



DET KONGELIGE
HELSE- OG OMSORGSDEPARTEMENT

Statsråden

Helse- og omsorgskomiteen
Stortinget
0026 OSLO

Deres ref

Vår ref

Dato

21/1899-

3. mai 2021

Dokument 8:220 S (2020-2021) - Representantforslag om å sikre at ALS-syke, demenspasienter og andre med alvorlige diagnoser får en «right to try».

Jeg viser til brev av 19. april 2021 fra Stortingets helse- og omsorgskomiteé hvor det bes om min uttalelse til Dokument 8:220 S (2020-2021) Representantforslag fra Sylvi Listhaug, Kari Kjønnaas Kjos og Morten Stordalen om å sikre at ALS-syke, demenspasienter og andre med alvorlige diagnoser får en "right to try".

Representantforslaget lyder:

"Stortinget ber regjeringen innføre en «right to try» i Norge for ALS-syke, demenspasienter og andre med alvorlige diagnoser."

Innledning

Representantene tar til orde for at pasienter med amyotrofisk lateral sklerose (ALS), demens og andre alvorlige diagnoser skal få en rett til å prøve nye legemidler og peker spesifikt på ordningen "right to try" som er innført i USA.

Jeg vil starte med å klargjøre rammene for utprøvende behandling i Norge og deretter kommentere på ordningen "right to try" og representantenes forslag.

Med utprøvende behandling menes all behandling der effekt og sikkerhet ikke er tilstrekkelig dokumentert til at behandlingen kan inngå i det ordinære behandlingstilbudet. Det betyr at

utprøvende behandling dekker både behandling som prøves ut i kliniske studier og behandling som gis utenfor kliniske studier.

Regelverket åpner for at pasienter kan få tilbud om utprøvende behandling både i og utenfor kliniske studier. Retten til nødvendig helsehjelp omfatter ikke utprøvende behandling. Muligheten for å tilby utprøvende behandling er likevel vid. Hensynet til likeverdig tilgang, som er viktig ved etablert behandling, gjelder ikke fullt ut ved utprøvende behandling. Det er likevel et mål å gi pasienter mest mulig likeverdig tilgang til utprøvende behandling. Kravene til informasjon og samtykke skjerpes ved utprøvende behandling, fordi slik behandling er forbundet med økt risiko.

Regjeringen har som mål at flere pasienter skal få delta i utprøvende behandling. Målet skal nås gjennom å klargjøre rammene for utprøvende behandling og å ha en offensiv politikk for kliniske studier.

Den nasjonale veilederen for utprøvende behandling fra 2019 skal nettopp bidra til mer forutsigbare rammer, og sørge for at utprøvende behandling gis på en måte som er sikker for pasienten og som samtidig har en verdi utover den ene pasienten. Som hovedregel skal utprøvende behandling gis gjennom kliniske studier. Utprøvende behandling kan unntaksvis gis til enkeltpasienter på individuell basis. Det forutsetter at visse forhold oppfylles, blant annet at det er vurdert at behandlingen er faglig forsvarlig. Faglig forsvarlighet er hjemlet i helsepersonelloven § 4 og spesialisthelsetjenesteloven § 2-2. Leger og annet helsepersonell kan ikke gjennomføre behandling som de mener ikke er faglig forsvarlig, og som potensielt kan påføre pasienter skadevirkninger, eller i verste fall føre til død.

Kliniske studier er det viktigste virkemiddelet vi har for å kunne tilby pasienter ny og utprøvende behandling. I januar la regjeringen frem den første nasjonale handlingsplanen for kliniske studier. Vi er ambisiøse når det kommer til kliniske studier. Med handlingsplanen har vi lansert vår visjon om at klinisk forskning skal bli en integrert del av all klinisk praksis og pasientbehandling. Vi har to mål for arbeidet. Det første er å bidra til at langt flere pasienter enn i dag får tilbud om å delta i kliniske studier. Det andre er at antall kliniske studier som rekrutterer pasienter i sykehusene skal dobles i løpet av planperioden. Det skal også legges bedre til rette for norske pasienter kan delta i kliniske studier i utlandet. Dette vil være viktig, også for pasienter med ALS og demens. Innen hjernesykdommer har vi dessuten fått det første nasjonale forskningssenteret for klinisk behandling, Neuro-SysMed. Senteret ble etablert i 2019 og mottar 160 millioner kroner over en åtteårsperiode i øremerkede midler fra Forskningsrådet. Dette vil ha stor betydning for forskning innen hjernehelseområdet, og Alzheimers sykdom og ALS er blant de prioriterte tilstandene. Utover dette finansieres også forskning på demens og ALS gjennom midlene som tildeles Forskningsrådet og de regionale helseforetakene. I 2020 ble det for eksempel gjennom Program for klinisk behandlingsserieforskning i spesialisthelsetjenesten tildelt 18,2 millioner kroner til en nasjonal studie, NO-ALS-studien, som ser på effekten av to legemidler på ALS. Studien ledes av Helse Bergen. Formålet er å undersøke om en kombinasjonsterapi kan forsinke sykdomsutviklingen, øke overlevelse og bedre livskvaliteten ved ALS.

