Medicinrådets anvendelse af Alvorlighedsprincippet



NIHE
Nordic Institute of Health Economics

TITEL

Medicinrådets anvendelse af Alvorlighedsprincippet

FORFATTERE

Lars Holger Ehlers
Louise Nørskov Nielsen
Johan Jul Nielsen

COPYRIGHT

© Nordic Institute of Health Economics 2026
Denne publikation kan frit henvises til, herunder figurer, tabeller og tilladte citater, så længe kilden tydeligt angives.

UDGIVER

Nordic Institute of Health Economics (NIHE)
Gammel Munkegade 1, 1. - 8000 Aarhus C
info@nih-economics.dk

www.nih-economics.dk

PUBLIKATIONSDATO

6. november, 2026

ISBN: 97887-976829-5-1

FINANSIERET AF

AbbVie
&
Amgen

Indhold

	Executive summary	**5**
1	**Baggrund for alvorlighedsprincippet i Medicinrådet**	**7**
2	**Hvordan bruges alvorlighedsprincippet af Medicinrådet?**	**9**
3	**Det sundhedsøkonomiske rationale for et alvorlighedsprincip**	**11**
4	**Hvorfor gennemsigtighed i Medicinrådets brug af alvorlighedsprincippet er vigtig**	**13**
5	**Hvordan bruges alvorlighedsprincippet i udlandet?**	**15**
	5.1 Norge	15
	5.2 England	17
	5.3 Sverige	19
6	**Hvad kan Danmark lære af udlandet?**	**22**
7	**Konklusion og anbefalinger**	**23**
8	**Referencer**	**25**
	Bilag 1 – Gennemgang af sager i Medicinrådet, hvor alvorlighedskriteriet er anvendt	**28**

Executive summary

Baggrund og problemstilling

Da Folketinget i 2016 vedtog de syv principper for prioritering af sygehusmedicin, blev »sygdommens alvorlighed« udeladt. Danske Regioner gav efterfølgende Medicinrådet mandat til at inddrage alvorlighed som et ligestillet princip. Siden etableringen i 2017 og frem til 4. september 2026 har Medicinrådet udgivet 445 sager inden for lægemidler og indikationsudvidelser, hvoraf alvorlighedsprincippet er blevet anvendt i 12 sager.

Anvendelsen har været uforudsigelig og ujævnt fordelt over tid. Det har udløst udbredt kritik fra patientforeninger og lægemiddelindustrien, som finder det umuligt at gennemskue, hvornår princippet vægtes, og hvor meget ekstra Medicinrådet vil betale for medicin mod alvorlig sygdom. I 2026 har Medicinrådet derfor igangsat et arbejde for at skabe større transparens og systematik. Dette sker sideløbende med den planlagte evaluering af Medicinrådets generelle praksis, initieret af Danske Regioner.

Stærke argumenter og internationale erfaringer

Denne rapport viser, at der er stærke argumenter for at styrke gennemsigtigheden og systematikken i den måde, Medicinrådet anvender alvorlighedsprincippet. Rapporten belyser de internationale erfaringer og viser mulighederne for at opdatere praksis for en dansk brug af alvorlighedsprincippet.

Anbefalinger til Medicinrådet og politiske beslutningstagere

Det anbefales, at Medicinrådets nuværende praksis med et intuitivt skøn evalueres med henblik på at udvikle **en konkret dansk alvorlighedsmodel.**

En sådan model bør skabe større klarhed om, hvordan alvorlighedsprincippet anvendes i praksis. I udviklingen af modellen vil det være relevant at tage stilling til:

- hvordan sygdomsalvorlighed skal defineres og eventuelt måles,
- hvordan og under hvilke omstændigheder alvorlighed skal indgå i prioriteringsbeslutninger
- hvordan alvorlighed skal påvirke betalingsvilligheden, herunder hvor meget højere omkostninger pr. vundet QALY der kan accepteres ved stigende alvorlighed.

Det er tillige anbefalingen, at modellen bygger på den danske befolknings præferencer for prioritering i sundhedsvæsenet og ikke blot er en 'kopi' af modellerne fra Norge, Sverige eller England. Modellerne fra disse lande kan tjene som inspiration i udviklingen af en transparent, systematisk og konsistent dansk model, hvor anbefalinger om ny medicin kan ske ud fra et ligeværdigt og gennemskueligt grundlag.

I forbindelse med evalueringen af Medicinrådet bør det afklares, om der er tilstrækkelig politisk forankring til at operationalisere alvorlighedsprincippet, herunder til systematisk at acceptere en højere betalingsvillighed ved mere alvorlig sygdom. Erfaringerne fra udlandet viser, at operationaliseringen af alvorlighed er tæt forbundet med spørgsmålet om betalingsvillighed og alternativomkostninger. En politisk afklaring kan derfor omfatte beslutning om, hvorvidt operationaliseringen af alvorlighedskriteriet skal medføre en budgetudvidelse til medicin, eller ej.

1 Baggrund for alvorlighedsprincippet i Medicinrådet

Medicinrådet blev etableret af Danske Regioner med virkning fra 1. januar 2017. Formålet var at sikre hurtig adgang til ny sygehusmedicin til rimelige priser samt at understøtte en ensartet og fagligt begrundet brug af lægemidler på tværs af de danske hospitaler (1).

Forud for etableringen vedtog Folketingets partier den 31. marts 2016 syv overordnede principper for prioritering af sygehuslægemidler (2). Disse principper fastlægger den politiske ramme for arbejdet:

+ Faglighed
+ Uafhængighed
+ Geografisk lighed
+ Åbenhed
+ Hurtig ibrugtagning
+ Mest mulig sundhed for pengene
+ Fri og lige adgang til behandling.

Begrebet *alvorlighed* var således ikke en del af Folketingets oprindelige syv principper. Derfor bemyndigede Danske Regioners bestyrelse Medicinrådet til at inddrage alvorlighed og forsigtighed i særlige tilfælde som ligestillede principper i beslutningsgrundlaget (1).

I januar 2017 offentliggjorde Medicinrådet en mere udfoldet beskrivelse af alvorlighedsprincippet og dets faglige samt etiske grundlag. Dette dokument blev opdateret i september 2021 og udgør fortsat rådets officielle ramme. Heri beskrives, at Medicinrådet kan "*acceptere en større betalingsvillighed ved en meget dyr behandling, jo større afstand en patientgruppes helbred er fra perfekt sundhed ud fra en betragtning om, at dette har højere moralsk værdi*". Det nævnes også, at alvorlighed kan "*afspejle sig i et samfundsmæssigt perspektiv, hvis behandling eller mangel på samme har alvorlige konsekvenser for samfundet og ikke bare for den enkelte*" (3).

Anvendelsen af alvorlighedsprincippet indebærer imidlertid et betydeligt element af skøn. Medicinrådet har derfor mødt kritik for, at det kan være svært for udenforstående at gennemskue:

- Hvornår anvendes alvorlighedsprincippet?
- Hvilken betydning får det i den endelige prioriteringsbeslutning?

Som følge heraf har Medicinrådet i 2026 besluttet at tage anvendelsen af princippet op til fornyet drøftelse med et eksplicit ønske om at skabe større transparens og systematik i beslutningerne (4).

2 Hvordan bruges alvorlighedsprincippet af Medicinrådet?

Mellem 1. januar 2017 og 4. september 2026 har Medicinrådet offentliggjort 445 sager med anbefalinger inden for lægemidler og indikationsudvidelser (5). Dette dækker over anbefalede, delvist anbefalede og ikke-anbefalede lægemidler samt revurderinger og direkte indplacering i en behandlingsvejledning.

Alvorlighedsprincippet har i denne periode været anvendt i vurderingen af 12 sager (2,7% af 445 sager) bestående af 10 forskellige indikationer i alt, inklusiv to revurderinger. Udover disse 12 sager er alvorlighedsprincippet drøftet eksplicit i mødereferater om to andre sager, hvor Rådet har fravalgt at anvende princippet i den endelige vurdering. Af bilag 1 fremgår en systematisk opgørelse over sager i Medicinrådet, hvor alvorlighedsprincippet er anvendt.

Gennemgangen af sagerne viser, at Medicinrådets anvendelse af alvorlighedsprincippet er ulige fordelt over tid:

- Seks sager (herunder to revurderinger) i begyndelsen af perioden (2017-2020)
- Ingen nye sager i perioden 2021-2024
- Seks nye sager sidst i perioden (2025-2026)

Anvendelsen af alvorlighedsprincippet har ifølge Medicinrådets anbefalinger ført til accept af en højere pris for lægemidler eller lavere kvalitet af evidensgrundlaget for lægemidlets effekt.

