

Medicinrådets metodevejledning for vurdering af nye lægemidler



Indholdsfortegnelse

1.	Indledning.....	2
2.	Patientpopulationen, intervention, komparator og effektmål (PICO)	3
3.	Analyser af effekt og sikkerhed.....	3
4.	Sundhedsøkonomisk analyse og fremskrivning.....	4
5.	Helbredsrelateret livskvalitet	5
6.	Omkostninger	5
7.	Præsentation af resultater og usikkerheder.....	6
8.	Budgetkonsekvensanalyse	6
9.	Litteratur	6
10.	Versionslog	8

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

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



1. Indledning

Metodevejledningen skal vejlede lægemiddelvirksomheder, som ønsker et nyt lægemiddel eller en indikationsudvidelse for et eksisterende lægemiddel vurderet i Medicinrådet. Metodevejledningen er også et arbejdsredskab for Medicinrådets tre enheder: Rådet, fagudvalgene og sekretariatet. Derudover kan metodevejledningen give øvrige interessenter indsigt i Medicinrådets metode for vurdering af nye lægemidler og indikationsudvidelser. I dette dokument anvendes begrebet "nyt lægemiddel" om både nye lægemidler og indikationsudvidelser, som ikke indplaceres direkte i en af Medicinrådets behandlingsvejledninger. Ligeledes dækker begrebet "nyt lægemiddel" også eventuelle kombinationsbehandlinger med to eller flere lægemidler.

Metodevejledningen består dels af indeværende dokument og dels af en række vejledende dokumenter med mere dybdegående beskrivelser af de enkelte emner. Dokumenterne skal anvendes som en støtte til at udarbejde et fyldestgørende ansøgningsmateriale.

Processen for vurdering af nye lægemidler er særskilt beskrevet i Medicinrådets procesvejledning for vurdering af nye lægemidler. Medicinrådets procesvejledning og metodevejledning udgør tilsammen grundlaget for Medicinrådets arbejde med vurdering af nye lægemidler.

Arbejdet med at vurdere nye lægemidler sker inden for de politiske rammer af Folketingets syv overordnede principper for prioritering af sygehuslægemidler samt de to principper om forsigtighed og alvorlighed, som Medicinrådet i særlige tilfælde kan inddrage. Folketingets syv principper og en beskrivelse af, hvordan Medicinrådet anvender alvorlighedsprincippet, findes på Medicinrådets hjemmeside: www.medicinraadet.dk.

Afvielser fra Medicinrådets metodestandarder

Alle ansøgninger til Medicinrådet skal følge standarderne angivet i metodevejledningen. I tilfælde, hvor der er begrænset data, f.eks. ved sjældne sygdomme, skal ansøger præsentere den tilgængelige evidens i henhold til den gældende metodevejledning med de begrænsninger, der måtte være, og der skal udarbejdes en sundhedsøkonomisk analyse, hvor analysens begrænsninger og antagelser grundigt beskrives og analyseres. Alle afvielser fra Medicinrådets angivne metodestandarder skal begrundes og angives tydeligt i ansøgningsmaterialet.

Brug af eksperter

Det foretrækkes generelt, at ansøger benytter internationale data og/eller danske ekspertkilder som referencer, hvis der ikke foreligger danske data. Når der anvendes ekspertkilder, skal ansøger anvende andre eksperter end medlemmer i Medicinrådets fagudvalg. Det vil i udgangspunktet være i strid med Medicinrådets habilitetspolitik for et fagudvalgsmedlem at deltage i rådgivningsaktiviteter med en lægemiddelvirksomhed, der har interesser indenfor medlemmets fagudvalg, jf. Medicinrådets habilitetspolitik.



2. Patientpopulationen, intervention, komparator og effektmål (PICO)

Ansøger skal beskrive interventionen og patientpopulationen, der forventes at være kandidater til behandlingen i dansk klinisk praksis, herunder indplacering i eksisterende behandlingsalgoritme.

Lægemidlet skal sammenlignes med en eller flere komparatorer, som udgør den gældende standardbehandling for patientpopulation i dansk klinisk praksis. Overlevelse, helbredsrelateret livskvalitet og sikkerhed skal altid være en del af sammenligningen mellem intervention og komparator. Det primære effektmål i det/de studie(r), som den regulatoriske godkendelse er baseret på, er ligeledes altid relevant at medtage i ansøgningen.

Dokumentationen vedr. PICO skal følge instruktionerne i Medicinrådets ansøgningsskema, mens *Medicinrådets vejledning vedrørende population, intervention, komparator(er) og effektmål* anvendes som en støtte til at udarbejde en fyldestgørende ansøgning.

3. Analyser af effekt og sikkerhed

Ansøger skal beskrive studie- og patientkarakteristika og resultater for alle studier, som er anvendt til dokumentation af effekt og sikkerhed for både intervention og komparator(er).

