



## STORTINGET

# Innst. 159 S

(2025–2026)

Innstilling til Stortinget  
fra helse- og omsorgskomiteen

Dokument 8:86 S (2025–2026)

Innstilling fra helse- og omsorgskomiteen om Representantforslag fra 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

## Komiteens behandling

Helse- og omsorgsminister Jan Christian Vestre har uttalt seg til forslaget i brev av 11. februar 2026. Brevet følger som vedlegg til denne innstillingen. Det ble åpnet for skriftlige innspill. Komiteen mottok tre skriftlige innspill innen fristen, og de mottatte innspillene er sammen med sakens dokumenter tilgjengeliggjort på sakens side på stortinget.no.

Til Stortinget

## Komiteens merknader

Komiteen, medlemmene fra Arbeiderpartiet, Farahnaz Bahrami, Ragnhild Bergheim, Rune Krutå, Truls Vasvik og Kai Steffen Østensen, fra Fremskrittspartiet, Stig Atle Abrahamsen, Kristian August Eilertsen, Anne Grethe Hauan og Julia Brännström Nordtug, fra Høyre, Erlend Svardal Bøe og Margret Hagerup, fra Sosialistisk Venstreparti, Kathy Lie, fra Senterpartiet, lederen Kjersti Toppe, fra Rødt, Seher Aydar, og fra Kristelig Folkeparti, Ida Lindtveit Røse, viser til representantforslaget om å sikre pasienter med amyotrofisk lateral sklerose (ALS) en reell tilgang til ordningen med godkjenningsfritak for legemidler i tidlig fase. Komiteen viser til at ALS er en alvorlig neurologisk sykdom, ofte med rask progresjon og med dødelig utfall.

Komiteen viser til at representantforslaget består av tre forslag: om å sikre pasienter med ALS bedre tilgang til ordningen med godkjenningsfritak for legemidler i tidlig fase, om å avklare at manglende dokumentasjon ikke alene skal hindre vurdering under ordningen,

## Innledning

I dokumentet fremmes 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 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.
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.»

Det vises til dokumentet for nærmere redegjørelse for forslagen.

og om å presisere at både fastleger og spesialister kan søke.

Komiteen viser til at statsråd Jan Christian Vestre har uttalt seg om forslagene i brev til komiteen. Komiteen merker seg at statsråden understreker at godkjenningsfritak kun kan gis når behandlingen anses faglig forsvarlig, og at manglende dokumentasjon i tidlig fase derfor fortsatt vil være et hinder. Videre merker komiteen seg at statsråden likevel er 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 godkjenningsfritak.

Komiteen viser til at ALS er en svært alvorlig, progressiv og dødelig nevrologisk sykdom, og at livskvaliteten til pasienter og pårørende blir sterkt påvirket av mangel på behandling som kan kurere, stoppe eller bremse sykdommen, og mangel på håp. For tiden finnes det ingen kur mot sykdommen, og for pasienter og pårørende innebærer sykdommen store belastninger og begrenset tid.

Komiteen mener at dagens ordning for godkjenningsfritak for legemidler er viktig, og at mennesker med alvorlig og dødelig sykdom skal ha reell adgang til ordningen på individuelt grunnlag, inkludert for legemidler i tidlig fase. Komiteen mener at faglige forsvarlighetsvurderinger skal foreligge i hvert enkelt tilfelle der godkjenningsfritak skal vurderes og gis.

## Helhetlig gjennomgang av ordning for godkjenningsfritak for legemidler

Komiteen er enig med forslagsstillerne om at ordningen for godkjenningsfritak for legemidler skal være reell.

Komiteen mener at alle som søker i tråd med vilkårene i legemiddelforskriften § 2-5 åttende ledd, må få en reell og individuell vurdering av søknaden, i tråd med hva behandlende lege og helseforvaltningen mener er faglig forsvarlig. Komiteen understreker at det også skal gjelde for søknader om legemidler i tidlig fase for pasienter med en dødelig sykdom uten tilgjengelige behandlingsalternativer.

Komiteen mener at det er nødvendig å undersøke hvilke endringer eller presiseringer som kan gjøres i dagens regelverk for ordningen med godkjenningsfritak for legemidler, for å gi et større rom for å innvilge godkjenningsfritak. Et slikt arbeid må skje raskt og skal bidra til at tidlig tilgang til legemidler kan tilgjengeliggjøres for pasienter som trenger det.

