

Nyhetsbrev vinter 2024

Avslag på bremsemedisin for emfysem i Beslutningsforum

For de av våre medlemmer som ikke har fått med seg de siste nyheter på Facebook kan arbeidsutvalget i LHL Alfa-1 (AU) opplyse om at tilgang til de livsforlengende bremsemedisinene for Alfa-1 relatert emfysem (Prolastina og Respreeza) ble avslått i Beslutningsforum den 21. oktober. Følgende ble gitt som begrunnelse:

«Beslutningen som er fattet av Beslutningsforum for nye metoder er resultat av en grundig prosess og vurdering av de menneskelige konsekvenser som følger både av beslutning om innføring så vel som beslutning om ikke å innføre en metode for utredning, behandling og/eller prosedyre/organisering. Dersom det tilkommer nye opplysninger (herunder pasientsikkerhet, kostnadseffektivitet, pris, biotilsvarende/generika, overlevelsestill m. m.) som endrer resultatet vesentlig, vil beslutningen kunne vurderes på nytt.»

1. Alfa-1-antitrypsin (Prolastina/Respreeza) innføres ikke som vedlikeholdsbehandling for å bremse progresjonen av emfysem hos voksne med dokumentert alvorlig alfa-1proteinasehemmermangel.
2. Det er tilbudt en altfor høy pris som ikke står i et rimelig forhold til dokumentert klinisk nytte.
3. Sykehusinnkjøp bes gjenoppta forhandlingene med leverandør.»

Pris på legemiddelet er ikke offentlig i Norge. AU vet derfor ikke hvilken pris leverandørene har tilbudt, så vi kan ikke gi opplysninger om dette. Vi venter nå sammen med LHL på videre hendelser i forhandlingene, og håper at Beslutningsforum og leverandørene kan komme til snarlig enighet. Så fort det kommer andre relevante opplysninger som vi kan få tilgang til vil vi holde dere oppdatert.

Støtte fra Norsk forening for lungemedisin i Beslutningsforum

Da medisinsaken skulle Behandles i Beslutningsforum valgte styret i [Norsk forening for Lungemedisin \(NFL\)](#) å komme med en støttende uttalelse til fordel for pasientgruppen og behandlingen. Med tillatelse fra leder i NFL gjengir vi deres uttalelse her:

«Styret i Norsk forening for lungemedisin (NFL) anerkjenner den vanskelige situasjonen pasientene med progredierende emfysem ved A1AT-mangel befinner seg i. Pasientorganisasjonens representanter har rett i at det ikke finnes et sykdomsregister, at det er lav forskningsinnsats i feltet i Norge og at det antakelig er stor variasjon i deteksjon og oppfølging i det offentlige, norske helsevesenet.»

Vi deler perspektivet til de to medisinske fagekspertene som DMP har vært i kontakt med. At man ikke har klart å vise en effekt på mortalitet, livskvalitet og lungefunksjon, gjenspeiler hovedsakelig

oppfølgningsslengden i studiene. CT-funnene gjør at vi vil forvente en forskjell i mer pasientsentrerte utkommer dersom lengre oppfølging hadde vært gjennomført.

Imidlertid vil vi stille spørsmål ved kravene til dokumentasjon på behandling for en langsomt progredierende sykdom og sjeldent forekommende tilstand som det her er tale om. Det fremstår som svært utfordrende å rekruttere (nok) pasienter til deltakelse i en placebokontrollert studie med oppfølging av en slik lengde. Dessverre tror vi aldri vi vil få denne typen studier for disse pasientene. Beslutningstakere og den farmasøytiske industrien får slik sett et stort ansvar for å sammen kunne tilby effektiv behandling til pasientene, eventuelt i kombinasjonen av prissetting og betalingsvillighet velge å ikke tilby dette til dem».