Alvorlighedsprincippet er anvendt i 12 sager:

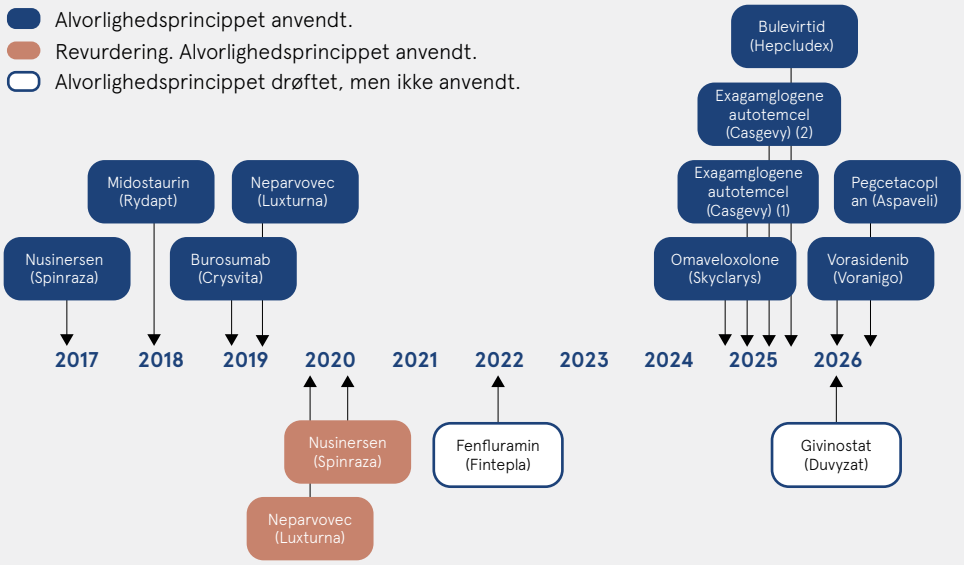
- I fem sager (Midostaurin, Exagamglogene autotemcel (2 sager), Bulevirtid og Vorasidenib) blev lægemidlet anbefalet i første vurdering, men kun såfremt patienterne opfyldte kliniske kriterier for behandlingen (eksempelvis fremskreden sygdom eller udelukkede behandlingsalternativer).
- I tre sager (Nusinersen (to sager) og Burosumab) blev lægemidlet anbefalet som mulig standardbehandling hos specifikke subgrupper, men ikke for alle patienter.
- I én sag (Neparvovec (to vurderinger)) blev lægemidlet ikke anbefalet i første vurdering, men i anden efter ændret betalingsaftale.

+ I to sager (Omaveloxolone og Pegcetacoplan) blev lægemidlet ikke anbefalet som mulig standardbehandling trods inddragelse af alvorlighedsprincippet.

Endeligt blev alvorlighedsprincippet drøftet på rådsmøder i to sager, men ikke anvendt i vurderingen; udfaldet her var én anbefaling som standardbehandling (Fenfluramin), og en ikke-anbefaling (Givinostat).

Gennemgangen af de 12 sager viser, at alvorlighedsprincippet indgår i en helhedsvurdering, og ikke anvendes som et selvstændigt beslutningskriterium med en entydig konsekvens. Princippet anvendes altid i sammenhæng med Rådets vurdering af andre relevante forhold som kvaliteten af evidensgrundlaget, størrelsen af den kliniske effekt (fx kurativ behandling) samt prisen på lægemidlet. Anvendelsen af alvorlighedsprincippet er særligt beskrevet som et argument for at acceptere en højere betalingsvillighed, hvor en høj pris accepteres i forhold til den forventede kliniske gevinst. Der gives ingen information om, 'hvor meget højere betalingsvilje' end normalt, der tales om.

FIGUR 1 **Tidslinje over Medicinrådets anvendelse af alvorlighedsprincippet, 2017-2026**



Patientpopulationerne i sagerne, hvor alvorlighedsprincippet blev anvendt, består af

+ Børn med symptomer på muskelatrofi før 6-månedersalderen (Nusinersen).
+ Børn og unge med arvelig fosfatmangel (Burosumab).
+ Fortrinsvist voksne med knoglemarvskræft (Midostaurin).
+ De resterende sager omhandler en blanding af unge (>12 år) og voksne:
  - Arvelig nethindedystrofi (Neparvovec),
  - Ataksi (Omaveloxolone),
  - β-talassæmi (Exagamglogene autotemcel),
  - Seglcellesygdom (Exagamglogene autotemcel),
  - Kronisk hepatitis D (Bulevirtid),
  - Nyresygdom (Pegcetacoplan),
  - Kræft i hjernen (Vorasidenib).

3 Det sundhedsøkonomiske rationale for et alvorlighedsprincip

Alvorlighed er et helt centralt prioriteringskriterium inden for sundhedsøkonomi, og på den baggrund er det ganske tankevækkende, at Folketinget ikke inkluderede det som et af de syv principper.

Alvorlighed – et centralt prioriteringsprincip

For at forstå det sundhedsøkonomiske rationale for alvorlighedsprincippet må man tage udgangspunkt i det klassiske dilemma mellem optimal ressourceudnyttelse (efficiens) og retfærdig fordeling (equity). En optimal ressourceanvendelse sigter mod at skabe størst mulig samlet velfærd med de tilgængelige ressourcer, men siger ikke i sig selv noget om, hvordan denne velfærd bør fordeles mellem borgerne. Når samfundet vælger at tilgodese de svageste med størst behov for hjælp, må staten derfor foretage en bevidst omfordeling, også selv om det medfører et tab af efficiens. I økonomisk teori beskrives dette som *the efficiency-equity trade-off* (6)

Inden for sundhedsøkonomi kommer dilemmaet til udtryk i cost-utility-analyser (CUA), hvor sundhedsgevinster måles i kvalitetsjusterede leveår (QALYs). Et cost-per-QALY-kriterium er grundlæggende et efficiens-princip, der sigter mod at skabe størst mulig samlet sundhedsgevinst (flest QALYs) for pengene. Når ressourcer anvendes på én behandling, kan de imidlertid ikke samtidig anvendes andre steder i sundhedsvæsenet. Hvis behandling af alvorligt syge patienter accepteres ved en højere omkostning pr. QALY, kan konsekvensen derfor være, at der samlet produceres færre QALYs (7,8)

Et alvorlighedsprincip indebærer således, at en sundhedsgevinst til en alvorligt syg patient kan tillægges større social værdi end den samme sundhedsgevinst til en mindre alvorligt syg patient. Det centrale spørgsmål er derfor ikke alene, om samfundet ønsker at prioritere alvorligt syge patienter, men også hvor meget samlet sundhed samfundet er villigt til at opgive for at opnå en fordeling af sundhedsgevinster, der vurderes som mere retfærdig (7,8). Befolkningsstudier fra europæiske lande understøtter generelt, at der er præference for at tage særligt hensyn til de dårligst stillede frem for alene at maksimere den samlede sundhedsgevinst (9).

Hvordan skal alvorlighed forstås?

Alvorlighed er ikke en entydig størrelse. I den sundhedsøkonomiske og -etiske litteratur findes flere forskellige principper, der kan identificere grupper, der bør gives særlig prioritet (9,10):

- **Those worst off:** prioritering af patienter med det dårligste helbredsmæssige udgangspunkt.
- **Fair innings:** prioritering ud fra muligheden for at opnå en rimelig livslængde.
- **End-of-life:** særlig vægt på behandling tæt på livets afslutning.
- **Absolute shortfall:** vægtning efter det absolutte tab af forventede fremtidige QALYs ved en sygdoms indtræden.
- **Relative shortfall:** vægtning efter den andel af den forventede resterende sundhed, som går tabt ved en sygdoms indtræden.

Der findes ikke én universelt accepteret definition af alvorlighed eller én normativt korrekt måde at foretage afvejningen mellem optimal ressourceudnyttelse (efficiens) og retfærdig fordeling (equity) på. Dette gælder på tværs af relevante fagdiscipliner, herunder sundhedsøkonomi, medicinsk etik og politologi- og forvaltningsteori, som anlægger forskellige perspektiver på, hvad en retfærdig prioritering indebærer. Valget af alvorlighedskriterium er heller ikke fordelingsmæssigt neutralt. Forskellige kriterier kan medføre, at forskellige patientgrupper får større vægt i prioriteringen, hvilket inden for en fast budgetramme samtidig indebærer en alternativomkostning i form af færre ressourcer til andre patienter.

Et prioriteringssystem må derfor grundlæggende tage stilling til to spørgsmål:

1. Hvordan identificeres de dårligst stillede (hvor samfundet bør acceptere en større pris pr. QALY)?

2. Hvilken betydning skal alvorlighed have for betalingsvilligheden (pris pr. QALY)?

4 Hvorfor gennemsigtighed i Medicinrådets brug af alvorlighedsprincippet er vigtig

Inden for den sundhedspolitiske, etiske og forvaltningsretlige litteratur er det et grundvilkår, at der ikke findes ét objektivt eller universelt svar på, hvad det "rigtige" forhold mellem prioritering af efficiens og andre fordelingshensyn er.

Uenighed, men processuel retfærdighed

Patienter, borgere, klinikere, politikere m.fl. vil altid have legitime, men ofte uforenelige opfattelser af, hvordan værdier som alvorlighed, sjældenhed og sundhedsgevinst skal vægtes mod hinanden (11).

Da samfundet ikke kan opnå fuld konsensus om prioriteringen, må beslutningssystemets legitimitet i stedet etableres i selve vurderingsprocessen. Dette undersøges bredt i internationale teorier om procedural retfærdighed. Dette foreskriver, at offentlige beslutninger kun kan opnå bred accept, hvis de er fremkommet via en åben, gennemsigtig og rationel proces, hvor de underliggende værdidomme gøres eksplicitte (11,12).

