

Pasienter med Fabrys sykdom kan nå tilbys kausal, men kostbar behandling. Bør samfunnet finansiere dette?

Foreldreløse legemidler og helseløse pasienter

Smale legemidler – på engelsk orphan drugs, ofte oversatt til foreldreløse legemidler – er betegnelsen på produkter der pasientgruppene er for små til at de er kommersielt interessante. Både USA og EU har innført ordninger som skal medvirke til at endog sjeldne sykdommer kan behandles medikamentelt. EU kan gi et legemiddel status som smalt når sykdommen er livstruende eller kronisk invalidiserende og berører høyst fem av 10 000 personer (1). Slik status innebærer blant annet at EU for en tiårsperiode ikke vil tillate markedsføring av konkurrerende legemidler med mindre disse er klart bedre for pasienten. EØS-avtalen betyr at disse reglene også gjelder for Norge.

Den sjeldne Fabrys sykdom skyldes arvelig mangel på enzymet galaktosidase og kan medføre blant annet nevropatisk smerte, hjertesvikt og nyresvikt (2). I en artikkel i dette nummer av Tidsskriftet beskriver Gunnar Houge & Alv Johan Skarbøvik Fabrys sykdom og diskuterer medisinske, administrative og helseøkonomiske utfordringer ved denne sykdommen (2). Kausal behandling av Fabrys sykdom med genteknologisk fremstilt enzym er nå tilgjengelig, og de aktuelle preparater har fått status som smale legemidler. Behandlingen koster ca. 2 millioner kroner per pasient per år, hvilket innebærer nesten 100 millioner i årlige kostnader om alle pasientene med Fabrys sykdom bare på Vestlandet skulle behandles.

Houge & Skarbøvik anfører ingen litteraturreferanser når det gjelder klinisk effekt av behandlingen av sykdommen, men et enkelt søk i Medline identifiserer mer enn 30 aktuelle artikler. De fleste studiene mangler imidlertid adekvat kontrollgruppe, ingen studier har inkludert mer enn 100 pasienter, og ingen studier var designet for mer enn ett års oppfølging. Det ser ut til at behandlingen tolereres godt og at laboratoriemessige sykdomsmarkører forbedres. De kliniske effekter er derimot mer usikre. Studien var ikke utformet for å gi svar på hvor tidlig eller hvor lenge behandling skal gis. Vi kan ha oversett viktige studier i vårt begrensede litteratursøk, men fant ikke fyllestgjørende svar på hvor mye behandlingen eventuelt reduserer dødelighet eller forbedrer livskvalitet. Behandlingen av Fabrys sykdom reiser en rekke vanskelige spørsmål.

For det første: Hvor god dokumentasjon skal samfunnet kreve med hensyn til effekt og risiko? Dersom den globale forekomsten av Fabrys sykdom ikke er dramatisk lavere enn på Vestlandet, vil det være nok pasienter til å gjennomføre store studier. Heller ikke økonomi kan være en fullgod forklaring på den spinkle dokumentasjon for galaktosidasebehandling. Universitetet i Tromsø har organisert multisenterstudien NORVIT med 2 700 infarktpasienter over tre år for mindre enn 20 millioner kroner. Et samarbeid mellom engasjerte klinikere, ansvarsbevisste produsenter og myndigheter opptatt av forskning burde gi grunnlag for studier som kan gi svar på de spørsmål pasienter, leger og myndigheter stiller seg.

