

**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**

Joar Røkke Fystro, Avdeling for helseledelse og helseøkonomi, Universitetet i Oslo

Overlevert til ekspertgruppen og dens sekretariat 1. november 2023

Sammendrag

Det norske systemet for Nye metoder og Blåreseptordningen har enkelte unntaksordninger. I Nye metoder kan det søkes om unntak for enkeltpasienter og pasientgrupper, slik at det noen ganger kan tillates at et legemiddel tas i bruk før Beslutningsforum har avgjort om det skal tilbys i spesialisthelsetjenesten. Etter at Beslutningsforum har besluttet å ikke innføre en metode, kan det ikke lenger gjøres unntak hverken for enkeltpasienter eller pasientgrupper, noe som også vil gjelde i tilfeller hvor metoden er oppe til ny vurdering. Innenfor Blåreseptordningen kan det derimot gjøres unntak både før og etter en beslutning om hvorvidt et legemiddel skal ha forhåndsgodkjent refusjon («blå resept») foreligger. I denne rapporten har jeg undersøkt unntaksordningene i systemene for å beslutte hvilke metoder som skal tilbys på offentlige sykehus og hvilke reseptlegemidler som skal ha refusjonsstatus, i landene Danmark, Finland, Island, Nederland, Sverige og UK (Storbritannia og Nord-Irland). Funnene viser at flere land – herunder Danmark, Island, England, Skottland og Wales – har tilsvarende muligheter til å innvilge unntak for pasienter eller pasientgrupper for å kunne ta i bruk metoder (først og fremst legemidler) som ikke normalt tilbys i spesialisthelsetjenesten, men unntakene kan i de nevnte landene også gjøres etter at ansvarlige myndigheter har besluttet å ikke innføre en metode. I Skottland kan det for eksempel innvilges midlertidig unntak når metoden er til revurdering. Videre er unntaksordningene for reseptlegemidler som tilbys utenfor sykehusene, i stor grad sammenfallende med ordningene i Norge, selv om det er forskjellige ordninger og kriterier i de ulike landene. Det kan innvilges unntak for pasienter og pasientgrupper for legemidler både med og uten markedsføringstillatelse, og det kan søkes om unntak også etter at refusjonsstatus er blitt vurdert av ansvarlige myndighet. Samtidig eksisterer det mange forskjellige programmer, for eksempel rettet spesielt mot kreftmedisiner i UK og mot smale legemidler («orphan drugs») i flere av landene, som er ment å gi raskere tilgang til legemidler for spesifikke indikasjoner eller til utvalgte pasientgrupper. Det eksisterer også ofte såkalte parallelle vurderingsløp, i betydningen at markedsføringstillatelse og tilgangen til legemiddelet på sykehus og/eller refusjonsstatus utenfor sykehusene vurderes samtidig. Noen av landene har også løsninger som synes å skille seg fra de andre landene. I Nederland vil for eksempel legemidler som enten koster mindre enn 40 millioner euro per år over hele Nederland, eller dersom bruken av legemiddelet for en eller flere nye indikasjoner koster mindre enn 50 000 euro per pasient og mindre enn 10 millioner euro per år over hele Nederland, i utgangspunktet tilbys i den offentlige helsetjenesten. Dersom legemidlene koster mer enn dette, havner de i en såkalt låseprosedyre («lock procedure»), hvor det vil vurderes

om kostnadene forsvarer nytten av å bruke legemiddelet. Samlet gir denne rapporten en oversikt over systemene for metodevurdering og -beslutning i landene Danmark, Finland, Island, Nederland, Sverige og UK (Storbritannia og Nord-Irland), og den gjør rede for unntaksordningene som er identifisert i arbeidet med rapporten, for å kunne få tilgang til og/eller refusjon på metoder gjennom den offentlige helsetjenesten i de ulike landene.

Innholdsfortegnelse

1. Innledning	5
1.1. Oppdragsbeskrivelse.....	5
1.2. Forståelse av og rammer for oppdraget.....	5
1.3. Fremgangsmåte.....	5
1.4. Det norske systemet	6
2. Funn	8
2.1. Danmark	8
2.1.1. Overordnet om systemet	8
2.1.2. Unntaksordninger.....	9
2.1.3. Kriterier for unntak	12
2.2. Finland.....	14
2.2.1. Overordnet om systemet	14
2.2.2. Unntaksordninger.....	15
2.2.3. Kriterier for unntak	16
2.3. Island	18
2.3.1. Overordnet om systemet	18
2.3.2. Unntaksordninger.....	20
2.3.3. Kriterier for unntak	21
2.4. Nederland	22
2.4.1. Overordnet om systemet	22
2.4.2. Unntaksordninger.....	23
2.4.3. Kriterier for unntak	26
2.5. Sverige	27
2.5.1. Overordnet om systemet	27
2.5.2. Unntaksordninger.....	28
2.5.3. Kriterier for unntak	30
2.6. UK (Storbritannia og Nord-Irland)	32
2.6.1. Overordnet om systemet	32
2.6.2. Unntaksordninger.....	32
2.6.3. Kriterier for unntak	37
Referanser	42

1. Innledning

1.1. Oppdragsbeskrivelse

Oppdraget var som følger: «Undersøke og kartlegge unntaksordninger i systemer som er ekvivalente til det norske systemet for Nye Metoder, samt blåreseptordningen. Det bes om en nærmere undersøkelse av følgende land: Danmark, Finland, Island, Nederland, Sverige og UK (NHS). Rapporten skal skrives på norsk. Det bes videre om at du undersøker hvilke kriterier som eventuelt legges til grunn for unntak i de overnevnte landene.»¹ Fristen for oppdraget var 1. november 2023.

1.2. Forståelse av og rammer for oppdraget

Undertegnende har anlagt en bred forståelse av begrepet «unntaksordninger», forstått her som muligheter for å ta i bruk metoder (inkludert undersøkelser, behandlinger, legemidler, medisinsk utstyr m.m.), eller dekke kostnadene til disse metodene, som ikke følger den ordinære prosessen for å avgjøre eller anbefale hvilke metoder som skal inkluderes og tilbys i den offentlige helsetjenesten. En slik bred forståelse av unntaksordninger er anlagt for å gi flest mulig innfallsvinkler til og innspill om ulike lands unntaksordninger til ekspertgruppen. Etersom oppdraget har vært av begrenset varighet (opptil 70 timer), og er ment å omfatte en undersøkelse av unntaksordningene i seks ulike land, har det ikke vært mulig å få en dyptgående og omfattende forståelse av de respektive landenes systemer og unntaksordninger. Følgelig kan det være upresisheter og mangler i rapporten, og funnene bør av den grunn ikke betraktes som uttømmende beskrivelser av landenes systemer og unntaksordninger.

1.3. Fremgangsmåte

For å finne frem til informasjon om de nevnte landenes systemer og unntaksordninger, har jeg gjort litteratursøk i databaser, først og fremst PubMed, og oppsøkt det enkelte landets nasjonale nettsider for helsetjenesten og beslutningssystem for godkjenning og tilgang til nye metoder. Avslutningsvis kontaktet jeg relevante myndigheter og aktuelle nøkkelpersoner per e-post/og eller telefon for å innhente mer informasjon og kvalitetssikre informasjonen jeg allerede hadde funnet frem til.

¹ Fra oppdragsbrev mottatt 09.10.23.

1.4. Det norske systemet

Ettersom funnene fra denne rapporten vil vurderes opp mot det norske systemet for å bestemme hvilke foreskrevete legemidler som skal refunderes utenfor sykehusene (Blåreseptordningen) og hvilke metoder som skal innføres på de offentlige sykehusene (Nye metoder), vil jeg kort gjøre rede for både Blåreseptordningen og Nye metoder.

Statens legemiddelverk (Legemiddelverket) er ansvarlig myndighet for å innvilge markedsføringstillatelse i Norge.² Videre gjennomfører Legemiddelverket metodevurderinger av legemidler.³ Beslutningen om et legemiddel skal innvilges forhåndsgodkjent refusjon («blå resept») tas på grunnlag av prioriteringskriteriene ressursbruk, nytte og alvorlighet.⁴ Dersom kostnaden for det offentlige ved å refundere legemiddelet vil bli mer enn 100 millioner kroner i minst ett av de første fem årene, vil Helse- og omsorgsdepartementet vurdere om legemiddelet skal tas i bruk, og regjeringen vil eventuelt legge frem saken for Stortinget.⁵ Selv om et legemiddel ikke er tatt med i Blåreseptordningen, kan en lege søke om *individuell stønad*.⁶ Denne unntaksordningen kan anvendes i tilfeller hvor det kan dokumenteres at ressursbruken står i et rimelig forhold til nytten av behandlingen av legemiddelet når tilstandens alvorlighet er tatt hensyn til.⁷ For legemidler med markedsføringstillatelse foreligger det etter 2018 krav om gjennomført metodevurdering, men det kan også søkes om individuell stønad for legemidler som ikke har markedsføringstillatelse.⁸ Samtidig kan det i særskilte tilfeller innvilges gruppeunntak for legemidler som er rettet inn mot særskilt små pasientgrupper med en svært alvorlig tilstand, der forventet nytte av legemiddelet er stor.⁹

² Statens legemiddelverk. (2023, 6. september). «Slik godkjennes legemidler». <https://www.legemiddelverket.no/godkjenning/godkjenning-og-oppfolging-av-markedsforingstillatelse/soknad-om-markedsforingstillatelse/slik-godkjennes-legemidler> (lest 31.10.23).

³ Statens legemiddelverk. (2023, 4. september). «Metodevurdering av legemidler». <https://www.legemiddelverket.no/offentlig-finansiering/metodevurdering-av-legemidler> (lest 31.10.23).

⁴ Statens legemiddelverk. (2023, 6. september). «Slik får legemidler offentlig finansiering». <https://www.legemiddelverket.no/offentlig-finansiering/slik-far-legemidler-offentlig-finansiering> (lest 31.10.23).

⁵ Statens legemiddelverk. (2023, 6. september). «Slik får legemidler offentlig finansiering».

⁶ Helsedirektoratet. (2023, 4. oktober). «Tredelt finansieringsansvar for legemidler». <https://www.helsedirektoratet.no/tema/legemidler/legemiddelfinansiering/refusjon-av-legemidler> (lest 31.10.23).

⁷ Blåreseptforskriften. Forskrift om stønad til dekning av utgifter til viktige legemidler mv. av 28. juni 2007 nr. 814. <https://lovdata.no/dokument/SF/forskrift/2007-06-28-814>, § 3.

⁸ Blåreseptforskriften, § 3.

⁹ Legemiddelforskriften. Forskrift om legemidler til mennesker av 18. desember 2009 nr. 1839. <https://lovdata.no/dokument/SF/forskrift/2009-12-18-1839>, § 14-5.

Nye metoder er et nasjonalt system for å beslutte hvilke metoder som skal tilbys i spesialisthelsetjenesten i Norge.¹⁰ Prioriteringskriteriene ressursbruk, nytte og alvorlighet danner grunnlaget for vurderingene i Nye metoder, slik de gjør det for vurderingene av hvilke legemidler som skal refunderes gjennom Blåreseptordningen.¹¹ Beslutningsforum er organet som fatter beslutninger om en metode skal innføres eller ikke.¹² I utgangspunktet kan ikke en metode som er til vurdering i Beslutningsforum, tas i bruk i spesialisthelsetjenesten.¹³ Siden det likevel kan oppstå behov for unntak, er to unntaksordninger etablert. Den ene ordningen for unntak innebærer at det kan søkes om *unntak for enkeltpasienter*.¹⁴ Forutsetningene for et slikt unntak er (a) at legemiddelet har markedsføringstillatelse, (b) at etablert behandling skal være kontraindisert, eller forsøkt og ikke tolerert, og (c) at det på bakgrunn av fremlagt dokumentasjon er grunn til å tro at effekten av behandlingen vil være vesentlig større enn for gruppen som helhet.¹⁵ Søknaden vil håndteres i helseforetaket som har behandlingsansvar for pasienten. Den andre unntaksordningen som er etablert, er at det kan søkes om *gruppeunntak*.¹⁶ Slike unntak kan være aktuelle i tilfeller hvor en metode allerede er tatt i bruk og det er ønskelig at bruken ikke skal avsluttes mens metoden er til vurdering, eller i tilfeller hvor en metode er så lovende med hensyn til kost-nytteeffekt at det ikke er ønskelig å vente med å ta metoden i bruk til Beslutningsforum er ferdig med vurderingen.¹⁷ I motsetning til ved søknader om unntak for enkeltpasienter, er ikke markedsføringstillatelse et absolutt krav for å innvilge gruppeunntak.¹⁸ Etter at Beslutningsforum har besluttet å ikke innføre en metode, kan det ikke lenger gjøres unntak hverken for enkeltpasienter eller pasientgrupper.¹⁹

¹⁰ Nye metoder. (2020, 22. desember). «Bakgrunn: Hvorfor har vi Nye metoder?». <https://nyemetoder.no/om-systemet/bakgrunn-hvorfor-har-vi-nye-metoder> (lest 31.10.23).

¹¹ Nye metoder. (2020, 22. desember). «Bakgrunn: Hvorfor har vi Nye metoder?».

¹² Nye metoder. (2023, 3. april). «Beslutningsforum for nye metoder og nasjonale beslutninger». <https://nyemetoder.no/om-systemet/beslutningsforum-for-nye-metoder-og-nasjonale-beslutninger> (lest 31.10.23).

¹³ Regionale helseforetak. (2023). Unntaksordningen i Nye metoder. <https://www.helse-vest.no/contentassets/89b1ed2c364f4c70ace25852f33b2179/styredokument-2023/15.02.2023/sak-00323-vedl.-ad-si-orien.-pkt-7---rapport-fra-de-regionale-helseforetak-om-unntaksordningen-innenfor-nye-metoder.pdf>, s. 8.

¹⁴ Nye metoder. (2023, 25. august). «Unntaksordning». <https://nyemetoder.no/om-systemet/unntaksordning> (lest 31.10.23).

¹⁵ Nye metoder. (2023, 25. august). «Unntaksordning».

¹⁶ Nye metoder. (2023, 25. august). «Unntaksordning».

¹⁷ Nye metoder. (2023, 25. august). «Unntaksordning».

¹⁸ Nye metoder. (2023, 25. august). «Unntaksordning».

¹⁹ Nye metoder. (2023, 25. august). «Unntaksordning».

2. Funn

I det følgende vil jeg legge frem hva jeg har funnet ut om unntaksordningene i henholdsvis Danmark, Finland, Island, Nederland, Sverige og UK (Storbritannia og Nord-Irland). Jeg presenter funnene land for land i forannevnte rekkefølge. Jeg starter med en enkel, grovmasket presentasjon av systemet for metodevurdering og -beslutning i det enkelte landet. Deretter redegjør jeg for hvilke unntaksordninger som jeg har identifisert i landets system, før jeg til slutt spesifiserer hvilke kriterier som legges til grunn for de ulike unntakene – dersom slike kriterier er avdekket.

2.1. Danmark

2.1.1. Overordnet om systemet

Danmark har en helsetjeneste med universell dekning og hvor den offentlige andelen av de totale helseutgiftene er 83 % (tall fra 2019).²⁰ Medicinrådet ble etablert i 2017 av Danske regioner, og er en sammenslåing av det tidligere Koordineringsrådet for ibrugtagning af sygehusmedicin (KRIS) og Rådet for anvendelse av dyr sygehusmedicin (RADS).²¹ Ansvarsområdene til Medicinrådet inkluderer å utarbeide anbefalinger om hvilke nye legemidler som skal utgjøre mulige standardbehandlinger på sykehus, behandlingsveiledere og legemiddelanbefalinger.²² Alle nye behandlinger som er godkjent av den danske Lægemiddelstyrelsen eller Det europeiske legemiddelbyrået (EMA), kan vurderes av Medicinrådet.²³ Videre kan leverandører søke om å få nye legemidler vurdert, samtidig som Medicinrådet også kan initiere metodevurderinger på egenhånd.²⁴ Metodevurderingene gjøres basert på Folketingets syv overordnede prinsipper for prioritering mellom ulike sykehuslegemidler: faglighet, uavhengighet, geografisk likhet, åpenhet, hurtig implementering av ny, effektiv medisin, mer helse for pengene og adgang til behandling.²⁵ Samtidig som Medicinrådet utfører en faglig vurdering, forbereder Amgros – et selskap som eies av de fem regionene – en helseøkonomisk analyse, hvor formålet er å vurdere og beregne hvilket

²⁰ OECD/European Observatory on Health Systems and Policies. (2021). Denmark: Country Health Profile 2021, State of Health in the EU. <https://www.oecd.org/health/denmark-country-health-profile-2021-2dce8636-en.htm>, s. 8.

²¹ Petersen CL, Hansen MR, Øhlenschläger T og Damkier P. (2023). An analysis of the level of evidence behind treatments recommended by the Danish Medicines Council. Public Health, 216, s. 27–29. <https://doi.org/10.1016/j.puhe.2023.01.004>

²² Medicinrådet. (u.å.). «Om os». <https://medicinraadet.dk/om-os> (lest 18.10.23).

