

Population, intervention, komparator(er) og effektmål

Vejledende dokument



Indholdsfortegnelse

1.	Baggrund	2
2.	Patientpopulationen.....	2
3.	Interventionen.....	2
4.	Komparator	2
4.1	Hvis komparator ikke tidligere er vurderet af Medicinrådet	3
5.	Effektmål	4
5.1	Surrogatmål	4
6.	Referencer	5
7.	Versionslog	5

© Medicinrådet, 2026
Publikationen kan frit refereres
med tydelig kildeangivelse.

Sprog: dansk
Format: pdf
Udgivet af Medicinrådet, 6. februar 2026



1. Baggrund

PICO-tilgangen (population, intervention, komparator og effektmål/outcome) anvendes for at sikre en systematisk og gennemsigtig tilgang til vurdering af evidens, når nye lægemidler skal vurderes.

2. Patientpopulationen

Patientpopulationen skal være indenfor det nye lægemiddels indikation, men indsnævring af patientpopulationen kan være nødvendig af hensyn til dansk klinisk praksis. Ansøger kan med fordel orientere sig i danske kliniske retningslinjer samt Medicinrådets tidligere vurderinger på sygdomsområdet, herunder eventuelle opstartskriterier i tidligere anbefalinger.

Hvis der er subgrupper af patienter, der vil have forskellige behandlingsforløb i dansk klinisk praksis, eller som responderer forskelligt på lægemidlet, skal ansøger beskrive og præsentere subgruppedata. Ansøger skal også beskrive relevante diagnostiske tests og undersøgelser, som er påkrævet for at udvælge patienter til behandlingen.

3. Interventionen

Ansøger skal beskrive deres lægemiddel (interventionen) med udgangspunkt i de(t) studie(r), som den sundhedsøkonomiske analyse er baseret på. Hvis interventionen afviger fra produktresuméets angivelser (fx lavere dosis eller tidligere seponering), skal det beskrives.

4. Komparator

Information om den gældende standardbehandling i dansk klinisk praksis kan være beskrevet i vejledninger fra Medicinrådet eller retningslinjer fra de medicinske selskaber, behandlende afdelinger og/eller i andre kilder. Hvis der i dansk klinisk praksis ikke er et behandlingsalternativ for sygdommen, vil komparator typisk være understøttende behandling eller ingen behandling.

Hvis de tilgængelige studier af det nye lægemiddels effekt og sikkerhed ikke er udført med en komparator, som er relevant i dansk klinisk praksis, skal ansøger udføre en indirekte sammenligning, se *Medicinrådets vejledning vedr. effekt og sikkerhed*. Hvis indførslen af det nye lægemiddel medfører ændringer i de øvrige behandlingslinjer i et samlet behandlingsforløb, skal ansøger beskrive de formodede ændringer. I nogle tilfælde kan komparator og/eller interventionen være en sekvens af behandlinger.



Ansøgningen skal som udgangspunkt indeholde alle komparatorer, der er relevante for dansk praksis. Hvis ansøger fravælger at sammenligne med en eller flere relevante komparatorer, skal ansøger beskrive og begrunde dette.

Ansøger skal medtage hver komparator enkeltvis. Det betyder, at ansøger – som udgangspunkt – ikke må kombinere data for to eller flere behandlingsalternativer og rapportere det som for eksempel gennemsnitseffekt eller gennemsnitsomkostninger i den sundhedsøkonomiske analyse.

I tilfælde, hvor Medicinrådet har besluttet, at flere behandlinger er ligeværdige, kan det være tilstrækkeligt, at interventionen kun sammenlignes med en af de ligeværdige komparatorer.

I tilfælde, hvor komparator i studiet af det nye lægemiddels effekt udgøres af et af flere behandlingsalternativer, f.eks. "investigator's choice", vil det ikke altid være muligt eller hensigtsmæssigt at opgøre behandlingsalternativerne enkeltvis. Ansøger skal beskrive og begrunde, hvis sådanne behandlingsalternativer er anvendt som enkeltvise komparatorer.

4.1 Hvis komparator ikke tidligere er vurderet af Medicinrådet

Hvis komparator *ikke* i forvejen er vurderet og anbefalet af Medicinrådet, skal ansøger foretage to sundhedsøkonomiske analyser: Én analyse med den komparator, som afspejler eksisterende dansk klinisk praksis, og én analyse med en komparator, der med rimelighed kan antages at være omkostningseffektiv. Dette kan for eksempel være understøttende behandling eller ingen behandling.

