

Ministeriet for Sundhed og Forebyggelse

Dato: 23. april 2008
Kontor: Sundhedspolitisk kt.
J.nr.: 2008-12103-838
Sagsbeh.: calc
Fil-navn: Dokument 6

Talepapir vedr. samråd R, S og T

Tilhørerkreds: Folketingets Sundhedsudvalg
Anledning: Samråd R, S og T
Taletid: Ca. 20 min

Spørgsmål R: ”Ministeren bedes redegøre for, hvornår patienter med alfa-1-antitrypsin mangel kan sikres medicinsk behandling mod sygdommen”.

Spørgsmål S: ”Hvilke konsekvenser finder ministeren, at det bør have, at ministeriet siden 2005 har været vidende om, at patienter med alfa-1-antitrypsin mangel medicinsk har kunnet behandles med Prolastina uden at en sådan behandling er sat i gang?”

Spørgsmål T: ”Vil ministeren oplyse, om det er almindelig praksis, at Lægemeddelstyrelsens anbefalinger ikke bliver imødekommet af Sundhedsstyrelsen?”

[Indledning]

Jeg vil benytte denne lejlighed til at redegøre for sagen om Prolastina til lungepatienter med alfa-1-antitrypsin-mangel og kommentere den sidste tids debat om dette emne.

Desuden synes jeg, dette samråd er en god lejlighed til at redegøre for og kommentere de rammer, der gælder for beslutningerne om, hvilke lægemidler der anvendes i det danske sundhedsvæsen. Debatten har jo vist, at det kan være vanskeligt at acceptere - og måske også forstå - at et lægemiddel er godkendt, men alligevel ikke anvendes.

Der er jo stillet tre spørgsmål. Jeg vil foretrække at give en generel indledning og derefter kort besvare de tre konkrete spørgsmål.

[Sygdommen alfa-1-antitrypsin mangel]

Indledningsvis vil jeg gerne opridsede nogle hovedtræk af den sygdom og den behandling, der er udgangspunkt for dette samråd. Det er en arvelig sygdom, som rammer ca. 1 ud af 2.500-6.000 nyfødte. Der er ca. 500 patienter registreret med alfa-1-antitrypsin-mangel i Danmark. Patienterne kan ikke danne et bestemt stof - alfa-1-antitrypsin - som normalt dannes i leveren, og er med til at beskytte mod nogle vævsnedbrydende stoffer, som dannes i forbindelse med de infektioner, mennesker pådrager sig gennem et liv.

Sygdommen medfører i 30-40 års alderen udvikling af ”for store lunger” og kronisk obstruktiv lungesygdom (KOL) - særligt hos rygere. Det betyder, at lungevævet langsomt nedbrydes hos de ramte, som derved mister lungefunktion. Levetiden for patienter med alfa-1-antitrypsin mangel er cirka 40 år for rygere og 65 år for ikke-rygere - det er således en meget alvorlig sygdom, vi her snakker om.

Den hidtidige behandling har omfattet rygestop og symptomatisk medicinsk behandling som ved al anden KOL, men intet har kunnet standse det accelererede tab af lungefunktion og deraf følgende invaliditet. Den ultimative behandling har derfor været lungetransplantation.

Behandling med Prolastina går ud på at tilføre patienterne den alfa-1-antitrypsin, som de ikke selv kan danne, gennem ugentlige indsprøjtninger af stoffet, som kan udvindes af plasma fra bloddonorer. Man kunne håbe, at patienternes problem blev løst, når man på denne måde tilfører det stof, de mangler, så man kunne undgå tabet af lungefunktion, undgå sygdommens symptomer og opnå en normal levetid. Så enkelt er det desværre ikke.

Dokumentationen for Prolastinas virkninger omfatter ”klinisk erfaring”, altså lægers uformelle observationer ved behandling med midlet, og nogle mindre kliniske forsøg, men hidtil kun et enkelt lodtrækningsforsøg med kontrolgruppe (såkaldte randomiseret forsøg), hvilket er den foretrukne dokumentation for lægemidlers effekt.

