

Høringsinnspill: «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.»

Koalisjonen for sjeldne sykdommer viser til høringsbrev fra Helse- og omsorgsdepartementet (HOD) datert 21. april 2017, og ønsker med dette å avgi vår høringsuttalelse. Koalisjonen er særlig opptatt av høringsens forslag til endringer knyttet til små pasientgrupper, og vil i vårt innspill først og fremst knytte våre kommentarer til de foreslåtte endringene på dette området.

For små pasientgrupper er det viktig å videreføre tanken om individuell refusjon som et **sikkerhetsnett**, dette kom klart frem i Stortingets behandling av prioriteringsmeldingen. Små pasientgrupper er unntaket fra regelen og passer ikke inn i «formen» som gjelder prioritering på gruppenivå – det er viktig å bevare hensynet til den enkelte pasient og tilgang til behandling der den finnes. Fra et regulatorisk perspektiv blir orphan designation gitt fordi det er et udekket medisinsk behov – dette behovet gjelder også for norske pasienter og uavhengig av prioritering og økonomiske betraktninger.

Hva er sjelden sykdom?

Nasjonalt kompetansetjeneste for sjeldne diagnoser definerer diagnoser som forekommer hos færre enn 500 individer – eller 1 per 10 000 innbygger i Norge som sjeldne sykdommer. I Europa, herunder hos de europeiske legemiddelmyndighetene (EMA), har man en bredere definisjon: færre enn én per 2000 personer, det vil si 5 per 10 000 innbyggere.

Det finnes ca. 30 000 personer i Norge som lever med en sjelden sykdom. Sykdommene kan være svært alvorlige, livstruende, forverres over tid og kan medføre forkortet levealder. Sykdommene kan være arvelige og medfødte, eller oppstå senere i livet. På verdensbasis har man i dag identifisert ca. 7000-8000 ulike sjeldne diagnoser og det finnes medikamentell behandling for ca. 1 prosent av disse. Dette viser at det finnes et stort udekket medisinsk behov for de som lever med en sjelden diagnose.

Ettersom det kun finnes medisiner for ca. 1 % av de sjeldne diagnosene, er det åpenbart et stort behov for medisinsk innovasjon. Det er utviklet nye sikre og effektive legemidler innenfor området av sjeldne tilstander og muligheten til å behandle sykdom er vesentlig bedre enn tidligere. For å sikre ytterligere forskning og innovasjon innen det som defineres som Rare Disease/sjeldne sykdommer må de medisinene som finnes innen området tas i bruk.

Koalisjonen reagerer på at departementet har endret på hva som utgjør en «særskilt liten pasientgruppe». I utkastet til forskrift fremkommer det at den nye utregningen skal være «om lag én pasient per 100.000 innbygger per metode på verdensbasis, eller mindre enn om lag 50 pasienter i Norge per metode». Vi er uenig med departementets forslag til bruk av en ny definisjon, og mener det er underlig at man i prioriteringssammenheng skal benytte seg av en annen og strengere definisjon enn det som allerede er etablert praksis i Norge og internasjonalt. Norge skal nå etablere sin første nasjonale plan for sjeldne diagnoser, det er da spesielt uheldig å innskrenke mulighetene til denne sårbare pasientgruppen. Den nasjonale planen er en plan et samlet Storting står bak, med støtte fra Helseministeren. Den forventede nasjonale planen vil miste sin mening uten en trygg og forutsigbar nasjonal finansiering av kompetanseoppbygging, diagnostisering og behandling. For flere pasienter som i dag er omfattet av sjeldenhets definisjon, vil konsekvensene være så store at de vil risikere å ikke få nødvendige medisiner, som i enkelte tilfeller er livsnødvendige.

Kriterier for prioritering – forslag til operasjonalisering

I tillegg til å foreslå en ny definisjon av hva som skal betraktes som sjelden legges det ytterligere «vilkår» til grunn i forhold til hvem som skal kunne motta behandling.

Vi stiller oss uforstående til hva departementet mener med at det skal «være minst to vunne gode leveår sammenlignet med standard behandling». Skal det stilles høyere krav til «vunne gode leveår» for sjeldne diagnoser, enn andre anerkjente diagnoser?

Vi stiller oss også uforstående til alvorlighetskriteriet «absolutt prognosetap som tilsvarer minst 30 tapte gode leveår».

Vi mener kravet som er foreslått er for absolutt og konkret. Det må tas høyde for fremtidig innovasjon for fremtidens legemidler hvor medisiner kan bidra til flere gode leveår og hvor pasientene vil ha behov for medisinene. Det er viktig å understreke at disse pasientene i stor grad har progredierende kroniske sykdommer.

Vi oppfordrer til at disse kriteriene ikke blir absolutte, men at det må gis rom for å utøve skjønn. Kriteriene kan heller ikke være uttømmende eller kumulative.

