

Ekstern rapport om unntaksordninger etter nei-beslutninger i utvalgte lands systemer som ligner på systemet for Nye metoder

*Joar Røkke Fystro, Avdeling for helseledelse og helseøkonomi, Universitetet i Oslo
Overlevert til ekspertgruppen og dens sekretariat 15. desember 2023*

Sammendrag

I systemet for Nye metoder er det mulig å gjøre unntak for enten enkeltpasienter eller pasientgrupper før Beslutningsforum har fattet en beslutning om hvorvidt et legemiddel skal tilbys i den norske spesialisthelsetjenesten. Etter at en nei-beslutning foreligger fra Beslutningsforum, er det derimot ikke lenger mulig å søke unntak om å ta i bruk det vurderte legemiddelet. Denne rapporten viser at i Danmark, Finland, Island, Sverige og Storbritannia og Nord-Irland (heretter UK, men med hovedvekt på *National Health Service* (NHS) i England) er det mulig å gjøre unntak og tilby legemidler som beslutningsorganet i systemet for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten har sagt nei til. Samtidig er det store forskjeller mellom de ulike landenes systemer, der avgjørelser fra beslutningsorganet på den ene siden kun har en rådgivende funksjon og sykehusene i praksis kan gjøre som de selv ønsker (Finland og til dels Sverige). På den andre siden er det i noen systemer formaliserte ordninger med klare prosedurale regler og regimer for oppfølging av unntak som er innvilget (Danmark, Island og UK). Nederland er det eneste av de undersøkte landene som har et system for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten uten mulighet for å søke om unntak etter at en nei-beslutning om hvorvidt et legemiddel skal tilbys er fattet (og det kan heller ikke gjøres unntak før en beslutning foreligger eller prisforhandlinger er gjennomført).

Videre kan rapportens funn oppsummeres i tre lærepunkter. For det første oppstår behovet for unntaksordninger først når avgjørelsene fra beslutningsorganet i systemet er bindende – i alle fall når avgjørelsene i praksis følges rundt om på sykehusene. I det finske systemet virker det som at bruk av legemidler det er sagt nei til, først og fremst er en uønsket konsekvens av ikke-bindende anbefalinger. For det andre viser funnene at det er forskjell på å gjøre unntak (i betydningen å ikke følge anbefalingene om metodeinnføring) og det å ha unntaksordninger, som gir en systematisk og formalisert kontroll på hvilke metoder som tilbys i spesialisthelsetjenesten. I Danmark er heller ikke beslutningsorganets anbefalinger juridisk bindende, men det er utviklet ordninger for å fatte unntaksbeslutninger, og det er egne

instanser som har fått ansvaret for å monitorere unntaksbruken av ikke-anbefalte legemidler i etterkant. For det tredje viser funnene i rapporten betydningen og virkningen av i hvilken grad unntaksordningene er sentraliserte. En sentral organisering (som på Island og i UK) kan tenkes å gi større (før)kontroll over bruken av legemidler som ikke er anbefalte, i den forstand at bruk av disse legemidlene må gjennom den sentrale prosedyren for å kunne tilbys i spesialisthelsetjenesten. Mer desentraliserte beslutningsprosesser gir kanskje en større fleksibilitet, men fører til at myndighetene i større grad er avhengig av (etter)kontroll, slik som i Sverige, der det er opp til den enkelte region å følge med på og eventuelt følge opp sykehus om det er mye bruk av legemidler. Beslutningsorganet i systemet har sagt nei til å innføre. Generelt ser det ut til å være få konkrete kriterier og retningslinjer i de ulike lands systemer for når unntak for bruk av legemidler det er fattet en nei-beslutning om å innføre, kan benyttes. I UK er det imidlertid klare kriterier for når det kan søkes om bruk av legemidler som vanligvis ikke tilbys i NHS, der det viktigste kriteriet er at det foreligger en eksepsjonell klinisk situasjon. Samtidig synes det å ha vært en bevisst juridisk praksis i UK å ikke definere hva «eksepsjonelle situasjoner» betyr, nettopp for å etterlate et handlingsrom for situasjoner som er eksepsjonelle, og som av den grunn er vanskelige å forutse på forhånd.

Innholdsfortegnelse

1. Innledning	4
1.1. Oppdragsbeskrivelse.....	4
1.2. Oppdragsforståelse.....	4
1.3. Fremgangsmåte.....	5
1.4. Oppbygging av rapport.....	5
2. Funn	5
2.1. Danmark	6
2.1.1. Spesifisering av unntaksordningen	7
2.1.2. Erfaringer med unntaksordningen.....	8
2.2. Finland.....	8
2.2.1. Spesifisering av unntaksordningen	9
2.2.2. Erfaringer med unntaksordningen.....	10
2.3. Island	11
2.3.1. Spesifisering av unntaksordningen	11
2.3.2. Erfaringer med unntaksordningen.....	11
2.4. Nederland	12
2.5. Sverige	13
2.5.1. Spesifisering av unntaksordningen	13
2.5.2. Erfaringer med unntaksordningen.....	15
2.6. UK (NHS).....	15
2.6.1. Spesifisering av unntaksordningen	16
2.6.2. Erfaringer med unntaksordningen.....	18
3. Avslutning: oppsummering og lærepunkter	18
Referanser	20

1. Innledning

1.1. Oppdragsbeskrivelse

Etter å ha ferdigstilt en rapport til ekspertgruppen om tilgang og prioritering, der jeg kartla unntaksordninger i systemer som er ekvivalente til det norske systemet for Nye metoder og Blåreseptordningen, ble jeg spurt av ekspertgruppen – gjennom sekretariatsleder Carl Tollef Solberg – om å utføre et nytt oppdrag. Dette tilleggsoppdraget var som følger:

Del 2 av oppdraget er følgende:

- Utrede eventuelle unntaksordninger etter nei-beslutning i ekvivalente systemer til Systemet for nye metoder.

De aktuelle landene er (som før): 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 etter nei beslutning i de overnevnte landene.

Sentrale spørsmål er følgende:

- I hvilke av de overstående landene har man mulighet for å søke unntak om tilgang til et nytt legemiddel etter en nei-beslutning i hovedsystemet (altså tilsvarende beslutningsforum i Systemet for nye metoder).
- Hvordan mer spesifikt fungerer disse unntaksordningene: hvor omfattende er de, hvor kostbare er de å administrere, hvilke kriterier legges til grunn for unntak.
- Hva er disse landenes erfaring med slike unntaksordninger: hva er fordelene, hva er ulempene, hva er andre lands råd til Norge?
- Hva har Norge å lære av de aktuelle unntaksordningene etter nei-beslutning i hovedsystemet?

Kilder: forskningslitteratur, og relevante nettsider. Særlig viktig vil det være å aktivt kontakte nøkkelpersoner i de overnevnte landene på epost, video-link og telefon – for å få bedre kjennskap til deres erfaring med unntaksordninger etter nei-beslutning. Disse aktuelle funnene skal sammenfattes i en skriftlig rapport.

