

Lise Lehrmann
Solstadveien 23
1395 Hvalstad
Mobil: 99523538
E-post: lise.lehrmann@hotmail.com

Helse- og omsorgsdepartementet
Postboks 8011 Dep
0030 Oslo
E-post: postmottak@hod.dep.no

7. juli 2017

Høring legemiddelforskriften mv. – saksnr. 17/1739

Innledning

Jeg viser til høring om forslag til endringer i forskrift 18. desember 2009 nr. 1839 om legemidler, forskrift 22. juni 2007 nr. 814 om stønad til dekning av utgifter til viktige legemidler mv., forskrift 12. juni 2015 nr. 646 om helseforetaksfinansierte- reseptlegemidler til bruk utenfor sykehus og forskrift 27. april 1998 nr. 455 om rekvirering og utlevering av legemidler fra apotek.

Jeg er mor til et barn med en sjelden sykdom, Spinal Muskel Atrofi (SMA). Jeg representerer dessuten foreldregruppen Stopp SMA, en Facebook-gruppe for pårørende til barn og ungdom med denne nådeløse sykdommen. SMA er en sjelden, arvelig, nevrologisk sykdom som fører til fremadskridende muskelsvakhet. SMA type 1 er den mest alvorlige og oppdages like etter fødsel. Barnet klarer ofte ikke å bevege hodet, klarer aldri å sitte og vil som oftest dø innen ca. 2-3 år fordi hverken hjerte eller lunger fungerer, og barnet ikke kan ta til seg næring. Barn med SMA type 2 får tegn på muskelsykdom opp mot 1 års alderen. Barnet kan sitte, men klarer aldri å gå, og vil etter hvert oppleve blant annet smerter og lungeproblemer, der respirator blir nødvendig. Barn med SMA type 3 klarer først å gå uten hjelp, men mister gradvis gangfunksjonen og styrken i både ben, mage og armer, slik at de blir 100 % medisinsk invalide og kommer i rullestol tidlig på barneskolen. SMA er en hjerteskjærende sykdom for de få familier som blir rammet av den.

Bakgrunnen for at vi engasjerer oss i denne høringen er at regelverket har innvirkning på hvilke nye medisiner som vil finansieres av staten. Problemstillingen er særlig aktuell fordi den første medisinen mot SMA (Spinraza) er godkjent i USA og Europa, og den er for tiden under metodevurdering hos legemiddelverket, som skal levere sin rapport med anbefaling til Beslutningsforum innen utløpet av året. Vi vil særlig knytte kommentarer til forslag til § 14-5 i legemiddelforskriften, som inneholder kriterier for forhåndsgodkjent refusjon, herunder særregler om sjeldne sykdommer.

Generelt

Vi vil innledningsvis bemerke at det er positivt at Helse- og omsorgsdepartementet nå ønsker å regulere problemstillingen knyttet til behandling av sjeldne sykdommer. Dette ikke minst fordi Beslutningsforum, som avgjør om medisinkostnader skal refunderes, synes å legge andre kriterier til grunn for sine avgjørelser enn det som er forutsatt i norsk rett. I tillegg til de alminnelige kriteriene (at pasienten har rett til *nødvendig helsehjelp* når pasienten kan ha forventet *nytte* av helsehjelpen og de forventede *kostnadene står i et rimelig forhold* til tiltakets effekt), så legger Beslutningsforum vekt på *diagnosenøytralitet, aldersnøytralitet og nøytralitet med hensyn til pasientgruppens størrelse*. Det sies også uttrykkelig på Beslutningsforums hjemmesider at det er *legitimt ikke å innføre en effektiv, men lite kostnadseffektiv behandling*. Dette er direkte i strid med de signaler som gis i Prioriteringsmeldingen, og kommer på spissen ved vurderingen av nye metoder til pasienter med sjeldne sykdommer.

