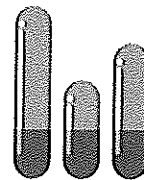


Helse- og omsorgsdepartementet,
Folkehelseavdelingen,
Postboks 8011 Dep.
0030 Oslo



Nasjonalt kompetansenettverk
for legemidler til barn

Bergen 22. januar 2014

**Høringsuttalelse til
«Høring-ending i blåreseptforskriften», med høringsfrist 15. januar 2014.**

Nasjonalt kompetansenettverk for legemidler til barn støtter hovedtrekkene i forslaget, men ønsker at enkelte unntak som gjelder barn skal komme tydeligere frem i forskrifts- og rundskrivsteksten.

I tillegg vil vi benytte anledningen til å ta opp noen punkter i blåreseptforskriften med rundskriv som etter vårt syn ikke er løst på en tilfredsstillende måte. Dette gjelder blant annet § 2 Forhåndsgodkjent refusjon og refusjon av virkestoff til barn, og andre punkter som tidligere er tatt opp med Helse- og omsorgsdepartementet (HOD) av Norsk Barnelegeforening (NBF) (1,2).

Forhåndsgodkjent refusjon og refusjon av virkestoff til barn

I høringsnotatet kapittel 4.1.2.5 beskrives refusjon av legemidler etter § 3 som en «sikkerhetsventil for pasienter som av medisinske grunner ikke kan behandles med forhåndsgodkjent legemiddel». For mange legemidler til barn er dette snarere regelen enn unntaket. Det må sendes individuelle søknader på legemidler tilpasset barn, selv om legemidler med samme virkestoff har forhåndsgodkjent refusjon for den aktuelle indikasjonen. Dette kunne vært unngått ved å ta inn unntaket fra Legemiddelforskriftens § 14-10, bokstav a: «Unntak kan også gjøres for legemidler til barn under 18 år, hvis det finnes legemidler med samme virkestoff, som har forhåndsgodkjent refusjon for den aktuelle indikasjonen» og gjøre det gjeldene også i blåreseptforskriftens § 2, samt i Rundskrivets § 2.

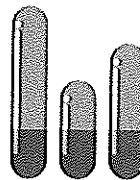
Da dette unntaket ble innført ved forskriftsendring fikk Legemiddelverket i juni 2011 i oppdrag av HOD å vurdere hvilke apotekfremstilte og uregistrerte legemidler til barn som skal føres opp på refusjonslisten. I svar til HOD 4. januar 2013 (3) har Legemiddelverket belyst to muligheter: Refusjon basert på sentralt varenummer og refusjon basert på virkestoff. Legemiddelverket sier i sin anbefaling at «forhåndsgodkjent refusjon basert på godkjente virkestoff gir lettest adgang til aktuelle legemidler for barn».

Vi støtter denne anbefalingen, som vil inkludere alle uregistrerte og apotekproduserte legemidler til barn. Dette vil ifølge Legemiddelverket bli mulig i forskrivnings- og ekspedisjonsstøttesystemet (FEST) der refusjonsopplysningene er knyttet til virkestoffet, men er ikke mulig i dagens system for reseptekspedisjon, Farmapro. For å kunne ekspedere legemidler med refusjon i dag må legemidlene ha varenummer og refusjonskode. Legemiddelverket viser i brevet til oppgjørstall fra apotek som viser at 48 virkestoff fylte kriteriet i legemiddelforskriften. Av disse hadde 31 sentralt varenummer, i all hovedsak uregistrerte legemidler. NMD er villig til å sørge for at alle de aktuelle preparatene får sentralt varenummer. Disse varenumrene vil også være tilgjengelig for andre grossister. Sykehusapotekene har også samkjørt varenumre på apotekfremstilte legemidler i et nasjonalt samarbeid.

Vi ønsker at alle uregistrerte og apotekproduserte legemidler med virkestoff som fyller kriteriet og har varenummer snarest mulig også får refusjonskode, slik at de kan ekspederes i dagens system, i påvente av at det blir lagt til rette for forskrivning av virkestoff i E-reseptkjeden. Vi vil gjerne bistå Legemiddelverket i dette arbeidet.

