

Skriftlig innspill fra Hjernerådet til Stortingets Helse- og omsorgskomite om Dokument 8:220 S (2020-2021) om å sikre at ALS-syke, demenspasienter og andre med alvorlige diagnoser får en «right to try»

Tittel

«Right-to-try» er ikke raskeste vei til medisin for ALS-syke, sats heller på klinisk forskning

Selve innspillet:

Hjernerådet mener at vi skal arbeide intenst for at mennesker med alvorlige diagnoser – her hjernediagnoser – skal få mer håp og et bedre liv. Vi mener at det som kalles «right-to-try», ikke er svaret på dette. Svaret er flere kliniske studier, og at myndighetene gjør det lettere å få gjennomført slik forskning.

Hjernerådet legger vekt på at vi skal gjøre det vi kan for at mennesker som har alvorlige hjernesykdommer og andre alvorlige sykdommer, kan få en god behandling og aller helst en helbredende kur. For å komme dit, må hjerneforskningen og annen forskning styrkes i Norge. Særlig på hjernens område er det en rekke ubesvarte spørsmål som må besvares dersom vi skal komme videre til beste for pasienter med alvorlig sykdom, som for eksempel ALS og demens.

Hjernerådet understreker derfor viktigheten av at Stortinget gir politiske føringer til regjeringen, til Forskningsrådet, de regionale helseforetakene og andre som deler ut offentlige forskningsmidler, at framover må de områder prioriteres der vi har store kunnskapshull. Hjernen og nervesystemet må nevnes spesielt. Bare gjennom intensivert hjerneforskning over år kan vi komme dit at pasienter med alvorlige hjernediagnoser og andre alvorlige diagnoser kan få god nok hjelp og aller helst en helbredende kur.

I forbindelse med utvikling av nye medisiner er det ulike trinn som medikamentene skal igjennom:

- | | |
|-----------------|---|
| Fase 0 studier: | Her prøves det ut lave doser av et nytt stoff som har vært testet på forsøksdyr. Man undersøker om stoffet tolereres av mennesker. Dette gjøres på et lavt antall friske frivillige forsøkspersoner. |
| Fase 1 studier: | Forskjellige doser av et nytt stoff testes ut på fortsatt et begrenset antall friske frivillige forsøkspersoner, færre enn 100. Dette skjer over flere måneder. Man undersøker bivirkninger. |
| Fase 2 studier: | Et nytt stoff testes ut på personer som har selve sykdommen. Man undersøker ofte høyeste tolererte dose. Dette involverer flere enn 100 personer. Man måler bivirkninger (sikkerhet) og effekt av behandlingen. |
| Fase 3 studier: | Her testes ut et nytt stoff som har vist lovende effekt uten alvorlige bivirkninger i fase 2 studier. Dette inkluderer vanligvis flere enn 100 mennesker. |
| Fase 4 studier: | Allerede godkjent medisin undersøkes med langtidsoppfølging av effekt og mulige nye bivirkninger som kan komme etter lengre tids behandling. |

Det som kalles «right-to-try» går inn etter fase 1 og gjelder medikamenter som har passert fase 1 og som fortsatt er under uttesting.

I mediene fremstilles ofte «right-to-try» som at alvorlig syke pasienter skal kunne prøve ut det de kan finne av medikamenter som de tror kan hjelpe. Det er imidlertid ikke slik «right-to-try» i USA fungerer. Mediene er uklare på hvem som skal ha arbeidet med å fremskaffe medikamentene. Det er i dag på verdensbasis over 700 pågående studier bare innenfor ALS-feltet. Kun svært få av stoffene

som forsøkes ut, går videre til kliniske studier med utprøving på større pasientgrupper. Det er ikke mulig verken for leger eller pasienter å ha oversikt over lovende preparater i tidlig utprøving.

Medikamentene/stoffene eies av legemiddelprodusenten som utvikler medikamentet. En nasjonalforsamling eller en regjering kan derfor ikke bestemme at produsenten skal gi fra seg det som er deres eiendom og som de arbeider med. Vanligvis vil heller ikke produsenter ønske å gi fra seg noe på dette tidlige stadiet i prosessen. Hvis noe skulle gå galt og mennesker skulle dø eller bli raskt enda sykere på grunn av deltakelse, vil dette gi produsenten et svært dårlig image som kan være skadelig for dem i lang tid.

