



Helse- og omsorgsdepartementet  
[postmottak@hod.dep.no](mailto:postmottak@hod.dep.no)

Bremsnes 19/2-15

## **NOU 2014:12 Åpen og rettferdig – prioriteringer i helsetjenesten Høringsuttalelse fra Norsk forening for cystisk fibrose**

Norsk forening for cystisk fibrose (NFCF) er en pasientorganisasjon med ca 1000 medlemmer som på frivillig basis arbeider for å sikre at personer med cystisk fibrose (CF) og deres nærmeste skal få tilgang til best mulig behandling, hjelp og støtte. Dette med målsetting om å bidra til lange og gode liv med CF.

CF er en sjelden, arvelig, alvorlig og progredierende sykdom som særlig rammer lungene og tarmfunksjonen. Årlig fødes 8-10 barn med CF i Norge. Cirka 300 CF-pasienter (2013) i Norge, hvorav ca. 40 % under 18 år. Sykdommen er medfødt og fører til vesentlig redusert livskvalitet. CF var for noen tiår siden en sykdom hvor de fleste døde som barn. Forbedret symptombehandling og tverrfaglig oppfølging har gradvis hevet gjennomsnittlig levealder til ca. 40 år. CF krever et omfattende daglig behandlingsregime. Mange unge voksne er lungetransplantert. CF er en av sykdommene som omfattes av utvidet nyfødtscreening.

Prioritering i helsesektoren er vanskelig fordi det berører hvert enkelt menneske - alle ønsker det beste for seg, og det berører våre verdier og vår evne til å erkjenne andres behov. Prioriteringsutvalget har gjort et grundig arbeid for å definere nye kriterier å prioritere etter. Dokumentet er omfattende, tidvis vanskelig å få oversikt over og noen av vurderingene er kompliserte å sette seg inn i. Dette gjør brukermedvirkning i prosessen noe krevende. NFCF har et hovedinntrykk av at alle som har et reelt behov for helsetjenester vil fanges opp av kriteriene. Det som blir prioritert ned eller bort, er tjenester der forventet helsetap er minimalt eller hvor tiltaket ikke bidrar til en helsegevinst for pasienten.

### **Hovedkriteriene**

- Helsegevinstkriteriet – et tiltaks prioritet øker med forventet helsegevinst
- Ressurskriteriet - et tiltaks prioritet øker desto mindre ressurser det legger beslag på
- Helsetapskriteriet – et tiltaks prioritet øker med forventet helsetap over livsløpet hos den som får helsegevinst.

NFCF mener kriteriene for prioritering er bedre enn dagens noe begrensede kriterier. De trekker inn flere aspekter. Men det kan være vanskelig å se hvordan kriteriene fungerer i sammenheng når man kommer til en konkret pasient med sammensatt sykdomsbilde som tar imot tjenester på mange nivå. Det bør legges mer arbeid i å forklare og gi eksempler på beregninger knyttet til medfødte alvorlige sykdommer av progredierende art hvor livsløpet er sentralt.



# Norsk forening for cystisk fibrose

Å beregne **helsegevinst** krever god beslutningsstøtte. Det pekes på nasjonale veiledere og retningslinjer, men for mange diagnoser finnes ikke dette. Hva da? Hvor omfattende vil kravene til dokumentasjon være for sjeldne diagnoser hvor store RCT-studier ikke finnes? Hvem skal beregne helsegevinst for pasientgrupper? Pasienter har ofte flere diagnoser – hvordan beregnes helsegevinst ved kompliserte, sammensatte, progredierende sykdommer? Kravene til dokumentasjon beskrevet i Kap 10 vil være vanskelig å matche for sjeldne diagnoser. Det må i alle fall sikres at beregningene gjøres i et fagmiljø med god kompetanse på gjeldende pasientgruppe. Et nasjonalt organ som skal gjøre beregningene på overordnet nivå kan fort overforenkles når de mangler kompetanse.

**Ressurskriteriet** kan også skape utfordringer der hvor diagnosen er sammensatt og av progredierende karakter. Det vil være krevende å ha oversikt over hvilke ressurser som blir redusert i helsevesenet og samfunnet for øvrig ved innføring av for eksempel et nytt dyrt medikament. Pasientens helhetlige situasjon må vurderes – vi er igjen bekymret over kompliserte lidelser og forenkling.