²³ Petersen CL, et al. (2023).

²⁴ Petersen CL, et al. (2023).

²⁵ Sundheds- og ældreministeriet. Princippapir om prioritering for sygehuslægemidler. 2016.

prisintervall regionene vil akseptere i prisforhandlinger med leverandøren.²⁶ AmgroS forhandler deretter pris med leverandøren. Anbefalingene til Medicinrådet er ikke juridisk bindende, men den uttalte hensikten med samarbeidet mellom rådet og regionene er at anbefalingene blir fulgt.²⁷ For godkjente legemidler vil pasientene få et tilskudd for utgiftene, mens noen medisiner er godkjent med et klausulert tilskudd for bestemte indikasjoner.²⁸ Medisinsk utstyr vurderes av Behandlingsrådet, som ble opprettet av Danske regioner i 2021.²⁹ Regionene er heller ikke juridisk forpliktet til å følge anbefalingene fra Behandlingsrådet, men det foreligger en forventning om at regionene følger disse anbefalingene også. Lægemiddelstyrelsen beslutter hvilke reseptlegemidler som skal ha tilskudd og dekkes av det offentlige.³⁰

2.1.2. Unntaksordninger

Betinget anbefaling/protokollert ibruktaging: Medicinrådet kan anbefale legemidler i en tidsbegrenset periode mens det innsamles ytterligere data om legemiddelets effekt, sikkerhet og eventuelt omkostninger.³¹ Når datainnsamlingen er avsluttet, vil rådet ta stilling til om legemiddelet fortsatt skal anbefales for pasientgruppen.³² I forbindelse med at rådet beslutter å ikke anbefale et legemiddel som standardbehandling, bestemmer rådet samtidig om det skal undersøkes om kriteriene for å innvilge en betinget anbefaling kan oppfylles for det konkrete legemiddelet.³³

Betinget anbefaling om medisinsk utstyr: Behandlingsrådet kan i tillegg til å anbefale at en løsning enten anvendes eller igangsettes, eller at løsningen ikke anbefales, beslutte at

²⁶ Danske regioner. (2016). Modell for vurdering af læremidler. <https://medicinraadet.dk/media/q40ln52p/model-for-brug-af-betingede-anbefalinger-i-medicin%C3%A5det-adlegacy.pdf> (lest 18.10.23), s. 3.

²⁷ Kristensen K og Waage F. (2021). Jurdisk notat om off-label. <https://medicinraadet.dk/media/bn2j5gil/juridisk-notat-om-off-label-adlegacy.pdf> (lest 18.10.23), s. 13.

²⁸ Lægemiddelstyrelsen. (2022, 14. desember). «Individuelle tilskudd til medicin». <https://laegemiddelstyrelsen.dk/da/tilskud/individuelle-tilskud/> (lest 19.10.23).

²⁹ Proba samfunnsanalyse. (2021). Evaluering av systemet for Nye metoder i spesialisthelsetjenesten. Rapport 2021-16. <https://www.regjeringen.no/contentassets/09874a0573eb480384061da473458ed1/rapport-evaluering-nye-metoder-2021115-ferdig.pdf> (lest 18.10.23), s. 63.

³⁰ Sunhed.dk. (2023, 31. mars). «Tilskud til medicin». <https://www.sundhed.dk/borger/sygdom-og-behandling/medicin/tilskud-til-medicin/> (lest 29.10.23).

³¹ Danske regioner. (2021). Model for brug av betingede anbefalinger i Medicinrådet. <https://medicinraadet.dk/media/q40ln52p/model-for-brug-af-betingede-anbefalinger-i-medicin%C3%A5det-adlegacy.pdf> (lest 18.10.23), s. 2.

³² Danske regioner. (2021). Model for brug av betingede anbefalinger i Medicinrådet, s. 2.

³³ Danske regioner. (2021). Model for brug av betingede anbefalinger i Medicinrådet, s. 4.

løsningen anbefales til vitenoppsamling.³⁴ Det betyr at løsningen tas i bruk forutsatt at det samtidig genereres mer viten om for eksempel effektivitet og omkostninger fordi det er tvil om verdien til løsningen.

Individuell vurdering: Danske regioner har utarbeidet en veileder for anvendelse av legemidler som ikke er blitt anbefalt av Medicinrådet, hvor det heter at det kan være tilfeller der den behandlingsansvarlige lege, etter å ha foretatt en samlet vurdering av en pasient, vurderer at det er særlige forhold som gjør at man bør overveie å tilby et legemiddel som ikke er anbefalt av Medicinrådet.³⁵ En slik vurdering skal alltid forelegges den ansvarlige overlege og på en legekonsferanse, hvor flere spesialister vurderer fordeler og ulemper ved behandlingen av den konkrete pasienten. Før beslutningen tas, bør saken forelegges et faglig forum, for eksempel den regionale legemiddelkomité, som raskest mulig og innen 14 dager vurderer om man skal anbefale bruk av legemiddelet. Deretter er det opp til den behandlingsansvarlige lege å fatte en endelig beslutning.³⁶

Anvendelse av alvorlighetsprinsippet: Medicinrådet kan akseptere en større betalingsvillighet for meget dyr behandling desto større avstand en pasientgruppes helse («helbred») er fra perfekt helse («sundhed»), ut fra en betraktning om at dette har høyere moralsk verdi.³⁷ Derunder kan alvorlighet også gjenspeile seg i et samfunnsmessig perspektiv, hvis behandlingen eller mangel på samme behandling har alvorlige konsekvenser for samfunnet og ikke bare den enkelte. Rådets anbefalinger baserer seg alltid på en helthetsvurdering, hvor alvorlighetsprinsippet ikke trumfer andre nødvendige og relevante hensyn. Når alvorlighetsprinsippet tas med i rådets beslutningsgrunnlag, åpnes det opp for (a) å akseptere utgifter av et nytt legemiddel som er høyere enn hva rådet vanligvis aksepterer og (b) anbefale et nytt legemiddel når evidensgrunnlaget ikke er tilstrekkelig til at rådet vanligvis anbefaler det.³⁸

³⁴ Danske regioner. (2020). Danske Regioners model for et Behandlingsråd. <https://behandlingsraadet.dk/media/wythb4k4/bilag-1-model-for-behandlingsraade-nov-2020.pdf> (lest 19.10.23), s. 10.

³⁵ Danske regioner. (2018). Vejledning om anvendelse af lægemidler som ikke er anbefalet af Medicinrådet. <https://www.regioner.dk/media/10311/anvendelse-af-ikke-anbefalede-laegemidler.pdf> (lest 19.10.23), s. 2.

³⁶ Danske regioner. (2018). Vejledning om anvendelse af lægemidler som ikke er anbefalet af Medicinrådet, s. 2.

³⁷ Medicinrådet. (2020). Anvendelse af alvorlighedsprincippet. <https://medicinraadet.dk/media/weanjre/mediciner%C3%A5dets-anvendelse-af-alvorlighedsprincippet-januar-2021.pdf> (lest 19.10.23), s. 1.

³⁸ Medicinrådet. (2020). Anvendelse af alvorlighedsprincippet, s. 1.

Enkeltstønad til medisin: Leger eller tannleger kan søke om enkelttilskudd i de tilfeller pasienten ikke har generelt tilskudd eller ikke oppfyller kriteriene til klausulert tilskudd for et legemiddel.³⁹ Et enkelttilskudd betyr at tilskuddet gjelder det spesifikke innholdsstoffet til den spesifikke pasient, hvilket innebærer at det *ikke* er et tilskudd som gis én gang og, et enkelttilskudd vil gjelde alle legemidler med samme innholdsstoff og legemiddelform.⁴⁰ Søkeren må begrunne hvorfor pasienten bør behandles med det aktuelle legemiddelet.

Forhøyet tilskudd til medisin: Leger eller tannleger kan også søke om forhøyet tilskudd, hvilket betyr at det anses som nødvendig å behandle en pasient med et dyrere, synonymt legemiddel enn det billigere synonyme legemiddelet.⁴¹ Det skal være meget gode grunner til at det rimeligere legemiddelet ikke benyttes, og med mindre det er tale om meget alvorlige bivirkninger (f.eks. allergisk reaksjon), vil det normalt ikke være tilstrekkelig at det er gjennomført et behandlingsforsøk. Forhøyet tilskudd betyr at tilskuddet utbetales tilsvarende legemiddelets faktiske pris istedenfor tilskuddsprisen.⁴²

Terminaltilskudd: En lege kan søke om terminaltilskudd til en døende pasient når pasienten er i en terminal fase av sykdommen, hvor det er helt opplagt at pasientens forventende restlevetid er på få uker til få måneder, og sykehusbehandling med henblikk på helbredelse er utsiktsløs.⁴³ Terminaltilskuddet er til pasienter som velger å dø i eget hjem eller på hospice, og for eksempel pleies av nærstående, kommunen eller personalet på et hospice. Tilskuddet dekker alle utgiftene til legeordinert medisin og innvilges for en periode på 12 måneder.⁴⁴

Off-label bruk av legemidler: En lege kan innenfor rammene av hva som anses som faglig forsvarlig, foreskrive medisiner til bruk utenfor rammene av markedsføringstillatelsen, hvilket kan bety utenfor det godkjente området for legemiddelet samt i andre doser enn hva som er godkjent.⁴⁵ I forbindelse med pasienter med livstruende sykdommer, kan legen rådføre seg med Sundhetsstyrelsens ekspertpanel.⁴⁶

³⁹ Lægemiddelstyrelsen. (2022, 14. desember). «Individuelle tilskudd til medisin».

⁴⁰ Lægemiddelstyrelsen. (2022, 14. desember). «Individuelle tilskudd til medisin».

⁴¹ Lægemiddelstyrelsen. (2022, 14. desember). «Individuelle tilskudd til medisin».

⁴² Lægemiddelstyrelsen. (2022, 14. desember). «Individuelle tilskudd til medisin».

⁴³ Lægemiddelstyrelsen. (2022, 14. desember). «Individuelle tilskudd til medisin».

⁴⁴ Lægemiddelstyrelsen. (2022, 14. desember). «Individuelle tilskudd til medisin».

⁴⁵ Kristensen K og Waage, F. (2021). Jurdisk notat om off-label, s. 5.

⁴⁶ Sundhedsstyrelsen. (2023, 20. april). «Foresørgsel og henvisning om eksperimentell behandling». <https://sundhedsstyrelsen.dk/da/viden/Sundhedsvaesen/Henvisning-og-patientrettigheder/Eksperimentel-behandling/Forespoergsel-og-henvisning> (lest 19.10.23).

2.1.3. Kriterier for unntak

En **betinget anbefaling** kan i utgangspunktet anvendes dersom samtlige av de følgende kriteriene er oppfylt.⁴⁷

1. *Medicinrådet vil ikke anbefale legemidlet som mulig standardbehandling fordi det er for stor usikkerhet om effekt, sikkerhet og/eller omkostninger.* Rådet vurderer at legemidlet utgjør en bedre behandling enn eksisterende standardbehandling, men størrelsen på effekten er vanskelig å vurdere på grunn av manglende dokumentasjon.
2. *Legemidlet kan sannsynligvis være kostnadseffektivt ved den tilbudte prisen.* Det innebærer at det på bakgrunn av den helseøkonomiske analysen og prisen som er fremforhandlet av Amgros, er rimelig sannsynlig at forholdet mellom legemiddelets kliniske effekt og omkostninger «kan være rimeligt».
3. *Flere data vil kunne redusere de kliniske usikkerheter.* Det skal kunne innsamles data innen en rimelig tidshorisont, som i utgangspunktet forstås som opp til 24 måneder. Siden karakteren til usikkerheten som gjør at legemidler ikke kan anbefales som standardbehandling, kan variere mellom ulike legemidler, og at muligheten til å innsamle ytterligere data fra kliniske studier og/eller i en dansk kontekst vil variere, er det i tillegg nødvendig å utføre en «omfattende avdekking» av om det i det konkrete tilfellet er mulig å redusere usikkerheten. Det skal da f.eks. vurderes:
 - a. om igangsatte studier med legemiddelet vil kunne redusere de sentrale usikkerhetene
 - b. om usikkerhetene kan reduseres gjennom datainnsamling i dansk klinisk praksis, herunder
 - i. om pasientgrunnet i Danmark er tilstrekkelig til å få et robust datamateriale
 - ii. om usikkerhetene kan reduseres innenfor en rimelig tidshorisont (som i utgangspunktet er ca. 24 måneder, men maksimalt 4 år av hensyn til kontraktlengden mellom Amgros og leverandøren)
 - iii. om det allerede eksisterer registre som kan levere de nødvendige data, eller om de kan settes opp til dette formålet
 - c. om innsamlet data fra klinisk praksis i andre land kan brukes til å redusere de sentrale usikkerhetene

⁴⁷ Danske regioner. (2021). Model for brug af betingede anbefalinger i Medicinrådet, s. 2–4.

4. *Legemiddelprisen skal gjenspeile at størrelsen på legemiddelets effekt er usikker.* En betinget anbefaling er begrunnet i usikkerheten i forholdet mellom omkostninger og effekten av et legemiddel. Mens det samles inn ytterligere data, er det derfor en forventning om at omkostningene skal bringes ned på et nivå som tar høyde for usikkerheten i størrelsen av effekten. Det vil sørge for at leverandøren og helsevesenet deler risikoen ved å anvende et legemiddel hvor størrelsen på effekten er «meget usikker». Videre er det opp til Medicinrådet å vurdere om prisen leverandøren tilbyr i perioden, er tilstrekkelig lav for å innvilge en betinget anbefaling av legemiddelet.
5. *Leverandøren skal finansiere datainnsamlingen.* For at Medicinrådet skal gi en betinget anbefaling, forutsettes det at leverandøren finansierer datainnsamlingen. Selve finansieringen kan foregå på forskjellige måter, avhengig av hvordan datainnsamlingen foregår. Ved datainnsamling som foregår i en allerede igangsatt klinisk studie, vil leverandøren vanligvis på forhånd stå for finansieringen av studiet. Om derimot data skal innsamles gjennom registrering i dansk klinisk praksis, skal leverandøren dekke kostnadene ved f.eks. etablering av registeret/systemer til datainnsamling og administrasjonskostnader til dataregistrering og analyse.

Ved søknad om **enkelttilskudd** til medisin skal Lægemiddelstyrelsen blant annet vurdere:⁴⁸

1. om medisinen har en særlig behandlingssmessig betydning for pasienten, som står i et rimelig forhold til legemiddelets pris, herunder om det har vist effekt på pasienten, eller den forventende effekt må anses for overveiende sannsynlig
2. om andre rasjonelle behandlingsmetoder i det konkrete tilfellet er funnet utilstrekkelige, ikke tolereres eller er u hensiktsmessige.

Ved søknad om **forhøyet tilskudd** til medisin skal Lægemiddelstyrelsen blant annet ha opplyst:⁴⁹

1. hvilke rimeligere legemiddel som har vært forsøkt behandlet med
2. behandlingsvarigheten
3. observerte bivirkninger eller opplysninger om manglende effekt

⁴⁸ Lægemiddelstyrelsen. (2022, 14. desember). «Individuelle tilskudd til medicin».

⁴⁹ Lægemiddelstyrelsen. (2022, 14. desember). «Individuelle tilskudd til medicin».

2.2. Finland

2.2.1. Overordnet om systemet

Det finske helsesystemet er sentralisert på nasjonalt nivå gjennom 21 såkalte Wellbeing Service Counties (WBSC), som er ansvarlige for både primær- og spesialisthelsetjenesten i sin jurisdiksjon.⁵⁰ I 2019 dekket det offentlige 66 % av de totale helseutgiftene i landet.⁵¹ Det finske legemiddelverket Fimea, underlagt Sosial- og helsedepartementet, er det nasjonale organet for å innvilge markedsføringstillatelser for legemidler.⁵² Dersom en leverandør vil at legemiddelet skal være en del av refusjonsordningen til Folkepensjonen (Kela), må de søke Legemiddelprisnemden (Hila) for å få bekreftet refusjonsstatusen og at legemiddelet har en rimelig engrospris.⁵³ Hila arbeider under Sosial- og helsedepartementet.⁵⁴ Et sekretariat er ansvarlig for å forberede søknadene før de behandles av Hila, og Hila har et ekspertpanel de kan rådføre seg med.⁵⁵ Vanligvis henter Hila også inn en vurdering fra Kela i prosessen med å behandle søknadene.⁵⁶ Hvis søker er misfornøyd med Hilas avgjørelse, kan de anke saken til Helsingfors förvaltningsdomstol (Högsta förvaltningsdomstolen).⁵⁷ Legemidler på sykehus ble frem til 2023 finansiert av kommunene, men ligger nå under ansvarsområdet til de ulike WBSC.⁵⁸ Etter en vurdering av Fimea, beslutter Konsilet for valg i helsetjenesten Finland (COHERE) om et legemiddel som bare er tiltenkt bruk på sykehus, skal anbefales eller ikke.⁵⁹

⁵⁰ Tynkkynen L.-K., et al. (2023). Finland: health system summary.

