



DET KONGELIGE
HELSE- OG OMSORGSDEPARTEMENT

Helsedirektoratet
Postboks 220 Skøyen
0213 OSLO

Deres ref
18/33743-4

Vår ref
18/5398-2

Dato
28. mars 2019

Utprøvende legemiddelbehandling - behov for avklaringer

Det vises til brev datert 20. desember 2018 vedrørende behov for avklaringer om utprøvende behandling. Helsedirektoratet ber Helse- og omsorgsdepartementet avklare hvilke definisjoner av utprøvende behandling som skal benyttes i helsesektoren, og vurdere nødvendige tiltak for å sikre enhetlig begrepsbruk. Vi beklager sen respons.

Innledningsvis vil departementet understreke at prioriteringsforskriften § 3 regulerer utenlandsbehandling og kun dette. Bestemmelsen har ingen betydning for hvilke rettigheter eller hvilke definisjoner om utprøvende behandling som legges til grunn for helsehjelp i Norge.

I prioriteringsforskriften § 3 reguleres de nærmere vilkårene for at pasienter skal ha rett til å få nødvendige spesialisthelsetjenester *i utlandet* når det ikke foreligger adekvat behandling i Norge, jf. pasient- og brukerrettighetsloven § 2-1 b femte ledd. Et hovedvilkår er at den aktuelle spesialisthelsetjenesten oppfyller kravene i prioriteringsforskriften § 2 om at pasienten skal ha nytte av helsehjelpen og at de forventede kostnadene skal stå i forhold til tiltakets effekt. Bestemmelsen forutsetter med andre ord at det skal foreligge dokumentert kunnskap om nytten av tiltaket. I bestemmelsen andre ledd fremgår det at pasienter med sjeldne sykdomstilfeller *kan* få dekket eksperimentell eller utprøvende behandling i utlandet selv om vilkårene som er satt i bestemmelsens første ledd ikke er oppfylt. Det følger av begrepet *kan* at forvaltningen kan utøve skjønn i slike tilfeller. I bestemmelsens tredje ledd er det gitt en definisjon av utprøvende og eksperimentell behandling. Det fremgår klart av innledningen til tredje ledd "i denne paragrafen menes med" at definisjonen gjelder forståelsen av disse begrepene i denne bestemmelsen i prioriteringsforskriften. Departementet mener at definisjonene av begrepet utprøvende og eksperimentell behandling i prioriteringsforskriften § 3 ikke er førende for hvordan begrepet skal forstås i andre sammenhenger.

Postadresse
Postboks 8011 Dep
0030 Oslo
postmottak@hod.dep.no

Kontoradresse
Teatergt. 9
www.hod.dep.no

Telefon*
22 24 90 90
Org.nr.
983 887 406

Avdeling
Spesialisthelsetjenesteavdelingen

Saksbehandler
Maria
Henningsen
22 24 85 50

I Meld. St. (2012-2013) *God kvalitet – trygge tjenester. Kvalitet og pasientsikkerhet i helse- og omsorgstjenesten* (Kvalitetsmeldingen) ble det gitt følgende definisjon av utprøvende behandling: (...) *all behandling der effekt, risiko og bivirkninger ikke er tilstrekkelig dokumentert til at behandlingen kan inngå i det ordinære behandlingstilbudet.* Denne definisjonen ble videre lagt til grunn i Meld. St. 34 (2015-2016) *Verdier i pasientens helsetjeneste* (Prioriteringsmeldingen) og i øvrige føringer fra departementet knyttet til utprøvende behandling som tilbys i Norge. Det er som kjent et politisk mål at flere pasienter skal få tilgang til utprøvende behandling. Prioriteringsmeldingen var tydelig på at finansieringsansvaret følger behandlingsansvaret, og dette sluttet Stortinget seg til. Det vil si at dersom helseforetakene vurderer at en pasient skal få utprøvende behandling, påtar de seg samtidig finansieringsansvaret for behandlingen, uavhengig om dette skjer i Norge eller i utlandet.

Departementet forstår at det ville være hensiktsmessig med en entydig bruk av begrepet utprøvende behandling. I Kvalitetsmeldingen var ett av tiltakene å vurdere endringer i begrepsbruken i prioriteringsforskriften. Departementet er imidlertid bekymret for at en endring av definisjonene i prioriteringsforskriften § 3 tredje ledd vil kunne få utilsiktede konsekvenser. I den forbindelse vises det til at det foreligger flere sentrale domstolsavgjørelser både fra norske domstoler og EFTA-domstolen som fastslår at pasienter ikke har rett til å få dekket utgifter til behandling som anses som utprøvende eller eksperimentell etter denne definisjonen i bestemmelsen. Departementet mener at det kan skape en usikkerhet om grensegangen for dekning av utgifter til behandling i utlandet som følger av domstolspraksis, dersom det nå gjøres endringer i begrepene som anvendes i prioriteringsforskriften § 3. Departementet vil derfor ikke gjøre endringer i prioriteringsforskriften § 3.