Medisinkostnadene blir som kjent høye når det er en liten pasientgruppe å dele utviklingskostnadene på. En forfordeling av barn med sjeldne sykdommer er helt nødvendig for at medisiner til disse i det hele tatt skal kunne være aktuelt. Når et barn blir sykt, innebærer det dessuten en rekke leveår med redusert livskvalitet, i motsetning til for eldre pasienter. Dette har Helse- og omsorgsdepartementet og Stortinget anerkjent og lagt vekt på ved behandlingen av Prioriteringsmeldingen. Her slo regjeringen som kjent fast at det kan aksepteres *høyere ressursbruk i forhold til nytten* ved vurdering av tiltak knyttet til behandling av små pasientgrupper med svært alvorlige sykdommer enn for andre tiltak. Videre kan *lavere krav til dokumentasjon* av nytten aksepteres. Barn med medfødte, genetiske sykdommer ble nevnt i denne sammenheng, jf. side 103, 127 og 151 i Meld. St. 34 (2015–2016). Stortinget sluttet seg til disse vurderingene.

Det er for øvrig en selvfølge at også dagens lovbestemmelser tolkes i lys av de signaler som ble gitt av regjeringen og Stortinget, også før eventuelle endringer i legemiddelforskriften trer i kraft. Det bemerkes at det ikke ble ansett nødvendig å foreta noen lovendringer som følge av Prioriteringsmeldingen og forslagene til prinsipper for prioritering, jf. Meld. St. (2015–2016) 34 side 158. Kravet om ”nødvendig helsehjelp” i pasient og brukerrettighetsloven § 2-1 b og prioriteringsforskriften § 2 vil således bli stående uendret. Prioriteringsmeldingens uttalelser om forståelsen av begrepene vil være etterarbeider til loven med avgjørende betydning for tolkningen av den.

Til § 14-5 annet ledd – Forhåndsgodkjent refusjon – jf. § 14-3

Så til den konkrete utformingen av § 14-5 annet ledd, som lyder som følger:

”Forhåndsgodkjent refusjon kan bare innvilges dersom ressursbruken står i et rimelig forhold til nytten av legemidlet hensyntatt tilstandens alvorlighet. Ved høy alvorlighet aksepteres høyere ressursbruk i forhold til nytten enn ved lavere alvorlighet.”

Det er positivt at helseforbedringer for pårørende kan telles med i beregning av *nytten*. Det er på det rene at det kan medføre en rekke belastningsskader å ta vare på et funksjonshemmet barn, og at dette vil kunne innvirke både på foreldrenes arbeidskapasitet og kostnader til behandling av disse i helsevesenet.

Vi deler imidlertid Nasjonal kompetansetjeneste for sjeldne diagnoser (NKSD) sin bekymring for at nytte skal måles ved hvor mange gode leveår tiltaket i gjennomsnitt gir for pasienter i den aktuelle pasientgruppen sammenliknet med gjeldende behandlingspraksis. Et godt leveår skal i følge høringsnotatet tilsvare et helt leveår uten redusert livskvalitet. Alvorlighet skal måles ved hvor mange gode leveår pasienter i den aktuelle gruppen taper ved fravær av det tiltaket som vurderes, jf. utkast til § 14-3 annet ledd. Begrepene «gode leveår» og « redusert livskvalitet » er problematiske når det gjelder personer med nedsatt funksjonsevne og kronisk sykdom. Det vil også være problematisk i de tilfellene der legemiddelet er livsbevarende, men med større bivirkninger. Vi vil tilføye at selv med optimal medisinerings, vil en SMA-pasient sannsynligvis ha en del plager, og spørsmålet er da om det i statens øyne ikke kan anses å være ”gode leveår”. Bare det å gjenvinne noe styrke i hendene, vil kunne oppleves å gi betydelig høyere livskvalitet for en med muskelsvinn, da det setter en i stand til å gjennomføre en rekke enkle oppgaver selv, uten

hjelp fra andre. Dette kan være vanskelig å forstå for funksjonsfriske personer, som gjerne betrakter situasjonen mer "svarthvitt", der det avgjørende er om man kan gå eller ikke.

