

Danske Regioner
Att.: Tommy Kjelsgaard

Sendes pr. mail d. 31. oktober til tad@regioner.dk

31. oktober 2016

Høringssvar vedr. Medicinrådets faglige metoder

Cystisk Fibrose Foreningen er medlem af DH og Sjældne Diagnoser, hvorigennem vi indgiver høringssvar. Som forening mener vi, at der er særlige forhold omkring lægemidler til behandling af cystisk fibrose, som det er vigtigt, at der tages højde for i proceduren for det nye medicinråd.

Særlige udfordringer i forhold til gængse modeller og metoder

Cystisk fibrose er en sjælden sygdom, og der er mange forskellige mutationer med varierende defekter i genet. Det er derfor en mindre gruppe af patienterne, som kan have gavn af de forskellige nye behandlinger, der i disse år ser dagens lys. Nogle behandlingsformer vil eksempelvis kun kunne gavne 10 patienter eller færre, mens andre behandlinger kan gavne op mod 200 patienter afhængig af deres mutationer.

Ligesom for andre sygdomme bliver patienter til randomiserede forsøg udvalgt med strikse inklusions- og eksklusionskriterier, som betyder, at medicinens effekt ikke nødvendigvis er afprøvet på alle sværhedsgrader af patienter. Dette er normalt ikke et problem, og for mindre dyr medicin er det ikke sådan, at læger kun må ordinere den til patienter, som opfylder alle inklusions- og eksklusionskriterier for de studier, de er afprøvet i.

Desværre er der erfaring for, at det nuværende råd for ibrugtagning af sygehusmedicin (KRIS) har afvist ny medicin til behandling af cystisk fibrose som standardbehandling. En af grundene hertil er netop, at KRIS er af den opfattelse, at studierne er gennemført i en gruppe af patienter, hvor det er usikkert, om det er den mest relevante gruppe efter danske forhold. Det er til trods for, at studierne er gennemført som placebokontrollerede, dobbeltblindede og internationale multicenterstudier, og at danske patienter har deltaget i disse studier. Det er meget bekymrende, hvis denne argumentation vil være at genfinde i Medicinrådets metoder og modeller.

Samtidig er det vigtigt, at det er eksperter inden for behandlingen af sygdommen, som har en afgørende rolle i den overordnede lægelige vurdering af effekt af ny medicin.

Lige ret til behandling

Behandling af cystisk fibrose er dyr. Det gælder både for den eksisterende behandling, men i særdeleshed også for nye medicinske præparater. Dette skyldes bl.a., at der er de samme udviklingsomkostninger for medicin til små sygdomsgrupper, som der er for medicin til de store sygdomsgrupper, og da der er færre aftagere i de små sygdomsgrupper, vil prisen per patient være meget høj. Herudover er der andre forhold, der må tages i betragtning i den lille patientgruppe:

- Der kan være varierende behandlingseffekter af ny medicin inden for målgruppen af patienter. Det er imidlertid ikke muligt at forudsige, hvilke patienter der vil have mest gavn af behandlingen. Det er derfor vigtigt, at ny medicin som udgangspunkt tilbydes til hele den relevante patientgruppe, som lægerne på Danmarks to Cystisk Fibrose Centre skønner, at det vil have en positiv behandlingseffekt på.
- Behandling af cystisk fibrose er forebyggende, og det er ikke altid kun en markant positiv effekt her og nu, som er vigtig. Det er i lige så høj grad vigtigt at undgå funktionsnedsættelse, som for cystisk fibrose patienter betyder, at man kan undgå eller forsinke nedbrydning af lungerne.

Vi er bekymrede for, at der allerede nu, og også med det nye medicinråd, stilles ekstra store krav til effekten af medicin til cystisk fibrose patienter frem for medicin til større patientgrupper, hvor behandlingen vil være billigere per patient. Det er lodret imod princippet om fri og lige adgang til behandling af høj kvalitet. Tvært om bør der udvises fleksibilitet i metoder og modeller.

Vi har noteret os, at et bredt flertal i Folketinget bakker op om syv principper, hvoraf det syvende bl.a. handler om medicin til sjældne sygdomme. Her anføres det, at det skal være muligt at behandle med lægemidler, der er afvist til standardbehandling. Det kan på sin vi lyde positivt. Men det vil give meget store administrative byrder for de behandlende læger, hvis de skal søge om særlig tilladelse til en hel patientgruppe på f.eks. 200 patienter for at kunne nå frem til, hvilke patienter der har gavn af effekten, frem for hvis det blev godkendt som standardbehandling. Vi mener ikke, at det er et princip, som er anvendeligt i forhold til godkendelse af medicin til behandling af cystisk fibrose.

Kort information om cystisk fibrose og behandling vedlægges som bilag.

Vi står naturligvis til rådighed for uddybning og ser frem til at være høringspart. Vi vil naturligvis anbefale, at vi og/eller lægefaglige eksperter inden for cystisk fibrose inddrages i processen omkring medicinrådet.

Venlige hilsner

Cystisk Fibrose Foreningen



Helle Ousted

Direktør