Det kan på visse vilkår foreskrives legemidler uten norsk markedsføringstillatelse. Det kan være aktuelt dersom pasienten ikke kan delta i pågående kliniske studier, eller i situasjoner der pasienten ikke kan bruke legemidler med markedsføringstillatelse på grunn av bivirkninger eller utilstrekkelig effekt, eller dersom det ikke finnes legemidler med markedsføringstillatelse som dekker det medisinske behovet. Dette regnes som utprøvende behandling. Legemidler som ikke har markedsføringstillatelse kan brukes gjennom compassionate use-programmet eller ordningen med godkjenningsfritak, hvis vilkårene er til stede. Begge ordningene godkjennes av Statens legemiddelverk.. De regionale helseforetakene har laget felles retningslinjer for bruk av nye legemidler uten markedsføringstillatelse i 2018. Disse sier at produsenter som vil tilby slike legemidler må inngå en standardavtale med regionalt helseforetak. Det har vært uenigheter mellom partene om vilkårene i disse avtalene. Jeg er informert om at det nå er bevegelse i saken, og at aktørene vil kunne enes om en løsning. Ved bruk av legemidler som ikke har markedsføringstillatelse i Norge, har behandler et særlig ansvar for å sikre at bruken er forsvarlig.

Pasienter med begrenset levetid kan få en ny vurdering av sine behandlingsmuligheter gjennom Ekspertpanelet for spesialisthelsetjenesten, som ble opprettet i 2018. Det kan dreie seg om å finne frem til kliniske studier i Norge eller utlandet. Formålet med Ekspertpanelet handler i stor grad om økt trygghet på at en har forsøkt det som er mulig og at alle steiner er snudd, uansett hvordan utfallet blir. Jeg ønsker nå en systematisk gjennomgang av erfaringene med ordningen så langt. Helseregionene har derfor fått i oppdrag å evaluere Ekspertpanelet og vurdere endringer i mandatet slik at også pasienter med for eksempel ALS kan omfattes av ordningen. Målet er at flere pasienter skal få denne muligheten.

Representantene peker på "right to try" og tar til orde for at regjeringen skal innføre en slik ordning for pasienter med ALS, demens og andre alvorlige sykdommer. "Right to try" er en lov som tillater at pasienter med svært alvorlig sykdom eller sykdom hvor alle behandlingsalternativer er prøvd og som ikke kan delta i kliniske studier kan få tilgang til utprøvende behandling. Ordningen har blitt kritisert, og siden innføringen i USA i 2018 er det svært få pasienter som har fått tilgang til behandlingen gjennom ordningen, ifølge amerikanske medier. Det er viktig å merke seg at pasienten ikke har en rett etter denne loven. Leger, legemiddelfirmaer eller forsikringsselskaper er ikke pliktige til å skrive ut, produsere eller betale for legemidlene. Legemiddelfirmaer kan tilby legemidler som utprøvende behandling, og de må dekke utgiftene knyttet til behandlingen, eventuelt kan behandlingen dekkes av pasientens helseforsikring, avhengig av vilkårene satt av forsikringsselskapet. Det er store forskjeller mellom det amerikanske og det norske helsesystemet, noe som gjør det krevende å trekke direkte sammenlikninger. Det kan ikke forventes at staten skal finansiere legemidler som kun har vært gjennom fase 1 i legemiddelutprøving, og der det er stor usikkerhet om legemiddelet har effekt eller ikke. Dermed blir det opp til det enkelte legemiddelfirmaet om det ønsker å tilby et legemiddel, og eventuelt til hvor mange. Vi er heller ikke kjent med at det er innført tilsvarende ordninger i andre europeiske land.

Jeg har stor forståelse for at mange pasienter med ALS og demens er fortvilet over mangelen på effektiv behandling. For noen pasienter kan utprøvende behandling være et alternativ. Dette forutsetter at slik behandling er tilgjengelig, faglig forsvarlig og at den ikke gir stor økt risiko for å forverre livskvaliteten til pasienten vesentlig. Jeg mener hensikten med den amerikanske "right to try"-ordningen allerede oppfylles gjennom de ordningene vi har for å gi pasienter økt tilgang til utprøvende behandling i Norge. Hvis dagens ordninger oppleves å være for snevre eller strenge, er det bedre å gjøre de foreslåtte justeringene i de allerede eksisterende ordningene enn å innføre nye ordninger.

Med hilsen



Bent Høie