Støtte fra styret i Norsk Forening for Lungemedisin i media

I løpet av høsten har vi hatt god dialog med leder i [Norsk forening for lungemedisin](#) Rune Nielsen. Her har vi møtt respekt og forståelse for de norske Alfa-1 pasientenes behov. Leder i NFL har i forbindelse med avslaget valgt å gå ut med en artikkel i Dagens Medisin. Denne artikkelen er viktig for saken både i Beslutningsforum og generelt, ettersom magasinet leses av norske lungeleger og det medisinske miljøet i Norge. I artikkelen uttaler leder i NFL at de er uenige i Beslutningsforums avslag, og at de stiller seg kritiske til Beslutningsforums høye krav til forskning på denne medisinen, ettersom bevis for effekt og overlevelse for mottakere av Prolastina og Respreeza er vanskelig å oppnå i små pasientgrupper, med sykdom som utvikler seg gradvis. Nielsen uttaler at avslaget i Beslutningsforum er uheldig for pasientgruppen som ikke har noe annet alternativ enn disse medisinene. Han sier samtidig at norske lungeleger gjerne skulle ha gitt denne behandlingen til sine Alfa-1 pasienter, ettersom dette er den eneste medisinen som kan bremse tempoet på emfysemutviklingen og forsinke tiden frem til transplantasjon. Han ber Beslutningsforum om å gå ned på kravene til evidens (forskning som viser at medisinen har effekt) og legemiddelprodusentene om å gå ned i pris. LHL sin generalsekretær uttaler i artikkelen at det vil lønne seg for samfunnet å gi oss denne behandlingen, siden vi kan få mildere sykdomsbyrde, og at det er uheldig at medisin som tilbys i andre land ikke kan tilbys i Norge. Artikkelen, som dessverre er bak betalingsmur, finner du her <https://www.dagensmedisin.no/uenig-i-avslag-pa.../659802>

Vi takker lungelegene for støtten

AU er skuffet over avslaget, som kom på tross av NFLs uttalelser, og de to norske medisinske ekspertenes vurdering om at behandlingen vil bremse emfysemutviklingen, bevare lungefunksjon og påvirke livskvalitet positivt. Uavhengig av avslaget er vi likevel svært takknemlig for støtten norske lungeleger har gitt oss i denne saken, både i form av ekspertvurderingene i metoderapporten, og NFLs sine uttalelser. Begge deler har nok vært avgjørende for at Beslutningsforum åpnet for nye prisforhandlinger, fremfor å gi et tvert avslag. I løpet av medisinsaken har AU hentet støtte fra Alfa-1 forskere internasjonalt. Hjelpen vi har fått der er vi veldig takknemlige for, men det er ikke til å legge skjul på at det er ekstra stas at våre egne lungeleger støtter oss. Vi har sørget for å takke Dr. Nielsen både på vegne av AU og dere.

Over 114 000 eksponeringer i oppmerksomhetskampanjen!

I forbindelse med avslaget har vi satt i gang en oppmerksomhetskampanje på Facebook for å få omgjort vedtaket. Her ba vi dere om å dele, enten egen tekst som omhandler dine tanker om avslaget, eller vår ferdige kampanjetekst som du kan lese her:

Norske Alfa-1 pasienter nektes livsforlengende bremsemedisin av Beslutningsforum. Hjelp oss ved å dele denne teksten!

Den 21. oktober 2024 bestemte Beslutningsforum For Nye Metoder at norske pasienter med Alfa-1 mangel IKKE skal få behandling med de livsforlengende medisinene Respreeza og Prolastina. Avslaget kom selv om norske lungeleger ønsker å gi denne behandlingen som ble godkjent i Danmark i 2020, og også tilbys i mange andre europeiske land.

Alfa-1 antitrypsinmangel er en arvelig sykdom som blant annet fører til at lungene blir spist opp av kroppens egne enzymer. Tilstanden gir alvorlige pusteproblemer og man blir etter hvert så syk at man ikke kan delta i helt vanlige hverdagsaktiviteter.

Sykdommen, som kan gi forkortet levetid, kan ramme allerede i 30 – 40 årsalderen. De samfunnsøkonomiske kostnadene er store ved at de rammede ofte blir lagt inn med hyppige lungebetennelser og pustebesvær. De trenger hjemmehjelp og assistanse, de klarer ikke å være i jobb og kan ikke bidra med arbeidskraft og skatteinntekter.

I dag er lungetransplantasjon den eneste livsforlengende behandlingen som tilbys Alfa-1 pasienter i Norge. Dette på tross av at det finnes to medisiner (Respreeza og Prolastina) som kan bremse sykdommen og gi mange ekstra leveår. Avslaget i Beslutningsforum innebærer at norske Alfa-1 pasienter må flytte til utlandet for å få forlenget sine liv.

Er det riktig at norske Alfa-1 pasienter skal reise fra familie og hjemland for å forlenge livet?