Principper for god forvaltningspraksis

Disse retfærdighedsteorier danner fundamentet for almene retsprincipper og normer for god forvaltningsskik (good governance), som internationalt regulerer offentlige myndigheders virke (12). Medicinrådet træffer formelt set ikke forvaltningsafgørelser. Hele rådets eksistens som regionalt forankret organ hviler på, at det alene træffer vejledende beslutninger. Selvom rådet formelt kun er vejledende, har det dog reelt stor betydning for regionernes praksis, hvilket taler for, at disse principper også bør tillægges væsentlig betydning i Medicinrådets beslutningsprocesser. I en moderne forvaltningsoverbygning omsættes de teoretiske idealer til konkrete krav:

+ **Begrundelsespligten:** Generelle forvaltningsretlige standarder kræver, at komplekse administrative skøn ledsages af en klar redegørelse for de kriterier, beslutningen hviler på. Hvis alvorlighedsprincippet forbliver et implicit hensyn i en samlet vurdering, opstår der en udfordring med at gøre beslutningslogikken fuldt gennemskuelig for omverdenen.

+ **Lighedsprincippet:** Et grundlæggende retsprincip er, at ensartede tilfælde skal behandles ensartet baseret på saglige kriterier. Uden en operationel definition af alvorlighed kan det være vanskeligt for eksterne aktører at efterprøve, om lighedsprincippet overholdes konsistent på tværs af forskellige sager og patientgrupper.

+ **Kravet om forudsigelighed:** God forvaltningspraksis betoner værdien af forudsigelighed, så berørte aktører (f.eks. klinikere, patienter og pårørende, lægemiddelfirmaer, m.fl.) kan gennemskue processen og forstå retsstillingen. Dette kan skabe usikkerhed om, hvilken vurdering Medicinrådet vil give ny medicin, og potentielt påvirke medicinalvirksomhedernes incitamenter til at ansøge om markedsadgang i Danmark.

Bagsiden ved for meget åbenhed kan være, at hvis alt skal lægges fuldstændig åbent frem, kan det paradoksalt nok føre til, at beslutningstagere bliver mere tilbageholdende, ændrer adfærd eller flytter de reelle, svære diskussioner over i uformelle rum, som ikke refereres i den endelige stillingtagen. Den centrale udfordring for et organ som Medicinrådet bliver derfor at finde balancen mellem det frie, skønsmæssige råderum og konkretisering og gennemsigtighed.

5 Hvordan bruges alvorlighedsprincippet i udlandet?

I Medicinrådets igangværende arbejde med at tydeliggøre og systematisere alvorlighedsprincippet kan Danmark med fordel lade sig inspirere af lande som Norge, Sverige og England. Disse lande har skattefinansierede sundhedsvæsener ligesom det danske, men væsentligt længere erfaring med national prioritering af lægemidler. Hvor Danmarks syv prioriteringsprincipper blev formuleret efter kort politisk proces i 2016, er de udenlandske prioriteringssystemer udviklet over årtier, støttet af grundige offentlige udredninger og politiske debatter samt tydelig indarbejdelse af alvorlighed og fordelingshensyn i det retlige grundlag for sundhedsvæsenet.

Desuden understøttes de af større nationale forskningsmiljøer med speciale i prioritering og udvikling af sundhedsøkonomiske metoder til at håndtere netop alvorlighed og fordelingshensyn – et område, hvor de danske forskningsmiljøer historisk har haft et bredere fokus på sundhedsvæsenets organisering og finansiering (13).

5.1 Norge

Rammer for prioritering og lovgrundlag
Det norske system for medicinsk teknologivurdering (HTA) og prioritering er formelt lovfæstet og indarbejdet i Lov om pasient- og brukerrettigheter samt den statslige Prioriteringsforskriften (2018) (14). Heri fastslås det, at adgangen til sundhedsydelser skal styres efter tre ligeværdige og lovbestemte hovedprincipper:

+ Nyttekriteriet (den forventede kliniske effekt af behandlingen)
+ Ressurskriteriet (hvor mange ressourcer behandlingen beslaglægger) samt
+ Alvorlighetskriteriet (hvor alvorlig patientens medicinske tilstand er).

Alvorlighed er således et lovfæstet selvstændigt prioriteringsprincip i Norge.

Historisk udvikling af HTA-systemet
Norges Nasjonalt råd for kvalitet og prioritering i helse- og omsorgstjenesten blev oprettet allerede i 2000 for at give strategiske og rådgivende anbefalinger

om prioriteringsspørgsmål. Det nuværende HTA-system tog form i 2013 med etableringen af det nationale rammeværk "Nye metoder", hvorunder alle nye sygehuslægemidler er underlagt obligatorisk central vurdering. De grundlæggende principper for rådets arbejde blev fastlagt i 2016 (15), som modtog fuld politisk tilslutning i Stortinget.

Udmøntning af alvorlighedsprincippet (16)

+ **Absolut prognosetab (Absolute shortfall):** For at operationalisere alvorlighed anvender Norge metoden 'absolutt prognosetap' (16). Dette defineres som det samlede antal kvalitetsjusterede leveår (QALYs), som en specifik patientgruppe i gennemsnit vil miste over resten af deres liv på grund af sygdommen, hvis de blot modtager den nuværende standardbehandling. Målet beregner således patienternes fremtidige sundhedstab sammenlignet med en rask baggrundsbefolkning af samme alder og køn.

+ **Trappemodel og glidende skala for betalingsvillighed:** Norge anvender en systematisk trappemodel, hvor sygdommes alvorlighed inddeles i specifikke trin baseret på det beregnede 'prognosetab'. Modellen bygger på en glidende skala for betalingsvillighed: Jo højere det absolutte 'prognosetab' beregnes til at være, desto højere bliver den maksimale betalingsvillighed per QALY. Hvis en sygdom vurderes at have lav alvorlighed, skal prisen per QALY holde sig tæt på sundhedsvæsenets basale alternativomkostning for at blive godkendt. Hvis prognosetabet derimod er ekstremt højt (eksempelvis over 30 tabte QALYs), accepteres en markant højere pris for at tilgodese fordelingshensynet.

+ **Fleksibilitet i det administrative skøn samt uofficielle grænser:** Selvom det økonomiske og metodiske rammeværk er gennemskueligt og transparent, indeholder det norske design en indbygget fleksibilitet i det administrative skøn. Beslutningsorganet Beslutningsforum kan foretage helhedsvurderinger fx ved særligt usikre datagrundlag.

+ **Uofficielle grænseværdier:** Fordi den norske regering bevidst afstod fra at lovfæste firkantede prislofter i lovteksten, er de præcise grænseværdier i praksis uofficielle. Omfattende forskningspublikationer og politiske evalueringer (17) har dog estimeret disse implicitte tærskelbeløb til at strække sig fra en basisværdi på ca. 275.000 NOK ved lav alvorlighed og trinvist op til en øvre grænse på omkring 825.000 NOK per QALY for de mest kritiske tilstande.

+ **Adskillelse af alvorlighed fra andre prioriteringsprincipper:** Med den norske model er definitionen af alvorlighed tydeligt adskilt fra andre potentielle prioriteringshensyn såsom sjældenhed, evidensgrundlagets styrke samt effektstørrelse (f.eks. kurativ behandling). Med fleksibiliteten i det administrative skøn kan helhedsvurderinger foretages af rådet.

Kritikpunkter og den norske diskussion
Det nuværende system med 'absolut prognosetab' erstattede det tidligere koncept om 'absolut sundhedstab' i 2016. Absolut sundhedstab målte på, hvor meget sundhed patienten allerede havde mistet historisk set, hvilket blev kritiseret for at favorisere ældre, da metoden medregnede det sundhedstab, som patienten allerede havde akkumuleret gennem livet (18). Det nuværende prognosetab kigger udelukkende fremad på det fremtidige tab over resten af livet.

Den aktuelle debat og kritik vedrører, hvad man kan kalde 'det omvendte aldersdilemma': Fordi unge mennesker biologisk set har flest potentielle leveår foran sig, vil de næsten altid opnå et langt højere 'absolutt prognosetap' end ældre patienter ved alvorlig sygdom.

Modellen er ligeledes blevet kritiseret for ikke at tage tilstrækkeligt hensyn til sjældne sygdomme, hvor patientgrupperne er så små, at medicinen uundgåeligt sprænger trappemodellens økonomiske lofter.

Ikke desto mindre udgør systemet et konkret værktøj for at etablere en sammenhæng mellem alvorlighed og betalingsvillighed i kategorier, som skaber en transparens for hvilke overvejelser, der indgår i et helhedssyn og den endelige beslutning.

5.2 England

Rammer for prioritering og lovgrundlag
Det britiske prioriteringssystem er kendetegnet ved en stærk centralistisk struktur og et direkte lovmæssigt finansieringsmandat primært forankret i Health and Social Care Act 2012 (19) samt de dertilhørende NICE Regulations (20). Lovgivningen pålægger sundhedsvæsenet at prioritere ressourcerne ud fra principper om klinisk effekt, omkostningseffektivitet samt rimelighed.

Historisk udvikling af det engelske system
Det britiske prioriteringsorgan, National Institute for Health and Care Excellence (NICE), blev oprettet i 1999. Formålet var at mindske geografisk ulighed i sundhedstilbud og sikre en uafhængig, videnskabelig vurdering af nye medicinske teknologier. NICE fik det overordnede nationale ansvar for at udarbejde medicinske teknologivurderinger (HTA) og udstede kliniske retningslinjer for det engelske sundhedsvæsen (NHS).

Hvor NICE historisk har arbejdet med et fast prisloft per QALY, indførte man i 2009 de første formelle fordelingspolitiske hensyn til livets slutfase (end-of-life criteria). I 2022 erstattedes end-of-life-reglerne med en ny model for inddragelse af alvorlighed (severity modifier) baseret på både absolute shortfall og relative shortfall.