Det finnes på verdensbasis bare få eksempler på at mennesker har fått det som kalles «right-to-try». Medikamentet har pasienten fått av produsenten, ikke av offentlige myndigheter. Se denne lenken: <https://www.healio.com/news/hematology-oncology/20200303/right-to-try-a-wellintentioned-but-misguided-law> Der står det bl.a: "It's up to the company whether they want to offer premarket access to any of their drugs,"

«Right to try» gjør det vanskeligere å sette opp blindet randomiserte studier for å påvise effekt av medikamentet. Slike randomiserte studier er nødvendige for å kunne få et medikament registrert for en sykdom, og altså kunne gi hjelp til pasientene. Dersom stoffet er tilgjengelig i «right-to-try» vil man måtte regne med at pasienter ikke ønsker å delta i fase 2 og 3 studier som jo innebærer at en gruppe av forsøkspersonene vil få placebo-medisin. Konsekvensen av dette vil være at det tar enda lenger tid å få fram medikamenter til pasientgruppen.

Økonomi knyttet til medikamenter i «right-to-try» er et annet tema. I USA er det forsikringselskap som kan finansiere «right-to-try» for pasienter. I Norge finnes ikke slike ordninger. Det er vanskelig å tenke seg at Staten/ skattebetalerne skal gå inn å finansiere medikamenter som kun har vært gjennom fase 1 utprøving, og der vi ikke kjenner til om medikamentet har noen effekt. «Right-to-try» kan bli et falskt håp for pasienter.

Det finnes ordninger i Norge der pasienter kan delta i utprøvende behandling. Legemiddelverket har laget regler for ordningen Compassionate Use Program (CUP) der man går inn i fase 2 i oppsettet over. Vi viser til denne lenken på nettet som sist er oppdatert fra Legemiddelverket 25. februar i år: <https://legemiddelverket.no/godkjenning/klinisk-utproving/soknad-om-compassionate-use-program#1>

CUP gjelder lovende medikamenter som allerede har vist seg effektive med aktuelle sykdommer og som er på vei mot godkjenning, eller der fase 3 studier nærmest er klare. I CUP kan pasienter få være med i forsøksbehandling etter bestemte regler satt opp av Legemiddelverket. Søknad om tilgang til CUP må begrunnes med at godkjent behandling ikke har tilstrekkelig effekt, og at sykdommen er av alvorlig karakter.

Det finnes en tredje mulighet til å prøve ut medikamenter gjennom «Off Label»-praksis. Dette er medikamenter som er registrert som legemiddel for en annen sykdom, men som leger kan skrive ut til en pasient dersom man antar at det kan ha effekt for deres sykdomstilstand. Dette gjøres av mange norske leger.

Den viktigste måten for norske pasienter for å få tilgang til ny behandling, er ved deltakelse i kliniske studier, fase 2 og fase 3, der nye og lovende legemidler forsøkes ut på pasienter. Dette betyr at noen pasienter vil få placebo. Det er imidlertid ingen annen mulighet enn slike studier dersom en skal kunne påvise effekt og få registrert et nytt medikament mot en sykdom.

Hjernerådet mener at vi skal arbeide intenst for at mennesker med alvorlige diagnoser – her hjernediagnoser – skal få mer håp og et bedre liv. Vi mener at det som kalles «right-to-try» ikke er svaret på dette. Svaret er flere kliniske studier, og at myndighetene gjør det lettere å få gjennomført kliniske studier.

Forutsetningen for tilgang til kliniske studier er forskningssamarbeid og god organisering av medikamentutprøving i Norge. Norge er et lite land, men vi har en godt organisert helsetjeneste. Myndighetene må tilrettelegge for at helseforetak samarbeider, slik at pasienter kan rekrutteres fra hele landet. Det er fra myndighetenes side allerede tatt initiativ til etablering av Forskningscenter for klinisk behandling, og det er nylig utlyst flere sentre. Slike forskningscenter vil bidra til å gjøre Norge attraktivt som utprøvssted for nye medisiner utviklet av store internasjonale selskaper. Initiativet KLINBEFORSK er et tiltak for å finansiere studier som rekrutterer fra hele landet. Compassionate Use Program (CUP) til Legemiddelverket bør vurderes nærmere og utvikles, slik at legemidler på vei mot registrering kan bli lettere tilgjengelige for pasienter.

Med vennlig hilsen Hjernerådet

Magne W. Fredriksen, styreleder

Aud Kvalbein, generalsekretær