Komiteen mener at ordningen med godkjenningsfritak bør kunne benyttes av pasienter med livstruende sykdommer uten behandlingsalternativer, når risikoen er kjent, pasienten samtykker og det ikke foreligger andre tilgjengelige behandlingsalternativer. Ko-

miteen mener det bør gjøres presiseringer i regelverket sånn at et slikt formål blir tydelig fra lovgivers side.

Komiteen mener det bør settes ned en hurtigarbeidende ekspertgruppe. Mandatet til et slikt hurtigarbeid skal være å vurdere og foreslå konkrete tiltak for hvordan dagens godkjenningsfritaksordning kan innrettes for å gi en reell mulighet for godkjenningsfritak for legemidler, også i tidlig fase, for pasienter med alvorlig sykdom med kort forventet levetid og uten behandlingsmuligheter. Det er nødvendig at ekspertgruppen vurderer etiske og juridiske implikasjoner ved å benytte ordningen med godkjenningsfritak for legemidler, også før det foreligger godkjenning i andre land, og der det er høy risiko for pasienten, men behandlende lege og helseforvaltningen vurderer det som faglig forsvarlig.

Komiteen mener videre at ekspertgruppen må vurdere og foreslå eventuelle endringer som bidrar til at det ikke vil være til hinder for vurdering i ordningen med godkjenningsfritak om nye legemidler har manglende dokumentasjon i tidlig fase.

Komiteen understreker at det er en styrke å få vurdert helheten i ordningen. Komiteen understreker at faglige forsvarlighetsvurderinger og pasientens individuelle situasjon legges til grunn i arbeidet.

Komiteen fremmer på denne bakgrunn følgende forslag:

«Stortinget ber regjeringen nedsette en hurtigarbeidende ekspertgruppe med kompetanse på blant annet helserett, medisinsk etikk, legemidler, klinisk utprøving, helseforskning og pasientperspektiv, som skal utrede hvordan tidlig tilgang til legemidler kan tilgjengeliggjøres for pasienter med alvorlig sykdom med kort forventet levetid og uten behandlingsmuligheter.

Ekspertgruppen skal:

- Vurdere og foreslå endringer i dagens ordning med godkjenningsfritak for legemidler, også i tidlig fase, som imøtekommer behovet for at muligheten for godkjenning også er til stede selv om det ikke foreligger godkjenning i noe annet land.
- Vurdere etiske og juridiske implikasjoner ved å benytte ordningen med godkjenningsfritak for legemidler, også i tidlig fase, før det foreligger godkjenning i andre land, der det vurderes som faglig forsvarlig av helseforvaltningen etter anbefaling fra behandlende lege.
- Foreslå eventuelle endringer i forvaltningspraksisen som bidrar til at nye legemidler som har manglende dokumentasjon i tidlig fase, ikke vil være til hinder for vurdering i ordningen med godkjenningsfritak. En slik eventuell endring skal forutsette at pasienten har en dødelig sykdom uten tilgjengelige behandlingsalternativer, at det er vurdert som faglig forsvarlig av helseforvaltningen etter anbefa-

ling fra behandlende lege, og at pasienten har gitt informert samtykke.

Gruppen skal levere tiltak og eventuelle forslag til regelverksendringer til Helse- og omsorgsdepartementet innen fem måneder.»

## Reell mulighet til å benytte dagens ordning

Komiteen viser til at ordningen med godkjenningsfritak etter legemiddelforskriften § 2-5 er ment å gi en mulighet for tilgang til legemidler uten markedsføringsstillatelse i situasjoner der pasienten ikke har tilfredsstillende behandlingsalternativer, og der pasienten samtykker til behandling. Komiteen mener denne muligheten også må være til stede selv om det ikke foreligger godkjenning i noe annet land.

Komiteen viser til høringsinnspillene fra blant annet Stiftelsen ALS Norge og Norsk logopedforbund som uttrykker bekymring for at pasienter som ikke kan delta i kliniske studier, får avslag på søknader om godkjenningsfritak etter legemiddelforskriften § 2-5. Det fremgår at Direktoratet for medisinske produkter (DMP) har avslått alle de tre søknadene som hittil er sendt, og at ingen av klagen er tatt til følge av Helse- og omsorgsdepartementet. Begrunnelsene for avslagene handler om både manglende dokumentasjon om risiko og manglende kunnskapsgrunnlag for legemidler i tidlig fase innenfor en faglig forsvarlighetsvurdering.

