



Har pasienter rett til behandling med legemidler som Beslutningsforum har avslått?

DEBATT

HAAKON LINDEKLEIV

haakon.lindekleiv@unn.no

Haakon Lindekleiv er lege, fagsjef ved Universitetssykehuset Nord-Norge og professor ved UiT – Norges arktiske universitet.

Forfatteren har fylt ut ICMJE-skjemaet og oppgir ingen interessekonflikter.

TRUDE GIVERHAUG

Trude Giverhaug er farmasøyt og leder for legemiddelkomiteen ved Universitetssykehuset Nord-Norge.

Forfatteren har fylt ut ICMJE-skjemaet og oppgir ingen interessekonflikter.

MARTE LØDEMEI HENRIKSEN

Marte Lødemel Henriksen er lege og medisinsk faglig rådgiver ved Fag- og kvalitetssenteret, Universitetssykehuset Nord-Norge.

Forfatteren har fylt ut ICMJE-skjemaet og oppgir ingen interessekonflikter.

Statsforvalteren i Agder har nylig gitt en pasient rett til behandling med et legemiddel som Beslutningsforum har avslått. Hvilke konsekvenser får dette?

Transtyretinrelatert amyloid kardiomyopati er en alvorlig tilstand der feilfolding av proteinet transtyretin medfører opphoping av amyloid i hjertemuskelen (1). Det tilbys i dag ingen kausal behandling mot tilstanden i den norske spesialisthelsetjenesten. Pasientene får støttetterapi rettet mot blant annet hjertesvikt, rytmeforstyrrelser og restriktiv kardiomyopati. Transplantasjon kan være aktuelt i utvalgte tilfeller.

Imidlertid finnes det kausal behandling av tilstanden. Legemiddelet tafamidis stabiliserer det feilfoldede proteinet og begrenser avleiring av amyloid i hjertemuskelen. I en randomisert studie var tafamidis assosiert med lavere dødelighet og lavere forekomst av hjertelaterte sykehusinnleggelser sammenlignet med placebo (2). European Society of Cardiology anbefalte i 2021 tafamidis til behandling av pasienter som har tilstanden og lett hjertesvikt (3). Det er godkjent av legemiddelmyndighetene og har markedsføringstillatelse i Norge (4).

Beslutningsforum sier nei

I Norge har Beslutningsforum for nye metoder to ganger vurdert, men besluttet å ikke innføre, tafamidis for denne indikasjonen (5). Begrunnelsen var at prisen er for høy i forhold til den dokumenterte nytten og at budsjettkonsekvensene gitt antall pasienter og forventet behandlingstid er store. Legemiddelverkets metodevurdering, som var med på å danne grunnlaget for beslutningen, vurderte at resultatene fra den overnevnte randomiserte studien ikke uten videre er overførbare til norske forhold, samt at behandlingen innebærer en kostnad per vunnet kvalitetsjusterte leveår på rundt tre millioner kroner.

Behandlinger som er avslått i Beslutningsforum, skal ikke benyttes i den offentlige spesialisthelsetjenesten, men det kan gis unntak dersom behandlingen er under metodevurdering (6). I den aktuelle saken søkte behandlende lege sitt helseforetak om å bruke tafamidis for å behandle en pasient med transtyretinrelatert amyloid kardiomyopati. Så vidt vi forstår, var tafamidis på det aktuelle tidspunktet under nasjonal metodevurdering. Helseforetaket avsto søknaden. Pasienten klaget på avslaget til Statsforvalteren i Agder.

«Lovfortolker eller lovgiver må avklare forholdet mellom pasientenes rett til forsvarlig helsehjelp og rammene for hva som skal tilbys i det offentlige helsevesenet»

På det tidspunktet pasienten klaget hadde Beslutningsforum avslått å innføre tafamidis til behandling av denne diagnosen. Statsforvalteren besluttet i oktober å gi pasienten rett til behandling med tafamidis på helseforetakets regning. I vedtaket er det lagt avgjørende vekt på at medikamentet er godkjent av legemiddelmyndighetene i EU og USA og at spesialister i hjertesykdommer i Norge har anbefalt behandlingen. Vedtaket er gjort selvstendig av Statsforvalteren i Agder, og Statens helsetilsyn har i etterkant startet en ny gjennomgang av saken etter anmodning fra Helse Sør-Øst (7).