Nasjonalt kompetansenettverk for legemidler til barn

Helse Bergen HF, Haukeland Universitetssjukehus, Barneklirikken, 5021 Bergen
Org.nr.: 983 974 724 • legemidlertilbarn@helse-bergen.no • www.legemidlertilbarn.no



Kommentarer til enkelte punkter i høringen

5.2 Krav til dokumentasjon av legemidlers effekt

Det er gledelig at det ikke stilles krav til selvstendig vitenskapelig dokumentasjon av effekt hos barn når dokumentasjonskravet ansees som oppfylt hos voksne.

I tråd med forskriftsendring (refusjon av virkestoff) omtalt ovenfor, ønsker vi tilføyd virkestoff i rundskrivets pkt. 3.1.3:

*«Dokumentasjonskrav ved legemiddelbehandling av barn: Det er ikke krav til selvstendig vitenskapelig dokumentasjon for klinisk relevant effekt **av virkestoff** når dokumentasjonskravet anses oppfylt for behandling av voksne...».*

I høringsnotatet er det anført at krav til vitenskapelig dokumentert effekt foreslås videreført og i noen få tilfeller skjerpet i forskriften. Vi er bekymret for at barn med alvorlig og sjelden sykdom vil falle utenfor regelverket hvis ikke nasjonale/internasjonale veiledere, internasjonale legemiddelhåndbøker for barn og behandlingsprotokoller innen barneonkologi godtas som effektdokumentasjon.

Bruk av legemidler utenfor godkjenning hos barn skyldes for en stor del mangel på kliniske legemiddelutprøvinger som tilfredsstillende myndighetenes krav til dokumentasjon av sikkerhet og effekt, og mangel på egnede formuleringer. Randomiserte, kontrollerte studier (RCT) av tilstrekkelig kvalitet er ofte vanskelig å utføre hos barn fordi en del sykdommer forekommer så sjelden at det vil bli vanskelig å fremskaffe den dokumentasjon som kreves innenfor ønskelige tidsrammer. Amerikanske og europeiske legemiddelmyndigheter har satt barns behov for godkjente legemidler på dagsorden. Gjennom nye regelverk skal barn sikres bedre tilgang på godkjente legemidler i egnet formulering. Dette vil ta tid, og firmaene har i liten grad benyttet muligheten til å søke om godkjenning av studier på legemidler med utgått patent. Disse legemidlene utgjør en stor del av legemidlene som i dag brukes utenfor godkjenning til barn.

Veloverveid bruk utenfor godkjenning er lovlig og nødvendig. Vitenskapelig litteratur, nasjonale (4) og internasjonale veiledere, samt legemiddelhåndbøker for barn (5) er viktige kilder for legens valg av forsvarlig behandling. HOD har i brev til NBF 24.5.2005 referert til at «RTV legger både vitenskapelige studier og fagmiljøenes retningslinjer til grunn for sin behandling av refusjonssøknadene» (2). Ifølge forslaget til forskrift skal kun offentlige nasjonale retningslinjer kunne legges ved som dokumentasjon. Det finnes svært få offentlige nasjonale retningslinjer som omhandler behandling av barn. Vi ønsker derfor endring av teksten i tråd med svar fra HOD 24.5.2005, og at dette kommer tydeligere frem i teksten, både i forskrift og rundskriv.

Nasjonale/internasjonale veiledere og legemiddelhåndbøker for barn vil ofte være et bedre grunnlag for bruk og refusjon enn observasjonsstudier, jfr. pkt. 5.2.2 i høringsnotatet.

Vi ønsker at dokumentasjon som er vurdert som faglig forsvarlig grunnlag for behandling også skal være grunnlag for refusjon.

Vi ønsker at effektdokumentasjon anses som ivaretatt når et legemiddel skal brukes på godkjent indikasjon til barn i USA, i tillegg til EØS land.

I tråd men forskriftsendringen nevnt ovenfor mener vi det bør være relevant effekt **av virkestoff anses oppfylt**.

