

Rapport fra de regionale helseforetakene

# Unntaksordningen i system for Nye metoder

Februar 2023



## Innhold

I.	Bakgrunn for oppdraget .....	4
II.	Forståelse av oppdraget – omfang og avgrensninger .....	4
III.	Overordnet organisering – fremdrift.....	5
IV.	Oppsummering av anbefalinger .....	5
V.	Om dagens system for nye metoder og unntaksordning .....	7
A.	Verdien av systemet for Nye metoder .....	7
1.	Bakgrunn .....	7
B.	Generelt om unntaksordningen .....	8
C.	Unntak for enkeltpasienter .....	8
D.	Unntak for definerte pasientgrupper .....	9
VI.	Gjennomgang av praktisering av unntaksordningen.....	9
A.	Praktisering av unntaksordningen for enkeltpasienter .....	9
1.	Nasjonal kartlegging .....	9
2.	Resultater – prosess for behandling av søknader om enkeltpasienter .....	10
3.	Resultater – enkeltpasientsøknader 2020-2022.....	11
4.	Vurdering av variasjon.....	12
B.	Praktisering av unntaksordningen på pasientgruppenivå .....	12
1.	Behandling av søknader .....	12
2.	Gruppesøknader 2020-2022.....	13
3.	Vurderinger av ordningen med gruppeunntak.....	14
VII.	Vurdering av om unntaksordningen praktiseres i tråd med premissene i Prop. 55 L (2018-2019) .....	14
A.	Innledning – oppdraget .....	14
B.	Hva er premissene i Prop 55 L (2018-2019)?.....	15
1.	Gjeldende rett, inkludert lovendringene som ble foreslått i Prop 55 L.....	15
C.	Unntaksordningen .....	17
D.	Vurdering.....	19
VIII.	Vurdering av forslag til forbedringer og eventuelle behov for endringer i unntaksordningen .....	21
A.	Generelt om unntaksordningen .....	21
B.	Bruk av ressurskriteriet innenfor unntaksordningen .....	21
C.	Krav om markedsføringstillatelse (MT) .....	22
D.	Vurderinger om unntaksordning for enkeltpasienter .....	23
1.	Sted for behandling av søknader om enkeltpasienter.....	23

2.	Kriterier for enkeltpasientunntak.....	25
3.	Tidsperiode for praktisering av unntaksordningen relatert til ja-beslutninger .....	26
4.	Likebehandling av pasienter på tvers av foretak og regioner.....	26
5.	Nasjonal oversikt over praktisering av unntaksordningen .....	27
E.	Vurderinger om unntaksordningen for pasientgrupper.....	28
1.	Sentral behandling.....	28
2.	Kun fagmiljø sammen med foretaksledelse kan foreslå gruppeunntak .....	28
3.	Kriterier for gruppeunntak .....	28
F.	Unntak etter nei-beslutninger .....	29
IX.	Vurdere sammenhengen mellom unntaksordningen i Nye metoder og ordninger for tilgang til utprøvende behandling, som for eksempel «compassionate use program», godkjennings-fritak eller kliniske studier.....	31
X.	Ekspertpanel vs. unntaksordningen i Nye metoder .....	32
XI.	Videreføring av behandling startet for egenbetaling hos privat aktør .....	32
XII.	Skriftlige innspill fra brukerrepresentanter og konserntillitsvalgte.....	33
A.	Regionalt brukerutvalg – Helse Vest .....	33
B.	Regionalt brukerutvalg – Helse Sør-Øst.....	35
C.	Regionalt brukerutvalg – Helse Nord .....	36
D.	Regionalt brukerutvalg – Helse Midt-Norge.....	37
E.	Konserntillitsvalgte (KTV) .....	37

## I. Bakgrunn for oppdraget

23.06.22 fikk de regionale helseforetakene (RHF-ene) likelydende oppdrag i *Oppdragsdokument 2022 - tilleggskdokument etter Stortingets behandling av Prop. 115 S (2021-2022)*:

*«Stortinget har behandlet Meld. St. 28 (2020-2021) om prioritering i helse- og omsorgstjenesten, og sluttet seg til felles prinsipper for prioritering i hele helse- og omsorgstjenesten. De regionale helseforetakene skal legge de reviderte prinsippene for prioritering til grunn. Det vises til stortingsbehandling av Dokument 8:233 S (2021-2022) og Innst. 359 S (2021-2022). De regionale helseforetakene skal i samarbeid, og under ledelse av Helse Vest RHF, gjennomgå praktiseringen av unntaksordningen i system for Nye metoder. De regionale helseforetakene skal herunder vurdere om unntaksordningen praktiseres i tråd med premissene i Prop. 55 L (2018-2019) og undersøke variasjon i praktiseringen av unntak for enkeltpasienter. Arbeidet skal vurdere forslag til forbedringer og eventuelle behov for endringer i ordningen. Gjennomgangen skal også vurdere sammenhengen mellom unntaksordningen i Nye metoder og ordninger for tilgang til utprøvende behandling, som for eksempel «compassionate use program», godkjennings-fritak eller kliniske studier.»*

## II. Forståelse av oppdraget – omfang og avgrensninger

Den første del av det aktuelle avsnittet i Oppdragsdokumentet dreier seg om at de regionale helseforetakene skal legge til grunn det som har fremkommet ved Stortingets behandling av Meld. St. 38 (2020-2-21) og Dokument 8:233 S (2021-2022) i sin daglige drift og i sine prioriteringer. Det er ikke noe utredningsarbeid knyttet til dette.

Det oppdrag som svares ut i denne rapporten er beskrevet i siste del av avsnittet. De regionale helseforetakene har valgt å svare ut dette oppdraget i form av fem punkter basert på teksten i Oppdragsdokumentet:

1. Gjennomgå praktisering av unntaksordningen. (Besvares i kap. VI)
2. Vurdere om unntaksordningen praktiseres i tråd med premissene i Prop 55 L (2018-2019). (kap. VII)
3. Undersøke variasjon i praktisering av unntak for enkeltpasienter. (kap. VI)
4. Vurdere forslag til forbedringer og eventuelle behov for endringer i ordningen. (kap. VIII)
5. Vurdere sammenhengen mellom unntaksordningen i Nye metoder og ordninger for tilgang til utprøvende behandling, som for eksempel «compassionate use program», godkjennings-fritak eller kliniske studier. (kap. IX)

Gjennomgangen av praktiseringen av unntaksordningen er gjort med utgangspunkt i tall innhentet for perioden 2020 – 2022.

Unntaksordningen i Nye metoder benyttes i all hovedsak for legemidler. Denne rapporten er derfor skrevet med utgangspunkt i et legemiddelperspektiv, men prinsippene som legges fram her vil også være overførbare til andre metoder enn legemidler, for eksempel prosedyrerelatert behandling.

### III. Overordnet organisering – fremdrift

1. Mandat for arbeidet ble godkjent i interregionalt fagdirektørmøte 26.09.22.
2. I samsvar med mandat ble det nedsatt en interregional arbeidsgruppe med to deltagere fra hvert regionale helseforetak. Tilknyttet denne gruppen ble det etablert en gruppe med en jurist fra hvert regionale helseforetak. Begge grupper ble ledet fra Helse Vest, som også hadde sekretariat. Juristgruppen har utarbeidet kapitel VII. *Vurdering av om unntaksordningen praktiseres i tråd med premissene i Prop 55 L (2018-2019)*. Det øvrige dokument ble utarbeidet av arbeidsgruppen, som grunnlag for behandling i interregionalt fagdirektørmøte og møte mellom de administrerende direktørene i de fire regionale helseforetakene (AD-møtet).

#### Arbeidsgruppen:

Helse Sør-Øst: Ole Tjomsland og Anders Johan Debes

Helse Midt-Norge: Henrik Sandbu og Sverre Morten Iversen

Helse Nord: Geir Tollåli og Hanne Husom Haukland

Helse Vest: Baard-Christian Schem (arbeidsgruppens leder), Maren Stapnes Ege og Kristin Grødem (sekretariat)

#### Juristgruppen:

Helse Sør-Øst: Berit Herlofsen

Helse Midt-Norge: Dordi Flormælen

Helse Nord: Ann Elisabeth Rødvei

Helse Vest: Randi Marie Omdal (juristgruppens leder)

3. Sekretariatet for Nye metoder ble trukket inn i arbeidet, spesielt knyttet til besvarelsen av punkt 5 i oppdraget.
4. Arbeidsgruppen rapporterte til interregionalt fagdirektørmøte.
5. Dialog med brukere/brukerorganisasjoner og tillitsvalgte ble ivaretatt av det interregionale fagdirektørmøtet. Det ble innhentet uttalelser fra de regionale brukerutvalgene i alle fire regioner.
6. Endelig rapportutkast ble behandlet i interregionalt AD-møte 23.01.23.

### IV. Oppsummering av anbefalinger

#### 1. Unntak for enkeltpasienter for metoder som er til vurdering i Nye metoder, før Beslutningsforum har truffet beslutning:

- Dagens tre kriterier anbefales videreført, med en tydeligere presisering av hver av disse.
- Det anbefales at søknadsbehandling og avgjørelse om unntak fortsatt gjøres i det enkelte helseforetak når kun ett helseforetak er involvert. Det anbefales samarbeid mellom helseforetak hvis det søkes unntak i et annet helseforetak enn der pasienten bor, eller hvis det helseforetaket som behandler søknaden trenger kompetanse fra annet og større helseforetak for å vurdere den aktuelle unntakssøknad.

- Det anbefales å tydeliggjøre status til fagdirektør i helseforetakene når det gjelder rolle i behandling av unntakssøknader.
- Det anbefales å opprettholde kravet om at det for medikamenter må foreligge markedsføringstillatelse for den aktuelle indikasjon.

## **2. Gruppeunntak for metoder som er til vurdering i Nye metoder, før Beslutningsforum har truffet beslutning:**

- Det anbefales å videreføre dagens ordning, der søknad må komme fra relevant fagmiljø og foretaksledelse i minst ett, eventuelt flere, helseforetak.
- Det anbefales å videreføre at beslutninger om gruppeunntak gjøres i det interregionale fagdirektørmøtet.
- Det anbefales å fjerne kravet om at det må foreligge markedsføringstillatelse for den aktuelle indikasjon. Eventuell manglende eller begrenset markedsføringstillatelse trekkes inn i vurderingen av søknad om gruppeunntak.
- Gruppeunntak vil i hovedsak være aktuelt i følgende situasjoner:
  1. En metode som allerede er tatt i bruk meldes inn for vurdering i Nye metoder, og det er ikke ønskelig at bruken skal avsluttes mens vurderingen foregår og Beslutningsforum behandler saken.
  2. En metode oppfattes som så lovende når det gjelder kost-nytteeffekt at det ikke er ønskelig å avvente bruk til vurderingen er ferdig og Beslutningsforum har behandlet saken.

## **3. Tidspunkt for avslutning av unntaksordningen når Beslutningsforum har besluttet å innføre metoden:**

- Det anbefales at muligheten for å søke om unntak opphører fra den dato metoden kan tas i bruk, ikke den møtedato der Beslutningsforum har besluttet å innføre metoden.

## **4. Innføring av unntaksordning for enkeltpasienter for metoder der Beslutningsforum har besluttet at metoden ikke skal innføres.**

- Det anbefales ikke å innføre en unntaksmulighet etter nei-beslutninger i Beslutningsforum.
- Det anbefales at man i prosessen frem mot behandling i Beslutningsforum tar stilling til om det er subgrupper innfor den aktuelle pasientgruppe som må håndteres på en annen måte enn gruppen som helhet, hvis metoden ikke blir innført for hele gruppen. Dette er aktuelt hvis subgruppen skiller seg fra gruppen som helhet når det gjelder alvorlighetskriteriet eller nyttekriteriet eller begge. Videre at hvis slike subgrupper blir erkjent etter en nei-beslutning, kan tilbudet til subgruppen tas opp i form av en rask saksbehandling i Nye metoder, og ikke en ny fullstendig prosess.

## **5. Samordne praksis regionalt og nasjonalt når det gjelder behandling av søknader om unntak for enkeltpasienter.**

- Det anbefales en jevnlig gjennomgang av både generell praksis og enkeltsaker som reiser prinsipielle problemstillinger i de regionale fagdirektørmøter.
- Det er ønskelig å få en bedre nasjonal oversikt over innvilgede unntak til enkeltpasienter. Dette løses best ved innføring av egnede NPR-koder. NPR-koding vil medføre lite ekstraarbeid for klinisk personell, og forutsetter heller ikke ekstra kostnader til opprettelse og drift av egne registre.
- Det anbefales at interregionalt fagdirektørmøte går gjennom innrapporterte unntak for enkeltpasienter minst en gang årlig.

## 6. Anbefaling fra juristgruppen:

Juristgruppen viser til at det ligger en «spenning» mellom overordnede beslutninger om hvilke metoder som skal stilles til rådighet for klinikerne, og individuelle beslutninger som tas av behandlende lege knyttet til helsehjelp til enkeltpasienter. Det er tale om beslutninger på to nivåer. 1) Fagdirektørens overordnede beslutning om unntaksvis å gjøre et medikament tilgjengelig, og 2) behandlende lege sin beslutning om medikamentet skal tas i bruk i behandlingen av en konkret pasient. Fagdirektørens rolle bør beskrives bedre, samtidig som det anbefales at prosedyren bygges ut og spisses med en beskrivelse av hvordan slike individuelle unntakssaker bør saksbehandles.

Spørreundersøkelsen gir begrensede opplysninger, og det er vanskelig å konkludere endelig om unntaksordningen praktiseres i tråd med det som var forutsetningene. Det er blant annet ikke mulig å vurdere om hensynet til likebehandling er ivarettatt. Undersøkelsen gir imidlertid et bilde av at unntaksordningen fungerer som den sikkerhetsventil som den var ment å være. Juristgruppen anbefaler rutiner for å jevnlig registrere bruk av unntaksordningen og rapportere dette til interregionalt fagdirektørmøte. Rapporteringen bør inneholde tilstrekkelig opplysninger til at man kan vurdere om ordningen praktiseres i tråd med forutsetningene.