Udmøntning af alvorlighedsprincippet

+ **Absolut og relativ shortfall (Hybridmodel):** I England anvendes en hybridmodel, som beregner både absolute shortfall (det totale antal QALYs en patient mister over resten af livet) og relative shortfall (den andel af det resterende livs sundhed, som mistes ved nuværende standardbehandling). Sygdommens alvorlighedskategori bestemmes altid af den af de to formler, der giver det mest kritiske resultat for patientgruppen.

+ **To trappetrin med QALY-multiplier:** I England ganger man mængden af de vundne QALYs med en fast multiplier (vægt), hvis alvorlighedskriteriet tages i anvendelse. Hvis sygdommen vurderes som moderat alvorlig, ganges sundhedsgevinsten med 1,2. Ved ekstrem alvorlighed ganges den med 1,7.

+ **Officiel betalingsvillighed:** NICE opererer med et af verdens mest gennemsigtige og eksplicitte prislofter. Efter reformen i april 2026 er den politisk godkendte basisgrænse for betalingsvillighed blevet hævet fra det historiske niveau til nu £25.000 til £35.000 per QALY. Når alvorlighedstrinnets multiplikatorværdier aktiveres (1,2 eller 1,7), betyder det i praksis, at den reelle, acceptable pris per QALY gennemskueligt rykker op til henholdsvis £42.000 (ved moderat alvor) og £59.500 for de mest kritiske tilstande. Der er herudover indbygget en yderligere fleksibilitet for betalingsvillighed over for de allersværeste tilfælde.

+ **Særligt HTA-spor for sjældne sygdomme (HST):** NICE adskiller sjældenhed metodisk fra alvorlighed. Hvis en medicin er målrettet en ultra-sjælden sygdom, evalueres den ikke i det normale system, men visiteres til et separat administrativt program kaldet Highly Specialised Technologies (HST). I HST-sporet udvides de økonomiske rammer, og NICE accepterer en betalingsvillighed på helt op til £100.000 til £300.000 per QALY.

Kritikpunkter og den britiske debat

NICE's reform i 2022 har været genstand for sundhedsøkonomisk debat, særligt om det omvendte aldersdilemma (børne-bias). Kritikere har hævdet, at grænserne er rigide og i praksis næsten kun kan opnås af børn og meget unge patienter. Aggressive kræftsygdomme hos ældre patienter afskæres ofte fra tillægget, fordi de har for få potentielle leveår tilbage til at ramme tærsklen. Da NICE designede alvorligheds-multiplikatoren, skete det under et stringent politisk krav om opportunity cost neutrality. Systemet fik ikke tilført ekstra midler. Kritikerne påpeger derfor, at når NICE betaler mere for de alvorligt syge, tager det ressourcer fra andre patientgrupper i det faste NHS-budget.

Sammenfattende har NICE med modellen opnået klarhed om definition af alvorlighed og transparens omkring hvad, der udløser forskellige tærskelværdier. Fordelen ved en hybridmodel er, at der kan inddrages forskellige aspekter for alvorlighed i én og samme model.

5.3 Sverige

Rammer for prioritering og lovgrundlag
Det svenske prioriteringssystem er internationalt kendt for at hvile på et eksplicit, lovfæstet etisk fundament. Rammerne for prioritering i det svenske sundhedsvæsen er direkte forankret i Hälso- och sjukvårdslagen (HSL). Lovgrundlaget udspringer af en skelsættende folketingsbeslutning i den svenske Rigsdag i 1997 (baseret på Prioriteringsutredningen (21)), som pålægger alle prioriteringsorganer og regioner at administrere ressourcerne ud fra en bunden, etisk platform bestående af tre hovedprincipper i fast prioriteret rækkefølge:

- Menneskeværdsprincippet (Människovärdesprincipen): Alle mennesker har ligeværd og samme ret til sundhed uanset alder, social status eller personlige egenskaber.

- Behovs- og solidaritetsprincippet (Behovs- och solidaritetsprincipen): Sundhedsvæsenets ressourcer skal allokeres efter behov, så de mest alvorligt syge og de dårligst stillede patientgrupper altid har forrang.

- Omkostnings-effektivitetsprincippet (Kostnadseffektivitetsprincipen): Der skal tilstræbes et rimeligt forhold mellem behandlingens omkostninger og dens dokumenterede sundhedsgevinst.

Da behovsprincippet i det lovbestemte hierarki står over omkostnings-effektivitetsprincippet, har svenske beslutningstagere et særligt og stærkt juridisk mandat til systematisk at prioritere retfærdighed-fordelings-hensyn (equity) over ren optimal ressourceudnyttelse (efficiens).

Historisk udvikling af HTA-systemet
Det statslige prioriteringsorgan, Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV), blev oprindeligt oprettet i 2002 (dengang under navnet Läkemedelsförmånsnämnden, LFN (22)). TLV fik det overordnede nationale ansvar for at træffe juridisk bindende beslutninger om, hvilke lægemidler der skal ydes statslig subsidiering til, samt fastsætte deres priser.

De nuværende, officielle retningslinjer for sundhedsøkonomisk evaluering (HEE) blev formelt etableret i 2003 (22), hvilket gjorde Sverige til en af pionererne inden for struktureret brug af sundhedsøkonomisk evaluering. Forvaltningsmæssigt suppleres det statslige TLV i dag af det regionale NT-rådet (Rådet för nya terapier) som varetager vurderinger og anbefalinger om ibrugtagning af dyre sygehuslægemidler i Sveriges regioner.

Udmøntning af alvorlighedsprincippet

+ **Etisk og klinisk helhedsvurdering:** I Sverige vægtes alvorlighed (svårighetsgrad) ud fra en kvalitativ helhed af tre parametre: livskvalitetstab, sygdommens varighed samt tilstandens karakter (om den er progredierende eller akut livstruende).

+ **Kvalitativ trappemodel (fire niveauer):** Selvom systemet er skønsbaseret, har praksis udmøntet sig i en stringent, kvalitativ trappemodel. Sygdommes alvorlighed inddeles systematisk i fire niveauer: lav, moderat, høj og meget høj svårighetsgrad.

+ **Glidende betalingsvillighed:** Modellen aktiverer en glidende, implicit skala for betalingsvillighed. Jo højere alvorlighedsniveau, desto højere pris per QALY accepterer myndighederne. Empiriske analyser af TLVs historiske afgørelser har kortlagt disse implicitte tærskelbeløb til at strække sig fra ca. 230.000 SEK ved lav alvorlighed, trinvist op til omkring 890.000 SEK ved høj alvorlighed, og over en million SEK per QALY ved 'meget høj sværhedsgrad.' (23).

+ **Klar adskillelse mellem sjældenhed og alvorlighed:** Sverige adskiller sjældenhed (små patientgrupper) metodisk fra alvorlighed. For at undgå begrebsforvirring måles sjældenhed isoleret via en fastlagt matematisk formel i et såkaldt sjældenhedsindeks (23).

Kritikpunkter og den svenske debat

Den skønsbaserede svenske model har mødt kritik for manglende forudsigelighed, da skæringspunkterne mellem alvorlighedskategorier kun fremgår implicit af TLVs konkrete sagsafgørelser. For at imødekomme denne kritik har TLV besluttet at opdatere de nye *Almene retningslinjer for tilskud og prissætning af lægemidler* per 1. oktober, 2026 (24). Herved indskrives kriterierne for vurderingen af sværhedsgrad og det matematiske sjældenhedsindeks eksplicit direkte i det overordnede metodiske regelsæt. Sammenfattende har Sverige en kvalitativ model med klar adskillelse mellem sjældenhed og alvorlighed og en praksis for stigende betalingsvillighed.

TABEL 1 **Hvordan indgår alvorlighed i prioriteringsbeslutninger? Sammenligning af Danmark, Norge, Sverige og England.**

Land	1. Grundlag for anvendelse af alvorlighedshensyn i prioritering	2. Metode til vurdering af alvorlighed	3. Graduering af sygdommens alvorlighed	4. Kobling til økonomi og betalingsvillighed
Danmark *Medicinrådet*	**Beslutning i Danske Regioner** Principper for prioritering, herunder alvorlighed, er ikke indskrevet i Sundhedsloven og indgår ikke direkte i Folketingets 7 principper for prioritering.	**Kvalitativ helhedsvurdering** Baseret på Medicinrådets skøn fra sag til sag uden faste matematiske beregningsmodeller.	**Binær** Sygdommen vurderes fra sag til sag som enten alvorlig eller ikke-alvorlig (ja/nej).	**Uofficiel og ugradueret** Ingen faste tærskelværdier. Anvendes som kvalitativt argument for accept af højere betalingsvillighed eller lavere kvalitet af evidens
Norge *Beslutningsforum*	**Lovfæstet kriterium** Alvorlighed som prioriteringskriterie er direkte indarbejdet i Pasient- og brukerrettighetsloven samt udmøntet i den statslige Prioriteringsforskriften.	**Matematisk formel** Alvorlighed udregnes som prognosetab (absolute shortfall).	**Gradueret skala (trappetrin)** Alvorlighed inddeles i trin baseret på det beregnede prognosetab.	**Uofficiel, men gradueret** Grænserne for betalingsvillighed er ikke lovfæstede og ikke officielle. Gradueringen af alvorlighed afgør betalingsvilligheden.
England *NICE*	**Bunden forvaltningsretlig pligt** Anvendelse af alvorlighed som prioriteringskriterie reguleres via NICE Regulations 2013 med hjemmel i Health and Social Care Act 2012. Heri anføres pligt til at tage andre hensyn end mest sundhed for pengene.	**Matematisk beregning** Udregnes via en bunden hybridmodel af både absolut og relativt helsetab.	**Gradueret skala (multiplikator)** Inddeles i tre faste alvorlighedsklasser (severity modifiers).	**Officiel og gradueret** Eksplicitte tærskelværdier, hvor alvorlighed rykker den acceptable pris pr. QALY fra ca. £35.000 til £59.500+ (QALY-multiplikator (1,2 eller 1,7)).
Sverige *TLV / NT-rådet*	**Lovfæstet etisk princip** Alvorlighed som prioriteringskriterie er forankret i Hälso- och sjukvårdslagen via Behovs- og solidaritetsprincippet (1997).	**Kvalitativ helhedsvurdering** Alvorlighed vurderes som et skøn ud fra livskvalitetstab, varighed og sygdomskarakter.	**Gradueret skala (trappetrin)** Alvorlighed inddeles i fire sværhedsgrader (lav, moderat, høj, meget høj).	**Uofficiel, men gradueret** Tærskelværdierne for betalingsvillighed pr QALY er ikke lovfæstede og ikke officielle. Gradueringen af alvorlighed afgør betalingsvilligheden.