<https://eurohealthobservatory.who.int/publications/i/finland-health-system-summary>, s. 3–5.

⁵¹ Tynkkynen L.-K., et al. (2023). Finland: health system summary, s. 5.

⁵² Fimea. (u.å.). «Marketing authorisation application».

https://fimea.fi/en/marketing_authorisations/marketing_authorisation_application (lest 19.10.23).

⁵³ Hila. (u.å.). «Applying and notifications». <https://www.hila.fi/en/applying-and-notifications/> (lest 21.10.23).

⁵⁴ Kela. (2023, 13. oktober). «Reimbursements for medicine expenses». <https://www.kela.fi/medicine-expenses> (lest 19.10.23).

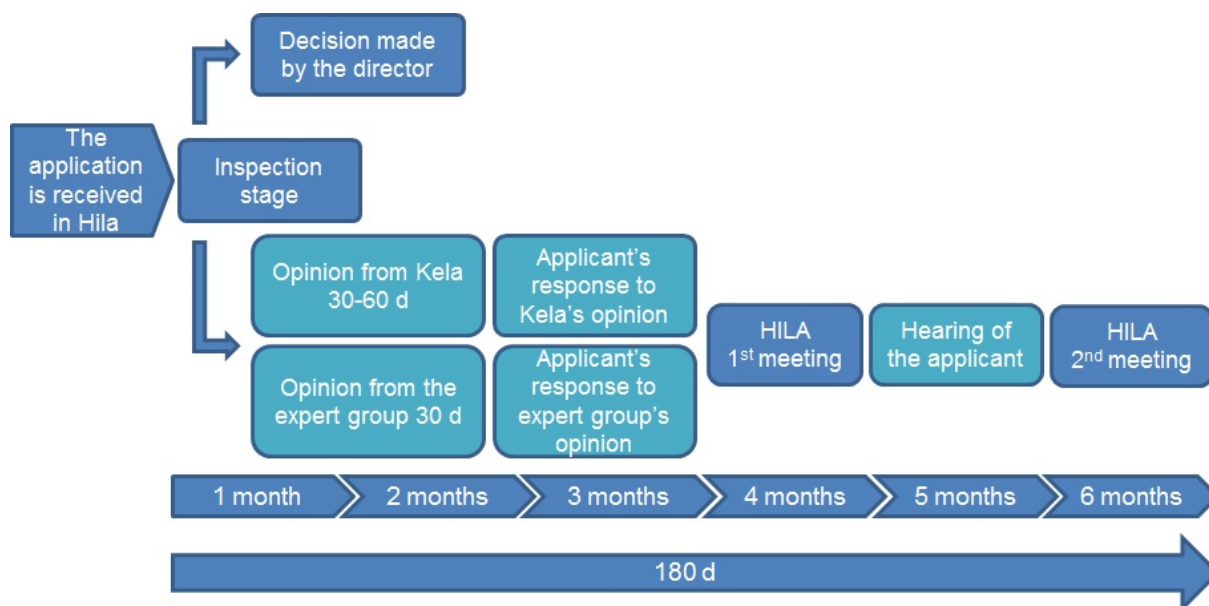
⁵⁵ Hila. (u.å.). «Operations and organisations». <https://www.hila.fi/en/operations-and-organisation/> (lest 20.10.23).

⁵⁶ Hila. (u.å.). «Applying and notifications».

⁵⁷ Hila. (u.å.). «Applying and notifications».

⁵⁸ Tynkkynen L.-K., et al. (2023). Finland: health system summary, s. 5.

⁵⁹ Fimea. (2023). Piloting the application procedure in the assessment of new hospital-only medicines. https://fimea.fi/documents/147152901/159459755/hakemuspilottit+210223_EN.pdf/3654e516-04eb-8a66-645d-892bb82dfa34/hakemuspilottit+210223_EN.pdf?t=1677665689551, s. 2.



Figur 1. Steg i søknadsprosess for å få refusjonsstatus på legemidler utenfor sykehusene.⁶⁰

2.2.2. Unntaksordninger

Spesialtilatelse (compassionate use): Selv om legemidler med markedsføringstillatelse alltid er førstealternativet i behandlingen av pasienter, kan Fimea i enkelttilfeller der det foreligger spesielle helsefaglig begrunnelse godkjenne bruk av legemidler som ikke har markedsføringstillatelse.⁶¹ En slik spesialtilatelse blir gitt for opp til ett år avhengig av situasjonen og etter en totalvurdering.⁶² For å få refundert legemidler som er gitt spesialtilatelse, må pasienten eller et apotek på vegne av pasienten søke til Hila.⁶³ Leverandør, importør eller grossist kan også søke om å få refusjonsstatus på legemidler som er innvilget en spesialtilatelse av Fimea.⁶⁴

Tilgjengelighetsunntak: Legemidler med markedsføringstillatelse kan få innvilget et delvis unntak fra vilkårene i markedsføringstillatelsen eller registreringen ved leveringsavbrudd, som

⁶⁰ Hentet fra Hila. (u.å.). «Applying and notifications». <https://www.hila.fi/en/applying-and-notifications/> (lest 21.10.23).

⁶¹ Fimea. (u.å.). «Special permits». https://fimea.fi/en/pharmacies/special_permits (lest 19.10.23).

⁶² Fimea. (u.å.). «Special permits».

⁶³ Pharmaceuticals pricing board [Hila]. Application for basic reimbursement status and reasonable wholesale price for a medical product subject to special license. For applications by a patient or pharmacy on behalf of the patient. https://www.hila.fi/content/uploads/2020/03/Instruction_ELP_010120.pdf (lest 21.10.23).

⁶⁴ Pharmaceuticals pricing board [Hila]. Application for basic/special reimbursement status and reasonable wholesale price for a medical product subject to special license. For applications by manufacturers, importers or wholesalers. https://www.hila.fi/content/uploads/2020/03/Instruction_EL_010120-1.pdf (lest 21.10.23).

gjelder et parti av legemiddelet, hvis legemiddelet er kritisk for legemiddeltilgangen i Finland og at det uten et slikt unntak vil bli avbrudd i tilgangen til legemiddelet.⁶⁵

Dosedispensasjon: Innehavere av markedsføringstillatelser kan søke om egen autorisasjon for en pakkestørrelse med dosedispensasjon.⁶⁶ Med en pakkestørrelse med dosedispensasjon menes en pakkestørrelse for et medisinsk produkt som er spesifikt godkjent for dosedispensasjon og som anvendes ved å dele ut enkeltdoser av legemiddel i en bestemt periode for en spesifikk pasient. Ved søknad om dosedispensasjon må det legges ved dokumentasjon på holdbarheten dersom produktet oppbevares utenfor originalpakning.⁶⁷

2.2.3. Kriterier for unntak

Muligheten for å få innvilget en **spesialtilatelse** er begrenset til ekstraordinære tilfeller der ingen annen behandling er tilgjengelig eller gir ønsket resultat.⁶⁸ Hensikten er å sørge for nødvendig medisinsk behandling for individuelle pasienter i eksepsjonelle tilfeller. En spesialtilatelse kan innvilges for en institusjon, uten at det er behov for å gjøre rede for de individuelle brukerne i søknaden.⁶⁹ I slike tilfeller er det ikke nødvendig å legge ved ordren eller en resept i søknaden. Videre kan en spesialtilatelse også innvilges til legen selv (pro acture), hvor det da er nødvendig å legge ved pro acture-respeten i søknaden.⁷⁰ Dersom Fimea på eget initiativ har gitt en tidsbegrenset spesialtilatelse for et legemiddel, er det tilstrekkelig å legge ved resepten i søknaden, og det behøves ikke gis noen begrunnelse for å få innvilget en spesialtilatelse.⁷¹ En spesialtilatelse er ikke en erklæring av nødvendigheten av behandlingen eller behandlingsverdien; den behandlende lege bærer ansvaret for dette.⁷²

For å få innlemmet legemidler med spesialtilatelse i refusjonsordningen til Kela, må leverandøren *blant annet* gjøre rede for følgende i søknaden til Hila:⁷³

⁶⁵ Fimea. (u.å.). «Exemption». https://fimea.fi/en/marketing_authorisations/other_permits/exemption (lest 20.10.23).

⁶⁶ Fimea. (u.å.). «Dose-dispensing». <https://fimea.fi/en/pharmacies/dose-dispensing> (lest 20.10.23).

⁶⁷ Fimea. (u.å.). «Dose-dispensing».

⁶⁸ Fimea. (u.å.). «Special permits».

⁶⁹ Fimea. (u.å.). «Special permits».

⁷⁰ Fimea. (u.å.). «Special permits».

⁷¹ Fimea. (u.å.). «Special permits».

⁷² Fimea. (u.å.). «Special permits».

⁷³ Pharmaceuticals pricing board [Hila]. Application for basic/special reimbursement status and reasonable wholesale price for a medical product subject to special license. For applications by manufacturers, importers or wholesalers, s. 5.

- Fordeler som blir oppnådd ved å få refusjonsstatus sammenlignet med andre medisinske produkter eller behandlinger anvendt for å behandle samme tilstand
 - Søknaden kan presentere dokumentasjon om hvordan pasientene har nytte av det medisinske produktet og hvilke pasientgrupper det er ment for
 - En sammenligning med medisinske produkter og/eller behandlinger brukt for behandling av samme tilstand
- En oppsummering av produktets uunnværlighet og behandlingsverdi («therapeutic value») og erstatnings- og hjelpevirkning («replacement and remedial effect»)
 - En velbegrunnet begrunnelse for nødvendigheten av det medisinske produktet
 - Type sykdom
 - Hvorfor er det behov for dette spesifikke medisinske produktet for behandlingen av den kroniske og alvorlige tilstanden og hvilke pasientgrupper har behov for det
 - Hvis det søkes om 100 % refusjon for det som overskrider produktspesifikk egenandel, må en spesifisering av erstatnings- og hjelpevirkning vedlegges
 - En spesifisering av det medisinske produktets behandlingsverdi
 - Forskningsbasert dokumentasjon
 - Sammendrag av funn fra kliniske studier
 - Behandlingsverdien av det nye produktet sammenlignet med andre produkter og/eller behandlinger til samme indikasjon
 - Brukserfaring
 - Informasjon om i hvilket omfang produktet er brukt og erfaringer ved bruken
 - Dosering
 - Informasjon om doseringen av det medisinske produktet for sykdommen eller indikasjonen. Dersom dosering avviker fra hva som er gitt i oppsummeringen av produktkarakteristikker eller fra hva som er anvendt i studier vedlagt søknaden, skal dette begrunnes
 - Behandlingsveiledere og systematiske oversikter
 - Behandlingsveiledere og systematiske oversikter fra reliable og uavhengige kilder (f.eks. Duodecim, NICE, Cochrane) kan

legges ved for å vise behandlingsverdien hvis de omhandler produktet det søkes for og den aktuelle indikasjonen

- Informasjon om kostnader og økonomisk fordelaktighet
 - Erklæring om gjennomsnittlig daglig dose og påfølgende medisinske behandlingskostnader på bakgrunn av foreslått grossistpris og utsalgspris inkludert skatter
 - Ved normal dosering
 - Behandlingskostnader for en periode som er nødvendig for behandling
 - Behandlingskostnader for indikasjonen det søkes på sammenlignet med refunderbare produkter på markedet og som er brukt for å behandle samme tilstand
 - Helseøkonomisk evaluering
 - En helseøkonomisk evaluering kan bli vedlagt i søknaden hvis søker anser det som nødvendig
 - Hila gir videre instruksjoner for en helseøkonomisk evaluering på hjemmesiden

Et **tilgjengelighetsunntak** innvilges *ikke* i tilfeller hvor:⁷⁴

1. legemiddelet ikke er kritisk for legemiddeltilgangen (for eksempel hvis det finnes tilsvarende eller lignende egnete produkter som er tilgjengelige for indikasjonen)
2. rene økonomiske grunner
3. i tilfeller der problemet ikke er et virkelig tilgjengelighetsproblem

2.3. Island

2.3.1. Overordnet om systemet

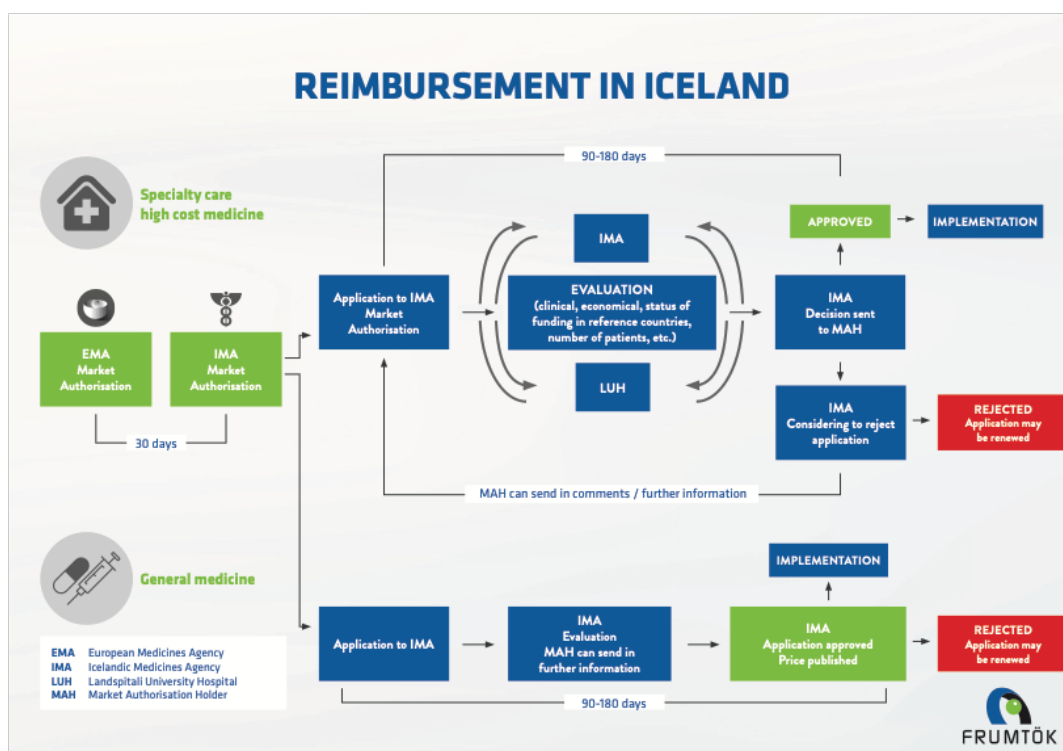
Island har et helsevesen med universell tilgang og hvor 83 % av helseutgiftene dekkes av det offentlige (tall fra 2019).⁷⁵ Det islandske legemiddelverket (Icelandic Medicines Agency [IMA]) er ansvarlig for å innvilge markedsføringstillatelser på Island.⁷⁶ Videre er IMA også

⁷⁴ Fimea. (u.å.). «Exemption».

⁷⁵ OECD/European Observatory on Health Systems and Policies. (2021). Iceland: Country Health Profile 2021, State of Health in the EU. <https://eurohealthobservatory.who.int/publications/m/iceland-country-health-profile-2021>, s. 9.

⁷⁶ Icelandic Medicines Agency. (2021, 17. desember). «Marketing authorisations». <https://www.ima.is/licences/marketing-authorisations/> (lest 22.10.23).

ansvarlig for å bestemme hvilke legemidler som skal finansieres av det offentlige.⁷⁷ I denne vurderingen blir det lagt vekt på hvorvidt legemiddelet er trygt, om det har en klar indikasjon og en rolle å spille i behandling, pris i forhold til effektivitet og sammenlignet med allerede refunderte legemidler, påvirkning på budsjett (hvor mange pasienter, for hvilken tidsperiode) og refusjonsstatusen i Danmark, Norge, Sverige og Finland.⁷⁸ Generiske eller biotilsvarende og parallelt importerte legemidler får samme refusjonsstatus som originalproduktet. Dersom et legemiddel skal innføres på offentlige sykehus, må IMA innhente en vurdering fra en komite (Drug and Therapeutics Committee [DTC]) på det nasjonale sykehuset (Landsspitalli) i vurderinger av såkalte «specialty care high-cost medicines» (SCHCM).⁷⁹ SCHCM betyr at legemiddelet er kostbart og at det krever stor varsomhet i bruken av det, ekspertkunnskap og/eller involvering av helsepersonell, enten det er i administrasjonen eller monitoreringen av legemiddelet.⁸⁰ Dersom IMA vurderer at et SCHCM ikke skal innføres i spesialisthelsetjenesten, skal søkeren få informasjon om at avgjørelsen kan prøves i retten.⁸¹



⁷⁷ Icelandic Medicines Agency. (2023, 15. februar). «Roles and organization». <https://www.ima.is/ima/roles-and-organization/> (lest 23.10.23).

⁷⁸ Icelandic Medicines Agency. (u.å.). Reimbursement decisions. https://verd.lyfjastofnun.is/gogn/reimbursement_decisions_english.pdf (lest 23.10.23), s. 1.

