 produkter.



Källa: IMS 2012b.

5 Slutsatser

I denna promemoria har vi kortfattat presenterat utvärderingsprocesser i åtta länder och därefter jämfört ländernas arbete med externa experter, patientinvolvering och handläggningstider. Nedan presenterar vi några slutsatser som vi anser kan utgöra värdefulla inspel till utvecklingen av den svenska modellen.

► *Det finns flera sätt att öka patienternas delaktighet i utvärderingsprocessen*

I vår utvärdering av den svenska processen för hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel konstaterar vi att möjligheten för olika ståndpunkter att komma till tals är begränsad. Detta gäller inte minst patienterna som inte har någon tydlig roll, trots deras centrala ställning och funktion som intressent i processen. Vi bedömer också att patientinvolvering är viktigt för att säkerställa legitimitet i processen.

Vår internationella utblick visar att det finns rutiner för patientinvolvering i någon form i alla länder utom i Frankrike. På vilket sätt patienter involveras varierar. I många länder ges patienter eller patientgrupper möjlighet att lämna kommentarer om deras perspektiv på hur det är att leva med den aktuella sjukdomen och lämna synpunkter på preliminära beslut. I andra länder finns det patientrepresentanter i beslutande eller rådgivande organ.

Det är naturligtvis viktigt att rutinerna för patientinvolvering inte bara införs för sakens skull, utan att de också resulterar i delaktighet. Delaktigheten kan vara av olika slag, eller ha olika syften. Det kan exempelvis röra sig om förankring hos relevant patientgrupp, kommunikation, inhämtande av information eller delaktighet i det faktiska beslutet. Komplicerade beslutsprocesser och hälsoekonomiska modeller gör att många patientföreträdare saknar verktygen, språket och kunskaperna som möjliggör reellt inflytande i beslutssituationen.

På vilket sätt patienter bäst involveras beror till viss del på vad som bedöms ha det största värdet, för patienterna och för utvärderingsprocessen. Vår analys svarar inte på vilket reellt inflytande patienter har på utvärderingsprocessen i andra länder, men den internationella utblicken ger uppslag för olika möjliga sätt att arbeta vidare med frågan. Några exempel på intressanta uppslag är:

1. Utbilda patientrepresentanterna i grunderna i evidensbaserad medicin, hälsoekonomi och beslutsfattande. Detta skulle ge möjlighet till större reellt inflytande.
2. Patientorganisationerna kan samarbeta mer för att dela på arbetet på det sätt som exempelvis *Cancer Voices Australia* gör. Detta skulle också ge små diagnoser möjlighet till representation.

3. Patienterna kan få mer vägledning och stöd i att lämna synpunkter. Detta kan till exempel ske genom formulär på hemsidan, en kontaktperson och exempel som visar hur det kan se ut.

► *Den internationella utblicken kan fungera som riktmärke för vad som är rimliga handläggningstider*

I vår utvärdering av den svenska processen konstaterar vi att handläggningstiderna är för långa. Initialt tog det 10–20 månader. Sedan starten av den svenska försöksverksamheten har handläggningstiderna förkortats en del, men vi menar att de fortfarande är för långa (Vårdanalys 2014). Generellt sett tar det åtminstone åtta månader, och det finns fortfarande fall där processen inte är avslutad trots att det har gått mer än ett år.

Den internationella jämförelsen visar att handläggningstiderna varierar ganska mycket mellan länder: från två till tre månader i Nya Zeeland och Tyskland till tio månader i England. Även om det kan finnas en avvägning mellan kvalitet och handläggningstid, leder långa handläggningstider sannolikt till att introduktionen av nya läkemedel försenas. Det är därför centralt att det sker en avvägning mellan korta handläggningstider och kvalitet.

Vi har ingen ambition att exakt avgöra vad som är en godtagbar handläggningstid i den svenska processen, men kan utifrån den internationella jämförelsen konstatera att det är möjligt att genomföra en utvärdering på relativt kort tid och betydligt snabbare än vad som sker i Sveriges i dagsläget. Baserat på vår sammanställning av handläggningstider kan tio månader ses som en absolut övre gräns – men då ska det hållas i åtanke att den tio månader långa utvärderingen i England sker *efter* att läkemedlet har introducerats. Sex till åtta månader som riktmärke för *en övre gräns* är därför kanske mer rättvisande.

