

Innspillskjema forslag/metodevarsler

Alle har anledning til å komme med tilleggsopplysninger til en metode (forslag/metodevarsel) som er foreslått for nasjonal metodevurdering før den behandles av Bestillerforum RHF. Bruk dette skjema for å gi innspill til forslag/metodevarsler på metoder som har status «Forslag mottatt/åpent for innspill».

Innsendte skjema vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no. Dersom det er nødvendig informasjon for utfylling av skjemaet som ikke kan offentliggjøres ta kontakt med sekretariatet [før innsending](#).

NB! Leverandører/produsenter bruker spesielle skjemaer for innspill, se [leverandører](#).

Jeg er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (kryss av):

Jeg har fylt ut punkt 5 nedenfor «Interesser og eventuelle interessekonflikter» (kryss av): X

1.Hvilken metode	
Metodens ID nummer*:	ID2017_001
Metodens tittel:	Nusinersen (Spinraza) Ved behandling av spinal muskelatrofi (SMA)

*ID2016_XX

2. Opplysninger om den som gir innspill	
Fornavn, Etternavn	Lise Lehrmann
Eventuell organisasjon	Facebookgruppen Stopp SMA
Kontaktopplysninger (e-post og/eller telefon)	Lise.lehrmann@hotmail.com , 99523538

<p>3. Har du opplysninger om bruken av metoden i Norge i dag? Ja/Nei</p> <p>Hvis metoden er i bruk: Fra hvilket tidspunkt har det vært i bruk: Nevn eventuelt(le) sted(er) den er i bruk:</p> <p>Innledningsvis vil jeg si litt om sykdommen, for å utfylle den søknaden som er kommet inn.</p> <p>Spinal Muskelatrofi (SMA) er en sjelden, arvelig, nevrologisk sykdom som fører til fremadskridende muskelsvakhet. Sykdommen skyldes en feil på SMN1-genet. De motoriske nervecellene i ryggraden er ødelagt fra fødselen av, og dette medfører at de ikke gir signaler til de forskjellige muskelgruppene i kroppen. Dersom musklene ikke får sine signaler, vil de ikke bli stimulert til utvikling og vil etter hvert dø. Jo flere motoriske nerveceller som har blitt ødelagt, desto sykere blir barnet.</p> <p>På bakgrunn av dette deles SMA i tre grupper etter start og alvorlighet av muskelsvekkelse. 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</p>

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 kommer i rullestol tidlig på barneskolen. SMA er en hjerteskjærende sykdom for de få familier som blir rammet av den. Vi vil understreke at alle formene for SMA er svært alvorlige. Også SMA type 3 fører til 100 % medisinsk invalid og at man blir svakere for hver dag som går.

SMA virker ikke inn på de kognitive evnene til barnet. Snarere virker barn med diagnosen å være svært intelligente og tilpasningsdyktige, kanskje som et resultat av stadig problemløsning i hverdagen for å kompensere for de fysiske manglene. Men barna utsettes for store psykiske belastninger, kanskje spesielt de som når ungdomsalderen, som følge av å leve med usikkerheten om fremtiden og å oppleve tap av motoriske ferdigheter.

En utvikling i forskningen skaper håp om et bedre liv for barn med SMA. Lille juleaften 2016 ble medisinen Spinraza (Nursinersen) godkjent i USA av US Food and Drug Administration (FDA). Godkjennelsen gjaldt både barn og voksne, med samtlige typer SMA. Vi viser til link nedenfor:

<http://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm534611.htm>

http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2016/209531lbl.pdf

Det ble foretatt kliniske forsøk med 121 barn som var diagnostisert med SMA før 6 måneders alderen. Ca. 40 % av de som mottok Spinraza oppnådde nye såkalte "motor milestones", som hodekontroll, å sitte, å sparke, å rulle, å krabbe, å stå oppreist og til og med å gå! Det var dessuten ca. 60 % som opplevde en økning i muskel-poengscore på mer enn 4. Dette viser at Spinraza er effektiv ved behandling av SMA.

