

Nyhetsbrev sommer 2024

Kjære Alfaer. Sommeren er straks rundt hjørnet og forhåpentlig har alle i vårt langstrakte land rukket å få litt solskinn på kroppen.

Her kommer en liten oppsummering av noen av vårens aktiviteter i arbeidutvalget (AU) i LHL Alfa-1.



Alfa-1 oppmerksomhetskampanje

Som en del kanskje har fått med seg på våre sosiale medier, så gjennomførte vi en Alfa-1 oppmerksomhetskampanje i april/mai sammen med [Alpha-1 Europe Alliance](#). Kampanjen gikk samtidig i flere europeiske land. Anledningen var den europeiske dagen for Alfa-1 oppmerksomhet. Vi fikk teksten og bildene tilsendt fra alliansen, og tilpasset deretter innholdet til norske forhold. Materialet har flere bruksområder utover kampanjen, og vi står fritt til å disponere det. I den forbindelse kommer vi til å bruke noe av donasjonene dere har bidratt med til å kjøpe annonseplass. Vi oppfordrer alle til å dele kampanjen med venner og beskjente fra vår LHL Alfa-1 Facebook-hovedside. På denne måten kan vi nå ut i Norge med budskapet vårt. Ikke alle våre medlemmer har sosiale medier. Vi pryder derfor sommerens nyhetsbrev med de flotte bildene fra kampanjen, slik at alle skal få se budskapet



Nytt fra Alpha-1 Europe Alliance



Den nyopprettede Europeiske Alfa-1 Alliansen, som Knut i AU har vært med på å danne, jobber for lik tilgang til medisin og helsehjelp av god kvalitet for Alfa-1 pasienter i hele Europa. Alliansen jobber primært med politisk påvirkning på EU-nivå. I tillegg til de nasjonale oppmerksomhetskampanjene, som er beskrevet i posten over, kjører alliansen nå en koordinert aksjon for å få substitusjonsterapi (bremsemedisin for emfysem som nå er oppe til vurdering for blåreseptordning i Norge), inn på det europeiske legemiddelbyråets (EMA) liste over kritiske legemidler. Dette for å sikre jevn tilgang i krisesituasjoner som for eksempel under pandemier. Det er flere gode argumenter for å få denne medisinen på listen over kritiske legemidler, blant annet har nyere forskning vist at Alfa-1 pasienter som brått blir fratatt medisinen kan bli alvorlig syke, og det er observert dødsfall. I tillegg finnes det ingen andre alternativer til medisinen. Videre er produksjonslinjen svært sårbar, i og med at det kan gå over et år fra medisinen trekkes fra donorblod til den er et ferdig produkt. Konkret har EMA kampanjen innebært at Alfa-1 foreninger i de europeiske land som tilbyr substitusjonsterapi kontakter direktører for sine nasjonale legemiddelverk og gjør disse oppmerksom på at substitusjonsterapi ikke er kommet på EMA listen. Man ber så om at legemiddelverkene bidrar til at substitusjonsterapi skal komme på denne listen. Per i dag er det kun Danmark som tilbyr substitusjonsmedisin i Norden, og de har deltatt i kampanjen. Alliansen kjører også en kampanje for å få til økonomisk kompensasjon for bloddonorer i Europas blodbanker. Bakgrunnen for dette er at kun fire land i Europa er selvforsynt med donorblod, som er grunnstenen i produksjon av substitusjonsterapi. Europa er dermed tungt avhengig av å importere blod. LHL Alfa-1 vil selvfølgelig støtte den europeiske alliansen i både dette og annet kommende arbeid. Vi legger til at Knut i AU er nordisk representant i Alliansen, og at han fremover vil delta i Alliansens arbeidsgrupper for å jobbe for bedre kår for Alfaer på nasjonalt, nordisk og europeisk nivå.



**Bare 7 av 100
Alfa-1-pasienter
får diagnosen
i tide.**

#united
foralpha1

Tidlig diagnostisering
kan forbedre livet.