Komiteen understreker at hver enkelt søknad skal behandles individuelt.

Komiteen fremmer på denne bakgrunn følgende forslag:

«Stortinget ber regjeringen i påvente av at ekspertgruppen kommer med sin rapport, sørge for at pasienter med ALS og andre alvorlige og dødelige sykdommer gis reell mulighet til å benytte ordningen med godkjenningsfritak for legemidler i tidlig fase, etter en individuell vurdering, når dette blir vurdert som faglig forsvarlig av helseforvaltningen etter anbefaling fra behandlende lege. Manglende dokumentasjon i tidlig fase av godkjenningsprosessen skal i seg selv ikke være til hinder for vurdering i ordningen med godkjenningsfritak. Dersom dette krever lovendring, ber Stortinget regjeringen komme tilbake så snart som mulig.»

Komiteen mener at forvaltningspraksisen i vurderingen av søknader om godkjenningsfritak skal bygge på faglig forsvarlighet i lys av pasientens individuelle situasjon. Komiteen viser til at ingen av de tre pasientene som til nå har søkt om å få benytte legemiddelet ILB, har fått godkjent sine søknader, og avslagene har vært tilnærmet likelydende, selv om behandlende lege har anbefalt legemiddelet for pasienten. Komiteen

skal ikke vurdere om den faglige forsvarligheten er i tråd med legemiddelforskriften, men slår fast at i påvente av den helhetlige gjennomgangen som foreslås i denne saken, bør forvaltningspraksisen kunne justeres dersom det ikke krever lovendring. En slik justering av forvaltningspraksisen må gjøres også i forkant av at rapporten foreligger.

Komiteen viser til statsrådets uttalelse til komiteen, hvor han skriver at «ordningen med godkjenningsfritak er en unntaksordning som i samsvar med EØS-retten skal benyttes restriktivt.» Komiteen mener at regelverket og praktiseringen i sum gir en for restriktiv forvaltningspraksis, at det EØS-rettslige handlingsrommet kan være større, og at avslagene indikerer at behandlende leges vurdering og pasientens situasjon burde vektlegges i større grad. Komiteen mener at hver søknad skal behandles individuelt, og at pasientens situasjon og behandlende leges faglige vurdering i større grad skal tillegges vekt. Komiteen mener dette er viktig for tilliten til ordningen.

I uttalelsen påpeker statsråden at 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.» Komiteen mener at de tre avslagene som til nå er gitt i ordningen, understreker behovet for at forvaltningspraksisen justeres, slik at ordningen skal gi en reell mulighet for pasienter som er døende og ikke har andre realistiske behandlingsalternativer enn legemiddelet som trenger godkjenningsfritak, innenfor de faglige forsvarlighetsvurderingene som er foretatt. Dersom dette krever lovendring, ber Stortinget regjeringen komme tilbake med forslag om dette så snart som mulig. Komiteen vil understreke at dette først og fremst er aktuelt der både pasienten og særlig behandlende lege og helseforvaltningen er innforstått med risikoen man påtar seg.

Komiteen understreker at kravet til faglig forsvarlighet både må forstås og praktiseres kontekstuellt med pasientens situasjon. Med dette mener komiteen at for mennesker med dødelig sykdom uten behandlingsalternativer kan høy risiko likevel være faglig forsvarlig fordi alternativet er gradvis tap av helse og liv.

## Kliniske studier

Komiteen mener at innsatsen for å utvikle behandlingstilbud for pasienter med ALS og andre sykdommer som rammer sentralnervesystemet, må intensiveres. I dag gjennomføres det en klinisk studie ved Oslo universitetssykehus hvor legemiddelet ILB testes for bruk hos utvalgte ALS-pasienter. Den norske studien med navnet IMPACT har lagt til grunn faglige inklusjons- og eksklusjonskriterier for å kunne delta i studien.

Komiteen viser også til Stortingets behandling av Dokument 8:220 S (2020–2021), jf. Innst. 487 S (2020–2021), hvor det blant annet ble vedtatt enstemmig å «sørge for økt finansiering av klinisk forskning på alvorlige sykdommer som rammer sentralnervesystemet slik som ALS, MS og demens», jf. vedtak nr. 990, 25. mai 2021. Komiteen viser til at dette fortsatt må følges opp.