## V. Om dagens system for nye metoder og unntaksordning

### A. Verdien av systemet for Nye metoder

#### 1. Bakgrunn

Nye metoder er et verktøy og system for prioritering i spesialisthelsetjenesten slik at helsekronene blir fordelt mest mulig rettferdig. Nye metoder skal sikre lik tilgang til ny behandling for alle i Norge. Beslutningsforum er en del av dette systemet, og bestemmer hvilke nye metoder og legemidler spesialisthelsetjenesten i Norge kan bruke.

Nye metoder systemet utfører oppgavene basert på Stortingets beslutninger. Det vil si at kriteriene for hva som skal prioriteres er satt; nytte og effekt av behandlingen, ressursbruk og hvor alvorlig sykdommen er. Dette er kriterier som et samlet Storting har sluttet seg til ved behandling av Prioriteringsmeldingen i 2016. Det følger også av spesialisthelsetjenesteloven § 2-1 a annet ledd at de regionale helseforetakene skal innrette sitt tjenestetilbud i tråd med de tre prioriteringskriteriene. Kriteriene er beskrevet i prioriteringsmeldingen fra 2016 som blant annet konkluderte med at det skal arbeides for "flest mulig gode leveår for alle, rettferdig fordelt".

Stortinget bevilger en årlig sum til de regionale helseforetakene, som skal dekke alt i spesialisthelsetjenesten. Økte utgifter et sted, for eksempel ved innføring av en ny medisin, får konsekvenser for hva sykehusene ikke kan bruke av penger et annet sted. En sentral del av beslutningene i Nye metoder er den såkalte alternativkostnaden. Det vil si at Beslutningsforum må se de nye legemidlene opp mot hva som blir valgt bort om legemiddelet innføres.

Hver eneste dag tas det tusenvis av prioriteringsbeslutninger i norsk helsetjeneste. Spørsmålet er hvordan avgjørelsene kan tas på en mest mulig rettferdig måte. Nye metoder og Beslutningsforum er laget slik at pengene og ressursene skal være rettferdig fordelt på hele befolkningen, og at det ikke blir tilfeldig hvem som får behandlingen de har behov for. Budsjettet i spesialisthelsetjenesten per innbygger i Norge er estimert til cirka 33 000 kroner i året. I et livsperspektiv betyr det at spesialisthelsetjenesten har et sted mellom 2,5 til 3 millioner kroner per innbygger. Genterapi kan f. eks. koste 15 millioner kroner per dose og mange andre medikamenter har en utgangspris på 1-5 millioner per år per pasient. Ved innføring av mange slike medikamenter ville sykehusene raskt måtte redusere vesentlig på andre kostnader, for eksempel medisinskteknisk utstyr, antall medarbeidere, mindre beredskap, IKT og datasikkerhet, bygge mindre sykehus eller redusere vedlikehold.

Leverandørene av nye legemidler har ofte monopol. At det tar lang tid å innføre nye metoder kan blant annet skyldes at et legemiddelselskap med monopol stiller uakseptable krav til pris. Dermed kan ikke prioriteringskriteriene oppfylles. Når legemiddelselskap med monopol ikke er villige til å sette ned prisen, drar prisforhandlingene ut i tid, og kan også ende med at Beslutningsforum sier nei til innføring.

## B. Generelt om unntaksordningen

Unntaksordningen i Nye metoder er beskrevet på systemets nettsider: [Unntaksordning \(nyemetoder.no\)](http://Unntaksordning(nyemetoder.no)).

En metode som er til vurdering i Nye metoder skal som hovedregel ikke tas i bruk til nye pasienter i spesialisthelsetjenesten. Det kan oppstå situasjoner der unntak fra denne regelen kan være aktuelt, og en unntaksordning er derfor etablert.

Det finnes mulighet for å søke om unntak på individ- og gruppenivå. Det er etablert ulike prosedyrer for disse.

Det er ikke mulig å søke om unntak etter at Beslutningsforum har besluttet å ikke innføre den aktuelle metode for den aktuelle indikasjon. Dette gjelder selv om man går i nye prisforhandlinger eller saken tas opp igjen til ny behandling, f.eks. pga. nytt pristilbud eller at det har tilkommet ny dokumentasjon.

Pasienter som har påbegynt behandling med metoden før beslutning i Nye metoder, kan som hovedregel fullføre behandlingen så lenge det er medisinsk begrunnet.

## C. Unntak for enkeltpasienter

Søknader om unntak for enkeltpasienter skal håndteres i det helseforetak (HF) som har behandlingsansvaret for pasienten. Følgende kriterier gjelder for søknad for enkeltpasienter:

1. Det finnes markedsføringstillatelse i Norge for aktuell indikasjon.



2. Etablert behandling skal være kontraindisert, eller forsøkt og ikke tolerert på grunn av bivirkninger.
3. Det er grunn til å tro med bakgrunn i forelagt dokumentasjon, at effekt av behandling vil være vesentlig større enn for gruppen som helhet.

Hvis et helseforetak fatter beslutning om unntak for en pasient bosatt utenfor eget opptaksområde, har dette helseforetaket det økonomiske ansvar for alle utgifter til kjøp av det aktuelle medikament (ikke den samlede medisinske oppfølging).

#### D. Unntak for definerte pasientgrupper

Det er kun medisinske fagmiljøer som sammen med ledelsen i et eller flere helseforetak kan søke om unntak for en definert pasientgruppe. Flere fagmiljø og flere helseforetak kan samarbeide om å søke. Det interregionale fagdirektørmøtet beslutter om man skal gi unntak og hvordan et evt. unntak skal være avgrenset (indikasjoner).

Unntak som er fattet på gruppenivå fremgår i en samlet oversikt på nettsidene til Nye metoder: [Metodevurdering \(nyemetoder.no\)](https://www.nymetoder.no). Innvilgede gruppeunntak er også oppført på metodesiden til den enkelte metode.

For legemidler har det vært krav om at det skal foreligge markedsføringstillatelse for aktuell indikasjon også ved søknad om unntak for pasientgrupper.

## VI. Gjennomgang av praktisering av unntaksordningen

### A. Praktisering av unntaksordningen for enkeltpasienter

#### 1. Nasjonal kartlegging

Det finnes ingen samlet, nasjonal oversikt over bruk av unntaksordningen for enkeltpasienter i norske sykehus i dag. De fire regionale helseforetakene har derfor gjennomført en spørreundersøkelse i egne sykehusforetak samt andre relevante sykehus for å kartlegge praktisering av unntaksordningen i perioden 2020- 2022. De aktuelle spørsmålene var:

1. *Hvordan er unntaksordningen gjort kjent i ditt HF/sykehus?*
2. *Hvordan er behandlingen av søknader organisert i ditt HF/sykehus?*
3. *Hvem behandler eventuelle søknader fra private ideelle sykehus i din region?*
4. *Hvordan behandles søknader om unntak i ditt HF hvis pasienten er bosatt i et annen HF-område?*
5. *Hvordan behandles søknader om unntak i ditt HF hvis pasienten er bosatt i et annen RHF-område?*
6. *Hva er antall innvilgete og avslåtte unntakssøknader for hvert av årene 2020, 2021 og 2022 (til og med august)?*
7. *Hva er fordelingen av innvilgete og avslåtte unntakssøknader på enkeltdiagnoser og enkeltmedikamenter for perioden 2020-22 (til og med august)? (besvares i tabellen nedenfor)*
8. *Hvilket HF –område er hver enkelt pasient bosatt i? (besvares i tabellen nedenfor)*
9. *Ser dere noen utvikling over tid når det gjelder antall søknader og faglig/diagnostisk fordeling av disse?*

### 10. Har dere andre innspill som dere mener er relevant?

For spørsmålene 7 og 8 var det vedlagt en tabell som skulle fylles ut og brukes til besvarelse.

Hvert regionalt helseforetak gikk deretter gjennom svarene fra egen region for å harmonisere rapporteringsform og sikre korrekt registrering av pasienter som hadde startet behandling etter individuelt unntak i et annet helseforetaksområde enn der de er bosatt.

De samlede resultater fra de regionale helseforetakene ble deretter gjennomgått for å harmonisere rapporteringsform og sikre korrekt registrering av pasienter som hadde startet behandling etter individuelt unntak i en annen region enn der de er bosatt.

## 2. Resultater – prosess for behandling av søknader om enkeltpasienter

### Helse Vest

I alle helseforetak og private ideelle sykehus sendes søknad om unntak til fagdirektør. Vurdering skjer lokalt i foretaket og det er fagdirektør i det helseforetaket som skal betale behandlingen som tar endelig beslutning. Det er etablert rutiner for søknadsprosessen i alle foretak. Det er samarbeid mellom foretakene for pasienter som behandles i mer enn ett helseforetak/privat ideelt sykehus. Det er utarbeidet skriftlige prosedyrer i alle foretak og ordningen er godt kjent innenfor de spesialiteter der ordningen er mest relevant.

Generelt er det en økning i søknader i Helse Vest, spesielt innenfor kreftområdet. Sett ut fra befolkningsstørrelse er det et lavt antall søknader.

### Helse Sør-Øst

I alle helseforetakene og private ideelle sykehus sendes søknader om unntak fra klinisk miljø til stedlig fagdirektør. Søknadene blir vurdert lokalt i foretaket og det er fagdirektør i det helseforetaket som skal betale behandlingen som tar endelig beslutning. Det er etablert rutiner for søknadsprosessen i alle foretak. Det er samarbeid mellom foretakene for pasienter som behandles i mer enn ett helseforetak/privat ideelt sykehus. Det er utarbeidet skriftlige prosedyrer i alle foretak, og det rapporteres at ordningen er godt kjent innen de kliniske spesialiteter hvor ordningen er mest relevant.

Generelt er det en økning i søknader i Helse Sør-Øst, spesielt innenfor kreftområdet. Sett ut fra befolkningsstørrelse er det et lavt antall søknader. Det er imidlertid betydelig variasjon i antall unntakssøknader mellom helseforetakene, og det er spesielt ett helseforetak som rapporterer inn et betydelig høyere antall søknader enn de andre helseforetakene i regionen.

### Helse Nord

Søknader om unntak rettes av behandlende lege sammen med nærmeste leder til medisinsk fagsjef, som beslutter om søknad om enkeltunntak skal innvilges eller ikke. Det er utarbeidet skriftlige rutiner/retningslinjer for dette ved de to største helseforetakene. Ved de to mindre helseforetakene er skriftlige rutiner under utarbeidelse.

Samlet sett er det få søknader om unntak i regionen, og det er vanskelig å si noe om utviklingen over tid. Registreringen for 2020 var ikke komplett.

## Helse Midt-Norge

Det er utarbeidet felles regional prosedyre for søknad om unntak i Helse Midt-Norge, og ordningen er godt kjent i helseforetakene. Søknad sendes til fagdirektør. Alle søknader om unntak fra Nye metoder gjennomgås i regionalt fagdirektørmøte for å sikre lik praksis i regionen, men det er fagdirektør i helseforetaket som skal betale behandlingen som tar endelig beslutning.

### 3. Resultater – enkeltpasientsøknader 2020-2022

#### Behandlede unntakssøknader på enkeltpasienter fra 2020 til Q3 2022 per region:

År	Region	Innvilget	Avslått	Totalt antall saker
2020	Helse Nord	1	1	2
	Helse Midt	12	1	13
	Helse Vest	13	2	15
	Helse Sør-Øst	30	12	42
	Totalt	56	16	72
2021	Helse Nord	10	7	17
	Helse Midt	30	7	37
	Helse Vest	25	11	36
	Helse Sør-Øst	76	20	96
	Totalt	141	45	186
2022	Helse Nord	3	3	6
	Helse Midt	23	4	27
	Helse Vest	24	12	36
	Helse Sør-Øst	63	22	85
	Totalt	113	41	154
Totalt 2020 - Q3 2022		310	102	412

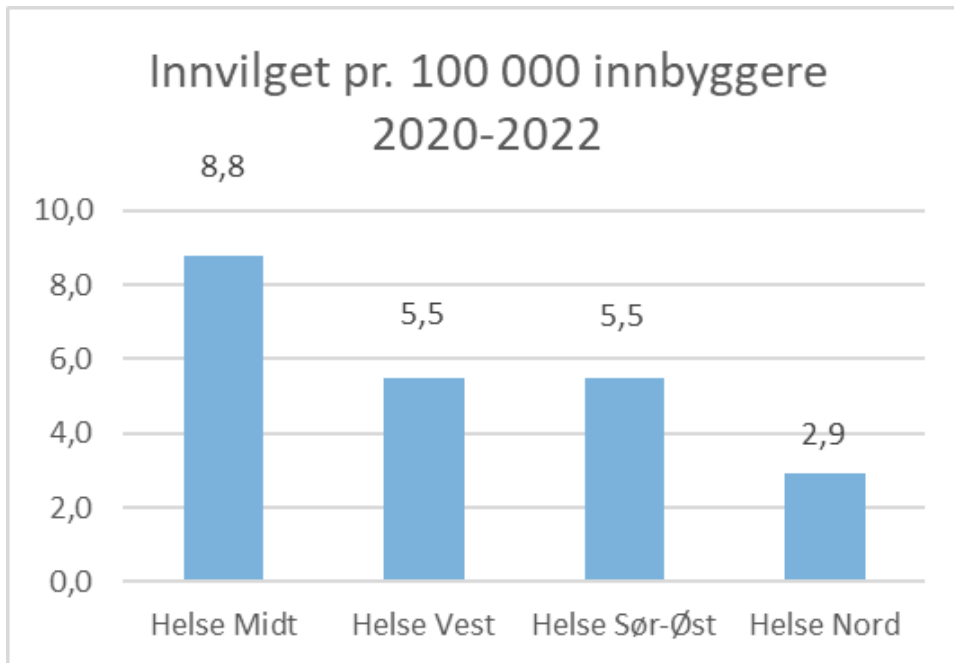
Tabell 1: Enkeltsøknader fra 2020 til Q3 2022

I tabellen ovenfor ser man alle registrerte unntakssøknader fordelt per region. Av de innvilgede søknadene gjelder 300 søknader somatisk sykdom. Av disse omhandler 207 søknader kreftområdet, 93 søknader er ikke kreftrelatert. 10 av de innvilgede søknadene er innenfor psykiatri.