Er det riktig at personer med sjeldne diagnoser skal nektes behandling i et av verdens rikeste land, når andre land tar seg råd til denne behandlingen?

Nei, selvfølgelig er det ikke det. Hjelp de norske Alfa-1 pasientene med å dele denne Facebook-posten slik at de kan motta behandling i hjemlandet, få en anstendig livslengde og se sine barn og barnebarn vokse opp.



Norske Alfa-1 pasienter

Vi kan opplyse om at kampanjen har hatt en stor rekkevidde. I skrivende stund har vi oppnådd 114 962 eksponeringer. LHL sentralt har opplyst at en post på deres Facebook-side får rundt 5000 visninger maksimalt, så den rekkevidden vi har oppnådd her er høyst usedvanlig. Dette er takket være dere som har delt. Vi tar av oss hatten for innsatsen dere har gjort, og takker de andre interessegruppene som har delt vår post på sine Facebook-grupper for å støtte oss. Fikk du ikke delt posten? Du finner en delbar versjon på vår åpne LHL Alfa-1 Facebook-side her: <https://www.facebook.com/LHLAlfa1>

Kommende påvirkningsarbeid i medisinsaken

AU har nå utformet et brev til norske politikere på vegne av norske Alfa-1 pasienter som trenger Prolastina og Respreeza. Her formidler vi sykdomsbyrden til de Alfa-1 pasienter som er hardest rammet. Vi argumenterer for vårt behov for bremsemedisin, og hvor urettferdig det oppleves at Beslutningsforum stiller uoppnåelige krav til evidens og hvor uverdigg det kjennes å stå uten denne behandlingen som er tilgjengelig i Danmark og mange andre europeiske land. Brevet skal sendes til Helse- og omsorgskomiteen på Stortinget og AU vil prøve å få til et fysisk møte med komiteen sammen med LHL. AU har i tillegg laget en kronikk som omhandler avslaget i Beslutningsforum, og vi har også klar en artikkel med pasienthistorie som kan postes i media. Vi vil forsøke å få dette materialet publisert sammen med LHL når det passer seg i forhold til fremdriften i medisinsaken. I forbindelse med avslaget jobber LHL og AU også i kulissene for å påvirke saken. Dette involverer ulike forberedelser, dialog med aktuelle aktører som media og lungeleger. Innimellom vil det kunne fremstå som det er noe stillstand i kampanjen. Dette skyldes at vi venter på spesifikke hendelser, for eksempel resultat av prisforhandlinger, slik at vi sammen kan angripe saken med relevante motargumenter og påvirkningstiltak til rett tid. Vi holder dere oppdatert om saken.

Har du innspill til oppmerksomhetsarbeidet i medisinsaken?

AU har mottatt flere ideer og innspill fra våre medlemmer om hva vi kan gjøre videre for å skaffe oppmerksomhet i medisinsaken, både i forhold til synlighet i media og politikerkontakt. Dette er et engasjement som vi setter pris på. Våre medlemmer er mangfoldige, og dere kan ha viktig kunnskap og erfaringer i forhold til oppmerksomhetsarbeid som vi i AU ikke har. Vi ønsker derfor at alle skal få komme med innspill og gode ideer til hva som kan gjøres av oppmerksomhetsarbeid. Spesielt er vi interessert i forslag til hva du selv kan gjøre for å skape oppmerksomhet i medisinsaken i ditt nærmiljø, i møte med din lungelege, og dine lokalpolitikere. Som dere har sett i dette nyhetsbrevet står både kronikk, avisartikkel og besøk på Stortinget på planen, så der er vi dekket, men kom gjerne med dine tanker, så kan vi formidle ideer videre til LHL sentralt, ettersom det er de som bestemmer hva som kan gjennomføres i regi av LHL. Ideer og innspill kan sendes til: kari.dakota.aasheim@lhl.no