Det eneste hidtidige randomiserede forsøg, hvor 56 patienter deltog, har vist en vis effekt i form af formindsket tab af det, der hedder lungetæthed hos patienterne, men effekten var ikke statistisk sikker. Og desværre havde behandlingen med Prolastina *ingen* målelig effekt i forhold til placebo i forhold til symptomer, livskvalitet, lungefunktion, brugen af sædvanlig medicinsk behandling, akutte forværringer af obstruktiv lungesygdom, akutte infektioner eller overlevelse.

Som tidligere oplyst i min besvarelse af udvalgsspørgsmål nr. 186 af 7. marts 2008, er resultaterne af et nyt internationalt lodtrækningsforsøg med professor Asger Dirksen som koordinator indsendt til et internationalt tidsskrift med henblik på en uafhængig vurdering inden offentliggørelse.

Det har været nævnt i medierne, at denne undersøgelse skulle vise et andet og gunstigere resultat end den første.

Derfor har Sundhedsstyrelsen den 11. april - bl.a. på min opfordring - afholdt møde med Dansk Lungemedicinsk Selskab (DLS) om brugen af Prolastina til behandling af lungepatienter. I mødet deltog også Asger Dirksen, der fik lejlighed til at gennemgå hovedpunkter fra egne og andres væsentlige studier om mulighederne for behandling med bl.a. Prolastina.

På mødet oplyste Dansk Lungemedicinsk Selskab (DLS), at Prolastina gentagne gange har været drøftet i selskabet. Senest har selskabet ved et bestyrelsesmøde den 8. april 2008 konkluderet, at Asger Dirksens nye undersøgelse, som den er refereret for bestyrelsen, ikke giver evidens for en klinisk betydningsfuld effekt af Prolastina.

Denne udmelding følger Dansk Lungemedicinsk Selskab op i en pressemeddelelse af 12. april, hvor selskabet slår fast, at resultaterne af den nye undersøgelse med 77 patienter *svare fuldstændigt* til resultaterne af den tidligere med 56 patienter. Der er en vis effekt på tabet af lungetæthed. Heller ikke i den nye undersøgelse *i sig selv* er forskellen statistisk sikker, men når man lægger de to undersøgelser sammen, bliver effekten lige netop statistisk sikker – signifikant som man siger. Men ligesom i den første undersøgelse havde behandlingen med Prolastina *ingen* målelig effekt i forhold til placebo i forhold til det, patienterne oplever, d.v.s. symptomer, livskvalitet, lungefunktion, brugen af sædvanlig medicinsk behandling, akutte forværringer af obstruktiv lungesygdom, akutte infektioner eller overlevelse. *Ingen målelig effekt.*

Modsat hvad der har været omtalt i offentligheden, når den nye undersøgelse ifølge Lungemedicinsk Selskab *ikke* andre resultater end den tidligere. Tværtimod – de bekræfter hinanden.

Det er baggrunden for, at selskabet fortsat ikke finder, at der er evidens for nogen klinisk betydningsfuld effekt af Prolastina.

[Lægemedelstyrelsen og Sundhedsstyrelsens roller]

Jeg vil så efter denne kortfattede introduktion til sygdommen og lægemidlet vende mig til den sagsbehandling og de vurderinger, Prolastina har givet anledning til fra myndighederne side.

Prolastina er godkendt i Danmark til brug på sygehusene af Lægemedelstyrelsen. Det er sket efter proceduren for gensidig anerkendelse, hvor i alt 14 europæiske lande med Tyskland som referenceland har godkendt lægemidlet.

