

Alfa-1 foreningens foretræde for Folketingets Sundhedsudvalg den 21. marts 2007

(Dette er opsamling af fakta i sagen – Selve henvendelsen er vedlagt)

Vedr. Alfa-1 foreningens foretræde for Folketingets Sundhedsudvalg onsdag den 21. marts 2007

Alfa-1 foreningen søger hermed om foretræde for Folketingets Sundhedsudvalg, da situationen omkring den manglende Prolastinbehandling af alfa-1 patienter nu synes at udvikle sig mere politisk end lægefagligt, idet

1. der ikke synes at herske tvivl i det lægefaglige miljø – og i Sundhedsministeriet om, at det i 2006 af EU og Lægemedelstyrelsen godkendte lægemiddel Prolastin har en gavnlig effekt på alfa-1 patienters lungefunktion, patienter der har en medfødt enzymmangel, der bevirker at lungevævet nedbrydes over tid, og således medfører invaliditet og død .
2. udgifter til behandling af alfa-1 patienter indgik i budgetdrøftelserne med regeringen i efteråret 2006 vedr. udgifter i 2007, og alle de 5 kommende regioner var på dette tidspunkt bekendt med at de på landsplan behandlingskrævende 150 alfa-1 patienter for første gang fik mulighed for at få medicin, der kan hindre nedbrydning af lungevævet.
3. USA har tilbudt denne medicin til alfa-1 patienter i mange år, Canada og Tyskland og Sverige adskillige år og ganske mange af de øvrige EU- lande tilbyder nu denne medicin efter EU's godkendelse.
4. der pt. er 2 alfa-1 patienter i Danmark, der nu har en permanent tilladelse til at få Prolastin, mens de 35 forsøgspersoner, der netop har afsluttet et 2½ års forsøg med Prolastin tidligere fik afslag på deres ansøgning herom. Efter forsøgets afslutning er der igen meddelt afslag til en nu tidligere forsøgsperson på ansøgning om Prolastinbehandling. Dvs. 148 ud af de skønnede 150 behandlingskrævende alfa-1patienter venter stadig på medicin
5. de fleste myndigheder og instanser har udtrykt sig positivt, men stort set alle har på forskellig vis givet henholdende svar og har især henvist til Dansk Lungemedicinsk Selskabs (DLS) årsmøde, hvor alfa-1 var tema og til evalueringen af det i 2006 afsluttede forsøg.
6. DLS anbefalede på sit årsmøde i november 2006 Prolastinbehandling af behandling af alfa-1 patienter, og der har i DLS' regi har været nedsat en mindre gruppe af fagfolk med henblik på udarbejdelse af retningslinjer for Prolastinbehandling.
7. evalueringen af det netop afsluttede forsøg vil efter lungespecialisternes vurdering ikke have indflydelse på DLS' anbefaling af Prolastinbehandling, da et negativt udfald af det netop afsluttede forsøg ikke efter lungespecialisterne kan tillægges væsentlig betydning på grund af studiets lave styrke. Prolastinbehandling af alfa-1 patienter anbefales således uanset resultatet af forsøget.

Der er således et lægemiddel på markedet, der har været forsket med i rigtig mange år. Adskillige lande, USA, Canada og også europæiske har i mange år tilbudt deres alfa-1 patienter Prolastinbehandling, andre i en kortere årrække. EU har godkendt lægemidlet i 2006, og umiddelbart efter har endnu adskillige EU-lande fulgt op med en godkendelse og er nu påbegyndt Prolastinbehandling. Myndighederne henviser i vidt omfang til en evaluering af et i 2006 afsluttet forsøgt, som efter lungespecialisters vurdering ikke kan tillægges væsentlig betydning for DLS anbefaling af Prolastinbehandling på grund af forsøgets lave styrke. Udgifterne til Prolastinbehandling indgik i budgetforhandlingerne for 2007.

2 danske patienter har i flere år fået Prolastin, og nu kan de resterende 148 behandlingskrævende alfa-1 patienter snart "ikke få vejret " af bare længsel efter medicin. Hvad venter vi på ??????!

Alfa-1-foreningen

Landsforeningen til bekæmpelse af Alfa-1-antitrypsin mangel
Herlufsholmvej 37, 2720 Vanløse

Den 6. marts 2007

**Folketingets Sundhedsudvalg
Christiansborg
1240 København**

Anmodning om foretræde

Patientforeningen Alfa-1 foreningen anmoder hermed om at få foretræde for Folketingets Sundhedsudvalg vedr. den manglende (og eneste mulige) medicinske behandling af de ca. 150 behandlingskrævende patienter med alfa-1 antitrypsinmangel, nemlig behandling med lægemidlet Prolastin. Alfa-1 patienter har en medfødt enzymmangel (alfa-1 antitrypsinmangel), der medfører, at disse patienters lungevæv nedbrydes, hver gang lungerne belastes ved infektion, støv og andre partikler.