Når det gjelder *ressurskriteriet*, er vi svært negative til at ikke konsekvenser for pasienters framtidige produktivitet, eller forbruk av offentlige tjenester og mottak av stønader/pensjoner, tillegges vekt ved vurderingen av helsehjelp. Det underslås her at medisinsk behandling kan medføre en betydelig besparelse for samfunnet. Dette vil kunne materialisere seg både i form av at pasientene lettere kommer i arbeid, og således i mindre grad vil belaste trygdebudsjettet, samt ved at kostnadene til hjelpemidler og annen medisinsk behandling vil gå ned. Det synes som om all annen ressursbruk som kan *tale imot å innføre en medisin*, skal regnes med, mens det ses bort fra den samfunnsmessige gevinst ved å ha en så frisk befolkning som mulig. For eksempel vil pasientens tidsbruk i forbindelse med gjennomføring av behandling inkluderes i ressursbruken. Det samme gjelder effekter på ressursbruk i den kommunale helse- og omsorgstjenesten og i spesialisthelsetjenesten.

Når det gjelder *alvorlighetskriteriet*, er vi positive til at alvorlighetsgraden skal påvirkes av komorbiditet dersom de øvrige sykdommene/plagene kan relateres til tilstanden som et tiltak er rettet mot. Det er således den samlede alvorlighetsgraden til hovedtilstanden og plager som følger av hovedtilstanden, som skal vurderes og beregnes. Ved SMA ser man for eksempel at mange av pasientene gradvis får ryggdeformitet, som må avhjelpes ved skolioseoperasjoner, i tillegg til en rekke andre fysiske plager. Det er rimelig at dette ses i sammenheng og ikke betraktes isolert.

Vi er også positive til at jo mer alvorlig en tilstand er, desto høyere ressurs-nyttebrøk kan aksepteres. Beregninger av kostnadseffektivitet bør komplementeres med beregninger av alvorlighet, slik at svært alvorlige tilstander kan tillegges en høy vekt. Vi vil imidlertid understreke at *departementets tolkning også på dette punktet er svært ensidig*, da det nevnte prinsippet utelukkende synes å spille inn der helsevesenet vil kunne nekte refusjon av en medisin man før ville ha godkjent, og således ikke vil gi noen nye rettigheter til alvorlig syke pasienter. Vi viser til at departementet peker på at enkelte metoder rettet mot mindre eller moderat alvorlige tilstander framover må prises lavere enn de tidligere ville ha blitt, for å bli tatt i bruk i helsetjenesten. Departementet legger imidlertid til grunn at vurderingen av metoder rettet mot svært alvorlige tilstander i hovedsak vil samsvare med dagens praksis i legemiddelverket og Beslutningsforum. Her vil det altså ikke være noen fordeler å hente for de alvorlige syke pasientene. Dette forverres ytterligere ved at departementet indikerer at det kan bli en innstramning også når det gjelder

legemidler rettet mot svært alvorlige tilstander, idet det vil ses bort fra tilfeller som i dag dekkes gjennom ordningen med individuell stønad og således ikke er metodevurdert. Etter departementets vurdering er disse *”ikke en del av dagens praksis som det er relevant å sammenlikne fremtidige vurderinger med”*. Ordlyden i forskriftsforslaget, som i utgangspunktet naturlig kunne forstås som å gi adgang til bedre helsebehandling for alvorlig syke pasienter, innsnevres med dette betraktelig, noe som er svært uheldig. Vi bemerker at det ikke er noe galt med selve ordlyden, kun med departementets tolkning av den.

Vi vil videre understreke at Stortinget har sluttet seg til at verken Storting eller departement skal fastsette eksplisitte kostnadsgrenser for innføring av metoder og legemidler i helsetjenesten. Dette innebærer at Statens legemiddelverk og Beslutningsforum vil måtte foreta en konkret vurdering av den aktuelle tilstanden. Dette har imidlertid en side til fullmaktsgrensen, som vil kommenteres nedenfor til § 14-7.

Til § 14-5 tredje ledd - Sjeldne sykdommer

Departementets forslag til § 14-5 tredje ledd lyder som følger:

”Et legemiddel som ikke tilfredsstiller kravet etter annet ledd kan likevel i særskilte tilfeller innvilges forhåndsgodkjent refusjon dersom legemidlet er rettet inn mot særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand der forventet nytte av legemidlet er stor. Ressursbruken må likevel stå i et akseptabelt forhold til nytten.”