Avgrensning: det skal bare sees på de aktuelle landene over – og dette med tanke på eventuelle unntaksordninger etter en nei-beslutning. Det skal ikke ses på systemer ekvivalente til blåreseptordningen og unntak i denne utredningen. Utreder bør aktivt søke å skille unntaksordninger fra andre mekanismer for tilgang til nye metoder. Du må gjerne konsultere både utvalgsleder og sekretariatet underveis for å sikre at du har klarhet i bestillingen for oppdraget, samt ved behov for bistand med å finne relevante kontaktpersoner i utlandet.¹

1.2. Oppdragsforståelse

Til forskjell fra det første oppdraget jeg ble gitt av ekspertgruppen, forstås dette oppdraget som å handle isolert om systemene som ligner Nye metoder, altså hvilke nye metoder som

¹ Fra oppdragsbrev («Oppdragsbrev 2») mottatt 30. november 2023.

skal innføres i spesialisthelsetjenesten. Ettersom det i Norge ikke er mulig å gjøre unntak etter at Beslutningsforum har sagt nei til en metode, er jeg bedt om å undersøke i hvilke av landene Danmark, Finland, Island, Nederland, Sverige og Storbritannia og Nord-Irland (heretter UK, men med hovedvekt på *National Health Service* (NHS) i England) det kan gjøres unntak etter en nei-beslutning om å innføre en metode i spesialisthelsetjenesten foreligger samt hvilke kriterier som eventuelt legges til grunn for å gjøre slike unntak. Samtidig forstår jeg det som en sentral del av oppdraget at jeg skal innhente supplerende informasjon om og erfaringer med hvordan unntaksordningene fungerer i praksis, som deretter skal sammenstilles og oppsummeres i hva Norge kan lære av andre lands unntaksordninger etter nei-beslutninger.

1.3. Fremgangsmåte

Denne rapporten bygger på funnene i den første rapporten (del 1 av oppdraget), men datamaterialet er undersøkt en gang til med henblikk på unntaksordninger etter nei-beslutninger i systemer som ligner systemet for Nye metoder. Hovedvekten av datainnsamlingen har imidlertid bestått av korrespondanse og samtaler med nøkkelpersoner som har kjennskap til systemene i de ulike landene, gjennom e-post, telefon og videosamtaler.

1.4. Oppbygging av rapport

Resten av rapporten er bygd opp på følgende måte: Jeg redegjør først for hvilke av landene Danmark, Finland, Island, Nederland, Sverige og UK som har unntaksordninger slik at det kan søkes om å ta i bruk legemidler etter en nei-beslutning er fattet av beslutningsorganet for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten. Gjennomgangen inkluderer en spesifisering av hvordan eventuelle unntaksordninger er utformet. Erfaringer og synspunkter innhentet fra nøkkelpersoner fra de ulike landene, vil også presenteres. Til sist i rapporten sammenfatter jeg funnene fra de ulike landene og gjør noen refleksjoner omkring hva Norge kan lære av unntaksordningene etter nei-beslutninger som eksisterer i de undersøkte landene.

2. Funn

I Danmark, Finland, Island, Sverige og UK er det mulig å tilby legemidler på offentlige sykehus etter en nei-beslutning er blitt fattet av ansvarlig organ for innføring av nye metoder. Samtidig er det store forskjeller mellom de ulike landenes systemer, der avgjørelser fra beslutningsorganet på den ene siden kun har en rådgivende funksjon og sykehusene kan gjøre som de selv ønsker (Finland og til dels Sverige). På den andre siden er det i noen systemer

formaliserte ordninger med klare prosedurale regler og regimer for oppfølging av unntak som er innvilget (Danmark, Island og NHS). Nederland er det eneste av de undersøkte landene som har et system for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten uten mulighet for å søke om unntak etter en nei-beslutning er fattet (og det kan heller ikke gjøres unntak før en beslutning foreligger eller prisforhandlinger er gjennomført). Siden søknader om unntak ofte gjelder behandling med legemidler, vil jeg i det følgende holde meg til legemidler, selv om unntaksordningene i prinsippet gjelder alle andre metoder i spesialisthelsetjenesten også.

Overordnet har innhenting av informasjon om og erfaringer med de ulike landenes systemer vært arbeidskrevende og til dels utfordrende. Mens det i noen land har vært enkelt å oppnå kontakt og få sentrale personer i tale, har det i andre land vært vanskelig å oppnå kontakt, og når kontakt har vært opprettet, har det enten ikke vært mulig for dem å gi informasjon direkte til meg (jeg har blant annet måttet sende en innsynsbegjæring, som jeg ikke har fått svar på innen tidsfristen for denne rapporten), eller sentrale aktører har ikke hatt ressurser til å følge opp forespørselen min. Derfor er det variabelt hvor fyldige beskrivelsene av de ulike landenes unntaksordninger etter nei-beslutninger er og i hvilken grad erfaringer og synspunkter fra nøkkelpersoner blir presentert.

2.1. Danmark

I Danmark har Medicinrådet i oppgave å utarbeide anbefalinger om hvilke nye legemidler som skal utgjøre tilgjengelige standardbehandlinger på offentlige sykehus.² Anbefalingene fra Medicinrådet er ikke juridisk bindende, selv om den uttalte hensikten med samarbeidet mellom Medicinrådet og Danske regioner er at anbefalingene skal følges av de fem regionene.³ Videre har Danske regioner utviklet en veileder i forbindelse med å kunne gjøre individuelle unntak («individuell behandling») for å tilby legemidler til pasienter på offentlige sykehus som Medicinrådet har anbefalt at ikke skal innføres.⁴ Følgelig finnes det en unntaksordning i det danske systemet for å kunne tilby legemidler etter nei-beslutninger fra beslutningsorganet for innføring av nye metoder i spesialisthelsetjenesten.

² Medicinrådet. (u.å.). «Om os». <https://medicinraadet.dk/om-os> (lest 04.12.23).

³ Kristensen, K. og Waage, F. (2021). Jurdisk notat om off-label. <https://medicinraadet.dk/media/bn2j5gil/jurdisk-notat-om-off-label-adlegacy.pdf> (lest 04.12.23), s. 13.

⁴ 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 04.12.23), s. 2.

Danske regioner er ansvarlig for unntaksbeslutningene som fattes for bruk av ikke-anbefalte legemidler ved offentlige sykehus i Danmark.⁵ Siden Danske regioner ikke hadde ressurser til å besvare spørsmålene mine, utenom å bekrefte at det eksisterer en unntakstilgang etter nei-beslutninger i det danske systemet (gjennom at anbefalingene fra Medicinrådet ikke er bindende for regionene), er redegjørelsen under basert på veilederen fra Danske regioner om individuelle unntak, og den er til dels overlappende med beskrivelsen i del 1 av oppdraget.