Vi ønsker tilføyd (uthevet) i forslag til Rundskriv 3.1.3:

«For legemidler som ikke har godkjent MT for den aktuelle indikasjonen i Norge, et annet EØS-land eller USA, må det legges ved vitenskapelig dokumentasjon for klinisk relevant effekt. Studiene skal være foretatt på relevant pasientpopulasjon og sykdom. Kravet

gjelder også der det foreligger en særlig alvorlighetsgrad som begrenser pasientpopulasjonen. Dokumentasjonen skal være publisert i et medisinsk tidsskrift. Det må foreligge randomiserte, kontrollerte studier (RCT) av tilstrekkelig kvalitet. I tilfeller med svært begrenset pasientpopulasjon kan publiserte observasjonsstudier av tilstrekkelig kvalitet, **nasjonale/internasjonale veiledere fra fagmiljøene, legemiddelhåndbøker for barn og behandlingsprotokoller innen barneonkologi unntaksvis godtas.**»

Tilsvarende ønskes tilføyd i forskrift § 3c):

«Legemidlet har en vitenskapelig godt dokumentert og klinisk relevant virkning for den aktuelle sykdommen **eller er omtalt for små pasientgrupper i nasjonale/internasjonale veiledere fra fagmiljøene, nasjonale/internasjonale legemiddelhåndbøker eller behandlingsprotokoller innen barneonkologi.**»

5.3 Krav til kostnadseffektivitet

Fortsatt krav til forhåndsgodkjent behandling

Til rundskrivet 3.1.4 ønsker vi også at **mangel på egnet formulering** tilføyd som eget punkt under tungtveiende medisinske grunner for ikke å benytte forhåndsgodkjente legemidler i rundskrivet.

Kostnadseffektivitetsvurdering for enkelte legemidler

I høringsnotatet side 18 sies det under pkt. 5.3: «Kostnadseffektivitetsanalyser på individnivå ville krevd at man har data på legemidlets effekt for den enkelte pasient, og alle relevante konsekvenser for helse- og ressursbruk over en viss tid. I praksis er dette ikke mulig å få til. Det utføres dermed ingen kostnadseffektivitetsberegninger i saksbehandlingen av enkeltsøknader om individuell refusjon».

Det er derfor uklart for oss hva som menes med forslag til § 3d: «De forventede kostnadene ved legemidlet står i et rimelig forhold til legemidlets nytte. Hvis Statens legemiddelverk har foretatt en kostnadseffektivitetsvurdering skal vilkår settes på grunnlag av denne. For andre legemidler skal Helsedirektoratet sikre at nødvendige kostnadseffektivitetsvurderinger blir gjennomført. Avgjørelse av søknad om stønad kan utsettes inntil det er gjennomført en vurdering av forholdet mellom legemidlets nytte og kostnad».

For at pasienten i slike tilfeller ikke skal få utsatt/brudd i behandlingen pga. høye kostnader, ønsker vi at det skal gis adgang til vedtak om tidsbegrenset refusjon. En eventuell midlertidig opprettholdelse av bidragsordningen vil også kunne sikre at pasienten får behandling som planlagt og refundert høye kostnader.

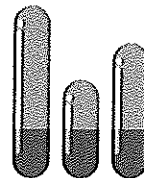
Vi ønsker følgende tilføyelse (uthevet) i § 3 d):

«De forventede kostnadene ved legemidlet står i et rimelig forhold til legemidlets nytte. Hvis Statens legemiddelverk har foretatt en kostnadseffektivitetsvurdering skal vilkår settes på grunnlag av denne. For andre legemidler skal Helsedirektoratet sikre at nødvendige kostnadseffektivitetsvurderinger blir gjennomført **der det er mulig/relevant og gjelder større pasientgrupper og der kostnadene har potensiale til å bli store.** Avgjørelse av søknad om stønad kan utsettes inntil det er gjennomført en vurdering av forholdet mellom legemidlets nytte og kostnad. **I slike tilfeller skal det innvilges tidsbegrenset vedtak om refusjon.**»

5.6 Avvikling av bidragsordningen

Ifølge høringsnotatet fungerer bidragsordningen blant annet som en sikkerhetsventil for pasienter som ikke får legemidler på blå resept. Dette gjelder i dag mange barn, der mangel på RCT som tilfredsstillende HELFO fører til avslag på søknad om individuell refusjon ved bruk utenfor godkjent indikasjon. Vi ønsker at bidragsordningen opprettholdes til man har sett effekt av endring i blåreseptforskriftens skjerpete krav til effektdokumentasjon, hvis vi ikke

får gjennomslag for bruk av nasjonale/internasjonale veileder, legemiddelhandbøker og protokoller innen barneonkologi som effektdokumentasjon for barn.



Nasjonalt kompetansenettverk
for legemidler til barn

7.1 Konsekvenser for brukerne

Vi er bekymret for at barn med sjeldne sykdommer er en av brukergruppene som vil oppleve å måtte betale legemidlene selv, dersom bidragsordningen avvikles.