Prolastin blev godkendt af EU og Lægemiddelstyrelsen i maj 2006. Prolastin er godkendt af 14 EU-lande og tilbydes nu alfa-1 patienter i adskillige af disse. I USA har en sådan behandling fundet sted i 10- 15 år, Canada, Tyskland og Sverige har i adskillige år tilbudt Prolastin, og flere europæiske lande har efter EU's godkendelse fulgt trop. I Danmark har kun 2 patienter nu fået permanent tilladelse til at modtage Prolastinbehandling.

I. Alfa-1 antitrypsinmangel, behandlingsmuligheder og omfang af behandlingskrævende patienter

Alfa-1 antitrypsin er et vigtigt enzym, som dannes i leveren, og enzymet har til formål at beskytte lungevævet mod nedbrydning, når de hvide blodlegemer går løs på bakterier (infektion), støv og andre partikler i lungerne. Når man lider af alfa-1 antitrypsinmangel mangler man dette enzym - helt eller i meget væsentlig grad. Sygdommen medfører allerede i 30- 40 års alderen udvikling af emfysem (for store lunger) og kronisk obstruktiv lungesygdom.

Indtil for nylig var lungetransplantation den eneste reelle behandlingsmulighed, men med Prolastin er det nu muligt at mindske nedbrydning af lungevæv. Ved behandling med Prolastin tilføres patienten det enzym vedkommende mangler (alfa-1 antitrypsin). Hidtil har der kun kunnet tilbydes symptomatisk medicinsk behandling, som det også fremgår af Sundhedsministeren svar på spørgsmål S1217 til Birthe Skaarup, MF, "*intet (har) kunnet standse det accelererende tab af lungefunktionen og deraf følgende invaliditet, hvorfor den ultimative behandling har været Lungetransplantation.*"

Der findes forskellige grader af den arvelige defekt, og langt fra alle med alfa-1 antitrypsinmangel vil være potentielle modtagere af Prolastin. Ifølge foreliggende register er der ca. 500 levende personer med sværere alfa-1 antitrypsinmangel i Danmark. Lungemedicinsk afdeling på KAS Gentofte, der har den nationale koordinerende funktion, skønner, at der pt. vil være ca. 150 behandlingskrævende alfa-1 patienter på landsplan.

II. Forskning og klinisk forsøg på området med og uden dansk deltagelse

Det er desværre sådan, at det ikke er muligt at behandle de skader i lungevævet, der allerede er sket. De forsøg, der har været foretaget inden for området, har derfor primært rettet sig mod at stoppe/mindske tab af lungefunktionen. Ganske mange forsøg med Prolastinbehandling er blevet gennemført i udlandet og enkelte her i landet. Adskillige amerikanske forsøg har vist, at Prolastin har en antiinflammatorisk virkning, og at Prolastinbehandling mindsker tabet i lungekapaciteten. På linje hermed har resultatet af andre udenlandske forsøg – f.eks. et tysk forsøg – vist signifikant reduktion i det årlige fald i lungekapaciteten. Inden for området har bl.a. også svensk forskning opnået gode resultater. Formentlig findes der adskillige andre forsøg med lignende resultater.

I perioden 90- 94 blev der i Holland og Danmark gennemført og publiceret ét randomiseret studie. I dette forsøg viste de gennemførte CT-scanninger, at **tabet af lungevæv kun var halvt så stort** hos de Prolastinbehandlede patienter, end det var hos de patienter, der havde fået placebo. (Det er værd at bemærke, at dette forsøg næsten er statistisk signifikant ($p = 0,07$), hvor der kræves en værdi ($p=0,05$) for at forsøget skulle have været statistisk signifikant).

I efteråret 2006 afsluttedes tillige et 2½ års internationalt forsøg med dansk, hollandsk og svensk deltagelse under ledelse af professor Asger Dirksen, KAS Gentofte. I forsøget deltog 35 danskere ud af i alt 70 forsøgspersoner. Dette forsøg forventes evalueret formentlig i sidste halvdel af 2007, måske først i 2008.

I dag anbefaler adskillige ledende læger på området Prolastinbehandling til alfa-1 patienter, og nogle ser det - lidt forsigtigt - endog muligt, at en erstatningsbehandling med f.eks. Prolastin kan bevirke, at tabet af lungefunktionen kan reduceres i samme størrelsesorden, som det årlige fald i lungefunktionen hos en person med *normal* lungefunktion.

