



STORTINGET

Innst. 389 S

(2022–2023)

Innstilling til Stortinget
fra helse- og omsorgskomiteen

Dokument 8:147 S (2022–2023)

Innstilling fra helse- og omsorgskomiteen om Representantforslag fra stortingsrepresentantene Bård Hoksrud, Morten Wold, Silje Hjemdal og Morten Stordalen om behovet for en nasjonal finansieringsløsning for sjeldne diagnoser

Til Stortinget

Bakgrunn

I dokumentet fremmes følgende forslag:

- «1. Stortinget ber regjeringen komme tilbake til Stortinget med en egen sak om en endring i finansieringsansvaret for sykehusene ved behandling av sjeldne sykdommer gjennom en nasjonal ordning, eksempelvis et fond for sjeldne sykdommer eller en nasjonalt finansiert resept.
2. Stortinget ber regjeringen i forbindelse med ny prioriteringsmelding for helse- og omsorgstjenesten sette 'sjeldenhet' som et eget kriterium og på denne måten sikre at de særegne kjennetegnene ved sjeldne diagnoser fanges opp.
3. Stortinget ber regjeringen komme tilbake til Stortinget på egnet måte med en plan for hvordan man kan sikre rask tilgang til nye og tilgjengelige medisiner for pasienter med sjeldne diagnoser.»

Det vises til dokumentet for nærmere redegjørelse for forslagene.

Komiteens merknader

Komiteen, medlemmene fra Arbeiderpartiet, Tove Elise Madland, Cecilie Myrseth, Even A. Røed og Truls Vasvik, fra Høyre, Sandra Bruflot, Erlend Svardal Bøe og lederen Tone Wilhelmsen Trøen, fra Senterpartiet, Lisa Marie Ness Klungland og Hans Inge Myrvold, fra Fremskrittspartiet, Bård Hoksrud og Morten Wold, fra Sosialistisk Venstreparti, Marian Hussein, fra Rødt, Seher Aydar, fra Kristelig Folkeparti, Olaug Vervik Bollestad, og fra Pasientfokus, Irene Ojala, viser til forslaget i Dokument 8:147 (2022–2023) Representantforslag om en nasjonal finansieringsløsning for sjeldne diagnoser.

Komiteen viser til at statsråden har uttalt seg om forslaget i brev til komiteen av 27. mars 2023. Brevet følger som vedlegg til denne innstillingen. Det er ikke avholdt høring i saken.

Komiteen viser til at forslagsstillerne mener det er behov for en finansieringsløsning for sjeldne diagnoser fordi kriteriene for prioritering og rett til forsvarlig helsehjelp oftere enn for andre pasientgrupper kolliderer. Videre viser komiteen til at forslagsstillerne mener det bør opprettes en nasjonal finansieringsordning fordi pasienter med sjeldne diagnoser kan bli dyre for det lokale sykehuset, siden det belastes for medisinen.

Komiteen viser til at statsråden i sitt svarbrev peker på at Stortinget har sluttet seg til forslagene i prioriteringsmeldingen, Meld. St. 34 (2015–2016) jf. Innst. 57 S (2016–2017), der finansieringsansvaret for et legemiddel følger behandlingsansvaret. Komiteen viser videre til at statsråden peker på at regjeringen vil legge frem en ny melding om prioritering.

Komiteens medlemmer fra Arbeiderpartiet og Senterpartiet harsom mål for helsepolitikken at Norge skal ha en helse- og omsorgstjeneste som gir likeverdige tilbud over hele landet. Stortingets vedtak om felles prinsipper for prioriteringer i helsetjenesten legger et viktig grunnlag for dette, og disse medlemmer mener prioriteringer er helt nødvendig. Disse medlemmer mener man i helsepolitikken må ha en rettferdig fordeling av felleskapets ressurser som kommer flest mulig til gode, og som sikrer bærekraftig utvikling av helsetjenesten. Konsekvensen vil dessverre bli at enkelte metoder og behandlinger som ikke tilfredsstiller prioriteringskriteriene som Stortinget har vedtatt, ikke blir innført. Dersom noen pasientgrupper unntas fra prinsippene for prioriteringer, mener disse medlemmer at det vil gi mindre likeverdig tilgang til metoder og helsehjelp på tvers av pasientgrupper og dårligere ressursutnyttelse.

Disse medlemmer vil peke på at vurdering og prioritering av nye, kostbare behandlinger for sjeldne sykdommer møter særskilte utfordringer bl.a. knyttet til behovet for et godt kunnskapsgrunnlag om nytte, sikkerhet og kostnadseffektivitet. Her vil disse medlemmer vise til at det i prinsippene for prioriteringer fremmet i prioriteringsmeldingen, Meld. St. 34 (2015–2016), heter at

«[v]ed vurdering av tiltak rettet mot små pasientgrupper med alvorlig tilstand hvor det er vanskelig å gjennomføre kontrollerte studier av effekt, kan et lavere krav til dokumentasjon aksepteres»,

og at

«[v]ed 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 det aksepteres høyere ressursbruk enn for andre tiltak».

Dette er prinsipper som Stortinget har sluttet seg til i Innst. 57 (2016–2017), og som ligger til grunn for legemiddelforskriften kap. 14, og disse skal også gjelde for innføring av legemidler i spesialisthelsetjenesten. Videre er prinsippene implementert i beslutningsprosessen for refusjon av legemidler i blåreseptordningen og for innføring gjennom systemet for Nye metoder, ved at det er opprettet en ordning for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand. Disse medlemmer peker på at denne ordningen åpner for at det ved visse tilstander kan godtas lavere kvalitet på dokumentasjon av effekt og sikkerhet samt en høyere betalingsvillighet i tråd med føringene fra prioriteringsmeldingen.

I representantforslaget pekes det på at

«tilgangen på nye legemidler for norske pasienter er liten».