I slutrapporten för projektet om *Ordnat införande i samverkan (OtIS)* föreslås att en utvärdering ska påbörjas tre månader innan marknadsgodkännande, och att rekommendationen ska vara klar fem till sex månader senare (inklusive prisdiskussion i förekommande fall) (Sveriges Kommuner och Landsting 2014). Vi bedömer att detta är en bra ambition i jämförelse med andra länders tidsplaner. Det är naturligtvis viktigt att följa upp hur de planerade handläggningstiderna faller ut i praktiken. Vi bedömer att en bra ambition i jämförelse med andra länders tidsplaner är att påbörja en utvärdering, om det också faller ut så i praktiken. Det föreslås också i (OtIS 2014).

Genomgången av andra länders handläggningstider visar som sagt att det också verkar fullt möjligt att genomföra en utvärdering snabbare än så. Detta öppnar upp för möjligheten att skapa ett snabbspår, i likhet med den möjlighet som ges genom *Ontario rapid review* i Kanada. I vår utvärdering av det svenska klinikläkemedelsprojektet (Vårdanalys 2014) diskuterar vi införandet av ett sådant snabbspår som ett möjligt sätt att påskynda introduktionen av särskilt angelägna läkemedel. Innan ett snabbspår kan införas, behöver det finnas rutiner, och tydliga kriterier, för hur ett läkemedel väljs ut att ingå i snabbspåret.

► *Välstrukturerade och informativa hemsidor bidrar till transparens, förutsägbarhet och förståelse för processen*

I utvärderingen av den svenska processen konstaterar vi också att det råder brist på transparens och förutsägbarhet (Vårdanalys 2014). Det lämnas ingen information om när rekommendationer förväntas vara färdiga eller i vilken fas i processen som utredningen för tillfället befinner sig. Motiven för urvalet av vilka läkemedel som utvärderas redovisas inte och det saknas utvecklade resonemang till varför ett läkemedel mynnar ut i en positiv eller negativ rekommendation.

I den internationella utblicken har vi hittat flera goda idéer och exempel på hur transparens, förutsägbarhet och förståelse för processen kan ökas. I Skottland finns det en på förhand bestämd tidsplan, med fastställda datum för olika delar av utvärderingsprocessen, som bidrar till tydlighet och förutsägbarhet. Hemsidan för denna tidsplan är informativ och lättnavigerad, och det är enkelt att söka efter läkemedel och hitta vilket beslut som tagits om det. I Nya Zeeland finns det en så kallad *application tracker* där man enkelt kan söka ett läkemedel och få information var i processen det befinner sig. Det finns alltså flera verktyg och idéer på den internationella arenan att inspireras av för att förbättra den svenska modellen.

► *Arbetet med externa experter kan ske på olika sätt*

I arbetet med utvärderingen av den svenska processen fann vi att det i vissa fall initialt tog lång tid att rekrytera externa (medicinska) experter till de hälsoekonomiska utvärderingarna och att de externa experternas oberoende i något fall ifrågasattes (Vårdanalys 2013, 2014).

Den internationella utblicken visar att användande av externa experter är ett vanligt inslag även i andra länder. Utblicken ger exempel på olika sätt att rekrytera och arbeta med experter. I några länder finns det fasta nätverk med experter varifrån rekrytering sker – både Frankrike och Skottland har stora sådana nätverk. Beroende på hur stort nätverket är, och hur enkelt det är att rekrytera potentiella experter till ett sådant nätverk, skulle detta kunna göra det enklare att hitta experter till de enskilda utvärderingarna.

England använder sig av en annan modell för arbetet med externa experter. Där läggs hela den hälsoekonomiska utvärderingen ut på externa aktörer såsom exempelvis universitet eller konsultbyråer.

► *Mer internationellt samarbete kring utvärderingar skulle kunna vara en intressant utveckling*

Avslutningsvis vill vi lyfta fram internationella samarbeten som en möjlig utveckling. I dagsläget sker många utvärderingar parallellt i flera länder samtidigt. Det är sannolikt att flera länder bedömer samma vetenskapliga underlag. För att undvika dubbelarbete och skapa en snabbare process, bör det finnas möjlighet till samarbeten. Visserligen finns det skillnader mellan länder, som måste beaktas i den hälsoekonomiska modellen (exempelvis patientpopulation och prisskillnader), men det bör ändå gå att samarbeta mellan olika länder. Grunden i utvärderingarna bör kunna vara gemensamma, även om varje land

sedan behöver göra vissa justeringar (exempelvis för patientpopulation) för att utvärderingen ska kunna vara tillämplig i respektive land. Förutom att samarbeten kan förkorta handläggningstider, kan de även leda till att länder lär av varandra, i syfte att skapa en bättre utvärderingsprocess.