Oppdatering i medisinsaken, og relaterte aktiviteter

Som kjent for de fleste av våre medlemmer, er bremsemedisinene Prolastina og Respreeza for Alfa-1 relatert emfysem, oppe til metodevurdering i Nye Metoder. Dette for å avgjøre om behandlingen skal gå inn under den Norske blåreseptordningen. En metodevurdering innebærer blant annet at man går gjennom forskning på medisinen

for å vurdere om den har tilstrekkelig effekt til å forsvare kostnadene. I tillegg har man prisforhandlinger med leverandøren. Status på medisinsaken er per i dag at metodevurderingen er igangsatt, men at det ikke har blitt tatt en beslutning. AU håper det vil komme en beslutning over sommeren, og vi vil holde dere informert. Vær oppmerksom på at beslutningen ikke nødvendigvis vil gå i vår favør, så AU er forberedt på å måtte forfølge saken i flere runder.

Fokusgruppeundersøkelse

Flere av vårens aktiviteter i AU har hatt som mål å påvirke prosessen slik at vi kan få tilgang til bremsemedisinen. Som noen kanskje husker fra vinterens nyhetsbrev, besøkte AU Direktoratet for medisinske produkter (DMP), tidligere Legemiddelverket. Her ble vi bedt om å komme med et felles skriftlig innspill på vegne av norske Alfa-1 pasienter. Bakgrunnen for dette var at DMP var interessert i å lære om Alfa-1 mangel, hvordan det oppleves å være syk av mangelen, og hvordan mangel på bremsemedisinen påvirker pasienter og pårørende. DMP ønsket å hente inn denne kunnskapen før de tar avgjørelsen i bremsemedisinsaken. For å lage innspillet gjennomførte AU et fokusgruppeintervju bestående av en liten, representativ sammensetning av personer med Alfa-1 mangel og deres pårørende, med hovedfokus på personer med alvorlig emfysem, og lungetransplanterte. Deltakere fortalte om de mange sosiale, mentale, og ikke minst fysiske begrensninger som alvorlig emfysem forårsaker. De kunne fortelle at kroppen blir så utmattet av å kjempe etter luft, at man må velge mellom å spise eller dusje den dagen. De fortalte om dødsangst og smitteangst, og delte tanker omkring det å flytte til utlandet for å få behandling. De fortalte om fortvilelsen ved at omsorgsbyrden faller på pårørende, og om sorgen som er forbundet med tap av hobbyer, familieliv og venner når helsen blir for dårlig og uforutsigbar. De delte også tanker omkring de mange helserelaterte utfordringer som kommer etter transplantasjon, og frustrasjon angående manglende forståelse og lavt kunnskapsnivå om Alfa-1 i møte med norsk helsepersonell. Vi fikk også høre hvordan det tærer på med gjentatte luftveisinfeksjoner og mange år med akkumulert dårlig livskvalitet, samt den bitterheten en kan kjenne på når bremsemedisinen tilbys i andre land, slik at Alfa-1 der får normal livslengde og kan stå i full jobb, mens en selv blir stadig dårligere og må gå over på uførepensjon og slutte i jobben en har kjær. Tilbakemeldingene ble overlevert anonymt, og AU er trygge på at DMP og andre i Nye Metoder som skal vurdere medisinen nå har fått et innblikk i hva det innebærer å være alvorlig syk av Alfa-1 mangel. Vi vil gjerne takke de som bidro i fokusgruppen.



