



DET KONGELIGE
HELSE- OG OMSORGSDEPARTEMENT

Statsråden

Helse- og omsorgskomiteen
Stortinget
0026 OSLO

Deres ref

Vår ref

Dato

26/467-

11. februar 2026

Dokument 8:86 S (2025-2026) - Representantforslag fra stortingsrepresentantene Sylvi Listhaug, Kristian August Eilertsen, Julia Brännström Nordtug, Stig Atle Abrahamsen, Bård Hoksrud, Anne Grethe Hauan og Kristoffer Sivertsen om å sikre pasienter med ALS en reell tilgang til ordningen med godkjenningsfritak for legemidler i tidlig fase

Jeg viser til brev fra Helse- og omsorgskomiteen av 30. januar 2026 vedlagt dokument 8:86 S (2025-2026) fra stortingsrepresentantene Sylvi Listhaug, Kristian August Eilertsen, Julia Brännström Nordtug, Stig Atle Abrahamsen, Bård Hoksrud, Anne Grethe Hauan og Kristoffer Sivertsen om å sikre pasienter med ALS en reell tilgang til ordningen med godkjenningsfritak for legemidler i tidlig fase.

Representantene fremmer følgende forslag:

- 1. Stortinget ber regjeringen sørge for at pasienter med ALS som ikke kan delta i kliniske studier, gis en reell mulighet til å benytte ordningen med godkjenningsfritak for legemidler i tidlig fase.*
- 2. Stortinget ber regjeringen avklare og eventuelt justere praksis slik at når nye medisiner har manglende dokumentasjon i tidlig fase av godkjennings-prosessen, skal dette i seg selv ikke være til hinder for vurdering i ordningen med godkjenningsfritak. Dette er forutsatt at pasienten har en dødelig sykdom uten tilgjengelige behandlingsalternativer og har gitt informert samtykke.*
- 3. Stortinget ber regjeringen sikre at legemiddelforskriften § 2-5 åttende ledd praktiseres i samsvar med ordlyden, slik at både fastleger og spesialister kan søke om godkjenningsfritak*

Svar:

Forslag 1: Stortinget ber regjeringen sørge for at pasienter med ALS som ikke kan delta i kliniske studier, gis en reell mulighet til å benytte ordningen med godkjenningsfritak for legemidler i tidlig fase

Dagens legemiddelregelverk har som hovedformål å beskytte folkehelsen. For å ivareta dette formålet er legemiddelområdet detaljregulert gjennom et omfattende regelverk. Før et legemiddel plasseres på markedet er utgangspunktet etter norsk rett at et legemiddel skal ha markedsføringstillatelse, jf. lov 4. desember 1992 nr. 132 om legemidler m.v.

(legemiddeloven) § 8. For å sikre at et legemiddel har et positivt nytte-/risikoforhold blir legemidler godkjent på bakgrunn av dokumentasjon av legemiddelets kvalitet, sikkerhet og effekt, jf. forskrift 18. desember 2009 nr. 1839 om legemidler til mennesker (legemiddelforskriften) § 5-9. Før legemidler får markedsføringstillatelse, gjennomføres det prekliniske studier og deretter kliniske utprøvinger på mennesker. Dette gjennomføres for å finne ut hvordan et legemiddel virker, hvilke bivirkninger det har, og hvordan det omsettes i kroppen for å undersøke om legemiddelet er sikkert og trygt for pasienten å bruke. Klinisk utprøving av legemidler i Norge reguleres av legemiddelforskriften § 15-6a.

Som et unntak fra dette kan legemidler uten markedsføringstillatelse gjøres tilgjengelig for en pasient ved at lege søker om godkjenningsfritak, jf. legemiddelforskriften § 2-5.