⁷⁹ Icelandic Medicines Agency. (2023). Reimbursement system for specialty care high-cost medicine. <https://www.ima.is/wp-content/uploads/sites/3/2023/05/20230504-Reimbursement-system-for-SCHC.pdf>, s. 1.

⁸⁰ Icelandic Medicines Agency. (2023). Classification of a medicine as a specialty care high-cost medicine. <https://www.ima.is/wp-content/uploads/sites/3/2023/05/20230512-Classification-of-a-medicine-as-a-Specialty-Care-High-Cost-Medicine-BIRT.pdf> (lest 23.10.23), s. 1.

⁸¹ Icelandic Medicines Agency. (2023). Classification of a medicine as a specialty care high-cost medicine, s. 3.

Figur 2. Flytdiagram som viser prosessen for å bestemme hvilke legemidler som skal refunderes av det offentlige på Island.⁸²

2.3.2. Unntaksordninger

Individuell refusjon av et SCHCM: DTC har myndighet til å innvilge unntak til individer eller pasientgrupper etter at IMA har besluttet at et SCHCM ikke skal dekkes av det offentlige.⁸³ Et slikt unntak kan enten innvilges for en enkelt refusjon av et legemiddel eller være et midlertidig unntak for et individ som er forsikret i den nasjonale helseforsikringen på Island. Videre kan unntaket være knyttet til et individ eller en pasientgruppe diagnostisert med symptomer eller syndromer som krever en spesifikk medisinsk behandling.⁸⁴

Unntak fra markedsføringstillatelse: Etter søknad fra lege, fra vedkommende selv eller på vegne av en helseinstitusjon, eller fra tannlege eller veterinær, kan IMA innvilge unntak fra kravet om markedsføringstillatelse.⁸⁵

Compassionate use: For såkalt «compassionate use», kan det, i begrensede mengder, godkjennes bruk av legemiddel for mennesker som ikke har markedsføringstillatelse på Island.⁸⁶ Slike søknader behandles på samme vilkår som unntak fra markedsføringstillatelse.⁸⁷

Parallell import: Dersom noen andre enn den med markedsføringstillatelse vil importere et medisinsk produkt med markedsføringstillatelse, må vedkommende søke om tillatelse for parallell import.⁸⁸ Parallell import innebærer bevegelse av legemidler innenfor EØS basert på markedsføringstillatelse i importlandet. Rette myndigheter i importlandet verifiserer at

⁸² Hentet fra Frumtök. (u.å). «Price- and reimbursement». <https://frumtok.is/en/information-and-links/price-and-reimbursement/> (lest 23.10.23).

⁸³ Icelandic Medicines Agency. (2023). Reimbursement system for specialty care high-cost medicine. <https://www.ima.is/wp-content/uploads/sites/3/2023/05/20230504-Reimbursement-system-for-SCHC.pdf>, s. 3–4.

⁸⁴ Icelandic Medicines Agency. (2023). Reimbursement system for specialty care high-cost medicine, s. 3–4.

⁸⁵ Medicinal Products Act no. 100/2020. <https://www.government.is/library/01-Ministries/Ministry-of-Health/PDF-skjol/Lyfjal%C3%B6g%20nr.%20100.2020%20-%20ensk%20%C3%BE%C3%BD%C3%B0ing.pdf> (lest 23.10.23), artikkel 12.

⁸⁶ Medicinal Products Act no. 100/2020, artikkel 13.

⁸⁷ Icelandic Medicines Agency. (2021, 17. desember). «How are products prescribed for compassionate use handled in Iceland?» https://www.ima.is/spurt_og_svarad/01-how-are-products-prescribed-for-compassionate-use-handled-in-iceland/ (lest 23.10.23).

⁸⁸ Icelandic Medicines Agency. (2021, 26. november). «Other registrations/authorisations». <https://www.ima.is/licences/marketing-authorisations/other-registrations-authorisations/> (lest 24.10.23).

produktet er identisk med eller har ingen signifikante terapeutiske forskjeller fra legemiddelet som allerede er markedsført på Island.⁸⁹

Zero day procedure: Dette er en prosedyre som er tilgjengelig for leverandører med markedsføringstillatelse for et legemiddel, hvor de kan øke importantallet og således redusere en eventuell mangel på legemiddelet.⁹⁰ Prosedyren innebærer at IMA vil godkjenne søknaden uten kommentarer. Det er primært legemidler som er nødvendige for det islandske markedet, som reduserer eller forebygger en mangelsituasjon og som reduserer medisinske produkter i det såkalte unntakssystemet som er aktuelle for denne prosedyren.⁹¹

2.3.3. Kriterier for unntak

For at DTC skal behandle en søknad om **individuell refusjon av et SCHCM**, må lege sende en søknad til DTC. DTC fatter avgjørelse om legemidler som dekkes av Landspítali.⁹² Før en beslutning om individuell refusjon kan fattes av DTC, må IMA ha fastsatt eller være enig i maksimumsprisen for legemiddelet som det søkes unntak for.

Følgende kriterier må være oppfylt for at et **unntak fra markedsføringstillatelse** kan innvilges:⁹³

1. Spesielle omstendigheter, som er godt begrunnet, som fordrer anvendelse av medisinske produkter som ikke har islandsk markedsføringstillatelse, eller som har fått innvilget islandsk markedsføringstillatelse, men som ikke er markedsført på Island
2. Søknaden stadfester at mengden som det søkes unntak for er begrenset til kravene for dem som skal bruke legemiddelet, og hvorvidt legemiddelet skal brukes på et spesifikt individ eller dyr og om bruken vil finne sted i en helseinstitusjon eller annen spesifikk lokalisasjon.

⁸⁹ Icelandic Medicines Agency. (2021, 26. november). «Other registrations/authorisations».

⁹⁰ Icelandic Medicines Agency. (2023, 18. april). «Zero day procedure». <https://www.ima.is/licences/marketing-authorisations/zero-day-procedure/> (lest 23.10.23).

⁹¹ Icelandic Medicines Agency. (2023, 18. april). «Zero day procedure».

⁹² Icelandic Medicines Agency. (2023). Reimbursement system for specialty care high-cost medicine. s. 4.

⁹³ Medicinal Products Act no. 100/2020, artikkel 12.

2.4. Nederland

2.4.1. Overordnet om systemet

Nederland har et universelt helsevesen, hvor den offentlige andelen av landets helseutgifter utgjør 82,6 % (tall fra 2019).⁹⁴ Den nederlandske legemiddelvurderingsnemda (Medicines Evaluation Board [MEB]) er ansvarlig for å vurdere og innvilge markedsføringstillatelser i Nederland.⁹⁵ Videre gir det nederlandske helseinstituttet (The Healthcare Institute of the Netherlands [Zorginstituut]) råd til Helse-, velferd- og sportsministeren (VWS) om hvilke legemidler som skal refunderes av den offentlige helsetjenesten, under en såkalt standard forsikringspakke (heretter forsikringspakken) – som er obligatorisk å tegne for alle som bor eller arbeider i Nederland.⁹⁶ Zorginstituut vurderer legemiddelet ut fra kriteriene nødvendighet, effektivitet, kostnadseffektivitet og gjennomførbarhet.⁹⁷ To komiteer med eksterne eksperter (Scientific Advisory Committee [WAR] og Insured Package Advisory Committee [ACP]) kan bistå Zorginstituut i vurderingen, hvorved WAR hovedsakelig befatter seg med kostnadseffektivitet, mens ACP rådgir om hensyn som påvirker samfunnet.⁹⁸ VWS tar deretter en avgjørelse om legemiddelet skal få refusjonsstatus.⁹⁹ Denne prosedyren blir betegnet som et «lukket system».¹⁰⁰ Legemidler til bruk på sykehus («specialist medicinal products») blir normalt innlemmet i forsikringspakken gjennom et såkalt «åpent system», hvilket innebærer at myndighetene ikke behøver eksplisitt å godkjenne medisinske produkter til bruk på sykehusene.¹⁰¹ Forutsetningen er at legemiddelet anses å være i tråd med etablert medisinsk vitenskap og praksis, som er ment å avgjøre den relative effekten av en behandling. Dersom legemiddelet ikke har dokumentert bedre eller tilsvarende effekt som eksisterende behandling, eller hvis det ikke foreligger tilstrekkelig evidens, blir legemiddelet ikke tatt inn i forsikringspakken.¹⁰²

⁹⁴ OECD/European Observatory on Health Systems and Policies. (2021). Netherlands: Country Health Profile 2021, State of Health in the EU. <https://www.oecd.org/publications/netherlands-country-health-profile-2021-fd18ea00-en.htm>, s. 9.

⁹⁵ Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Assessing medicines». <https://english.cbg-meb.nl/topics/about-meb-our-tasks/about-meb-assessing-medicines> (lest 24.10.23).

⁹⁶ Government of the Netherlands. (u.å.). «Keeping medicines affordable». <https://www.government.nl/topics/medicines/keeping-medicines-affordable> (lest 24.10.23).

⁹⁷ National Health Care Institute. (u.å.). «Advising on and clarifying the contents of the standard health care benefit package». <https://english.zorginstituutnederland.nl/about-us/tasks-of-the-national-health-care-institute/advising-on-and-clarifying-the-contents-of-the-standard-health-care-benefit-package> (lest 25.10.23).

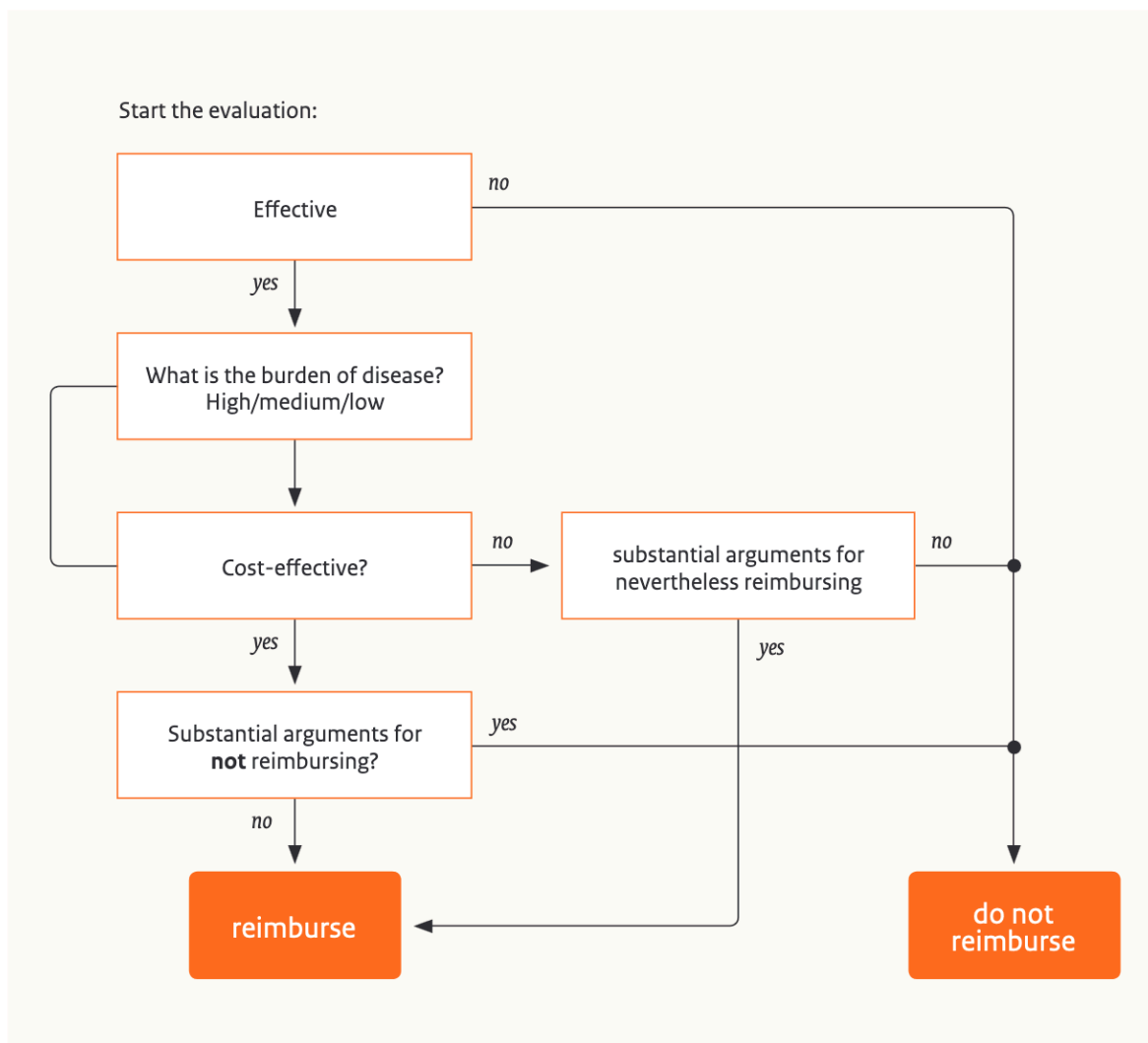
⁹⁸ National Health Care Institute. (u.å.). «Advising on and clarifying the contents of the standard health care benefit package».

⁹⁹ Government of the Netherlands. (u.å.). «Keeping medicines affordable».

¹⁰⁰ Zorginstituut Nederland. (2020). Specialist medicinal products assessment. <https://english.zorginstituutnederland.nl/binaries/zinl-eng/documenten/reports/2020/05/11/specialist-medicinal-products-assessment-procedure/Specialist+medicinal+products+assessment+procedure.pdf> (lest 25.10.23), s. 4.

¹⁰¹ Zorginstituut Nederland. (2020). Specialist medicinal products assessment, s. 4.

¹⁰² Zorginstituut Nederland. (2020). Specialist medicinal products assessment, s. 4 og 15.



Figur 3. Flytdiagram som viser hvordan Zorginstituut anvender kriteriene nødvendighet, effektivitet, kostnadseffektivitet og gjennomførbarhet for å vurdere legemidler.¹⁰³

2.4.2. Unntaksordninger

Låseprosedyre for kostbar medisin («lock procedure»): I forsikringspakken dekkes ikke automatisk nye, kostbare legemidler. Et legemiddel blir holdt tilbake fra pakken dersom (a) bruk av det for en eller flere nye indikasjoner vil koste mer enn 40 millioner euro per år over hele Nederland¹⁰⁴, eller (b) hvis bruk av legemiddelet for en eller flere nye indikasjoner vil koste mer enn 50 000 euro per pasient og mer enn 10 millioner euro per år over hele

¹⁰³ Hentet fra Zorginstituut Nederland. (2017). Package advice in practice. Deliberations for arriving at a fair package. <https://english.zorginstituutnederland.nl/binaries/zinl-eng/documenten/reports/2018/09/05/package-advice-in-practice---deliberations-for-arriving-at-a-fair-package/Package+advice+in+practice+-+Deliberations+for+arriving+at+a+fair+package.pdf> (lest 29.10.23), s. 19.

¹⁰⁴ Denne grensen er satt ned til 20 millioner euro fra 1. juli 2023 ifølge <https://www.pinsentmasons.com/out-law/news/dutch-policy-change-influence-medicine-price> (lest 26.10.23).

Nederland.¹⁰⁵ Denne prosedyren gjelder både for legemidler på sykehus, som vanligvis dekkes i forsikringspakken gjennom det åpne systemet, og for legemidler utenfor sykehusene.¹⁰⁶ Hensikten med prosedyren er at det er viktig å gjøre ny, effektiv behandling tilgjengelig for pasientene, samtidig som fellesressursene ikke skal belastes unødige ved finansieringen av disse kostbare legemidlene.¹⁰⁷

Høyrisiko medisinske produkter til sykehus: Selv om legemiddelet ikke oppfyller kriteriene for å bli satt i en låseprosedyre, men det likevel er tvil om relativ effekt av og kostnadsnivå på legemiddelet, kan Zorginstituut bestemme at det medisinske produktet for bruk på sykehus skal vurderes av dem.¹⁰⁸

Betinget inklusjon legemidler: Legemidler som er blitt definert som smale legemidler («orphan drugs») av Det europeiske legemiddelbyrået (EMA), eller som har fått innvilget en betinget eller eksepsjonell markedsføringstillatelse av EMA¹⁰⁹, kan etter søknad bli dekket av det offentlige i tilfeller hvor enten Zorginstituut ikke har gjennomført en vurdering av legemiddelet, eller Zorginstituut har rådet VWS til å ikke inkludere legemiddelet i forsikringspakken på grunn av manglende dokumentasjon.¹¹⁰ Det er samtidig en forutsetning at alle legemidler som søker under denne ordningen, går under EMAs definisjon av umøtt medisinsk behov («unmet medical needs»), hvilket innebærer at det ikke eksisterer noen tilfredsstillende metode for diagnostikk, forebygging eller behandling i EU, eller, hvis slike metoder eksisterer, vil legemiddelet ha stor behandlingmessig fordel for pasientene.¹¹¹

Parallele prosedyrer: Normalt starter Zorginstituut vurderingen av hvorvidt et legemiddel skal inkluderes i forsikringspakken etter det har fått innvilget markedsføringstillatelse.¹¹² Ved en parallellprosedyre kan derimot MEB og Zorginstituut vurdere en søknad om

¹⁰⁵ Government of the Netherlands. (u.å.). «Keeping medicines affordable».