Skriflig innspill sammen med den irske Alfa-1 forsker Professor Mc. Elvaney

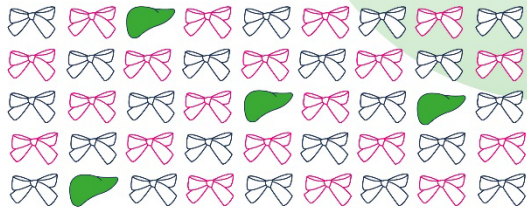


AU har manglet offentlig støtte fra norske lungeleger i medisinsaken. Jevnt over opplever vi at det er skepsis til effekten av bremsemedisinen blant disse. Det har gått litt trått med å finne støtte nasjonalt. AU har derfor søkt støtte fra Alfa-1 forskere og spesialister i utlandet. Sent i 2023 kom det en forskningartikkel som viser at Alfa-1 pasienter som får bremsemedisinen, lever lenger enn i de land der man ikke får medisinen. AU ønsket at denne vitenskapelige studien skulle bli kjent i DMP/metodevurderingen. Vi valgte derfor å kontakte ansvarlig for studien, Professor Noel G

McElvaney ved Royal College of Surgeons i Dublin for å spørre om han ville skrive et innspill til DMP/Nye Metoder som oppsummerer funn i studien sammen med oss. Det sa han heldigvis ja til. Høydepunkter i innspillet, som er sendt inn på engelsk, er at Professor McElvaney, sammen med oss, argumenterer for at det nå er tilstrekkelig bevis for at norske Alfaer bør få bremsemedisinen og at det er uetisk å sette i gang flere studier på medisinen, siden studier nå viser at den virker. Vi argumenterer for at medisinen bør gis tidligere i forløpet for å unngå personlig sykdomsbyrde og utgifter for samfunnet, samt at Nye Metoder/DMP ikke skal legge urealistiske kriterier om forbedring i lungekapasitet og livskvalitet til grunn i vurderingen, ettersom medisinen ikke kan regenerere ødelagt lungevev. Vi ber også Nye Metoder og DMP om å akseptere at en CT-scan er et godt nok mål på at medisinen virker, spesielt siden små pasientgrupper har gitt utfordringer med å demonstrere effekter av medisinen på livskvalitet og andre utkomstmål, som FEV₁ og kolsforverring. Vi fremhever at det er emfysemgraden som bør avgjøre hvem som skal få medisinen i Norge, og ikke FEV₁, siden den nye studien viser at emfysem kan utvikle seg uten at FEV₁ synker, spesielt hos personer over 50 år. Vi er veldig takknemlig for at Prof. Noel G McElvaney tok seg tid i en svært travel arbeidsdag for å skrive dette innspillet sammen med oss. Nå gjenstår det å se om Nye Metoder/DMP vil ta hensyn til innspillet. Innspillet kan du lese [her](#). Forskningsartikkelen som innspillet baserer seg på kan du lese om i vårt forrige nyhetsbrev fra [Vinter 2023](#). Den interesserte kan lese tidligere innspill vi har sendt for å påvirke prosessen og følge med på saken på Nye Metodens nettsider: <https://www.nyemetoder.no/metoder/alfa1-antitrypsin-respreeza> <https://www.nyemetoder.no/metoder/alfa1-antitrypsin-prolastina>

Kurs i pasientrelaterte utkomstmål og helseøkonomiske vurderinger

Den vanligste genetiske årsaken til levertransplantasjon hos barn er Alfa-1 antitrypsinmangel.



#united
foralpha1

En sjelden sykdom, som egentlig ikke er så sjelden.

Det er ikke til å komme fra at dette var relativt komplisert materie å skulle gjennomgå på to dager, men AUs utsendte ble i hvert fall litt klokere på hvordan myndigheter vurderer hvilke medisiner som skal tilbys befolkningen, ut i fra et helseøkonomisk perspektiv.

A1RTime

Vi tipser til slutt om at Alfa-1 podcastkanalen A1RTime, som drives av legemiddelselskapet CSL Behring, nå har fått en podcast på norsk. Denne, og andre podcaster som omhandler Alfa-1 mangel finner du her:

<https://www.cslbehring.no/pasienter/a1rtime/karen-went-to-germany-and-was-given-10-extra-years>



#united
foralpha1

Vi kjemper for at alle med Alfa-1 antitrypsinmangel i Europa skal ha tilgang på helhetlig helsehjelp

Med dette ønsker AU alle en riktig god sommer, fylt av solskinn og late dager