Tolkning, presedens og nødvendig helsehjelp

Dette er et enkeltvedtak som gjelder en konkret pasient, men vedtaket reiser flere spørsmål. Er Statsforvalteren i Agder sin tolkning av regelverket riktig, og vil vedtaket skape presedens? Pasient- og brukerrettighetsloven § 2 - 1 angir at pasienter har rett til nødvendig helsehjelp. Kan pasienter med utgangspunkt i denne loven nå kreve behandling med legemidler som Beslutningsforum har besluttet å ikke innføre i den offentlige spesialisthelsetjenesten forutsatt at man finner leger i spesialisthelsetjenesten som anbefaler behandlingen og at legemiddelet er godkjent av legemiddelmyndighetene for aktuell indikasjon? Er det da grunnlag for å ha et system som etter gitte kriterier beslutter hvilke metoder som kan tilbys i spesialisthelsetjenesten? Hvordan skal ressursene i den offentlige spesialisthelsetjenesten i så fall fordeles?

I 2019 omgjorde Statens helsetilsyn et vedtak ved et norsk helseforetak om å ikke tilby utprøvende kreftbehandling til en pasient (8). Pasienten hadde startet utprøvende legemiddel ved et privat sykehus, og ekspertpanelet vurderte at pasienten hadde hatt effekt ved kontroller. Statens helsetilsyn vurderte det da som uforsvarlig at helseforetaket ikke overtok finansieringen av behandlingen. Også denne saken utfordrer målet om en likeverdig helsetjeneste, men skiller seg fra tafamidis-saken ved at ekspertpanelet mente at pasienten hadde hatt effekt av legemiddelet, og ved at legemiddelet ikke var vurdert i Beslutningsforum.

Vi mener disse sakene viser behovet for at lovfortolker eller lovgiver må avklare forholdet mellom pasientenes rett til forsvarlig helsehjelp og de rammene prioriteringsmeldingene og Beslutningsforum setter for hva som skal tilbys i det offentlige helsevesenet.

LITTERATUR

1. Rapezzi C, Quarta CC, Riva L et al. Transthyretin-related amyloidoses and the heart: a clinical overview. *Nat Rev Cardiol* 2010; 7: 398–408. [PubMed][CrossRef]
2. Maurer MS, Schwartz JH, Gundapaneni B et al. Tafamidis Treatment for Patients with Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy. *N Engl J Med* 2018; 379: 1007–16. [PubMed][CrossRef]
3. McDonagh TA, Metra M, Adamo M et al. 2021 ESC Guidelines for the diagnosis and treatment of acute and chronic heart failure. *Eur Heart J* 2021; 42: 3599–726. [PubMed][CrossRef]
4. Felleskatalogen. Vyndaqel (tafamidis). <https://www.felleskatalogen.no/medisin/vyndaqel-pfizer-638088> Lest 5.12.2021.
5. Beslutningsforum. Tafimidis (Vyndaqel) – indikasjon II. <https://nyemetoder.no/metoder/tafamidis-vyndaqel-indikasjon-ii> Lest 5.12.2021.
6. Beslutningsforum. Om systemet. <https://nyemetoder.no/om-systemet/unntaksordning> Lest 5.12.2021.
7. Kalveland J. Gjenåpner sak om hjertesyk pasient. *Dagens medisin* 1.12.2021. <https://www.dagensmedisin.no/artikler/2021/12/01/gjenapner-sak-om-hjertesyk-pasient/> Lest 5.12.2021.
8. Helsetilsynet. Tilsynssak 2018/1992. <https://www.helsetilsynet.no/presse/nyhetsarkiv/2019/statens-helsetilsyn-har-som-overordnet-myndighet-omgjort-fylkesmannens-avgjorelse-om-avslag-pa-behandling-med-immunterapi/> Lest 5.12.2021.

Publisert: 21. desember 2021. Tidsskr Nor Legeforen. DOI: 10.4045/tidsskr.21.0836

Mottatt 29.11.2021, første revisjon innsendt 5.12.2021, godkjent 13.12.2021.

© Tidsskrift for Den norske legeforening 2022. Lastet ned fra tidsskriftet.no 20. desember 2022.