Her vil disse medlemmer vise til evalueringen av systemet for Nye metoder, som viser at Norge ikke innfører færre metoder enn sammenlignbare land, og at Norge skårer høyt på tilgang i internasjonale sammenligninger. Det er allikevel viktig at Nye metoder legger prioriteringene Stortinget har vedtatt, til grunn i vurdering av metoder. Disse medlemmer vil videre vise til Stortingets behandling av lovfesting av et felles system for innføring av metoder i spesialisthelsetjenesten, jf. Innst. 93 L (2019–2020). Der pekte medlemmene fra Arbeiderpartiet, Senterpartiet og Sosialistisk Venstreparti på at det ved lovfesting av et felles system for innføring av metoder i spesialisthelsetjenesten var en risiko for at lovendringen innskrenket norske pasienters rettigheter der beslutningene tas på gruppenivå, særlig i en tid der persontilpasset medisin spiller en viktigere rolle i helsetjenesten.

Videre vil disse medlemmer peke på at regjeringen har lansert Nasjonal strategi for persontilpasset medisin (2023–2030), med tiltak for likeverdig tilgang til persontilpasset medisin, som disse medlemmer mener er relevant for tjenestetilbudet til pasienter med sjeldne sykdommer.

Disse medlemmer viser til at helseministeren i sin uttalelse til representantforslaget varsler at regjeringen vil legge fram en ny melding til Stortinget om prioriteringer, med fokus på persontilpasset medisin, åpenhet og forutsigbarhet i prioriteringsbeslutningene. Dette vil også være relevant for prioriteringer av behandlingstilbudet for personer med sjeldne diagnoser.

Komiteens medlemmer fra Høyre, Fremskrittspartiet og Pasientfokus viser til at det i forrige uke kom nye tall fra EFPIAs (European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations) WAIT-rapport. Dette er en årlig rapport som viser tilgangen på legemidler og tiden det tar før pasienter får tilgang til nye legemidler i Europa. Rapporten viser at Norge har en negativ utvikling når det gjelder andelen tilgjengelige legemidler. Kun 34 prosent av alle av EMA (Det europeiske legemiddelbyrået) godkjente legemidler til behandling av sjeldne sykdommer i perioden 2018–2021 er godkjent for offentlig finansiering i Norge. Disse medlemmer viser til at kun to av 15 legemidler som EMA godkjente for sjeldne sykdommer i 2021, var godkjent for offentlig finansiering i Norge ved utgangen av 2022. Disse medlemmer peker på at Norge samtidig er det landet hvor flest legemidler kun er tilgjengelige på det private markedet. Dette plasserer Norge på en 17. plass av 37 land i Europa.

Komiteens medlemmer fra Fremskrittspartiet og Pasientfokus understreker behovet for en ny prioriteringsmelding som baserer seg på et oppdatert og helhetlig kunnskapsgrunnlag, og hvor usik-

kerhet ikke vektes negativt. At usikkerhet vektes negativt i dagens prioriteringssystem, rammer særlig sjeldenområdet. I stedet bør det åpnes for økt bruk av andre datakilder enn randomiserte kliniske studier. Alternative datakilder som for eksempel registerdata kan i økende grad bidra til å redusere usikkerhet i metodevurderinger uten å forsinke innføringen av nye legemidler. Dette kan også kombineres med økt bruk av midlertidig innføring med definerte krav til dataoppfølging. Disse medlemmer viser til at det i EMA er åpnet for «fast track»-prosesser hvor det kan utstedes betinget markedsføringstillatelse for nye legemidler som har begrenset dokumentasjon, for behandlinger av pasientgrupper med et udekket medisinsk behov.

Disse medlemmer viser til at komiteens medlemmer fra Arbeiderpartiet og Senterpartiet skriver at de

«har som mål for helsepolitikken at Norge skal ha en helse- og omsorgstjeneste som gir likeverdige tilbud over hele landet.»

Disse medlemmer deler denne intensjonen, men det er ikke realiteten i dagens Helse-Norge. Disse medlemmer viser til at Fremskrittspartiets helsefraksjon arrangerte et eget innspillsmøte om dette forslaget, ettersom komiteen vedtok å ikke avholde høring i saken. Her fikk disse medlemmer gode innspill fra ulike foreninger som kunne fortelle om urettferdig behandling. For noen er det snakk om at de ikke får tilgang på medisiner som er godkjent for bruk, men som det offentlige ikke dekker. For andre er det enda mer urettferdig, fordi de ikke får dekket kostnadene til livsviktig medisin, utelukkende på grunn av postadressen sin og at de tilhører et helseforetak som ikke er villig til å tilby medisinen, samtidig som andre i samme pasientgruppe tilbys medisinen av sitt helseforetak. Disse medlemmer mener dette er grunnleggende urettferdig og viser at vi i praksis har et helsevesen som ikke gir et likeverdig tilbud i hele landet.

Komiteens medlemmer fra Høyre, Fremskrittspartiet og Kristelig Folkeparti viser til at sjeldne diagnoser omfatter mange komplekse tilstander som ofte er medfødte og arvelige. Norge er et lite land, og det vil være få pasienter med hver diagnose og bare noen få fagpersoner og forskere som kjenner tilstandene godt.

Disse medlemmer mener at systemet i Nye metoder/Beslutningsforum har åpenbare svakheter for sjeldenfeltet. Det fremstår som en stor svakhet i systemet at mennesker med svært sjeldne sykdommer opplever at tilgang til medisin og behandling avhenger av økonomien til det helseforetaket den enkelte pasient tilhører. Et eksempel som TV 2 den siste tiden har skrevet om, er personer som lider av den svært sjeldne nev-

romuskulære sykdommen Pompes, som svekker sentrale muskler, blant annet puste- og hjertemuskulatur, og skyldes mangel på et bestemt enzym som bryter ned glykogen i cellene. Sykdommen er dødelig, spesielt for de som får den i ung alder. I Norge er det kun sju mennesker som har sykdommen, og selv blant disse er det ulik tilgang til medisiner og behandling. Disse medlemmer mener dette understreker at det ikke er lik tilgang til hjelp i den norske helsetjenesten, og særlig rammer dette pasienter med sjeldne sykdommer.

Komiteens medlemmer fra Høyre og Kristelig Folkeparti viser til at Solberg-regjeringen i august 2021 la frem den første norske strategien for sjeldne diagnoser. Den ble utarbeidet med innspill fra brukerorganisasjoner og fagpersoner i tjenestene. Disse medlemmer mener det er viktig at regjeringen følger opp denne strategien.

