

Behandling for Gauchers sykdom kan koste opptil 3 millioner kroner per år per pasient, og utgiftene blir nå refundert av Rikstrygdeverket

Hvor mye vil samfunnet betale?

På konferansen Verdien av liv og helse foreslo den norske helseøkonomen Ivar Sønbo Kristiansen nylig en grense for samfunnets betalingsvilje på 350 000 kroner per vunnet kvalitetsjustert leveår (1). Dette tilsvarer bruttonasjonalprodukt per innbygger per år, men både grensen og bruken av begrepet «kvalitetsjusterte leveår» er omdiskutert. I Norge er høydosebehandling med autolog stamcellestøtte ved myelomatose nå blitt etablert behandling ved hjelp av øremerkede bevilgninger fra Stortinget. Kostnadene er beregnet til ca. 250 000 kroner per kvalitetsjustert leveår (2).

I dette nummer av Tidsskriftet får vi en indikasjon på at «samfunnet», i dette tilfellet Helsedepartementet og Rikstrygdeverket, er villig til å strekke seg enda lenger for å redde liv (3). Iversen & Wisløff beskriver to kasuistikker som belyser diagnostikk, oppfølging og behandling av pasienter med Gauchers sykdom (4). Dette er en sjelden autosomal recessiv tilstand som skyldes en enzymmangel. Pasientgruppen teller i Norge 30–40 personer. For få år siden fantes det ingen reell behandling for disse pasientene. Prognosen var alvorlig. Ubehandlet kan tilstanden føre til splenomegali, beinmargssvikt, smertefulle knokkeldestruksjoner og av og til nevrologiske symptomer. Enkelte kan leve et helt normalt liv uten tiltak, andre vil være helt avhengige av behandling.

Den behandling som nå anbefales internasjonalt, er enzymtilskudd i form av rekombinant glukocerebrosidase (imiglukerase). Effekten er godt dokumentert for organomegali, anemi og trombocytopeni, mens virkningen på skjelettforandringer er omdiskutert. Med behandling har pasientene normale leveutsikter. Det springende punkt er kostnadene. Wisløff påpeker at det koster inntil 3 millioner kroner per år å behandle en pasient med Gauchers sykdom med rekombinant imiglukerase (3). Fra april 2000 er disse utgiftene blitt refundert av Rikstrygdeverket.

Det foreligger ennå ikke kostnad-nytte-analyser av god kvalitet for denne behandlingsformen, men en studie av et tidligere behandlingalternativ (alglukerase, humant glukocerebrosidase rensset fra placenta) viser at kostnaden varierer fra ca. 360 000 til vel 1 million norske kroner per vunnet kvalitetsjustert leveår. Forfatterne av analysen påpeker at dette er et lavt estimat (5). Imiglukerase er betydelig dyrere og gir antakelig en kostnad-nytte-ratio på mer enn 3 millioner kroner per vunnet leveår. Behandlingen vil være livslang. Så vidt jeg har brakt på det rene, er behandling for Gauchers sykdom det dyreste behandlingstilbud som gis i Norge (6).

Ut fra et etisk synspunkt er det prisverdig at samfunnet strekker seg så langt. Men helsepolitikken skal også være rettferdig. Moralfilosofen John Rawls sier at «rettferdighet er grunnleggende for samfunnets institusjoner, slik sannhet er det for vitenskapen» (7). Spørsmålet er om Rikstrygdeverkets vedtak om å refundere slik høykostbehandling er rettferdig i en situasjon med relativ ressursknapphet.

Krav til rettferdig fordeling kan være både prosedurale og substansielle. Daniels & Sabin har påpekt at for at en beslutning skal være legitim, må begrunnelsen være offentlig og grunnene må være relevante for alle berørte (8). Rikstrygdeverkets vedtak er ikke offentlig begrunnet, og tilfredsstillende dermed ikke dette første kravet.