Medicinrådet foretrækker, at effektforskelle mellem intervention og komparator er belyst gennem et studie, der direkte sammenligner de to behandlinger (*head-to-head*), og hvor opfølgningstiden er tilstrækkelig lang til at belyse alle relevante effektforskelle. Når det er nødvendigt at anvende indirekte sammenligninger (fx netværksmetaanalyse, *matching adjusted indirect comparison*) eller *real-world evidence* til at estimere effektforskelle, skal ansøger redegøre detaljeret for den statistiske metode og alle antagelser. Ansøger skal også præsentere følsomhedsanalyser, som undersøger robustheden af resultaterne.

Ansøger skal begrunde, hvilke effektmål fra de kliniske studier der anvendes i den sundhedsøkonomiske analyse, og hvilke der ikke anvendes. For alle intermediære effektmål, herunder surrogatmål, skal ansøger beskrive dokumentationen for sammenhæng mellem det patientrelevante effektmål og det intermediære effektmål.

Ansøger skal – uanset valg af analyse – præsentere de væsentligste usikkerheder og belyse betydning af eventuelle prognostiske og effektmødificerende variable.



Dokumentationen vedr. effekt og sikkerhed skal følge instruktionerne i Medicinrådets ansøgningsskema, mens *Medicinrådets vejledninger vedrørende effekt- og sikkerhed* samt *real-world evidence* anvendes som en støtte til at udarbejde en fyldestgørende ansøgning.

4. Sundhedsøkonomisk analyse og fremskrivning

Medicinrådets anbefaling vedrørende et nyt lægemiddel tager udgangspunkt i en vurdering af, om lægemidlets effekt, målt i kvalitetsjusterede leveår (QALYs), og sikkerhed står i et rimeligt forhold til omkostningerne ved ibrugtagning af lægemidlet relativt til nuværende standardbehandling i dansk klinisk praksis. Vurderingen baseres blandt andet på en sundhedsøkonomisk analyse.

Den sundhedsøkonomiske analyse udgøres af en cost-utility analyse, hvor forskelle i QALYs og omkostninger mellem intervention og komparator udtrykkes ved en inkrementel omkostningseffektivitets-ratio (ICER).

En cost-utility analyse kan reduceres til en omkostningsminimeringsanalyse, hvor der alene ses på forskelle i omkostninger mellem intervention og komparator, hvis den nye behandling og nuværende standardbehandling er ligeværdige på tværs af alle relevante effektmål (inkl. helbredsrelateret livskvalitet) og sikkerhed. Ligeværdighed vil altid være en samlet faglig vurdering af, at interventionen hverken er bedre eller dårligere end komparator baseret på den tilgængelige evidens og kliniske erfaring.

I den sundhedsøkonomiske analyse anvendes et begrænset samfundsperspektiv. Dette betyder, at det alene er *behandlingsrelaterede* effekter og omkostninger, der skal inkluderes. Tidshorisonten i den sundhedsøkonomiske analyse skal være tilstrækkelig lang til, at alle vigtige forskelle i behandlingsrelaterede effekter og omkostninger mellem intervention og komparator opfanges.

Den sundhedsøkonomiske model er bygget op omkring en række antagelser om patienternes sygdoms- og behandlingsforløb for de undersøgte lægemidler i dansk klinisk praksis samt en række input i form af studiedata, eksterne kilder og andre antagelser. Resultatet af den sundhedsøkonomiske analyse er således et estimat, som beror på en *fremskrivning* af flere input både under og efter observationsperioden i de kliniske studier. Uanset om der efter observationsperioden anvendes fremskrevne forløbsdata baseret på parametriske ekstrapolationsmodeller, faste transitionssandsynligheder eller kliniske ekspertudsagn som kilde til estimering af effekt eller ressourceforbrug over tid, så er der tale om fremskrivning, der bygger på mere eller mindre usikre estimater og antagelser.

Den sundhedsøkonomiske analyse skal baseres på en sundhedsøkonomisk model, der er et kvantitativt værktøj, der muliggør syntese af den tilgængelige evidens for intervention



og komparator. Alle input i den sundhedsøkonomiske model skal beskrives grundigt ud fra den tilgængelige evidens.

Dokumentationen vedr. den sundhedsøkonomiske analyse skal følge instruktionerne i Medicinrådets ansøgningsskema, mens *Medicinrådets vejledning vedrørende sundhedsøkonomisk analyse og fremskrivning* anvendes som en støtte til at udarbejde en fyldestgørende ansøgning.

5. Helbredsrelateret livskvalitet

Medicinrådet vurderer helbredsrelateret livskvalitet som selvstændigt effektmål og i forbindelse med estimering af nytteværdier til beregning af QALY-effekter i den sundhedsøkonomiske analyse.