Det betyder også, at Lægemedelstyrelsen på grundlag af det materiale, firmaet har tilvejebragt med henblik på markedsføringstilladelse i Tyskland, har vurderet, at midlet har en effekt. Men dokumentationen for effekt kan have forskellig styrke. I tilfældet Prolastina er der som nævnt tale om ”klinisk erfaring”, altså lægers uformelle observationer ved behandling med midlet, og nogle mindre kliniske forsøg, men hidtil kun et enkelt lodtrækningsforsøg med kontrolgruppe (såkaldte randomiseret forsøg), nemlig det forsøg med 56 patienter, jeg tidligere har nævnt.

At et lægemiddel er godkendt af Lægemiddelstyrelsen betyder, at det er tilladt at markedsføre det. Lægemiddelstyrelsens godkendelse er derimod ikke ensbetydende med at læger og sygehuse skal bruge det. Betingelserne for, at et lægemiddel kan godkendes er således, at man vurderer, at der er dokumentation for, at midlet virker og for, at det ikke har – i forhold til effekterne – urimelige bivirkninger.

Når et lægemiddel er godkendt til brug på sygehusene, er det sygehusene – og sidste ende deres øverste ledelser, regionsrådene – der tager stilling til, om det skal anvendes. I *langt* de fleste tilfælde sker det helt ukontroversielt og uden at vække hverken politisk eller offentlig opmærksomhed. Lægerne tager nye midler i brug, og andre, ældre midler går af brug i en rent faglig proces.

Diskussion kan der derimod opstå, hvis der er faglig uenighed om et middels virkninger, eller hvis det f.eks. er meget dyrt. I tilfældet Prolastina er der nogle få læger og en patientforening, der mener, at midlet virker, mens det store flertal af danske lungemedicinere ikke mener, at der er evidens for det. Midlet er tillige rimeligt kostbart.

Regionerne har på den baggrund søgt Sundhedsstyrelsens faglige råd. Styrelsen har på det grundlag, jeg tidligere har beskrevet – senest vurderingen fra Dansk Lungemedicinsk Selskab på mødet den 11. april – vurderet, at der ikke er tilstrækkelig evidens til at anbefale midlet.

Det er en rent faglig vurdering, hvor styrelsen altså er helt på linie med langt hovedparten af danske lungemedicinere. Jeg synes ærligt talt, at man som politiker skal være ganske tilbageholdende med at gøre sig klogere end fagfolkene i et sådant rent lægefagligt spørgsmål. Jeg har i hvert fald intet som helst grundlag for at tilsidesætte Sundhedsstyrelsens vurdering i denne sag.

Jeg er klar over, at mange har svært at forlige sig med, at Lægemiddelstyrelsen kan godkende et produkt, mens Sundhedsstyrelsen ikke anbefaler, at det bruges. Det er der ikke noget usædvanligt i. F.eks. på kræftområdet foregår der jo en stadig debat om, hvilke af de nye præparater, der introduceres og godkendes, vi skal tage i anvendelse i Danmark til bestemte sygdomme. Kernen i forskellen er altså, at Sundhedsstyrelsen stiller andre krav for at *anbefale* et præparat som den rigtige og anbefalelsesværdige standardbehandling, end Lægemiddelstyrelsens *godkendelse*, som kun betyder, at lægemidlet kan markedsføres.

Jeg tror altså, man i denne – som i mange andre sager - må acceptere, at fagfolk kan have forskellige opfattelser. I sidste ende må nogen så tage ansvaret for at veje for og imod og rådgive regioner og sygehuse. Det har Sundhedsstyrelsen gjort på en måde, som jeg *intet* grundlag har for at kritisere, og med et resultat, som er helt i overensstemmelse med fagfolkene i Dansk Lungemedicinsk Selskab. Lad mig derfor gentage: Jeg har *intet* grundlag for at tilsidesætte Sundhedsstyrelsens faglige vurdering i denne sag.