Vi kan bare gjette på hva som har vært de substansielle vurderingene. En mulig begrunnelse burde være i tråd med for eksempel Lønning II-utvalgets anbefalinger for rettferdig prioritering, som nå er nedfelt i pasientrettighetsloven (9, 10). Det vil si at behandlingstilbudet må oppfylle fire kriterier:

1. Er tilstanden alvorlig nok?
2. Er behandlingen effektiv nok?
3. Er behandlingen rimelig kostnadseffektiv?
4. Er dokumentasjonen for punktene 1–3 tilfredsstillende?

Svaret på spørsmålene 1, 2 og 4 er utvilsomt ja. Tilstanden er alvorlig og behandling er dokumentert effektiv. Svaret på spørsmål 3 avhenger av tolkingen av ordet «rimelig». Det prinsipielt interessante med Rikstrygdeverkets vedtak er at en behandling som denne, med de effekter som er beskrevet av Iversen & Wisløff (4), blir vurdert som «rimelig» kostnadseffektiv.

Dette er godt nytt for alle som ønsker å argumentere for prioritet til andre behandlingstilbud som konkurrerer om knappe ressurser. Rettferdighet innebærer likebehandling. Prinsippet om likebehandling er nedfelt i norsk rettspraksis og er en grunnleggende verdi. Slik jeg tolker likebehandlingsprinsippet, som etisk norm, tilsier det at alle andre pasienter med en tilsvarende alvorlig tilstand som Gauchers sykdom og tilsvarende effekt av behandling har rett på tilbudet dersom kostnadene er lavere enn 3 millioner per pasient per år.

Ole Frithjof Norheim

ole.norheim@isf.uib.no

Fagområdet medisinsk etikk og vitenskapsteori
Institutt for samfunnsmedisinske fag
Universitetet i Bergen
Ulriksdal 8c
5009 Bergen

Ole Frithjof Norheim (f. 1965) er lege og underviser i medisinsk etikk ved Universitetet i Bergen. Han var sekretær for Lønning II-utvalget og har i en årrekke studert prinsipper for rettferdig fordeling av helsetjenestens ressurser.

Litteratur

1. Husom N. Hva vil samfunnet betale for liv og helse? Tidsskr Nor Lægeforen 2002; 122: 2931.
2. Wisløff F, Tangen J-M, Brinch L, Dahl I-MS, Gruber FXE, Hammerstrøm J et al. Høydosebehandling med autolog stamcellestøtte – endelig et fremskritt ved myelomatose Tidsskr Nor Lægeforen 2001; 121: 2402–6.
3. Wisløff F. Finansiering av enzymbehandling ved Gauchers sykdom. Tidsskr Nor Lægeforen 2003; 123: 364.
4. Iversen PO, Wisløff F. Gauchers sykdom. Tidsskr Nor Lægeforen 2003; 123: 304–7.
5. Whittington R, Goa KL. Alglucerase. A pharmacoeconomic appraisal of its use in the treatment of Gaucher's disease. Pharmacoeconomics 1995; 7: 63–90.
6. Kristensen KOF, Jacobsen JE. Praktisk kostnadsanalyse av høykostnadsmedisinen ved Rikshospitalet – hvordan verdsetter vi virksomheten? Tidsskr Nor Lægeforen 1994; 114: 2505–9.
7. Rawls J. A theory of justice. Cambridge, MA: The Belknap Press of Harvard University Press, 1971.
8. Daniels N, Sabin J. Setting limits fairly: can we learn to share medical resources? New York: Oxford University Press, 2002.
9. Norges offentlige utredninger. Prioriteringer på ny – Gjennomgang av retningslinjer for prioritering innen norsk helsetjeneste. NOU 1997: 18. Oslo: Statens forvaltnings-tjeneste, Seksjon statens trykning, 1997.
10. Lov om pasientrettigheter (pasientrettighetsloven) av 7. februar 1999 nr. 63.