En rekke land har fått såkalt Expanded Access, det vil si tilgang til medisinen under forsøksperioden. Norge ble også tilbudt dette, men takket til manges fortvilelse nei, slik at barna først måtte reise til Sverige og dekke kostnadene selv. Så vidt vi forstår er dette nå reversert av norske helsemyndigheter, slik at barn med SMA type 1 nå skal få forsøksbehandling i Norge.

Det er søkt om markedsføringstillatelse for medisinen under navnet Nusinersen hos European Medicines Agency (EMA), og det er gitt status for rask behandlingstid. The Norwegian Paediatric Committee ga sin støtte til dette, se også linker nedenfor.

http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Report/2016/11/WC500216151.pdf

http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/includes/document/document_detail.jsp?webContentId=WC500215458&mid=WC0b01ac058009a3dc

Det er ventet at medisinen vil bli godkjent i EU førstkommande sommer 2017. Men dette vil likevel ikke hjelpe norske pasienter, så lenge det er opp til hvert enkelt land og å avgjøre om

de vil dekke kostnadene til behandlingen ved refusjon. Dersom norske helsemyndigheter nøyer seg med å sette den inn i felleskatalogen med hvit resept i stedet for blå, så er det kun en teoretisk mulighet for pasientene til faktisk å benytte medisinen på grunn av prisen (med mindre man er arving til en dagligvarekjede eller lignende).

Før helsemyndighetene engasjerer seg, vil små barn med SMA type 1 dø, mens større barn med SMA type 2 og 3 blir sittende i rullestol, får smerter, pusteproblemer osv. Det er ingen som vet hvor mange det er i Norge med sykdommen, og tallet endrer seg fort siden barn med SMA type 1 dør, men det antas ikke å være mer enn 50. Vi kjenner til 27 familier. I arbeidet med dette brevet har vi kommet i kontakt med en rekke andre foreldre, barn, ungdom og unge voksne i tilsvarende situasjon. De ønsker å gi uttrykk for sine tanker om situasjonen de er i, og jeg vedlegger derfor deres historier i punkt 4 nedenfor. Dette er en gruppe glemte barn som helsemyndighetene hittil ikke har brydd seg særlig om. Vi håper dette kan endre seg nå.

3. Er du det kjent med behandlingsalternativer til metoden som bør løftes frem?

I så fall beskriv kortfattet:

Nei, det finnes ingen reelle behandlingsalternativer for personer med SMA. Jeg ser at det i søknaden er nevnt salbumotal (Ventolin), men vil understreke at holdepunktene for at denne ventilasjonsmedisinen mot astma bedrer muskelstyrken er minimale, og en eventuell bedring avtar uansett fort. For SMA-pasienter er Spinraza/Nursinersen den første og eneste eksisterende medisin. De tiltakene som i dag igangsettes er kun av lindrende art, og de verken stopper eller reverserer sykdommens progresjon. For eksempel benyttes fysioterapi for å opprettholde sirkulasjon og fleksibilitet, skoliosekirurgi for å avhjelpe ryggdeformitet og respirator for å hjelpe pasienten å puste. Ingen av tiltakene kan anses som adekvat medisinsk behandling av sykdommen selv.

4. Er metoden aktuell for den norske spesialisthelsetjenesten?

I så fall beskriv kortfattet:

Ja, det bør den være, både av humanitære og rettslige grunner.

Gjeldende rett

Pasienter har rett til nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten, jf. pasient- og brukerrettighetsloven § 2-1 b. Begrepet «*nødvendig helsehjelp*» skal tolkes slik at det gir krav på nødvendig helsehjelp med en *forsvarlig standard*. Det fremgår av prioriteringsforskriften § 2 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.