Komiteens medlemmer fra Høyre vurderer likevel ikke at en egen finansieringsordning er løsningen på denne ulikheten. Disse medlemmer viser til Meld. St. 34 (2015-2016), prioriteringsmeldingen, der et eget fond ble problematisert slik:

«Et nasjonalt fond for finansiering av legemidler vil etter departementets vurdering innebære at behandling med legemidler unntas de samme prinsippene for prioritering som all annen pasientbehandling. Dersom legemiddelbehandling skal vurderes etter de samme prinsippene for prioritering som annen pasientbehandling ser ikke departementet grunn til at dette skal finansieres særskilt. Tvert imot vil en slik ordning kunne hindre likeverdig tilgang til helsetjenester på tvers av pasientgrupper.»

Disse medlemmer viser videre til at Stortinget i samme innstilling understreket følgende

«Komiteen mener derfor at det kan aksepteres et lavere krav til dokumentasjon for tiltak rettet mot små pasientgrupper med alvorlig tilstand hvor det er vanskelig å gjennomføre kontrollerte studier av effekt.

Komiteen viser til at sjeldne tilstander med høy alvorlighetsgrad der aktuell behandling gir god nytte for pasienten, vil få prioritet med de foreslåtte kriteriene. Sjeldenhet vil ikke være et kriterium i seg selv.

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.»

Disse medlemmer mener Stortinget bør ta stilling til så omfattende spørsmål som en ny finansieringsordning, og at «sjeldenhet» skal være et eget kriterium i prioriteringsmeldingen som regjeringen har varslet skal komme i denne stortingsperioden. Disse medlemmer mener denne typen spørsmål hører helt naturlig med i et grundig og omfattende forarbeid til en ny stortingsmelding om prioritering. Disse medlemmer

viser til at Høyre har vært tydelig på at regjeringen burde sette ned et offentlig utvalg som ledd i arbeidet med prioriteringsmeldingen. Det ville også være viktig for å få belyst hvorvidt samfunnsgevinst og produksjonstap i større grad skal regnes inn som en del av grunnlaget for å beslutte å tilby medisiner både på sjeldenfeltet og til andre. Helseministeren sier i svar på skriftlig spørsmål i Dokument nr. 15:1190 (2022–2023) at:

«Kunnskapsgrunnlaget fra tidligere utredninger, stortingsmeldinger, evalueringer og rapporter vil legges til grunn i arbeidet med den nye meldingen. Vi vil også vurdere behov for å nedsette ekspertgrupper innen enkelte områder for å styrke dette kunnskapsgrunnlaget og sikre legitimitet, faglighet og involvering i prosessen med meldingen.»

Disse medlemmer deler ikke statsrådets oppfatning og mener tvert om at utviklingen av avanserte og persontilpassede behandlinger, inkludert behandlinger for sjeldne sykdommer, krever at prioriteringskriteriene i helsetjenesten bygger på oppdaterte kunnskapsgrunnlag. Forrige prioriteringsmelding hviler på kunnskap som kom frem gjennom arbeidene i Norheimutvalget og Magnussengruppen. Dette grundige arbeidet førte til at det var et samlet storting som kunne stille seg bak prioriteringskriteriene, noe som sikret forutsigbarhet for de som skulle fatte vanskelige prioriteringsbeslutninger i årene som fulgte. Disse medlemmer mener det er avgjørende at det er tillit til kriteriene for prioritering, og at det derfor er behov for en ny offentlig utredning i forkant av en ny prioriteringsmelding.

Disse medlemmer vil på denne bakgrunn fremme følgende forslag:

«Stortinget ber regjeringen sette ned et offentlig utvalg som skal gi et oppdatert kunnskapsgrunnlag om prioritering i helsetjenesten, og vurdere endringer slik at man i ny prioriteringsmelding best mulig kan møte dagens og fremtidens utfordringer.»

Komiteens medlemmer fra Høyre og Kristelig Folkeparti viser også til at disse partiene har vært tydelige på at regjeringen raskt må følge opp evalueringen av Nye metoder, som viste en rekke svakheter knyttet til norske pasienters tilgang til nye medisiner. Disse medlemmer merker seg også at Koalisjonen for sjeldne sykdommer mener det har vært en negativ utvikling etter at de regionale helseforetakene overtok finansieringsansvaret for legemidler mot sjeldne sykdommer fra folketrygden i 2019. Det er viktig fremover å følge dette feltet spesielt og anerkjenne utfordringene knyttet til sjeldenfeltet. Disse medlemmer ønsker en bred og kunnskapsbasert drøfting av dette i den kommende prioriteringsmeldingen.

Komiteens medlemmer fra Fremskrittspartiet, Sosialistisk Venstreparti, Rødt, Kristelig Folkeparti og Pasientfokus viser til at sjeldne sykdommer defineres som sykdommer som rammer inntil 5 av 10 000 innbyggere. Majoriteten av sjeldne sykdommer er genetiske og medfødte. Det finnes i dag over 7 000 ulike sjeldne sykdommer med ulik forekomst og alvorlighet, og ettersom noen er genetisk betinget er det noen steder høyere tetthet av enkelte sjeldne sykdommer. Disse medlemmer viser til innspill fra Koalisjonen for sjeldne sykdommer, som sier at det i dag finnes medikamentell behandling for 5 pst. av diagnosene, men at stadig flere er under utvikling, hvorav flere er årsakkorrigerende og gjør at pasienten kan bli helt frisk. Det er i dag mellom 100 000 og 300 000 mennesker i Norge som lever med en sjelden sykdom, og selv om det er mange i denne «sekkebetegnelsen», er det svært få, ofte ett til ti mennesker, som har den samme sykdommen. Pasienter med sjeldne diagnoser er derfor mange, men få i hver pasientgruppe.

Komiteens medlemmer fra Fremskrittspartiet, Sosialistisk Venstreparti, Rødt og Pasientfokus er bekymret for at det i flere tilfeller er store forskjeller på hvilke behandlinger som tilbys i de ulike helseregionene. Rask og god tilgang til behandling uansett hvor man bor i landet, bør være en selvfølge. Dessverre er ikke det alltid tilfellet i dag. Flere pasienter opplever å måtte kjempe for å få sykehusene til å dekke kostnadene til behandling eller medisiner som virker. Alle behandlinger kan naturligvis ikke tilbys ved alle sykehus, men dagens urettferdige praksis gjør at man som pasient kan oppleve å ikke få behandling eller medisiner som andre pasienter med samme sykdom får, bare på grunn av hvor i landet man bor.