Strategisamling i Alpha-1 Europe Alliance

For å øke sannsynligheten for å få bremsemedisin for emfysem godkjent i Norge gjennomfører Arbeidsutvalget aktiviteter både på nordisk og internasjonalt nivå. Dette skjer gjennom våre roller som styremedlemmer i [Alfa-1 Norden](#). I den anledning deltok Knut Skaar fra AU på [Alpha-1 Europe Alliance](#) (A1EA) sin samling i Brüssel 15. nov. 2024. A1EA er en paraplyorganisasjon for europeiske Alfa-1 pasientorganisasjoner, hvis arbeid hovedsakelig foregår på EU-nivå. Til stede var også [EARCO](#) (felles europeisk Alfa-1 register) [ELF](#) (pasientdrevet europeisk lungeforbund), og [EURORDIS](#) (Europeisk paraplyorganisasjon for sjeldne sykdommer). På strategisamlingen diskuterte man hvordan man kan få bedre og mer lik tilgang til omsorg og behandling av alle som er berørt av Alfa-1 antitrypsinmangel. Som mange vet er det store forskjeller i hvilken behandling Alfa-1 pasienter får i de forskjellige land i Europa, og hensikten med møtet var på kort sikt å sørge for at alle land i Europa får den beste tilgjengelige behandling, slik noen allerede gjør. På lang sikt vil organisasjonen støtte opp om videre forskning og medisinske studier som ikke bare kan bremse sykdomsutviklingen, men kanskje stoppe den helt. Mangel på pakkeforløp for Alfa-1 mangel ble også fremhevet som en sak man skal arbeide med. Til stede var foruten ledere fra de enkelte medlemsland, også flere eksperter på sjeldne sykdommer generelt og Alfa-1 spesielt. Knut fra AU bidro med sin kompetanse i en arbeidsgruppe hvor han blant annet informerte om de spesielle utfordringer vi har i Norden i forhold til mangel på medisin, behandlingsretningslinjer, og ulik tilgang på behandling, ekspertise og



spesialistsentre mellom de nordiske landene. Resultatet av møtet skal presenteres i et veikart med strategier som skal følges fram til 2030 for å bedre situasjonen for europeiske Alfa-1 pasienter. Kartet er nå under arbeid og vil om litt bli ferdigstilt. Vi vender tilbake med mer informasjon om veikartet når dette er klart.

Knut Skaar fra AU og Fernanda Aspilche Ferro president i A1EA)

ERS-kongressen i Wien

For å skaffe kontakter med lungeleger, og Alfa-1 forskere som kan være til hjelp i medisinsaken deltok Kari D. Aasheim fra AU på den [europeiske lungekongressen ERS](#). Arrangementet avholdes av [European respiratory society](#) (ERS), som er en stor internasjonal organisasjon med over 35 000 medlemmer bestående av blant annet lungeleger, forskere og pasienter. Kari deltok som utsendt styremedlem fra [Alfa-1 Norden](#), og mottok stipend av det [Europeiske lungeforbund \(ELF\)](#) for å delta. Den europeiske lungekongressen er et årlig arrangement for lungeleger, forskere, legemiddelselskap og pasientrepresentanter. Årets kongress foregikk i Wien. Arrangementet var svært stort og messelokalene bød på en lang rekke av korridorer med «poster-sessions», der

forskere på ulike lungesykdommer presenterte sine forskningsfunn for interesserte forbigående på plakater de hadde festet på tavler. Flere Alfa-1 forskere var også til stede for å presentere sine funn. Konferansen bød i tillegg på en lang rekke forelesninger beregnet på å utdanne lungeleger. Noen forelesninger var åpne for pasientrepresentanter. Legemiddelindustrien var til stede på stand for å presentere sine produkter. Av hensyn til lovverk som regulerer kontakt mellom legemiddelindustri og pasienter, var pasientrepresentanter utestengt fra disse områdene i messehallen. Som pasientrepresentant deltok Kari i forkant av kongressen på ELF sin pasientsamling. Her ble det avholdt flere foredrag om ELF sitt arbeid, og det var forelesninger om hvordan pasientorganisasjoner kan støtte hverandre på tvers av landegrensene og hvordan man kan drive politisk påvirkningsarbeid for å bedre situasjonen for sin pasientgruppe. Det ble i tillegg gjennomført en workshop hvor pasientrepresentantene kartla utfordringer mennesker med sjeldne diagnoser møter på i Europa, og kom med forslag til hvordan dette kunne løses. Under oppsummeringen kom det frem at mange av utfordringene er de samme på tvers av diagnoser og land. Fellesnevne var lite kunnskap blant helsepersonell om de sjeldne diagnosene, mangel på tilgang på spesialistkompetanse og lite betalingsvilje for bremsende/kurative medisiner. Fravær av behandlingsretningslinjer og mangel på nasjonale forskningsregistre ble også trukket frem. Som løsninger ble opplysningsarbeid blant helsepersonell, samordning av spesialistkompetanse, oppretting av forskningsregistre, og politisk påvirkningsarbeid nasjonalt og internasjonalt, spesielt fremhevet. På konferansen ble det hyggelig gjensyn med «internasjonale kolleger» fra Alpha-1 global, [Alpha-1 Foundation](#), Alpha-1 Europe Alliance, og andre europeiske Alfa-1 pasientorganisasjoner. Tilfeldigvis ble Kari sittende ved siden av en hyggelig nordmann ved navn John Solheim, som viste seg å tilhøre LHL interessegruppen for lungefibrose. Solheim representerte i anledningen [European Pulmonary Fibrosis Federation](#), hvor han er president. Kongressen gikk over fem dager, og det var et stort messeområde som skulle dekkes av Kari, som er Alfa-1 pasient, og for anledningen hadde dårlig pust med hissig hoste. Vi var heldigvis noen stykker som hostet i kor på pasientsamlingen, så man kjente seg i godt selskap. Når dagene var omme var det mange inntrykk som skulle fordøyas og det ble opplading av batteriene til neste dag. Det ble ikke anledning til byvandring i vakre Wien. Heldigvis hadde Kari vært der tidligere, og det er en by som kan anbefales. Kongressen ga mersmak og vi vil prøve å delta også til neste år.