¹⁰⁶ Zorginstituut Nederland. (2020). Specialist medicinal products assessment, s. 4.

¹⁰⁷ Zorginstituut Nederland. (2020). Specialist medicinal products assessment, s. 5.

¹⁰⁸ Zorginstituut Nederland. (2020). Specialist medicinal products assessment, s. 5.

¹⁰⁹ European Medicines Agency. (u.å.). «Pre-authorisation guidance». <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/marketing-authorisation/pre-authorisation-guidance> (lest 26.10.23).

¹¹⁰ National Health Care Institute. (u.å.). «Conditional inclusion of orphan drugs, conditionals and exceptionals in basic health care». <https://english.zorginstituutnederland.nl/about-us/tasks-of-the-national-health-care-institute/conditional-inclusion-of-orphan-drugs-conditionals-and-exceptionals> (lest 26.10.23).

¹¹¹ European Medicines Agency. (2017). Unmet medical need; definitions and need for clarity. https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/presentation-unmet-medical-need-j-linares-ema_en.pdf (lest 26.10.23).

¹¹² Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Parallel procedures: faster assessment of medicines». <https://english.cb-g-meb.nl/topics/mah-parallel-procedures> (lest 26.10.23).

markedsføringstillatelse samtidig som refusjonsstatus i forsikringspakken vurderes. Denne prosedyren er aktuell for to typer medisinske produkter: reseptlegemidler på apotek og kostbare legemidler som er brukt på sykehusene.¹¹³ Ved bruk av denne prosedyren reduseres behandlingstiden frem til det blir bestemt om et legemiddel skal tilbys i forsikringspakken med om lag tre måneder.¹¹⁴

Unntak fra markedsføringstillatelse («compassionate use programme»): Medisinske produkter uten markedsføringstillatelse kan i enkelte situasjoner godkjennes av MEB.¹¹⁵ Dette vil være situasjoner hvor MEB anser tilgangen til et nytt legemiddel for flere pasienter (en kohort) som essensiell før det er innvilget endelig markedsføringstillatelse. Prosedyren ved et slikt unntak vil enten være at en lege sender inn en erklæring, eller at en leverandør søker til MEB i tilfeller med alvorlige tilstander som det ikke finnes alternative medisinske produkter tilgjengelig på markedet for å behandle og hvor det ikke-godkjente produktet kan bli innvilget en markedsføringstillatelse i fremtiden.¹¹⁶ Varigheten på et unntak fra markedsføringstillatelsen vil være ett år, eller til når det medisinske produktet er tilgjengelig på markedet etter en markedsføringstillatelse.¹¹⁷

Dobbel markedsføringstillatelse: En dobbel markedsføringstillatelse er en markedsføringstillatelse for et medisinsk produkt hvor dokumentasjonen er identisk med et allerede godkjent produkt.¹¹⁸ I slike tilfeller kan MEB gjøre en rask, forkortet vurdering.

Parallellimport: En parallell import innebærer at et medisinsk produkt som allerede har en markedsføringstillatelse i et annet europeisk land, importeres og senere markedsføres i Nederland av en leverandør som ikke er bestemt av den originale innehaveren av markedsføringstillatelsen.¹¹⁹ I mange tilfeller kan den samme eller tilnærmet samme versjonen av et medisinsk produkt være godkjent i Nederland, hvilket betegnes som referanseproduktet. Etersom et medisinsk produkt kan være rimeligere i et annet

¹¹³ Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Parallel procedures: faster assessment of medicines».

¹¹⁴ Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Parallel procedures: faster assessment of medicines».

¹¹⁵ Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Overview of the approved compassionate use programmes». <https://english.cbg-meb.nl/topics/mah-compassionate-use-programme> (lest 26.10.23).

¹¹⁶ Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Overview of the approved compassionate use programmes».

¹¹⁷ Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Overview of the approved compassionate use programmes».

¹¹⁸ Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Duplex marketing authorisation». <https://english.cbg-meb.nl/topics/mah-duplex-marketing-authorisation> (lest 26.10.23).

¹¹⁹ Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Parallel import». <https://english.cbg-meb.nl/topics/mah-parallel-import> (lest 26.10.23).

medlemsland, kan det være økonomisk attraktivt å markedsføre et medisinsk produkt gjennom parallellimport.¹²⁰

Veletablert bruk: Veletablert bruk av et medisinske produkt betyr at produktets virkestoff har vært brukt i medisinsk praksis i EU/EØS i minst ti år, og at dets effekt er anerkjent og det er ansett å være trygt.¹²¹ Dersom slik veletablert bruk kan dokumenteres, kan det gjøres unntak fra kravet om prekliniske eller kliniske studier. Hvis så er tilfellet, vil studier bli erstattes av et krav om å vise til vitenskapelig litteratur.¹²²

2.4.3. Kriterier for unntak

For at legemiddelet skal finansieres gjennom forsikringspakken etter å ha bli satt i en **låseprosedyre** på grunn av kostnadsnivået, må følgende være på plass:¹²³

1. Zorginstituut har gitt råd om at legemiddelet skal inkluderes
2. Dersom det er tilstrekkelige garantier for ansvarlig bruk og god dokumentasjon av effekten
3. Dersom VWS, etter forhandlinger, kan inngå en rimelig prisavtale med leverandøren

Zorginstituut opererer med fem kriterier for å vurdere om et medisinsk produkt kan innvilges **betinget inklusjon**, som alle må være oppfylt i form av å kunne besvares positivt:¹²⁴

1. Har det medisinske produktet fått innvilget markedsføringstillatelse fra EMA, og er det definert som et smalt legemiddel, betinget eller eksepsjonelt for dets indikasjoner?
2. Oppfyller det medisinske produktet et umøtt medisinsk behov i henhold til EMAs definisjon?
3. Er leverandøren med markedsføringstillatelse hovedsøker? Er det medsøkere i form av uavhengige forskningsinstitusjoner, fag- og pasientorganisasjoner?
4. Er det sannsynlig, basert på datainnsamlingen, å besvare om det medisinske produktet skal inkluderes i forsikringspakken ved utløpet av studieperioden?

¹²⁰ Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Parallel import».

¹²¹ Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Well established use». <https://english.cbg-meb.nl/topics/mah-well-established-use> (lest 26.10.23).

¹²² Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Well established use».

¹²³ National Health Care Institute. (u.å.). «Advising on and clarifying the contents of the standard health care benefit package».

¹²⁴ Zorginstituut Nederland. (2020). Conditional inclusion procedure for medicinal products. <https://english.zorginstituutnederland.nl/about-us/publications/publications/2020/07/31/conditional-inclusion-procedure-for-medicinal-products> (lest 26.10.23), s. 3–4.

5. Er det sannsynlig at refusjonsspørsmålet kan besvares innenfor perioden en betinget inklusjon innvilges (maksimum 7 eller 14 år)?

Kriteriene for å innvilge et **unntak fra markedsføringstillatelsen**, er som følger:¹²⁵

1. Det angår et medisinsk produkt for en alvorlig tilstand (en sykdom med et fatalt eller progredierende klinisk forløp)
2. Det er tiltenkt for pasienter som ikke kan bli tilfredsstillende behandlet med eksisterende godkjente medisinske produkter (med andre ord, det er ingen medisinske produkter med markedsføringstillatelse som utgjør et alternativ)
3. Compassionate use-programmet er ment for pasientgrupper (en kohort)
4. Det medisinske produktet er under utprøving i en klinisk studie, eller en markedsføringstillatelse er blitt søkt

2.5. Sverige

2.5.1. Overordnet om systemet

Sverige har et universelt helsesystem, hvor 86 % av alle helseutgifter er dekket av offentlige midler (tall fra 2020).¹²⁶ Videre er systemet desentralisert med 21 regioner som finansierer og utfører det meste av helsetjenestene.¹²⁷ Regionene samarbeider om innføring og tilgang til nye legemidler gjennom Rådet for nye terapier (NT-rådet). NT-rådet ble etablert i 2015, og rådets ansvar er hovedsakelig å beslutte hvilke legemidler som skal brukes på sykehusene.¹²⁸

Anbefalingene til NT-rådet hviler på tre prinsipper, organisert i hierarkisk rekkefølge: prinsippet om menneskeverd, prinsippet om behov og solidaritet og prinsippet om kostnadseffektivitet.¹²⁹ Hvis kostnaden til et legemiddel blir vurdert til å være for høy, kan NT-rådet starte forhandlinger med leverandøren.¹³⁰ Reseptlegemidler vurderes vanligvis av Tandvårds- og läkemedelsförmånsverket (TLV), men NT-rådet kan i noen tilfeller gi

¹²⁵ Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Overview of the approved compassionate use programmes».

¹²⁶ Janlöv, N., et al. (2023). Sweden: health system review. Health Systems in Transition, 25(4). <https://iris.who.int/bitstream/handle/10665/372708/9789289059473-eng.pdf?sequence=8>, s. 57.

¹²⁷ Proba samfunnsanalyse. (2021). Evaluering av systemet for Nye metoder i spesialisthelsetjenesten. Rapport 2021-16, s. 62.

¹²⁸ Proba samfunnsanalyse. (2021). Evaluering av systemet for Nye metoder i spesialisthelsetjenesten. Rapport 2021-16, s. 62.

¹²⁹ Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Rekommendation».

<https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/processordnatinforande/rekommendation.4.64582f2718842410f2e2471e.html> (lest 27.10.23).

¹³⁰ Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Förhandling och upphandling».

<https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsida/processordnatinforande/forhandlingochupphandling.4.64582f2718842410f2e2470d.html> (lest 27.10.23).

anbefalinger til disse legemidlene også.¹³¹ TLV beslutter hvilke legemidler som skal refunderes av det offentlige utenfor sykehusene, ved å bestemme hvorvidt de skal inkluderes under det såkalte högkostnadsskyddet.¹³² Medicintekniske produktråd (MTP-rådet) gir anbefalinger om medisinsk utstyr.¹³³ MTP-rådet ble opprettet i 2020, etter at vurderinger av nytt medisinsk utstyr tidligere lå under ansvarsområdet til NT-rådet.¹³⁴ Läkemedelsverket (MPA) er myndigheten for å vurdere markedsføringstillatelser for legemidler.¹³⁵

2.5.2. Unntaksordninger

Betingete uttalelser fra NT-rådet: NT-rådet kan anbefale regionene å innføre et legemiddel, at de kan innføre det, at det ikke skal innføre det eller at de bør vente med å innføre det.¹³⁶ De kan imidlertid også avsi betingete uttalelser. Det kan være (1) en begrenset anbefaling, for eksempel til visse pasienter eller spesifikke sykdomsstadier, (2) en unntaksanbefaling, som betyr at behandlingen ikke skal anvendes eller skal avventes der en bestemt pasientgruppe er definert som unntatt, eller anbefalinger med en rangering, hvor det går frem at legemiddelet enten er (3) førstevalget for en bestemt indikasjon eller at det (4) ikke er førstevalget.¹³⁷

Nasjonale behandlingsråd: NT-rådet kan gi nasjonale behandlingsråd i tilfeller hvor for eksempel en behandling vurderes til å ikke være kostnadseffektiv, men hvor det for en gruppe av pasientene vurderes helseøkonomisk forsvarlig å behandle dem, eller at de har et stort behandlingsbehov ut fra at medisinen er uunnværlig for dem.¹³⁸ Alternativt kan NT-rådet

¹³¹ Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Beslut om nationell samverkan». <https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartside/processordnatinforande/beslutomnationellsamverkan.4.64582f2718842410f2e246da.html> (lest 27.10.23).

¹³² Tandvårds- och läkemedelsförmansverket. (2023, 23. mai). «Högkostnadsskyddet». <https://www.tlv.se/lakemedelsforetag/hogkostnadsskyddet.html> (lest 27.10.23).

¹³³ Regionernas samverkansmodell för medicinteknik. (u.å.). «MTP-rådet». <https://janusinfo.se/mtpradet/samverkanmedicinteknikstartside/mtpradet.4.23fc08ed187eae25858d7924.html> (lest 27.10.23).

¹³⁴ Proba samfunnsanalyse. (2021). Evaluering av systemet for Nye metoder i spesialisthelsetjenesten. Rapport 2021-16, s. 63.

¹³⁵ Läkemedelsverket. (u.å.). «Försäljningstillstånd». <https://www.lakemedelsverket.se/sv/tillstand-godkannande-och-kontroll/forsaljningstillstand> (lest 31.10.23).

¹³⁶ Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Så uttrycks NT-rådets rekommendationer». <https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartside/processordnatinforande/rekommendation/sauttrycksntra-detsrekommendationer.4.64582f2718842410f2e24bef.html> (lest 27.10.23).

¹³⁷ Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Så uttrycks NT-rådets rekommendationer».

¹³⁸ Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Nationella behandlingsråd». <https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartside/organisationordnatinforande/nationellabehandlingsrad.4.5aca7268188422488c1250ee.html> (lest 29.10.23).

komme med nasjonale behandlingsråd i tilfeller hvor likebehandling vurderes som særlig viktig.¹³⁹

Tilgang til ikke-godkjente legemiddel: Pasienter i Sverige kan få tilgang til legemidler uten markedsføringstillatelse gjennom såkalt «compassionate use programme» (CUP), lisensprosedyrer eller deltakelse i kliniske legemiddelutprøving.¹⁴⁰ Deltakelse i CUP kan foregå dersom en gruppe pasienter med kronisk eller alvorlig svekkende sykdom, eller pasienter med livstruende sykdom, ikke kan behandles på en tilfredsstillende måte ved eksisterende legemidler.¹⁴¹ Lisensprosedyre innebærer at en lege kan søke om at en enkelt pasient eller én sykehusavdeling skal benytte et legemiddel uten markedsføringstillatelse.¹⁴²

Begrenset tilskudd: Et legemiddel kan refunderes av det offentlige for et bestemt bruksområde eller for en bestemt pasientgruppe.¹⁴³ TLV kan også stille særskilte vilkår for en avgjørelse, for eksempel at et foretak etter kort tid skal redegjøre for hvordan legemiddelet anvendes eller at det i markedsføringen av et legemiddel skal fremgå på hvilken måte refusjonen er begrenset.¹⁴⁴ En av grunnene til at et legemiddel gis begrenset tilskudd, kan være at bruken av det har en rimelig kostnad i forhold til nytten for en begrenset gruppe pasienter som er lett å skille ut fra resten av populasjonen. Videre kan det være at legemiddelet har flere bruksområder og at det kun er kostnadseffektivt for ett av disse områdene, eller at noen pasienter står uten behandlingstilbud fordi de ikke kan bruke en bestemt form av legemiddelet.¹⁴⁵

Midlertidig tilskudd til legemidler på lisensprosedyre: TLV kan innvilge refusjonsstatus på et legemiddel som tidligere er utgitt på lisensprosedyre, eller som erstatter et legemiddel på lisensprosedyre, før de har vurdert legemiddelet på ordinær måte for å avgjøre om det dekkes

¹³⁹ Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Nationella behandlingsråd».

¹⁴⁰ Läkemedelsverket. (2021, 21. juni). «Icke godkända läkemedel genom Compassionate use programme». <https://www.lakemedelsverket.se/sv/tillstand-godkannande-och-kontroll/klinisk-provning/lakemedel-for-manniskor/icke-godkanda-lakemedel-genom-compassionate-use-programme> (lest 27.10.23).

¹⁴¹ Läkemedelsverket. (2021, 21. juni). «Icke godkända läkemedel genom Compassionate use programme».

¹⁴² Läkemedelsverket. (2021, 21. juni). «Icke godkända läkemedel genom Compassionate use programme».

¹⁴³ Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. (2022, 7. november). «Olika typer av subvention». <https://www.tlv.se/regioner/lakemedel/pris-och-subvention-av-lakemedel/olika-typer-av-subvention.html> (lest 27.10.23).

¹⁴⁴ Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. (2022, 7. november). «Olika typer av subvention».

¹⁴⁵ Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. (2022, 7. november). «Olika typer av subvention».

av det offentlige.¹⁴⁶ Legemiddelet vil kun dekkes for pasienter som allerede behandles med legemiddelet det søkes på, eller med et lisenslegemiddel som erstatter dette. Et slikt midlertidig tilskudd kan avsluttes på kort varsel, og behandler som har foreskrevet legemiddelet, kan raskt måtte sette inn annen behandling.¹⁴⁷

Dispensasjonssøknad for medisinteknisk produkt: Hvis hensikten er å beskytte liv og helse til pasient eller bruker, kan leverandører av et medisinteknisk produkt få dispensasjon fra å oppfylle visse krav i regelverket.¹⁴⁸ En slik søknad kan ikke fremsettes av forretningsmessige årsaker alene for å slippe å gjennomføre klinisk utprøving eller presentasjonsevaluering.