2.1.1. Spesifisering av unntaksordningen

Veilederen fra Danske regioner er myntet på tilfeller der behandlingsansvarlig lege, etter å ha foretatt en samlet vurdering av pasienten, finner at det er særlige forhold som gjør at man bør overveie å tilby et legemiddel som ikke er anbefalt av Medicinrådet.⁶ En slik vurdering skal alltid forelegges den ansvarlige overlege og presenteres på en legekonsferanse, der flere spesialister vurderer fordeler og ulemper ved behandlingen av den konkrete pasienten. Før beslutningen om bruk av legemiddelet tas, bør saken også forelegges et faglig forum, for eksempel den regionale legemiddelkomite, som raskest mulig og innen 14 dager vurderer om bruk av legemiddelet skal anbefales. Deretter er det opp til den behandlingsansvarlige lege å fatte en endelig beslutning om hvorvidt legemiddelet skal brukes i behandlingen av pasienten.⁷

Dersom legemiddelet tas i bruk, til tross for at Medicinrådet har anbefalt at det ikke innføres i spesialisthelsetjenesten, skal det alltid foregå protokollert og med systematisk oppfølging.⁸ Det innebærer at regionenes legemiddelkomiteer følger opp og implementerer sammen med sykehusene de legemidlene som tas i bruk gjennom individuelle unntak, slik praksisen også er ved innføringen av legemidler som er anbefalt fra Medicinrådet. Hensikten med denne oppfølgingen er å sikre lik praksis på tvers av sykehus og regioner.⁹ Monitoreringen skal vise om pasienten har den forventede effekten av legemidlet og om ressursene blir anvendt hensiktsmessig. For å oppnå en best mulig monitorering, har regjeringen og Danske regioner etablert *sykehusmedicinregisteret* (SMR) i regi av *Sundhedsdatastyrelsen*, som skal kunne gi

⁵ Personlig kommunikasjon.

⁶ Danske regioner. (2018). Vejledning om anvendelse af lægemidler som ikke er anbefalet af Medicinrådet, s. 2.

⁷ Danske regioner. (2018). Vejledning om anvendelse af lægemidler som ikke er anbefalet af Medicinrådet, s. 2.

⁸ Danske regioner. (2018). Vejledning om anvendelse af lægemidler som ikke er anbefalet af Medicinrådet, s. 2.

⁹ Danske regioner. (2018). Vejledning om anvendelse af lægemidler som ikke er anbefalet af Medicinrådet, s. 2.

et komplett bilde av legemiddelbruken på sykehusene.¹⁰ Samtidig følger *Tværregionalt Forum for Koordination af Medicin* løpende implementeringen av nye legemidler for å sikre at det ikke oppstår uforklarlige geografiske forskjeller på tvers av regionene i behandlingen av pasienter med legemidlene. Hvis det påvises geografiske forskjeller, har forumet adgang til å bringe saken opp til regionenes *sundhedsdirektører*.¹¹

2.1.2. Erfaringer med unntaksordningen

En nøkkelperson opplyser om at det ikke er Medicinrådets oppgave å ta stilling til hvordan legemidler som ikke er anbefalt, eller som er under vurdering, blir håndtert av den enkelte lege.¹² Bruk av ikke-anbefalte legemidler er et regionalt ansvar gjennom Danske regioner.

2.2. Finland

Finland har nylig gjennomgått en stor offentlig reform. Mot at det tidligere var kommunene som finansierte sykehusene gjennom skatteinntekter, fikk såkalte *Wellbeing services counties* (WBSC) ved inngangen til 2023 ansvaret for å organisere og finansiere helse- og sosialtjenestene, herunder spesialisthelsetjenesten, gjennom økonomiske tildelinger fra sentrale myndigheter.¹³ De 21 forskjellige WBSC (heretter regionene) i Finland bestemmer selv hvordan tjenestene i egen region skal organiseres, hva som skal være dekket av det offentlige og hvilke tjenester som skal tilbys regionenes innbyggere.¹⁴ Etter at et legemiddel er vurdert av det finske legemiddelverket (Fimea), gir *Council for Choices in Health Care in Finland* (COHERE) en anbefaling om hvorvidt legemiddelet skal tilbys i den finske spesialisthelsetjenesten.¹⁵ Anbefalingene er imidlertid ikke bindende for regionene, og sykehusene står fritt til å tilby behandling som ikke er anbefalt av COHERE.¹⁶ Med andre ord eksisterer det en mulighet i det finske systemet for å tilby legemidler i spesialisthelsetjenesten etter at en nei-beslutning foreligger fra det ansvarlige beslutningsorganet i systemet.

¹⁰ Sundhedsdatastyrelsen. (2023, 29. august). «Sygehusmedicinregisteret (SMR)». <https://sundhedsdatastyrelsen.dk/da/registre-og-services/om-de-nationale-sundhedsregistre/sygdomme-laegemidler-og-behandlinger/sygehusmedicinregisteret> (lest 04.12.23).

¹¹ Danske regioner. (2018). Vejledning om anvendelse af lægemidler som ikke er anbefalet af Medicinrådet, s. 2.

¹² Personlig kommunikasjon.

¹³ Tynkkynen, L.-K., et al. (2023). Finland: health system summary.

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

¹⁴ Personlig kommunikasjon.

¹⁵ 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.

¹⁶ Personlig kommunikasjon.

2.2.1. Spesifisering av unntaksordningen

Det finnes ingen formelle kriterier eller retningslinjer for å gjøre unntak etter nei-beslutninger fra COHERE.¹⁷ En nøkkelperson forklarer dette med at COHERE kun gir anbefalinger om metodeinnføring, som ikke er bindende for sykehusene, slik at det ikke har vært behov for å formalisere unntaksordningen.¹⁸ Det finnes i alle fall ikke nasjonale kriterier eller retningslinjer, selv om en annen nøkkelperson er inne på at det er mulig at regionene har sine egne retningslinjer (men ikke så vidt nøkkelpersonen selv vet om). Videre blir ikke bruk av ikke-anbefalte legemiddel på sykehusene monitorert eller registrert.¹⁹ Samtidig uttrykker en nøkkelperson at det ser ut til at sykehusene i all hovedsak følger anbefalingene fra COHERE og at det sjelden gjøres unntak.²⁰ Når det likevel gjøres unntak for bruk av ikke-anbefalte legemiddel, er det vanligvis for individuelle pasienter, og det gis ikke bredere, mer generelle unntak for å innføre et legemiddel i regionen som COHERE har anbefalt at ikke skal innføres.