Det er usikkerhet knyttet til disse tallene. Ikke alle helseforetak har fullstendige tall for 2020, og det foreligger naturlig nok heller ikke fullstendige tall for hele 2022. Innrapporteringen i 2022 er ulik, noen sykehus har rapportert tall frem til august, mens andre har rapportert tall til og med oktober. Det er ikke mulig å kontrollere om alle innvilgede unntak er innrapportert innad i det enkelte helseforetaket. Når det gjelder avslag kan det være ulik praksis for hva man søker unntak for i det enkelte helseforetak og dette vil påvirke tallene. Innvilgede søknader gir derfor det beste bildet av praksis ved behandling av unntakssøknader.

Unntakssøknadene er fordelt på mange pasientgrupper, med små tall for hver diagnose og indikasjon fordelt på mange helseforetak. Tilfeldig variasjon innenfor hver pasientgruppe over tid vil være betydelig.

#### 4. Vurdering av variasjon



Tabell 2: Innvilgede søknader per 100 000 innbyggere per bosted i 2020-2022

Tabell 2 viser antall innvilgede unntakssøknader per 100 000 innbyggere per region, basert på pasientenes bostedsadresse. Samlede tall for unntak per 100 000 innbyggere vil gi et overordnet inntrykk av praksis i regionene, men vil ikke si noe om geografisk likebehandling på tvers av diagnoser eller metoder.

### B. Praktisering av unntaksordningen på pasientgruppenivå

#### 1. Behandling av søknader

Beslutninger om gruppeunntak fattes i interregionalt fagdirektørmøte. Det har i hovedsak vært to begrunnelser for å innvilge søknader om unntak på pasientgruppenivå:

1. Metode som allerede er tatt i bruk meldes inn for vurdering i Nye metoder, og man ønsker å unngå at bruken skal avsluttes mens vurderingen foregår og Beslutningsforum behandler saken.
2. Metoden oppfattes som så lovende når det gjelder kost-nytteeffekt at man ikke ønsker å avvente bruk til vurderingen er ferdig og Beslutningsforum har behandlet saken.

Disse to hensyn skal ivareta at enkeltpasienter ikke utsettes for uforsvarlighet på grunn av manglende helsehjelp i perioden frem til avgjørelse i Beslutningsforum.

## 2. Gruppesøknader 2020-2022

På [nyemetoder.no/metodevurdering](https://nyemetoder.no/metodevurdering) er det publisert informasjon om alle mottatte søknader om gruppeunntak. Her ligger det oversikt over gjeldende unntak, tidligere unntak og vurderinger (ikke lenger gjeldende pga. beslutning fra Beslutningsforum foreligger), samt avslåtte søknader om unntak på pasientgruppenivå.

I perioden 2020 til oktober 2022 ble det totalt mottatt ti søknader om gruppeunntak. Åtte av disse ble innvilget, to ble avslått, jf. informasjon i tabell 3 nedenfor.

Årstall	Metode	Diagnose/ bruksområde	Beslutning	Kommentar	Fortsatt gjeldende?
2020	Hysterektomi	Ved kraftige menstruasjons- blødninger	Innvilget	Begrunnelse for innvilgning: Allerede i bruk.	Nei
2020	Kirurgi ved karpaltunnel- syndrom	Frigjøre trykk på nerven ved å dele det tverrgående karpale leddbåndet.	Innvilget	Begrunnelse for innvilgning: Allerede i bruk.	Nei
2020	Akromion- reseksjon	Impingementsyndrom i skulder.	Innvilget	Begrunnelse for innvilgning: Allerede i bruk	Nei
2021	Olaparib (Lynparza)	Monoterapi til behandling av metastatisk prostatakreft og BRCA 1/2 –mutasjoner (kimbane og/eller somatiske) som har progrediert etter tidligere behandling som inkluderte et nytt hormonlegemiddel	Innvilget	Begrunnelse for innvilgning: Lovende kliniske data.	Ja
2022	Cefiderokol (Fetroja)	Til behandling av alvorlige infeksjoner forårsaket av aerobe gramnegative bakterier	Innvilget	Begrunnelse for innvilgning: Lovende kliniske data, stort behov.	Nei
2022	Pembrolizumab (Keytruda) i kombinasjon med kjemoterapi, med eller uten bevacizumab	Vedvarende, tilbakevendende eller metastatisk livmorhalskreft hos voksne	Innvilget	Begrunnelse for innvilgning: Lovende kliniske data	Ja
2022	Pembrolizumab (Keytruda) eller Cemiplimab (Libtayo)	Til behandling av voksne med tilbakevendende eller metastatisk livmorhalskreft som har progrediert under eller etter behandling med kjemoterapi	Innvilget	Begrunnelse for innvilgning: Lovende kliniske data.	Ja
2022	Olaparib som monoterapi	Til behandling av pasienter med metastatisk kreft og biallelisk BRCA1/2 mutasjoner (inaktivering) som har progrediert på standard behandling, og som er deltakere i IMPRESS- Norway	Innvilget	Begrunnelse for innvilgning: Sikre tilgjengelighet til IMPRESS-studien	Ja

2022	Bruk av PD-1 hemmer, Pembroluzimab, i kombinasjon med kjemoterapi	Til førstelinjebehandling av voksne med lokalanisert ikke-resektabelt eller metastatisk karsinom i spiserøret eller HER2-negativt adenokarsinom i gastroøsofagale overgang hos voksne med tumor som uttrykker PDL1 med CPS >10	Avslått	Det ble ikke innvilget gruppeunntak da saken/metodevurderingen ifølge SLV var under oversendelse til RHF-ene for beslutning.	Ikke aktuelt
2022	Lu177-PSMA	Til metastatisk kastrasjonsrefraktær ca. prostatae	Avslått	Kostbar metode med usikkert kostnytte-forhold.	Ikke aktuelt

Tabell 3: Gruppesøknader fra 2020 til oktober 2022

Per oktober 2022 er det fem gjeldende gruppeunntak i Norge. Fire av disse er innvilget i den aktuelle perioden 2020-2022 (se tabell 3 over), ett gjeldende unntak ble innvilget i 2019 (PD-1 hemmer v/ MSI metastatisk tykk- og endetarmskreft – 2.linje).

### 3. Vurderinger av ordningen med gruppeunntak

Innenfor Nye metoder følges som hovedprinsipp at en behandling som er startet for en pasient skal fortsette til den er fullført eller så lenge det er medisinsk indikasjon, selv om det senere kommer en nei-beslutning fra Beslutningsforum. Et gruppeunntak får derfor svært ulike konsekvenser avhengig av hvor lenge legemidlet vil brukes av den enkelte pasient. Dersom hver pasient skal bruke legemidlet i mange år, ev. livslangt på grunn av medfødt genetisk tilstand, vil et gruppeunntak i realiteten innføre medikamentet for alle pasienter som p.t. har behandlingsindikasjon før det er tatt en beslutning i Nye metoder. Leverandøren vil da ikke ha noen interesse av å gi rabatt, fordi man kan fortsette salg til maksimalpris eller allerede gjeldende rabattert pris, til de pasienter som allerede har startet behandling på bakgrunn av gruppeunntaket.

Gruppeunntak vil derfor i hovedsak være aktuelt for metoder som vanligvis brukes kortvarig, for eksempel kreftmedikamenter. Det er naturlig at innvilgede gruppeunntak har dreid seg om kirurgiske prosedyrer, medikamentell kreftbehandling og et antibiotikum.

Problemstillingen om «Midlertidig finansiering av legemidler under metodevurdering» er omtalt i Meld. St. 34 (2015-2016) "[Prioriteringsmeldingen](#)" kap. 11.6.2. De regionale helseforetakene mener at praksis på dette området er i samsvar med departementets føringer.

## VII. Vurdering av om unntaksordningen praktiseres i tråd med premissene i Prop. 55 L (2018-2019)

### A. Innledning – oppdraget

I tilleggsdokumentet fra 23.06.22 til Oppdragsdokument 2022 fikk de regionale helseforetakene i oppdrag å gjennomgå praktiseringen av unntaksordningen i Nye metoder. I henhold til mandatet for arbeidet fra det interregionale fagdirektørmøtet ble det etablert en juristgruppe med en jurist fra hvert av de regionale helseforetakene for å vurdere om unntaksordningen praktiseres i tråd med premissene i Prop 55 L (2018-2019).

Dette kapitlet er utarbeidet av juristgruppen.

## B. Hva er premissene i Prop 55 L (2018-2019)?

### Premissene fremgår av forarbeidene til lovfestingen av systemet for Nye metoder

Systemet for nye metoder ble lovfestet i 2019 gjennom spesialisthelsetjenesteloven (spthjl.) §4-4 som pålegger de regionale helseforetakene å sørge for et felles system for å beslutte hvilke metoder som kan tilbys i spesialisthelsetjenesten. Samtidig ble det slått fast i sptjtl. § 2-1 a annet ledd at de regionale helseforetakene skal innrette sitt tjenestetilbud i tråd med de tre prioriteringsvilkårene; nytten av tiltak i pasientbehandling, ressursbruk som tiltak legger beslag på og alvorlighetsgraden av de tilstander som skal behandles. Videre ble pasient- og brukerrettighetsloven (pbrl.) § 2-1 b annet ledd endret ved å presisere at retten til nødvendig helsehjelp gjelder de tjenestene som spesialisthelsetjenesten har ansvar for å yte og finansiere. Premissene for lovendringene fremgår av Prop. 55 L (2018-2019) og Innstilling 93 L (2019-2020).

Beslutningsforum vurderer og tar stilling til hvilke behandlingsmetoder som både skal tas i bruk eller utfases ved norske sykehus, og dermed hvilke metoder som skal tilbys i spesialisthelsetjenesten. Prioriteringsbeslutninger i spesialisthelsetjenesten som tas administrativt på overordnet nivå legger rammer for individuelle vurderinger av pasienter. Lovfestingen skal sikre at helsepersonell, pasienter og andre gis forutsigbarhet og forståelse for hvordan systemet henger sammen, sikre likeverdig tilgang uavhengig av bosted, og bidra til forutsigbarhet for pasienter og helsepersonell om hva som kan forventes av helsehjelp i spesialisthelsetjenesten.

Innstillingen til Stortinget fra helse- og omsorgskomiteen<sup>1</sup> inneholder flere uttalelser om forholdet mellom generelle metodevedtak og pasientenes individuelle rettigheter. På side 6 står:

*«Komiteen legger til grunn at overordnede beslutninger om metoder ikke skal påvirke retten til individuelle vurderinger og rettigheter til nødvendig og forsvarlig medisinsk behandling. De individuelle vurderingene skal ta utgangspunkt i den enkeltes behov og faktiske muligheter for å diagnostisere og behandle sykdom.»*

Det ligger imidlertid en «spenning» mellom overordnede generelle metodevedtak og individuelle beslutninger om helsehjelp til enkeltpasienter, bl.a. fordi det er presisert at retten til nødvendig helsehjelp gjelder de tjenestene som spesialisthelsetjenesten har ansvar for å yte og finansiere. Helseministeren fikk flere spørsmål om dette under komitebehandlingen som er tatt inn i innstillingen. Helsedirektoratet har i ettertid gitt noe veiledning, bl.a. gjennom rundskriv I-4/2019<sup>2</sup>. Vi kommer tilbake til rundskrivet som etter vårt syn ikke løser alle spørsmål.

### 1. Gjeldende rett, inkludert lovendringene som ble foreslått i Prop 55 L

#### Rett til nødvendig helsehjelp i spesialisthelsetjenesten

Pasient og brukerrettighetsloven § 2-2 jfr. §2-1 b) annet ledd bestemmer at pasienter som henvises til spesialisthelsetjenesten har krav på en vurdering av om de har rett til nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten eller ikke (kalt rettighetsvurdering). Om pasienten har rett til nødvendig

<sup>1</sup> Innst. 93 L (2019-2020)

<sup>2</sup> Rundskriv I-4/2019 – Rett til nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten og forholdet til forsvarlighetskravet mm

helsehjelp avgjøres etter en konkret og individuell vurdering. Prioriteringsforskriften angir nærmere vilkårene for vurdering av hvem som har denne retten.

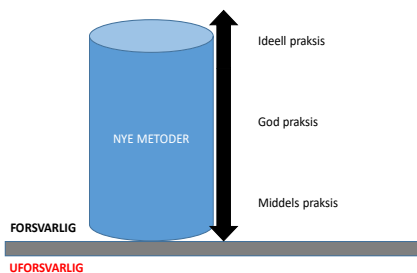
### Forsvarlighetskravet

Forsvarlighetskravet setter en rettslig standard som helseforetakene ikke har lovlig adgang til å gå under. I dette ligger det at standarden på helsetjenestene skal være på et visst nivå.

Kjernen i forsvarlighetskravet er koblet til det som til enhver tid er definert som *etablert* behandling. Pasienter har et rettskrav på å få etablert behandling for den sykdommen vedkommende har. Prinsippene for prioritering skal bidra til å sikre pasienter likeverdig tilgang til sikre og trygge helsetjenester og rettferdig fordeling av helseressursene. Kjennetegnet ved nye behandlingsmetoder er at det ikke er tale om etablert behandling, og at de må metodevurderes for å vurderes opp mot prinsippene for prioritering og for å sikre at metodene er forsvarlige.

