

Helse- og omsorgsdep.

Postadresse:
Oslo universitetssykehus HF
Ullevål sykehus
Kvinne- og barneklirikken
Postboks 4956 Nydalen
0424 Oslo

Sentralbord:
02770

Org.nr:
NO 993 467 049 MVA

www.oslo-universitetssykehus.no

Deres ref.:

Vår ref./saksbeh./dir.tlf SAA 46664277

Dato: 7. jan. 2014

Innspill til høring med forslag til endring i forskrift 28. juni 2007 nr 18 om stønad til dekning av utgifter til viktige legemidler mv. (blåreseptforskriften).

Nasjonal kompetansetjeneste for sjeldne diagnoser (NKSD), ønsker å belyse enkelte forhold knyttet til legemiddelbehandling av personer med en sjelden diagnose.

Generelt

I Norge defineres en sjelden diagnose som en medfødt tilstand med en forekomst på færre enn 100 individer på 1 million innbyggere. Det blir stadig flere sjeldne diagnoser å forholde seg til, blant annet som en følge av nyfødtscreening og genteknologi. Mulighet til behandling blir også stadig bedre. Utfordringene ved sjeldne tilstander er imidlertid at det foreligger mindre kunnskap, færre studier og svakere bevis for effekt av behandling.

Utvikling av smale legemidler ("orphan drugs") skjer i all hovedsak i Nord-Amerika, men Norge som et rikt land har et spesielt ansvar for å bidra i testing og bruk av slike medikamenter til sine pasienter samt skaffe kliniske data for evaluering av effekt. Etter vår oppfatning bør man få på plass prinsipper for prioritering av smale legemidler når blåreseptordningen nå revideres.

Betraktninger til høringsnotatet

Vi stiller oss i utgangspunktet positive til departementets forslag til endringer (kap. 5), men mener at følgende innspill er viktige å ta med i forhold til vurdering av stønad til legemidler for personer med sjeldne diagnoser:

Krav til alvorlig sykdom

Kunnskapen om en sjelden sykdoms naturlige forløp er ofte mangelfull. Det kan derfor i mange tilfeller være vanskelig å si noe om grad av alvorlighet, også i forhold til følgetilstander av grunnsykdommen.

Krav til dokumentasjon av legemidlets effekt

Ved sjeldne sykdommer så foreligger det naturlig nok færre effektstudier. Hver studie baserer seg ofte på små populasjoner, og i enkelte (ekstreme) tilfeller kan man kun basere seg på erfaringer fra

behandling av enkeltpersoner. Hvilke krav som skal stilles til dokumentasjon må derfor vurderes med dette som utgangspunkt.

Krav til kostnadseffektivitet

Når populasjonene er så små så gir dette noen utfordringer i forhold til hvordan man kan vurdere forholdet mellom kostnad og nytte hos disse pasientene. I forbindelse med legemiddelbehandling så er det viktig at det stilles krav til gode behandlingsprotokoller, retningslinjer og systematisk oppfølging, noe som i stor grad mangler for de sjeldne tilstandene. Dette til tross for at dyr og avansert behandling iverksettes. Egnede mål på kostnadseffektivitet bør utarbeides for disse gruppene.

Krav til langvarig behandling

De fleste sjeldne tilstander er arvelige. Ved behov for behandling er det oftest snakk om livslang behandling (gjennom alle livets faser). Dette til forskjell fra for eksempel ulike kreftsykdommer som rammer i enkelte av livets faser eller palliativ behandling ved livets slutt.

Pasienter med sjeldne tilstander har samme krav på god behandling som pasienter med mer vanlige tilstander (men ikke et større krav). Sjeldenheten fører imidlertid til at man i en del tilfeller må vurdere krav og premisser på en annen måte. Vi vil derfor anbefale at relevante fagpersoner (ekspertgruppe) innen feltet bør være med Helsedirektoratet når stønad til legemidler for disse gruppene skal vurderes.

For Nasjonal kompetansetjeneste for sjeldne diagnoser


Stein Are Aksnes
Leder