Videre foreligger det en generell unntakshjemmel i det finske lovverket.²¹ Denne hjemmelen skal sørge for at finske pasienter har en konstitusjonell rett til å motta helsehjelp i overenstemmelse med deres individuelle medisinske behov.²² Ifølge en nøkkelperson gjør denne bestemmelsen at COHERE ikke kan fatte bindende (nei-)beslutninger om å ikke innføre legemidler på sykehusene.²³ Samtidig ser sykehusene, gjennom sjefslegene – som er ansvarlige for å beslutte hvilken behandling som skal tilbys lokalt på de enkelte sykehusene, ut til å avvende innføring av legemidler som er under vurdering av COHERE, samt at de også innfører legemidlene som blir anbefalt.²⁴ På en annen side gjøres det individuelle unntak både før og etter COHEREs beslutning, som er forankret i legenes fagautonomi, og som COHERE ikke har myndighet eller mulighet til å begrense.²⁵ Følgelig tilbys det legemidler til finske pasienter som COHERE har anbefalt at ikke skal innføres i spesialisthelsetjenesten, men det eksisterer ingen unntaksordning som sådan, i den forstand at det eksisterer et organisert og formalisert system for å søke om å ta i bruk legemidler som COHERE har sagt nei til.

¹⁷ Personlig kommunikasjon.

¹⁸ Personlig kommunikasjon.

¹⁹ Personlig kommunikasjon.

²⁰ Personlig kommunikasjon.

²¹ Hälso- och sjukvårdslag 30.12.2010/1326. <https://www.finlex.fi/sv/laki/ajantasa/2010/20101326>, §7a, tredje ledd.

²² Personlig kommunikasjon.

²³ Personlig kommunikasjon.

²⁴ Personlig kommunikasjon.

²⁵ Personlig kommunikasjon.

2.2.2. Erfaringer med unntaksordningen

Overordnet uttrykker en nøkkelperson at systemet i Finland for øyeblikket er komplekst, tregt og lite transparent.²⁶ Ifølge denne personen har finske myndigheter programfestet at de ønsker å harmonisere systemet i tiden fremover.²⁷ Finske myndigheter ønsker også å utrede hvorvidt de kan gi bindende nei-beslutninger til regionene, slik at de kan få mer styring over hvilke metoder som innføres i spesialisthelsetjenesten.²⁸

En nøkkelperson forteller at myndighetene ikke har oversikt over hvilke legemidler som likevel tilbys etter nei-beslutninger fra COHERE, og at administrerende direktør på sykehuset kun blir involvert i prosessen dersom legemidlene er kostbare (for eksempel over 50 eller 100 millioner euro).²⁹ Slik kan i teorien bruken av disse legemiddelene spores opp, mens bruk av legemidler på sykehusene etter nei-beslutning med lavere utgifter er kliniske avgjørelser som ikke involverer ledelsen på sykehuset. Fra legemiddelindustriens perspektiv vises det til at de anser systemet for unntak som dårlig fungerende; systemet er uklart, uforutsigbart og hverken pasienter eller selskaper blir behandlet likt, ifølge denne nøkkelpersonen.³⁰

Samtidig mener en nøkkelperson at et ytterligere problem er at Fimea har begrenset med ressurser, noe som gjør at de ikke kan metodevurdere alle nye legemidler for sykehusene og/eller bruk av legemidler for nye indikasjoner.³¹ For legemidlene som ikke metodevurderes av Fimea, er prosessen enda mer uforutsigbar. Dersom en klinker ønsker å ta i bruk et legemiddel som Fimea ikke har vurdert, vil sykehusene gjennomføre egne mini-metodevurderinger (mini-HTA) av legemiddelet. På hvert enkelt sykehus er en sjefslege ansvarlig for disse mini-metodevurderingene, og sjefslegen opererer i et nettverk sammen med de andre sjeflegene rundt om ved sykehusene i Finland.³² I nettverket deles resultatene av mini-metodevurderingene, slik at dette nettverket også blir et slags uformelt beslutningsorgan for sykehusene om hvilke metoder som skal innføres, selv om regionen der sykehuset er lokalisert fortsatt bestemmer hvilke legemidler som skal innføres i spesialisthelsetjenesten.³³

²⁶ Personlig kommunikasjon.

²⁷ Personlig kommunikasjon.

²⁸ Personlig kommunikasjon.

²⁹ Personlig kommunikasjon.

³⁰ Personlig kommunikasjon.

³¹ Personlig kommunikasjon.

³² Oulu University Hospital. (u.å.). «FinCCHTA: National Assessment Network». <https://oys.fi/fincchta/en/fincchta/national-assessment-network/> (lest 04.12.23).

³³ Personlig kommunikasjon.

2.3. Island

For at nye legemidler skal innføres i spesialisthelsetjenesten på Island, må det islandske legemiddelverket (IMA) innhente en vurdering fra *Drug and Therapeutics Committee* (DTC) på det nasjonale sykehuset (Landspítali).³⁴ Dette gjelder såkalte *speciality care high-cost medicines* (SCHCM), som innebærer at legemiddelet er kostbart og at administrasjonen eller monitoreringen av det krever stor varsomhet, ekspertkunnskap og/eller involvering av helsepersonell.³⁵ DTC har imidlertid myndighet til å innvilge unntak til individer eller pasientgrupper etter at IMA har besluttet at et legemiddel til bruk på sykehus ikke skal dekkes av det offentlige.³⁶ Følgelig er det mulig å søke unntak om å få tilgang til et legemiddel i spesialisthelsetjenesten etter at en nei-beslutning foreligger i det islandske systemet.³⁷

2.3.1. Spesifisering av unntaksordningen

DTC kan både innvilge unntak for en enkelt refusjon av legemiddelet og gi midlertidige unntak for pasienter som er medlem i den islandske folketrygden, eller pasientgrupper diagnostisert med tilstander som krever en spesifikk medisinsk behandling.³⁸ En nøkkelperson sier at dersom et sykehuslegemiddel (SCHCM) godkjennes av DTC, er det legemiddelverket som avgjør hva som er en akseptabel pris på legemiddelet.³⁹ IMA har ikke oversikt over DTCs avgjørelser om å innvilge unntak etter nei-beslutninger er fattet om å tilby legemiddelet generelt i spesialisthelsetjenesten (innenfor det såkalte «general reimbursement system»), og det har i arbeidet med rapporten heller ikke lyktes å få kontakt med DTC direkte.⁴⁰

2.3.2. Erfaringer med unntaksordningen

En nøkkelperson legger til at siden det er få innbyggere på Island, og det ofte kan være få pasienter som et sykehuslegemiddel er aktuelt å bruke i behandlingen for, er det ikke sjelden at det søkes direkte i unntaksordningen om å få et sykehuslegemiddel godkjent for bruk i

³⁴ 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.

³⁵ 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.

³⁶ Icelandic Medicines Agency. (2023). Reimbursement system for specialty care high-cost medicine, s. 3–4.

³⁷ 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 44.

³⁸ Icelandic Medicines Agency. (2023). Reimbursement system for specialty care high-cost medicine, s. 3–4.

³⁹ Personlig kommunikasjon.