Navnlig er det væsentligt at nævne, at **Dansk Lungemedicinsk Selskab** på sit årsmøde i november 2006, også **anbefalede prolastinbehandling til alfa-1 patienter** efter visse nærmere angivne retningslinjer. (Se endvidere nedenfor under IV).

Vi har da også samtidig bemærket, at Sundhedsministeren i sit svar på spm. S 1217 til Birthe Skaarup, MF, yderligere henviser til, at "*Flere års erfaring fra udlandet samt en række mindre kliniske forsøg tyder dog på, at regelmæssige indsprøjtninger (én gang ugentligt) med alfa-1-antitrypsin udvundet af plasma fra bloddonorer (som lægemidlet Prolastin, vores bemærkning), kan nedsætte det accelererende tab af lungefunktionen og reducere dødeligheden af sygdommen sammenlignet med ubehandlede patienter.*"

Vi som patienter må vi i den forbindelse understrege, at det samtidig betyder en meget større livskvalitet, og at det endog i væsentlig grad er direkte livsforlængende.

III Prolastinbehandling af alfa -1 patienter i Danmark i dag – afslag til forsøgspersonerne – tilladelse til enkelte

Som nævnt foregår der nu Prolastinbehandling af alfa-1 patienter i ganske mange lande. Bemærkelsesværdigt for alfa-1 patientforeningen her i landet er naturligvis, at der også er 2 alfa-1 patienter i Danmark, der oprindeligt havde fået årlige enkeltudleveringstilladelse, og som *nu permanent* modtager Prolastinbehandling. I juni 2005 blev der under hensyn til disse daværende årlige enkeltudleveringstilladelser

ansøgt om lignende tilladelse til hver enkelt forsøgsperson i den danske del af det netop afsluttede forsøg. De 35 enkelte forsøgspersoner fik alle afslag under henvisning til at de "indgår" i et klinisk forsøg.

Adskillige forsøgspersoner overvejede dette dilemma i samråd med hinanden: *skulle man fortsætte i forsøget eller udgå og få en enkeltudleveringstilladelse som de 2 patienter, der allerede havde fået?* Da der efter den dengang fastsatte tidsplan på tidspunkt kun manglede nogle få måneder af forsøget, besluttede forsøgspersonerne imidlertid, at man godt kunne yde denne indsats ved at fortsætte i forsøget de sidste måneder og medvirke til udvikling på området til gavn for mange medpatienter (forsøget sluttede reelt først i efteråret 2006). Det er nærliggende her at tilføje, at ud af de 35 forsøgspersoner har 6 af forsøgspersonerne tillige deltaget i forsøget fra 90-94. I dag er en af disse personer lungetransplanteret, og de øvrige får invalidepension og er meget mærkede af sygdommen. Mon ikke deres situation havde set ganske anderledes ud, hvis Prolastinbehandling allerede var taget i brug dengang?

Efter det danske forsøgs afslutning har én af de 35 tidligere forsøgspersoner via egen læge søgt Gentofte Hospital om fortsat substitutionsbehandling med Prolastin. Gentofte amtssygehus svarede i oktober 2006 bl.a. *"Mhp. behandling med Prolastin, som vil koste ca. ½ mio. kr. pr. patient pr. år, behandles dette politisk aktuelt, idet vi gennem Sygehusdirektionen har rettet henvendelse til højere instans i regionen"*. Altså fandt man anledning til specifikt at nævne omkostningerne ved Prolastinbehandling i forbindelse med ansøgningen. Dette kan lede tanken hen på en anden episode, hvor en af vores medpatienter i Jylland på sin anmodning om at få Prolastin fra sygehuset fik et svar omtrent som følger *"... og hvilken afdeling synes du så der skal nedlægges for at du kan få Prolastin"*.

Der synes således at være indikationer for, at spørgsmålet om Prolastinbehandling af alfa-1 patienter nu snarere er blevet et økonomisk spørgsmål end et lægefagligt.

IV Brevveksling med myndigheder

Vi har efter EU's og Lægemiddelstyrelsen godkendelse i maj 2006 bl.a. kontaktet formanden for Danske Regioner, de 5 Regionsråd og de 2 involverede hospitaler, Gentofte og Odense Universitetshospital. Ved denne brevveksling fik vi overvejende tilkendegivelser om, at man fandt det glædeligt, at man nu kunne hjælpe en patientgruppe, der ikke tidligere har kunnet hjælpes, og dermed også give disse patienter en behandling, der er livsforlængende og giver større livskvalitet med færre infektioner mv. Adskillige parter henviste i den forbindelse til evalueringen af det på det tidspunkt netop afsluttede internationale forsøg med Prolastinbehandling og til Danmarks Lungemedicinske Selskabs behandling af prolastinbehandling på årsmødet den 25. november 2006.

