



open

KRITISK TIL ENDRINGER: Regjeringens regelendringer svarer ikke til Stortingets ønske om å styrke innsatsen mot sjeldne sykdommer, ifølge åtte legemiddelselskaper – her representert ved Hege Kristin Hagen i Sanofi og Kristin Mesteig i Shire. **Foto:** Vidar Sandnes

- LEGEMIDDELPOLITIKK

Frykter dårligere tilgang til legemidler mot sjeldne sykdommer

– Vi savner en grundig analyse av hvilke konsekvenser denne innstramningen vil gi for en såpass sårbar pasientgruppe, uttaler åtte legemiddelselskaper som spesialiserer seg på sjeldne tilstander.

Publisert: 2017-09-25 14.46

Øyvind Bosnes Engen

oyvind.bosnes.engen@dagensmedisin.no

Del:

Helse- og omsorgsdepartementet (HOD) foreslo før sommeren flere endringer i legemiddelregelverket, med sikte på å sette mange av tiltakene fra Legemiddelmeldingen og Prioriteringsmeldingen ut i livet. Endringene i legemiddelforskriften og blåreseptforskriften ble vedtatt tidligere denne måneden, og trer etter planen i kraft ved nyttår.

Åtte selskaper som spesialiserer seg på legemidler mot sjeldne sykdommer, frykter nå at endringene vil gjøre tilgjengeligheten dårligere for slike medikamenter.

– For flere pasienter som i dag er omfattet av sjeldnehetsdefinisjonen er konsekvensene så store at de vil risikere ikke å få nødvendige medisiner, som i enkelte tilfeller er livsnødvendige, uttaler Koalisjonen for sjeldne sykdommer, bestående av selskapene Amicus, Alexion, Chiesi, Sanofi, Shire, SOBI, Vertex og Zogenix.

Høyere pengebruk

Hensikten med de nye reglene er at alle nye legemidler og indikasjoner skal metodevurderes ut fra de samme prioriteringskriteriene – sykdommens alvorlighet, behandlingens nytte og ressursbruken – uavhengig av hvordan medikamentene er finansiert.

I legemiddelforskriften åpner regjeringen likevel for at myndighetene skal akseptere en høyere pengebruk på å behandle «særsilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand», gitt at det er en stor forventet nytte ved å innføre behandlingen. Departementet definerer disse gruppene som pasientpopulasjoner på mindre enn én pasient per 100.000 innbyggere på verdensbasis, eller færre enn rundt 50 pasienter i Norge.

«Statens legemiddelverk må se de to størrelsene i sammenheng når det skal vurderes om et legemiddel kan omfattes av denne bestemmelsen, og det må gjøres konkrete vurderinger fra sak til sak med utgangspunkt i disse veiledende størrelsene», skriver departementet.

Bestemmelsen skal dessuten kun gjelde svært alvorlige tilstander – et begrep regjeringen definerer som sykdommer med en prognose på 30 tapte leveår. I tillegg stiller departementet krav om at behandlingene som dekkes av bestemmelsen må utgjøre en betydelig forbedring sammenlignet med tilgjengelig behandling, det vil si minst to vunne leveår.

– Ukjente tall

De åtte legemiddelselskapene er kritiske til at regjeringen har innført en definisjon på «særsilt små pasientgrupper», som er snevrere enn den vanlige definisjonen på sjeldne diagnoser. EU opererer med en definisjon på én pasient per 2000 innbyggere, mens Nasjonal kompetansetjeneste for sjeldne diagnoser opererer med tallet én pasient per 10.000 innbyggere. Selskapene stiller også spørsmål om hva som er det faglige grunnlaget for regjeringens foreslåtte krav om prognosetap ved sykdommen og nytte av behandlingen.

– Tallfestelsene av antall vunne leveår, absolutt prognosetap og definisjon av antall pasienter som blir presentert i denne forskriften er ukjente for oss i koalisjonen. Dette gjelder også de kliniske eksperter og pasientene vi har vært i dialog med. Vi stiller oss spørrende til hvilket grunnlag disse tallene bygger på, og savner en grundig analyse av hvilke konsekvenser denne innstrammingen vil gi for en såpass sårbar pasientgruppe, sier de i en felles uttalelse til Dagens Medisin Pharma.

I tillegg påpeker selskapene at metodevurdering av legemidler mot sjeldne sykdommer, nødvendigvis har mindre dokumentasjon, ettersom pasientgruppene ofte er for små til å gjøre randomiserte kliniske studier. De tar til orde for fortsatt nasjonal finansiering av legemidler mot sjeldne diagnoser.

Jobber med plan

Koalisjonen viser til at Stortinget ved behandlingen av Prioriteringsmeldingen ba 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».

Selskapene peker også på at helseminister Bent Høie (H), i en interpellasjonsdebatt på Stortinget i januar, erklærte at regjeringen vil sette i gang arbeidet med en nasjonal plan for sjeldne diagnoser – en beslutning som fikk bred støtte på Stortinget.

– Koalisjonen mener derfor det er litt pussig at departementets forslag til endringer synes å gi det planlagte arbeidet et snevrere grunnlag og potensielt handlingsrom hva gjelder sjeldenhet. For oss virker det som departementets endringsforslag ikke på en god måte ivaretar Stortingets intensjoner om å styrke sjeldenfeltet, uttaler koalisjonen.

– *Mener dere regelendringene vil føre til at legemidler som i dag ville fått finansiering, ikke får finansiering i det nye regimet?*

– Det gjenstår å se, men slik vi leser endringsforslagene, frykter vi dette.

– *Er dere optimistiske til at regjeringen vil gå tilbake på noen av punktene?*

– Akkurat nå arbeides det med den nasjonale planen for sjeldenhet, og vi mener at man bør lytte til tilbakemeldingene fra fagmiljøet om hvilken definisjon som bør ligge til grunn i Norge. Vi mener at en eventuelt ny definisjon også må legges til grunn for vurdering av nye legemidler og finansiering av disse. Således håper vi at regjeringen vil måtte ta en ny runde på disse punktene, uttaler Koalisjonen for sjeldne sykdommer.