⁴⁰ IMA har tatt kontakt med DTC på vegne av undertegnede, men har ikke fått svar innen rapportfristen.

spesialisthelsetjenesten.⁴¹ Men dette vil i så fall gjelde søknader *før* en vurdering av legemiddelet (er ferdig) og beslutning om å innføre det foreligger. Uansett er det egne problemer tilknyttet denne praksisen, blant annet at legemiddelet ikke oppfyller kravene for pakkingsvedlegg og har en godkjent risikohåndteringsplan (RMP). IMA har startet et eget prosjekt for å bedre sikkerheten når det gis tilgang til sykehuslegemidler på denne måten.⁴²

2.4. Nederland

Helse-, velferds- og sportsministeren (VWS) bestemmer hvorvidt et legemiddel skal tilbys i spesialisthelsetjenesten gjennom det som er en standard, obligatorisk forsikringspakke.⁴³ Dersom bruk av legemiddelet for en eller flere nye indikasjoner vil koste mindre enn 20 millioner euro⁴⁴ per år over hele Nederland, *eller* mindre enn 50 000 euro per pasient og mindre enn 10 millioner euro per år over hele Nederland tilbys legemiddelet uten en vurdering av det nederlandske helseinstituttet (Zorginstituut).⁴⁵ Koster imidlertid legemiddelet mer enn de anførte beløpene, eller hvis det er tvil om legemiddelets relative effekt og kostnadsnivå, plasseres det i en såkalt «lock procedure» og blir likevel vurdert av Zorginstituut før VWS fatter en beslutning om hvorvidt legemiddelet skal tilbys på offentlige sykehus i Nederland.⁴⁶ Når VWS har avgjort at et legemiddel ikke skal tilbys i spesialisthelsetjenesten, eksisterer det ingen ordninger for å unntaksvis kunne få tilgang til legemiddelet gjennom den offentlige helsetjenesten.⁴⁷ Eneste muligheten for pasienter vil da være å dekke alle kostnadene selv og finne en privatpraktiserende lege som ønsker å forestå behandlingen.⁴⁸ Det foreligger med andre ord ingen mulighet til å gjøre unntak for enkeltpersoner eller pasientgrupper etter at en nei-beslutning om innføring av et legemiddel er fattet i det nederlandske systemet.⁴⁹

⁴¹ Personlig kommunikasjon.

⁴² Personlig kommunikasjon.

⁴³ Government of the Netherlands. (u.å.). «Keeping medicines affordable». <https://www.government.nl/topics/medicines/keeping-medicines-affordable> (lest 05.12.23).

⁴⁴ Nylig satt ned fra 40 millioner euro til 20 millioner euro (se f.eks. <https://www.pinsentmasons.com/out-law/news/dutch-policy-change-influence-medicine-price>, lest 13.12.23). Bekreftet av det nederlandske helseinstituttet (Zorginstituut).

⁴⁵ Government of the Netherlands. (u.å.). «Keeping medicines affordable».

⁴⁶ 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 05.12.23), s. 4.

⁴⁷ Personlig kommunikasjon.

⁴⁸ Personlig kommunikasjon.

⁴⁹ Personlig kommunikasjon, bekreftet av det nederlandske helseinstituttet (Zorginstituut).

2.5. Sverige

Helsesystemet i Sverige er desentralisert med 21 regioner som finansierer og utfører det meste av helsetjenestene.⁵⁰ Videre er regionene fordelt i seks ulike sykehusregioner, som alle har tilknytning til et universitetssykehus.⁵¹ Rådet for nye terapier (NT-rådet) ble etablert i 2015 og er et samarbeidsprosjekt mellom regionene. NT-rådet består av representanter fra regionene og er ansvarlig for å gi anbefalinger om hvorvidt et nytt legemiddel skal innføres eller ikke i spesialisthelsetjenesten i Sverige.⁵² Reseptlegemidler vurderes vanligvis av Tandvårds- og läkemedelsförmånsverket (TLV), men NT-rådet kan i noen tilfeller gi anbefalinger til disse legemidlene også, for eksempel når det er behov for å sikre lik nasjonal praksis eller ved høye forventede kostnader.⁵³ Anbefalingene fra NT-rådet er ikke bindende for regionene, selv om det er bred enighet mellom regionene og en sterk forventning fra NT-rådet om at regionene innfører legemidler som anbefales og avstår fra å innføre legemidler som ikke anbefales.⁵⁴ Imidlertid er det opp til regionene og det enkelte sykehus å bestemme hvilken behandling som skal tilbys.⁵⁵ Dermed er det mulig å tilby et legemiddel i den svenske spesialisthelsetjenesten etter at systemets beslutningsorgan for innføring av nye metoder har fattet en nei-beslutning.

2.5.1. Spesifisering av unntaksordningen

Siden regionene står fritt til å tilby den behandlingen de ønsker, uavhengig av NT-rådets anbefalinger, foreligger det ingen nasjonal unntaksordning som det kan søkes på, eller formelle kriterier for når anbefalingene om å ikke innføre et legemiddel kan settes til side.⁵⁶ Imidlertid kan regionene ha egne unntaksordninger, slik det for eksempel er ved Karolinska universitetssykehus i region Stockholm, der et legemiddelråd bestemmer hvilke legemidler

⁵⁰ 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 04.12.23), s. 62.

⁵¹ Personlig kommunikasjon.

⁵² Proba samfunnsanalyse. (2021). Evaluering av systemet for Nye metoder i spesialisthelsetjenesten. Rapport 2021-16, s. 62.

⁵³ Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Beslut om nationell samverkan». <https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartside/processordnatinforande/beslutomnationellsamverkan.4.64582f2718842410f2e246da.html> (lest 14.12.23).

⁵⁴ Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (2020). Uppdragsbeskrivning NT-rådet. <https://janusinfo.se/download/18.4940cc8b1744f5a7c05e325f/1600413857143/Uppdragsbeskrivning%20NT-r%C3%A5det%202020-06-10.pdf> (lest 04.12.23), s. 1.

⁵⁵ Proba samfunnsanalyse. (2021). Evaluering av systemet for Nye metoder i spesialisthelsetjenesten. Rapport 2021-16, s. 63.

⁵⁶ Personlig kommunikasjon.

som skal innføres ved sykehuset, inkludert om det skal tas i bruk legemidler som ikke er anbefalte.⁵⁷

Samtidig påpeker en nøkkelperson at sykehusene i all hovedsak følger anbefalingene fra NT-rådet og at det kun unntaksvis gis ikke-anbefalte legemidler.⁵⁸ Enkelte ganger beslutter imidlertid NT-rådet at det skal opprettes et såkalt *nasjonalt behandlingsråd*, for eksempel hvis en behandling vurderes til å ikke være kostnadseffektiv, men det for en gruppe av pasientene vurderes som helseøkonomisk forsvarlig å behandle dem, eller at de vurderes til å ha et stort behandlingsbehov fordi medisinen er uunnværlig for dem.⁵⁹ Dette er ikke en unntaksordning etter en nei-beslutning fra NT-rådet, men en slags betinget innføring av et legemiddel i tilfeller der NT-rådet har forutsett at det kan bli behov for å gjøre unntak for noen pasienter. Behandlingsrådet, som er sammensatt av spesialister med medisinsk kompetanse om den aktuelle tilstanden, fungerer likevel som en unntaksordning leger kan søke til om å få tilby pasienter et legemiddel, men NT-rådet har i slike tilfeller gitt en betinget tilgang til legemiddelet på forhånd.

