



## STORTINGET

# Innst. 487 S

(2020–2021)

Innstilling til Stortinget  
fra helse- og omsorgskomiteen

Dokument 8:220 S (2020–2021)

---

**Innstilling fra helse- og omsorgskomiteen om Representantforslag fra stortingsrepresentantene Sylvi Listhaug, Kari Kjønaas Kjos og Morten Stordalen om å sikre at ALS-syke, demenspasienter og andre med alvorlige diagnoser får en «right to try»**

---

Til Stortinget

### Bakgrunn

I dokumentet fremmes følgende forslag:

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

Det vises til dokumentet for nærmere redegjørelse for forslaget.

### Komiteens merknader

Komiteen, medlemmene fra Arbeiderpartiet, Hilde Kristin Holtesmo, Ingvild Kjerkol, Hege Haukeland Liadal, Tuva Moflag og Tellef Inge Mørland, fra Høyre, Erlend Larsen, Mari Holm Lønseth, Sveinung Stensland og Camilla Strandskog, fra Fremskrittspartiet, Kari Kjønaas Kjos og Morten Stordalen, fra Senterpartiet, Kjersti Toppe, fra Sosialistisk Venstreparti, Nicholas Wilkinson, fra Venstre, Carl-Erik Grimstad, og fra Kristelig Folkeparti, lederen Geir Jørgen Bekkevold, viser til

forslaget i Dokument 8:220 S (2020–2021) om å sikre at ALS-syke, demenspasienter og andre med alvorlige diagnoser får en «right to try». Statsråden har uttalt seg om forslaget i brev til komiteen av 3. mai 2021. Brevet følger som vedlegg til denne innstillingen. Komiteen har gjennomført skriftlig høring i saken og registrerer at det til sammen er kommet inn 18 skriftlig høringsinnspill fra ulike organisasjoner og privatpersoner.

Komiteen viser til at forslagsstillerne ønsker at terminalt syke ALS-pasienter, demenspasienter og andre med alvorlige diagnoser skal få tilgang til eksperimentelle medisiner som har fullført fase 1-testing, men som ikke er godkjent.

Komiteen viser til at den nasjonale veilederen for utprøvende behandling ble utarbeidet i 2019. I den forbindelse ble definisjonen av utprøvende behandling justert, og det er ikke lenger et skille mellom utprøvende og eksperimentell behandling.

Komiteen vil understreke viktigheten av å forske mer på hjernehelse og tilrettelegge for at ALS-pasienter og andre alvorlig syke pasienter får delta i utprøvende behandling når det er mulig, og når det finnes lovende medikamenter, herunder gjennom kliniske studier. Komiteen vil i denne sammenheng understreke viktigheten av å lykkes med å få flere kliniske studier til Norge, og mener det er bekymringsverdig at kliniske studier de siste ti årene har gått ned i Norge.

Komiteen merker seg at det første nasjonale forskningscenteret for klinisk behandling, Neuro-SysMed, ble etablert i 2019. Neuro-SysMed vil kunne få stor betydning for forskning innen hjernehelseområdet, og Alzheimers sykdom og ALS er blant de prioriterte tilstandene. Komiteen viser til at det i 2020 for eksempel gjennom Program for klinisk behandlingsforskning i spesialisthelsetjenesten ble tildelt 18,2 mill. kroner til

en nasjonal studie, NO-ALS-studien, som ser på effekten av to legemidler på ALS.

Komiteen merker seg at pasienter med begrenset levetid kan få en ny vurdering av sine behandlingsmuligheter gjennom Ekspertpanelet for spesialisthelsetjenesten, som ble opprettet i 2018. Helseregionene skal nå evaluere ordningen og vurdere mandatet, slik at også pasienter med for eksempel ALS kan omfattes av ordningen.

Komiteen viser til at legemidler som ikke har markedsføringstillatelse, kan brukes gjennom compassionate use-programmet eller ordningen med godkjenningfritak, hvis vilkårene er til stede. Begge ordningene godkjennes av Statens legemiddelverk. Ut over dette laget de regionale helseforetakene felles retningslinjer for bruk av nye legemidler uten markedsføringstillatelse i 2018.

Komiteen viser til at ALS er en svært alvorlig sykdom som rammer rundt 300–400 nordmenn hvert år, hvor gjennomsnittlig overlevelse kun er 3 år. Komiteen viser til at ALS er beskrevet som en av de mest alvorlige sykdommene som kan ramme et menneske, og at livskvaliteten til pasienter og pårørende blir sterkt påvirket av mangel på helbredende behandling og mangel på håp. Komiteen viser til at Rilutek i dag er den eneste medisinen mot ALS som er godkjent for bruk i Norge, og at den er antatt livforlengende med 2–3 måneder.

