

Høringsinnspill til ekspertgruppen om tidlig tilgang til legemidler

Fra teoretisk mulighet til reell individuell vurdering

Jeg skriver som pårørende og engasjert privatperson. Min mor døde av ALS i 2013, og erfaringen med sykdommens brutalitet gjør at dette ikke er et abstrakt systemspørsmål for meg. Jeg har også fulgt debatten om tidlig tilgang til legemidler tett gjennom offentlig ordskifte, kontakt med berørte miljøer og arbeid med opprop og innspill. Mitt hovedanliggende er at pasienter med alvorlig, dødelig sykdom må få en reell individuell vurdering mens muligheten fortsatt har betydning.

Ekspertgruppens mandat er etter mitt syn tydelig. Gruppen er ikke først og fremst bedt om å beskrive hvorfor dagens praksis er restriktiv eller vanskelig å endre. Mandatet er å foreslå hvordan tidlig tilgang til legemidler kan tilgjengeliggjøres for pasienter med alvorlig sykdom, kort forventet levetid og uten behandlingsmuligheter.

Det er et avgjørende skille.

Dersom konklusjonen i praksis blir at legemidler i tidlig fase fortsatt normalt skal avvises på grunn av manglende dokumentasjon, vil Stortingets intensjon ikke være oppfylt. Da vil ordningen fortsatt eksistere mest på papiret.

Saken om ILB og ALS illustrerer problemstillingen tydelig. Flere ALS-pasienter har falt utenfor klinisk studie, blant annet fordi de er for syke eller ikke oppfyller inklusjonskriteriene. Samtidig har søknader om godkjenningssfritak utenfor studie blitt avslått med henvisning til manglende dokumentasjon og tidlig fase.

Ingen ber om automatisk rett til behandling. Ingen ber om å sette til side forskning, dokumentasjon eller faglig forsvarlighet. Det dreier seg heller ikke om en generell åpning for udokumenterte behandlinger, men om en snever og særlig sårbar pasientgruppe uten tilgjengelige behandlingsalternativer. *Dersom pasienter som faller utenfor studier samtidig nektes enhver mulighet utenfor studier, oppstår en situasjon hvor ordningen med godkjenningssfritak i realiteten blir utilgjengelig nettopp for de pasientene Stortinget nå peker på.*

Forsvarlighetsvurderingen må også forstås i lys av pasientens faktiske situasjon. Ved ALS og tilsvarende sykdommer er ikke alternativet trygg venting eller stabil sykdom. Alternativet er sikker og kontinuerlig forverring. Pasienten mister gradvis funksjon, stemme, pusteevne og til slutt livet.

Risikoen ved å prøve må derfor vurderes opp mot risikoen ved ikke å prøve.

Det betyr ikke at ethvert legemiddel i tidlig fase skal kunne gis. Men det betyr at *alvorlig sykdom, kort forventet levetid, mangel på behandlingsalternativer, behandlende leges anbefaling og pasientens informerte samtykke må kunne få reell betydning i vurderingen*.

Jeg vil særlig understreke betydningen av informert samtykke. Pasienter med dødelig sykdom uten behandlingsalternativer må kunne få anledning til å akseptere en høyere grad av usikkerhet enn det som normalt aksepteres i ordinær klinisk praksis. Dette må selvsagt skje innenfor forsvarlige rammer og etter grundig informasjon. Men dersom systemet beskytter pasienten så sterkt mot usikker behandling at pasienten samtidig mister sin siste mulighet, oppstår også et alvorlig etisk spørsmål.

Pasientens tid må etter mitt syn få langt større plass i vurderingene. For en ALS-pasient kan måneder utgjøre forskjellen mellom å kunne gå, snakke, spise selv eller kommunisere med sine nærmeste – og å miste denne muligheten. En ordning som i teorien finnes, men som i praksis bruker så lang tid at pasienten mister muligheten før svaret kommer, er ikke reell.

Jeg vil også understreke betydningen av behandlende leges rolle. Mandatet peker selv på at faglig forsvarlighet skal vurderes etter anbefaling fra behandlende lege. Dette bør få reell vekt. Den legen som kjenner pasientens situasjon, sykdomsutvikling og behandlingsmuligheter best, må ikke reduseres til en formalitet i prosessen.

Det er samtidig viktig å understreke at en mer reell adgang til tidlig tilgang ikke nødvendigvis undergraver forskning eller kliniske studier. For mange pasienter vil klinisk studie fortsatt være førstevalg. *Men det vil alltid finnes pasienter som faller utenfor slike studier. Ekspertgruppen bør derfor vurdere hvordan behandling i særlige tilfeller kan gis parallelt med pågående forskning, uten at dette svekker det vitenskapelige arbeidet.*

Jeg vil på denne bakgrunn særlig be ekspertgruppen vurdere følgende:

- At ordningen med godkjenningfritak må gi reell individuell vurdering også for legemidler i tidlig fase.
- At manglende dokumentasjon i tidlig fase ikke alene må være til hinder for vurdering.
- At alvorlig sykdom, kort forventet levetid og mangel på behandlingsalternativer må tillegges betydelig vekt.
- At behandlende leges anbefaling må få større reell betydning i vurderingen.
- At pasientens informerte samtykke må tillegges større vekt ved dødelig sykdom.
- At forsvarlighet må vurderes opp mot både risiko ved behandling og risiko ved ikke-behandling.
- At det vurderes en mer uavhengig og rettssikker klageordning.
- At behandling i særskilte tilfeller skal kunne gis parallelt med pågående forskningsprosjekter.

Ekspertgruppen har fått et krevende mandat. Nettopp derfor er det viktig at arbeidet ikke ender i en beskrivelse av hvorfor dagens system er vanskelig å endre. *Mandatet handler om hvordan tidlig tilgang faktisk kan gjøres mulig innenfor forsvarlige rammer for en snever gruppe pasienter som ikke har tid til å vente.*

For denne pasientgruppen er ikke tid en nøytral faktor. Tid er selve sykdommens brutalitet. Derfor må også vurderingene ta høyde for at en mulighet som kommer for sent, ikke lenger er en reell mulighet.

Jan Erik Stakset

Engasjert privatperson og pårørende

Dokka, mai 2026