Videre bekrefter en nøkkelperson at bruken av ikke-anbefalte legemidler, som heller ikke tilbys i forbindelse med et behandlingsråd, er svært begrenset.⁶⁰ NT-rådet gir ut en oversikt over regionenes bruk av legemidler fire ganger i året, og denne oversikten viser bruk av både anbefalte og ikke-anbefalte legemidler i regionene.⁶¹ På den måten monitoreres og registreres all legemiddelbruk på svenske sykehus, og dersom et sykehus har tatt i bruk et ikke-anbefalt legemiddel (eller ikke har tatt i bruk et anbefalt legemiddel), er det opp til den enkelte region om de ønsker å ta kontakt med sykehuset for å følge opp bruken av legemidler etter nei-beslutninger.⁶² NT-rådet har ingen myndighet til å hindre sykehusene i å ta i bruk ikke-anbefalte legemidler, selv om rådet har tett kontakt og godt samarbeid med regionene.⁶³

⁵⁷ Personlig kommunikasjon.

⁵⁸ Personlig kommunikasjon.

⁵⁹ Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Nationella behandlingsråd».

https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartsidea/organisationordnatinforande/nationellbehandlingsrad.4_5aca7268188422488c1250ee.html (lest 14.12.23).

⁶⁰ Personlig kommunikasjon.

⁶¹ Personlig kommunikasjon.

⁶² Personlig kommunikasjon.

⁶³ Personlig kommunikasjon.

2.5.2. Erfaringer med unntaksordningen

En nøkkelperson uttrykker at hen opplever at systemet overordnet fungerer godt.⁶⁴ Det er en viss sårbarhet i systemet ved at anbefalingene fra NT-rådet kun er rådgivende, og systemet er avhengig av aktørenes tillit og at regionene følger anbefalingene. NT-rådet selv svarer på spørsmål om de skulle ønske at sykehusene ikke hadde mulighet til å ta i bruk ikke-anbefalte legemidler (etter en nei-beslutning), eller om en slik tilgang kan utgjøre en sikkerhetsventil at i utgangspunktet skal det ikke være behov for bruk av legemidler det er sagt nei til å innføre, ettersom NT-rådet vil opprette et behandlingsråd i tilfeller der de vurderer det dithen at noen pasienter kan ha et uforventet behov for et legemiddel.⁶⁵ Samtidig uttrykker en nøkkelperson at det er forskjell på ulike typer legemidler, og ofte finnes det gode alternativer til det ikke-anbefalte legemiddelet, og da synes bruken av legemiddelet det er sagt nei til, unødvendig.⁶⁶

Mer generelt, og ikke direkte knyttet til bruk av legemidler etter en nei-beslutning er fattet, er det store regionale forskjeller i Sverige, med blant annet ulike system ved og organisering av sykehusene. En nøkkelperson viser til at det derfor kan oppstå utfordringer med hvordan anbefalingene etterleves, og en konkret utfordring er at mens systemet for innføring av reseptlegemidler er bindende for regionene, er NT-rådets beslutninger ikke bindende.⁶⁷ Enkelte ganger vil et legemiddel kunne anvendes både på resept og i sykehus, og da vil det ifølge nøkkelpersonen særlig kunne oppstå utfordringer.⁶⁸ Blant annet samarbeider NT-rådet med TLV for å sikre mest mulig lik vurderingspraksis av kostnadseffektivitet i slike tilfeller, slik at instansene ikke opererer med ulike krav i vurderingen av det samme legemiddelet.

2.6. UK (NHS)

I England (samt Wales og Nord-Irland) har *National Institute for Health and Care Excellence* (NICE) ansvaret for å vurdere og anbefale hvilke legemidler som skal tilbys gjennom den nasjonale helsetjenesten (NHS).⁶⁹ Skottland har derimot et eget beslutningsorgan, *Scottish Medicines Consortium* (SMC), som har ansvaret for å anbefale hvilke legemidler som skal tilbys og offentlig finansieres i NHS Skottland.⁷⁰ Wales har også et eget organ som vurderer

⁶⁴ Personlig kommunikasjon.

⁶⁵ Personlig kommunikasjon.

⁶⁶ Personlig kommunikasjon.

⁶⁷ Personlig kommunikasjon.

⁶⁸ Personlig kommunikasjon.

⁶⁹ 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. 39.

⁷⁰ Anderson, M., et al. United Kingdom: health system review 2022. *Health Systems in Transition*, 24 (1), s. 40.

legemidler, All Wales Medicines Strategy Group (AWMSG), men de arbeider komplementært til NICE og vurderer kun nye legemidler som ikke står på tolv månedersplanen til NICE.⁷¹

NHS er juridisk forpliktet til å tilby og finansiere legemidler som NICE har anbefalt at skal innføres.⁷² På den andre siden utelukker ikke en nei-beslutning fra NICE at legemiddelet likevel kan dekkes av det offentlige og tilbys i spesialisthelsetjenesten.⁷³ Det eksisterer en egen søknadsordning i NHS England – *Individual Funding Requests* (IFR) – der leger kan søke om at en pasient skal få dekket legemidler som NICE har anbefalt at ikke skal tilbys på offentlige sykehus.⁷⁴ I Wales er det et eget system der legen kan søke et *health board* eller *Welsh Health Specialised Services Committee* (WHSSC) om at en pasient skal få tilgang til et legemiddel som vanligvis ikke er tilgjengelig i NHS Wales.⁷⁵ Dersom en pasientgruppe kan ha nytte av et ikke-anbefalt legemiddel, kan All Wales Medicines Strategy Group (AWMSG) også innvilge et gruppeunntak som gjør at hele pasientgruppen får tilgang til legemiddelet.⁷⁶ Med andre ord er det mulig å søke om unntak i NHS (England, Wales og Nord-Irland) for å ta i bruk legemidler etter at det er fattet en nei-beslutning fra beslutningsorganet i systemet, mens det ikke synes å være tilsvarende adgang til å bruke legemidler etter nei-beslutninger i NHS Skottland.⁷⁷ I den følgende gjennomgangen konsentrerer jeg meg om NHS England.