Bestemmelsen har sin bakgrunn i direktiv 2001/83/EF artikkel 5. Ordningen gjelder for det første legemidler med markedsføringstillatelse i nærmere angitte land med tilsvarende eller lignende krav til godkjenning som de som gjelder i Norge (notifiseringsordningen), jf. legemiddelforskriften § 2-5 første ledd. Dette gjelder de fleste av søknadene om godkjenningsfritak, og kan ekspederes direkte av apoteket uten forhåndsgodkjenning av Direktoratet for medisinske produkter (DMP).

Ordningen gjelder for det andre tilfeller hvor DMP må foreta en nærmere vurdering av søknaden om godkjenningsfritak, og fatte et vedtak om unntak. Dette gjelder tilfeller hvor et legemiddel ikke er omfattet av notifiseringsordningen, samt andre tilfeller hvor legemiddelet er oppført på negativlisten. I slike tilfeller heter det i legemiddelforskriften § 2-5 åttende ledd at DMP «kan» etter «medisinsk grunnlagt søknad» fra lege og «på dennes personlige ansvar» gjøre unntak fra kravet om markedsføringstillatelse.

Ordningen med godkjenningsfritak er en unntaksordning som i samsvar med EØS-retten skal benyttes restriktivt. Formålet med ordningen er å ivareta hensynet til beskyttelse av pasienten på en måte som samtidig sikrer pasienter tilgang til et nødvendig legemiddel som ikke er tilgjengelig på det norske markedet. Hoveddelen av godkjenningsfritakene gjelder eldre legemidler som for eksempel har blitt trukket fra markedet, men der bruken er etablert i klinisk praksis. Godkjenningsfritak kan også unntaksvis gis for legemidler som ikke tidligere har hatt markedsføringstillatelse.

Bestemmelsen i legemiddelforskriften § 2-5 åttende ledd gir etter sin ordlyd forvaltningen et skjønn ved vurderingen av om en søknad om godkjenningsfritak skal innvilges eller ikke. Ved utøvelsen av dette skjønn må det ses hen til det grunnleggende kravet om faglig

forsvarlighet. Dette følger av ordlyden «medisinsk grunngitt» og at rekvireringen skjer på legens «personlige ansvar», i tillegg til de overordnede formålene med ordningen.

At forsvarligheten er det sentrale ved vurderingen underbygges også av at det er et gjennomgående krav i helse- og velferdssektoren om faglig forsvarlighet, jf. blant annet helsepersonelloven § 4, spesialisthelsetjenesteloven § 2-2 og helse- og omsorgstjenesteloven § 4-1. Reglene om godkjenningsfritak er også en del av legemiddelforskriften, som har som formål å «bidra til sikker og rasjonell legemiddelbruk gjennom forsvarlig kontroll av legemidlers kvalitet, sikkerhet og effekt samt markedsføring og pris», jf. legemiddelforskriften § 1-1.

Alle som søker i tråd med vilkårene i legemiddelforskriften § 2-5 åttende ledd vil følgelig få en reell og individuell vurdering av sin søknad, i tråd med hva forvaltningen anser som faglig forsvarlig. Dette gjelder også for søknader om legemidler i tidlig fase for pasienter med en dødelig sykdom uten tilgjengelige behandlingsalternativer.

Forslag 2: Stortinget ber regjeringen avklare og eventuelt justere praksis slik at når nye medisiner har manglende dokumentasjon i tidlig fase av godkjenningsprosessen, skal dette i seg selv ikke være til hinder for vurdering i ordningen med godkjenningsfritak. Dette er forutsatt at pasienten har en dødelig sykdom uten tilgjengelige behandlingsalternativer og har gitt informert samtykke.