**Helsetapskriteriet** er sterkt knyttet til begrepet «gode leveår». Dette beregnes via QUALY – et verktøy utviklet for å følge befolkningens helsetilstand over tid på gruppenivå. QUALY er derfor dårlig egnet for kompliserte, sammensatte lidelser på individnivå. Hvem kan beregne livskvalitet på vegne av andre? Livskvalitet handler mer om etikk enn matematikk. Uklare begrep kan gi feil vurderinger når de som skal gjøre prioriteringene står uten egnet verktøy.

CF er en progredierende multiorgansykdom hvor pasientens omfattende egeninnsats i behandlingen er basal. I NCF er vi bekymret for at en matematisk modell knyttet til forenklet definering av kriteriene ikke ivaretar kompleksiteten ved innføring av nye metoder. Hvilken vektning vil de ulike kriteriene få – er de sidestilt? Blir hele mennesket ivaretatt, fysisk, psykisk og sosialt?

NCF er opptatt av tilstrekkelig kapasitet i spesialisthelsetjenestene, og at myndighetene i større grad styrer denne slik at alle pasienter får ivaretatt sine rettigheter. En pasient med sjelden diagnose vil for eksempel ha liten mulighet til å benytte seg av fritt behandlingsvalg hvis kapasiteten ved det eneste sykehuset med kompetanse på diagnosen er sprengt. Konflikt mellom prioritering og kapasitet kan gå ut over de svakeste.

## Tilleggsriteriene

- Alder
- Mangel på alternativt tiltak
- Bidrag til innovasjon
- Sjeldenhet

Disse tilleggsriteriene mener man er ivaretatt i hovedkriteriene og dermed ikke skal gjelde som selvstendige kriterier.

## Sjeldenhet og bidrag til innovasjon

Sjeldenhet i seg selv kan være vanskelig som prioriteringskriterium, fordi sjeldne diagnoser kan ha både høyt og lavt helsetap og ulik alvorlighet. Hovedutfordringen knyttet til sjeldne diagnoser er både begrenset mulighet for innovasjon (få pasienter, lite inntjening) og utfordringer knyttet til tilgang på god forskningsdokumentasjon. Dette gjør pasienter med sjeldne diagnoser dårligere stilt enn andre. Dersom sjeldenhet ikke vurderes som kriterium i



# Norsk forening for cystisk fibrose

disse sammenhengene kan det redusere behandlingsmulighetene for mange pasienter. Ethiske og moralske argument bør vektas til fordel for særbehandling av personer med sjeldne sykdommer.

## **Åpenhet og brukervedvirkning**

Åpne og legitime prosesser er helt avgjørende for rettferdig prioritering. Prosessene skal utformes i tråd med etisk rammeverk " rammeverk for rimelige beslutninger" og begrunnelsene skal være offentlig tilgjengelig. Beslutningenes legitimitet styrkes ved at brukervedvirkning sikres for alle pasientgrupper.

## **Nasjonalt råd**

Det nåværende nasjonalt råd for kvalitet og prioritering foreslås videreført som et prioriteringsråd. Det bør gjøres tydelige endringer i mandat, arbeidsform, størrelse og sammensetning hvor det kommer fram at formålet med all prioritering i helsetjenesten er å oppnå flest mulige gode leveår for alle. Det må komme tydelig frem hvem som skal være beslutningstakere – forarbeidene til rådet må være hjemlet i kompetente fagmiljø for den enkelte sykdomsgruppe. Det er mye arbeid som skal gjøres framover for å konkretisere og operasjonalisere de nye kriteriene. En prosess som krever bred involvering. Savner mange faggrupper som pedagoger, ergoterapeuter, fysioterapeuter, psykologer.

## **Differensiert egenbetaling etter prioritet**

For å begrense bruk av lavt prioriterte tjenester, kan det være riktig i noen tilfeller å øke bruken av egenbetaling. Det bør være grunnlag for å innføre høyere egenbetaling for tiltak som forventes å gi svært lave helsegevinster i forhold til ressursbruken, og som er rettet mot sykdommer med lite helsetap. Egenbetaling bør reduseres eller fjernes for tiltak som forventes å gi store helsegevinster i forhold til ressursbruken, og som rettet mot tilstander med store helsetap.

