



Norsk forening for cystisk fibrose

Til

Cecilie Brein-Karlsen

Statssekretær

Helse- og omsorgsdepartementet

(Brev sendt rådgiver HOD Anita Opheim (anita.opheim@hod.dep.no))

Ad. Tilgang til nye medikamenter Cystisk fibrose

Norsk forening for cystisk fibrose (NFCF) takker for invitasjonen og ser fram til møtet 26/6-14. NFCF jobber for at alle med Cystisk fibrose (CF) i Norge skal få tilgang til nye, persontilpassede presisjonsmedisiner* når disse foreligger. Slike medikamenter er en revolusjon i behandlingen av CF, og vi følger med forventning og noe uro den debatten som foregår rundt tilgangen til denne type medikamenter.

* tidligere kalt årsakskorrigerende

NFCF vurderer status om CF og persontilpassede medikamenter som følger:

Helseminister Bent Høie slår fast at CF er en meget alvorlig sykdom som fører til redusert livskvalitet og tapte leveår. I et innslag på TV2-nyhetene 22/5-14 uttrykte Høie at alle som oppfyller de medisinske kravene skal få medikamentet som bremser utviklingen av den dødelige sykdommen Cystisk fibrose. NFCF oppfatter Helseministerens utspill slik at CF-pasientene som pr. i dag får Kalydeco skal fortsette å få det, og at de ca. 70 % av norske pasienter med CF som kan ha effekt av kommende, presisjonsmedisiner, skal få slik behandling. Høie presiserer at det er pasientenes medisinske indikasjoner som skal legges til grunn for vurderingen av tilgang til medikamentene. Han sa også at beslutning i Nasjonalt råd for kvalitet og prioritering i helse- og omsorgstjenesten (videre kalt Rådet), ikke har noen betydning for om disse pasientene skal få dette legemiddelet eller ikke. Han slår fast at alle som har søkt om dette legemiddelet, har fått dette og at Rådets beslutning ikke vil ha noen betydning for måten søknader blir behandlet på for pasienter som har behov på disse medikamentene.

NFCF oppfatter med dette at medikamentet "Kalydeco" er sikret, og at medikamenter som Lumacaftor (utviklingsnavn VX-809) som vil komme innen kort tid og som kan benyttes av ca. 70 % av CF-pasientene skal tilståes. Vi oppfatter Helseministerens svar som et JA, med intensjon om at personer med CF ut fra medisinske kriterier skal ha tilgang til kommende persontilpassede medikamenter. Vi har grunn til å tro at dette vil gi rundt 200 pasienter et vesentlig bedre og friskere liv innen kort tid, og på noe sikt kanskje hele CF-befolkningen.



Det er knyttet uklarhet rundt flere av helseministerens utsagn. NFCF har derfor flere spørsmål som vi vil be Helseministeren avklare før vi kan være helt trygge på at vi faktisk får medikamentene vi trenger:

1. Sikkerhet/trygghet for at eksisterende og fremtidige varianter av persontilpassede medikamenter for CF gis refusjon etter medisinske kriterier

I nevnte tv-innslag uttrykte Helseministeren at pasienter med de medisinske indikasjonene, som skal til, kan søke og at ingen av de som har søkt til nå har fått avslag. Videre, sies det at Rådets beslutning ikke vil ha noen betydning for behandlingen av søknader.

NFCF's medlemmer oppfatter Høies utspill som positivt, men opplever at utspillet er noe uklart vedrørende om denne praksisen vil være gjeldende også i fremtiden.

Vi ønsker en forsikring om at eksisterende og fremtidige varianter av persontilpassede medikamenter for CF gis refusjon etter medisinske kriterier og inngår som en del av den ordinære foreskriving av legemidler for CF. NFCF ser en sentral finansiering som helt avgjørende for å sikre lik tilgang til medisiner uavhengig av hvor i Norge man bor. Kan departementet imøtekomme oss på dette?

2. Vurdering av medisinske kriterier må ligge hos kompetent nasjonalt fagmiljø

I innslaget på TV2-nyhetene 22/5-14 legger Helseministeren vekt på at det er de medisinske indikasjonene som skal legges til grunn i vurderingen av søknader. Helseministeren sier i spørretimen 28/5-14 at "Det vil være en medisinsk indikasjon at en har denne mutasjonen, at en tilhører den pasientgruppen som skal ha dette legemidlet, som vil være grunnlaget for at en får (individuell) refusjon".

Ut i fra rent medisinske kriterier er presisjonsbehandling per i dag klart indisert for den gruppen av pasienter med CF som har minst én såkalt type III mutasjon.



Norsk forening for cystisk fibrose

Det dreier seg i all hovedsak om mutasjonen G551D og enkelte andre definerte og svært sjeldne mutasjoner. I alt gjelder dette 4-5 % av norske CF-pasienter.

På bakgrunn av at CF er en medisinsk progredierende multiorgansykdom med komplisert genetikk, må det være et medisinsk kompetent fagmiljø som tar de behandlingmessige avgjørelsene.

NFCF mener at Norsk senter for cystisk fibrose (NSCF) og Nasjonal kompetansetjeneste for sjeldne diagnoser (NKSD) må få ansvaret for å avgjøre om en pasient møter de medisinske kriteriene for å starte behandling med presisjonsmedisiner for CF.

Hva gjelder kommende presisjonsmedisiner som vil kunne brukes av større del av CF-populasjonen, må det gis tilgang til å prøve ut nye medisiner, etter samme kriterier.