Dagens praksis tar utgangspunkt i at kravet til faglig forsvarlighet vil være styrende for den skjønnsmessige vurderingen som legemiddelforskriften § 2-5 åttende ledd oppstiller. Vurderingene foretas på bakgrunn av de individuelle omstendighetene for hver enkelt søker, på bakgrunn av hvilken dokumentasjon som finnes om legemiddelet på tidspunktet for avgjørelsen. Kravet til faglig forsvarlighet er en rettslig standard som omfatter alle beslutninger og handlinger i helse- og omsorgstjenesten som gjelder behandling av en bestemt person. Kravet bygger på både helsefaglige og juridiske normer, og vurderinger av forsvarlighet vil ofte kunne involvere rettigheter, plikter, behov og hensyn som trekker i ulike retninger.¹

På legemiddelområdet stilles det et grunnleggende krav om at legemidler har tilstrekkelig dokumentasjon på et positivt nytte-/risikoforhold for å kunne anses som faglig forsvarlig behandling. Dette innebærer at fordelene ved riktig bruk av legemidlene veier opp for ulempene. Kravet om faglig forsvarlighet skal her sikre at brukere av helse- og omsorgstjenester mottar helsehjelp som har et minimum av dokumentasjon på at det vil gi pasienten nytte, samtidig som pasienten ikke skal risikere å påføres unødig skade, lidelse eller smerte. Rekvirering under ordningen med godkjenningsfritak skal dermed skje på bakgrunn av kunnskap og etablert fakta. Dette innebærer at det vil være nødvendig å se hen til hva slags dokumentasjon som foreligger for et legemiddel, og hva slags informasjon dokumentasjonen gir om legemiddelets nytte og risiko for pasienten.

¹ Henriette Sinding Aasen, m.fl., *Menneskerettigheter i helse- og omsorgstjenesten*, (Oslo: Universitetsforlaget, 2022), s. 40-41

Når det gjelder ALS og behandling med ILB, er dette et legemiddel der det så langt kun er gjennomført tre studier i tidlig fase (fase I og II). Vurderingen av den faglige forsvarligheten vil innebære en grundig gjennomgang av denne dokumentasjonen. Den første studien er gjennomført for å kartlegge virkningsmekanismen til ILB basert på data fra dyreforsøk og prøver fra mennesker. De to øvrige studiene var åpne og av kort varighet, manglet randomisering, og inkluderte bare 24 pasienter. DMP har konkludert med at studieresultatene gir svært begrenset informasjon om legemiddelets nytte-/risikoforhold. I begge disse studiene understreker også forfatterne av de vitenskapelige publikasjonene at videre forskning av lengre varighet er nødvendig for å konkludere med ILBs effekt, samt at tegn på effekt i disse studiene må tolkes med forsiktighet. I den pågående norske studien IMPACT som utføres ved Oslos Universitetssykehus skal legemiddelet ILB testes for bruk hos utvalgte ALS pasienter. Inklusjon- og eksklusjonskriteriene for å få delta i studien er satt opp ikke bare for å få gode studieresultater, men også for å beskytte pasientene som deltar mot unødig risiko. Dermed tar også denne studien hensyn til faglig forsvarlighet ved opptak av pasienter til studien.

Dagens praktisering av regelverket i legemiddelforskriften § 2-5 åttende ledd bygger på at det vil måtte legges stor vekt på dokumentasjonen som foreligger for et legemiddel ved utøvelsen av det faglige skjønnet. Dette gjelder også for behandling som skal gis til en pasient som har en dødelig sykdom uten tilgjengelige behandlingsalternativer, og som har gitt et informert samtykke. Slik behandling skal på lik linje med annen behandling ivareta hensynet til pasientsikkerhet og trygg legemiddelbruk, og ikke ta unødig risiko for å påføre pasienten skade, lidelse eller smerte. For å oppfylle kravet til faglig forsvarlighet, vil det heller ikke her kunne ses bort fra manglende dokumentasjon om et legemiddels nytte-/risikoforhold ved vurderingen av om en søknad om godkjenningssfritak skal innvilges eller ikke. Å endre dagens praksis slik at det gis godkjenningssfritak i situasjoner hvor det ikke finnes tilstrekkelig dokumentasjon til å vurdere om bruken er faglig forsvarlig, selv ved dødelig sykdom uten tilgjengelige behandlingsalternativer, vil innebære at det ikke er mulig å vurdere om kravet til faglig forsvarlighet er oppfylt. Jeg legger til grunn at for all pasientbehandling som ytes i Norge så er det og skal det fortsatt være et grunnleggende krav til at tjenestene som ytes anses som forsvarlige.