Disse medlemmer mener at ingen pasienter med sjeldne sykdommer skal få svekket sine pasientrettigheter som følge av at finansieringsansvaret for behandling ligger hos de regionale helseforetakene.

Komiteens medlemmer fra Fremskrittspartiet, Sosialistisk Venstreparti og Rødt mener at finansieringsansvaret derfor må flyttes, slik at ikke økonomien ved det enkelte helseforetak avgjør hvilke behandlinger som blir gjort tilgjengelige for pasientene.

Komiteens medlemmer fra Fremskrittspartiet og Kristelig Folkeparti viser til at nye og innovative legemidler er vanskelige å få kostnadseffektive fra start fordi det tar tid før man ser virkningene, som at pasienter for eksempel kan komme ut i jobb igjen.

Disse medlemmer mener derfor at man frem til man kan vise at legemiddelet er kostnadseffektivt, bør finansiere det gjennom å opprette et fond for sjeld-

ne sykdommer etter modell fra Storbritannia. I 2021 opprettet de et «Innovative medicines fund» som skal sikre tidlig tilgang til de mest klinisk lovende behandlingene og medisinene for pasienter med sjeldne diagnoser.

Komiteens medlemmer fra Fremskrittspartiet, Sosialistisk Venstreparti, Rødt, Kristelig Folkeparti og Pasientfokus fremmer følgende forslag:

«Stortinget ber regjeringen komme tilbake til Stortinget med en egen sak om en endring i finansieringsansvaret for sykehusene ved behandling av sjeldne sykdommer gjennom en nasjonal ordning, eksempelvis et fond for sjeldne sykdommer eller en nasjonalt finansiert resept.»

Komiteens medlemmer fra Fremskrittspartiet og Pasientfokus viser til at det siden 2019 flere ganger har forekommet brudd på pasientrettighetene for pasienter med en sjelden sykdom. Derfor mener disse medlemmer at dagens system og organisering må struktureres på en mer fornuftig måte, med kloke løsninger for innføring av nye medisiner for personer med sjeldne diagnoser. Det vil bidra til at pasienter med en sjelden sykdom vil prioriteres på like vilkår som større pasientgrupper, hvilket ikke er tilfellet i dag. Norske pasienter fortjener rask tilgang til ny og tilgjengelig medisin. Derfor mener disse medlemmer at sjeldenhet må bli et eget kriterium for prioritering, nettopp på grunn av sjeldenheten og for å sikre pasientenes rettigheter.

På bakgrunn av dette fremmer disse medlemmer følgende forslag:

«Stortinget ber regjeringen i forbindelse med ny prioriteringsmelding for helse- og omsorgstjenesten sette 'sjeldenhet' som et eget kriterium og på denne måten sikre at de særegne kjennetegnene ved sjeldne diagnoser fanges opp.»

Disse medlemmer mener at dagens system er byråkratisk, tregt og ikke tilpasset dagens situasjon for pasienter med en sjelden sykdom. Det gjør at tilgangen på nye legemidler for norske pasienter er liten. Forslagsstillerne mener det er viktig å sikre at nye legemidler og behandlinger tas i bruk i takt med at de utvikles. Det vil også være til det beste for pasientene og deres pårørende. Norge har gått fra å være tidlig ute med å sikre pasienter med sjeldne sykdommer tilgang til nye medisiner og behandling, til å bli en sinke i å ta dem i bruk.

På bakgrunn av dette fremmer disse medlemmer følgende forslag:

«Stortinget ber regjeringen komme tilbake til Stortinget på egnet måte med en plan for hvordan man kan sikre rask tilgang til nye og tilgjengelige medisiner for pasienter med sjeldne diagnoser.»

Forslag fra mindretall

Forslag fra Fremskrittspartiet, Sosialistisk Venstreparti, Rødt, Kristelig Folkeparti og Pasientfokus:

Forslag 1

Stortinget ber regjeringen komme tilbake til Stortinget med en egen sak om en endring i finansieringsansvaret for sykehusene ved behandling av sjeldne sykdommer gjennom en nasjonal ordning, eksempelvis et fond for sjeldne sykdommer eller en nasjonalt finansiert resept.

Forslag fra Høyre:

Forslag 2

Stortinget ber regjeringen sette ned et offentlig utvalg som skal gi et oppdatert kunnskapsgrunnlag om prioritering i helsetjenesten, og vurdere endringer slik at man i ny prioriteringsmelding best mulig kan møte dagens og fremtidens utfordringer.

Forslag fra Fremskrittspartiet og Pasientfokus:

Forslag 3

Stortinget ber regjeringen i forbindelse med ny prioriteringsmelding for helse- og omsorgstjenesten sette «sjeldenhet» som et eget kriterium og på denne måten sikre at de særegne kjennetegnene ved sjeldne diagnoser fanges opp.

Forslag 4

Stortinget ber regjeringen komme tilbake til Stortinget på egnet måte med en plan for hvordan man kan sikre rask tilgang til nye og tilgjengelige medisiner for pasienter med sjeldne diagnoser.

Komiteens tilråding

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

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

vedtak:

Dokument 8:147 S (2022–2023) – Representantforslag fra stortingsrepresentantene Bård Hoksrud,

Morten Wold, Silje Hjemdal og Morten Stordalen om behovet for en nasjonal finansieringsløsning for sjeldne diagnoser – vedtas ikke.

Oslo, i helse- og omsorgskomiteen, den 16. mai 2023

Tone Wilhelmsen Trøen

leder

Olaug Vervik Bollestad

ordfører



DET KONGELIGE
HELSE- OG OMSORGSDEPARTEMENT

Statsråden

Helse- og omsorgskomiteen
Stortinget
0026 OSLO

Deres ref
2023/1181

Vår ref
23/1150-

Dato
27. mars 2023

Dokument 8:147 S (2022-2023) Representantforslag om en nasjonal finansieringsløsning for sjeldne diagnoser

Jeg viser til brev fra Stortingets helse- og omsorgskomiteé hvor det bes om min uttalelse til Dokument 8: 147 S (2022-2023), Representantforslag fra Bård Hoksrud, Morten Stordalen, Morten Wold og Silje Hjemdal om behovet for en nasjonal finansieringsløsning for sjeldne diagnoser.

