



Sekretariatet for Nye Metoder  
Att: Sekretariatet  
Helse Sør Øst  
2303 Hamar

Vår ref:  
Frode Jahren

Deres ref:  
[Ref]

Jessheim, 30.06.2023

### **Alfa – 1 – en medisinsk avklaring må på plass**

LHL er en medlemsbasert og ideell pasientorganisasjon som arbeider for å sikre at våre pasientgrupper får rett, og adekvat behandling. En av de pasientgruppene LHL representerer er rammet av A1AT-mangel (Alfa-1 antitrypsinmangel). Det er vårt mål at de som er rammet av dette får en bedre livskvalitet, bedre helse, tilgang på helsehjelp og rett medisin.

A1AT-mangel er en arvelig sykdom som skyldes en genfeil. Denne genfeilen kan føre til lungeskade og kronisk lungesykdom. Samtidig disponerer mangelen for leversykdom. Alfa-1-antitrypsin (A1AT) dannes i leveren, og sirkulerer med blodet rundt i kroppen. Proteinet er nødvendig for å holde lungene friske, og beskytte dem mot skader. Pasienter med A1AT-mangel lever med høy risiko for å utvikle emfysem, og redusert lungekapasitet – sykdommer som åpenbart reduserer livskvalitet og helsetilstand.

A1AT-mangel er definert som en sjelden sykdom. Legemidlene som har virkestoffet Alfa-1 antitrypsin er kostbare, men er en strengt nødvendig behandling pasientgruppen må ha, ettersom de ikke har tilgang på annen livsforlengende medisin. Vi vet at det forskes for lite på sykdommen her i Norge dag. Vi vet at medisiner med dokumentert effekt ikke dekkes av kriteriene som gir finansieringsansvar til RHF-ene. Nå ligger det en sak til behandling i Bestiller forum/Nye Metoder som pasientene venter spent på utfallet av, og som vi ber om at kommer til en positiv avklaring.

Legemidlene Respreeza og Prolastina har vist en dokumentert effekt for pasienter med A1AT -mangel, og de er i bruk i flere andre land. I Norge er prisen for medisinene høy, og LHL ber om at Nye Metoder fatter en positiv beslutning som sikrer at medisinene blir tilgjengelige for de 60-80 personer dette gjelder, og kommer inn i finansieringsordningen. Brukerrepresentanter for pasientgruppen ser gjerne at det gjennomføres et møte med Nye Metoder for å informere om den kunnskap brukergruppen sitter med slik at en positiv beslutning kan fattes snarest. Interessegruppen Alfa-1 ber også om at Nye Metoder svarer på skriftlige innspill, og at disse publiseres.

Med vennlig hilsen

Frode Jahren  
Generalsekretær LHL