Jeg vil også vise til at Stortinget i 2021 behandlet et representantforslag om å sikre at ALS-syke, demenspasienter og andre med alvorlige diagnoser skulle få en «right to try». Ordningen som ble foreslått var inspirert av ordningen i USA hvor terminalt syke pasienter gis tilgang til eksperimentelle legemidler som har fullført fase I-testing, men som ikke er godkjent. Forslaget om å innføre en slik ordning i Norge fikk ikke flertall. Det ble blant annet påpekt at ordningen i USA er blitt kritisert og ikke har fungert etter sin intensjon. Det ble ellers vist til at utprøvende behandling må være tilgjengelig, faglig forsvarlig og ikke gi stor økt risiko for å vesentlig forverre pasientens livskvalitet.

Forslag 3: Stortinget ber regjeringen sikre at legemiddelforskriften § 2-5 åttende ledd praktiseres i samsvar med ordlyden, slik at både fastleger og spesialister kan søke om godkjenningssfritak

Representantene peker i forslaget på at både fastleger og spesialister må kunne søke om godkjenningssfritak. Den generelle og overordnede ordlyden «lege» i legemiddelforskriften § 2-5 åttende ledd åpner opp for at både fastleger og legespesialister vil kunne søke om godkjenningssfritak. Enhver som faller inn under dette vilkåret vil dermed kunne søke om godkjenningssfritak for rekvirering av et legemiddel på de nærmere angitte vilkårene i bestemmelsen.

Hvorvidt søknaden innvilges, beror som nevnt i svar på forslag 1 på en skjønnsmessig helhetsvurdering av forsvarligheten ved behandlingen. Dette må gjøres på bakgrunn av de individuelle omstendigheter som gjør seg gjeldende i saken, og vil være opp til forvaltningens faglige skjønn. Hvem som søker om godkjenningssfritak, vil kunne være et relevant moment ved denne skjønnsmessige forsvarlighetsvurderingen i den grad det sier noe om hvilke forutsetninger som behandlende lege har til å følge opp pasienten ved behandlingen med legemiddelet. Dette gjelder både legens kompetanse, behandlingsstedets organisering av hjelpetilbudet, samt legens tilgjengelighet på informasjon om administrasjon og bruk av legemiddelet.

Oppsummert er dagens praksis dermed basert på at bestemmelsens ordlyd gir forvaltningen et faglig skjønn ved vurderingen, hvor den faglige forsvarligheten er styrende for skjønnsutøvelsen. Ved å foreta vurderingen på bakgrunn av faglig forsvarlighet, praktiseres legemiddelforskriften § 2-5 åttende ledd i tråd med hva som kan utledes av ordlyden, sett i sammenheng med ordningens formål og med legemiddelregelverket for øvrig.

Søknader om godkjenningssfritak vil likevel kunne reise flere krevende vurderinger, noe de nylige sakene med ALS-pasienter som har søkt om tilgang til ILB viser. Kravet om faglig forsvarlighet er likevel et helt grunnleggende prinsipp innenfor helse- og omsorgssektoren som fortsatt er styrende for vurderinger av om slike søknader skal innvilges. Selv om en pasient har en dødelig sykdom og det ikke finnes tilgjengelige behandlingsalternativer, innebærer kravet til faglig forsvarlighet at pasienten skal gis en trygg og sikker behandling. Jeg er likevel åpen for at det kan undersøkes nærmere om det for slike pasienter bør foretas presiseringer i regelverket slik at det på visse vilkår kan være noe større rom for å innvilge godkjenningssfritak. Dette vil kreve en svært grundig og bred vurdering, og jeg ønsker derfor at det settes ned et ekspertutvalg som kan utrede dette nærmere.

Med hilsen



Jan Christian Vestre