6 Hvad kan Danmark lære af udlandet?

Danske Regioner har taget initiativ til en større evaluering af Medicinrådet fra efteråret, 2026 (25). Fra Medicinrådets egne rækker har man samtidig udtrykt ønske om at øge transparensen og systematikken i anvendelsen af alvorlighedsprincippet (4). Erfaringerne fra de mest sammenlignelige lande som Norge, Sverige og England viser, at princippet *kan* præciseres og gøres mere operationaliserbart, omend der ikke findes én fælles international model.

Sammenligningen peger imidlertid på en række spørgsmål, som skal drøftes og besluttes endeligt som led i Medicinrådets evaluering med henblik på at præcisere brugen af alvorlighedsprincippet i Medicinrådet i fremtiden:

+ **Retligt og politisk grundlag:** Kan vi styrke alvorlighedsprincippets forankring i mere eksplicitte politiske eller retlige rammer for prioritering i det danske sundhedsvæsen?

+ **Definition og måling af alvorlighed:** Skal alvorlighed fortsat bero på en kvalitativ helhedsvurdering af rådet, eller bør vurderingen understøttes af mere eksplicitte eller kvantitative kriterier?

+ **Graduering af alvorlighed:** Skal alvorlighed behandles som et binært kriterium (alvorlighedskriterie opfyldt? ja/nej), eller bør der anvendes flere grader eller typer af alvorlighed?

+ **Ibrugtagning og afgrænsning:** Kan vi præcisere, hvornår og hvordan alvorlighedsprincippet bør bringes i anvendelse, og hvordan skal det afgrænses fra, eller kombineres med andre hensyn som sjældenhed, evidensusikkerhed og effektstørrelse?

+ **Samspil med øvrige kriterier:** Hvordan skal alvorlighed indgå i den samlede vurdering sammen med behandlingens effekt og omkostningseffektivitet, herunder betydningen af hvor stor en sundhedsgevinst behandlingen kan tilbyde patientgruppen?

+ **Kobling til betalingsvillighed:** Skal alvorlighedens betydning for betalingsvilligheden fortsat bero på et samlet kvalitativt skøn i Medicinrådet, eller kan sammenhængen mellem alvorlighed og den acceptable omkostning pr. QALY gøres mere eksplicit uden samtidig at fastlægge en eksplicit grundlæggende betalingsvillighed pr. QALY?

7 Konklusion og anbefalinger

Siden Medicinrådets etablering pr 1. januar 2017 og indtil 4. september 2026 er alvorlighedsprincippet anvendt i 12 sager. Kritikere peger på, at anvendelsen af alvorlighedsprincippet har været præget af uforudsigelighed og manglende gennemsigtighed. De uklare kriterier for den praktiske brug af alvorlighedsprincippet har i dag den konsekvens, at borgere, patienter, klinikere og lægemiddelfirmaer har dårlige forudsætninger for at kunne vurdere, om alvorlighed kan få betydning for, om et konkret lægemiddel bliver anbefalet eller ej.

Rapporten belyser, at der er solide internationale erfaringer og gode muligheder for at opdatere praksis for brug af alvorlighedsprincippet.

Det anbefales, at Medicinrådets nuværende praksis med et intuitivt skøn evalueres med henblik på at udvikle **en konkret dansk alvorlighedsmodel.**

En sådan model bør skabe større klarhed om, hvordan alvorlighedsprincippet anvendes i praksis. I udviklingen af modellen vil det bl.a. være relevant at tage stilling til:

- hvordan sygdomsalvorlighed skal defineres og eventuelt måles
- hvordan og under hvilke omstændigheder alvorlighed skal indgå i prioriteringsbeslutninger
- hvordan alvorlighed skal påvirke betalingsvilligheden, herunder hvor meget højere omkostninger pr. vundet QALY, der kan accepteres ved stigende alvorlighed,

Det er tillige anbefalingen, at en ny dansk model for alvorlighedsprincippet bygger på den danske befolknings præferencer for prioritering i sundhedsvæsenet fremfor blot at kopiere modellerne fra nabolandene. Modellerne fra disse lande kan tjene som inspiration i udviklingen af en transparent, systematisk og konsistent dansk model, hvor anbefalinger om ny medicin kan ske ud fra et ligeværdigt og gennemskueligt grundlag. I forbindelse med evalueringen af Medicinrådet bør det afklares, om der er tilstrækkelig politisk forankring til at operationalisere alvorlighedsprincippet, herunder til systematisk at acceptere en højere betalingsvillighed ved mere alvorlig sygdom. Erfaringerne fra udlandet viser, at operationaliseringen af alvorlighed er tæt forbundet med spørgsmålet om betalingsvillighed og alternativomkostninger. En politisk afklaring kan

derfor omfatte beslutning om, hvorvidt operationaliseringen af alvorlighedskriteriet skal medføre en budgetudvidelse til medicin, eller ej.

Endelig anbefales det, at der foretages **en pilotafprøvning af en ny model for alvorlighedsprincippet** f.eks. som led i vurderingsprocesser af nye lægemidler og indikationer over en periode med efterfølgende evaluering og præcisering af den endelig model til fremtidig brug.

8 Referencer

1. Danske Regioner. Politiske rammer for Medicinrådet [Internet]. 2016. Available from: https://medicinraadet.dk/media/3giddjva/ad-pkt-4-medicinraadet-etablering_final-a.pdf

2. Sundheds- og Ældreministeriet. Princippapir om prioritering for sygehuslægemidler. 2016.

3. Medicinrådet. Anvendelse af alvorlighedsprincippet [Internet]. 2020. Available from: https://filer.medicinraadet.dk/media/weanjjre/medicinr%C3%A5dets-anvendelse-af-alvorlighedsprincippet-januar-2021.pdf

4. Medicinrådet. Referat - 114. rådsmøde i Medicinrådet (tematisk rådsmøde) [Internet]. Hotel Adina; 2026. Available from: https://filer.medicinraadet.dk/media/4jshvvp1/referat-114-radsmode-i-medicinradet-18-02-2026.pdf

5. Medicinrådet. Anbefalinger og vejledninger [Internet]. [cited 2026 Aug 14]. Available from: https://medicinraadet.dk/anbefalinger-og-vejledninger?page=1&order=updated%20desc&take=&currentpageid=1095&database=1095&secondary=1096&category=1128&archived=0&highlight=&q=&period=0

6. OKUN AM. Equality and Efficiency: The Big Tradeoff [Internet]. Brookings Institution Press; 2015 [cited 2026 Aug 20]. Located at: JSTOR. Available from: http://www.jstor.org/stable/10.7864/j.ctt13wztjk

7. Nord E. The trade-off between severity of illness and treatment effect in cost-value analysis of health care. Health Policy. 1993 Aug;24(3):227–38. doi:10.1016/0168-8510(93)90042-N

8. Claxton K, Martin S, Soares M, Rice N, Spackman E, Hinde S, et al. Methods for the estimation of the National Institute for Health and Care Excellence cost-effectiveness threshold. Health Technol Assess. 2015 Feb 18;19(14). doi:10.3310/hta19140

9. Nord E. Concerns for the worse off: fair innings versus severity. Social Science & Medicine. 2005 Jan;60(2):257–63. doi:10.1016/j.socscimed.2004.05.003

10. Phelps CE, Lakdawalla DN. Methods to Adjust Willingness-to-Pay Measures for Severity of Illness. Value in Health. 2023 Jul;26(7):1003–10. doi:10.1016/j.jval.2023.02.001

11. Daniels N, Sabin JE. Setting limits fairly: learning to share resources for health. Second edition. Oxford New York: Oxford University Press; 2008. 256 p.

12. Tyler TR. Procedural Justice, Legitimacy, and the Effective Rule of Law. Crime and Justice. 2003;30:283–357. Located at: JSTOR

13. VIVE - Det Nationale Forsknings- og Analysecenter for Velfærd. Kortlægning og komparativ analyse af modeller for nationalt behandlingsråd på sundhedsområdet. 2019.