Det vises til Meld. St. 34 (2015–2016) side 151, der det heter følgende om særskilt små pasientgrupper med svært alvorlige tilstander:

”For at prinsippene for prioritering skal være bærekraftige må de oppleves som legitime. At Beslutningsforum eller Statens legemiddelverk enkelte ganger har avvist å finansiere dyre metoder, samtidig som helsetjenesten i dag tilbyr enkelte behandlinger mot alvorlige tilstander der ressursbruken i forhold til nytten er langt høyere enn for de metodene som er avslått, kan undergrave denne legitimiteten. Departementet vil tilnærme seg denne problemstillingen på to måter. [...]

For det andre mener departementet at det under visse betingelser kan aksepteres høyere ressursbruk i forhold til nytten ved vurdering av tiltak knyttet til behandling av særskilt små pasientgrupper med svært alvorlige tilstander sammenliknet med andre tiltak, alt annet likt. Det er

ikke sjeldenhet i seg selv, men enkelte forhold som typisk er assosiert med en del tilstander som svært få pasienter har, som er relevante for denne vurderingen. Industrien kan ha svakere insentiver for å utvikle legemidler fordi det bl.a. er få pasienter å dele utviklingskostnaden på, og dersom et legemiddel blir utviklet, kan prisen ofte bli høy. Små pasientgrupper gjør i tillegg at det er vanskeligere å fremskaffe god dokumentasjon av nytten av behandling.

Det foreslås derfor at det ved vurdering av tiltak rettet inn mot særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand, eksempelvis barn med medfødte genetiske sykdommer, der det ofte ikke finnes god dokumentasjon av nytten kan aksepteres en høyere ressursbruk enn for andre tiltak. Rammene for en slik unntaksordning bør forankres i Stortinget gjennom denne meldingen og legges til grunn for vurdering og finansiering av nye legemidler på folketrygden og nye metoder i spesialisthelsetjenesten.”

Vi vil innledningsvis bemerke at det i utkast til § 14-5 tredje ledd er benyttet svært mange kvalitative vilkår som innsnevrer bestemmelsens virkeområde i betydelig grad. Det kan nesten synes som om departementet håper at ingen grupper vil kunne nyte godt av unntaket. Nærmere bestemt stilles det krav om både ”særskilte tilfeller”, ”særskilt små pasientgrupper”, ”svært alvorlig tilstand” og at ”forventet nytte av legemidlet er stor”. Det er imidlertid bare de to midterste av disse vilkårene som er skissert i Prioriteringsmeldingen og i innstillingen fra Helse- og omsorgskomiteen. Vi mener at kravet om ”særskilte tilfeller” bør strykes, da det er overflødig ved siden av øvrige vilkår. Vilårene om ”særskilt små pasientgrupper” og ”svært alvorlig tilstand” vil i seg selv sikre at det dreier seg om særskilte tilfeller, uten at det er behov for å understreke dette ytterligere. Når det gjelder kravet til at ”forventet nytte av legemidlet er stor”, så stiller vi spørsmål om dette er i tråd med regjeringens og Stortingets opprinnelige tanker, særlig fordi det kan synes som om man her oppstiller krav til dokumentasjon av nytten. Både regjeringen og Stortinget ga uttrykk for at det er vanskeligere å fremskaffe god dokumentasjon av nytten av behandling for små pasientgrupper, slik at en må senke dokumentasjonskravene i disse tilfellene (se for øvrig nedenfor til § 14-5 fjerde ledd).

Vi støtter Nasjonal kompetansetjeneste for sjeldne diagnoser (NKSD) i at det er vanskelig å forstå på hvilket grunnlag departementet definerer «særskilt små pasientgrupper» som en gruppe med færre pasienter enn 50, annet enn at det åpenbart har en økonomisk motivasjon. I Norge defineres en sjelden diagnose som en tilstand som rammer færre enn 1 av 10 000 personer, som vil si at det på landsbasis er færre enn 500 personer med diagnosen. Det er uvisst hvor mange som

har SMA i Norge, og antagelig er det færre enn 50 personer med sykdommen, men samtidig vil tallet være avhengig av hvor mange som tilfeldigvis er født med sykdommen eller har dødd på det aktuelle tidspunktet der legemiddelverket foretar sin vurdering. Det er således viktig at begrepet «særskilt små pasientgrupper» ikke tolkes for snevert.