Møte med leder i Norsk Forening for Lungemedisin

På ERS-kongressen gjennomførte Kari fra AU et privat møte med leder i NFL, lungelege Rune Nielsen. På møtet snakket vi om utfordringer norske Alfa-1 pasienter kan oppleve i det norske helsevesenet, både når det gjelder variasjon i behandlingstilbud, manglende tilgang til bremsende og kurative medisiner, samt begrensede muligheter til forskningsdeltakelse. Dr. Nielsen fortalte at han ønsker å bidra til at norske Alfa-1 pasienter skal få et bedre helsetilbud. Spesifikt vil han arbeide for å samle spesialistkompetanse på Alfa-1 mangel. Han ønsker i tillegg å få innført behandlingsretningslinjer for Alfa-1 mangel i Norge, som kan bygge på de kommende retningslinjer fra EARCO og ERS. I tillegg har Dr. Nielsen et mål om at vi på lengre sikt kan få et nasjonalt Alfa-1 pasientregister. Et slikt register vil kunne benyttes til å legge inn opplysninger om oss, for eksempel vårt kjønn, alder, lungefunksjonstester, blodprøver, leverprøver, CT-scan og andre sykdommer vi måtte ha. Registeret kan deretter brukes til å følge hvordan Alfa-1 relatert sykdom utvikler seg hos den enkelte pasient. På gruppenivå kan opplysningene gi innsikt i hvorfor tilstanden rammer ulikt, og vise sammenhenger mellom Alfa-1 mangel og andre sykdommer, som

man kanskje ikke har sett før. På sikt vi denne kunnskapen kunne bidra til at Alfa-1 pasienter får en bedre og mer målrettet behandling. Det vil også bli enklere å gjennomføre kliniske Alfa-1 studier i Norge når man får en oversikt over hvor mange vi er, og hvordan Alfa-1 mangel arter seg hos norske pasienter. Som pasientforening håper vi i tillegg at et slikt register kan føre til at vi får fast oppfølging i helsevesenet, slik at vi ikke blir gående uten helsetilbud, som noen av oss har opplevd. Dr. Nielsen informerte om at Norges strenge regelverk for opprettelse av pasientregistre gjør dette arbeidet komplisert og at dette ligger frem i tid. Vi takker Dr. Nielsen for at han har oss med i sine planer, og for at han tok seg tid til en prat om disse temaene som er viktige for oss.