Dette gælder blandt andet, når komparator er et lægemiddel, som er taget i brug før Medicinrådets oprettelse pr. 1. januar 2017. Den supplerende analyse skal udføres, fordi den eksisterende komparator ikke nødvendigvis er en omkostningseffektiv behandling. Hvis komparator ikke er omkostningseffektiv, vil en sammenligning mellem det nye lægemiddel og komparator ikke give et retvisende resultatet for det nye lægemiddels omkostningseffektivitet.

Hvis komparator kan anses som etableret dansk behandlingspraksis, og omkostningerne forbundet med denne komparator er lave, kan ansøger undlade at foretage en supplerende analyse med en anden komparator. Ansøger kan drøfte dette med Medicinrådets sekretariat for at få rådgivning inden ansøgning.



5. Effektmål

Det primære effektmål i det/de studie(r), som den regulatoriske godkendelse er baseret på, er altid relevant at medtage i ansøgningen. Helbredsrelateret livskvalitet og sikkerhed er også altid relevante effektmål. Der skal præsenteres resultater for alle de effektmål, der er anvendt i den sundhedsøkonomiske model. Som udgangspunkt skal effektdata præsenteres med fuld opfølgningstid.

Ved indirekte sammenligninger, angiv da tydeligt eventuelle forskelle i definitionen af effektmål på tværs af studierne. Angiv, hvordan forskelle håndteres i sammenligningen og betydning for fortolkning af resultaterne.

5.1 Surrogatmål

Et surrogatmål kan defineres som en erstatning for et direkte mål af patientens fysiske og psykiske velbefindende, funktionsniveau eller overlevelse. Generelt anses brug af surrogatmål i vurderingen af en interventions effekt som værende forbundet med stor usikkerhed, idet sammenhængen mellem behandlingseffekten på surrogatmålet og det patientrelevante effektmål af primær interesse kan være vanskelig at påvise [1], og anvendelse af surrogatmål er ofte forbundet med overestimerede effektstørrelser [2].

Ansøger skal præsentere evidens for validiteten af anvendte surrogatmål. Medicinrådet vurderer, om et surrogatmål kan anvendes, ud fra en helhedsbetragtning med afsæt i nedenstående evidenshierarki (inspireret af Ciani et al. 2017 [3]).

- Niveau 1: Sammenhæng mellem effekt på surrogatmålet og effekt på det patientrelevante effektmål er påvist i meta-analyse af RCT'er i den population, der er under vurdering.
 - 1a: RCT'er af lægemidler af samme lægemiddelklasse som lægemidlet, der er under vurdering.
 - 1b: RCT'er af lægemidler af en anden lægemiddelklasse.
- Niveau 2: Observationelle studier af surrogatmålet ift. det patientrelevante effektmål.
 - 2a: Evidens for effekt af surrogatmålet på det patientrelevante effektmål, fx mendelske studier.
 - 2b: Evidens for sammenhæng mellem surrogatmålet og det patientrelevante effektmål.
- Niveau 3: Kun evidens for biologisk plausibel sammenhæng mellem surrogatmål og det patientrelevante effektmål, fx patofysiologiske studier eller forståelse af sygdomsprocessen.



6. Referencer

1. Guidance on outcomes for joint clinical assessments. Member State Coordination Group on HTA; 2024.
2. Ciani O, Buyse M, Garside R, Pavey T, Stein K, Sterne JAC, et al. Comparison of treatment effect sizes associated with surrogate and final patient relevant outcomes in randomised controlled trials: meta-epidemiological study. BMJ. 2013;346(jan29 1):f457–f457.
3. Ciani O, Buyse M, Drummond M, Rasi G, Saad ED, Taylor RS. Time to Review the Role of Surrogate End Points in Health Policy: State of the Art and the Way Forward. Value Health. 2017;20(3):487–95.

7. Versionslog

Version	Dato	Ændring
1.0	6. februar 2025	Godkendt og offentliggjort.

Medicinrådets sekretariat

Medicinrådet Dampfærgevej 27-29, 3. th
2100 København Ø

+ 45 70 10 36 00
medicinraadet@medicinraadet.dk

www.medicinraadet.dk