Komiteen bemerker at dersom et legemiddel vurderes som tilstrekkelig trygt til bruk i en større klinisk studie, bør risikoen vurderes i lys av pasientens livstruende situasjon når samme legemiddel vurderes for bruk under tett medisinsk oppfølging utenfor studien. Komiteen mener det må kunne etableres rammer som gjør at deltagelse i en klinisk studie ikke skal være en forutsetning for å kunne prøve ut legemidler i tidlig fase for pasienter med livstruende sykdommer uten behandlingsalternativer når risikoen er kjent, pasienten samtykker og det ikke foreligger andre tilgjengelige behandlingsalternativer.

Komiteen mener det er viktig at arbeidet med å forske frem nye behandlingsmetoder skjer etter internasjonale standarder, slik som kliniske studier legger til grunn. Kliniske studier er det viktigste virkemiddelet vi har for å kunne tilby pasienter ny og utprøvende behandling.

## Legemiddelforskriften § 2-5 åttende ledd

Komiteen viser til forslag 3 i representantforslaget om at både fastleger og spesialister må kunne søke om godkjenningsfritak. Komiteen mener at dette ivaretas i dagens legemiddelforskrift § 2-5 åttende ledd, hvor den generelle og nøytrale betegnelsen «lege» åpner opp for at både fastleger og legespesialister vil kunne søke om godkjenningsfritak for rekvirering av et legemiddel på de nærmere angitte vilkårene i bestemmelsen.

Komiteen understreker at dersom dagens praksis innebærer at søknader avslås basert på legens spesialisitet, er det nødvendig å gjennomgå praksisen slik at forskriftens formål ivaretas i tråd med bestemmelsen.

Komiteen fremmer på denne bakgrunn følgende forslag:

«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.»

## Komiteens tilråding

Komiteens tilråding fremmes av en samlet komité.

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

vedtak:

### I

Stortinget ber regjeringen nedsette en hurtigarbeidende ekspertgruppe med kompetanse på blant annet helserett, medisinsk etikk, legemidler, klinisk utprøving, helseforskning og pasientperspektiv, som skal utrede hvordan tidlig tilgang til legemidler kan tilgjengeliggjøres for pasienter med alvorlig sykdom med kort forventet levetid og uten behandlingsmuligheter.

Ekspertgruppen skal:

- Vurdere og foreslå endringer i dagens ordning med godkjenningsfritak for legemidler, også i tidlig fase, som imøtekommer behovet for at muligheten for godkjenning også er til stede selv om det ikke foreligger godkjenning i noe annet land.
- Vurdere etiske og juridiske implikasjoner ved å benytte ordningen med godkjenningsfritak for legemidler, også i tidlig fase, før det foreligger godkjenning i andre land, der det vurderes som faglig forsvarlig av helseforvaltningen etter anbefaling fra behandlende lege.
- Foreslå eventuelle endringer i forvaltningspraksisen som bidrar til at nye legemidler som har manglende dokumentasjon i tidlig fase, ikke vil være til hinder for vurdering i ordningen med godkjenningsfritak. En slik eventuell endring skal forutsette at pasienten har en dødelig sykdom uten tilgjengelige behandlingsalternativer, at det er vurdert som faglig forsvarlig av helseforvaltningen etter anbefaling fra behandlende lege, og at pasienten har gitt informert samtykke.

Gruppen skal levere tiltak og eventuelle forslag til regelverksendringer til Helse- og omsorgsdepartementet innen fem måneder.

### II

Stortinget ber regjeringen i påvente av at ekspertgruppen kommer med sin rapport, sørge for at pasienter med ALS og andre alvorlige og dødelige sykdommer gis reell mulighet til å benytte ordningen med godkjenningsfritak for legemidler i tidlig fase, etter en individuell vurdering, når dette blir vurdert som faglig forsvarlig av helseforvaltningen etter anbefaling fra behandlende lege. Manglende dokumentasjon i tidlig fase av godkjenningsprosessen skal i seg selv ikke være til hinder for vurdering i ordningen med godkjenningsfritak. Dermed dette krever lovendring, ber Stortinget regjeringen komme tilbake så snart som mulig.

III

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.

Oslo, i helse- og omsorgskomiteen, den 3. mars 2026

**Kjersti Toppe**

leder

**Ida Lindtveit Røse**

ordfører



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.<sup>1</sup>

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.

---

<sup>1</sup> 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 godkjenningsfritak skal innvilges eller ikke. Å endre dagens praksis slik at det gis godkjenningsfritak 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