Bestemmelsen i pbrl. § 2-1 b) annet ledd som presiserer at retten til nødvendig helsehjelp gjelder de tjenestene som spesialisthelsetjenesten har ansvar for å yte og finansiere, er ikke ment å senke terskelen for forsvarlighetskravet. Om/hvilken betydning presiseringen kan ha når det gjelder forsvarlighetskravet, kommer vi tilbake til. Det er imidlertid viktig å påpeke at pasientene ikke har beslutningsmyndighet med hensyn til å velge ulike metoder og valg av behandlingstiltak. Pasientene kan medvirke, men helsepersonellet har beslutningsmyndigheten. Det er dessuten først når en metode er gjort tilgjengelig i spesialisthelsetjenesten at pasientens rett til å medvirke inntre. I valget mellom ulike behandlingsalternativ i ett pasientforløp er systemet for nye metoder sentralt fordi dette systemet gir rammene for hva som er tilgjengelig for helsepersonellet.

Nye metoder ligger i skjønnsrommet over forsvarlighetskravet, og over hva pasienten har et rettskrav på å få av tjenester. Med skjønnsrommet menes det som ligger mellom den til enhver tid best tilgjengelige medisin og forsvarlighetskravets nedre grense.



### Klage- og domstolsbehandling

Det følger av Prop. 55 L at beslutninger som blir truffet i systemet for nye metoder ikke er enkeltvedtak og derfor ikke kan påklages. Dette ble presisert i sptjl. § 4-4 tredje ledd i forbindelse med lovfestingen.

Beslutninger som behandlende lege tar om hvilken helsehjelp den enkelte pasient skal få kan imidlertid pasienten påklage til Statsforvalteren. Rammene for klageinstansen vil være om retten til nødvendig helsehjelp er oppfylt i det enkelte tilfellet, og om pasienten får forsvarlig helsehjelp. Klageinstansen skal altså ikke ta stilling til om en ny metode skal gjøres tilgjengelig i spesialisthelsetjenesten, men om det helsetilbudet pasienten *faktisk mottar* er forsvarlig.



Spørsmålet kan da bli om det vil kunne være uforsvarlig at pasienten ikke mottar et aktuelt medikamentet som er til vurdering eller har fått nei hos Nye metoder.

### **Menneskerettigheter og internasjonal rett**

Grunnloven har bestemmelser om respekt for menneskerettigheter og retten til liv<sup>3</sup> som får betydning for statens plikt til å organisere helsetilbudet. Retten til helse er også særskilt regulert i ØSK<sup>4</sup> artikkel 12 og CRPD<sup>5</sup> artikkel 25 som både krever likebehandling og aktiv tilrettelegging. EMK artikkel 2, 8 og 14 og avgjørelsene fra EMD<sup>6</sup> vil i særlig grad kunne komme inn når domstolene prøver om vår lovgivning og praksis er tilstrekkelig for å oppfylle våre internasjonale forpliktelser. Dette kan dreie seg om brudd på menneskerettigheter, forbud mot diskriminering og retten til helse. Trygdeforordningene, pasientrettighetsdirektivet og EØS-avtalen gir også forpliktelser når det gjelder tilgang til behandlinger. EFTAs overvåkingsorgan har på ny (oktober 2022) reagert på manglende forutsigbarhet, mangelfull implementering og effektive rettsikkerhetsmekanismer i norsk rett for pasienters rett til å motta behandling i utlandet, spesielt når «tilsvarende effektiv» behandling ikke kan tilbys i Norge.

## C. Unntaksordningen

### **Skillet mellom beslutninger i Nye metoder og beslutninger om nødvendig og forsvarlig helsehjelp til enkeltpasienter**

Prioriteringsbeslutninger på overordnet nivå må holdes tydelig adskilt fra individuelle vurderinger og beslutninger om hvilken helsehjelp den enkelte pasient skal få. Nye metoder tar stilling til og setter rammer for hvilke metoder som skal være tilgjengelig for klinikerne, mens klinikerne/behandlende lege vurderer konkret hvilken helsehjelp den enkelte pasient har krav på til enhver tid. Positive beslutninger som fattes i systemet for nye metoder blir implementert i faglige retningslinjer, og blir dermed en del av klinikernes beslutningsgrunnlag. På denne måten skapes en faglig kobling mellom beslutninger på gruppenivå og de individuelle vurderingene som klinikerne foretar i møtene med pasienter.

Ved oppstarten av pasientforløpet tar klinikerer gjennom rettighetsvurderingen stilling til om en pasient har rett til nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten eller ikke, mens forsvarlighetskravet styrer pasientens videre helsehjelp gjennom forløpet. Individuelle vurderinger av hvilken helsehjelp konkrete pasienter skal få kan m.a.o. skje på flere tidspunkter, og vil derfor kunne skje både i perioden før, under og etter at en metode er til vurdering i Nye metoder.

Statsforvalteren har i løpet av de siste årene behandlet flere klager fra pasienter som har fått nei til å ta i bruk en ny metode som Beslutningsforum har sagt nei til. Vurderingstemaet har da vært om helsehjelpen pasienten er tilbudt er forsvarlig, eller om man er i en slik unntakssituasjon at den nye metoden vil være nødvendig å ta i bruk for å gi pasienten forsvarlig helsehjelp. Etter en klagesak om immunterapi i 2019, ga HOD ut [Rundskriv I-4/2019](#) som blant annet presiserer at spesialisthelsetjenesten ikke kan levere tjenester som ligger under forsvarlighetskravet. Videre at dette gjelder uavhengig av begrunnelse, som f.eks. økonomi. Rundskrivet sier (side 4):

<sup>3</sup> Grunnloven §§ 92, 93 og 102

<sup>4</sup> FN konvensjonen om økonomiske, sosiale og kulturelle rettigheter

<sup>5</sup> FN konvensjonen for mennesker med nedsatt funksjonsevne

<sup>6</sup> Den europeiske menneskerettskonvensjonen og den europeiske menneskerettsdomstolen

*«Den klare hovedregel er at tjenesten og behandlende helsepersonell avgjør hvilket tilbud som skal ytes pasienten. Det finnes ett unntak, dersom det kun er en bestemt type tjeneste eller tilbud som er eneste alternativ for å yte et forsvarlig tilbud, så har også pasienten et rettskrav på tjenesten. Det er imidlertid ytterst sjelden at det kun vil være en type tjeneste eller tilbud som vil innebære at pasienten får forsvarlig helsehjelp. For eksempel vil unntaket ikke få anvendelse i tilfeller hvor helsepersonellet har valget mellom en type etablert behandling, en annen type utprøvende behandling eller off-label bruk av et legemiddel. I et slikt tilfelle, under forutsetning at alle tre alternativene fremstår som forsvarlige, vil tjenesten og helsepersonellet avgjøre hvilket tilbud som skal ytes til pasienten.»*

Erfaring har vist at det ikke er så ytterst sjelden at denne situasjonen oppstår, og rundskrivet går ikke i dybden på det vanskelige spørsmålet om pasienter da vil kunne ha rettskrav på å ta i bruk en slik ikke etablert metode helt uavhengig av økonomi jf. at kjernen i forsvarlighetskravet skal være koblet opp mot det som til enhver tid er definert som etablert behandling og metoden ikke omfattes av de tjenestene spesialisthelsetjenesten har ansvar for å yte og finansiere<sup>7</sup>.

### **Nærmere om unntaksordningen i Nye metoder**

I tiden en metode/medikament er til vurdering hos Nye metoder, kan man søke om både gruppeunntak og unntak for enkeltpasienter. Ved *gruppeunntak* har praksis hele tiden vært at relevant fagmiljø og foretaksledelse i minst et helseforetak kan ta opp saker om unntak for en definert pasientgruppe. Beslutningen skjer hos fagdirektørene i de regionale helseforetakene i interregionalt fagdirektørmøte. Frem til 2018 var forutsetningen for *unntak for enkeltpasienter* at pasienten «skiller seg klart fra pasientgruppen for øvrig». I løpet av 2018 ble vilkårene for unntak for enkeltpasienter endret til at; 1) ved individuelle søknader etter unntaksregelen er det en forutsetning at det finnes markedsføringstillatelse for aktuell indikasjon, 2) at etablert behandling skal være kontraindisert-, eller forsøkt og ikke tolerert på grunn av bivirkninger, 3) at det er grunn til å tro, med bakgrunn i forelagt dokumentasjon, at effekt av behandling vil være vesentlig større enn for gruppen som helhet. De tre prioriteringskriteriene; nytte-, alvorlighet- og ressurskriteriet gjelder på samme måte i unntaksordningen som i øvrige aktiviteter i helsetjenesten.

Vi legger til grunn at unntaksordningen ble etablert som en sikkerhetsventil for å fange opp grupper/individer med et gunstigere kost/nytte forhold eller et større absolutt prognosetap enn gjennomsnittet for gruppen som helhet. Det må bety at meningen var at unntaksordningen skal kunne gi grupper og enkeltpasienter som oppfyller vilkårene noe mer enn det som følger av en løpende forsvarlighetsvurdering. Hvis ikke ville unntaksordningen ha vært overflødig.

Vi legger videre til grunn at unntaksordningsbeslutningene fortsatt dreier seg om overordnede beslutninger om hvilke metoder som skal stilles til rådighet for klinikerne, og ikke individuelle vurderinger av helsehjelp til konkrete pasienter som er omtalt i punktet over.

I prop 55 L (side 53) tydeliggjøres forskjellen mellom systemet for Nye metoder og pasientens rett til nødvendig spesialisthelsetjeneste slik:

*«det tas ikke direkte stilling til om metoden skal brukes overfor konkrete pasienter eller pasientgrupper, men om det skal åpnes for at metoden kan brukes i den offentlige spesialisthelsetjenesten».*

---

<sup>7</sup> Jf. pbrl. § 2-1 b annet ledd siste punktum

Også for den individuelle unntaksordningen er det m.a.o. tale om beslutninger på to nivåer: 1) fagdirektørens overordnede beslutning om unntaksvis eventuelt å gjøre et medikament tilgjengelig for en konkret pasient og 2) behandlende leges endelige beslutning om medikamentet skal tas i bruk i behandlingen av pasienten. I praksis vil man kanskje kunne si at beslutningen reelt sett er tatt når medikamentet er stilt til rådighet, men prinsipielt sett er dette to ulike typer avgjørelser. Den første er en «Nye metoder beslutning», mens den andre er en ordinær beslutning om hva slags helsehjelp pasienten skal få. Det er ikke klagerett på den første beslutningen, mens den andre beslutningen kan påklages til Statsforvalteren.

## D. Vurdering

### Howdan praktiseres unntaksordningene?

For å kunne vurdere om unntaksordningene praktiseres i tråd med premissene i Prop. 55 L (2018-2019) må vi vite hvordan ordningene faktisk praktiseres. De to unntaksordningene som er etablert, skiller seg i stor grad fra hverandre. I den individuelle ordningen har fagdirektør på helseforetaksnivå en viktig rolle, mens gruppeunntak avgjøres i det interregionale fagdirektørmøte. Det er en viss sammenheng mellom ordningene fordi like søknader om individuelle unntak kan tyde på at det kan være aktuelt å heller etablere en gruppeunntaksordning. Derfor er det viktig at de regionale helseforetakene får informasjon om hvilke individuelle unntak som innvilges. Vi vil i det følgende begrense oss til å omtale den individuelle ordningen. Vi viser for øvrig til omtale av gruppeunntaksordningen under kapittel VI i rapporten.

Arbeidsgruppen har gjennomført en spørreundersøkelse og hentet inn tall på antall avslag/innvilgelse i den individuelle ordningen i hvert helseforetak i perioden 2020-2022. Kartleggingen opplyser også om diagnose og medikament. Det er ikke etablert felles rutiner/prosedyrer for å samle inn data ved bruk av unntaksordningen. Kartleggingen som nå er foretatt gir begrensede opplysninger og vil derfor kun gi et overordnet bilde av hvordan unntaksordningene praktiseres. I tillegg er det som nevnt i rapporten knyttet usikkerhet til tallene.

Fordi tallene bare gir et overordnet bilde, er det vanskelig å kunne konkludere endelig om den individuelle ordningen praktiseres i tråd med premissene i Prop. 55 L (2018-2019). For å vurdere om like tilfeller behandles likt, må man ha tilgang på ytterligere informasjon (pasientjournal). Det er derfor ikke mulig å vurdere om hensynet til likebehandling er ivaretatt. Kartleggingen viser imidlertid at det er et fåtall søknader per år. Tallene indikerer at Helse Midt-Norge innvilger noen flere unntak, samtidig som et helseforetak i Helse Sør-Øst skiller seg noe ut med flest unntak. Helseforetak som har høyere tall, anbefales å undersøke årsaken til disse.

For det tilfellet at like tilfeller faktisk behandles ulikt, kan flere tiltak bidra til å utligne forskjellene. Vi anbefaler rutiner for å jevnlig registrere bruk av unntaksordningen og rapportere til interregionalt fagdirektørmøte. Rapporteringen bør standardiseres, og inneholde tilstrekkelige opplysninger til å vurdere om ordningen praktiseres i tråd med forutsetningene.

Det kan likevel synes som om unntaksordningene gir noen pasienter og pasientgrupper mer optimalt tilpasset behandling og dermed fungerer som den sikkerhetsventilen som unntaksordningene er ment å være.

## **Skillet mellom beslutninger i Nye metoder og beslutninger om nødvendig og forsvarlig helsehjelp til enkeltpasienter**

Det er som nevnt viktig å skille tydelig mellom det som er ment å være overordnede prioriteringsbeslutninger om hvilke metoder som skal være tilgjengelig for klinikerne, og de konkrete beslutningene som tas om behandling av den enkelte pasient. Den individuelle unntaksordningen utfordrer dette, da også den overordnede beslutningen jo bare vil gjelde en konkret pasient.