Representantforslaget fremmer følgende forslag:

- 1. Stortinget ber regjeringen komme tilbake til Stortinget med en egen sak om en endring i finansieringsansvaret for sykehusene ved behandling av sjeldne sykdommer gjennom en nasjonal ordning, eksempelvis et fond for sjeldne sykdommer eller en nasjonalt finansiert resept.*
- 2. Stortinget ber regjeringen i forbindelse med ny prioriteringsmelding for helse- og omsorgstjenesten sette «sjeldenhet» som et eget kriterium og på denne måten sikre at de særegne kjennetegnene ved sjeldne diagnoser fanges opp.*
- 3. Stortinget ber regjeringen komme tilbake til Stortinget på egnet måte med en plan for hvordan man kan sikre rask tilgang til nye og tilgjengelige medisiner for pasienter med sjeldne diagnoser.*

Innledning

Regjeringen vil legge frem en ny melding om prioritering, med fokus på persontilpasset medisin, åpenhet og forutsigbarhet i prioriteringsbeslutningene. Innholdet og vurderingene i meldingen vil også være relevante for prioritering av behandlingstilbudet til pasienter med

sjeldne sykdommer. I tråd med regelverket defineres sjeldne sykdommer som helsetilstander med lav forekomst, dvs. sykdommer som forekommer hos færre enn 5 av 10.000 innbyggere, jf. Europaparlamentets og -rådets beslutning nr. 1295/1999/EG av den 29. april 1999. Definisjonen omfatter sjeldne diagnoser, sykdommer eller tilstander uavhengig om de er medfødt eller ervervet. Det finnes mellom 5 000 og 8 000 ulike sjeldne diagnoser, og det antas at ca. 80 % er forårsaket av gen- eller kromosomfeil. Det er estimert at 190 000 – 320 000 personer i Norge har en sjelden diagnose eller tilstand – og dette omfatter personer med svært forskjellige utfordringer og behov.

Personer med sjeldne sykdommer har ofte behov for koordinerte helse- og omsorgstjenester for å mestre sine liv. For de fleste diagnosene finnes det i dag ingen kurativ behandling. Fremskrittet i den medisinsk-teknologiske utviklingen, særlig innen persontilpasset medisin, har likevel åpnet for mer presis og målrettet diagnostikk og behandling. Det utvikles legemidler som virker direkte på årsakene til sykdommene, særlig for sjeldne kreftformer og sjeldne genetiske sykdommer. Det er samtidig usikkerhet knyttet til effekten av målrettet medikamentell behandling hos den enkelte pasienten. Å dokumentere nytte og sikkerhet gjennom kliniske studier kan være utfordrende, gitt at pasientpopulasjonene er små og det dermed er få potensielle forskningsdeltakere. Dersom en ny terapi blir utviklet, kan det ofte bli svært dyrt fordi det er få pasienter å dele utviklingskostnadene på. Vurdering og prioritering av ny, kostbar behandling for sjeldne sykdommer møter særskilte utfordringer knyttet til behovet for et godt kunnskapsgrunnlag om nytte, sikkerhet og kostnadseffektivitet. Svakt kunnskapsgrunnlag påvirker også flere viktige aspekter ved utformingen av tjenestetilbudet til små pasientgrupper, særlig knyttet til behovet for nasjonalt og internasjonalt samarbeid om deling av data, ekspertise, kompetanse og i henvisning av pasienter til utprøvende behandling i andre land.

Representantforslaget inneholder påstander som ikke gir et representativt bilde av tilbudet for pasienter med sjeldne sykdommer i den norske helsetjenesten. I representantforslaget heter det bl.a. at pasienter *«blir ikke tilbudt forsvarlig helsehjelp på grunn av strenge prioriteringer i systemet Nye metoder»*. System for Nye metoder anvender prinsippene for prioritering som Stortinget har vedtatt, og som sikrer rettferdig fordeling av felleskapets ressurser og en bærekraftig utvikling av helsetjenesten. Pasienter har etter pasient- og brukerrettighetsloven rett til nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten. Begrepet «nødvendig helsehjelp» tolkes slik at det gir krav på nødvendig helsehjelp med en forsvarlig standard, basert på en individuell vurdering av behov. Det er helsepersonell som tar stilling til om pasienten har krav på nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten, og som foretar individuell vurdering av hva slags behandling som skal tilbys den enkelte pasient innenfor det tilbudet som er gjort tilgjengelig i spesialisthelsetjenesten. Retten til nødvendig spesialisthelsetjeneste knytter seg ikke til enhver ny type behandling, eller den beste eller nyeste behandling som til enhver tid er tilgjengelig.

Pasienter som mener de ikke får oppfylt sin rett til forsvarlige tjenester, kan be Statsforvalteren vurdere om det har skjedd et pliktbrudd. De kan videre prøve saken for

domstolen. Det er ikke belegg for påstanden om at pasienter med sjeldne diagnoser i Norge ikke får oppfylt sin rett til forsvarlig helsehjelp.

Videre heter det i representantforslaget at «*tilgangen på nye legemidler for norske pasienter er liten*». Evalueringen av system for Nye metoder viser at vi ikke innfører færre metoder enn sammenlignbare land. Internasjonale sammenligninger viser også at Norge skårer høyt når det gjelder andel nye legemidler som blir gjort tilgjengelig for hele pasientpopulasjonen. Her er vi på 6. plass av 39 land. Videre viser tall fra system for Nye metoder at flertallet av metodene som vurderes, blir innført. Likeverdig tilgang er et grunnleggende prinsipp som vårt system ivaretar. De metodene som ikke tilfredsstillir prioriteringskriteriene som Stortinget har satt, blir ikke innført. Det er en del av en helt nødvendig prioritering.

