



Innspill til Nye metoder – tilgang til behandling for personer med sjeldne diagnoser

Stickler Norge takker for muligheten til å gi innspill til arbeidet med vurdering av metoder med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag.

Stickler Norge ser positivt på at konseptforslaget åpner for større fleksibilitet og bedre håndtering av usikkerhet.

Innspillet bygger på samlet erfaring fra organisasjonens arbeid, herunder kontakt med medlemmer, fagmiljø og deltakelse i relevante fag- og forskningssammenhenger.

Stickler Norge opplever at konseptforslaget i begrenset grad adresserer de strukturelle utfordringene knyttet til sjeldne diagnoser.

Konseptforslaget beskriver en tilnærming til håndtering av usikkerhet ved svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag. Stickler Norge mener imidlertid at forslaget i for liten grad konkretiserer hvordan beslutninger faktisk skal kunne tas når dokumentasjonen er begrenset.

For pasientgrupper med sjeldne diagnoser innebærer dette at dagens utfordringer i praksis videreføres.

Dette reiser et sentralt spørsmål: Hvordan skal systemet sikre reell tilgang til behandling for pasientgrupper der dokumentasjonsgrunnlaget aldri vil bli omfattende?

Selv om forslaget omhandler håndtering av usikkerhet, videreføres vurderingskriterier som forutsetter et dokumentasjonsgrunnlag som ofte ikke er tilgjengelig for små pasientgrupper.

Dette innebærer at foreslåtte endringer i praksis ikke vil være tilstrekkelige for å sikre reell tilgang til behandling.

Sjeldne diagnoser faller systematisk utenfor

Stickler Norge representerer personer med en arvelig bindevevssykdom som gir alvorlige og sammensatte helseutfordringer, blant annet synstap, hørselstap, skjelett- og leddplager, samt komplekse tilleggstilstander.

Vår erfaring er tydelig: Personer med sjeldne diagnoser faller systematisk utenfor dagens system for Nye metoder.

Det er anslått at totalt rundt 300 000–320 000 personer i Norge lever med en sjelden diagnose, selv om hver enkelt diagnose rammer få.

Dette illustrerer at selv om hver enkelt diagnose er sjelden, utgjør pasientgruppen samlet en betydelig del av befolkningen.

Det er anslått at kun en svært liten andel, ofte angitt rundt 5 %, av sjeldne diagnoser har tilgjengelig, godkjent behandling. For majoriteten av pasientene finnes det dermed ingen etablert behandlingsstandard.

Dette innebærer at manglende tilgang til behandling i praksis er hovedregelen, ikke unntaket.

Årsaken er ikke mangel på behov, men krav til dokumentasjon som i praksis er uoppnåelige for små pasientgrupper.

Dagens praksis skaper strukturell diskriminering

Når tilgang til behandling forutsetter omfattende dokumentasjon fra store studier, ekskluderes små pasientgrupper i praksis.

- 1 ulik tilgang til behandling basert på diagnoseprevalens
- 2 systematisk nedprioritering av små pasientgrupper
- 3 reell forskjellsbehandling i helsetjenesten

Dette er ikke et faglig problem – det er et rettighetsproblem.

Brudd på grunnleggende rettigheter

Manglende tilpasning av systemet er i strid med:

- 1 retten til nødvendige helse- og omsorgstjenester
- 2 prinsippet om likeverdig tilgang
- 3 Norges forpliktelser etter CRPD

Lik rett til helsehjelp kan ikke være avhengig av hvor mange som har diagnosen.

Dette innebærer at systemet i praksis ikke oppfyller målet om likeverdig tilgang til helsetjenester.

Forankring i lovverk og nasjonale føringer

Dette understøttes også av gjeldende lovverk og nasjonale føringer.

Etter pasient- og brukerrettighetsloven har pasienter rett til nødvendig helsehjelp, og spesialisthelsetjenesten har plikt til å tilby forsvarlige tjenester.

Videre forplikter Norge seg gjennom CRPD til å sikre likeverdig tilgang til helsetjenester uten diskriminering.

Nasjonale strategier for sjeldne diagnoser understreker behovet for tilpassede tjenester for små pasientgrupper, noe dagens system i begrenset grad ivaretar.

Krav om systemendring

Det er særlig behov for tydeligere operasjonalisering av hvordan beslutninger skal tas i praksis når dokumentasjonsgrunnlaget er begrenset.

Stickler Norge forventer at systemet for Nye metoder tilpasses realiteten for sjeldne diagnoser.

- 1 Aksept for usikkerhet – Beslutninger må kunne tas på begrenset dokumentasjon når alternativet er ingen behandling.
- 2 Utvidet kunnskapsgrunnlag – Klinisk erfaring, pasientdata og real-world evidence må likestilles med tradisjonell evidens.
- 3 Tidlig og betinget tilgang – Behandling må kunne tas i bruk med krav om videre datainnsamling.
- 4 Egen vurderingsmodell for sjeldne diagnoser – Tilstander med små pasientgrupper kan ikke vurderes etter samme standard som folkesykdommer.
- 5 Reell brukermidvirkning – Pasientorganisasjoner må inkluderes som kunnskapsbærere.
- 6 Nasjonal likeverdig praksis – Tilgang til behandling må ikke være avhengig av geografisk tilhørighet eller lokale vurderinger.

Regulert og likeverdig tilgang til off-label behandling

Problemstillinger knyttet til off-label behandling illustrerer situasjoner med svært begrenset dokumentasjonsgrunnlag, slik dette konseptforslaget omhandler.

For mange sjeldne diagnoser finnes det ingen godkjente legemidler. Behandling skjer derfor ofte som off-label bruk basert på klinisk erfaring og tilgjengelig kunnskap.

Stickler Norge vil understreke at:

- 1 off-label bruk i mange tilfeller er nødvendig for å gi forsvarlig helsehjelp
- 2 dagens praksis er uensartet og fører til geografiske forskjeller
- 3 tilgang i for stor grad avhenger av enkeltleger og lokale vurderinger

Vi ber om at det etableres:

- 1 nasjonale retningslinjer for vurdering av off-label behandling ved sjelden tilstander
- 2 tydeligere beslutningsstøtte i nye metoder for slike situasjoner
- 3 mekanismer for systematisk innsamling av erfaring og effektdata

Manglende tilgang til behandling i slike tilfeller innebærer i praksis at pasienter står uten reell behandlingsmulighet.

Konsekvensen av å ikke handle

Dersom systemet ikke endres, innebærer det at:

- 1 pasienter nektes tilgang til behandling
- 2 sykdomsforløp forverres unødvendig
- 3 ulikheten i helsetjenesten forsterkes

Dette er en utvikling vi ikke kan akseptere.

Manglende tilgang til behandling må også vurderes i et livsløpsperspektiv.

For personer med sjeldne diagnoser kan forsinket eller uteblitt behandling føre til varig funksjonstap, økt sykdomsbelastning og behov for mer omfattende helsetjenester over tid.

Tidlig og tilpasset behandling kan derimot bidra til å forebygge komplikasjoner og redusere samlet belastning for både den enkelte og helsetjenesten.

Vurderingene må i større grad reflektere prioriteringskriteriene alvorlighet og samlet nytte i et livsløpsperspektiv.

Avslutning

Stickler Norge legger til grunn at denne innspillsrunden følges opp med konkrete endringer – ikke kun prinsipielle formuleringer.

Rett til behandling må gjelde alle – også når diagnosen er sjelden.

Seim, 15.04.2026

Stickler Norge