



Norsk forening for cystisk fibrose

Innspill fra Norsk forening for Cystisk fibrose (NFCF)

Vi viser til Representantforslag 147 S (2022–2023) om behovet for en nasjonal finansieringsløsning for sjeldne diagnoser.

Norsk forening for Cystisk fibrose (NFCF) er en interesseforening med formål å bedre livskvaliteten til mennesker med de medfødte, sjeldne sykdommene Cystisk fibrose (CF) og Primær Cilie Dyskinesi (PCD) og deres pårørende. Som en av få pasientorganisasjoner på sjeldenfeltet, har CF-foreningen en viktig rolle ved å bidra med erfaringer fra pasienter som lever med sjeldne sykdommer i Norge.

Vi setter stor pris på muligheten til å levere innspill, og ser på det som en viktig oppgave for oss på vegne av pasienter med CF og andre sjeldne sykdommer i Norge.

Sjeldne sykdommer har dessverre sjelden virksom behandling. For Cystisk Fibrose (CF) har vi i dag heldigvis nylig fått tilgang til ny, årsakskorrigerende behandling, men erfaringen fra prosessen var at det er karakteristisk ved sjeldne sykdommer som det ikke tas høyde for i systemet.

Selv om gruppene som defineres innenfor sjeldenområdet er små, er det viktig å legge til grunn at forekomsten av sjeldne diagnoser er estimert til 3,5–5,9 % av befolkningen. Dette betyr at det i Norge alene er 190 000–320 000 personer med en sjelden diagnose eller tilstand. Av disse er det i dag kun omkring 5% av pasientene som har tilgang til moderne og effektive behandlinger. Det er fordi det er svært krevende å forske på sykdommer som rammer få, og dersom man lykkes, er det få pasienter som vil ha behov for behandlingen.

NFCF støtter representantforslaget om en nasjonal finansieringsløsning for sjeldne diagnoser.

Sjeldne sykdommer er ofte alvorlige, arvelige sykdommer som har store kostnader for den enkelte og dens pårørende. Det er heller ikke uvanlig med opphopning av pasienter i enkelte områder eller familier, nettopp fordi det ofte er arvelige sykdommer. Dagens finansieringsordning, der kostnader tas lokalt, fører til uforholdsmessige byrder på lokale budsjetter, noe som øker risikoen for at personer med sjeldne sykdommer får svekket sine rettigheter, og får ulik behandling avhengig av hvor de bor i landet. Vi vil også særlig trekke frem sårbarheten ved at hvert foretak behandler unntakssøknader ulikt, noe som medfører en alvorlig geografisk ulikhet i behandlingen av mennesker med sjeldne sykdommer i Norge. Vi mener at det må etableres en nasjonal finansieringsordning, der en unntaksordning inngår, som er basert på pasientrettighetene til mennesker som lever med sjeldne sykdommer.



Norsk forening for cystisk fibrose

NFCF støtter representantforslaget om at sjeldenhet må inngå som eget kriterium i ny prioriteringsmelding.

Indirekte diskriminering er en tilsynelatende nøytral praksis, som likevel virker systematisk diskriminerende. Dagens finansieringssystem, og praksisen med «likebehandling» i vurderingen av sjeldne og ikke-sjeldne sykdommer, fører til en indirekte diskriminering av mennesker som lever med sjeldne sykdommer. Sjeldne sykdommer vil ikke kunne nå opp til de dokumentasjonskrav eller krav om kostnadseffektivitet, som ikke-sjeldne sykdommer vurderes etter.

Etter at de regionale helseforetakene overtok finansieringsansvaret for behandlinger til sjeldne sykdommer i 2019, har innføring av nye behandlinger mot sjeldne sykdommer langt på vei stoppet opp, eller tatt uforholdsmessig lang tid. Da systemet for Nye Metoder ble evaluert, var det blant annet på grunn av at systemet ikke fungerer godt nok for behandlinger for sjeldne sykdommer.

Vi mener at det må være høyere betalingsvilje og lavere dokumentasjonskrav for behandlinger mot sjeldne sykdommer, hvis ikke vil saksbehandlingen resultere i indirekte diskriminering av mennesker som lever med sjeldne sykdommer.

Prioriteringskriteriene «nytte», «alvorlighet», og «ressurs» må sees i sammenheng med prinsippet om rettferdighet og likeverd for mennesker med sjeldne diagnoser. For eksempel er *nytte* av en behandling ofte større enn den som regnes inn i vurderingen av ikke-sjeldne sykdommer, da en tidlig oppstart av virksom behandling for et barn med en sjelden sykdom, kan utgjøre mange flere kvalitetsjusterte leveår enn det som regnes inn i modellen i dag. Videre må nytte-kriteriet må sees i lys av at sjeldne sykdommer ikke vil kunne dokumentere nytte på en stor pasientpopulasjon, slik man kan med ikke-sjeldne sykdommer. Vurderingen av hva som utgjør rimelig ressursbruk, må ta inn prinsippet om likeverd og rettferdighet, og ta høyde for at markedet ikke virker på samme måte for sykdommer som rammer få og sjelden.

Konklusjon

Det er vår oppfatning at forslaget om en nasjonal finansieringsordning for medisinske behandlinger for sjeldne sykdommer er et betydningsfullt og nødvendig forslag. En nasjonal finansieringsordning vil bidra til å sikre rettferdig og likeverdig tilgang på livsviktige behandlinger.

Vi oppfordrer Helse- og omsorgskomiteén til å støtte forslagene, og bidra til at prinsippene om rettferdig og likeverdig behandling ivaretas for sjeldne sykdommer i den kommende prioriteringsmeldingen.

Oslo, 12.april 2023
Ellen Damhaug Scheel
Daglig leder