Tilgang til nye behandlingsmuligheter kan gi pasienter med alvorlige sjeldne sykdommer flere gode leveår og bedre liv og mestring. Jeg deler derfor målet om å sikre rask tilgang til trygge og effektive metoder, også for denne pasientgruppen. Jeg mener imidlertid at forslagene som fremmes vil føre til mindre likeverdig tilgang på tvers av pasientgrupper og til dårligere ressursutnyttelse, der noen pasientgrupper unntas prinsippene for prioritering.

Vurdering av forslag 1: nasjonal finansieringsløsning for sjeldne diagnoser

Representantforslaget ber regjeringen komme tilbake til Stortinget med en egen sak om en endring i finansieringsansvaret for sykehusene ved behandling av sjeldne sykdommer gjennom en nasjonal ordning, eksempelvis et fond for sjeldne sykdommer eller en nasjonalt finansiert resept.

Finansieringsansvaret for legemidler er delt mellom de regionale helseforetakene, folketrygden og kommunene. Det har siden 2006 skjedd en gradvis overføring av finansieringsansvaret fra folketrygden til de regionale helseforetakene. Finansieringsansvaret for legemidler til behandling av sjeldne tilstander ble overført fra folketrygden til de regionale helseforetakene fra 1. februar 2019, jf. Stortingets behandling av Prop. 1 S (2018–2019). I budsjettforslaget ble det vist til at legemiddelgruppen mot sjeldne sykdommer er lite homogen, men alle legemidlene kjennetegnes med å ha få brukere. Bruken av disse legemidlene krever spesialkompetanse som tilsier at den styres av lege i spesialisthelsetjenesten. Noen av legemidlene krever også fysisk overvåking eller beredskap av spesialisthelsetjenesten eller utstyr som i all hovedsak besittes av spesialisthelsetjenesten.

Meld. St. 28 (2014–2015) *Legemiddelmeldingen — Riktig bruk – bedre helse* viser til at følgende prinsipper har ligget til grunn for Stortingets beslutninger om overføringer av finansieringsansvaret for legemidler fra folketrygd til de regionale helseforetakene, jf. boks 19.1:

- Mulighet for forbruksvridning: Ulike finansieringsordninger kan føre til at legemiddelvalg baserer seg på økonomiske og ikke medisinske hensyn.

- Riktigere prioritering: Sykehuslegene har ofte de beste forutsetningene for å foreta en riktig prioritering av hva slags behandling pasientene skal få innenfor sitt ansvarsområde.
- Manglende priskonkurranse: Det er mulig å oppnå priskonkurranse mellom medisinsk likeverdige legemidler gjennom f.eks. anbud i sykehusene.

I Meld. St. 34 (2015–2016) *Verdier i pasientens helsetjeneste — Melding om prioritering* ble det fremholdt at finansieringsansvaret for et legemiddel i hovedsak følger behandlingsansvaret.

Stortinget har sluttet seg til forslagene i Prioriteringsmeldingen, herunder målsetningen om at finansieringsansvaret for et legemiddel skal følge behandlingsansvaret, jf. Innst. 57 S (2016–2017). Det er fastsatt endringer i legemiddelforskriften og blåreseptforskriften. Endringene presiserer at legemidler, der spesialisthelsetjenesten styrer behandlingen eller det trengs utstyr/personale som finnes i spesialisthelsetjenesten, ikke skal dekkes av folketrygden. Overføringene omfatter legemidler der det er klart at både initiering, evaluering og avslutning av pasientens legemiddelbehandling gjøres av leger i spesialisthelsetjenesten, jf. Prop. 85 S (2017–2018).

Prinsippene for prioritering som er beskrevet i Prioriteringsmeldingen ligger til grunn for legemiddelforskriften kap. 14. Tiltak i helsetjenesten skal vurderes ut fra tre prioriteringskriterier – nytte, ressurs og alvorlighet. Prioriteringskriteriene skal vurderes samlet og veies mot hverandre. I vurdering av metodene er det også adgang til å foreta enkelte skjønnsmessige vurderinger i en totalvurdering av tiltaket. Dette er særlig knyttet til vurderinger av kvaliteten og usikkerheten ved dokumentasjonen, samt til de totale budsjettkonsekvensene.

Representantene hevder at det er forhold ved dagens finansieringssystem som medfører at *«når ansvaret for å betale for en behandling legges på det enkelte sykehus eller en sykehusavdeling, kan behandlingen av pasienter med en sjelden diagnose bli svært dyr for det lokale sykehuset eller avdelingen»*. Etablerte behandlingsmetoder, der effekt og sikkerhet er tilstrekkelig dokumentert, blir tilgjengeliggjort i spesialisthelsetjenesten etter behandling i system for Nye metoder. De regionale helseforetakene har finansieringsansvar for legemidler som faller inn under spesialisthelsetjenestens behandlingsansvar, uavhengig av om legemiddelet benyttes i eller utenfor sykehus. De regionale helseforetakene bestemmer i felleskap hvilke av de helseforetaksfinansierte legemidlene som kan forskrives på h-resept og hvilke som kun skal administreres av sykehusene. De regionale helseforetakene beslutter også hvilke leger som kan forskrive h-reseptlegemidler. Dersom et sykehus beslutter å tilby utprøvende behandling, påtar sykehuset seg samtidig finansieringsansvaret for behandlingen. Tilbys utprøvende behandling utenfor en klinisk studie, skal finansieringsansvaret være avklart før behandlingen tilbys pasienten. Dette fremgår av nasjonal veileder for utprøvende behandling.

Videre peker representantene på at *«behandling av en sjelden diagnose ofte blir gjort av en ekspert på den aktuelle diagnosen, og at den dermed ofte skjer på et sykehus utenfor*

pasientens hjemstedsregion. Dette skaper økonomisk usikkerhet for det enkelte lokale sykehus, som kan gjøre det vanskelig å prioritere behandling av sjeldne pasienter.» Dersom helsehjelpen blir gitt ved helseforetak i annen region, betaler pasientens bostedsregion for dette gjennom gjestepasientoppgjør. Samme prinsipp gjelder dersom pasientbehandling skjer ved nasjonale behandlingstjenester. De regionale helseforetakene har egne finansieringsmodeller for å fordele budsjettet til helseforetakene i regionen.