14. Helse- og omsorgsdepartementet. Forskrift om prioritering av helsetjenester, rett til nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten og rett til behandling i utlandet (prioriteringsforskriften) [Internet]. 01012001. Available from: https://lovdata.no/dokument/SF/forskrift/2000-12-01-1208

15. Helse- og omsorgsdepartementet. Verdier i pasientens helsetjeneste. Meld. St. 34 (2015–2016) [Internet]. 2015. Available from: https://www.regjeringen.no/contentassets/439a420e01914a18b21f351143ccc6af/no/pdfs/stm201520160034000dddpdfs.pdf

16. Direktoratet for Medisinske produkter. Prioriteringskriteriene ved offentlig finansiering [Internet]. 2024. Available from: https://www.dmp.no/offentlig-finansiering/offentlig-finansiering-av-legemidler-og-medisinsk-utstyr/hva-inneberer-prioriteringskriteriene-ressursbruk-nytte-og-alvorlighet

17. Helse- og omsorgsdepartementet. Helse for alle. Rettferdig prioritering i vår felles helsetjeneste. Meld. St. 21 (2024-2025) [Internet]. 2024. Available from: https://www.regjeringen.no/contentassets/7b4ea64516f04ca3a6f855a61d106c5d/no/pdfs/stm202420250021000dddpdfs.pdf

18. Arbeidsgruppe nedsatt av Helse- og omsorgsdepartementet. På ramme alvor . Alvorlighed og prioritering. 2015 Oct.

19. UK Parliament. Health and Social Care Act 2012 [Internet]. 2012 Mar 27. Available from: https://www.legislation.gov.uk/ukpga/2012/7/contents

20. National Health Service, England. The National Institute for Health and Care Excellence (Constitution and Functions) and the Health and Social Care Information Centre (Functions) Regulations 2013 [Internet]. 2013 Feb 11. Available from: https://www.legislation.gov.uk/uksi/2013/259/made

21. Prioriteringsutredningen. Vårdens svåra val. Statens offentliga utredningar [Internet]. 1995. Available from: https://www.riksdagen.se/sv/dokument-och-lagar/dokument/statens-offentliga-utredningar/vardens-svara-val-del-1_gjb35d1/html/

22. Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. Läkemedelsförmånsnämndens allmänna råd [Internet]. 2003. Available from: https://www.tlv.se/download/18.467926b615d084471ac3396a/1510316400272/LAG-lfnar-2003-2.pdf

23. Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. Praktiska förutsättningar för stärkt tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd [Internet]. 2024. Available from: https://www.tlv.se/download/18.6eef4347193defb9de261bd1/1738747395537/slutrapport%20-praktiska_forutsattningar_for_starkt_tillgang_till_lakemedel_vid_sallsynta_halsotillstand_00663-2024.pdf

24. Tandvårds-Läkemedelförmånsverket. Allmänna riktlinjer för subvention och prissättning av läkemedel [Internet]. 2026 Jun. Available from: https://www.tlv.se/download/18.55394c5819eafce0e8d39505/1781604557800/allmanna_riktlinjer_for_subvention_och_prissattning_av_lakemedel.pdf

25. Medicinrådet skal evalueres [Internet]. 2026 May 19. Available from: https://www.regioner.dk/services/nyheder/2026/maj/medicinraadet-skal-evalueres/

Bilag 1 – Gennemgang af sager i Medicinrådet, hvor alvorlighedskriteriet er anvendt

Formål med Bilag 1

NIHE har gennemgået alle sager i Medicinrådet fra oprettelsen i 2017 til 4. september 2026 for at belyse brugen af alvorlighedsprincippet. Bilagets formål er at redegøre for metode og fremlægge den systematiske gennemgang af rådets brug af alvorlighedsprincippet.

Metode
Det er standardpraksis for Medicinrådet at overveje alvorligheden af en given sygdom, når de vurderer lægemidler, hvorfor det er vigtigt at skelne mellem alvorlighed og alvorlighedsprincippet. Denne sondring har været genstand for drøftelser internt i Medicinrådet, blandt andet i forbindelse med et temamøde om emnet i maj 2025. Materiale vedrørende princippets anvendelse kan således både findes på de enkelte sager (anbefalinger, vurderingsrapporter og bilag) samt i referater fra rådsmøder.

I lyset af dette har vi undersøgt anvendelsen af alvorlighedsprincippet i Medicinrådet. Vi interviewede en tidligere medarbejder i Medicinrådet med henblik på identificering af sager med anvendt eller diskuteret alvorlighedsprincip. Herefter blev Medicinrådets database over anbefalinger og behandlingsvejledninger gennemsøgt systematisk efter sager med anvendt eller diskuteret alvorlighedsprincip[1]. Søgeordene 'alvor' og 'alvorlighed' blev anvendt til identificering af sager, der indeholdt beskrivelser eller anvendelser af princippet. Efter identifikationen blev der søgt på ordene 'alvor', 'alvorlighed' og 'princip', 'kriterie' i sagernes materiale. I engelske bilag er søgeordene oversat til 'severe', 'severity' og 'principle'. Sagerne nævnt i interviewet stemte overens

1 Det bemærkes, at søgefunktionen i Medicinrådets database over anbefalinger og behandlingsvejledninger kan være behæftet med usikkerhed. I visse tilfælde reducerede tilføjelsen af flere søgekriterier antallet af søgeresultater. Det kan derfor ikke udelukkes, at enkelte relevante dokumenter, sager eller bilag ikke indgik i søgeresultaterne.

med resultaterne fra den systematiske søgning i databasen, hvilket understøtter validiteten af sagsidentifikationen som helhed.

Endeligt blev dagsordener, referater og øvrige mødedokumenter fra Medicinrådet desuden gennemgået enkeltvist med søgninger på 'alvor', 'alvorlighed' og 'princip' for supplerende informationer.

Gennemgang af sager
Nedenstående gennemgang er en kortlægning af alvorlighedsprincippets anvendelse i Medicinrådets sager samt en analyse af, hvilken betydning princippet synes at have haft for beslutningerne.

Indledende bemærkes det, at rapportering af anvendelse af alvorlighedsprincippet er inkonsistent over perioden. Fra sag til sag varierer det, hvorvidt princippets anvendelse og begrundelse herfor nævnes i Medicinrådets Anbefaling, under punktet "Overvejelser om alvorlighed/forsigtighed" eller fremgår det mere implicit i enten vurderingen, bilag eller mødereferater. Nedenstående gennemgang fremhæver sager, hvor alvorlighedsprincippet direkte nævnes i sagens dokumenter, eller indgår i referater omhandlende den konkrete sag. Det kan imidlertid ikke afvises, at alvorlighedsprincippet har indgået i drøftelser i andre sager, som ikke er dokumenteret skriftligt.

Gennemgangen viser, at der findes betydelig variation i, hvordan princippet indgår i de konkrete lægemiddelvurderinger. Inddragelsen af princippet begrundes med ét eller flere af følgende forhold i sager, hvor lægemidlet anbefales:

+ tidlig sygdomsdebut,
+ høj dødelighed,
+ betydelig/livslang funktionsnedsættelse/smerter,
+ nedsat levetid/tab af kvalitetsjusterede leveår,
+ begrænsede alternativer,
+ dokumenteret effekt,
+ kurativt potentiale.

I en enkelt sag (Luxturna) er begrundelsen ikke eksplicit, men princippet er angivet som 'vigtigt og relevant'.

Alvorlighedsprincippet er imidlertid ikke selvstændigt tilstrækkeligt til at legitimere en anbefaling. I flere sager inddrages princippet uden at ændre den endelige beslutning, fordi omkostningerne fortsat vurderes at være for høje i forhold til behandlingens kliniske effekt eller den evidensmæssige usikkerhed.

Sammenfattende peger sagerne på, at alvorlighedsprincippet fungerer som et hensyn, der kan øge accepten af høje omkostninger, men at princippets betydning for den endelige anbefaling afhænger af den øvrige balance mellem effekt, evidens og omkostninger.

Enkeltsager illustrerer disse forholds betydning i vurderingerne. I Luxturna-sagen medførte en ændret betalingsaftale anbefaling, selv om prisen for lægemidlet fortsat blev vurderet som 'urimeligt høj'. Af Midostaurin-sagen fremgår det, at små samlede budgetkonsekvenser i forening med alvorlighedsprincippet kan opveje en relativt høj pris per patient. Omvendt viser Givinostat-sagen, at selv alvorlige sygdomme, der rammer børn, ikke nødvendigvis medfører inddragelse af alvorlighedsprincippet, da "størrelsen af effekten var for lille til, at alvorlighedsprincippet kunne inddrages".