Selv om det for legemidler til særskilt små pasientgrupper med svært alvorlige tilstander kan aksepteres noe høyere ressursbruk enn det som normalt anses som rimelig, understreker departementet at også for disse legemidlene må ressursbruken stå i et *akseptabelt* forhold til nytten. Vi setter spørsmålstegn ved om en slik presisering er nødvendig, og om den kan skape uklarheter ved sontringen mellom hva som er rimelig (annet ledd) og hva som er akseptabelt (tredje ledd). Det er ikke hensiktsmessig å illudere et høyere presisjonsnivå enn det som lar seg gjennomføre, og etter begge disse bestemmelsene må det uansett foretas konkrete helhetsvurderinger. Det er heller ikke i Prioriteringsmeldingen eller innstillingen fra Helse- og omsorgskomiteen foreslått noen slik presisering. Vi foreslår derfor å stryke setningen *”Ressursbruken må likevel stå i et akseptabelt forhold til nytten”*.

Til § 14-5 fjerde ledd – Dokumentasjon

§ 14-5 fjerde ledd annet punktum lyder som følger:

”Kvalitet og usikkerhet ved dokumentasjon og budsjettkonsekvenser av et tiltak skal tillegges vekt ved beslutningen.”

Departementet gir uttrykk for at det skal fremgå at vurderingen av kvalitet og usikkerhet ved dokumentasjon skal inngå i en totalvurdering av et tiltak før legemiddelverket treffer beslutning om innvilgelse av forhåndsgodkjent refusjon. Vi setter spørsmålstegn ved om formuleringen i tilstrekkelig grad reflekterer det budskapet den opprinnelig var ment å omfatte, nærmere bestemt at det skal aksepteres lavere krav til dokumentasjon av nytten ved behandling av små pasientgrupper med svært alvorlige sykdommer enn for andre tiltak, jf. sitatet fra Meld. St. 34 (2015–2016) side 151 inntatt ovenfor. Setningen kan like godt leses med motsatt fortegn, altså at det kreves et strengere dokumentasjonskrav, særlig sett hen til det foreslåtte kravet om at *”forventet nytte av legemidlet er stor”* i avsnittet over. Vi foreslår at fjerde ledd annet punktum strykes, eventuelt at den erstattes eller suppleres med følgende setning:

”Det kan aksepteres lavere krav til dokumentasjon av nytten ved behandling av særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand”.

Til § 14-7 Fullmaktsgrense

Forslag til § 14-7 lyder som følger:

”Forhåndsgodkjent refusjon for et legemiddel skal ikke innvilges uten Stortingets samtykke, dersom det vil lede til en vekst i utgifter til legemidler for folketrygden som overstiger 100 mill. kroner i minst ett av de første fem årene etter tidspunktet for refusjonsvedtaket.

Dersom flere legemidler vurderes for samme bruksområde og pasientgruppe, gjelder fullmaktsgrensen for samlet bruk.

Utgiftsveksten etter første ledd beregnes med utgangspunkt i legemidlets refusjonspris. Det gjøres fradrag for bortfall av refusjonsutgifter til konkurrerende legemidler med samme målgruppe.

Hvis utgiftsveksten til refusjon av et legemiddel overstiger fullmaktsgrensen skal Statens legemiddelverk gjennomføre en metodevurdering og vurdere om legemidlet oppfyller vilkårene i §§ 14-5 og 14-6 innen fristen som følger av § 14-11. Dersom vilkårene i §§ 14-5 og 14-6 er oppfylt oversendes vurderingen til departementet.

Legemidlets rettighetshaver kan påklage vurderingen etter fjerde ledd for så vidt gjelder saksbehandlingen. Forvaltningslovens bestemmelser om klage på enkeltvedtak gjelder tilsvarende.”