EARCO- intersemøte

På ERS-kongressen deltok Kari fra AU på møte for de som har interesser i EARCO, et felles europeisk forskingsregister der det årlig blir lagt inn helseopplysninger om europeiske Alfa-1 pasienter, som lungefunksjonstester, CT-scan ol. Forskere benytter dette registeret for å finne ut hvordan det går med helsen til Alfa-1 pasientene på gruppenivå. For eksempel kan de undersøke om sykdommen ved Alfa-1 mangel er annerledes mellom menn og kvinner, og de kan sammenlikne livslengde eller tid til transplantasjon mellom Alfa-1 pasientene i de land som får bremsemedisin for emfysem, mot de land der man ikke får dette. Til stede var styret i EARCO, lungeleger, leverleger, biokjemikere, andre medisinere, og representanter fra Alfa-1 pasientorganisasjoner. Alfa-1 forskerne ga en oppdatering på de mange spennende funn som var gjort fra registeret, og det ble presentert resultater fra en imponerende mengde studier som kun er mulige å gjennomføre fordi Alfa-1 pasienter har sagt seg villig til å bidra med sine helsedata i registeret. Den som er spesielt interessert kan finne en oversikt over alle EARCO-studiene her: <https://www.earco.org/proyectos> Norge er ikke med i EARCO per i dag. Det skyldes at vi praktiserer strengere regler for deling av helsedata med utlandet enn man har i andre europeiske land. AU har et mål om at norske Alfa-1 pasienter skal få helsedata lagt inn i dette registeret, slik at også vi kan være med på å skape mer kunnskap om Alfa-1 mangel.



Påvirkningsarbeid i medisinsaken i Sverige

Parallelt med medisinsaken i Norge jobber AU også med medisinsaken i Sverige, som nylig er igangsatt. Dette skjer gjennom vårt virke som styremedlemmer i Alfa-1 Norden. AU mener at Alfa-1 pasienter skal ha rett til å få bremsemedisin for emfysem uavhengig av hvilket land man bor i. Vi har i løpet at de to siste årene opparbeidet oss en del kompetanse gjennom medisinsaken i Norge, det er derfor en selvfølge at vi også velger å hjelpe til i medisinsaken i Sverige. I Sverige bestilte NT-rådet nylig en helseøkonomisk vurdering fra TLV for å kunne avgjøre om de på samme måte som i Danmark og andre europeiske land skal tilby Prolastina og Respreeza til sine Alfa-1 pasienter på blå resept. Prosessen er nesten tilsvarende medisinsaken i Norge. I forbindelse med påvirkningsarbeidet har medisingruppen i Alfa-1 Norden vært i kontakt med den svenske Socialstyrelsen for å informere dem om at Alfa-1 Norden ikke kan akseptere at de råd de har gitt til helseregionene i Sverige om å ikke tilby Prolastina og Respreeza, baseres på forskning som er svært gammel. Vi har også hatt møte med NT-rådet der vi presenterte pasientgruppens syn på saken, og vi hadde med oss en pasientrepresentant som fortalte sin historie om hva det innebærer av belastning på individ og familie å måtte gå uten tilgang på de bremsende medisinene. I tillegg har vi hatt møte med TLV i forbindelse med innspill til blodplasma produkter

(som for eksempel Respreeza og Prolastina) der vi sørget for å fremheve de svenske Alfa-1 pasientenes vanskelige situasjon. I det nye året vil vi fortsette med påvirkningsarbeidet inspirert av fremgangsmåtene for medisinsaken i Norge, og Danmark - som fikk medisinen godkjent i 2020. Du kan følge med i det nordiske arbeidet på Alfa-1 Nordens Facebook-side: [Alfa-1-antitrypsinmangel - Alfa-1 Norden/Danmark-Norge](#)

Virtuell Alfa-1 pasient-konferanse i European Lung foundation

Den 15. oktober 2024 gjennomførte ELF en virtuell Alfa-1 konferanse i samarbeid med EARCO, Alpha-1 Europe Alliance og [ERN Lung](#) (Europeiske nettverk for sjeldne lungesykdommer). Arrangementet ble gjennomført i anledning Alfa-1 oppmerksomhets-måneden som er i november. Konferansen, som kunne følges på nett, var tekstet i sanntid, og man kunne velge mellom 50 språk, inkludert norsk. På agendaen stod en introduksjon til Alpha-1 Europe Alliance og deres arbeid og Alfa-1 pasienthistorier. I tillegg fikk vi en grundig innføring i hva Alfa-1 mangel er og vi fikk lære om Alfa-1 mangel og psykisk helse, Alfa-1 leversykdom, og sjeldne Alfa-1 varianter. På programmet var også en informativ forelesning i hva det innebærer å delta i kliniske studier på Alfa-1 mangel, og vi fikk en spennende oppdatering i nyeste medisiner/metoder som forskes frem for å behandle og/eller kurere Alfa-1 mangel. Leder av EARCO Dr. Marc Miravittles presenterte i tillegg registeret og forskning som baserer seg på pasientopplysninger derfra. Det var plass til spørsmål og svar fra publikum. I alt var dette et meget vellykket arrangement der innholdet var tilgjengelig og forståelig for Alfa-1 pasienter uavhengig av hvilket språk man snakket, og land man bodde i. Vi sender en stor takk til arrangørene for at de valgte å gjøre arrangementet virtuelt og internasjonalt. Gikk du glipp av konferansen? Fortvil ikke. Opptak av konferansen og presentasjonene finner du på lenken under.