sign – elektronisk godkjent

Ann Iren Kjønnøy  
Leder

**Vedlegg: Pasienthistorier som viser kompleksitet knyttet til cystisk fibrose og tilgang til nye presisjonsmedisiner.**



# Norsk forening for cystisk fibrose

## Vedlegg – pasienthistorier

Presisjonsmedisiner for CF betegner en type medisiner som behandler den underliggende årsaken for CF. Første type slik medisin (ivacaftor), som er tilpasset i underkant av 10 sjeldne CF-mutasjoner, brukes i dag av 8-12 mennesker med CF til en kostnad av 2,5 millioner kroner per år per pasient. Flere slike mutasjonstilpassede varianter er undervegs i løpet av kort tid, prisen forventes å være høy

**Markus er fire måneder**, og fikk diagnostisert CF via det utvidete programmet for nyfødtscreening ved 6-ukers alder. Han har to alvorlige CF-mutasjoner som kan utvikle sykdom både i lunger med hyppige lungeinfeksjoner og fordøyelsen med redusert næringsopptak. Ingen symptomer på sykdom ved diagnosetidspunkt. Markus har hyppige kontroller hos CF-teamet på sykehuset for å sette inn nødvendig behandling ved behov, og ivareta god helse. Han har startet med forebyggende lungebehandling med daglige inhalasjoner, antibiotikabehandling etter behov og tilrettelegging i hverdagen med hygienetiltak for et godt smittevern. Oppstart i barnehage anbefales utsatt til fylte to år for å redusere smitte av særlig luftveisinfeksjoner. Bevaring av god lungehelse, og sikre god ernæringsstatus for vekst og utvikling er essensielt for prognosen av sykdommen. Tilgang til presisjonsmedisiner vil ytterligere forsterke muligheten for et godt og langt liv med god CF-helse, og en fremtid omtrent som sine jevnaldrende.

**Nina er fem år**. Hun har nettopp fått diagnosen CF. Hun har problemer med bihulene som krever bihulekirurgi og hyppige antibiotikabehandlinger, men lite symptomer fra lungene enda. Hvis hun får presisjonsmedisin kan det forhindre at hun utvikler lungeskade og sykdommen kan stoppes så den ikke progredierer. Samfunnet kan spare mange sykehusinnleggelses, omfattende antibiotikabehandling (tabletter, inhalasjoner, intravenøst), det er kanskje ikke nødvendig med pleiepenger, omsorgspenger og sykemeldinger til foreldrene, det er kanskje ikke nødvendig med assistent til Nina i skole og barnehage. Hun kan satse på å utdanne seg, og kunne jobbe i hel eller delvis stilling i sitt voksne liv. Forventet levetid kan bli mye lengre enn gjennomsnittet på 40 år.

**Tore er 15 år**. Han fikk diagnostisert CF i to års-alderen etter mye sykdom, og har vært mye plaget med lungeinfeksjoner og lav vekt. Han har i ti år hatt hjemmebehandling med intravenøs antibiotika i 14 dager hver 3. måned som har krevet tilrettelegging av hverdagen og tilpasset undervisningsopplegg på skolen. Han har også fått operert inn en permanent tilgang til blodårene, en venoport, for å lette intravenøsbehandlingen. I barnehagen og barneskolen hadde han assistent og fysioterapeut å samarbeide med for å få til den daglige behandling og tilrettelegging. Foreldrene har mye fravær fra jobb for å bistå med behandling osv, og de mottar omsorgslønn. Tore er nå usikker på om han skal satse på en utdanning i tilrettelagt forløp; vil han være frisk nok til å jobbe når han er ferdig utdannet, eller bør han gå rett over på uføretrygd? Hvis han får presisjonsmedisiner vil kanskje behovet for en lungetransplantasjon kunne utsettes noen år.

**Lise er 50 år**. Hun fikk sin CF diagnostisert som nyfødt, og jobber i 50% stilling. Siste tiden har hun opplevd en kraftig forverring av sykdommen, og må ha hyppige behandlinger med intravenøs antibiotika som nå må gjennomføres som innlagt i sykehus fordi hun er for dårlig til å kunne håndtere det selv. Hun har også fått CF-relatert diabetes som gir henne ekstra utfordringer i forhold til ernæring og medisiner. Hun må slutte å jobbe og gå over på uførestønad pga en betydelig redusert helsetilstand. Med presisjonsmedisiner er det gode muligheter for å forhindre at hun blir enda sykere og må ha en lungetransplantasjon. Vil det norske samfunnet gi henne en mulighet til å leve med et alvorlig men stabilisert nivå av lungesykdom?