Komiteen viser til at demens, som også forårsakes av hjernesykdommer, rammer over 77 000 nordmenn og vil sannsynligvis fordobles de nærmeste 30–40 årene. Demens er også en svært alvorlig og krevende sykdom for dem som rammes, og for deres pårørende. Komiteen viser til at forskningsaktiviteten på området har økt betydelig siden 2007, men at man fremdeles er langt fra å kunne tilby en kurativ behandling for demenssykdommer. Komiteen vil påpeke viktigheten av basalmedisinsk forskning for både ALS og demens, som kan lede til en større forståelse av hjernens funksjon.

Komiteens flertall, medlemmene fra Arbeiderpartiet, Høyre, Senterpartiet, Sosialistisk Venstreparti, Venstre og Kristelig Folkeparti, viser til innføring av «right to try» i USA, under ledelse av Trump-administrasjonen. Flertallet viser til at det ikke finnes lovende medikamenter tilgjengelig i USA for ALS, og at et fåtall pasienter har gått i gang med eksperimentell behandling for ALS etter innføringen av «right to try». Flertallet mener det er grunn til å si at ordningen kan skape falske håp. Flertallet viser også til at fagfolk knyttet til Stiftelsen ALS Norge er sterkt kritiske til forslaget om å innføre dette i Norge.

Flertallet er av den oppfatning at hensikten med den amerikanske «right to try»-ordningen allerede er oppfylt i Norge gjennom de ordningene vi har for å gi pasienter økt tilgang til utprøvende behandling.

Et annet flertall, medlemmene fra Høyre, Fremskrittspartiet, Venstre og Kristelig Folkeparti, merker seg at regjeringen la frem den første nasjonale handlingsplanen for kliniske studier i januar i år. Kliniske studier er det viktigste virkemiddelet vi har for å kunne tilby pasienter ny og utprøvende behandling. Handlingsplanen har som visjon at klinisk forskning skal bli en integrert del av all klinisk praksis og pasientbehandling. Et av handlingsplanens mål er at langt flere pasienter enn i dag skal få tilbud om å delta i kliniske studier. Det skal også legges bedre til rette for at norske pasienter med blant annet ALS og demens skal kunne få delta i kliniske studier i utlandet.

Komiteens medlemmer fra Fremskrittspartiet viser til at amyotrofisk lateral sklerose (ALS) er en sjelden nervesykdom der nerveceller i hjernen og ryggmargen svinner hen og blir borte. Dette medfører gradvis økende lammelser og muskelsvinn, og hos noen fører det til kognitive vansker. Disse medlemmer viser til at de fleste tilfeller oppstår hos en pasient som gjerne kan ha vært helt frisk tidligere i livet, såkalt sporadisk ALS. En liten andel, cirka 10 pst. av ALS-tilfellene, går i arv, såkalt familiær ALS. Disse medlemmer viser til at det i dag finnes om lag 400 mennesker med ALS i Norge, og hvert år får cirka 150 mennesker diagnosen. Per i dag finnes det ingen behandling som kan stanse sykdomsutviklingen ved ALS eller reparere nervecellene, og det beste man kan oppnå, er å dempe symptomene og forsinke sykdomsutviklingen.

Disse medlemmer viser til at den eneste medisinen som er tilgjengelig for alle ALS-syke i Norge, Rilutek, ble tilgjengelig og godkjent i 1995. Medisinen er antatt å være livforlengende med få måneder. Disse medlemmer mener utviklingen av medisiner til de ALS-rammede i Norge går for sakte og ikke følger med den internasjonale utviklingen. Disse medlemmer viser til at ALS-syke i USA får en såkalt «right to try». Dette er altså en rett til å prøve ut medisiner, noe som gjør at man gir terminalt syke pasienter tilgang til eksperimentelle medisiner som har fullført fase 1-testing, men som ikke er godkjent av Food and Drug Administration (FDA). Dette mener disse medlemmer det også bør være tilgang til i Norge.

Disse medlemmer mener også at det ikke kun er ALS-syke som kan og bør inkluderes og gis rett til å prøve ut nye eksperimentelle medisiner. Disse medlemmer mener demenssykdom på lik linje med ALS er dødelig. For personer med en så alvorlig diagnose, som taper kontroll over hverdagen sin, og som dag for dag opplever at deres hjerne ikke lenger mestrer det de kunne før, mener disse medlemmer det vil kunne gi både håp og livsglede å få tilbud om å prøve ut medisiner selv om disse ikke har gått gjennom alle utprøvningsfasene. Disse medlemmer viser til at det foregår

forskning og medikamentutvikling mange steder, men norske demenspasienter får ikke anledning til å delta, til tross for at mange av dem har et sterkt ønske om å bidra, både i håp om egen kur og ikke minst for å bidra til at andre skal kunne få behandling i fremtiden.