Forslaget om å finansiere legemiddelbehandling gjennom et nasjonalt fond er drøftet i Meld. St. 34 (2015-2016) *Verdier i pasientens helsetjeneste - Melding om prioritering*. Et slikt fond for finansiering av behandling av sjeldne sykdommer vil innebære at nye behandlingsmetoder for denne gruppen unntas de samme prinsippene for prioritering som for andre diagnoser. Det samme vil være gjeldende ved andre finansieringsløsninger som splitter opp finansieringsansvaret og sørge-for-ansvaret. Dette vil hindre likeverdig tilgang til pasientbehandling på tvers av pasientgrupper. Det pekes også på at et slikt fond vil kunne bidra til å svekke myndighetenes forhandlingsposisjon overfor legemiddelindustrien. Erfaringene med et eget fond for kreftlegemidler i Storbritannia er at denne formen for finansiering ikke gir verdi, hverken for pasientene eller for samfunnet. Å sette av store ressurser til behandling som ikke er dokumentert, er ikke å gi pasientene et godt behandlingstilbud. Tvert imot vil det gå ut over pasientene: det vil vri ressurser bort fra tiltak vi vet at virker. Jeg mener at vurderingene i meldingen fortsatt står ved lag.

Vurdering av forslag 2: «sjeldenhet» som et eget kriterium

Representantforslaget ber regjeringen om å sette «sjeldenhet» som et eget kriterium for å sikre at de særegne kjennetegnene ved sjeldne diagnoser fanges opp i prioriteringssammenheng. Sjeldenhet som et kriterium for prioritering i helsetjenesten har vært gjenstand for diskusjon både i Norge og internasjonalt. I 2010 vurderte Nasjonalt råd for kvalitet og prioritering i helse- og omsorgstjenesten at tiltak rettet mot sjeldne tilstander bør «*vurderes i tråd med § 2 i prioriteringsforskriftens krav om en samlet vurdering av tilstandens alvorlighet, av dokumentert forventet nytte av helsehjelpen og av rimeligheten i forholdet mellom kostnadene og tiltakets effekt*». Norheim-utvalget (NOU 2014:12 *Åpent og rettfærdig - prioriteringer i helsetjenesten*) gjorde også en grundig vurdering av argumentene som kan begrunne sjeldenhet som eget kriterium for prioritering, og konkluderte at «*(...) det ikke er grunnlag for et selvstendig sjeldenhetskriterium*» og at «*(...) de faktorene som er relevante, i hovedsak er ivare tatt av de tre overordnede kriteriene*». Sjeldenhet som prioriteringskriterium ble videre drøftet og vurdert i Meld. St. 34 (2015-2016) *Verdier i pasientens helsetjeneste – melding om prioritering*. Det ble her hensyntatt at sjeldne diagnoser ofte er alvorlige og gir et betydelig helsetap, i form av nedsatt livslengde og/eller redusert livskvalitet. Samtidig er ikke sammenhengen mellom sjeldenhet og alvorlighet entydig, da det finnes tilstander som er sjeldne, men som ikke medfører stort helsetap. Det er dermed ikke sjeldenhet som sådan, men forhold som typisk er assosiert med en del tilstander svært få pasienter har, som kan være relevante å ta hensyn til i metodevurderinger og tilhørende beslutninger om prioritering. Som påpekt innledningsvis, kan industrien ha svakere insentiver for å utvikle legemidler for sjeldne lidelser, og dersom et legemiddel blir utviklet kan prisen ofte bli høy. Særsilt små

pasientgrupper gjør i tillegg at det er vanskeligere å fremskaffe god dokumentasjon av nytten av behandling.

I prinsippene for prioritering fremmet i Prioriteringsmeldingen heter det derfor at «*ved vurdering av tiltak rettet mot små pasientgrupper med alvorlig tilstand hvor det er vanskelig å gjennomføre kontrollerte studier av effekt, kan et lavere krav til dokumentasjon aksepteres*» og at «*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 det aksepteres høyere ressursbruk enn for andre tiltak.*». Prinsippene for prioritering som er beskrevet over og som Stortinget har sluttet seg til i Innst. 57 S (2016-2017) ligger til grunn for legemiddelforskriften kap. 14 og skal også gjelde for innføring av legemidler i spesialisthelsetjenesten. Prinsippene er implementert i beslutningsprosessene for refusjon av legemidler i Blåreseptordningen og for innføring gjennom system for Nye metoder, ved at det er opprettet en ordning for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand. Denne ordningen åpner for at det ved visse tilstander kan godtas lavere kvalitet på dokumentasjon av effekt og sikkerhet, samt en høyere betalingsvillighet i tråd med føringene fra Prioriteringsmeldingen.

Der det er hensiktsmessig kan usikkerheten i dokumentasjonen håndteres ved at et legemiddel innføres midlertidig i påvente av ny forskningsbasert kunnskap. De regionale helseforetakene har iverksatt tiltak for å styrke rammene for midlertidig innføring og revurdering gjennom system for Nye metoder. Det ble i 2020 innført et rammeverk for alternative prisavtaler med helsenæringen som kan brukes etter bestemte kriterier til å innføre metodene midlertidig. Med resultatbaserte avtaler er det for eksempel mulig å stille krav om at antagelser om effekt som lå til grunn for innføring, skal etterprøves eller revurderes på et senere tidspunkt. Resultatbaserte avtaler kan bidra til å håndtere utfordringene ved å vurdere effekten av legemiddelet også i et helseøkonomisk perspektiv. Det er tatt i bruk slike avtaler i flere saker.

Min vurdering av forslaget om å sette «sjeldenhet» som et eget kriterium er at et sjeldenhetskriterium som er frakoblet hensynet til nytte og alvorlighet vil kunne ha utilsiktede fordelingseffekter og en mulig dreining av ressurser fra pasientgrupper med alvorlige tilstander der det er dokumentert nytte av tiltak og forholdsmessig ressursbruk. Min vurdering er at de gjeldende prinsippene for prioritering gir klare føringene for å håndtere de utfordringene som kan oppstå i vurderingen av behandlingsmetoder til små pasientgrupper. Føringene er videre hensyntatt gjennom ordningen for særskilt små pasientgrupper med svært alvorlig tilstand.