2.6.1. Spesifisering av unntaksordningen

Unntaksordningen i NHS England med *Individual Funding Requests* (IFR) innebærer at en lege kan søke om tilgang til et legemiddel som normalt ikke tilbys i spesialisthelsetjenesten, for å behandle en pasient. Forutsetningen for å få en slik tilgang, også etter nei-beslutninger fra NICE, er at den kliniske situasjonen er eksepsjonell.⁷⁸ Videre må ett av to vilkår være oppfylt for at en søknad om IFR skal behandles: enten at en klinisk eksepsjonell situasjon kan

⁷¹ Anderson, M., et al. United Kingdom: health system review 2022. *Health Systems in Transition*, 24 (1), s. 40.

⁷² 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 06.12.23).

⁷³ McPhail, M., Bubela, T. (2023). Should Canada adopt managed access agreements in Canada for expensive drugs? *Journal of Law and the Biosciences*, 10(10), s. 1–55. <https://doi.org/10.1093/jlb/lsad014>, s. 9.

⁷⁴ 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 14.12.23).

⁷⁵ 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 06.12.23).

⁷⁶ 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 06.12.23).

⁷⁷ Personlig kommunikasjon, men ikke bekreftet av Scottish Medicines Consortium (SMC).

⁷⁸ NHS England. (2023, 12. juni). «Individual funding requests for specialised services: a guide for patients».

dokumenteres i tilfeller hvor 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* at det er retningslinjer på plass som gir tilgang til en intervensjon for en pasientgruppe og pasienten det søkes om ikke oppfyller disse kriteriene.⁷⁹ I det siste tilfellet er det nødvendig at legen mener at pasients kliniske situasjon er klart annerledes enn andre pasienter med samme tilstand som ikke oppfyller kriteriene, og det må gis en begrunnelse for hvorfor pasienten vil respondere annerledes og ha større klinisk effekt enn andre pasienter med samme tilstand som ikke oppfyller kriteriene. Videre må det foreligge evidens for den kliniske effekten av behandlingen for pasientens tilstand, og behandlingen det søkes om, må vurderes til å være god bruk av NHS Englands ressurser.⁸⁰

Etter at en søknad om IFR har gjennomgått en innledende screening hos NHS England, for å se at nødvendig dokumentasjon er sendt inn og at kriteriene for IFR er oppfylt, vurderes søknaden av et uavhengig, sentralt panel av eksperter. Svar på søknader om IFR foreligger normalt innen 30 dager, men svaret gis ofte tidligere enn dette.⁸¹ Samtidig er det slik at om behandlingen er finansiert av et *local integrated care board* (ICB), vil en søknad om IFR behandles lokalt i den aktuelle regionen.⁸² NHS England er oppdelt i 42 ICB, som har det regionale ansvaret for tilbudet av helsetjenester under sitt eget geografiske område – et ICB består av både NHS, lokale myndigheter og andre organisasjoner. Mens unntaksordningen med IFR er delvis sentralt organisert i dag, ser dette ut til å være en endring fra tidligere, der søknader om IFR ble vurdert lokalt av det som tidligere het *primary care trusts* (PCT).⁸³

Videre er det eksplisitt uttalt at alle pasienter har den samme retten til å motta behandling i NHS uavhengig av sosiale, familiære eller andre ikke-kliniske forhold, og at slike forhold ikke skal vektlegges i søknader om IFR.⁸⁴ Når det gjelder omfanget av søknader, har det tidligere blitt rapportert at enkelte PCT (som har blitt erstattet av større ICB) har mottatt over 1000 søknader om IFR årlig, og at mer enn 25 % av søknadene har blitt avslått (i 2008).⁸⁵

⁷⁹ NHS England. (2023, 12. juni). «Individual funding requests for specialised services: a guide for patients».

⁸⁰ NHS England. (2023, 12. juni). «Individual funding requests for specialised services: a guide for patients».

⁸¹ NHS England. (2023, 12. juni). «Individual funding requests for specialised services: a guide for patients».

⁸² NHS England. (2023, 12. juni). «Individual funding requests for specialised services: a guide for patients».

⁸³ Ford, A. (2012). The concept of exceptionality: a legal farce? *Medical Law Review*, 20(3), s. 304–336.
<https://doi.org/10.1093/medlaw/fws002>, s. 305–309.

⁸⁴ NHS England. (2023, 12. juni). «Individual funding requests for specialised services: a guide for patients».

⁸⁵ Ford, A. (2012). The concept of exceptionality: a legal farce? s. 305–309.

Samtidig har unntaksordningen med IFR historisk vært organisert og satt opp på ulike måter rundt om i regionene, og følgelig har både volumet og utfallet av søknadsprosessene om å få innvilget IFR vært varierende fra region til region.⁸⁶ Hensikten med unntaksordningen har likevel hele tiden vært å ha en åpning for å tilby behandling som vanligvis ikke tilbys i NHS, på bakgrunn av at den kliniske situasjonen pasienten befinner seg i blir vurdert til å være eksepsjonell.⁸⁷

2.6.2. Erfaringer med unntaksordningen

Selv om jeg ikke har lyktes med å hente inn nyere data og informasjon om IFR-ordningen gjennom NHS (siden jeg ikke fått svar på innsynsbegjæringen innen tidsfristen for rapporten), tipset en nøkkelperson meg om en doktorgradsavhandling med IFR som tema.⁸⁸ Amy Ford har gjennomført en juridisk og etisk analyse av «eksepsjonalitet» som begrep innenfor NHS, og sett spesifikt på begrepet i forbindelse med søknader om IFR (avhandlingen ble levert i 2013). Ford synes å argumentere for at det kan oppstå sjeldne tilfeller hvor det kan være nødvendig å tilby pasienter behandling som vanligvis ikke tilbys i NHS, men at slike beslutninger bør fattes sentralt, eller i de minste over det regionale nivået, for å sikre konsistente beslutninger og lik praksis på tvers av spesialisthelsetjenesten.⁸⁹ Videre kritiserer Ford kravet om eksepsjonelle kliniske situasjoner og mener at «eksepsjonalitet» har vært både for bredt forstått og løst definert i forbindelse med vurderinger av IFR-søknader.⁹⁰ Samtidig viser hun til at den britiske rettspraksisen har vært å etterlate et rom for unntakstilfeller ved administrative beslutninger for å ta høyde for eksepsjonelle situasjoner, og at hva som må være på plass for at en situasjon bedømmes som eksepsjonell, har med hensikt blitt stående udefinert.⁹¹

3. Avslutning: oppsummering og lærepunkter

Selv om de fleste landene – alle unntatt Nederland – har muligheter for å tilby legemidler i spesialisthelsetjenesten etter at det ansvarlige beslutningsorganet har fattet en nei-beslutning,

⁸⁶ Ford, A. (2012). The concept of exceptionality: a legal farce? s. 309.

⁸⁷ Ford, A. (2012). The concept of exceptionality: a legal farce? s. 308–310.