NFCF forutsetter at det etableres nasjonale kriterier for indikasjonstilling, utelukkelseskriterier, samt systematisk oppfølging og behandling av disse pasientene. Effekt av behandling må dokumenteres ved registrering av standardiserte parametre, fortrinnsvis i et nasjonalt CF-register. På denne måten kan pasientene følges tett over tid og respons kan monitoreres individuelt og på gruppebasis.

Hvordan vurderer Helsedepartementet dette forslaget?

3. Norheim-utvalgets rolle iht. persontilpassede medikamenter for CF

Norheim-utvalget skal vurdere prioriteringskriteriene på nytt og helseministeren sier i Stortingets spørretime 28/5-14 at "det er for tidlig å si noe om utfallet av deres arbeid". NFCF stiller spørsmål ved hvilken rolle Norheim-utvalget skal ha i denne saken?

NFCF er også kjent med at Helse- og omsorgsdepartementet har bedt Helse Sør-Øst om å gjennomføre en Nasjonal utredning av persontilpasset medisin i helsetjenesten. Hva er status på dette arbeidet?

4. Totalkostnaden ved IKKE å ta i bruk de nye presisjonsmedikamentene

I faglige miljø regnes ikke QUALY-analyser som hensiktsmessig for å vurdere sjeldne, alvorlige tilstander når kost-nytte skal fastsettes. NFCF har ikke sett noen



kostnadmessig analyse som viser kostnadene ved IKKE å bruke nye revolusjonerende presisjonsmedikamenter (inkludert alt av behandlingstkostnader, sosiale og trygdemessige omkostninger, sykehusinnleggelser osv). I tillegg til de nevnte utgifter kommer at "totalkostnadene" for en person med CF vil være økende i tråd med progresjon av sykdommen. Alternativet til ikke å bekoste medikamentene er *ikke* null. Vi stiller spørsmål med hvordan Rådet har vurdert og konkludert med at helseeffekt/nytte ikke står i forhold til kostnad, og at prislappen settes isolert sett til 2.5 millioner pr. år.

5. Rettferdighet og likeverd

Pasientgrupper skal settes opp mot hverandre i et "prinsipp om likeverd" (Helse- og omsorgsdepartementet ved Jon Berg). Nordheim-utvalget skal drøfte hvor stor avstand det kan være mellom den helsegevinsten som oppstår hos en pasientgruppe og det helsetapet som påføres andre pasientgrupper. NFCF håper da at CF sammenlignes med diagnoser som er livsstilsrelaterte.

Steinar Madsen (fagdirektør i Legemiddelverket) sier at i et radioinnslag i NRK Nyhetsmorgen 12/6-14 at *"det er humanisme, rett og slett at vi skal gi god behandling til mennesker som har en sykdom de ikke selv kan noe for, som har en arvelig sykdom"*.

Leder i Helse- og omsorgskomiteen Kari Kjos sier i samme innslag at *"forskning og nye medikamenter er et gode og det skal vi være veldig takknemlig for. Det er vanskelig med disse sjeldne sykdommene fordi at der er så få å fordele regningen på, så de må nødvendigvis bli dyrere. Og det ville være veldig urettferdig for de menneskene som har den sjeldne sykdommen at vi skulle si at fordi at dere er så få, så er ikke dere like viktig."*

Dersom noen må påføres et helsetap pga. økonomi bør det vel ikke være barn og unge mennesker som er født med en alvorlig, dødelig lungesykdom?

6. Erfaringer fra andre land

NFCF har etter samarbeid med pasientorganisasjoner fått kjennskap til at land som Storbritannia, Irland og Tyskland har etablert ordninger hvor CF-pasienter får tilgang til de nye presisjonsmedisinene innenfor de vanlige foreskrivningssystem for legemidler. Det må ikke søkes for hver enkelt pasient. Ut fra en medisinsk vurdering basert på genetik og symptomer kan legene foreskrive medikamentene. Prisforhandlinger gjennomføres av myndigheter eller forsikringsselskap.



Norsk forening for cystisk fibrose

NFCF håper at Norge, som et av verdens rikeste land, har politisk vilje og økonomisk råd til å la sine ca. 300 CF-pasienter få tilgang til den til enhver tid beste eksisterende medisinske behandling slik det har vært fram til nå. Når et barn i 2014 får CF-diagnose ved nyfødtscreening og behandles med persontilpassede medikamenter kan det kanskje få vokse opp og leve et liv tilnærmet som friske. CF-syke barn og unge voksne kan kanskje få utsatt lungetransplantasjon eller unngå tidlig død. Har vi råd til å la være?

NFCF ønsker å vite hva vi kan forvente iht. prosess og beslutning videre i denne saken. Vi har ventet i årevis på en "cure for CF", og nå er vi nærmere enn noensinne! Nye medikamenter utgjør en revolusjon for barn og unge mennesker som lever med alvorlig og svært behandlingskrevende, progredierende lungesykdom. Og det vil være en katastrofe for de samme menneskene å skulle leve med å vite at det finnes medisiner som Norge ikke har råd til å påkoste dem.

CF var for et par tiår siden en sykdom hvor de fleste døde som barn. Med de nye persontilpassede presisjonsmedisinene er CF ikke lenger en uovervinnelig sykdom. Medikamentene er tilpasset den enkelte pasients genetikk og symptomer og med et nasjonalt kvalitetsregister for CF på plass kan effekt for den enkelte pasient følges. Det er vel slik behandling både pasient, behandlingsapparat og politikere ønsker?

Bremsnes 23/6-14

Mvh
Ann Iren Kjønnøy
Leder