År, kilde	Lægemiddel	Population, alder	Sygdom	Anvendelse af alvorlighedsprincippet	Rådets argumentation for inddragelse af alvorlighedsprincippet
2017	Nusinersen (Spinraza)	Børn og voksne. Forventet 4-6 årlige tilfælde af spædbørn/børn opfyldende behandlingskriterier	5q spinal muskel-atrofi	Anvendt; ikke anbefalet som standardbehandling. Dog anbefalet til protokolleret ibrugtagning hos subpopulation	"I lyset af fagudvalgets vurdering og ved anvendelse af alvorlighedsprincippet anbefaler Medicinrådet imidlertid, at der kan iværksættes protokolleret ibrugtagning af nusinersen til præsymptomatiske spædbørn samt til patienter med SMA type I med to SMN2-kopier og symptomdebut før seksmånedersalderen, som ikke er i permanent respirationsbehandling. Denne beslutning er truffet under iagttagelse af Folketingets syv principper for prioritering af sygehuslægemidler". "Medicinrådet har fundet alvorlighedsprincippet særdeles relevant i forhold til vurderingen af nusinersen, men selv en fuld anvendelse af dette perspektiv på problemstillingen har ikke kunnet legitimere den meget høje pris". Link: udkast til Medicinrådets anbefaling 1.0 nusinersen spinal muskelatrofi
2018	Midostaurin (Rydapt)	Voksne patienter med ny-diagnosticeret akut myeloid leukæmi (AML), som er FLT3-mutation-positive. Estimeret 40 årlige behandlingsegnede patienter, herunder halvdelen <60 år.	Akut myeloid leukæmi	Anvendt; anbefalet som mulig standardbehandling	Alvorlighedsprincippet inddraget, "Medicinrådet har fundet grund til at inddrage forhold vedrørende alvorlighed i anbefalingen, idet lægemidlet har kurativt potentiale ved en sygdom med høj dødelighed, hvor forbedringer af behandlingsresultaterne historisk set har været begrænsede". "Rådet lægger afgørende vægt på midostaurins kurative potentiale, idet langtidsoverlevelsen er forbedret ved brug af midostaurin. Dette forhold samt at de samlede budgetkonsekvenser er relativt små, opvejer den relativt højde pris per patient". Link: Anbefaling_midostaurin til AML_300118
2019	Burosumab (Crysvita)	Børn og unge. Estimeret 8-10 behandlingsegnede patienter på vurderingstidspunktet. Forventet 2-3 nyfødte årligt med XLH, herunder 0,75-1 med RSS-score minimum 2.	X-bundet hypofosfatæmi (XLH)	Anvendt; anbefalet som mulig standardbehandling til patienter med RSS-score på minimum 2. Ikke anbefalet som mulig standardbehandling generelt	"Medicinrådet har fundet anledning til at inddrage forhold vedrørende alvorlighed i anbefalingen, da patientgruppen er børn og unge med en kronisk invaliderende sygdom, der giver livslang funktionsnedsættelse og smerter". Link: Medicinrådets anbefaling vedr. burosumab til X-bundet hypofosfatæmi (XLH) hos børn og unge med skeletvækst-vers. 1.0

År, kilde	Lægemiddel	Population, alder	Sygdom	Anvendelse af alvorlighedsprincippet	Rådets argumentation for inddragelse af alvorlighedsprincippet
2019	Neparvovec (Luxturna)	Unge og yngre voksne. Patienter er typisk "helt blinde, når de er i 30'erne". Estimeret ca. 20 behandlingsegnede på vurderingstidspunktet, forventes 0,5-1 årlige nye patienter	Arvelig, RPE65-relateret nethindedystrofi	Anvendt, ikke anbefalet som mulig standardbehandling.	"Medicinrådet anbefaler ikke voretigene neparvovec som mulig standard-behandling til patienter med arvelig RPE65-relateret nethindedystrofi. Medicinrådet vurderer, at prisen på voretigene neparvovec er urimeligt høj. Medicinrådet lægger i forbindelse med vurderingen af prisen vægt på, at der er væsentlig usikkerhed om langtidseffekt og eventuelle langtidsbivirkninger ved behandlingen". "Medicinrådet finder alvorlighedsprincippet vigtigt og relevant for vurderingen af voretigene neparvovec, men selv fuld anvendelse af dette perspektiv på sygdommen og behandlingen kan ikke legitimere den meget høje pris". Link: Medicinrådets anbefaling vedr voretigene neparvovec til arvelig RPE65-relateret nethindedystrofi-vers. 1.0
2020	Neparvovec (Luxturna) (revurdering)	Unge og yngre voksne (patienter er typisk "helt blinde, når de er i 30'erne). Vurderet, at der i Danmark er 16 patienter med tilstrækkelig synsrest til behandling. Estimeret 0,5-1 patient om året med biallel RPE65-dystrofi.	Arvelig RPE65-relateret nethindedystrofi	Anvendt, anbefalet som mulig standardbehandling.	"Medicinrådet vurderer, at prisen på voretigene neparvovec fortsat er urimeligt høj. Rådet finder dog, at omkostningerne står mål med den kliniske merværdi, når alvorlighedsprincippet samtidig tages i betragtning". "Medicinrådet finder alvorlighedsprincippet vigtigt og relevant for vurderingen af voretigene neparvovec, og fuld anvendelse af dette perspektiv på sygdommen og behandlingen kan legitimere de meget høje omkostninger". Link: Medicinrådets anbefaling vedr voretigene neparvovec til arvelig RPE65-relateret nethindedystrofi-vers. 2.1
2020	Nusinersen (Spinraza) (revurdering)	Børn og voksne. Forventet 4-6 årlige tilfælde af spædbørn/børn opfyldende behandlings-kriterier	5q spinal muskel-atrofi	Anvendt, ikke anbefalet som mulig standardbehandling til patienter med SMA generelt. Dog anbefalet til subpatientgruppe opfyldende visse kriterier.	"Under hensyntagen til alvorlighedsprincippet, finder Medicinrådet imidlertid, at der er grundlag for at anbefale ibrugtagning af nusnersen som mulig standardbehandling til følgende patientpopulationer, hvor der er evidens for effekt: 1) Præsymptomatiske spædbørn med 2-4 SMN2-kopier 2) Børn med SMA type 1, som opfylder følgende kriterier: 2-3 SMN2-kopier, alder ved symptomdebut maks. 6 måneder, ikke er i permanent respirationsbehandling ved opstart af behandling 3) Børn med SMA type 2, som opfylder følgende kriterier: mindst 2 SMN2-kopier, alder ved symptomdebut maks. 24 måneder, maks. 4 års sygdomsvarighed ved opstart af behandling, ingen assisteret ventilation udover natligt behov og mere end 95 % SaO2 uden assisteret ventilation". Link: tillæg-til-medicinrådets-anbefaling-af-nusinersen-til-spinal-muskelatrofi-vers-4-0_adlegacy.pdf
2022	Fenfluramin (Fintepla)	Børn og voksne Ca. 50 behandlingsegnede børn og unge samt 30-40 voksne i Danmark på vurderingstidspunktet	Dravet syndrom	Drøftet, ikke anvendt. Referat - 66. rådsmøde i Medicinrådet - 23. marts	Anbefales som tillægsbehandling til børn og unge
2025	Omaveloxolone (Skyclarys)	Voksne og unge i alderen ≥16 år og derover. Vurderet 50-100 behandlingsegnede på vurderingstidspunktet.	Friedreichs ataksi	Anvendt, ikke anbefalet som mulig standardbehandling.	"Sygdommen er meget alvorlig og medfører både motoriske handicap og markant nedsat levealder. Medicinrådet har derfor inddraget alvorlighedsprincippet i sin beslutning". "Medicinrådet vurderer, at omkostningerne er urimeligt høje i forhold til effekten, selv når alvorlighedsprincippet tages i betragtning". Link: Medicinrådets anbefaling vedr. omaveloxolone til Friedreichs ataksi - Nationalt dansk appendix til JNHB-vers. 1.0-FORTROLIGT