Den kommende formand for Danske Regioner, Bent Hansen, henviste bl.a. i sin skrivelse af august 2006 til foreningen, at da præparatet var godkendt af Lægemiddelstyrelsen, var det jo frigivet til brug i Danmark. *"Nu er det op til fagfolkene, at tage præparatet i anvendelse i forhold til de patienter, der kan få gavn af behandlingen"* skrev Bent Hansen i den forbindelse.

Om økonomien henviste han til regionerne og udtalte, bl.a., at Danske Regioner ingen adkomst har til at påvirke budgetlægningen direkte, men at han havde en klar forventning om, *"at man i alle regioner vil prioritere indførelse af nye og virksomme behandlinger - herunder Prolastin"*. Et synspunkt som Bent Hansen i sin senere udtalelse

af november 2006 som regionsrådsformand for Midtjylland fulgte op, idet han heri oplyste, at Region Midtjylland i de kommende økonomiske forhandlinger med regeringen i begyndelsen af 2007, ville lægge vægt på, at der afsættes økonomiske midler til bl.a. ny medicin, herunder specifikt til Prolastinbehandling.

Det skal dog i denne forbindelse bemærkes, at udgifterne til Prolastinbehandling for året 2007 som tidligere nævnt indgik i de budgetforhandlingerne mellem amterne og regeringen, der foregik i 2006. Bent Hansen bemærkning må derfor forstås således, at der naturligt også skal være penge til behandling af Prolastinpatienter fremover.

I myndighedernes udtalelser til foreningen rejstes således navnlig spørgsmålene om **1) økonomi** **2) resultatet af Dansk Lungemedicinsk Selskabs årsmøde i november**, hvor der netop skulle drøftes behandling af alfa-1 patienter og **3) evaluering af det netop afsluttede danske forsøg.**

Ad 1) Økonomi

Den årlige udgift til Prolastinbehandling af ca. 150 alfa-1 patienter indgik som netop nævnt i budgetforhandlingerne med regeringen i 2006 vedr. amternes ønskeseddel for 2007 om dækning af udgifter til ny medicin og behandlingsmetoder. Amternes ønskeseddel hertil løb op i 800 mio. kr. og de 75 mio. heraf udgjorde den årlige udgift til Prolastinbehandling af de ca. 150 alfa-1 patienter, dvs. 500.000 pr. patient. pr. år En årlig udgift der på ingen måde adskiller sig i forhold til medicinudgifter til mange andre patientgrupper, f.eks. dialysepatienter, sclerosepatienter og navnlig gigtpatienter, hvor den samlede årlige udgift til behandling overstiger 1 mia.; også medicinudgifter til hjerte-og kræftområdet løber naturligt op i meget store beløb – men alle er de behandlingstilbud, vi som borgere i Danmark værdsætter meget.

Nu er det for første gang muligt at tilbyde de behandlingskrævende alfa-1 patienter. En behandling med Prolastin, der vil kunne betyde betragtelig bedre livskvalitet og også virke livsforlængende i ganske betydelig grad, dvs. i adskillige år. Hertil kommer også den samfundsøkonomiske gevinst ved at disse patienter kan undgå de mange infektioner, indlæggelser, der følger med sygdommen og senere og ophør i "utide" på arbejdsmarkedet og lungetransplantation.

Omkring afsættelse af de økonomiske ressourcer henviste Bent Hansen som nævnt til den igangværende budgetlægning, som Danske Regioner ikke kunne påvirke direkte, men han udtrykte samtidig også en klar forventning om "at man i alle regioner vil prioritere indførsel af nye og virksomme behandlinger, herunder Prolastin".

Ad 2) Resultat af Dansk Lungemedicinsk Selskabs årsmøde 25. november 2006

Ifølge referat af årsmødet anbefalede DLS på mødet Prolastinbehandling af alfa-1 patienter efter visse nærmere angivne retningslinjer. Der var endvidere tidligere blevet nedsat en mindre gruppe af fagfolk, der skulle udarbejde nærmere retningslinjer for den egentlige behandling med Prolastin. Dette udkastet omfatter bl.a. en større gennemgang af indenlandsk- og udenlandsk forskning på området og på denne baggrund også en anbefaling af prolastinbehandling.