Prosedyren for unntak for enkeltpasienter får etter vår mening ikke dette skillet godt nok frem, noe som kan gjøre det vanskelig å håndtere slike saker i praksis.<sup>8</sup> Konkrete vurderinger av enkeltpasienters helsehjelp hører hjemme i klinikken, og endelig beslutning om hva enkeltpasienter skal få av nødvendig helsehjelp må tas av behandlende lege. Utydelig skille kan reise spørsmål om fagdirektørens beslutning egentlig er en beslutning om hvilken helsehjelp en konkret pasient skal få, noe som igjen kan reise spørsmål om krav til saksbehandling, dokumentasjonsplikt, klagerett mm. Fagdirektørens rolle bør derfor beskrives bedre, samtidig som vi anbefaler at prosedyren bygges ut og spisses med en beskrivelse av hvordan slike individuelle unntakssaker bør saksbehandles.

### **Nødvendig og forsvarlig helsehjelp til enkeltpasienter**

Spørsmålet om den enkelte pasient får nødvendig og forsvarlig helsehjelp kan som nevnt pasienten klage inn til Statsforvalteren. Vi erfarer at pasienter i økende grad selv finansierer utprøving av nye medikamenter privat, og deretter anmoder det offentlige om å overta behandlingen hvis den viser seg å ha noe effekt. Dette er gjerne medikamenter som enten er til vurdering i Nye metoder eller har fått nei, ofte pga. manglende kostnadseffektivitet/svært høy pris. Det kan både dreie seg om behandling privat i Norge og i utlandet. I en del saker foreligger det også en vurdering/anbefaling fra Ekspertpanelet som ytterligere legger press på foretakene til å ta i bruk en metode for en konkret pasient som spesialisthelsetjenesten på overordnet nivå (foreløpig) har besluttet ikke å ta i bruk.

Slike saker er krevende, og gjeldende regelverk og rundskriv gir liten veiledning. Særlig spørsmålet om pasienter kan ha rettskrav på å ta i bruk en ikke etablert metode uavhengig av økonomi er vanskelig. Eksempelvis dersom denne behandlingen er eneste aktuelle behandling med kurativ effekt og som vil gi forsvarlig helsehjelp. Dette har vært tema i enkelte klagesaker. Etter vår vurdering har ikke sentrale juridiske føringer i forarbeider og i regelverk god nok sammenheng. Kjernen i forsvarlighetskravet skal være koblet opp mot det som til enhver tid er definert som etablert behandling. I de tilfellene Statsforvalteren mener pasienten kan ha krav på et medikament som ikke omfattes av de tjenestene spesialisthelsetjenesten har ansvar for å yte og finansiere, kan det reises spørsmål om hvordan forholdet til forsvarlighetskravet skal vurderes. Selv om disse problemstillingene ikke direkte inngår i det aktuelle oppdraget fra departementet om unntaksordningen, mener vi det er naturlig å peke på de utfordrende juridiske og faglige spørsmålene som helseforetakene må håndtere i slike saker. Departementet bør her bidra til å klargjøre.

---

<sup>8</sup> Denne problemstillingen er svart ut i kapittel D. *Vurderinger om unntaksordning for enkeltpasienter*, på nedre del av side 24 og øvre del av side 25.

## VIII. Vurdering av forslag til forbedringer og eventuelle behov for endringer i unntaksordningen

### A. Generelt om unntaksordningen

Det er viktig å holde fast ved at en unntaksordning i Nye metoder ikke skal være en ordning for delvis innføring av metoder. Antall saker bør være lavt, både for enkeltsøknader og gruppeunntak. Organisering av unntaksordningen må være tilpasset dette. Innføring av en vesentlig bredere unntaksordning ville risikere å underminere hele Nye metoder-systemet og med dette ødelegge de verdier som beskrevet under kapittel V.A, *Verdien av Nye metoder-systemet*.

Søknader til unntaksordningen i Nye metoder må vurderes etter samme prioriteringskriteriene som gjelder for alle øvrige aktiviteter i helsetjenesten: nytte, alvorlighet og ressursbruk.

Prisen på nye legemidler er hovedgrunnen til at ikke alle medikamenter kan innføres raskt i spesialisthelsetjenesten. Nye legemidler er uten unntak svært dyre, vil oftest ha patent mange år frem i tid og kanskje også være uten reell konkurranse. All unntaksvis bruk vil redusere insentivene for industrien til å levere pliktig dokumentasjon. All bruk av legemidler til en svært høy pris svekker muligheten for å forhandle frem en lavere pris.

Ressursbruk knyttet til praktisering av ordningen må også sees i lys av behov for prioritering innenfor spesialisthelsetjenesten. Man må unngå at de ordningene som etableres blir urimelig ressurskrevende, gitt at drift av ordningene må tas fra de samme rammer som all annen virksomhet i spesialisthelsetjenesten.

En ordning som gir likebehandling av alle pasienter nasjonalt, vil forutsette et system som er rigid og ressurskrevende. Fleksible, pasientnære systemer som legger til rette for raske og skreddersydde beslutninger for enkeltpasienter vil medføre ulikheter på nasjonalt nivå. Det er ikke mulig å etablere et system som gir gjennomført likebehandling av både enkeltpasienter og pasientgrupper samtidig som alle individuelle faktorer ved enkeltpasienter hensyntas i beslutningene. Løsningen må bli et kompromiss mellom disse hensyn.

### B. Bruk av ressurskriteriet innenfor unntaksordningen

De tre prioriteringskriteriene, nytte-, alvorlighets- og ressurskriteriet, utgjør den overordnede føringen for unntaksordningen på samme måte som for øvrige aktiviteter i helsetjenesten. Dette får konsekvenser for behandling av unntakssaker både når det gjelder enkeltpasienter og pasientgrupper.

Det er ønskelig å gjøre nye legemidler tilgjengelige for bruk i spesialisthelsetjenesten, men mulighetene begrenses av svært høye priser. Samtidig er foreliggende dokumentasjon om forventet nytte av nye metoder ofte mangelfull på tidspunktet for beslutning. Nye behandlinger må vurderes opp mot alternativkostnaden, dvs. nytten for andre pasienter som ellers kunne vært realisert med de samme ressursene. Dette gjelder også for unntakssøknader.

For unntakssøknader som gjelder medikamenter vil vurderingen av ressurskriteriet være svært avhengig av prisen på legemidlet. Leverandørens rabatttilbud på legemidler som er under vurdering i Nye metoder er vanligvis knyttet til forventet salgsvolum etter en ja-beslutning i Beslutningsforum, og vil ikke gjelde før en slik foreligger eller etter en nei-beslutning.

Dette åpner for tre alternativer:

- Medikamentet/virkestoffet er ikke tidligere innført i spesialisthelsetjenesten for andre indikasjoner. Medikament til pasienter som får unntak vil måtte betales med maksimalpris frem til en eventuell innføring og etter en nei-beslutning.
- Medikamentet er tidligere innført for en eller flere andre indikasjoner, der det allerede finnes en avtale om rabatt på legemidlet. En innføring for ny indikasjon vil føre til en økning av det samlede volumet av medikamentet man kjøper, og leverandøren har derfor kommet med tilbud om økt rabatt hvis medikamentet innføres for ny indikasjon. Pasienter som får unntak, må imidlertid få medikament til eksisterende rabatt og ikke den nye, økte rabatten frem til ev. innføring. Dette vil også gjelde etter en nei-beslutning.
- Medikamentet er tidligere innført for en eller flere andre indikasjoner, der det allerede finnes en avtale om rabatt. Det har ikke kommet noe nytt rabatttilbud som vil gjelde ved eventuell innføring av ny indikasjon. Pasienter som får unntak vil få medikament til allerede eksisterende rabatt.

Ved de to første alternativene må et unntak kunne oppfylle de tre prioriteringskriteriene (inkludert ressurskriteriet) med en høyere pris enn den prisen som vil ligge til grunn for Beslutningsforums vurdering.

For medfødte genetiske tilstander vil ny behandling som regel dreie seg om genuint nye virkestoffer, og første kulepunkt over vil derfor ofte være gjeldende ved disse tilstander.

Ved nei-beslutninger er det ofte stor avstand mellom priskrav fra leverandør og øverste akseptable pris for de regionale helseforetakene, slik at behandling ikke er kostnadseffektiv selv for enkeltpasienter i gruppen som bør prioriteres høyere enn gjennomsnittet ut fra de tre hovedkriterier for prioritering. Utover i prosessen kan rabatttilbudet fra legemiddelfirmaet bli bedre og avstanden bli mindre, men det får ingen konsekvenser i enkeltsaker gitt at man ved unntak fortsatt må betale maksimalpris for medikamentet frem til en evt. beslutning om innføring.

Disse forholdene vil betydelig redusere antall pasienter det er aktuelt å gi individuelt unntak basert på at de som enkeltmennesker skiller seg fra den gruppe den aktuelle metoden vurderes for ved behandlingen i Nye metoder: Manglende eller redusert rabatt ved unntaksbehandling påvirker betydelig ressurskriteriet som skal være en del av prioriteringsgrunnlaget.

### **Vurdering av forbedringer og endringer - anbefaling**

Alle aktører som skal søke eller vurdere søknader om unntak ved medikamentell behandling, må ta inn den faktiske kostnad for medikamentet ved vurdering av de tre prioriteringskriteriene (nytte-, alvorlighet- og ressurskriteriet) knyttet til søknad og beslutning.

### **C. Krav om markedsføringstillatelse (MT)**

Ved søknader om unntak for bruk av legemidler som er under vurdering i Nye metoder har det vært krav om markedsføringstillatelse (MT) for aktuell indikasjon. Kravet gjelder både unntak for enkeltpasienter og gruppeunntak. Dette kravet ble tatt inn like etter etablering av Nye metoder for å unngå et stort antall enkeltsøknader i svært tidlig fase av medikamentutviklingen. Samtidig har man i Nye metoder tatt inn nye medikamenter/indikasjoner til vurdering tidlig for å unngå forsinkelser, også før MT er gitt.

Det kan være andre grunner enn rent medisinske for at en leverandør ikke søker, eller utsetter å søke om MT. Denne problemstillingen blir sannsynligvis vanligere når det kommer stadig flere skreddersydde medikamenter for stadig mindre pasientgrupper.

Et avslag på å behandle unntakssøknader kun basert på et formelt krav, ikke hva som foreligger av forskningsmessig dokumentasjon, kan være meget utfordrende å forsvare. Gruppeunntaket for legemidlet rituximab ved multipel sklerose viser at det er behov for å kunne innføre gruppeunntak også der det ikke foreligger MT.

En fjerning av krav om MT for genuint nye legemidler i unntaksordningen vil medføre risiko for situasjoner der det er uklarthet om leveringssituasjon, leveringsstabilitet og pris. Leveringssikkerheten for uregistrerte legemidler er det oftest liten eller ingen kontroll på. Legemiddelverket fastsetter maksimalpriser på markedsførte, reseptpliktige legemidler i Norge, men det er ingen prisregulering på legemidler som ikke er markedsført i Norge.

Medikamenters sikkerhet vurderes i forbindelse med MT-søknad. Forutsetning for MT er at legemidlet har en nytte som overstiger risikoen ved bruk. Dette er en relevant problemstilling for behandling der kun lav risiko er akseptabel. En stor del av aktuelle unntakssaker vil imidlertid gjelde avansert kreftsykdom og andre alvorlige tilstander med kort forventet levetid for pasienten. I disse tilfellene kan behandling med høy eller usikker risiko være akseptabelt, og ofte et lite onde vurdert opp mot forventet sykdomsutvikling uten den aktuelle behandling.

Det finnes allerede ordninger som åpner for tilgang til legemidler forut for tidspunktet for markedsføringstillatelse. Legemiddelindustrien har mulighet til å tilby behandlingen til pasienter i spesialisthelsetjenesten gjennom avtalene om «compassionate use<sup>9</sup>».

### **Vurdering av forbedringer og endringer - anbefaling**

For enkeltpasientsøknader som vurderes lokalt i helseforetakene bør krav om markedsføringstillatelse i Norge for aktuell indikasjon beholdes.

Søknader om gruppeunntak vurderes av fagdirektørene, noe som gir god mulighet for oversikt og kontroll. Det bør være åpning for å innvilge gruppeunntak for legemidler selv om MT for aktuell indikasjon ikke foreligger. Dette forhindrer ikke at man tar inn manglende (evt. betinget) MT som et moment i vurderingen av søknaden.

## **D. Vurderinger om unntaksordning for enkeltpasienter**

### **1. Sted for behandling av søknader om enkeltpasienter**

I henhold til dagens ordning skal søknader om unntak for enkeltpasienter håndteres i det helseforetak som har behandlingsansvaret for pasienten.

For diagnostikk og behandling som ikke omfattes av Nye metoder, foregår nesten alle medisinske vurderinger og prioriteringer desentralt. Man prøver å begrense uønsket variasjon gjennom bl.a. retningslinjer, prosedyrer, helseatlas og kvalitetsregistre. Utover de nasjonale tjenester har man kun helt unntaksvis sentralisert kliniske beslutninger og prioriteringer til et nasjonalt nivå.

---

<sup>9</sup> [Retningslinje for bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse \(compassionate use\) \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)



Hvis målet er en optimal likeverdig behandling geografisk og på tvers av fagområder, må man i praksis etablere en nasjonal ordning for vurdering av unntakssøknader. Det vil i praksis si en modell som ligner på Ekspertpanelet<sup>10</sup>, men som vil få et langt videre ansvarsområde (f.eks. alle faser av sykdom) og ha besluttende myndighet, som dermed flyttes ut av behandlende og finansierende helseforetak.

Så langt har holdningen vært at hvert helseforetak behandler unntakssøknader som enkeltsaker, der man har ulike ordninger for å informere hverandre på tvers innad i hver region. Bakgrunnen for dette har vært et ønske om raske beslutninger basert på informasjon fra hele pasientjournalen. Et sentralisert system vil bli ressurskrevende både økonomisk og for fagfolks tidsbruk

Fastholdes prinsippet om at enkeltsaker behandles lokalt, må det godtas at dette kan føre til geografiske forskjeller, hvor like eller liknende saker ikke nødvendigvis behandles likt, eller overhodet blir søkt inn. På samme måte er det utbredte geografiske og faglige forskjeller i bruk av metoder som allerede er innført og vel etablert innen diagnostikk og behandling.