Med *forventet nytte* menes at kunnskapsbasert praksis tilsier at aktiv medisinsk eller tverrfaglig spesialisert helsehjelp kan bedre pasientens livslengde eller livskvalitet med en viss varighet, at tilstanden kan forverres uten helsehjelp eller at

behandlingsmuligheter forspilles ved utsettelse av helsehjelp. Spesialisthelsetjenesten skal prioritere pasienter med rett til nødvendig helsehjelp ut fra alvorlighets- og hastegrad, jf. prioriteringsforskriften § 2 a. I prioriteringen av pasienter skal det legges vekt på prognosetap med hensyn til livslengde og livskvalitet dersom helsehjelpen utsettes. Det er på det rene at Spinraza/Nursinersen kan bedre SMA-pasienters livslengde og livskvalitet. Dette fremgår av den forskningen som er foretatt. Effekten av medisinen er for øvrig også omtalt i The Lancet, et anerkjent medisinsk tidsskrift.

[http://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736\(16\)31408-8/fulltext](http://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736(16)31408-8/fulltext)

Videre kan det slås fast at tilstanden vil forverres uten helsehjelp, samt at behandlingsmuligheter forspilles ved utsettelse av helsehjelp. Nyttevilkåret er således oppfylt.

Det ligger i kravet til «nødvendig helsehjelp» at det også må foreligge et rimelig forhold mellom kostnadene ved behandling og den forbedring av pasientens helsetilstand den eventuelle helsehjelpen forventes å gi. Det ligger med andre ord innebygd en *kost/nytte-vurdering* i vurderingen av hva som er å anse som nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten. Vi vet at det vil stilles spørsmål om det kan sies å være et rimelig forhold mellom kostnadene ved Spinraza/Nursinersen-behandling og forbedring av pasienters helsetilstand. Hva er egentlig prislappen på et menneskeliv? Og hvor mye er det verdt å kunne puste selv og å kunne gå, for en som er 100 % medisinsk invalid? Det er også flere forhold som det her må legges vekt på. For samfunnet vil det være en økonomisk besparelse at det blir mindre behov for habiliteringstiltak, assistanse, hjelpemidler og kirurgiske inngrep. De med SMA-diagnose vil kunne bli høyt fungerende samfunnsborgere med riktig medisiner. Det kan også nevnes at det pågår mye forskning på andre metoder for å kunne kurere SMA. Dette innebærer at man forhåpentligvis etter hvert vil kunne gå over på andre og billigere medisiner, noe som vil redusere de samlede utgiftene.

Det er dessuten viktig å understreke at spesialisthelsetjenesten *ikke står fritt i sin prioritering* med hensyn til 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/Nursinersen den første og eneste eksisterende medisin.

Prioriteringsmeldingen

Sjeldne diagnoser ble omtalt i prioriteringsmeldingen, som ble fremmet av regjeringen våren 2016 i melding til Stortinget (*Meld. St. 34 (2015–2016) Verdier i pasientens helsetjeneste - Melding om prioritering*). Her ble det anbefalt at tiltak i helsetjenesten skal vurderes ut fra tre prioriteringskriterier – nyttekriteriet, ressurskriteriet og alvorlighetskriteriet. Regjeringen fant at det ikke var grunnlag for å

innføre et selvstendig prioriteringskriterium for sjeldenhet, men 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). På side 151 heter det følgende om små pasientgrupper med svært alvorlige tilstander:

”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.”

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. Det innebærer at prioriteringsmeldingen vil inngå som en meget viktig rettskilde ved tolkningen av vilkårene i pasient- og brukerrettighetsloven.

Høsten 2016 ga Stortinget sin enstemmige tilslutning til de foreslåtte kriteriene. Stortinget presiserte i den sammenheng at slike sårbare grupper ikke skal komme dårligere ut med de endringene i prioriteringer som ble foreslått i meldingen.