[Spørgsmål R]

Jeg vil nu kommentere de tre enkelte spørgsmål, der er stillet i dag. Det første - spørgsmål R - handler om, hvornår patienter med alfa-1-antitrypsin-mangel kan sikres medicinsk behandling mod sygdommen.

Nu bliver patienterne jo behandlet med medicin for deres *symptomer*, men jeg går ud fra, der tænkes på Prolastina og kan oplyse, at på baggrund af mødet med Dansk Lungemedicinsk Selskab og Asger Dirksen har Sundhedsstyrelsen oplyst, at styrelsen løbende vil følge udviklingen og har aftalt med professor Asger Dirksen, at han fremsender resuméer til videnskabelige kongresser og desuden meddelelse om, når artikler til videnskabelige tidsskrifter er blevet godkendt til publicering.

Så svaret på spørgsmålet afhænger altså af, hvilken ny dokumentation der måtte komme om midlets effekt.

Jeg vil gerne understrege, at hvis der kommer et grundlag for en fornyet rådgivning eller vurdering fra Sundhedsstyrelsens side, så vil jeg presse på for, at den tilvejebringes så hurtigt som muligt, så den ikke unødigt forsinker indførelsen af et anbefalelsesværdigt lægemiddel. Jeg har intet andet ønske, end at patienterne får en ny behandling, hvis den virker. Men det må være på baggrund af en faglig rådgivning baseret på evidens.

[Spørgsmål S]

Spørgsmål S handler om, hvilke konsekvenser det bør have, at ministeriet siden 2005 har været vidende om, at patienter med alfa-1-antitrypsin-mangel medicinsk har kunnet behandles med Prolastina uden at en sådan behandling er sat i gang.

Spørgsmålet antyder, at ministeriet har gjort et eller andet odiost eller undladt noget, man burde. Jeg må sige: Jeg ved ikke, hvad det skulle være. Ja, ministeriet har været bekendt med, at dette lægemiddel blev godkendt. Ja, ministeriet har været bekendt med, at der var faglig usikkerhed og uenighed, om det skulle anvendes. Og ja, ministeriet har været orienteret om Sundhedsstyrelsens rådgivning i sagen. Og det hele har været omtalt i en række svar til Folketinget.

Ministeriet har efter min opfattelse ikke haft nogen som helst anledning til at blande sig i den faglige proces i denne sag. Efter den seneste meget klare udtalelse fra lungemedicinerne må jeg tværtimod sige, at det havde været højst malplaceret, hvis ministeriet havde intervenseret og søgt at få et lægemiddel i brug, som efter fagfolkenes vurdering ikke har nogen klinisk betydende virkning.

[Spørgsmål T]

Endelig spørges i spørgsmål T, om det er almindelig praksis, at Lægemiddelstyrelsens anbefalinger ikke bliver imødekommet af Sundhedsstyrelsen.

Der menes vel, om det er almindeligt, at et lægemiddel, der er *godkendt* af Lægemiddelstyrelsen, ikke kan *anbefales* af Sundhedsstyrelsen.

Hertil kan jeg ganske kort svare, at det ikke er usædvanligt, f.eks. på kræftområdet, at Sundhedsstyrelsen sammen med kræftstyregruppen rådgiver om et godkendt lægemiddel bør anvendes på de danske sygehuse.

[Afslutning]

Og lad mig så til afslutning sige, at hele mit indlæg jo har handlet om, hvorfor der ikke er grundlag for at anbefale Prolastina. Derfor føler jeg grund til at sige, at det ærgrer *mig* lige så meget som det sikkert ærgrer andre. For patienternes skyld havde jeg da *meget hellere* set, at midlet virkede, så vi kunne tilbyde dem en effektiv behandling. Men jeg må forholde mig til realiteterne, som desværre er, at der ikke kan dokumenteres en klinisk betydende effekt. Jeg kan ikke se, at det er i patienternes interesse, at der fra politisk hold skabes illusioner om det – det være sig fra en ministers eller andre politikeres side.

Tak for ordet