2.5.3. Kriterier for unntak

Et **nasjonalt behandlingsråd** er aktuelt i tilfeller hvor legemidler vurderes som svært presserende å innføre i helsetjenesten, hvilket blir vurdert ut fra følgende kriterier:¹⁴⁹

1. Tilstandens alvorlighetsgrad er høy
2. Det finnes dokumentasjon som viser at legemiddelets effekt på tilstanden er stor eller svært stor
3. Kostnaden er så stor at behandlingen ikke vurderes å være kostnadseffektiv for hele pasientgruppen som omfattes av indikasjonen
4. Prioritering av pasienter er nødvendig ettersom det gjelder behandling som til tross for at den ikke er kostnadseffektiv på gruppenivå, vurderes å være uunnværlig eller kostnadseffektiv på individnivå
5. Tilstanden er sjelden eller svært sjelden
6. Vilkår for oppfølging foreligger

Selv om hvilke reseptlegemidler som skal refunderes av det offentlige normalt vurderes av TLV, kan **NT-rådet gi anbefalinger om reseptlegemidler** i følgende tilfeller:¹⁵⁰

¹⁴⁶ Tandvårds- og läkemedelsförmånsverket. (u.å.). Tillfällig subvention för tidigare licensläkemedel. https://www.tlv.se/download/18.467926b615d084471ac31df8/1510316395145/Tillfallig_subvention_tidigare_licenslakemedel.pdf (lest 27.10.23).

¹⁴⁷ Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. (u.å.). Tillfällig subvention för tidigare licensläkemedel.

¹⁴⁸ Läkemedelsverket. (2022, 16. september). «Dispensansökan för medicinteknisk produkt». <https://www.lakemedelsverket.se/sv/medicinteknik/anvanda/dispensansokan#hmainbody1> (lest 27.10.23).

¹⁴⁹ Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Nationella behandlingsråd».

¹⁵⁰ Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Beslut om nationell samverkan».

- Hvis det er nye resept- eller rekvisisjonslegemidler innenfor samme behandlingsområde, og det er behov for en sammenhengende og samlet anbefaling til regionene
- Hvis legemiddelets rolle i behandling har behov for klargjøring, siden det er viktig å ha en lik nasjonal praksis og/eller fordi legemiddelet forventes å ha stor påvirkning på ressursene
- Hvis det er nødvendig med en anbefaling til regionene om å vente på en formell beslutning fra TLV, for eksempel fordi legemiddelet er forventet å beslaglegge store ressurser, fordi det er fare for ulik behandlingspraksis eller fordi legemiddelet allerede inngår i refusjonsordningen for en annen indikasjon

Forutsetningene for å inkluderes i **CUP**, er som følger:¹⁵¹

- Legemiddelet må omfattes av kategoriene i artikkel 3.1 og 3.2 i forordning (EC) 726/2004, og det må enten være tiltenkt å søke om markedsføringstillatelse gjennom den sentrale prosedyren i EU eller gjennomgå kliniske utprøvinger
- Det må foreligge tilfredsstillende dokumentasjon av legemiddelets effekt og sikkerhet, der nytte i forhold til risiko vurderes som overveiende positiv for pasientgruppen, og det medisinske produktet vil være tilgjengelig på svenske apoteker frem til en markedsføringstillatelse foreligger eller programmet er avbrutt av MPA

For å få innvilget en **dispensasjonssøknad for medisinteknisk produkt**, må følgende kriterier være oppfylt:¹⁵²

1. Hensikten med dispensasjonen skal være å beskytte menneskers liv eller helse
2. Det kan ikke være noen likeverdige alternative produkter på det svenske markedet som oppfyller regelverkets krav
3. Produktet skal kunne anvendes på en sikker måte, til tross for at regelverkets krav ikke er oppfylt
4. En dispensasjon kan ikke innebære en uakseptabel nytte/risiko-balanse

¹⁵¹ Läkemedelsverket. (2021, 21. juni). «Icke godkända läkemedel genom Compassionate use programme».

¹⁵² Läkemedelsverket. (2022, 16. september). «Dispensansökan för medicinteknisk produkt». <https://www.lakemedelsverket.se/sv/medicinteknik/anvanda/dispensansokan#hmainbody1> (lest 27.10.23).

2.6. UK (Storbritannia og Nord-Irland)

2.6.1. Overordnet om systemet

Det offentlige helsevesenet i UK (National Health Services [NHS]) er hovedsakelig finansiert gjennom generelle skatter, og andelen av totale helseutgifter som dekkes av det offentlige, har ligget rundt 80 % de to siste tiårene (79,5 % i 2019).¹⁵³ Etter at UK meldte seg ut av Den europeiske union (EU), har Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA), som er et fag- og myndighetsorgan under Department of Health and Social Care (DHSC), ansvaret for å vurdere og innvilge markedsføringstillatelser for medisinske produkter i UK.¹⁵⁴ Videre har National Institute for Health and Care Excellence (NICE) ansvaret for å vurdere og anbefale hvilken ny medisinsk teknologi som skal implementeres i NHS (i England, Wales og Nord-Irland), noe som inkluderer legemidler, utstyr, diagnostiske prosedyrer og folkehelseintervensjoner.¹⁵⁵ NHS er juridisk forpliktet til å tilby og finansiere legemidler og behandling anbefalt av NICE etter gjennomført metodevurdering.¹⁵⁶ Scottish Medicines Consortium (SMC) anbefaler hvilke legemidler som skal tilbys og offentlig finansieres i NHS Skottland, mens Scottish Health Technologies Group (SHTG) gir anbefalinger om medisinske produkter utenom legemidler.¹⁵⁷ I Wales er det et eget organ som vurderer legemidler, All Wales Medicines Strategy Group (AWMSG), men de arbeider komplementært til NICE og vurderer kun nye legemidler som ikke er å finne på tolv månedersplanen til NICE.¹⁵⁸ Ettersom det ikke er et tilsvarende organ som NICE på Nord-Irland, vedtar Northern Ireland Department of Health anbefalingene til NICE dersom det ikke foreligger lokale forskjeller som er relevante i vurderingen av om det medisinske produktet skal tilbys av det offentlige.¹⁵⁹

2.6.2. Unntaksordninger

Optimalisert anbefaling («optimised»): NICE kan anbefale medisinsk teknologi for en mindre gruppe enn det som fremgår av markedsføringstillatelsen.¹⁶⁰ Noen ganger kan ansvarlig

¹⁵³ Anderson M, et al. United Kingdom: health system review 2022. Health Systems in Transition, 24 (1). <https://iris.who.int/bitstream/handle/10665/354075/Hit-24-1-2022-eng.pdf?sequence=1>, s. 53.

¹⁵⁴ Anderson M, et al. United Kingdom: health system review 2022. Health Systems in Transition, 24 (1), s. 40–41.

¹⁵⁵ Anderson M, et al. United Kingdom: health system review 2022. Health Systems in Transition, 24 (1), s. 39.

¹⁵⁶ National Institute for Health and Care Excellence. (u.å.). «Technology appraisal guidance». <https://www.nice.org.uk/About/What-we-do/Our-Programmes/NICE-guidance/NICE-technology-appraisal-guidance> (lest 30.10.23).

¹⁵⁷ Anderson M, et al. United Kingdom: health system review 2022. Health Systems in Transition, 24 (1), s. 40.

¹⁵⁸ Anderson M, et al. United Kingdom: health system review 2022. Health Systems in Transition, 24 (1), s. 40.

¹⁵⁹ Anderson M, et al. United Kingdom: health system review 2022. Health Systems in Transition, 24 (1), s. 40.

¹⁶⁰ National Institute for Health and Care Excellence. (u.å.). «Types of technology appraisal recommendation». <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance/types-of-recommendation#optimised> (lest 30.10.23).

komite i NICE beslutte at et legemiddel er kostnadseffektiv behandling for en spesifikk gruppe av pasientene, for eksempel for pasienter som er resistente overfor eller ikke tåler andre legemidler.¹⁶¹ NICE betegner dette som en «optimalisert anbefaling», mens det i praksis er en betinget anbefaling, hvor kun en subgruppe får tilgang til behandlingen.¹⁶²

Fast track appraisal (FTA): Dersom en medisinsk teknologi bidrar med eksepsjonell verdi for pengene den koster, kan NICE vurdere teknologien gjennom en FTA-prosedyre.¹⁶³ Hensikten er å sørge for at pasientene får raskere tilgang til den mest kostnadseffektive behandlingen. Hvis teknologien blir anbefalt av NICE gjennom FTA, har NHS England forpliktet seg til å tilby behandlingen innen 30 dager fra anbefalingen ble publisert.¹⁶⁴

Forkortet søknadsprosess («abbreviated submissions»): SMC kan innvilge en forkortet søknadsprosess for legemidler som det eksisterer tilgjengelige alternativer for innenfor samme behandlingsområde.¹⁶⁵ En del av hensikten er å spare tid og ressurser for søker og behandler av søknaden.

Midlertidig tilgang («interim acceptance decision»): SMC kan gi midlertidig tilgang til en medisin i Skottland som enten er under vurdering eller til revurdering for å kunne tilbys i den offentlige helsetjenesten.¹⁶⁶ Hensikten med ordningen er å sikre pasienter tidlig tilgang til nye legemidler som retter seg mot et umøtt medisinsk behov («unmet medical need») og hvor en endelig avgjørelse fra SMC vil foreligge når data om de kliniske resultatene er samlet inn.¹⁶⁷

Individuell finansieringsforespørsel (IFR): I tilfeller hvor et legemiddel ikke tilbys gjennom NHS, fordi det for eksempel ikke foreligger tilstrekkelig dokumentasjon av legemiddelets effekt eller at det er vurdert til å ikke være kostnadseffektivt, kan behandlende lege søke om at

¹⁶¹ National Institute for Health and Care Excellence. (u.å.). «Types of technology appraisal recommendation».

¹⁶² O'Neill P og Devlin NJ. (2010). An analysis of NICE's 'restricted' (or 'optimized') decisions. *Pharmacoeconomics*, 28(11), s. 987–993. <https://doi.org/10.2165/11536970-000000000-00000>, s. 988.

¹⁶³ National Institute for Health and Care Excellence. (u.å.). «Technology appraisal processes». <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance/process> (lest 30.10.23).

¹⁶⁴ National Institute for Health and Care Excellence. (u.å.). «Technology appraisal processes».

¹⁶⁵ Scottish Medicines Consortium. (u.å.). «Abbreviated submissions». <https://www.scottishmedicines.org.uk/how-we-decide/abbreviated-submissions/> (lest 31.10.23).

¹⁶⁶ Scottish Medicines Consortium. (u.å.). «Interim acceptance decision option». <https://www.scottishmedicines.org.uk/how-we-decide/interim-acceptance-decision-option/> (lest 31.10.23).

¹⁶⁷ Scottish Medicines Consortium. (u.å.). «Interim acceptance decision option».

en pasient likevel skal få dekket behandlingen gjennom NHS.¹⁶⁸ For å få innvilget IFR, kreves det at den kliniske situasjonen er eksepsjonell. Etter at en søknad har gjennomgått en innledende screening hos NHS, for å se at nødvendig dokumentasjon er sendt inn og at kriteriene for IFH er oppfylt, vurderes søknaden av et uavhengig panel. Svar på søknader om IFR foreligger normalt innen 30 dager, men svaret gis ofte tidligere enn dette.¹⁶⁹

Individuell pasientfinansieringsforespørsel (IPFR): En lege kan søke et helsestyre («health board») eller Welsh Health Specialised Services Committee (WHSSC) om en pasient kan få refundert et legemiddel som vanligvis ikke er tilgjengelig i NHS Wales.¹⁷⁰ Legemiddelet kan for eksempel foreløpig mangle markedsføringstillatelse fra MHRA, eller det kan ha blitt metodevurdert, men at det er blitt besluttet at det ikke skal være tilgjengelig i den offentlige helsetjenesten.¹⁷¹

Gruppeunntak («One Wales Medicines process»): I tilfeller hvor en pasientgruppe kan ha nytte av et legemiddel som ikke vanligvis er tilgjengelig gjennom NHS Wales, kan AWMSG innvilge et gruppeunntak som gjør at pasientgruppen får tilgang til legemiddelet.¹⁷²

Cancer drugs fund: I tilfeller hvor det er vist at et legemiddel har klinisk nytte for kreftpasienter, men det fortsatt er behov for mer dokumentasjon for å fastsette at behandlingen er kostnadseffektiv, kan NICE anbefale tilgang til legemiddelet gjennom Cancer drugs fund.¹⁷³ Dersom legemiddelet tilbys gjennom dette programmet, vil pasientene få tilgang til ny, lovende behandling samtidig som mer data om behandlingen samles inn.¹⁷⁴ Pasientene får dekket behandlingen gjennom NHS, og de får med det tilgang til behandlingen mange

¹⁶⁸ NHS England. (2023, 12. juni). «Individual funding requests for specialised services: a guide for patients». <https://www.england.nhs.uk/long-read/individual-funding-requests-for-specialised-services-a-guide-for-patients/#when-can-an-individual-funding-request-be-made> (lest 30.10.23).

¹⁶⁹ NHS England. (2023, 12. juni). «Individual funding requests for specialised services: a guide for patients».

¹⁷⁰ All Wales Therapeutics and Toxicology Centre. (u.å.). «Individual patient funding request (IPFR)». <https://awttc.nhs.wales/accessing-medicines/access-to-medicines-in-wales/ipfr/> (lest 31.10.23).

¹⁷¹ All Wales Therapeutics and Toxicology Centre. (u.å.). «Individual patient funding request (IPFR)».

¹⁷² All Wales Therapeutics and Toxicology Centre. (u.å.). «One Wales Medicines process». <https://awttc.nhs.wales/accessing-medicines/access-to-medicines-in-wales/one-wales-medicines-process/> (lest 31.10.23).

¹⁷³ National Institute for Health and Care Excellence. (u.å.). «Types of technology appraisal recommendation».

¹⁷⁴ NHS England. (u.å.). «Cancer drugs fund». <https://www.england.nhs.uk/cancer/cdf/> (lest 30.10.23).

måneder tidligere enn normalt.¹⁷⁵ NHS har nylig lansert et tilsvarende program – Innovative medicines fund – for lovende behandlinger som ikke er kreftrelaterte.¹⁷⁶

Ultra-smale legemidler for ekstremt sjeldne tilstander («ultra-orphan medicines for extremely rare conditions»): Pasienter med sjeldne tilstander kan få raskere tilgang til behandling med denne ordningen.¹⁷⁷ Dersom legemiddelet møter kriteriene for å være et ultra-smalt legemiddel og SMC vurderer legemiddelet til å være klinisk effektivt, vil det gjøres tilgjengelig for minst tre år mens informasjon om effektiviteten blir samlet inn. Deretter vil SMC vurdere evidensen og beslutte om legemiddelet skal brukes rutinemessig i NHS Skottland.¹⁷⁸

Prosjekt Orbis: Formålet med prosjektet er å gi raskere tilgang til innovative onkologiske legemidler og behandlinger.¹⁷⁹ Dette er et internasjonalt prosjekt, ledet av US Food and Drug Administration (FDA), og i tillegg til MHRA inkluderer prosjektet tilsvarende myndighetsorgan i Australia, Canada, Singapore, Sveits, Brasil og Israel. Forutsetningen for å delta i ordningen, er at søknaden angår en ny markedsføringstillatelse av et medisinsk produkt, eller at det søkes om å bruke produktet til behandling av nye indikasjoner.¹⁸⁰

Tidlig tilgangsordning (Early access to medicines scheme [EAMS]): Pasienter med livstruende eller alvorlig svekkende tilstander kan søke tilgang gjennom EAMS til legemidler som enda ikke har fått innvilget markedsføringstillatelse, dersom det foreligger et klart umøtt medisinsk behov («unmet medical need»)¹⁸¹ MHRA kommer med en faglig vurdering av legemiddelets nytte/risiko-balanse, basert på datagrunnlaget da søknaden ble sendt. Dersom

¹⁷⁵ NHS England. (u.å.). «Cancer drugs fund».

¹⁷⁶ NHS England. (u.å.). «Innovative medicines fund». <https://www.england.nhs.uk/medicines-2/innovative-medicines-fund/> (lest 30.10.23).

¹⁷⁷ Scottish Government. (2018, 18. juni). «Treatments for rare conditions». <https://www.gov.scot/news/treatments-for-rare-conditions/> (lest 31.10.23).

¹⁷⁸ Scottish Government. (2018, 18. juni). «Treatments for rare conditions». <https://www.gov.scot/news/treatments-for-rare-conditions/> (lest 31.10.23).

¹⁷⁹ Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2023, 3. oktober). «Project Orbis». <https://www.gov.uk/guidance/guidance-on-project-orbis> (lest 30.10.23).

¹⁸⁰ Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2023, 3. oktober). «Project Orbis».

¹⁸¹ Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2023, 18. april). «Apply for the early access to medicines scheme (EAMS)». <https://www.gov.uk/guidance/apply-for-the-early-access-to-medicines-scheme-eams> (lest 30.10.23).

