

– Utvalget for behandling av sjeldne sykdommer og små pasientgrupper

Legemiddelindustrien har følgende mål:

- Legemiddelindustrien skal bidra til økt forståelse for sjeldne sykdommer og små pasientgrupper for å sikre likebehandling og forutsigbar tilgang
- Legemiddelindustrien skal arbeide for en helhetlig prosess fra forskning, via regulatorisk prosedyre, til pasienttilgang
- Legemiddelindustriens rolle i sjeldenfeltet må styrkes gjennom gode rammebetingelser, forskning, innovasjon og politisk forståelse med fokus på den enkelte pasienten

Hva er en sjelden sykdom?

I Norge lever det omtrent 30 000 personer med en sjelden sykdom, fordelt på ca. 7 000 ulike diagnoser. Det finnes godkjent medikamentell behandling til 5% av de kjente diagnosene, noe som viser et stort, udekket, medisinsk behov. Norske myndigheter og fagmiljøer opererer med en definisjon for sjelden diagnose som en som rammer én av 10 000 personer (maks 500). I Europa er tilstanden definert som en sykdom som rammer fem av 10 000 personer.

De fleste slike diagnoser gjelder alvorlige genetiske tilstander, med en ventet forkortet levealder. Det er de færreste sjeldne sykdommer som har medikamentell behandling, men der medisiner finnes, har pasientene fått bedre livskvalitet og forlenget levetid.

Norge er langt fremme når det gjelder å sikre at pasienter og deres pårørende får tilbud om å lære å leve med sin sjeldne tilstand gjennom kompetansesentrenes tilbud. Utvalget skal arbeide for at medikamentell behandling og rehabilitering hører sammen i en helhetlig tilnærming til pasientbehandlingen.

Økt forståelse og bedret kunnskap

Gjennom vårt arbeide i utvalget ønsker Legemiddelindustrien (LMI) å styrke kunnskapen og forståelsen for de sjeldne diagnosene, og behovet for en helhetlig pasienttilnærming, inkludert hvordan dette påvirker pårørende. Det er den enkelte pasient det handler om, og en individuell tilnærming er nødvendig. Legemiddelindustrien mener at pasienter med sjeldne og alvorlige sykdommer må kunne kreve et helsetilbud på linje med det andre pasienter med samme alvorlighet får.

Det skal arbeides for økt kunnskap og forståelse blant ulike interessenter som helsepersonell, allmennhet, media og beslutningstagere i helsebyråkratiet og politisk ledelse.

Forutsigbar tilgang til behandling

Legemiddelindustrien mener at det for sjeldenfeltet bør etableres en forutsigbar finansieringsordning slik at et likeverdig behandlingstilbud sikres. Med færre pasienter å fordele forsknings- og utviklingskostnadene på må det aksepteres en høyere betalingsvillighet for legemidler til sjeldne og alvorlige sykdommer, og andre små pasientgrupper. Det er viktig å opprettholde en nasjonal unntaksordning eller sikkerhetsnett for tilgang til behandling.

Legemiddelindustrien skal arbeide for forståelse for nytten og verdien for den enkelte pasienten, og en reell, individuell behandlingstilnærming. Legemiddelindustrien arbeider av den grunn for at sjeldenfeltet skal ha en helseøkonomisk vurdering basert på sjeldenfeltets særegenheter.

Innovasjon og Forskning

Etttersom det innen sjeldenfeltet er få pasienter, er det viktig med rammebetingelser som tar høyde for innovasjon gjennom forskning på små pasientgrupper. Legemiddelindustrien vil arbeide for å ta vare på og videreutvikle innovativ basalforskning som foregår innen området gjennom en bred kontaktflate mot forskningsmiljøene, viktige beslutningstagere og helsepersonell.

Det er en prioritert oppgave for LMI å formidle betydningen av å legge til rette for forskning på sjeldne tilstander.

Ved hjelp av forskning og utvikling av ny teknologi har det kommet stadig flere legemidler for sjeldne sykdommer. Når det er få pasienter på verdensbasis er det en tidkrevende, kostbar og komplisert prosess å forske frem, prøve ut, og få godkjent nye legemidler for sjeldne tilstander. Det er i hovedsak bare legemiddelindustrien som har mulighet til å bære den risiko, og de investeringer, som kreves for å utvikle og produsere nye legemidler. For å sikre ytterligere forskning og innovasjon innen det som defineres som sjeldne sykdommer må de medisinene som finnes innen området tas i bruk. Det kreves en langsiktig tidshorison og forutsigbare rammebetingelser som verdsetter både nytten for individet og for samfunnet.