### Vurdering av forbedringer og endringer - anbefaling

- Det anbefales at unntakssøknader behandles og avgjøres i hvert enkelt helseforetak.
- På samme måte som for andre kliniske problemstillinger bør helseforetak samarbeide med andre og større foretak ved søknader på områder der helseforetaket selv har begrenset kompetanse.
- Der det søkes unntak i et annet helseforetak enn der pasienten bor, må søknaden behandles i et samarbeid mellom de to involverte foretakene.
- De regionale helseforetakene bør samordne hvordan man med færrest mulig parametere registrerer enkeltsøknader og utfall av disse i en felles, sentral oversikt. Dette er nødvendig for å kunne sammenligne praksis på tvers av helseforetak og regioner.
- Innad i hver region bør helseforetakene regelmessig gjennomgå praksis for behandling av unntakssøknader. Det bør jobbes mot en harmonisering mellom foretakene, og prinsipielle og presedensskapende enkeltsøknader bør diskuteres. Dette kan organiseres i regi av de regionale fagdirektørmøtene.
- De fire helseregionene bør minst en gang årlig sammenligne sin praksis for behandling av unntakssøknader. Dette kan skje i regi av det interregionale fagdirektørmøtet.
- Den formelle rollen til fagdirektør i helseforetakene i beslutningsprosessen knyttet til søknader om unntak for enkeltpasienter bør klargjøres. Jf. juristgruppens beskrivelse av denne problemstilling i kap. VII-D. Den formelle rolle bør avklares på to områder: 1) Rollefordeling mellom administrerende direktør og fagdirektør i det aktuelle helseforetak, jf. at fagdirektørens styringslinje går til administrerende direktør. 2) Rollefordeling mellom pasientens behandlende lege og fagdirektør i det aktuelle helseforetak.
  - Det foreslås å tydeliggjøre at avgjørelser om unntak til enkeltpasienter er en ordinær del av den samlede aktivitet i et helseforetak, med administrerende direktør som øverste ansvarlige, tilsvarende administrerende direktørs ansvar for all annen aktivitet i helseforetaket. Den praktiske gjennomføring av løpende søknadsbehandling og vurdering av om de aktuelle metoder kan tilgjengeliggjøres for

---

<sup>10</sup> [Ekspertpanelet - Helse Bergen \(helse-bergen.no\)](http://Ekspertpanelet - Helse Bergen (helse-bergen.no))



de aktuelle enkeltpasienter, gjøres normalt av fagdirektør, delegert fra administrerende direktør.

- Gitt kulepunktet over er fagdirektørs rolle i enkeltsaker å ta stilling til om den aktuelle metode tillates bruk for aktuelle pasient. Fagdirektørs beslutning er dermed om en gitt metode kan tilbys pasienten, ikke hvilken behandling pasienten skal ha. Behandlende leges rolle er først å opplyse saken best mulig før fagdirektørens beslutning, bl.a. med sin særlige kompetanse når det gjelder pasientens medisinske tilstand og den aktuelle metode. Deretter å ta stilling til hvilken behandling pasienten skal tilbys når søknaden er ferdig behandlet av fagdirektør.

## 2. Kriterier for enkeltpasientunntak

Dagens kriterier er:

1. Det finnes markedsføringstillatelse i Norge for aktuell indikasjon.
2. Etablert behandling skal være kontraindisert, eller forsøkt og ikke tolerert på grunn av bivirkninger.
3. Det er grunn til å tro med bakgrunn i forelagt dokumentasjon, at effekt av behandling vil være vesentlig større enn for gruppen som helhet.

Kriteriene for unntak skal kunne brukes i mange ulike situasjoner:

- Det er mange ulike aktuelle diagnoser med svært ulikt klinisk bilde.
- Innenfor hver diagnose vil man ha ulike faser av sykdommen, med ulike behandlingsmuligheter og mulige behandlingseffekter.
- Den aktuelle behandling kan være aktuell å kombinere med ulike typer annen behandling.
- Enkeltpasientene vil ha ulik grad av komorbiditet.
- Det foreligger vanligvis lite dokumentasjon om klinisk effekt av den aktuelle metode, spesielt med tanke på langsiktig effekt.
- Unntak kan måtte vurderes i situasjoner der man må betale maksimalpris for medikamentet, eller kan ha ulike rabattavtaler, slik at ressurskriteriet kan variere mye.

Dette gjør det vanskelig og i praksis uønsket å lage spesifikke kriterier som kan medføre utilsiktede begrensninger ved vurderingen av den enkelte pasient. Man har derfor, etter tidligere grundige vurderinger, laget relativt åpne kriterier. Det er ønskelig å beholde disse, og heller presisere og supplere slik det er foreslått nedenfor.

### **Vurdering av forbedringer og endringer - anbefaling:**

Kriteriene foreslås beholdt, men tydeliggjort med et tillegg på punkt 2 og 3:

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

### 3. Tidsperiode for praktisering av unntaksordningen relatert til ja-beslutninger

For metoder som blir innført av Beslutningsforum er det behov for å fastslå om unntaksordningen for enkeltpasienter bare skal gjelde frem til dato for ja-beslutning i Beslutningsforum, eller om denne skal kunne praktisere frem til datoen ja-beslutningen gjelder fra. Normalt er denne perioden kort, og går på rent praktisk tilrettelegging av innføringen. Imidlertid kan det også dreie seg om flere måneder, f.eks. dersom nye avtaler skal iverksettes etter et anbud.

#### **Vurdere forbedringer og mulige endringer - anbefaling:**

En logisk løsning er at unntaksordningen gjelder frem til datoen ja-beslutningen gjelder fra. I tidsrommet fra en ja-beslutning til tidspunktet denne beslutning gjelder fra er situasjonen i praksis uendret fra situasjonen før ja-beslutningen: Metoden er enda ikke innført, og pris for behandlingen er den samme som før ja-beslutning ble fattet. Den eneste forskjellen er at man ved start av en langvarig behandling eventuelt vil få en rabatt for den aktuelle pasient når man kommer lenger ut i behandlingsforløpet og passerer dato for iverksetting av ja-beslutningen, og dermed får den rabattordning som ofte er knyttet til ja-beslutningen.

Det er viktig at en slik ordning ikke misbrukes til et generelt frislipp i perioden fra beslutning til dato beslutningen gjelder fra, så det ikke kjøpes inn medikamenter til full pris før rabattavtale aktiveres.

### 4. Likebehandling av pasienter på tvers av foretak og regioner

Det er ønskelig med en harmonisering av praktisering av unntaksordningen. Dette gjelder både for hver diagnose, for bruk av hver enkeltmetode, på tvers av ulike sykdomsgrupper, og geografisk.

Det er allerede i dag et utstrakt samarbeid innad i hver region der man mellom fagdirektørene går igjennom praksis og diskuterer vanskelige og prinsipielle enkeltsaker. Dette bør fortsette, slik det også er foreslått under kap VIII-D-1: «*Sted for behandling av søknader for enkeltpasienter*».

#### **Vurdering av forbedringer og endringer – anbefaling**

Jf. forslag i kap. VIII-D-1:

- De regionale helseforetakene bør samordne hvordan man med færrest mulig parametere registrerer enkeltsøknader og utfall av disse i en felles, sentral oversikt. Dette er nødvendig for å kunne sammenligne praksis på tvers av helseforetak og regioner.
- Innad i hver region bør helseforetakene regelmessig gjennomgå praksis for behandling av unntakssøknader. Det bør jobbes mot en harmonisering mellom foretakene, og prinsipielle og presedensskapende enkeltsøknader bør diskuteres. Dette kan organiseres i regi av de regionale fagdirektørmøtene.
- De fire helseregionene bør minst en gang årlig sammenligne sin praksis for behandling av unntakssøknader. Dette kan skje i regi av det interregionale fagdirektørmøtet.

## 5. Nasjonal oversikt over praktisering av unntaksordningen

En mulig løsning for å holde oversikt over praktisering av unntaksordningen er opprettelse av et nasjonalt register. Et felles nasjonalt register over unntakssøknader og behandling av disse kan ha to hovedhensikter:

1. Å holde oversikt over omfang og overordnet fordeling av unntakssøknader og innvilgede søknader i landet som helhet. Man kan derved se om det er tydelige forskjeller i praktisering av ordningen, enten geografisk eller mellom ulike diagnoser og fagområder.
2. Å ha et register som kan brukes som et verktøy ved behandlingen av den enkelte unntakssøknad.

Under punkt 1 kan man lage et register som tar inn få parametere. I hovedsak vil dette dreie seg om hoveddiagnose og metode/medikament.

Skal man kunne ha nytte av et register ved behandling av enkeltsaker, der man skal kunne se hvordan like eller lignende enkeltsøknader har vært behandlet i andre helseforetak, må registreringen være langt mer omfattende.

Det vil være behov for informasjon om:

- Hoveddiagnose og relevante subklassifiseringer av sykdommen. Dette gjelder også eventuell presisjonsmedisinsk diagnostikk og klassifisering.
- Hvor i sykdomsforløpet pasienten er.
- Tidligere behandling.
- Hva det er aktuelt å kombinere den omsøkte behandlingen med.
- Komorbiditet.

Dette vil innebære en omfattende registrering, og svært mange små subgrupper dersom det ved behandling av enkeltsøknader skal være mulig å finne relevante pasienter for sammenligning. Informasjonen som skal legges inn må være standardisert.

Jo mer komplisert et slikt system skal være, jo mer omfattende blir også de prosesser man må ha for å ivareta personvern i henhold til gjeldende lovverk.

Et alternativ til å opprette et nytt register for dette formål er å bruke eksisterende registre. De nasjonale kvalitetsregistre har ikke uttømmende dekning når det gjelder de aktuelle diagnoser og er derfor ikke egnet. Derimot vil pasientadministrative data for alle pasienter behandlet i det offentlige helsevesen bli registrert i Norsk Pasientregister (NPR). Disse dataene oppdateres månedlig, og de regionale helseforetakene har tilgang til både anonymiserte og personidentifiserbare data som er egnet til dette formål. Bruk av NPR-data forutsetter at det innføres en kode for behandling som dekkes etter unntakssøknader. Dette vil være en enkel og billig løsning som vil kunne gi tilstrekkelig informasjon for å overvåke ordningen. Dette forutsetter at NPR får som oppgave å tilrettelegge for en slik løsning.

### **Vurdere forbedringer og endringer - anbefaling:**

Det anbefales at det innføres en fortløpende registrering av beslutninger i unntaksordningen for enkeltpasienter gjennom koding via NPR, jf. beskrivelse over. Dette vil gi et godt grunnlag for å følge praktiseringen både på kort og lang sikt.

Å innføre en egen ordning for saksbehandling av unntakssøknader på tvers av helseforetak og regioner vil være for kostbart og tidkrevende.

## E. Vurderinger om unntaksordningen for pasientgrupper

### 1. Sentral behandling

Dagens praksis med at unntaksordningen for pasientgrupper behandles sentralt i interregionalt fagdirektørmøte fungerer godt.

#### **Vurdering av forbedringer og endringer - anbefaling**

Det foreslås ikke endringer i gjeldende praksis for behandling av unntakssøknader for pasientgrupper. En videreføring av dagens ordning med sentral behandling i interregionalt fagdirektørmøte anbefales.

### 2. Kun fagmiljø sammen med foretaksledelse kan foreslå gruppeunntak

Dagens system for søknad om gruppeunntak forutsetter at det minst finnes ett helseforetak der aktuelle fagfolk mener at gruppeunntak bør innvilges, og der en HF-ledelse som må ta ansvar for de økonomiske konsekvenser er enig i denne vurderingen. Denne ordningen sikrer at det både er gjennomført en rent medisinsk vurdering, og en prioritering innenfor den samlede ressursramme i minst et helseforetak før søknaden sendes.

Forslag om å innføre en metode på gruppenivå bør skje ved at det sendes forslag til Nye metoder på ordinær måte. Dette bør være den ordinære veien inn i systemet, og det bør overfor fagfolk ikke skapes uklarhet om at det kan brukes en alternativ vei der en ny metode – f.eks. for en subgruppe – kan søkes innført via gruppeunntak.

#### **Vurdering av forbedringer og endringer - anbefaling**

Prinsippet med at søknad om gruppeunntak må komme fra relevant fagmiljø og foretaksledelse i minst ett helseforetak bør videreføres. Det foreslås ikke endringer av hvem som kan søke om gruppeunntak innenfor unntaksordningen i Nye metoder.

### 3. Kriterier for gruppeunntak

Det er behov for å tydeliggjøre kriterier for når det er aktuelt å innvilge gruppeunntak. Gruppeunntak vil i hovedsak være aktuelt i følgende situasjoner:

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

Markedsføringstillatelse bør ikke være en absolutt forutsetning for å innvilge gruppeunntak for legemidler. Avgjørende her vil være hva som foreligger av data fra vitenskapelige publikasjoner og register. Manglende eller betinget markedsføringstillatelse tas med i vurderingen av søknaden.

### Vurdering av forbedringer og endringer – anbefaling

Det foreslås å beholde kriteriene som har vært benyttet av fagdirektørene for vurdering av gruppeunntak. Disse bør komme tydeligere fram på Nye metoder sine nettsider.

## F. Unntak etter nei-beslutninger

Dagens unntaksordning gir ikke mulighet for å søke unntak for enkeltpasienter etter at Beslutningsforum har besluttet å ikke innføre metoden. Dette gjelder også dersom en metode som er besluttet ikke innført tas opp igjen for ny vurdering i Nye metoder, f.eks. etter nye kliniske data eller nytt pristilbud. Metoden kan etter dette bare tas i bruk dersom Beslutningsforum beslutter å innføre metoden.