https://europeanlung.org/en/get-involved/events/alpha1-patient-conference-2024/?utm_source=European+Lung+Foundation&utm_campaign=a830165cf4-EMAIL_CAMPAIGN_2024_10_01_01_37_COPY_01&utm_medium=email&utm_term=0_-99baa64317-599861490

Ønsker du Youtube-opptak av konferansen tekstet på Norsk, Dansk eller Svensk?

- 1) Gå til menylinjen nede til høyre på YouTube-videoen
- 2) Aktiver teksting ved å trykke på den hvite firkanten med linjer (c)
- 3) Trykk deretter på «tannhjulet» for å komme til innstillinger
- 4) Trykk på «Teksting»
- 5) Velg «Oversett automatisk»
- 6) Rull nedover til du finner ditt ønskede språk, og trykk for å aktivere teksten på ditt språk

Nytt fra Alfa-1 forskningen

Wave Life Sciences annonserer resultater fra Fase 1b/2a RestorAATion-2

Wave Life Sciences prøver nå ut sitt legemiddel *WVE-006* som inneholder korte strenger av RNA. Målet med legemiddelet er å få levercellene til å produsere normalt Alfa-1 antitrypsin som flyter ut i blodet, i stedet for å klumpe seg sammen i leveren, slik man ser hos personer med Alfa-1 mangel. *WVE-006* kan derfor potensielt bevare både lever og lungehelse. Wave kan nå melde om de første positive utprøvinger fra studien. En dose med *WVE-006* ble gitt under huden til 2 pasienter og man klarte å øke Alfa-1 antitrypsin serumnivå (i blodet) til 11 micromolar (0.57 g/L), tilsvarende mengde man kan finne hos personer med MZ Alfa-1 genotype. Det ble kun observert milde til moderate bivirkninger. Effekten av RNA redigeringen vedvarte over 57 dager og

serumnivået var forhøyet over flere måneder. Videre forskning der man gir flere doser med WVE-006 på rad gjennomføres nå, og resultater vil bli publisert i 2025. Vi gjør oppmerksom på at dette er veldig tidlige funn og at medisinen må gjennom en rekke utprøvinger for å teste sikkerhet, og effekt på lever- og lungehelse før den eventuelt blir godkjent. Vi kjenner dermed ikke fremtiden til dette legemiddelet, men vi gleder oss til å følge denne studien, og vil holde dere oppdatert.

Redwood-studien er kommet til Sverige

AU kan melde om at det også er igangsatt en spennende studie på Alfa-1 og leversykdom i Sverige. Her undersøkes legemiddelet Fazirsiran, som «slår av» produksjonen av Alfa-1 i levercellene ved hjelp av en teknologi som kalles RNAi. Leveren skal da få ro til å reparere skader som har oppstått av de lange kjedene med sammenkoblede Alfa-1 molekyler som kan hope seg opp og danne arrvev hos personer med Alfa-1 mangel. En tidlig utprøving har vist at Fazirsiran bedret fibrose hos 7 av 12 pasienter, og at opphopningen av feilfoldet Alfa-1 antitrypsin i leveren ble redusert. <https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2205416> Man har nå begynt å rekruttere svenske deltakere med mild leverfibrose til studien, som gjennomføres for å undersøke medisinen sikkerhet og effekt videre. Alfa-1 Norden gjennomførte nylig et arrangement i Stockholm der Dr. Staffan Wahlin holdt foredrag om Alfa-1 og leversykdom og presenterte denne studien. Foredraget ble tatt opp og det vil bli tilgjengeliggjort på [Alfa-1 Nordens](#) digitale flater. Du kan lese mer om studien i Sverige her: <https://theredwoodliverstudy.com/sv-se/about-study>

Med dette runder vi av årets siste nyhetsbrev

Vi ønsker alle våre lesere en fredelig jul og et godt nytt år