Ad 3) Evaluering af det netop afsluttede danske forsøg

Evalueringen af det i 2006 afsluttede multinationale placebokontrollerede studie forventes at foreligge i slutningen af 2007 eller måske først i 2008. Ifølge

lungespecialister og udkast til retningslinjer for Prolastinbehandling vil resultatet af det netop afsluttede forsøg ikke have indflydelse på DLS' anbefalinger vedr. Prolastinbehandling, da et eventuelt negativt udfald ikke kan tillægges væsentlig betydning på grund af studiets lave styrke. Prolastinbehandling af alfa-1 patienter anbefales således uanset resultatet af forsøget.

De enkelte regioner og andre instanser kan således ikke bruge den kommende evaluering af det netop afsluttede forsøg til at give afslag på prolastinbehandling af alfa-1 patienter.

Afslutning

Som det fremgår ovenfor er der bred enighed blandt ledende læger i forskellig regi, forskere – såvel danske som udenlandske, og adskillige forsøg – såvel danske som udenlandske har vist, at behandling af alfa-1 patienter med Prolastin nedsætter tabet af lungefunktion, forebygger infektioner, forbedrer livskvaliteten og virker livsforlængende i ganske væsentlig grad, - alt i overensstemmelse med Sundhedsministeriets erfaringsgrundlag omtalt i svaret på spørgsmål S 1217 i indeværende Folketingssamling.

Som nævnt tidligere har der i mange år været givet prolastinbehandling i USA og Canada, og også europæiske lande, bl.a. Tyskland og Sverige har tilbudt Prolastinbehandling i flere år.

Efter at EU's godkendelse i 2006 er fulgt op af godkendelser fra de enkelte EU-landes nationale "lægemiddelstyrelser" (herunder den danske Lægemiddelstyrelse), behandler endnu flere EU-lande nu alfa-1 patienter med Prolastin, som f.eks. Schweiz, Østrig, Spanien, Frankrig og Italien. Pt. tilbyder Danmark dog kun 2 patienter denne behandling. 35 forsøgspersoner har fået afslag på ansøgning om medicinen under henvisning til de deltog i forsøget. Efter forsøgets ophør sommeren 2006 har danske hospitaler indtil videre meddelt afslag på fornyede ansøgning om prolastinbehandling.

Flere instanser og myndigheder henviser nu til, at man vil afvente evalueringen af det netop afsluttede forsøg. Men i samme åndedrag tilkendegiver de samme læger og myndigheder, at det må antages, at behandling med Prolastin har en ganske betydelig virkning for alfa-1 patienter med væsentlig nedsat lungefunktion. (- Hvorfor skulle man f. eks. så ellers gøre de allerede meddelte tilladelser til behandling af 2 alfa-1 patienter i Danmark permanente?) På linje hermed har Sundhedsministeren udtalt sig om Prolastins virkning i sit svar på § 20 spm. S 1217 til Birthe Skaarup, MF.

En væsentlig betydning for hele sagen må nødvendigvis også være Dansk Lungemedicinsk Selskabs anbefaling af Prolastinbehandling til alfa-1 patienter.

Samtidig er det væsentligt at nævne, at resultatet af det netop afsluttede multinationale placebokontrollerede studie ifølge ledende lungespecialisterne, jf. også udkast til retningslinjer for Prolastinbehandling, ikke vil have indflydelse på Dansk Lungemedicinsk Selskabs anbefaling, idet et negativt udfald ikke kan tillægges væsentlig betydning på grund af studiets lave styrke. Prolastinbehandling af alfa-1 patienter anbefales således uanset resultatet af forsøget.

Omkring økonomien har udgifterne til Prolastinbehandling af de omtalte behandlingskrævende alfa-1 patienter indgået i budgetforhandlingerne mellem "amterne" og regeringen i efteråret 2006.

Vi under de 2 alfa-1 patienter af hele vort hjerte den tilbudte Prolastinbehandling. Men hvorfor de øvrige behandlingskrævende 148 alfa-1 patienter ikke kan få *tilsvarende tilbud*, overstiger vore fatteevne. Det kan bekymre vor retsopfattelse, hvis det viser sig, at der i Danmark ikke er lige adgang for syge til tilgængelig behandling.

De behandlingskrævende alfa-1 patienter, der dagligt kæmper med vejrtrækningsbesvær, infektioner, indlæggelser og fortløbende forværringer spørger nu politikerne – hvad venter vi på ???

Med venlig hilsen



Irli Plambech
Næstformand

Michael Frisch-Jensen
Bestyrelsesmedlem

(kan kontaktes på
Mobil 2962 0919)