MHRA beslutter tidlig tilgang til legemiddelet, vil avgjørelsen være gyldig i ett år, men kan fornyes.¹⁸²

Innovativ lisens- og tilgangsordning (ILAP): Hensikten med ILAP er å legge opp til sikker, rask og effektiv utvikling av innovative, nye medisiner for pasientene.¹⁸³ Slike medisiner vil bli brukt til å behandle alvorlige tilstander og/eller for tilstander som det mangler behandlingsalternativer for. ILAP er et samarbeidsprosjekt mellom SMC, MHRA, NICE og All Wales Therapeutics and Toxicology Centre (AWTTC).¹⁸⁴

Hurtig markedsføringstillatelse: Søknader om markedsføringstillatelse kan hurtigbehandles dersom det foreligger overbevisende dokumentasjon om nytten av legemiddelet i møte med en folkehelsekrise eller i situasjoner med manglende tilbud av essensielle medisiner som har blitt bekreftet av DHSC.¹⁸⁵

Betinget markedsføringstillatelse: Det kan innvilges betingete markedsføringstillatelser under ekstraordinære situasjoner.¹⁸⁶ Dette vil kunne gjøres i tilfeller hvor det ikke er mulig å innhente tilstrekkelig data fordi tilstanden som behandles, er sjelden, eller fordi innhenting av fullstendig informasjon ikke er mulig eller uetisk. Søknaden må uansett dokumentere sikkerhet og effekt i den grad at det er tilstrekkelig evidens til å fastslå at risiko/nytte-balansen er positiv.¹⁸⁷

Markedsføringstillatelse for smale legemidler: MHRA kan utstedte markedsføringstillatelse for smale legemidler («orphan medical products»), hvor en slik markedsføringstillatelse vil

¹⁸² Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2023, 18. april). «Apply for the early access to medicines scheme (EAMS)».

¹⁸³ Scottish Medicines Consortium. (2023). Guidance to submitting companies for completion of new product assessment form (NPAF) Supplement for medicines eligible for the interim acceptance decision option. <https://www.scottishmedicines.org.uk/media/6229/20230810-guidance-supplement-interim-acceptance-v1.pdf>, s. 6.

¹⁸⁴ Scottish Medicines Consortium. (2023). Guidance to submitting companies for completion of new product assessment form (NPAF) Supplement for medicines eligible for the interim acceptance decision option, s. 6.

¹⁸⁵ Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2023, 19. oktober). «Apply for a licence to market a medicine in UK». <https://www.gov.uk/guidance/apply-for-a-licence-to-market-a-medicine-in-the-uk> (lest 30.10.23).

¹⁸⁶ Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2020, 31. desember). «Conditional marketing authorisations, exceptional circumstances marketing authorisations and national scientific advice». <https://www.gov.uk/guidance/conditional-marketing-authorisations-exceptional-circumstances-marketing-authorisations-and-national-scientific-advice> (lest 31.10.23).

¹⁸⁷ Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2020, 31. desember). «Conditional marketing authorisations, exceptional circumstances marketing authorisations and national scientific advice».

innebære markedseksklusivitet fra lignende produkter i opp til 10 år og at søkeren vil få fullstendig eller delvis kompensert gebyret for å søke markedsføringstillatelse.¹⁸⁸

Parallellimport: En parallellimport innebærer at et legemiddel med markedsføringstillatelse innenfor EØS, kan bli markedsført i UK så lenge det ikke foreligger terapeutiske forskjeller fra det britiske produktet.¹⁸⁹

Off-label bruk av legemidler: Det vil kunne oppstå tilfeller hvor bruk av legemidler utenfor indikasjonene det har markedsføringstillatelse, kan være aktuelt.¹⁹⁰ I slike tilfeller påhviler det behandleren som foreskriver legemiddelet, et særlig stort ansvar.¹⁹¹

Off-label bruk av medisinsk utstyr («medical device»): I sjeldne tilfeller kan det være aktuelt å bruke medisinsk utstyr off-label siden det ikke eksisterer andre aktuelle produkter.¹⁹² I situasjoner hvor det vurderes å bruke medisinsk teknologi off-label, bør følgende faktorer inkluderes i vurderingen: gjennomføre en risikoanalyse og dokumentere den, vurdere etiske og juridiske implikasjoner, ta passende forholdsregler ved implementeringen for å minimere risiko, revurdere risikoanalysen av passende intervaller og få godkjenning fra MHRA for eksepsjonell bruk av medisinsk utstyr («Exceptional use of non-UKCA marked medical devices») som ikke etterlever regelverket for å beskytte pasienters helse (hvis nødvendig).¹⁹³

2.6.3. Kriterier for unntak

En medisinsk teknologi kan vurderes gjennom **fast track appraisal (FTA)** i følgende tilfeller:¹⁹⁴

¹⁸⁸ Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2021, 22. februar). «Orphan medicinal products». <https://www.gov.uk/guidance/orphan-medicinal-products-in-great-britain> (lest 31.10.23).

¹⁸⁹ Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2023, 12. september). «Medicines: apply for a parallel import licence». <https://www.gov.uk/guidance/medicines-apply-for-a-parallel-import-licence> (lest 30.10.23).

¹⁹⁰ Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2014, 11. desember). «Off-label or unlicensed use of medicines: prescribers' responsibility». <https://www.gov.uk/drug-safety-update/off-label-or-unlicensed-use-of-medicines-prescribers-responsibilities> (lest 30.10.23).

¹⁹¹ Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2014, 11. desember). «Off-label or unlicensed use of medicines: prescribers' responsibility».

¹⁹² Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2023, 1. juli). «Off-label use of a medical device». <https://www.gov.uk/guidance/guidance-on-project-orbis> (lest 30.10.23).

¹⁹³ Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2023, 1. juli). «Off-label use of a medical device».

¹⁹⁴ Department of Health and Social Care. (2018). NICE's technology appraisal and highly specialised technology work programmes – charging and appeal panels. https://assets.publishing.service.gov.uk/media/5b6c443d40f0b640a94e4fda/NICE_consultation_document_1.pdf, s. 6–7.

- Leverandørens inkrementelle kostnadseffektivitetsbrøk (ICER) er mindre enn 10 000 pund per kvalitetsjusterte leveår (QALY) vunnet
- Det er sannsynlig at den mest plausible ICER er mindre enn 20 000 pund per QALY vunnet, og det er høyst usannsynlig at den er høyere enn 30 000 pund per QALY vunnet

eller

- En kostnadssammenligning kan bli utført som viser at det er sannsynlig å oppnå samme eller større nytte, ved samme eller mindre kostnad enn ved bruk av medisinske teknologier som allerede er anbefalt i metodevurderinger av samme indikasjon

For å kunne søke om SMC om **midlertidig tilgang**, må legemiddelet falle under en av følgende kategorier:¹⁹⁵

- Har fått innvilget en betinget markedsføringstillatelse av MHRA
- Har fått innvilget en tidlig tilgangsordning (EAMS) av MHRA
- Har blitt inkludert innovativ lisens- og tilgangsordning (ILAP)

En lege kan søke NHS om en **individuell finansieringsforespørsel** i følgende tilfeller:¹⁹⁶

- Når det er dokumentasjon om klinisk eksepsjonalitet:
 - Når det ikke er retningslinjer på plass som gir tilgang til en intervensjon for en pasientgruppe, og legen tror at det er ingen andre pasienter med samme kliniske situasjon som vil dra nytte av behandlingen på samme måte

eller

- Når det er retningslinjer på plass som gir tilgang til en intervensjon for en pasientgruppe og pasienten det søkes om ikke oppfyller disse kriteriene. Legen mener at pasients kliniske situasjon er klart annerledes fra andre pasienter med samme tilstand som ikke oppfyller kriteriene **og** det gis en begrunnelse for hvorfor pasienten vil respondere annerledes enn andre pasienter med samme tilstand som ikke oppfyller kriteriene, og med det har større klinisk nytte av behandlingen
- **Og** det foreligger evidens for klinisk effekt av behandlingen for pasientens tilstand
- **Og** den ansøkte behandlingen vil være god bruk av NHSs ressurser

¹⁹⁵ Scottish Medicines Consortium. (u.å.). «Interim acceptance decision option».

¹⁹⁶ NHS England. (2023, 12. juni). «Individual funding requests for specialised services: a guide for patients».

Et legemiddel kan finansieres i NHS Wales gjennom **individuell finansieringsforespørsel (IPFR)** dersom evidensen viser at:¹⁹⁷

1. Signifikant klinisk nytte er forventet for den spesifikke pasienten
2. Legemiddelets kostnader er i balanse med den forventede kliniske nytten

Et **gruppeunntak** kan innvilges gjennom AWSMG i følgende ulike tilfeller:¹⁹⁸

- Den som har markedsføringstillatelse, forplikter seg til en fremtidig metodevurdering (HTA)
- MHRA har ikke gitt legemiddelet markedsføringstillatelse
- MHRA har gitt en betinget markedsføringstillatelse til å kun behandle en annen tilstand enn det søkes for
- Legemiddelet er ikke inkludert i nåværende behandlingsretningslinjer og ingen andre passende legemidler er godkjent for å behandle tilstanden

Det er to nøkkelkriterier som må være oppfylt, for å kunne innlemmes i **Cancer drugs fund**:¹⁹⁹

1. Behandlingen er indisert for pasienter med kort forventet levetid, normalt under 24 måneder
2. Det er tilstrekkelig evidens til å indikere at behandlingen har utsikter til å forlenge livet, normalt med en gjennomsnittsverdi på minst tre måneders livsforlengelse sammenlignet med nåværende behandling i NHS

For at et legemiddel skal kunne betraktes som et **ultra-smalt legemiddel** og vurderes i **SMCs ordning for ekstremt sjeldne tilstander**, må følgende vilkår oppfylles:²⁰⁰

1. Tilstanden har en prevalens på 1 av 50 000 eller mindre i Skottland
2. Legemiddelet har en markedsføringstillatelse for smale legemidler fra MHRA
3. Tilstanden er kronisk og alvorlig svekkende
4. Tilstanden krever spesialisert helsehjelp

¹⁹⁷ All Wales Therapeutics and Toxicology Centre. (u.å.). «Individual patient funding request (IPFR)».

¹⁹⁸ All Wales Therapeutics and Toxicology Centre. (u.å.). «One Wales Medicines process».

¹⁹⁹ NHS England. (2016). Appraisal and funding of cancer drugs from July 2016 (including the new cancer drugs fund): a new deal for patients, taxpayers and industry. <https://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2013/04/cdf-sop.pdf>, s. 12.

²⁰⁰ Scottish Medicines Consortium. (u.å.). «Ultra-orphan medicines for extremely rare conditions». <https://www.scottishmedicines.org.uk/how-we-decide/ultra-orphan-medicines-for-extremely-rare-conditions/> (lest 31.10.23).

For at et legemiddel skal kunne få innvilget en **markedsføringstillatelse for smale legemidler**, må følgende vilkår oppfylles:²⁰¹

1. Det må være intendert til behandling, forebygging eller diagnostikk av en sykdom som er livstruende eller kronisk svekkende
2. Prevalensen av tilstanden i Storbritannia må ikke være større enn 5 av 10 000, eller det må være usannsynlig at markedsføring av legemiddelet vil frembringe tilstrekkelig inntekt til å rettferdiggjøre investeringene som er nødvendige i utviklingen av det
3. Det eksisterer ingen tilfredsstillende metoder for diagnostikk, forebygging eller behandling av tilstanden i Storbritannia, eller, hvis slike metoder eksisterer, må legemiddelet gi signifikant nytte til dem som er rammet av tilstanden
 - a. Tilfredsstillende metoder kan innebære autoriserte medisinske produkter, medisinsk utstyr eller andre metoder for diagnostikk, forebygging eller behandling som brukes i Storbritannia

Følgende kriterier må være oppfylt for å kunne søke om **innovativ lisens- og tilgangsordning (ILAP)**:²⁰²

1. Detaljer om tilstanden, pasienten og folkehelseområde:
 - a. Tilstanden er livstruende eller alvorlig svekkende
 - b. Det er et betydelig pasient- eller folkehelsebehov
2. Det medisinske produktet tilhører én eller flere av de spesifikke områdene:
 - a. Innovativt legemiddel slik som «advanced therapy medicinal product» (ATMP) eller nytt kjemisk eller biologisk produkt eller ny kombinasjon
 - b. Legemiddelet utvikles med tanke på en klinisk betydningsfull indikasjon for et godkjent legemiddel
 - c. Legemiddel for sjeldne sykdommer og/eller andre spesielle populasjoner som nyfødte og barn, eldre og gravide kvinner
 - d. Utvikling i samsvar med målene for UKs folkehelseprioriteringer, slik som Chief Medical Officer, DHSC eller Life Sciences Sector Deal

²⁰¹ Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2021, 22. februar). «Orphan medicinal products». <https://www.gov.uk/guidance/orphan-medicinal-products-in-great-britain> (lest 31.10.23).

²⁰² Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2023, 27. januar). «Innovative licensing and access pathway». <https://www.gov.uk/guidance/innovative-licensing-and-access-pathway> (lest 31.10.23).

3. Gi et sammendrag av hvordan pasienter sannsynligvis vil ha nytte av produktet eller indikasjonen som kommer på markedet, derunder foreslått forbedret effekt og sikkerhet, bidrag til pasientomsorg og livskvalitet, sammenlignet med alternative behandlingsmuligheter.

Referanser

All Wales Therapeutics and Toxicology Centre. (u.å.). «Individual patient funding request (IPFR)». <https://awttc.nhs.wales/accessing-medicines/access-to-medicines-in-wales/ipfr/> (lest 31.10.23).

All Wales Therapeutics and Toxicology Centre. (u.å.). «One Wales Medicines process». <https://awttc.nhs.wales/accessing-medicines/access-to-medicines-in-wales/one-wales-medicines-process/> (lest 31.10.23).

Anderson M, et al. United Kingdom: health system review 2022. Health Systems in Transition, 24 (1). <https://iris.who.int/bitstream/handle/10665/354075/Hit-24-1-2022-eng.pdf?sequence=1>

Blåreseptforskriften. Forskrift om stønad til dekning av utgifter til viktige legemidler mv. av 28. juni 2007 nr. 814. <https://lovdata.no/dokument/SF/forskrift/2007-06-28-814>

Danske regioner. (2016). Modell for vurdering af læremidler. https://medicinraadet.dk/media/bqfhyn5a/ad-pkt-4-danske-regioners-model-vurdering-af-laegemidler-april-2016_final-a.pdf (lest 18.10.23).

Danske regioner. (2018). Vejledning om anvendelse af lægemidler som ikke er anbefalet af Medicinrådet. <https://www.regioner.dk/media/10311/anvendelse-af-ikke-anbefalede-laegemidler.pdf> (lest 19.10.23).

Danske regioner. (2020). Danske Regioners model for et Behandlingsråd. <https://behandlingsraadet.dk/media/wythb4k4/bilag-1-model-for-behandlingsraade-nov-2020.pdf> (lest 19.10.23).

Danske regioner. (2021). Model for brug af betingede anbefalinger i Medicinrådet. <https://medicinraadet.dk/media/q40ln52p/model-for-brug-af-betingede-anbefalinger-i-medicinr%C3%A5det-adlegacy.pdf> (lest 18.10.23).

Department of Health and Social Care. (2018). NICE's technology appraisal and highly specialised technology work programmes – charging and appeal panels. https://assets.publishing.service.gov.uk/media/5b6c443d40f0b640a94e4fda/NICE_consultation_document_1.pdf

European Medicines Agency. (u.å.). «Pre-authorisation guidance». <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/marketing-authorisation/pre-authorisation-guidance> (lest 26.10.23).

European Medicines Agency. (2017). Unmet medical need; definitions and need for clarity. https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/presentation-unmet-medical-need-jllinares-ema_en.pdf (lest 26.10.23).

Fimea. (u.å.). «Dose-dispensing». <https://fimea.fi/en/pharmacies/dose-dispensing> (lest 20.10.23).

Fimea. (u.å.). «Exemption». https://fimea.fi/en/marketing_authorisations/other_permits/exemption (lest 20.10.23).

