

Minikursus #3

Udfordringer ved evaluering af medicin til sjældne sygdomme

Lars Ehlers

Seniorforsker og direktør i Nordic Institute of Health Economics
Tidligere professor i sundhedsøkonomi ved Aalborg Universitet

Sjældne sygdomme* (kendetegn)

Meget få

1-2 ud af 10.000

Medfødte, arvelige, kroniske, komplekse, alvorlige og diagnostik, behandling og rehabilitering kræver en særlig viden, ekspertise og fagkundskab

Mange børn/unge

DK: ca. 800 diagnoser er kendte
Ca. 30.000 - 50.000 personer i DK

For langt de fleste findes ingen behandling

* National strategi for sjældne sygdomme. Sundhedsstyrelsen 2014

Udfordringer

Økonomiske analyser:

Prisen på medicinen kan forekomme høj

Kliniske analyser:

Sparsomme data

Medicinrådets værktøjer til håndtering af særlige udfordringer med medicin til sjældne sygdomme

- Alvorlighedsprincippet
- Retningslinjer: Lægemidler med sparsomme data
- Resultatkontrakter (Performance-based agreements)
- Finansieringskontrakter (Finance-based agreements)
- Brug af betingede anbefalinger

National strategi for sjældne sygdomme

© Sundhedsstyrelsen, 2014.

NATIONAL STRATEGI FOR SJÆLDNE SYGDOMME

2014



National strategi for sjældne sygdomme

Statusevaluering og anbefalinger til den fremtidige indsats

© Sundhedsstyrelsen, 2018.

National strategi for sjældne sygdomme



Statusevaluering og anbefalinger til den fremtidige indsats

TAK FORDI DU SÅ MED