I alle andre tilfeller skal definisjonen som er gitt i Kvalitetsmeldingen, jf. ovenfor, legges til grunn som definisjon av utprøvende behandling.

I brevet anmodes også departementet om å avklare om blåreseptforskriften §1b annet ledd skal brukes når Helfo mottar søknader om stønad til legemidler uten markedsføringstillatelse i Norge eller for bruk utenfor godkjent bruksområde (off-label).

Bestemmelsen i §1b avgrensner folketrygdens finansieringsansvar mot behandling som styres av spesialisthelsetjenesten. Bestemmelsen gjelder for nye legemidler, der Helsedirektoratet fastsetter hvor finansieringsansvaret skal ligge før legemidlet blir metodevurdert, men også ved søknader til Helfo om individuell stønad for etablerte legemidler eller legemidler uten markedsføringstillatelse i Norge. I overgangen til nytt regelverk har det vært åpnet for at Helfo kan behandle, og innvilge, søknader om individuell stønad selv om behandlingsansvaret ligger i spesialisthelsetjenesten, jf. brev av 14. desember 2017 med presiseringer av regelverket for blåreseptordningen:

"Inntil det er praktisk tilrettelagt for helseforetaksfinansiering av legemidler som forskrives på resept, men ikke er oppført i listen over H-reseptlegemidler, kan derfor Helfo også etter 1. januar 2018 behandle søknader om individuell stønad etter blåreseptforskriften for 1) legemidler som dekkes av blåreseptordningen i dag, men skal overføres til helseforetakene

og 2) legemidler som delvis brukes i primærhelsetjenesten (forskrevet av fastlege) og delvis i spesialisthelsetjenesten, for ulike bruksområder. Innvilgelse av søknad forutsetter at vilkårene for slik stønad etter blåreseptforskriften § 3 er oppfylt."

Departementet ser at det fortsatt er behov for bedre praktisk tilrettelegging for forskrivning, utlevering og oppgjør for sykehusfinansierte legemidler som tas hjemme/utenfor sykehus, men som ikke kan forskrives på H-resept. Dette betyr imidlertid ikke at Helfo skal innvilge søknader som ikke oppfyller dokumentasjonskravet, og heller ikke at pasienten skal måtte dekke behandlingen selv. Dersom en lege i spesialisthelsetjenesten beslutter å tilby utprøvende behandling, må det også tas stilling til om og hvordan behandlingen skal finansieres av helseforetaket før behandlingen settes i gang.

Departementet vil komme nærmere tilbake til dette, men inntil videre bes Helfo fortsatt vurdere søknader om stønad til legemidler uten norsk markedsføringstillatelse (for bruksområdet) jf. brev av 14. desember 2017.

Når det gjelder vurderingen av dokumentasjon for legemidler uten norsk markedsføringstillatelse (for bruksområdet), skal Helfo som før legge til grunn vilkår som fremkommer av rundskriv til blåreseptforskriften § 5-14. Det betyr at dokumentasjonen skal være publisert i vitenskapelig tidsskrift eller database; den aktuelle legemiddelbehandlingen skal være anbefalt i nasjonale faglige retningslinjer fra offentlig myndighet i Norge; eller være anbefalt i anerkjente terapianbefalinger for barn eller gravide. I en vurdering av publisert vitenskapelig dokumentasjon skal studiedesign, studiestørrelse og resultater/effekter vektlegges. Krav til randomiserte studier er hovedregelen, men observasjonsstudier kan unntaksvis godtas for mindre pasientpopulasjoner. Det er videre presisert i rundskriv at Helfo blant annet ikke skal vektlegge forhold som klinisk erfaring, retningslinjer fra andre land eller norske retningslinjer utarbeidet av ulike spesialistmiljøer (unntak barn og gravide). Det vil si at selv om en lege vurderer en behandling som faglig forsvarlig med utgangspunkt i en "evidence based"-tilnærming (hvor eksempelvis europeiske og internasjonale retningslinjer er vektlagt) og tilbyr dette til enkeltpasienter, så er ikke dette ensbetydende med at det kan ytes stønad fra folketrygden. I de tilfeller det ikke ytes stønad fra folketrygden må helseforetaket ta stilling til om og hvordan behandlingen skal finansieres av helseforetaket, fortrinnsvis før behandlingen settes i gang.

Med hilsen

Maiken Engelstad (e.f.)
avdelingsdirektør

Maria Henningsen
rådgiver

Dokumentet er elektronisk signert og har derfor ikke håndskrevne signaturer