6 Referenser

- Arnberg, K., Linnér, L. och Lundin, D. (2012). *Prisutveckling på läkemedelsområdet i ett internationellt perspektiv – En internationell prisjämförelse av läkemedel utan generisk konkurrens*. Stockholm: Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket.
- CADTH – Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (2013a). *Procedure for Common Drug Review – January 2013*. Tillgängligt: www.cadth.ca/media/cdr/process/CDR_Procedure_e.pdf. [2014-04-22].
- CADTH – Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (2013b). *Common Drug Review Submission Guidelines for Manufacturers*. Tillgängligt: www.cadth.ca/media/cdr/process/CDR_Submission_Guidelines_e.pdf. [2014-04-22].
- CADTH – Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (2014a). Tillgängligt: www.cadth.ca/en/products/cdr/cdr-overview. [2014-03-22].
- CADTH – Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (2014b). Tillgängligt: www.cadth.ca/en/products/pcodr. [2014-03-22].
- CADTH – Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (2014c). Tillgängligt: www.cadth.ca/en/products/cdr/cdr-overview/queuing-cdr-submissions. [2014-03-22].
- Cancer Voices Australia (2014). *Access to high cost cancer drugs*. Position statement. Tillgängligt: www.cancervoicesaustralia.org/wp-content/uploads/2014/02/Position-Statement-Access-to-high-cost-drugs-CVA.pdf. [2014-06-10].
- CEPS (2011). *Healthcare Products Pricing Committee – Annual report 2010*. HAS orphan medicines. Tillgängligt: www.sante.gouv.fr/IMG/pdf/Rapport_annuel_2010_Final_EUK-v_graph.pdf. [2014-04-30].
- Deloitte Access Economics (2013). *Access to cancer medicines in Australia*. Medicines Australia Oncology Industry Taskforce.
- Department of Health (2014). *PBAC Meeting Agenda and Consumer Comments*. Tillgängligt: www.health.gov.au/internet/main/publishing.nsf/Content/PBAC-Meeting-Agenda-and-Consumer-Comments-1p. [2014-05-05].

- Drummond, M. F., Schwartz, J. S., Jönsson, B., Luce, B. R., Neumann, P. J., Siebert, U. och Sullivan, S. D. (2008). Key principles for the improved conduct of health technology assessments for resource allocation decisions. *International Journal of Assessment in Health Care*, vol 24, s. 244–258.
- EMA (2014a). *Pending EC decisions*. Tillgängligt: www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/landing/smop_search.jsp. [2014-04-29].
- EMA (2014b). *EMA and Australian regulator strengthen collaboration in the area of orphan medicines*. Tillgängligt: www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/news_and_events/news/2014/04/news_detail_002062.jsp&mid=WCOb01ac058004d5c1. [2014-05-20].
- HAS (2013). *About HAS*. Tillgängligt: www.has-sante.fr/portail/jcms/r_1455134/en/about-has. [2014-06-09].
- HAS (2014a). *Pricing & Reimbursement of drugs and HTA policies in France – March 2014*. Tillgängligt: www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2014-03/pricing_reimbursement_of_drugs_and_hta_policies_in_france.pdf. [2014-04-18].
- HAS (2014b). *Reglement interieur de la commission evaluation economique et sante publique - Adopté par décision n° 2014.0040/DC/MJ du collège de la Haute Autorité de santé*. HAS
- Helsedirektoratet (2012). *Statens legemiddelverks rolle – Hurtige metodvurderinger av legemidler*. Tillgängligt: <http://helsedirektoratet.no/helse-og-omsorgstjenester/system-for-innforing-av-nye-metoder-ny/Documents/Statens%20legemiddelverks%20rolle%20ved%20Elisabeth%20Bryn.pdf>. [2014-04-20].
- Helsedirektoratet (2013). *Nasjonalt system for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten – for bedre og tryggere pasientbehandling*. Tillgängligt: <http://helsedirektoratet.no/helse-og-omsorgstjenester/system-for-innforing-av-nye-metoder-ny/Documents/Systembeskrivelse.pdf>. [2014-01-10].
- Helsedirektoratet (2014). *Hvem gjør hva?* Tillgängligt: <http://helsedirektoratet.no/helse-og-omsorgstjenester/system-for-innforing-av-nye-metoder/om-metodevurderinger/hvem-gjor-hva/Sider/default.aspxa>. [2014-06-17].
- IMPRC – Icelandic Medicine Pricing and Reimbursement Committee (2011). Tillgängligt: www.lgn.is/gogn/icelandic_medicine_pricing_and_reimbursement_committee_13_oct_2011.doc. [2014-06-17].