Hovedargumentet for en ordning med individuelle unntak etter en nei-beslutning er at avgjørelsene i Beslutningsforum bygger på vurderinger som gjøres på gruppenivå. Innenfor disse gruppene vil det kunne være undergrupper eller enkeltindivider som har et gunstigere kost-nytteforhold eller et større absolutt prognosetap enn gjennomsnittet for gruppen som helhet.

Spørsmålet om en eventuell unntaksordning også etter en nei-beslutning er derfor egentlig et spørsmål om hvordan variasjon innad i en pasientgruppe med hensyn til å oppfylle de tre prioriteringskriterier alvorlighet, nytte og ressursbruk skal håndteres.

Variasjonen innad i pasientgruppen kan ytre seg på to måter:

- En subgruppe kan forventes å ha bedre effekt av behandlingen enn gruppen som helhet. Med de ofte sparsomme kliniske data som er tilgjengelige, og alle de metodologiske problemer ved retrospektive subgruppeanalyser man ser selv i større og mer modne kliniske studier, vil dette ofte være vanskelig å dokumentere og kvantifisere i saker som kommer til Beslutningsforum.
- En subgruppe har ikke nødvendigvis bedre forventet effekt av behandlingen, men vil i utgangspunktet ha et betydelig større absolutt prognosetap enn gruppen som helhet.

Dette er prinsipielt viktige problemstillinger, men vil få praktisk konsekvens for behandling av relativt få pasienter. Slike unntak vil ofte måtte skje til maksimalpris om det dreier seg om et nytt medikament, eller til allerede oppnådd rabattert pris ved en tidligere innføring av medikamentet på en annen indikasjon. Dette kan likevel medføre et stort antall søknader dersom det åpnes for individuelle unntak etter nei-beslutninger. Se kap. VIII-B "Bruk av ressurskriteriet innenfor unntaksordningen".

Det er vanligvis en betydelig avstand mellom tilbudt pris som har inngått i Beslutningsforums vurdering, som på tross av prisrabatt har ført til en beslutning om ikke å innføre metoden, og kjøp av medikament til enkeltpasienter etter en nei-beslutning. Selv en begrenset bruk av en unntaksordning kan gi leverandøren betydelige inntekter, noe som kan redusere leverandørens insentiv til å gi et nytt og bedre pristilbud for hele pasientgruppen. Ved vurdering av dette alternativet må man veie mot hverandre hensynet til pasienter som kunne være aktuelle for et unntak mot hensynet til at hele pasientgruppen raskere får tilgang til den aktuelle behandling. Det er derfor ikke gitt at en liberal

unntaksordning etter en nei-beslutning tjener den aktuelle pasientgruppe sett under ett. Ressurser til å betale for unntaksbehandling og til å drifte en slik unntaksordning må tas innenfor spesialisthelsetjenestens ramme, på bekostning av andre pasientgrupper.

En slik ordning ville møte de samme problemstillinger som en unntaksordning før behandling i Beslutningsforum. Man kan ha en desentralisert behandling og beslutning som kan foregå raskt og med lite ressursbruk, som vil resultere i forskjeller på tvers geografisk og mellom fagområder. Alternativet kan være å innføre en sentralisert/nasjonal behandling som vil ta lengre tid og kreve vesentlig mere ressurser. Skal en sentralisert søknadsbehandling sikre likebehandling geografisk, må beslutningsmyndighet for om den aktuelle behandling kan tilbys den aktuelle enkeltpasient flyttes til denne instans, bort fra det HF som har behandlingsansvaret.

I offentlig debatt har det kommet innspill om at det er nødvendig å etablere en ordning for 'unntak etter nei-beslutninger' for å oppfylle kravet til forsvarlig behandling av enkeltpasienter og for å gi individuell rett til vurdering. Under debatten i Stortinget om Prop 55L (2018-2019) var dette også en viktig del av debatten. Helseministeren fikk flere spørsmål om dette under komitébehandlingen. Helsedirektoratet gav i rundskriv I-4/2019 noe veiledning om forholdet mellom forsvarlighetskravet og nye metoder/behandlingsalternativer. Dette er diskutert grundig i kapittel VII og arbeidsgruppens konklusjon er at forsvarlighetskravet under nærmest alle omstendigheter vil være oppfylt selv om pasienter ikke kan tilbys behandling som har fått nei-beslutning i Beslutningsforum. RHF-ene mener således at innføring av et system for håndtering av unntak etter nei-beslutning ikke er nødvendig for å ivareta denne problemstillingen.

Et alternativ til å innføre en unntaksordning etter nei-beslutninger, er å tydeliggjøre vurderinger av variasjon innad i pasientgrupper i prosessen frem til behandling i Beslutningsforum, og i vurderingene i Beslutningsforum. Ulikhet innad i den aktuelle pasientgruppe når det gjelder de tre prioriteringskriteriene beskrives og vurderes spesifikt når saken forberedes av Legemiddelverket, sekretariat og de regionale fagdirektører for Beslutningsforums medlemmer. Dette ville i praksis innebære at man peker på eventuelle undergrupper med forventet vesentlig større effekt av metoden eller et større absolutt prognosetap enn pasientgruppen som helhet. Slike undergrupper ville for eksempel kunne identifiseres basert på molekylærbiologiske kriterier (genetisk variasjon, kreft-cellenes egenskaper etc.), sykdomsgrad (tidlig sykdomsfase vs. sen sykdomsfase) eller absolutt prognosetap. Basert på dette kunne man vurdere om metoden, på tross av nei-beslutning for gruppen som helhet, likevel kunne innføres for en subgruppe som oppfylte de tre prioriteringskriterier. Dersom det finnes subgrupper hvor prioriteringskriteriene er oppfylt, må det tas stilling til hvordan tilbudet til denne gruppen skal håndteres og det må avklares hvorvidt legemiddelfirmaet vil være villig til å gi samme tilbudspris til en mindre pasientgruppe med lavere pasient-tall. Om slike subgrupper ble identifisert i perioden etter en nei-beslutning i Beslutningsforum, bør metoden meldes inn til vurdering i Nye metoder for denne spesifikke subgruppen. Denne typen vurderinger bør kunne saksbehandles raskt i systemet, uten behov for en ny, fullstendig prosess.

#### **Vurdere forbedringer og endringer - anbefaling:**

Det anbefales ikke å innføre en unntaksmulighet etter nei-beslutninger i Beslutningsforum.

Det anbefales at variasjon innad i pasientgrupper hva gjelder de tre prioriteringskriterier tas inn i prosessen frem til behandling i Beslutningsforum og i Beslutningsforums vurdering/behandling av sakene/metodene. Med dette menes at behandlingen kan vurderes tatt i bruk til undergrupper av

pasientgruppen som er til vurdering. Om slike subgrupper blir identifisert etter en nei-beslutning i Beslutningsforum, kan dette håndteres i form av en rask saksbehandling i Nye metoder, og ikke en ny fullstendig prosess.

## IX. Vurdere sammenhengen mellom unntaksordningen i Nye metoder og ordninger for tilgang til utprøvende behandling, som for eksempel «compassionate use program», godkjennings-fritak eller kliniske studier

Det finnes ulike ordninger for tilgang til legemidler som ikke er innført av Beslutningsforum i spesialisthelsetjenesten. Hvilken ordning som kan benyttes avhenger av forutsetningene som gjelder for bruk av det aktuelle legemidlet og den aktuelle kliniske situasjonen. Unntaksordningen gjelder for legemidler som er under vurdering i Nye metoder. I tillegg er det mulig for leger i spesialisthelsetjenesten å få tilgang til nye legemidler eller legemidler som ikke er godkjent for aktuell indikasjon gjennom f.eks. kliniske studier, «compassionate use»-ordninger<sup>11</sup>, eller ved å søke om bruk utenfor godkjent indikasjon<sup>12</sup>.

De ulike ordningene bygger på forskjellige forutsetninger og delvis på separate og avgrensede avtaler inngått med eksterne, private aktører. Behandlingen av den enkelte pasient med den enkelte metode må skje innfor den avtale eller ordning som gjelder for akkurat dette tilfelle. De ulike ordningene må derfor praktiseres uavhengig av hverandre, det vil ikke være mulig å samle disse i et felles, enkelt system.

Dagens ordninger er kompliserte og vanskelig å forholde seg til for klinikerne, som vil møte hver ordning sjelden, kanskje med flere års mellomrom. Det at ordningene må praktiseres uavhengig av hverandre bør likevel ikke være til hinder for at man prøver å legge til rette for en enklere navigering gjennom disse ordningene for leger i en klinisk hverdag. Helseforetakene bør etablere en enklest mulig praksis for klinikere som i enkelttilfeller ønsker å bruke legemidler som omfattes av disse ordningene.

I stedet for å gi et stort antall klinikere opplæring og jevnlig repetisjon om mange og kompliserte ordninger som stadig endrer seg og som de sjelden skal bruke, bør man heller sørger for å ha et lite antall medarbeidere i helseforetakene som kjenner alle de ulike ordningene, som kan motta søknader fra klinikere og kan sørge for at disse behandles videre under riktig ordning. For små helseforetak kan det være aktuelt å samarbeide med et større helseforetak om en slik ordning. Ordningen kan minne om de forskningsstøttefunksjoner helseforetakene har for å hjelpe kliniske forskere med å forholde seg til et komplisert regelverk.

Selv om de enkelte ordninger må behandles separat, vil det være en fordel om en eventuell registrering av bruk av ordningene med beslutninger kan skje i et samlet system, f.eks. ved bruk av NPR-koder.

---

<sup>11</sup> [Retningslinje for bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse \(compassionate use\) \(nyemetoder.no\)](#)

<sup>12</sup> [Rammeverk for legemiddelbehandling utenfor godkjent indikasjon i spesialisthelsetjenesten \(nyemetoder.no\)](#)



## X. Ekspertpanel vs. unntaksordningen i Nye metoder

Forholdet til Ekspertpanelet<sup>13</sup> er ikke eksplisitt tatt med i oppdraget, men omtales likevel kort:

Ekspertpanelet er et nasjonalt organ for rådgivning ved alvorlig livsforkortende sykdom. Dette er en nasjonal ordning som gir pasienter med forventet begrenset levetid mulighet for en ny vurdering av behandlingsmuligheter. Ordningen gjelder alle typer diagnoser, men ofte vil dette gjelde pasienter med kreft. Fra høsten 2022 ble også pasienter med ALS (amyotrofisk lateralsklerose) eksplisitt påpekt å være aktuelle for vurdering av Ekspertpanelet. Panelet vurderer enkeltsaken for den aktuelle pasient. Ekspertpanelet består av leger fra alle helseregioner, og utover faste medlemmer har panelet tilknyttet leger på en rekke medisinske områder det er ønskelig å dekke, men der det er få saker. Sekretariatet er lagt til Helse Bergen HF, som tar imot alle henvisninger fra hele landet.

Fra Ekspertpanelets mandat:

*“Ekspertpanelet skal gi pasient og behandlende lege informasjon, vurderinger og råd om eventuell videre behandling og/eller mulighet for å delta i kliniske studier. Uttalelsene fra Ekspertpanelet er rådgivende.*

*Ekspertpanelet skal ikke tilrå behandling som for den aktuelle indikasjon er under vurdering i system for Nye metoder, men kan peke på og omtale unntaksordningen som er etablert. Ekspertpanelet kan ikke tilrå behandling der Beslutningsforum har sagt nei til å innføre metoden for den aktuelle indikasjon.”*

Der Ekspertpanelet er rådgivende, vil man i unntaksordningen konkret ta stilling til om en gitt behandling kan tilbys. Ekspertpanelet gjør ikke helseøkonomiske vurderinger. Det er helseforetaket som behandler enkeltsøknader som må forholde seg til de tre hovedkriterier for prioritering, og dermed den omsøkte behandlingens kostnadseffektivitet overfor den aktuelle pasient.

Begge ordninger kan praktiseres samtidig, og det er ikke grunnlag for å endre dem av hensyn til hverandre. Ekspertpanelet har nylig vært evaluert, og det er gjort mindre endringer for å følge opp dette.

Det er viktig at alle aktører er klar over og opptre ryddig når det gjelder hvilke saker som sendes hvor, og kriteriene for hvordan de enkelte saker behandles innenfor hver sin ordning.

## XI. Videreføring av behandling startet for egenbetaling hos privat aktør

Pasienter kan for egen regning starte behandling hos privat kommersiell aktør med behandling som for den aktuelle indikasjon enten er til vurdering i Nye metoder, eller der Beslutningsforum har sagt nei til innføring.

Gitt at pasienten har påviselig nytte av behandlingen, vil pasienter kunne bli henvist til videreføring av denne behandling i den offentlig finansierte helsetjeneste. En viktig faktor i vurdering av slike henvisninger er at pasienter som har respondert på en gitt behandling, ofte vil ha større nytte av å videreføre denne, enn den gjennomsnittlig forventede nytte av samme behandling gitt til en uselektert pasientpopulasjon med samme tilstand.

---

<sup>13</sup> [Ekspertpanelet - Helse Bergen \(helse-bergen.no\)](https://helse-bergen.no)



Denne problemstillingen har Helse- og omsorgsdepartementet behandlet og gitt føringen for i Rundskriv I-4/2019 - "Rett til nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten og forholdet til forsvarlighetskravet mm". De regionale helseforetakenes tolkning av konklusjonene i rundskrivet er at vurdering av henvisninger til offentlig spesialisthelsetjenesten må ta utgangspunkt i den kliniske situasjon pasienten er i på henvisningstidspunktet, uavhengig av hvem som har gitt behandlingen før henvisning og hvordan denne behandlingen har vært finansiert. Dette er en prinsipielt viktig problemstilling der tjenesten har behov for en utvetydig avklaring. Dette skyldes at det er forskjell på ulike pasienters økonomiske og praktiske mulighet til å kunne oppsøke privat kommersiell behandling for å avklare om de har effekt av den aktuelle behandling, og dermed komme i en posisjon der de vil kunne få videre behandling gitt og betalt av det offentlige.