Disse medlemmer peker på at mange pasientgrupper altså i dag står helt uten behandlingsalternativ, noe som også gjelder enkelte kreftpasienter. Disse medlemmer understreker at norske pasienter med dødelige sykdommer i mindre grad enn pasienter i mange andre land får anledning til å delta i utprøving av nye medisiner under utvikling. På verdensbasis foregår det nå over 120 kliniske studier på demensområdet der pasienter kan delta, men kun et veldig lite fåtall av disse kommer til Norge. På denne bakgrunn fremmes følgende forslag:

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

Komiteens medlemmer fra Arbeiderpartiet, Senterpartiet og Sosialistisk Venstreparti understreker viktigheten av at mennesker med alvorlige diagnoser skal få mer håp og et bedre liv.

Disse medlemmer viser til at i henhold til Nasjonal veileder for utprøvende behandling bør dette først og fremst tilbys gjennom kliniske studier. Nasjonalforeningen for folkehelsen viser til at det derfor er bekymringsfullt at antallet kliniske studier har blitt halvert siden år 2000. De påpeker at om vi skulle nå målet i Nasjonal handlingsplan for kliniske studier om en doubling av antallet kliniske studier innen 2025, innebærer det at vi er tilbake på nivået i 2000. Det er behov for en betydelig innsats for å øke antall kliniske studier.

Disse medlemmer viser til Compassionate Use Program (CUP) og ordningen med godkjenningfritak og registrerer at det er uenighet om finansiering av ordningene. Kreftforeningen viser til at to år etter at helse- og omsorgsminister Bent Høie kalte partene i RHF-ene og industrien inn til samtaler for å nærme seg en løsning, har svært lite skjedd.

Disse medlemmer deler Kreftforeningens påpekning av at dette er en situasjon vi ikke kan leve med, og at pasientene i dag betaler den høyeste prisen for manglende vilje til å gi alvorlig syke pasientene et gratis, livsforlengende tilbud.

Disse medlemmer merker seg at Hjernerådet understreker at det som kalles «right to try», har en rek-

ke svakheter og ikke er svaret. De framhever at svaret er flere kliniske studier, og at myndighetene gjør det lettere å få gjennomført slik forskning.

Disse medlemmer viser til Riksrevisjonens undersøkelse av kliniske behandlingsstudier i helseforetakene (Dokument 3:9 (2020–2021)), som viser at pasienters tilgang til kliniske behandlingsstudier ikke er god nok, at studiene ikke er tilstrekkelig implementert i pasientbehandlingen, og at det er mulig å øke antallet studier og pasienter som deltar. Disse medlemmer forventer at regjeringen nå følger opp kritikken fra Riksrevisjonen og sørger for at antallet studier øker, slik at flere pasienter får delta. Disse medlemmer merker seg at regjeringens handlingsplan for kliniske studier i stor grad overlater ansvaret for å øke antallet studier til de regionale helseforetakene.

Komiteens medlem fra Sosialistisk Venstreparti viser til Sosialistisk Venstrepartis merknader om «pay for performance» og forslag i innstilling til Dokument 8:141 S (2020–2021) jf. Innst. 471 S (2020–2021).

## Forslag fra mindretall

### Forslag fra Fremskrittspartiet:

#### *Forslag 1*

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

## Komiteens tilråding

Komiteens tilråding fremmes av medlemmene fra Arbeiderpartiet, Høyre, Senterpartiet, Sosialistisk Venstreparti, Venstre og Kristelig Folkeparti.

Komiteen har for øvrig ingen merknader, viser til representantforslaget og rår Stortinget til å gjøre følgende

vedtak:

Dokument 8:220 S (2020–2021) – Representantforslag fra stortingsrepresentantene Sylvi Listhaug, Kari Kjønaas Kjos og Morten Stordalen om å sikre at ALS-syke, demenspasienter og andre med alvorlige diagnoser får en «right to try» – vedtas ikke.

Oslo, i helse- og omsorgskomiteen, den 18. mai 2021

**Geir Jørgen Bekkevold**

leder

**Erlend Larsen**

ordfører



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 forskningscenteret 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 behandlingssforskning 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