År, kilde	Lægemiddel	Population, alder	Sygdom	Anvendelse af alvorlighedsprincippet	Rådets argumentation for inddragelse af alvorlighedsprincippet
2025	Exagamglogene autotemcel (Casgevy)	Transfusionsafhængig β-talassæmi hos patienter over 12 år. Ca. 40 diagnosticerede i Danmark på vurderingstidspunktet. Forventes benyttet til behandling af primært unge mellem 12 og 15 år.	β-talassæmi	Anvendt, anbefalet som mulig standardbehandling til patienter opfyldende særlige kriterier. Medicinrådet opfordrede virksomheden til levering af nye data efter to år med ny stillingtagen til anbefaling, da EMA har givet godkendelse betinget af nye studie- og registerdata.	"Medicinrådet anbefaler exa-cel under inddragelse af alvorlighedsprincippet, selvom behandlingen er forbundet med meget høje omkostninger. Det skyldes, at behandlingen er den eneste potentielt sygdomsmodificerende eller kurative behandling, som forventes at resultere i mange vundne kvalitetsjusterede leveår for en gruppe patienter med en alvorlig sygdom, der debuterer hos børn og unge og medfører nedsat livskvalitet og tidlig død". Link: Medicinrådets anbefaling vedr. exa-cel til TDT-vers 1.0-x
2025	Exagamglogene autotemcel (Casgevy)	Seglcellepatienter > 12 år. Anslået 120 patienter i Danmark med SCD på vurderingstidspunktet, sandsynligvis flere uden svær sygdom.	Seglcellesygdom	Anvendt, anbefalet som mulig standardbehandling til patienter opfyldende særlige kriterier. Medicinrådet opfordrede virksomheden til levering af nye data efter to år med ny stillingtagen til anbefaling, da EMA har givet godkendelse betinget af nye studie- og registerdata.	"Medicinrådet anbefaler exa-cel under inddragelse af alvorlighedsprincippet, selvom behandlingen er forbundet med meget høje omkostninger. Det skyldes, at der ses en betydelig effekt af behandlingen, som forventes at gøre patienterne fri for behandling livslangt og resultere i mange vundne kvalitetsjusterede leveår for en gruppe patienter med en alvorlig sygdom, der debuterer hos børn og unge". Link: Medicinrådets anbefaling vedr. exa-cel til SCD-vers. 1.0-X
2025	Bulevirtid (Hepcludex)	Patienter med kronisk hepatitis D (debuterer typisk hos unge voksne) Omtrent 40 estimerede behandlingsegnede i Danmark på vurderingstidspunktet.	Kronisk hepatitis D	Anvendt, anbefalet til behandling af kronisk hepatitis hos patienter med betydende fibrose eller cirrose, som enten har afprøvet eller ikke tåler interferon behandling.	"Omkostningerne til behandlingen er høje, men Medicinrådet vurderer, at omkostningerne er acceptable i forhold til behandlingens effekt. Medicinrådet har inddraget alvorlighedsprincippet i beslutningen, fordi Hepatitis D er en sygdom der debuterer hos unge voksne, og som medfører væsentlig forkortet restlevetid. Samtidig har bulevirtid en dokumenteret effekt på virusmængden i blodet, og forventes derfor at bremse sygdomsudviklingen hos patienter, som ikke har andre effektive behandlingsmuligheder". Link: Bilag A - Udkast til Medicinrådets anbefaling vedr. bulevirtid til kronisk hepatitis D-vers.1.0
2026	Givinostat (Duvyzat)	Ambulante patienter i alderen 6 år og ældre med bevaret gangfunktion 5-7 patienter årligt vurderes egnede til behandling	Duchennes muskeldystrofi (DMD)	Drøftet, ikke anvendt. Anbefales ikke til patienter med Duchennes muskeldystrofi og bevaret gangfunktion i alderen fra 6 år.	"Medicinrådet vurderer, at der er tale om en alvorlig og sjælden sygdom, men at det ud fra de foreliggende data er usikkert, i hvilket omfang tillæg af givinostat forsinker sygdomsforværring sammenlignet med den eksisterende behandling med glukokortikoider". "Behandlingen er meget dyr, og Medicinrådet vurderer, at omkostningerne ikke er acceptable i forhold til usikkerheden om behandlingens effekt". Link: medicinradets-anbefaling-vedr-givinostat-til-behandling-af-duchennes-muskeldystrofi.pdf
2026	Pegcetacoplan (Aspaveli)	Voksne og unge mellem 12 og 17 år med specifik nyresygdom	C3-glomerulopati (C3G) eller primær immunkompleks membranproliferativ glomerulonefritis	Anvendt, ikke anbefalet som standardbehandling i kombination med renin-angiotensin-system-hæmmer	" Medicinrådet har inddraget alvorlighedsprincippet i beslutningen, fordi sygdommen debuterer hos unge patienter og medfører forkortet levetid og væsentligt forringet livskvalitet hos patienter, som ikke har andre effektive behandlingsmuligheder" Link: Pegcetacoplan (Aspaveli) - C3-glomerulopati

År, kilde	Lægemiddel	Population, alder	Sygdom	Anvendelse af alvorlighedsprincippet	Rådets argumentation for inddragelse af alvorlighedsprincippet
2026	Voradasinib (Voranigo)	Patienter med hjerne-tumor, voksne og unge patienter over 12 år. Rammer typisk patienter i 30-40-årsalderen. Omkring 81 patienter vurderes kandidater til behandlingen. Dertil kommer cirka 20 nye patienter om året.	Astrocytom grad 2 eller oligodendrogliom med specifik mutation	Anvendt, anbefalet til behandling af patienter med med IDH1- eller IDH2-muteret astrocytom eller oligodendrogliom WHO-grad 2, som udelukkende har gennemgået kirurgisk behandling, og som ikke har behov for umiddelbar strålebehandling eller kemoterapi.	"Medicinrådet har inddraget alvorlighedsprincippet i beslutningen, fordi sygdommen rammer relativt unge patienter og medfører betydelig sygdomsbyrde med påvirkning af funktionsevne og livskvalitet over mange år samt en væsentligt forkortet levetid" Link: Vorasidenib (Voranigo) - Diffust gliom med IDH1/2-mutation

Referencer – Bilag 1

Medicinrådet. Anvendelse af alvorlighedsprincippet [Internet]. København: Medicinrådet; 2017. Citeret 19/08/26. Tilgængelig: https://medicinraadet.dk/media/devfpi1d/medicinraadet_anvendelse-af-alvorlighedsprincippet_september-2017_final-a.pdf

Medicinrådet. Dagsorden og bilagsoversigt 14.05.2025 - tematisk rådsmøde [Internet]. København: Medicinrådet; 2025. Citeret 19/08/26. Tilgængelig: https://filer.medicinraadet.dk/media/vkxi3j2h/dagsorden-og-bilagsoversigt-14-05-2025-tematisk-radsmode.pdf

Medicinrådet. Udkast til Medicinrådets anbefaling vedrørende nusinersen til patienter med 5q spinal muskelatrofi. Version 1.0 [Internet]. København: Medicinrådet; 2017. Citeret 19/08/26. Tilgængelig:https://filer.medicinraadet.dk/media/awvndxe2/medicinrådets-anbefaling-vedr-nusinersen-til-spinal-muskelatrofi-vers-1-0_adlegacy.pdf

Medicinrådet. Medicinrådets anbefaling vedrørende midostaurin til akut myeloid leukæmi (AML). Version 1.0 [Internet]. København: Medicinrådet; 2018. Citeret 19/08/26. Tilgængelig: https://filer.medicinraadet.dk/media/upqlfejv/medicinrådets-anbefaling-vedr-midostaurin-til-aml-vers-1-0_adlegacy.pdf

Medicinrådet. Medicinrådets anbefaling vedrørende burosumab til X-bundet hypofosfatæmi (XLH) hos børn og unge med skeletvækst. Version 1.0 [Internet]. København: Medicinrådet; 2019. Citeret 19/08/26. Tilgængelig: https://medicinraadet.dk/media/mgznbqlm/medicinraadets-anbefaling-vedr-burosumab-til-x-bundet-hypofosfataemi-xlh-hos-boern-og-unge-med-skeletvaekst-vers-10_adlegacy.pdf

Medicinrådet. Medicinrådets anbefaling vedrørende voretigene neparvovec til arvelig RPE65-relateret nethindedystrofi. Version 1.0 [Internet]. København: Medicinrådet; 2019. Citeret 19/08/26. Tilgængelig: https://filer.medicinraadet.dk/media/twrbmyb2/medicinraadets-anbefaling-vedr-voretigene-neparvovec-til-arvelig-rpe65-relateret-nethindedystrofi-vers-10_adlegacy.pdf

Medicinrådet. Medicinrådets anbefaling vedrørende voretigene neparvovec til arvelig RPE65-relateret nethindedystrofi. Version 2.1 [Internet]. København: Medicinrådet 2025. Citeret 19/08/26. Tilgængelig: https://filer.medicinraadet.dk/media/1rfftdcp/medicinradets-anbefaling-vedr-voretigene-neparvovec-til-arvelig-rpe65-relateret-nethindedystrofi-vers-2-1.pdf

Medicinrådet. Tillæg til Medicinrådets anbefaling af nusinersen til spinal muskelatrofi. Version 4.0 [Internet]. København: Medicinrådet; 2020. Citeret 19/08/26. Tilgængelig: https://filer.medicinraadet.dk/media/g3dnqg45/tillæg-til-medicinrådets-anbefaling-af-nusinersen-til-spinal-muskelatrofi-vers-4-0_adlegacy.pdf

Medicinrådet. Medicinrådets anbefaling vedrørende omaveloxolone til Friedreichs ataksi: nationalt dansk appendix til JNHB. Version 1.0 [Internet]. København: Medicinrådet; 2025. Citeret 19/08/26. Tilgængelig: https://medicinraadet-dk.b-cdn.net/media/ctogvysb/medicinradets-anbefaling-vedr-omaveloxolone-til-friedreichs-ataksi-nationalt-dansk-appendix-til-jnhb-vers-1-0-x.pdf

Medicinrådet. Medicinrådets anbefaling vedrørende exa-cel til transfusionsafhængig beta-thalassæmi (TDT). Version 1.0 [Internet]. København: Medicinrådet; 2025. Citeret 19/08/26. Tilgængelig: https://filer.medicinraadet.dk/media/u4alvgh4/medicinradets-anbefaling-vedr-exa-cel-til-tdt-vers-1-0-x.pdf

Medicinrådet. Medicinrådets anbefaling vedrørende exa-cel til seglcellesygdom (SCD). Version 1.0 [Internet]. København: Medicinrådet; 2025. Citeret 19/08/26. Tilgængelig: https://filer.medicinraadet.dk/media/n5fpgsxw/medicinradets-anbefaling-vedr-exa-cel-til-scd-vers-1-0-x.pdf

Medicinrådet. Bilag A. Udkast til Medicinrådets anbefaling vedrørende bulevirtid til kronisk hepatitis D. Version 1.0 [Internet]. København: Medicinrådet; 2026. Citeret 19/08/26. Tilgængelig: https://filer.medicinraadet.dk/media/e4uh4se5/medicinradets-anbefaling-vedr-bulevirtid-til-kronisk-hepatitis-d-vers-1-0.pdf

Medicinrådet. Medicinrådets anbefaling vedrørende givinostat til behandling af Duchennes muskeldystrofi [Internet]. København: Medicinrådet; 2026. Citeret 19/08/26. Tilgængelig: https://filer.medicinraadet.dk/media/h4yb1gwj/medicinradets-anbefaling-vedr-givinostat-til-behandling-af-duchennes-muskeldystrofi.pdf



Nordic Institute of Health Economics