Unntaksordningen bør forbeholdes beslutninger om tillate å starte ny behandling med en gitt metode, ikke videreføring. Videreføring av egenfinansiert behandling gitt av privat kommersiell aktør vil være en ordning som for den enkelte vil avhenge av betalingsevne. Det anbefales at denne type henvisninger ikke behandles som unntakssøknader, men at de behandles individuelt basert på ordinære kriterier for prioritering. Det vil være ulogisk dersom videreføring av behandling som har fått nei i Beslutningsforum registreres som et unntak så lenge man ikke har en unntaksordning etter nei-beslutninger.

Selv om videreføring av egenfinansiert behandling ikke bør være en del av unntaksordningen bør også denne typen behandling registreres i et samlet system, f.eks. ved bruk av NPR-koder.

## XII. Skriftlige innspill fra brukerrepresentanter og konserntillitsvalgte

To brukerrepresentanter og to konserntillitsvalgte har deltatt i to fagdirektørmøter der utkast til rapport ble diskutert. Brukerrepresentantene ønsket at rapportutkastet skulle legges fram for de fire regionale brukerutvalgene (RBU), slik at disse kunne komme med skriftlige innspill til forslaget. Konserntillitsvalgte har også kommet med en skriftlig uttalelse til rapportutkastet.

Disse innspillene er gjengitt nedenfor.

### A. Regionalt brukerutvalg – Helse Vest

«RBU Helse Vest viser til oversendt sak om unntaksordningen innenfor Nye Metoder der vi blir bedt om snarlig skriftlig innspill til saken.

RBU Helse Vest behandlet saken i møte 30.11.2022 (sak 71/22), og nedenfor følger våre innspill/kommentarer til oversendt utkast til rapport fra arbeidsgruppen.

#### **Generelt:**

Vi setter pris på at brukerrepresentanter ble involvert i saken i det interregionale fagdirektørmøtet 21.11.2022 og at det der ble bestemt at det skulle innhentes synspunkter fra de 4 regionale brukerutvalgene.

Men vi er skuffet over at brukerrepresentanter først ble involvert når fagdirektørene behandlet den 21.11.2022. Reell brukermedvirkning oppnår en først når brukerrepresentanter blir aktivt med i hele prosessen helt fra begynnelsen. Dette bør

tilstrebes i fremtiden, og det vil bidra til å følge opp evalueringen av Nye Metoder der det ble anbefalt at brukermedvirkningen bør styrkes.

RBU Helse Vest ser at saken forøvrig er grundig utredet, og at anbefalingene som foreligger i rapportutkastet, er godt begrunnet og lett forståelige. Vi støtter de fleste anbefalingene, men har følgende kommentarer / forslag til endringer:

### **Unntak for enkeltpasienter for metoder som er under vurdering i Nye metoder, før Beslutningsforum har truffet beslutning**

RBU støtter alle anbefalingene unntatt et absolutt krav om at det for medikamenter skal foreligge markedsføringstillatelse. Dette mener vi er for firkantet og samsvarer ikke med anbefalingen om å frafalle dette kravet for gruppeunntak.

Hovedregelen må selvfølgelig være at markedsføringstillatelse skal foreligge, og da kan søknadsbehandling og avgjørelse gjøres i HFene som anbefalt. For de (trolig) ytterst få unntakssøknadene for medikamenter der markedsføringstillatelse ikke foreligger, foreslår vi at saksbehandling og avgjørelse løftes til det regionale fagdirektørmøtet. Da får en bedre kontroll med risikoen rundt et evt. slikt unntak, og en unngår stor geografisk forskjellsbehandling innenfor den enkelte region.

### **Gruppeunntak for metoder som er under vurdering i Nye metoder, før Beslutningsforum har truffet beslutning**

RBU Helse Vest støtter arbeidsgruppens anbefalinger knyttet til saksbehandling og avgjørelse for gruppeunntak.

Vi savner anbefaling om brukermedvirkning når sakene skal behandles i det interregionale fagdirektørmøtet. Rent praktisk foreslår vi at 2 av de 4 brukerrepresentantene i Nye Metoder kalles inn når disse søknadene om gruppeunntak skal behandles. Det interregionale fagdirektørmøtet er –etter våre opplysninger –en gang i måneden samme dag som det er møter i Bestillerforum og Beslutningsforum. Brukerrepresentantene i Nye Metoder vil da være lett tilgjengelige. Hvem av brukerrepresentantene som skal kalles inn, kan variere alt avhengig av hvilken pasientgruppe det gjelder.

Dette vil også være et tiltak for å styrke brukermedvirkningen i Nye Metoder.

### **Tidspunkt for avslutning av unntaksordningen når Beslutningsforum har besluttet å innføre metoden**

RBU Helse Vest støtter anbefalingen fra arbeidsgruppen.

### **Innføring av unntaksordning for enkeltpasienter for metoder der Beslutningsforum har besluttet at metoden ikke skal innføres**

RBU Helse Vest støtter anbefalingen om vurdering mht subgrupper i prosessen frem mot behandling i Beslutningsforum.

Men vi mener at det er for firkantet å bestemme at det ikke skal innføres unntaksordning her. Terskelen for å innvilge unntak må selvfølgelig legges høyt. Men i helt spesielle tilfeller kan unntak være nødvendig for bl.a. å tilfredsstille kravene til individuell vurdering og nødvendig helsehjelp.

Disse (trolig) ytterst få sakene foreslås løftet til det interregionale fagdirektørmøtet (evt. det regionale fagdirektørmøtet).

### **Samordne praksis regionalt og nasjonalt når det gjelder behandling av søknader om unntak for enkeltpasienter**

RBU Helse Vest støtter arbeidsgruppens vurderinger og anbefalinger.

For RBU Helse Vest  
Henrik Aasved  
Nestleder»

## **B. Regionalt brukerutvalg – Helse Sør-Øst**

### **«Uttalelse – Unntaksordningen innenfor Nye Metoder**

Brukerutvalget i Helse Sør-Øst takker for anledningen til å knytte noen kommentarer til dette arbeidet, og ønsker å bemerke følgende:

1. Brukermedvirkningen i arbeidet har ikke vært reell. Reell brukermedvirkning oppnår en først når brukerrepresentanter blir aktivt med i hele prosessen helt fra begynnelsen. Dette bør tilstrebes i fremtiden, og det vil bidra til å følge opp evalueringen av Nye Metoder der det ble anbefalt at brukermedvirkningen bør styrkes. Når brukere først kobles på helt til slutt, i interregionalt fagdirektørmøte, blir brukermedvirkningen ikke reel og tilfredsstillende.

Brukerutvalget i Helse Sør-Øst RHF støtter uttalelsen fra brukerutvalget i Helse Vest RHF:

«Vi setter pris på at brukerrepresentanter ble involvert i saken i det interregionale fagdirektørmøtet 21.11.2022 og at det der ble bestemt at det skulle innhentes synspunkter fra de 4 regionale brukerutvalgene. Men vi er skuffet over at brukerrepresentanter først ble involvert når fagdirektørene behandlet den 21.11.2022. Reell brukermedvirkning oppnår en først når brukerrepresentanter blir aktivt med i hele prosessen helt fra begynnelsen. Dette bør tilstrebes i fremtiden, og det vil bidra til å følge opp evalueringen av Nye Metoder der det ble anbefalt at brukermedvirkningen bør styrkes.»

2. Brukerutvalget ser det ikke er noen anbefaling om brukermedvirkning i behandling av sakene i interregionalt fagdirektørmøte. Brukermedvirkning i behandlingen kan løses ved at minst to av de fire brukerrepresentantene i Nye Metoder inviteres inn når disse søknadene om gruppeunntak skal behandles. Brukerutvalget i Helse Sør-Øst RHF stiller gjerne i dialog om hvordan brukermedvirkningen kan sikres på en tilfredsstillende måte.

Dette vil også være et tiltak for å styrke brukermedvirkningen i Nye Metoder.

Brukerutvalget i Helse Sør-Øst RHF støtter uttalelsen fra brukerutvalget i Helse Vest RHF:

«RBU Helse Vest støtter arbeidsgruppens anbefalinger knyttet til saksbehandling og avgjørelse for gruppeunntak.

Vi savner anbefaling om brukermedvirkning når sakene skal behandles i det interregionale fagdirektørmøtet. Rent praktisk foreslår vi at 2 av de 4 brukerrepresentantene i Nye Metoder

kalles inn når disse søknadene om gruppeunntak skal behandles. Det interregionale fagdirektørmøtet er – etter våre opplysninger - en gang i måneden samme dag som det er møter i Bestillerforum og Beslutningsforum. Brukerrepresentantene i Nye Metoder vil da være lett tilgjengelige. Hvem av brukerrepresentantene som skal kalles inn, kan variere alt avhengig av hvilken pasientgruppe det gjelder. Dette vil også være et tiltak for å styrke brukermedvirkningen i Nye Metoder.»

3. Når nei-beslutning foreligger, må det likevel være rom for individuell vurdering av helt spesielle saker. Bare slik kan Stortingets eksplisitte forutsetning om at **det i hele prosessen skal være rom for individuelle vurderinger oppfylles.**

Brukerutvalget mener derfor at den gjennomgangen som gjøres av unntaksordningen nå må vurdere hvordan man kan sikre en ordning der enkeltpasienter fremdeles kan vurderes for en behandling som har fått nei i Nye metoder. Alle pasienter har etter loven en rett til en individuell vurdering, men den kan i praksis bli innskrenket om ikke det foreligger en ordning der det kan søkes om at pasienter kan få tilbud om en behandling som har fått nei i Nye metoder.

Brukerutvalget forstår bekymringen for at dette kan undergrave selve systemet, men mener at pasientens rett til individuell behandling er viktigere enn hensynet til systemet.

4. Gjennom hele prosessen må det være fokus på lik tilgang på helsetjenester.

Brukerutvalget i Helse Sør-Øst RHF er for eksempel bekymret for om det kan være de mest ressurssterke pasientene som nyter godt av unntaksordningene. Brukerutvalget ber om at det vurderes om jevnlig praksisgjennomgang i fagdirektørmøter er godt nok til å sikre lik tilgang for alle pasienter uavhengig av bakgrunn eller geografisk tilhørighet.

Med vennlig hilsen  
Brukerutvalget Helse Sør-Øst RHF  
Aina Nybakke  
leder»

## C. Regionalt brukerutvalg – Helse Nord

«RBU-sak 103-2022. Unntaksordningen innenfor nye metoder – innspill til rapport

Vedtak:

1. Regionalt brukerutvalg i Helse Nord RHF gir sin tilslutning til utkastet til rapport fra de regionale helseforetakene om unntaksordningen innenfor nye metoder.

2. Det regionale brukerutvalget har følgende innspill til utkast til rapport fra de regionale helseforetakene om unntaksordningen;

a) Det er viktig at det utvikles metoder som sikrer lik behandling av pasienter uavhengig av hvilken region de tilhører, og at regionene samarbeider om dette.

b) Det er viktig å sikre likeverdig behandling av pasienter der hvor metoder er under behandling, og at unntaksordningen ikke fører til stor forskjellsbehandling av

pasienter. Det anses som positivt at innrapporterte tiltak gjennomgås i interregionale fagdirektørmøter på tvers av regionene.

c) Informasjon om ordningen må formidles til pasientene på et språk de kan forstå.»

#### D. Regionalt brukerutvalg – Helse Midt-Norge

«Regionalt brukerutvalg i Helse Midt-Norge hadde sitt møte den 12.12.22.

Regional brukerutvalg (RBU) i Helse Midt-Norge støtter de rådene som fremkommer i rapporten. RBU HMN er i tillegg opptatt av likeverdige tjenester og behandlingstilbud.»

#### E. Konserntillitsvalgte (KTV)

Svar fra Christian Grimsgaard på vegne av de konserntillitsvalgte

«Innledningsvis vil KTV bemerke at behandling i fagdirektørmøtet begrenser rommet for involvering og medvirkning i et komplisert sakskompleks. KTV vurderer at en i arbeidsgruppen så langt i hovedsak har sett på hvordan unntaksordningen fungerer for foretakene. En har altså ikke kartlagt om ordningen oppfyller pasientenes behov for individuell vurdering.

KTV anser at en rekke pasienter og undergrupper av pasienter vil ha en annen prognose eller tilhøre en annen helsetapsklasse enn det som legges til grunn for vurderingene i Nye Metoder. KTV anser at unntaksordningen også må gjelde behandlingsformer som er avvist (på gruppenivå).

KTV legger til grunn at pasienten har individuell rett til nødvendig og forsvarlig behandling, og at pasientens rett i mange tilfeller ikke er oppfylt ved vurdering på gruppe-nivå. Hvorvidt individuell vurdering vil kunne påvirke prisen og dermed mulighet til å få godkjent metoden i Nye metoder er ikke relevant i vurderingen av den enkeltes rett til nødvendig og forsvarlig behandling.

*KTV vil minne om at Stortinget ved behandling av lovendringen (Innst, 93 L 2019-2020) uttrykkelig har fastslått at pasientens rett til nødvendig helsehjelp må vurderes konkret og individuelt, og dermed ikke er avhengig av beslutninger i systemet for nye metoder. Fra innstillingen, side 7; *Komiteen legger til grunn at overordnede beslutninger om metoder ikke skal påvirke retten til individuelle vurderinger og rettigheter til nødvendig og forsvarlig medisinsk behandling. De individuelle vurderingene skal ta utgangspunkt i den enkeltes behov og faktiske muligheter for å diagnostisere og behandle sykdom. Komiteen legger til grunn at den individuelle rettigheten til nødvendig helsehjelp skal være i samsvar med internasjonale forpliktelser. Personer med sjeldne sykdommer har samme rett til tilpasset medisinsk behandling i samsvar med de rettslige forpliktelsene til å ivareta likhet og likeverd.»**