Stortinget sluttet seg i Innst. 57 S (2016-2017) til å øke denne grensen fra 25 til 100 mill. kroner. Dersom kostnadene overstiger fullmaktsgrensen kan ikke Statens legemiddelverk innvilge refusjon. I slike saker skal Statens legemiddelverk gjennomføre en metodevurdering og dersom vilkårene i §§ 14-5 og 14-6 er oppfylt oversende vurderingen til Helse- og omsorgsdepartementet. Departementet må vurdere saken og eventuelt fremme forslag til Stortinget om å finansiere legemidlet. Stortinget vil i så fall behandle forslaget som del av den ordinære budsjettprosessen.

Videre presiseres det i ordlyden at grensen gjelder for hvert av de første fem årene etter tidspunktet for refusjonsvedtaket. Departementet uttaler at *”Normalt vil utgiftene til et legemiddel stige gradvis, men i noen tilfeller kan utgiftene avta noen år etter refusjonsvedtaket. Med den foreslåtte ordlyd presiseres at året med de antatt høyeste refusjonsutgiftene er avgjørende for om fullmaktsgrensen er overskredet.”* Vi mener at det siste er urimelig. Når det gjelder SMA og

medisinen Spinraza, er kostnadene det første året dobbelt så høye som de påfølgende år, da det kreves et større antall injeksjonsdoser ved igangsetting av behandlingen enn ved vedlikeholdsbehandlingen. Vi antar at dette også kan være tilfelle for andre medisiner og sykdommer. Hvis en legger til grunn en pasientgruppe på ca. 50 personer, der kostnadene for vedlikeholdsbehandling er 2 millioner og for initialbehandlingen det dobbelte, noe som ikke er utenkelig ved sjeldne sykdommer, så vil en altså raskt overstige fullmaktsgrensen, noe som vil gi de uheldige konsekvensene som departementet selv peker på i drøftelsen om heving av bagatellgrensen:

”Med forslaget om at alle legemidler som finansieres av folketrygden skal metodevurderes og underlegges kostnadskontroll, vil en videreføring av dagens bagatellgrense innebære at vesentlig flere refusjonssaker må forelegges Stortinget. Dette utfordrer det legemiddelpolitiske målet om rask tilgang til effektive legemidler. Refusjonssaker for legemidler som overstiger bagatellgrensen kan bli liggende i departementet i lengre tid fordi det må prioriteres midler i den ordinære budsjettprosessen. Dette er et lite forutsigbart system for pasientene, myndighetene og legemiddelindustrien. Denne utfordringen vil forsterkes dersom en del av legemidlene som tidligere ble finansiert over individuell stønad må godkjennes i budsjettprosessen i Stortinget.»

Fremtiden ser således ikke særlig lys ut for SMA-pasienter, som vil kunne risikere at refusjonssakene ikke prioriteres av departementet i den ordinære budsjettprosessen, noe som gir et svært lite forutsigbart system, og at refusjonen i tillegg må godkjennes av Stortinget. Det er svært sannsynlig at barn med SMA vil dø i denne ventetiden, slik som også har skjedd dette året, der Spinraza-behandlingen har vært tilgjengelig gratis fra legemiddelprodusenten som ledd i et humanitært begrunnet Expanded Access program, men likevel ikke ble tatt i bruk ved norske sykehus før etter lengre tids påtrykk fra foreldregruppen m.fl.

Vi mener at det må gjøres tilsvarende unntak for særskilt sjeldne sykdommer også fra fullmaktsgrensen, som det gjøres fra vilkårene for refusjon. Hvis ikke blir det påtenkte vernet for barn med sjeldne sykdommer illusorisk. Under enhver omstendighet mener vi at det er gjennomsnittet av kostandene per år i den første femårsperioden som bør være avgjørende for om fullmaktsgrensen er overskredet, ikke året med de antatt høyeste refusjonsutgiftene. Vi foreslår følgende endring i ordlyden i første ledd (merket med kursiv):

”Forhåndsgodkjent refusjon for et legemiddel skal ikke innvilges uten Stortingets samtykke, dersom det vil lede til en vekst i utgifter til legemidler for folketrygden som overstiger 100 mill. kroner i *gjennomsnittlige kostnader per år i løpet* av de første fem årene etter tidspunktet for refusjonsvedtaket. *Dette gjelder likevel ikke ved behandling av særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand.*”