Vurdering av forslag 3: plan for hvordan man kan sikre rask tilgang til nye og tilgjengelige medisiner for pasienter med sjeldne diagnoser

Regjeringen arbeider for å sikre likeverdig tilgang til effektive og trygge behandlingsmetoder. For sjeldne tilstander er det særlig utviklingen innenfor persontilpasset medisin som vil kunne føre til flere behandlingsmuligheter. Regjeringen har i Hurdalsplattformen forpliktet seg til å

legge frem en ny stortingsmelding om prioritering som bl.a. vurderer innføringen av persontilpasset medisin. Jeg mener at denne meldingen gjennom bred politisk forankring vil møte forslagsstillernes forslag om en plan for hvordan man kan sikre rask tilgang til nye og tilgjengelige medisiner for pasienter med sjeldne diagnoser.

Det foreligger allerede planer, strategier og løpende utviklingsarbeid i tjenestene som bidrar til å styrke tilbudet innen sjeldenfeltet. I oppfølgingen av evalueringen av Nye metoder har regjeringen gitt i oppdrag til de regionale helseforetakene å utarbeide et strategidokument for videreutviklingen av systemet. Strategidokumentet skal blant annet presentere tiltak for å tilrettelegge for bedre håndtering av persontilpasset medisin i systemet. Effektivisering av saksbehandlingen i system for Nye metoder vil også bidra til raskere tilgang til etablerte metoder. Samtidig viser tall fra system for Nye metoder at over halvparten av tidsbruken i vurderingsprosessen kan tilskrives industrien, der myndighetene venter på nødvendig dokumentasjon for å vurdere sakene. Det er derfor viktig at aktørene i systemet og industrien samarbeider godt om å få ned tidsbruken. Det er særlig tiltak som rettes mot å øke forutsigbarheten i saksbehandlingen og tydelighet i kravene til dokumentasjonen, som kan bidra til raskere prosesser. Jeg viser i min vurdering av forslag 2 til bruk av alternative prisavtaler som et viktig tiltak for å tilrettelegge for midlertidig innføring av metoder og styrke tidlig tilgang. Videre har regjeringen nylig lansert Nasjonal strategi for persontilpasset medisin (2023-2030), med tiltak for likeverdig tilgang til persontilpasset medisin. Dette for å øke kompetanse i helsetjenesten og i befolkningen og for å bidra til effektiv og sikker bruk av helsedata. Strategien og oppfølgingen av denne er ytterst relevant for utviklingen av tjenestetilbudet til pasienter med sjeldne sykdommer.

Regjeringen følger opp *Strategien for sjeldne diagnoser* fra 2021. Strategien beskriver målrettet og konkret arbeidet videre for å sikre tidlig diagnostisering, behandling og oppfølging av pasienter og brukere. Sentralt i oppfølgingen av strategien er oppdraget de regionale helseforetakene har fått om å vurdere hvordan likeverdig og rask tilgang til høyspesialisert utredning, diagnostikk og behandling av personer med sjeldne diagnoser best kan ivaretas i spesialisthelsetjenesten. Når det er få pasienter innen hver diagnose, blir internasjonalt samarbeid viktig for at vi skal utvikle god forskning og gode tjenester. Europeiske referansenettverk (ERN) ble etablert av EU i 2016 for å bidra til at pasienter som rammes av en sjelden eller kompleks tilstand skal få tilgang til utredning, diagnostikk og behandling av høy kvalitet gjennom internasjonalt samarbeid. Det er etablert 24 slike referansenettverk som omfatter ulike sykdomsgrupper eller tema, og består av fagpersoner fra 28 ulike EU-land og Norge. Norge er foreløpig med i 17 av disse nettverkene, men det er et mål at norske fagmiljø skal delta i alle ERN-nettverk.

Regjeringen følger opp den nasjonale handlingsplanen for kliniske studier. Et forhold som omtales her er norske pasienters tilgang til kliniske studier i utlandet. Norske pasienter bør som hovedregel tilbys deltakelse i kliniske studier i Norge, men for noen pasienter kan det være begrensede muligheter for deltakelse i Norge. De regionale helseforetakene har tidligere laget en felles praksis for henvisning av barn med kreft til kliniske studier i nordiske land. Regjeringen har bedt de regionale helseforetakene om å utrede en felles praksis for

henvisning av voksne pasienter til kliniske studier i utlandet, fortrinnsvis i Norden. Ifølge Ekspertpanelet vil dette primært gjelde pasienter med sjeldne tilstander og diagnoser. Målet er en mest mulig likeverdig mulighet for deltakelse i kliniske studier i utlandet for pasienter som kan ha nytte av det.

Samlet vurdering

Regjeringen er opptatt av at pasienter med sjeldne sykdommer møter et godt tilbud i hele helse- og omsorgstjenesten og gjennom hele pasientforløpet. Likeverdig tilgang til behandlingsmetoder er en viktig del av tjenestetilbudet, og det foreligger planer, strategier og løpende utviklingsarbeid i tjenesten som bidrar til å styrke dette. Min vurdering er at en særbehandling av sjeldenfeltet i prioriteringssammenheng, enten gjennom særskilte finansieringsmekanismer eller gjennom et eget kriterium som gir høyere prioritet til sjeldenhet som sådan, vil føre til mindre rettferdig prioritering av felleskapets ressurser og dårligere ressursutnyttelse. Det vil føre til at noen behandlingsmetoder ikke vurderes i tråd med de vedtatte prioriteringskriteriene. Dette har vært vurdert av tidligere offentlige utvalg og i Meld. St. 34 (2015-2016) *Verdier i pasientens helsetjeneste – melding om prioritering*. Felles prinsipper for prioritering er etablert for nettopp å sikre likebehandling på tvers av pasientgrupper. Videre er de særskilte utfordringene som kjennetegner vurdering av tiltak rettet mot små pasientgrupper allerede hensyntatt i gjeldende prinsipper for prioritering. Regjeringen vil bygge på de grundige vurderingene som er gjort innen prioriteringsfeltet de senere årene, og legge frem en ny melding om prioritering med fokus på persontilpasset medisin, åpenhet og forutsigbarhet i prioriteringsbeslutningene. Innholdet og vurderingene i meldingen vil også være relevante for prioritering av behandlingstilbudet til små pasientgrupper.

Med hilsen



Ingvild Kjerkol