IMS (2012a). *AMNOG: Seven Learnings for Strategic Market Access Decisions in Germany*. Tillgängligt:
www.imsconsultinggroup.com/deployedfiles/consulting/Global/Content/Our%20Latest%20Thinking/Static%20Files/AMNOG_seven_learnings_stratehttp://www.janusinfo.se/Nyheter/Nyhetslista/2013/Fri-prissattning-pa-lakemedel-utanfor-formanen/.
 [2014-05-03].

IMS (2012b). *Pricing & Market Access Outlook 2012*. IMS consulting group.

IQWiG (2013). *General Methods. Version 4.1, 28 November 201*. Institute for quality and efficiency in healthcare (IQWiG). Tillgängligt:
www.iqwig.de/download/IQWiG_General_Methods_Version_%204-1.pdf. [2014-06-09].

IQWiG (2014). *The commenting procedure (hearings)* Institute for Quality and Efficiency in Health Care. Tillgängligt:
www.iqwig.de/en/participation_/commenting_procedures_hearings/the_commenting_procedure_hearings.3075.html. [2014-04-05].

ISPOR (2011). *Canada – Pharmaceuticals*. Tillgängligt:
www.ispor.org/htaroadmaps/canadapharm.asp. [2014-04-23].

Janusinfo (2013). *Fri prissättning på läkemedel utanför förmånen*. Stockholms läns landsting. Tillgängligt: www.janusinfo.se/Nyheter/Nyhetslista/2013/Fri-prissattning-pa-lakemedel-utanfor-formanen/. [2014-04-20].

Kifmann, M. och Neelsen, S. (2010). *Germany's Struggle with Prices or Patentprotected Drugs*. CES info, DICE report.

Legemiddelverket (2014). *Bestilte helseøkonomiske analyser*. Tillgängligt:
www.legemiddelverket.no/Blaa_resept_og_pris/Sykehuslegemidler/Pagaende%20helsoekonomiske%20analyser/Sider/default.aspx. [2014-04-20].

Legifrance (2012). *Décret n° 2012-1116 du 2 octobre 2012 relatif aux missions médico-économiques de la Haute Autorité de santé*. Tillgängligt:
www.legifrance.gouv.fr/affichTexte.do;jsessionid=?cidTexte=JORFTEXT000026453514&dateTexte=&oldAction=rechJO&categorieLien=id. [2014-04-15].

Läkemedelsverket (2011). *Läkemedelsverkets verksamhet*. Tillgängligt:
www.lakemedelsverket.se/overgripande/Om-Lakemedelsverket/Verksamhet/. [2014-04-07].

- NICE (2009). *Guide to the single technology appraisal process*. National Institute for Health and Clinical Excellence. Tillgängligt:
www.nice.org.uk/media/42D/B3/STAGuideLrFinal.pdf. [2013-10-25].
- OECD (2008). *Pharmaceutical Pricing Policies in a Global Market*. Paris: OECD. Tillgängligt:
<http://whocc.goeg.at/Literaturliste/Dokumente/FurtherReading/Pharmaceutical%20Pricing%20Policies%20in%20a%20Global%20Market.pdf>. [2014-06-14].
- OECD (2013). *Health at a Glance 2013 – OECD Indicators*. Paris: OECD. Tillgängligt:
www.oecd.org/els/health-systems/health-at-a-glance.htm. [2014-06-09].
- Ontario Ministry of Health and Long-Term Care (2014). Tillgängligt:
www.health.gov.on.ca/english/providers/pub/drugs/dsguide/docs/rapid.pdf. [2014-04-22].
- PBS (2013). *DUSC Review on the Utilisation of Antipsychotics - August 2013*. Tillgängligt:
www.pbs.gov.au/info/industry/listing/elements/pbac-meetings/psd/2013-08/antipsychotics. [2014-04-25].
- PBS (2014a). *Guidelines for preparing submissions to the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee*. Tillgängligt: www.pbac.pbs.gov.au/. [2014-04-25].
- PBS (2014b). *Economics Sub Committee (ESC)*. Tillgängligt:
www.pbs.gov.au/info/industry/listing/participants/economics-subcommittee-esc. [2014-04-25].
- PBS (2014c). *Role of the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee*. Tillgängligt:
www.pbac.pbs.gov.au/information/role-of-pbac.html. [2014-04-25].
- pCODR – pan-Canadian Oncology Drug Review (2014). Tillgängligt:
www.pcodr.ca/wcpc/portal/Home?_afrLoop=551235769110000&_afrWindowMode=0&_adf.ctrl-state=cr57c11cn_4. [2014-03-22].
- PHARMAC (2010). *Guidelines for Funding Applications to PHARMAC*. Tillgängligt:
www.pharmac.health.nz/assets/funding-applications-guidelines.pdf. [2014-05-25].
- PHARMAC (2012). *Ipilimumab*. Tillgängligt:
www.pharmac.govt.nz/patients/ApplicationTracker?ProposalId=667. [2014-06-09].
- PHARMAC (2013a). *Introduction to PHARMAC*. Tillgängligt:
www.pharmac.health.nz/assets/infosheet-01-intro-2013.pdf. [2014-04-23].

