



---

Helse- og omsorgsdepartementet  
Postboks 8011 Dep0030 Oslo  
E-post: [postmottak@hod.dep.no](mailto:postmottak@hod.dep.no)

### **Endringer i legemiddelforskriften og blåreseptforskriften mv**

Deres re.: 17/1739. Høringssvar fra Foreningen for muskelsyke (FFM).

FFM støtter høringssvarene fra FFO, Nasjonal kompetansetjeneste for sjeldne diagnoser (NKSD) og fra Lise Lehrmann og foreldregruppen Stopp SMA. Høringssvaret fra oss vil derfor ganske kort formidle våre synspunkter.

### **Om FFM**

Foreningen for Muskelsyke (FFM) er interesseorganisasjonen for personer med nevromuskulær sykdommer og deres pårørende. I Norge er det ca. 5000 personer som har en av 100-200 ulike diagnoser innenfor nevromuskulære sykdommer. De ulike diagnosene rammer forskjellig. Noen rammer det perifere nervesystemet, andre det sentrale, og noen rammer ulike deler av muskulaturen. De fleste diagnosene har det til felles at de medfører muskelsvekkelse og at funksjonstapet øker gradvis. De fleste muskelsykdommer er diagnoser man dør med og ikke av, men de mest alvorlige diagnosene dør barn av.

Personer med muskelsykdommer kommer ofte til kort, også i helsevesenet. Det kan ta lang tid å få stilt rett diagnose, og det er vanskelig for leger å forutsi progresjon og framtidsutsikter. Vår erfaring er at de som får diagnosen i stor grad må ta vare på sin egen helse fordi helsevesenet i nærområdet ikke kjenner diagnosene. Det er viktig at nye behandlingsmetoder blir tilgjengelig uansett hvor i landet de bor.

## Høringssvar

I Høringsnotatets kapittel 7.3.5. "Særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand" står at det kan aksepteres en høyere ressursbruk for legemidler til behandling av særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand der forventet nytte av behandlingen er stor. FFM vil påpeke at noe økt muskelkraft i for eksempel armene eller noe bedret lungekapasitet er til stor nytte i en muskelsvak kropp. Det kan bety å overleve. Det betyr et mer selvstendig liv.

### Høyere ressursbruk i forhold til nytten

FFMs forventninger er at legemidler til behandling bidrar til bedre samfunnsøkonomi, færre sykehusinnleggelser, kommunehelsetjenesten/BPA og ikke minst bidrar til at de unge kommer i jobb. Nytten er stor når behandlingen forsinker muskelsvekkelse.

Vi mener uttalelsen fra Lars Voreland i Dagen medisin, publisert 23.06.17, er relevant for våre diagnoser.

Sitat:

*"Legemiddelverket viser til at det er svært stor usikkerhet knyttet til effekten av nivolumab på dette bruksområdet, og har ikke kunnet tallfeste anslag for meroverlevelse. Likevel valgte Beslutningsforum å innføre medikamentet. – Når pasientgruppen er så liten, blir dokumentasjonsgrunnlaget mer usikkert. Men prognosetapet er veldig høyt for pasientene. Siden noen av dem sannsynligvis vil ha kurativ virkning av medikamentet, endte vi på et ja, sier Lars Vorland, leder av Beslutningsforum og administrerende direktør i Helse Nord."*

Forskningen viser at for de tre typene av medisiner som foreløpig gis ved tre ulike nevromuskulære diagnoser kan muskelsvekkelsen forsinkes. FFM har erfart at det blir gjort forskjell på hvem som får/ikke får medisin, og vi mener at nye medisiner for sjeldne diagnoser må være tilgjengelig for alle som kan ha nytte, uavhengig av hvilket helseforetak man tilhører.

Nye legemidler til behandling vil bli utviklet og for sjeldne diagnoser vil ressursbruk og nytte alltid måtte vurderes i lys av utfordringene knyttet til små pasientgrupper.

### Særskilt liten pasientgruppe

*"Særskilt liten pasientgruppe"* mener vi må tilsvare den definisjonen som til enhver tid gjelder for sjeldenfeltet. Slik vi ser det vil en smalere definisjon kunne bidra til forskjellsbehandling av en allerede utsatt pasientgruppe. Det må ikke være antall pasienter som avgjør om behandling skal gis.

Nye medisiner for FFMs sjeldne diagnoser vil alltid innebære redusert mulighet for å dokumentere effekt. Vi mener det er viktig å innlemme brukervedvirkning i metodeutviklingen.

Grimstad, 13.07.2017

  
\_\_\_\_\_  
Styreleder, Tone I. Torp

\_\_\_\_\_  
Informasjonsmedarbeider Line Wåler/s/