⁸⁸ Ford, A. (2013). Individual funding requests for cancer drugs and other Treatments: a legal and ethical analysis of exceptionality. Doktorgradsavhandling. Manchester: University of Manchester.

https://pure.manchester.ac.uk/ws/portalfiles/portal/54541072/FULL_TEXT.PDF

⁸⁹ Ford, A. (2013). Individual funding requests for cancer drugs and other Treatments: a legal and ethical analysis of exceptionality.

⁹⁰ Ford, A. (2012). The concept of exceptionality: a legal farce?

⁹¹ Ford, A. (2012). The concept of exceptionality: a legal farce? s. 308.

er det vesentlige forskjeller mellom landene og deres unntaksordninger. For det første kan det påpekes at behovet for unntaksordninger først oppstår når avgjørelsene fra beslutningsorganet om metodeinnføring i spesialisthelsetjenesten er bindende – i det minste at avgjørelsene i all hovedsak følges, uavhengig av den juridiske statusen avgjørelsene rent formelt har. Dette er noe som kommer tydelig frem i det finske systemet, der det virker som at bruk av legemidler COHERE har sagt nei til, først og fremst er en uønsket konsekvens av at anbefalingene ikke er bindende for regionene. Samtidig er NT-rådets anbefalinger heller ikke bindende for de svenske regionene, men i Sverige har de en nasjonal oversikt over bruk av alle legemidler, noe som gjør at regionene kan følge med på bruken av ikke-anbefalte legemidler også. Siden finske myndigheter mangler en slik oversikt, har de ikke kunnskap om hverken omfanget av bruken av ikke-anbefalte legemidler eller hvorvidt pasienter behandles likt i de ulike regionene.

For det andre viser funnene i rapporten at det er forskjell på å gjøre unntak (i betydningen å ikke følge anbefalingene om metodeinnføring) og det å ha unntaksordninger, som gir en systematisk og formalisert kontroll på hvilke metoder som tilbys i spesialisthelsetjenesten. I Danmark er heller ikke Medicinrådets anbefalinger juridisk bindende, men de følges i praksis av regionene, og det kan søkes om unntak hvis de ikke skal følges. Selv om beslutningen om unntak er lokalt forankret, er det egne instanser som har i oppgave å følge med på bruken av ikke-anbefalte legemidler, blant annet for å sikre en lik praksis rundt om på sykehusene. Dette står i kontrast til det finske og svenske systemet, selv om det kan være utarbeidet lokale retningslinjer i de enkelte regionene for unntaksbruk av legemidler i spesialisthelsetjenesten.

Et tredje lærepunkt fra funnene i rapporten er betydningen og virkningen av i hvilken grad unntaksordningene er sentraliserte. Både på Island og i UK (NHS England) ser de ut til å ha sentraliserte beslutningsprosesser for å kunne gjøre unntak etter nei-beslutninger fra beslutningsorganet. En slik organisering kan tenkes å gi større (før)kontroll over bruken av legemidler som ikke er anbefalte, i den forstand at bruk av disse legemidlene må gjennom den sentrale prosedyren for å kunne tilbys i spesialisthelsetjenesten. Mer desentraliserte beslutningsprosesser gir kanskje en større fleksibilitet, men fører til at myndighetene i større grad er avhengig av (etter)kontroll, slik som i Sverige, der det er opp til den enkelte region å følge med på og eventuelt følge opp sykehus om det er mye bruk av legemidler NT-rådet har sagt nei til å innføre. Generelt ser det ut til å være få konkrete kriterier og retningslinjer i de ulike lands systemer for når unntak for bruk av legemidler det er fattet en nei-beslutning om å

innføre, kan benyttes, bortsett fra i UK, der det er klare kriterier for når det kan søkes om bruk av legemidler som vanligvis ikke tilbys i NHS. Likevel har det vært en bevisst juridisk praksis å ikke definere hva «eksepsjonelle situasjoner» betyr, nettopp for å etterlate et handlingsrom for situasjoner som er eksepsjonelle, og som derfor er vanskelige å forutse på forhånd.

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 06.12.23).

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 06.12.23).

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>

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 04.12.23).

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 (lest 01.12.23).

Ford, A. (2012). The concept of exceptionality: a legal farce? Medical Law Review, 20(3), s. 304–336. <https://doi.org/10.1093/medlaw/fws002>

Ford, A. (2013). Individual funding requests for cancer drugs and other Treatments: a legal and ethical analysis of exceptionality. Doktorgradsavhandling. Manchester: University of Manchester. https://pure.manchester.ac.uk/ws/portalfiles/portal/54541072/FULL_TEXT.PDF

Government of the Netherlands. (u.å.). «Keeping medicines affordable». <https://www.government.nl/topics/medicines/keeping-medicines-affordable> (lest 05.12.23).

Hälso- och sjukvårdslag 30.12.2010/1326. <https://www.finlex.fi/sv/laki/ajantasa/2010/20101326> (lest 01.12.23).

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 01.12.23).

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> (lest 01.12.23).

- Kristensen, K. og Waage, F. (2021). Jurdisk notat om off-label. <https://medicinraadet.dk/media/bn2j5gil/juridisk-notat-om-off-label-adlegacy.pdf> (lest 04.12.23).
- McPhail, M. og Bubela, T. (2023). Should Canada adopt managed access agreements in Canada for expensive drugs? *Journal of Law and the Biosciences*, 10(10), s. 1–55. <https://doi.org/10.1093/jlb/lpad014>
- Medicinrådet. (u.å.). «Om os». <https://medicinraadet.dk/om-os> (lest 04.12.23).
- 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 01.12.23).
- 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 06.12.23).
- 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 06.12.23).
- Oulu University Hospital. (u.å.). «FinCCHTA: National Assessment Network». <https://oys.fi/fincchta/en/fincchta/national-assessment-network/> (lest 04.12.23).
- 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 04.12.23).
- Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Beslut om nationell samverkan». <https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartside/processordnatinforande/beslutomnationellsamverkan.4.64582f2718842410f2e246da.html> (lest 14.12.23).
- Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (u.å.). «Nationella behandlingsråd». <https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartside/organisationordnatinforande/nationellabehandlingsrad.4.5aca7268188422488c1250ee.html> (lest 14.12.23).
- Regionernas samverkansmodell för läkemedel. (2020). Uppdragsbeskrivning NT-rådet. <https://janusinfo.se/download/18.4940cc8b1744f5a7c05e325f/1600413857143/Uppdragsbeskrivning%20NT-r%C3%A5det%202020-06-10.pdf> (lest 04.12.23).
- Sundhedsdatastyrelsen. (2023, 29. august). «Sygehusmedicinregisteret (SMR)». <https://sundhedsdatastyrelsen.dk/da/registre-og-services/om-de-nationale-sundhedsregistre/sygdomme-laegemidler-og-behandlinger/sygehusmedicinregisteret> (lest 04.12.23).
- Tynkkynen, L.-K., et al. (2023). Finland: health system summary. <https://eurohealthobservatory.who.int/publications/i/finland-health-system-summary>
- 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 05.12.23).