- PHARMAC (2013b). *Getting involved in PHARMAC decision making*. Tillgängligt: www.pharmac.health.nz/assets/infosheet-13-get-involved-in-decision-making-2013.pdf. [2014-05-25].
- PHARMAC (2014). *Consumer Advisory Committee (CAC)*. Tillgängligt: www.pharmac.health.nz/about/committees/consumer-advisory-committee-cac/. [2014-05-19].
- Picavet, E., Morel, T., Cassiman, D. och Simoens, S. (2014). Shining a light in the black box of orphan drug pricing. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, vol. 9:62.
- Reese, U., Besen, M. och Milbradt, C. (2014). *Germany - Trends & Developments. Legal Practice Guide Life Sciences 2013-2014*. Tillgängligt: www.chambersandpartners.com/guide/practice-guides/location/228/5428/815-199
- Schlette, S. och Hess, R. (2013). *Early Benefit Assessment for Pharmaceuticals in Germany: Lessons for Policymakers. Issues in International Health Policy*. New York, USA: The Commonwealth Fund.
- SMC (2012). *SMC Modifiers used in Appraising New Medicines*. Tillgängligt: www.scottishmedicines.org.uk/About_SMC/Policy_Statements/SMC_Modifiers_used_in_Appraising_New_Medicines. [2014-04-20].
- SMC (2014a). *Working with SMC – A guide for manufacturers*. Tillgängligt: www.scottishmedicines.org.uk/files/submissionprocess/Working_with_SMC_July_2014.pdf. [2014-06-10]
- SMC (2014b). *Clinical Experts*. Tillgängligt: www.scottishmedicines.org.uk/About_SMC/Who_we_are/Clinical_Experts. [2014-06-10].
- SMC (2014c). *SMC Process for Consulting Clinical Experts*. Tillgängligt: www.scottishmedicines.org.uk/files/SMCProcessforConsultingClinicalExperts.pdf. [2014-06-09].
- SMC (2014d). *Timelines for Submission to secretariat and review by NDC and SMC*. Tillgängligt: www.scottishmedicines.org.uk/Submission_Process/Submission_Guidance_and_Templates_for_Industry/Timelines. [2014-04-14].
- Vårdanalys – Myndigheten för vårdanalys (2013). *Vad är nyttan med hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel? Delrapport*. (Rapport 2013:5). Stockholm: Vårdanalys.

Vårdanalys – Myndigheten för vårdanalys (2014). *Värdefullt men inte fullvärdigt. Om nytan med hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel.* (Rapport 2014:4). Stockholm: Vårdanalys.

Utvärdering av klinikläkemedel – internationella exempel

Den här promemorian ger en introducerande översikt till åtta andra länders arbete med utvärdering av klinikläkemedel och består av kortfattade beskrivningar av ländernas processer. Promemorian är ett underlagsmaterial till Vårdanalys utvärdering av den svenska försöksverksamheten kring hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel (Vårdanalys rapport 2014:4).

Myndigheten för vårdanalys (Vårdanalys) uppgift är att ur ett patient-, brukar- och medborgarperspektiv följa upp och analysera hälso- och sjukvården, tandvården och gränssnittet mellan vården och omsorgen. Vårdanalys har patienternas och brukarnas behov som utgångspunkt i sina granskningar. Myndigheten ska också verka för att samhällets resurser används på bästa sätt för att skapa en så god hälsa och patientupplevd kvalitet som möjligt. Syftet är att bistå vården och omsorgen med att förbättra kvalitet och effektivitet – förbättringar som ytterst ska komma patienter, brukare och medborgare till del.