Inntil det er ordnet med refusjon av virkestoff for forhåndsgodkjent refusjon til barn, vil de ikke ha full effekt av de positive effektene av forslag til endringene i blåreseptforskriften, og vil fortsatt måtte få dekket utgiftene etter søknad om individuell refusjon. Som anført nedenfor (7.5) kan dette bl.a. skape problem når ikke farmasøyt eller lege på forespørsel kan få opplysninger om vedtak hos HELFO.

7.5 Konsekvenser for Helsedirektoratet og HELFO

Det er et stort problem for pasientene at apotekene ikke kan få informasjon om vedtak for den enkelte pasient. Dette var tidligere mulig hos de regionale HELFO, men er etter omorganisering av HELFO fra 1.1.2014 ikke lengre mulig. Det kan dreie seg om store beløp som enten pasienten må legge ut eller apoteket må kreditere. Vi ønsker at farmasøyter og leger skal kunne få svar på spørsmål om vedtak ved henvendelse til HELFO. De fleste legene ønsker ikke rutinemessig kopi vedtakene. Vi ønsker derfor at formuleringen i skjemaets pkt. 9 endres til «*Pasienten har samtykket i at lege eller farmasøyt på forespørsel til HELFO kan få informasjon om vedtak*». Vi ønsker også at man i E-resept systemet legger til rette for at leger og farmasøyter kan få tilgang til opplysning om vedtak.

Annet

Tidsbegrensning av individuelle vedtak, i § 3 i gjeldene rundskriv

Vi ønsker at tidsbegrensning for legemiddelformer og styrker tilpasset barn oppheves. Eksempelvis kan behov for mikstur vare lenge hos multifunksjonshemmede barn. Vanligvis vil andre barn over 5-6 år *foretrekke* tabletter hvis det finnes.

En måneds regelen, § 7 i gjeldende rundskriv

Vi ønsker at 1 måneds regelen skal gjelde på alle apotek. Dette er i tråd med ønske om smidig overføring av pasienter mellom omsorgsnivåene.

Refusjon av perorale sprøyter

Refusjon av perorale sprøyter ifølge blåreseptforskriften var tema ved korrespondanse mellom NBF og HOD i 2005. Vi synes ikke refusjon av perorale sprøyter er løst på tilfredsstillende måte gjennom bidragsordningen. En stor del av barna det gjelder har kun legemidler på blå resept og ingen andre formål som refunderes gjennom bidragsordningen. Det tar derfor lang tid før pasienten når egenandelstaket i bidragsordningen og sprøytene blir dekket. Vi ønsker derfor at måleredskap som peroralsprøyter tas inn i blåreseptforskriften som eget hjemmelspunkt under § 5 uavhengig av sykdom, og ikke alternativ med individuell søknad, basert på søknad fra brukere, som beskrevet under som en mulighet under 2.4 i høringsnotat om endring stønad til spesielt utstyr og forbruksmateriell etter individuell søknad. I samme avsnitt er det anført at en slik løsning vil ta tid.

Vennlig hilsen

Ingrid Grønlie

Ingrid Grønlie
Nestleder

Vedlegg:

1. Brev av 20. september 2004 fra Norsk barnelegeforening til Helse - og omsorgsdepartementet, Refusjon av legemidler, utstyr og næringsmidler til barn.
2. Brev av 24. mai 2005 fra Helse- og omsorgsdepartementet til Norsk Barnelegeforening, Refusjon av legemidler, utstyr og næringsmidler til barn-tilbakemelding fra Rikstrygdeverket og Statens legemiddelverk.
3. Brev av 4. januar 2013 fra Statens legemiddelverk til Helse- og omsorgsdepartementet, Statsbudsjettet 2012-kap 750 Statens legemiddelverk - tildeling av bevilgning - svar på delmål 3.2.1.
4. Norsk Barnelegeforenings Generell veileder i pediatri
<http://www.helsebiblioteket.no/retningslinjer/pediatri/forside>
og Akuttveileder i pediatri
<http://www.helsebiblioteket.no/retningslinjer/akuttveileder-i-pediatri/forside>
5. Slik bruker du BNF for Children, Nasjonalt kompetansenettverk for legemidler til barn:
<http://www.legemidlertilbarn.no/legemiddelinfo/helsepersonell/Documents/BNF-C-bruksanvisning.pdf>