Videre foreslår vi at også pasienter og pårørende som den aktuelle behandlingen kan være til nytte for gis anledning til å påklage metodevurderingen, i likhet med legemiddelprodusenten. Dette er i aller høyeste grad vedtak som påvirker pasientens liv, og et slikt enkeltvedtak bør derfor kunne påklages etter alminnelige forvaltningsrettslige prinsipper. Bestemmelsen i § 14-7 femte ledd vil da lyde som følger:

”Legemidlets rettighetshaver *og pasienter eller pårørende som vedtaket har betydning for* kan påklage vurderingen etter fjerde ledd for så vidt gjelder saksbehandlingen. Forvaltningslovens bestemmelser om klage på enkeltvedtak gjelder tilsvarende”.

Avsluttende bemerkninger

Vi mener at prioriteringskriteriene for å tillatte og refundere Spinraza-behandling allerede etter gjeldende rett er oppfylt. Det er ikke tvil om at *alvorlighetsgraden* er stor ved SMA, da sykdommen medfører død, smerter og (i beste fall) medisinsk invaliditet i tidlige barneår. Det er også klart at *nytteverdien* av behandlingen er stor, da den forlenger livet til barn med SMA type 1 som ellers ville dødd i løpet av de første leveår, den gir barn med type 2 mulighet til å leve uten smerter, puste uten respirator og å gå for første gang, mens de med type 3 får muligheten til å få tilbake sin gangfunksjon og styrke i mage og armer. Nytteverdien av behandlingen er progresjon av muskelstyrke i motsetning til den degresjon som ellers vil skje. I denne konkrete saken så er faktisk også dokumentasjonen av nytteverdien til Spinraza god. Medisinen krever store økonomiske ressurser, men i prioriteringsmeldingen åpnet altså regjeringen for at det kunne aksepteres høyere *ressursbruk* i forhold til nytten ved vurdering av behandling av sjeldne, alvorlige sykdommer, og barn med medfødte, genetiske sykdommer ble særskilt nevnt. Når Beslutningsforum snart møtes for å drøfte hvorvidt Spinraza-behandling skal refunderes, er det derfor viktig å kontrollere at beslutningen fattes på riktig grunnlag. Vi viser i den sammenheng til at Helse- og omsorgskomiteen ga uttrykk for følgende i Innst. 57 S (2016–2017) punkt 2.4.2:

”Komiteen viser til at sjeldne tilstander med høy alvorlighetsgrad der aktuell behandling gir god nytte for pasienten, vil få prioritet med de foreslåtte kriteriene. [...]. Komiteen ber regjeringen følge spesielt opp behandlingstilbudet til personer med sjeldne sykdommer, slik at de fortsatt får et likeverdig tilbud etter at sykehusene overtar finansieringsansvaret for legemidler som tidligere ble finansiert over folketrygden.”

Vi vil også tillate oss å minne om at spesialisthelsetjenesten etter dagens lovgivning *ikke står fritt i sin prioritering* med hensyn til den alminnelige kost/nytte-vurderingen, jf. særmerknaden til lovbestemmelsen i lovforarbeidene Prop. 118 L (2012–2013). Formålsbestemmelsene i spesialisthelsetjenesteloven og pasient- og brukerrettighetsloven er utgangspunktet for vurderingen. Forsvarlighetskravet innebærer også at dersom en *bestemt type tjeneste er eneste alternativ* for å yte et forsvarlig tilbud til pasienten, har vedkommende pasient også et *rettskrav* på den bestemte tjenesten. Dette gjentas også i Prop. 61 L (2015–2016) om endringer i pasient- og brukerrettighetsloven. For SMA-pasienter er Spinraza den første og eneste eksisterende medisin. Det haster med å gi disse barna den nødvendige helsehjelp de har akutt behov for og som vi mener de også har krav på, både etter pasient- og brukerrettighetsloven, spesialisthelsetjenesteloven og prioriteringskriteriene. Det er svært uheldig dersom departementet gjennom et forskriftsarbeid som i stor grad synes å være styrt av et ønske om kostnadsreduksjon, vil forringe situasjonen ytterligere for denne og liknende sårbare pasientgrupper.

Vennlig hilsen

Lise Lehrmann

På vegne av foreldregruppen Stopp SMA