For det andre: Bør samfunnet finansiere galaktosidasebehandling? Det er flere argumenter som taler for dette. Pasientgruppen er begrenset og kostnadene noenlunde forutsigelige. Prinsippet om likt behandlingstilbud for likt behov tilsier at pasienter med en sjelden sykdom ikke skal ha et dårligere tilbud enn andre. Reglene om smale legemidler kunne tilsi at samfunnet bør være mer «betalingsvillig» ved sjeldne sykdommer. Monopol medfører som kjent høyere priser. Alvorlige og potensielt livstruende komplikasjoner er

også argumenter som taler for at galaktosidasebehandling blir prioritert. Det samme gjelder det faktum at det ikke finnes en alternativ terapi. Pasientrettighetsloven angir imidlertid at retten til behandling er betinget av at behandlingen er effektiv, og at effekten står i et rimelig forhold til kostnadene. Dersom man mener at samfunnet bør sette en grense for hvor mye det skal betale for et godt leveår, vil behandling med galaktosidase falle langt utenfor alle grenser som har vært foreslått (3).

Når helseøkonomer er opptatt av kostnader, er det ikke fordi de er besatt av tanken om å vende tommelen ned for alt som er dyrt. I stedet er de besatt av spørsmålet om det finnes bedre alternativer til den foreslåtte ressursbruken. Med andre ord: Finnes det andre pasientgrupper med like alvorlige plager som kunne fått større forventede helseforbedringer om ressursene hadde vært brukt på dem i stedet? Myndighetene har foreløpig vendt tommelen ned for pneumokokkvaksinering av spedbarn. En slik vaksinering vil koste ca. 100 millioner kroner per år og kunne forebygge 10–12 tilfeller av invasiv pneumokokksykdom og derved forebygge 1–2 dødsfall og 1–2 varige hjerneskader (T. Wisløff, Nasjonalt kunnskapssenter for helsetjenesten, personlig meddelelse). Det er således liten tvil om at penger til behandling av Fabrys sykdom kunne komme mer til nytte ved en alternativ anvendelse.

Tilfellet Fabrys sykdom er ikke enestående. Tidsskriftet har tidligere omtalt Gauchers sykdom, der problemstillingene er de samme (4), og muligheten for å behandle medfødte stoffskiftesykdommer vil sikkert øke. Vi foreslår derfor at helseministeren tar initiativ til å utrede hvilke prinsipper som bør legges til grunn ved vurdering av refusjonssøknader for smale legemidler. Her trengs blant annet pasientrepresentasjon, genetikere, klinikere, biostatistikere, etikere og helseøkonomer. Etter vår oppfatning bør man få på plass prinsipper for prioritering av smale legemidler før man diskuterer om behandlingen skal dekkes over blåreseptordningen eller DRG-systemet. Det viktigste spørsmålet er hvilke «helseløse pasienter» samfunnet bør finansiere behandlingen for.

Ivar Sønbo Kristiansen

ivarsk@c2i.net

Jan Abel Olsen

jan.abel.olsen@ism.uit.no

Ivar Sønbo Kristiansen (f. 1947) er professor ved Institutt for helseledelse og helseøkonomi ved Universitetet i Oslo. Han er samfunnsmedisiner med forskning innenfor helseøkonomi og prioritering.

Jan Abel Olsen (f. 1954) er professor i helseøkonomi ved Institutt for Samfunnsmedisin, Universitetet i Tromsø.

Oppgitte interessekonflikter: Ingen

Litteratur

1. Horn H. Orphan drugs. En innføring i begrepet, nasjonal og internasjonal lovgivning og forvaltning, samt en kartlegging av orphan drugs i Norge. Tromsø: Institutt for farmasi, Universitetet i Tromsø, 2004.
2. Houge G, Skarbøvik AJ. Fabrys sykdom – en diagnostisk og terapeutisk utfordring. Tidsskr Nor Lægeforen 2005; 125: 1004–6.
3. Kristiansen IS. Hvor mye bør samfunnet være villig til å betale for helseforbedringer? I: Bringedal B, Iversen T, Kristiansen IS, red. Verdien av liv og helse. HERO Skriftserie 2003: 6. Oslo: Universitetet i Oslo, 2003.
4. Iversen PO, Wisløff F. Gauchers sykdom. Tidsskr Nor Lægeforen 2003; 123: 304–7.