- Fimea. (u.å.). «Marketing authorisation application». https://fimea.fi/en/marketing_authorisations/marketing_authorisation_application (lest 19.10.23).
- Fimea. (u.å.). «Special permits». https://fimea.fi/en/pharmacies/special_permits (lest 19.10.23).
- Frumtök. (u.å.). «Price- and reimbursement». <https://frumtok.is/en/information-and-links/price-and-reimbursement/> (lest 23.10.23).
- Fimea. (2023). Piloting the application procedure in the assessment of new hospital-only medicines. https://fimea.fi/documents/147152901/159459755/hakemuspilotit+210223_EN.pdf/3654e516-04eb-8a66-645d-892bb82dfa34/hakemuspilotit+210223_EN.pdf?t=1677665689551
- Government of the Netherlands. (u.å.). «Keeping medicines affordable». <https://www.government.nl/topics/medicines/keeping-medicines-affordable> (lest 24.10.23).
- Helsedirektoratet. (2023, 4. oktober). «Tredelt finansieringsansvar for legemidler». <https://www.helsedirektoratet.no/tema/legemidler/legemiddelfinansiering/refusjon-av-legemidler> (lest 31.10.23).
- Hila. (u.å.). «Applying and notifications». <https://www.hila.fi/en/applying-and-notifications/> (lest 21.10.23).
- Hila. (u.å.). «Operations and organisations». <https://www.hila.fi/en/operations-and-organisation/> (lest 20.10.23).
- Icelandic Medicines Agency. (2021, 26. november). «Other registrations/authorisations». <https://www.ima.is/licences/marketing-authorisations/other-registrations-authorisations/> (lest 24.10.23).
- Icelandic Medicines Agency. (2021, 17. desember). «Marketing authorisations». <https://www.ima.is/licences/marketing-authorisations/> (lest 22.10.23).
- Icelandic Medicines Agency. (2021, 17. desember). «How are products prescribed for compassionate use handled in Iceland?» https://www.ima.is/spurt_og_svarad/01-how-are-products-prescribed-for-compassionate-use-handled-in-iceland/ (lest 23.10.23).
- Icelandic Medicines Agency. (2023). Classification of a medicine as a specialty care high-cost medicine. <https://www.ima.is/wp-content/uploads/sites/3/2023/05/20230512-Classification-of-a-medicine-as-a-Specialty-Care-High-Cost-Medicine-BIRT.pdf> (lest 23.10.23).
- Icelandic Medicines Agency. (2023). Reimbursement system for specialty care high-cost medicine. <https://www.ima.is/wp-content/uploads/sites/3/2023/05/20230504-Reimbursement-system-for-SCHC.pdf>
- Icelandic Medicines Agency. (2023, 15. februar). «Roles and organization». <https://www.ima.is/ima/roles-and-organization/> (lest 23.10.23).
- Icelandic Medicines Agency. (2023, 18. april). «Zero day procedure». <https://www.ima.is/licences/marketing-authorisations/zero-day-procedure/> (lest 23.10.23).

Janlöv N, et al. (2023). Sweden: health system review. Health Systems in Transition, 25(4). <https://iris.who.int/bitstream/handle/10665/372708/9789289059473-eng.pdf?sequence=8>

Kela. (2023, 13. oktober). «Reimbursements for medicine expenses». <https://www.kela.fi/medicine-expenses> (lest 19.10.23).

Kristensen K og Waage F. (2021). Jurdisk notat om off-label. <https://medicinraadet.dk/media/bn2j5gil/juridisk-notat-om-off-label-adlegacy.pdf> (lest 18.10.23).

Läkemedelsverket. (u.å.). «Försäljningstillstånd». <https://www.lakemedelsverket.se/sv/tillstand-godkannande-och-kontroll/forsaljningstillstand> (lest 31.10.23).

Läkemedelsverket. (2021, 21. juni). «Icke godkända läkemedel genom Compassionate use programme». <https://www.lakemedelsverket.se/sv/tillstand-godkannande-och-kontroll/klinisk-provning/lakemedel-for-manniskor/icke-godkanda-lakemedel-genom-compassionate-use-programme> (lest 27.10.23).

Läkemedelsverket. (2022, 16. september). «Dispensansökan för medicinteknisk produkt». <https://www.lakemedelsverket.se/sv/medicinteknik/anvanda/dispensansokan#hmainbody1> (lest 27.10.23).

Legemiddelforskriften. Forskrift om legemidler til mennesker av 18. desember 2009 nr. 1839. <https://lovdata.no/dokument/SF/forskrift/2009-12-18-1839>

Lægemedelstyrelsen. (2022, 14. desember). «Individuelle tilskudd til medicin» [Internett]. <https://laegemiddelstyrelsen.dk/da/tilskud/individuelle-tilskud/> (lest 19.10.23).

Medicinal Products Act no. 100/2020. <https://www.government.is/library/01-Ministries/Ministry-of-Health/PDF-skjol/Lyfjal%C3%B6g%20nr.%20100.2020%20-%20ensk%C3%BE%C3%BD%C3%B0ing.pdf> (lest 23.10.23).

Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2014, 11. desember). «Off-label or unlicensed use of medicines: prescribers' responsibility». <https://www.gov.uk/drug-safety-update/off-label-or-unlicensed-use-of-medicines-prescribers-responsibilities> (lest 30.10.23).

Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2020, 31. desember). « Conditional marketing authorisations, exceptional circumstances marketing authorisations and national scientific advice ». <https://www.gov.uk/guidance/conditional-marketing-authorisations-exceptional-circumstances-marketing-authorisations-and-national-scientific-advice> (lest 31.10.23).

Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2021, 22. februar). «Orphan medicinal products». <https://www.gov.uk/guidance/orphan-medicinal-products-in-great-britain> (lest 31.10.23).

Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2023, 19. oktober). «Apply for a licence to market a medicine in UK». <https://www.gov.uk/guidance/apply-for-a-licence-to-market-a-medicine-in-the-uk> (lest 30.10.23).

Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2023, 18. april). «Apply for the early access to medicines scheme (EAMS)». <https://www.gov.uk/guidance/apply-for-the-early-access-to-medicines-scheme-eams> (lest 30.10.23).

Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2023, 27. januar). «Innovative licensing and access pathway». <https://www.gov.uk/guidance/innovative-licensing-and-access-pathway> (lest 31.10.23).

Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2023, 12. september). «Medicines: apply for a parallel import licence». <https://www.gov.uk/guidance/medicines-apply-for-a-parallel-import-licence> (lest 30.10.23).

Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2023, 1. juli). «Off-label use of a medical device». <https://www.gov.uk/guidance/guidance-on-project-orbis> (lest 30.10.23).

Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2023, 3. oktober). «Project Orbis». <https://www.gov.uk/guidance/guidance-on-project-orbis> (lest 30.10.23).

Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Assessing medicines». <https://english.cbg-meb.nl/topics/about-meb-our-tasks/about-meb-assessing-medicines> (lest 24.10.23).

Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Duplex marketing authorisation». <https://english.cbg-meb.nl/topics/mah-duplex-marketing-authorisation> (lest 26.10.23).

Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Overview of the approved compassionate use programmes». <https://english.cbg-meb.nl/topics/mah-compassionate-use-programme> (lest 26.10.23).

Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Parallel import». <https://english.cbg-meb.nl/topics/mah-parallel-import> (lest 26.10.23).

Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Parallel procedures: faster assessment of medicines». <https://english.cbg-meb.nl/topics/mah-parallel-procedures> (lest 26.10.23).

Medicines Evaluation Board. (u.å.). «Well established use». <https://english.cbg-meb.nl/topics/mah-well-established-use> (lest 26.10.23).

Medicinrådet. (2020). Anvendelse af alvorlighedsprincippet. <https://medicinraadet.dk/media/weanjjre/mediciner%C3%A5dets-anvendelse-af-alvorlighedsprincippet-januar-2021.pdf> (lest 19.10.23).

Medicinrådet. (u.å.). «Om os». <https://medicinraadet.dk/om-os> (lest 18.10.23).

National Health Care Institute. (u.å.). «Advising on and clarifying the contents of the standard health care benefit package». <https://english.zorginstituutnederland.nl/about-us/tasks-of-the-national-health-care-institute/advising-on-and-clarifying-the-contents-of-the-standard-health-care-benefit-package> (lest 25.10.23).

National Health Care Institute. (u.å.). «Conditional inclusion of orphan drugs, conditionals and exceptionals in basic health care». <https://english.zorginstituutnederland.nl/about-us/tasks-of-the-national-health-care-institute/conditional-inclusion-of-orphan-drugs-conditionals-and-exceptionals> (lest 26.10.23).

National Institute for Health and Care Excellence. (u.å.). «Technology appraisal guidance». <https://www.nice.org.uk/About/What-we-do/Our-Programmes/NICE-guidance/NICE-technology-appraisal-guidance> (lest 30.10.23).

National Institute for Health and Care Excellence. (u.å.). «Technology appraisal processes». <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance/process> (lest 30.10.23).

National Institute for Health and Care Excellence. (u.å.). «Types of technology appraisal recommendation». <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/nice-guidance/nice-technology-appraisal-guidance/types-of-recommendation#optimised> (lest 30.10.23).

NHS England. (2016). Appraisal and funding of cancer drugs from July 2016 (including the new cancer drugs fund): a new deal for patients, taxpayers and industry. <https://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2013/04/cdf-sop.pdf>

NHS England. (u.å.). «Cancer drugs fund». <https://www.england.nhs.uk/cancer/cdf/> (lest 30.10.23).

NHS England. (u.å.). «Innovative medicines fund». <https://www.england.nhs.uk/medicines-2/innovative-medicines-fund/> (lest 30.10.23).

NHS England. (2023, 12. juni). «Individual funding requests for specialised services: a guide for patients». <https://www.england.nhs.uk/long-read/individual-funding-requests-for-specialised-services-a-guide-for-patients/#when-can-an-individual-funding-request-be-made> (lest 30.10.23).

Nye metoder. (2020, 22. desember). «Bakgrunn: Hvorfor har vi Nye metoder?». <https://nyemetoder.no/om-systemet/bakgrunn-hvorfor-har-vi-nye-metoder> (lest 31.10.23).

Nye metoder. (2023, 3. april). «Beslutningsforum for nye metoder og nasjonale beslutninger.» <https://nyemetoder.no/om-systemet/beslutningsforum-for-nye-metoder-og-nasjonale-beslutninger> (lest 31.10.23).

Nye metoder. (2023, 25. august). «Unntaksordning». <https://nyemetoder.no/om-systemet/unntaksordning> (lest 31.10.23).

OECD/European Observatory on Health Systems and Policies. (2021). Denmark: Country Health Profile 2021, State of Health in the EU. <https://www.oecd.org/health/denmark-country-health-profile-2021-2dce8636-en.htm>.

OECD/European Observatory on Health Systems and Policies. (2021). Iceland: Country Health Profile 2021, State of Health in the EU. <https://eurohealthobservatory.who.int/publications/m/iceland-country-health-profile-2021>

OECD/European Observatory on Health Systems and Policies. (2021). Netherlands: Country Health Profile 2021, State of Health in the EU. <https://www.oecd.org/publications/netherlands-country-health-profile-2021-fd18ea00-en.htm>

O'Neill P og Devlin NJ. (2010). An analysis of NICE's 'restricted' (or 'optimized') decisions. *Pharmacoeconomics*, 28(11), s. 987–993. <https://doi.org/10.2165/11536970-000000000-00000>

Petersen CL, Hansen MR, Øhlenschläger T og Damkier P. (2023). An analysis of the level of evidence behind treatments recommended by the Danish Medicines Council. *Public Health*, 216, s. 27–29. <https://doi.org/10.1016/j.puhe.2023.01.004>

Pharmaceuticals pricing board [Hila]. Application for basic/special reimbursement status and reasonable wholesale price for a medical product subject to special license. For applications by manufacturers, importers or wholesalers.

https://www.hila.fi/content/uploads/2020/03/Instruction_EL_010120-1.pdf (lest 21.10.23).

Pharmaceuticals pricing board [Hila]. Application for basic reimbursement status and reasonable wholesale price for a medical product subject to special license. For applications by a patient or pharmacy on behalf of the patient.

https://www.hila.fi/content/uploads/2020/03/Instruction_ELP_010120.pdf (lest 21.10.23).

Proba samfunnsanalyse. (2021). Evaluering av systemet for Nye metoder i spesialisthelsetjenesten. Rapport 2021-16.

<https://www.regjeringen.no/contentassets/09874a0573eb480384061da473458ed1/rapport-evaluering-nye-metoder-2021115-ferdig.pdf> (lest 18.10.23)

Regionale helseforetak. (2023). Unntaksordningen i Nye metoder. <https://www.helse-vest.no/contentassets/89b1ed2c364f4c70aee25852f33b2179/styredokument-2023/15.02.2023/sak-00323-vedl.-ad-si-orien.-pkt-7---rapport-fra-de-regionale-helseforetak-om-unntaksordningen-innenfor-nye-metoder.pdf>

Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Beslut om nationell samverkan».

<https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartside/processordnatinforande/beslutomnationellsamverkan.4.64582f2718842410f2e246da.html> (lest 27.10.23).

Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Förhandling och upphandling».

<https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartside/processordnatinforande/forhandlingochupphandling.4.64582f2718842410f2e2470d.html> (lest 27.10.23).

Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Nationella behandlingsråd».

<https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartside/organisationordnatinforande/nationellabehandlingsrad.4.5aca7268188422488c1250ee.html> (lest 29.10.23).

Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Rekommendation».

<https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartside/processordnatinforande/rekommendation.4.64582f2718842410f2e2471e.html> (lest 27.10.23).

Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Så uttrycks NT-rådets rekommendationer».

<https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartside/processordnatinforande/rekommendation/sauttrycksntradetsrekommendationer.4.64582f2718842410f2e24bef.html> (lest 27.10.23).

Regionernas samverkansmodell för medicinteknik. (u.å.). «MTP-rådet».

<https://janusinfo.se/mtpradet/samverkanmedicinteknikstartside/mtpradet.4.23fc08ed187eae25858d7924.html> (lest 27.10.23).

Scottish Medicines Consortium. (u.å.). «Abbreviated submissions».

<https://www.scottishmedicines.org.uk/how-we-decide/abbreviated-submissions/> (lest 31.10.23).

Scottish Medicines Consortium. (u.å.). «Interim acceptance decision option».

<https://www.scottishmedicines.org.uk/how-we-decide/interim-acceptance-decision-option/> (lest 31.10.23).

Scottish Medicines Consortium. (u.å.). «Ultra-orphan medicines for extremely rare conditions». <https://www.scottishmedicines.org.uk/how-we-decide/ultra-orphan-medicines-for-extremely-rare-conditions/> (lest 31.10.23).

Scottish Government. (2018, 18. juni). «Treatments for rare conditions». <https://www.gov.scot/news/treatments-for-rare-conditions/> (lest 31.10.23).

Scottish Medicines Consortium. (2023). Guidance to submitting companies for completion of new product assessment form (NPAF) Supplement for medicines eligible for the interim acceptance decision option. <https://www.scottishmedicines.org.uk/media/6229/20230810-guidance-supplement-interim-acceptance-v1.pdf> lest 31.10.23

Statens legemiddelverk. (2023, 4. september). «Metodevurdering av legemidler». <https://www.legemiddelverket.no/offentlig-finansiering/metodevurdering-av-legemidler> (lest 31.10.23).

Statens legemiddelverk. (2023, 6. september). «Slik godkjennes legemidler». <https://www.legemiddelverket.no/godkjenning/godkjenning-og-oppfolging-av-markedsforingstillatelse/soknad-om-markedsforingstillatelse/slik-godkjennes-legemidler> (lest 31.10.23).

Statens legemiddelverk. (2023, 6. september). «Slik får legemidler offentlig finansiering». <https://www.legemiddelverket.no/offentlig-finansiering/slik-far-legemidler-offentlig-finansiering> (lest 31.10.23).

Sundhed.dk. (2023, 31. mars). «Tilskud til medicin». <https://www.sundhed.dk/borger/sygdom-og-behandling/medicin/tilskud-til-medicin/> (lest 29.10.23).

Sundhedsstyrelsen. (2023, 20. april). «Foresørgsel og henvisning om eksperimentell behandling». <https://sundhedsstyrelsen.dk/da/viden/Sundhedsvaesen/Henvisning-og-patientrettigheder/Eksperimentel-behandling/Forespoergsel-og-henvisning> (lest 19.10.23).

Sundheds- og ældreministeriet. Princippapir om prioritering for sygehuslægemidler. 2016. https://medicinraadet.dk/media/10xfmhsz/ad-pkt-4-folketingets-7-principper-for-prioritering-af-sygehuslaegemidler_final-a.pdf (lest 18.10.23).

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. (u.å.). Tillfällig subvention för tidigare licensläkemedel. https://www.tlv.se/download/18.467926b615d084471ac31df8/1510316395145/Tillfallig_subvention_tidigare_licenslakemedel.pdf (lest 27.10.23).

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. (2023, 23. mai). «Högekostnadsskyddet». <https://www.tlv.se/lakemedelsforetag/hogkostnadsskyddet.html> (lest 27.10.23).

Tynkkynen L-K, et al. (2023). Finland: health system summary. <https://eurohealthobservatory.who.int/publications/i/finland-health-system-summary>

Zorginstituut Nederland. (2017). Package advice in practice. Deliberations for arriving at a fair package. <https://english.zorginstituutnederland.nl/binaries/zinl-eng/documenten/reports/2018/09/05/package-advice-in-practice---deliberations-for-arriving-at-a-fair-package/Package+advice+in+practice+-+Deliberations+for+arriving+at+a+fair+package.pdf> (lest 29.10.23).

Zorginstituut Nederland. (2020). Specialist medicinal products assessment. <https://english.zorginstituutnederland.nl/binaries/zinl-eng/documenten/reports/2020/05/11/specialist-medicinal-products-assessment-procedure/Specialist+medicinal+products+assessment+procedure.pdf> (lest 25.10.23).

Zorginstituut Nederland. (2020). Conditional inclusion procedure for medicinal products. <https://english.zorginstituutnederland.nl/about-us/publications/publications/2020/07/31/conditional-inclusion-procedure-for-medicinal-products> (lest 26.10.23).