Beslutningsforum for nye metoder

På sine nettsider *nyemetoder.no* gir Beslutningsforum uttrykk for at de legger lov om pasient- og brukerrettigheter og prioriteringsforskriften til grunn ved innføring av nye metoder, hvor de tre sentrale kriterier er: prognosetap, effekt av metoden og kostnadseffektivitet. I tillegg nevner forumet andre prinsipper og føringer som legges til grunn, herunder diagnosenøytralitet, aldersnøytralitet, nøytralitet med hensyn til pasientgruppens størrelse og likebehandling på tvers av metoder og pasientgrupper. Det sies også at det er *legitimt ikke å innføre en effektiv, men lite kostnadseffektiv behandling.*

Vi stiller spørsmål om disse tilleggsmomentene som Beslutningsforum legger til grunn for sine avgjørelser, er *uforenelige med kriteriene som regjeringen har foreslått og*

Stortinget har vedtatt i prioriteringsmeldingen. At forumet legger nøytralitet til grunn både når det gjelder diagnoser, alder og pasientgruppers størrelse høres tilsynelatende rettferdig ut. Men for små pasientgrupper, for eksempel de med medfødte genetiske sykdommer, så vil gjerne sykdommen slå til tidlig og vare livet ut. En viss forskjellsbehandling til fordel for disse barna vil således være på sin plass. Det samme må sies når det gjelder forholdet mellom diagnoser og medisinkostnader, der disse typisk er langt høyere enn ved mer vanlige sykdommer, der produsentens utviklingskostnader kan deles på et større marked. En forfordeling av barn med sjeldne sykdommer er helt nødvendig for at medisiner til disse i det hele tatt skal kunne være aktuelt. Dette har Helse- og omsorgsdepartementet og Stortinget anerkjent og lagt vekt på ved behandlingen av prioriteringsmeldingen. Når det på Nyemetoder.no heter at det er legitimt å avvise en effektiv, men lite kostnadseffektiv metode, rettferdiggjøres beslutninger som kan være galt fundert.

Vi ønsker å gjøre samtlige ledd i beslutningsprosessen kjent med denne problemstillingen. Det er helt nødvendig at Bestillerforum RHF ikke bare ser på kostnadene ved metoden når de skal ta stilling til om en nasjonal metodevurdering skal igangsettes. I den videre metodevurderingsprosessen er det viktig at Folkehelseinstituttet/Statens legemiddelverk inngår i reelle forhandlinger med legemiddelprodusenten for å få ned kostnadene på medisinen. Dette gjøres i andre land, i USA mellom produsenten og forsikringsselskapene. Det er til slutt viktig at Beslutningsforum for nye metoder tar inn over seg at det ikke alltid er legitimt å avvise en effektiv, men lite kostnadseffektiv metode. Dette kan være direkte i strid med det Regjeringen og Stortinget har vedtatt. Det nevnes i den forbindelse at foreldregruppen Stopp SMA har tatt kontakt med både Helse- og omsorgsministeren og flere Stortingsrepresentanter, slik at også de er klare over problemstillingen.

Oppsummering

Vi mener at prioriteringskriteriene for å tillatte Spinraza/Nursinersen-behandling 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. I denne konkrete saken så er faktisk også dokumentasjonen av nytteverdien til Spinraza (Nursinersen) god. Medisinen krever imidlertid 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/Nursinersen-behandling skal tillates og 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 har bedt Helse- og omsorgsministeren fortsette sitt engasjement for å sikre barn med sjeldne sykdommer den behandlingen de så sårt trenger. Det haster med å gi disse vergeløse 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.

4. Øvrige kommentarer

5. Interesser og eventuelle interessekonflikter

Beskriv dine/deres relasjoner eller aktiviteter som kan påvirke, påvirkes av eller oppfattes av andre å ha betydning for den videre håndteringen av metoden som foreslås metodevurdert. (Eksempler: Du/dere har økonomiske interesser i saken. Du har eller har hatt oppdrag i tilslutning til eller andre bindinger knyttet til metoden eller aktører som har interesser i metoden.)

Beskriv kortfattet:

Vi er foreldre til barn med diagnosen Spinal Muskelatrofi (SMA) type 3.