For konsistent sammenligning af helbredsrelateret livskvalitet og QALY-effekter på tværs af Medicinrådets anbefalinger skal der i alle ansøgninger til Medicinrådet indgå data for helbredsrelateret livskvalitet målt med det generiske instrument EQ-5D-5L. Nytteværdier skal ligeledes være baseret på EQ-5D-5L med danske præferencevægte.

Hvis der ikke er indsamlet EQ-5D-5L-data fra de(t) kliniske studie(r), der belyser klinisk effekt og sikkerhed, eller data er meget mangelfulde, kan det være nødvendigt at afrapportere helbredsrelateret livskvalitet målt med andre instrumenter fra studiet, anvende konvertering (mapping) eller anvende eksterne kilder.

I omkostningsminimeringsanalyser skal lægemidlerne også være ligeværdige på helbredsrelateret livskvalitet, og denne ligeværdighed skal ligeledes fortrinsvist dokumenteres med EQ-5D-5L-instrumentet og evt. suppleret af andre generiske og/eller sygdomsspecifikke instrumenter.

Dokumentationen vedr. helbredsrelateret livskvalitet skal følge instruktionerne i Medicinrådets ansøgningsskema, mens *Medicinrådets vejledning vedrørende helbredsrelateret livskvalitet* anvendes som en støtte til at udarbejde en fyldestgørende ansøgning.

6. Omkostninger

For at sammenligne omkostningerne forbundet med at anvende de lægemidler, som indgår i den sundhedsøkonomiske analyse, er det nødvendigt at identificere, kvantificere og værdisætte ressourceforbruget for intervention og komparator. Opgørelsen af omkostninger skal som udgangspunkt baseres på ressourceforbruget i dansk klinisk praksis og aktuelle danske enhedsomkostninger.

De behandlingsrelaterede omkostninger opgøres som lægemiddelomkostninger, hospitalsomkostninger og omkostninger relateret til patienternes ressourceforbrug i



form af tid og transport. I nogle tilfælde er det relevant at inkludere øvrige omkostninger dækket af den offentlige sygesikring eller kommunale omkostninger.

Opgørelse af omkostninger skal følge instruktionerne i Medicinrådets ansøgningsskema, mens *Medicinrådets vejledning vedrørende opgørelse af omkostninger* anvendes som en støtte til at udarbejde en fyldestgørende ansøgning.

7. Præsentation af resultater og usikkerheder

Resultaterne af den sundhedsøkonomiske analyse skal præsenteres i tabeller i ansøgningen og i den indsendte sundhedsøkonomiske model. Ansøger skal systematisk identificere, beskrive og analysere de væsentligste usikkerheder forbundet med resultaterne.

Dokumentationen skal følge instruktionerne i Medicinrådets ansøgningsskema, mens *Medicinrådets vejledning vedrørende usikkerheder og følsomhedsanalyser* anvendes som en støtte til at udarbejde en fyldestgørende ansøgning.

8. Budgetkonsekvensanalyse

For at oplyse Medicinrådet om de regionale budgetkonsekvenser ved introduktion af et nyt lægemiddel skal ansøger beregne de samlede regionale budgetkonsekvenser for den relevante patientgruppe. Budgetkonsekvensanalysen skal belyse størrelsen af eventuelle meromkostninger ved ibrugtagning af det nye lægemiddel sammenlignet med eksisterende standardbehandling.

Dokumentationen skal følge instruktionerne i Medicinrådets ansøgningsskema, mens *Medicinrådets vejledning vedrørende budgetkonsekvensanalyse* anvendes som en støtte til at udarbejde en fyldestgørende ansøgning.

9. Litteratur

Virksomheden skal, hvor det er relevant, udføre litteratursøgninger med henblik på at identificere og udvælge relevant dokumentation om klinisk effekt og sikkerhed, helbredsrelateret livskvalitet (HRQoL) samt andre væsentlige input til den sundhedsøkonomiske analyse. Formålet er at inddrage alle kilder, der kan have betydning for vurderingen.

Litteratursøgninger og -udvælgelse skal udføres efter internationalt anerkendte principper, der sikrer en systematisk og transparent fremgangsmåde. For alle væsentlige



data skal virksomheden beskrive, hvordan de er identificeret og udvalgt, så processen kan valideres og reproduceres.

Dokumentationen skal følge instruktionerne i Medicinrådets ansøgningsskema, mens *Medicinrådets vejledning vedrørende litteratur* anvendes som en støtte til at udarbejde en fyldestgørende ansøgning.



10. Versionslog

Version	Dato	Ændring
2.0	6. februar 2026	Ny version godkendt og offentliggjort.
1.0	19. november 2020	Godkendt af Danske Regioners bestyrelse.

Medicinrådets sekretariat

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

+ 45 70 10 36 00
medicinraadet@medicinraadet.dk

www.medicinraadet.dk