Metodevurdering av legemidler for sjeldne sykdommer

Koalisjonen er positive til at departementet nevner at man kan kreve lavere dokumentasjonskrav for denne gruppen. Vi er likevel bekymret for at det i utkast til endringer fremkommer at «ingen nye legemidler skal finansieres av det offentlige uten at det foreligger en metodevurdering». Dersom en positiv metodevurdering etter prioriteringskriteriene blir normen, vil det gjøre det tilnærmet umulig å få legemidler/nye metoder for sjeldne sykdommer gjennom og at innovasjoner for å møte udekkede medisinske behov blir tatt i bruk. Majoriteten av legemidlene på sjeldenfeltet vil aldri ligge innenfor rammene for finansiering av legemidler. Dokumentasjonskravet som foreligger i dag under dagens metodevurdering er for omfattende for legemidler for sjeldne sykdommer, det er viktig å forstå hva som ligger i «levere dokumentasjonskrav». Pasientgruppen er liten, og det vil dermed ikke være mulig å få nok pasienter til å gjennomføre randomiserte kliniske studier. Når vi tilnærmet aldri vil klare å oppfylle kravene, ser vi på det som lite hensiktsmessig å innføre slike krav – både for industrien, men også for det offentlige. Dette vil resultere i svært begrenset tilgang til nye og innovative legemidler for behandling av sjeldne sykdommer i Norge, da man ikke vil kunne oppnå refusjon for disse.

Fortsatt nasjonal finansering er viktig

For pasienter som tilhører sjeldne diagnoser fungerer individuell refusjon i dag som et sikkerhetsnett som muliggjør medikamentell behandling (der den finnes) når diagnosen er bekreftet.

Et system med metodevurdering basert på prinsippet om at finansieringsansvaret skal følge behandlingsansvaret vil etter vår mening innebære en mer fragmentert og mindre forutsigbar finansieringsordning for pasienter med sjeldne sykdommer. Med et slikt system, mener vi at man risikerer at noen sykdommer framover vil finansieres av folketrygden mens de fleste vil bli finansiert av sykehusene. Sykehusenes økonomi varierer i større grad enn det man har vært vant til for folketrygden. Dette vil kunne medføre, avhengig av perspektiv, til større utrygghet for pasientene. For sykehusene kan det bety mer finansiell usikkerhet, man vet ikke for mange pasienter de har ansvar for med en kostbar behandling, og mindre forutsigbarhet for leverandørene. Dette kan neppe

være i tråd med Stortingets intensjon om å bevare individuell refusjon som et sikkerhetsnett mot store og uforutsette kostnader. Det synes også å stemme dårlig over ens med de verdier som ligger til grunn for våre universelle velferdsordninger.

For å sikre tilgang på ny og effektiv behandling, må legemidler til sjeldne sykdommer fortsatt finansieres på nasjonalt nivå. **Alle som oppfyller dagens benyttede definisjon av sjeldne sykdommer må kvalifisere for en vurdering innenfor unntaksordningen.**

Oppsummering:

Koalisjonen vil spesielt trekke frem:

- Metodevurdering av et medikament til en sjelden sykdom må gjøres ut i fra andre kriterier enn det som foreligger i dag for legemidler, da et legemiddel for en sjelden sykdom ikke vil falle innenfor rammene for finansiering. Disse kriteriene må defineres, og utvikles i samarbeid med klinkerne og de som står nærmest pasienten. Her stiller Koalisjonen sine ressurser og kompetanse til disposisjon
- Sjeldne diagnoser tilhører ikke hverdagen, selv ikke for en medisinsk spesialist. Den medisinske ekspertisen er spredt til et fåtall leger på landsbasis. Det er viktig å ivareta den medisinskfaglige vurderingen av pasienten. Legen bør gjøre sin vurdering og samtidig kunne ivareta de etiske aspektene ved behandling av sjeldne diagnoser uten å måtte forholde seg til sykehusenes budsjetter
- Myndighetene må skape forutsigbarhet og trygghet for en pasientgruppe som ofte står alene. En nasjonal ordning for alle pasienter rammet av en sjelden sykdom innenfor den norske definisjonen av en sjelden sykdom (opp til 500 pasienter) vil sikre lik behandling uavhengig av hvilket sykehus eller lege pasienten treffer. Derfor er det viktig å videreføre finansiering av legemidler for sjeldne sykdommer (opp til 500 pasienter) gjennom en tilpasset unntaksordning som individuell refusjon
- Tallfestelsene av antall vunne leveår, absolutt prognosetap og definisjon av antall pasienter som blir presentert i denne forskriften er ukjente for Koalisjonen, kliniske eksperter og pasienter. Vi stiller oss spørrende til hvilket grunnlag disse tallene er bygget på.