

LHL ALFA-1 nyhetsbrev, vinter 2023

Kjære Alfaer. I dette nyhetsbrevet kan dere lese om aktiviteter Arbeidsutvalget (AU) har deltatt på i høst, både nasjonalt og internasjonalt.

Status i medisinsaken og besøk hos Legemiddelverket



AU: Kari, Tikki og Knut på besøk hos SML

Vår viktigste sak i år har vært, og vil være, å arbeide for at norske pasienter skal få tilgang til medisiner som kan bremse den negative utviklingen av lungesykdom i forbindelse med Alfa-1 antitrypsin mangel. Det er derfor gledelig at Statens legemiddelverk (SLM) har fått i oppgave å gjøre en metodevurdering av bremsemedisinene Prolastina og Respreeza. Deres vurdering skal munne ut i en rapport som underlag for Beslutningsforum sitt møte om saken, antagelig på forsommeren neste år. AU var nylig i møte med SLM på Helsefy, hvor

vi fikk informasjon om hvordan og når vi kan gi innspill fra LHL Alfa-1 i prosessen. Innspillet vil sendes i løpet av januar 2024. Vi vil holde dere oppdatert på prosessen og minner om at dere selv kan følge progresjonen på nettsidene til Legemiddelverket på lenkene under. Der kan dere også lese våre tidligere skriftlige innspill. <https://www.nyemetoder.no/metoder/alfa1-antitrypsin-prolastina> <https://www.nyemetoder.no/metoder/alfa1-antitrypsin-respreeza>

Takk til alle som svarte på brukerundersøkelsen

Arbeidsutvalget vil gjerne takke alle som har svart på brukerundersøkelsen vi gjennomførte for å undersøke interessen for å delta i medisinske Alfa-1 studier blant våre medlemmer. De mange svarene vi har fått, og fortsatt får, viser at det er veldig stor interesse for studiedeltakelse blant norske Alfaer. AU har fått svar på det vi lurte på, og det er tydelig at det hvert fall ikke skal stå på norske deltakere. Funnene formidles nå videre til relevante studier og lungeleger. Oppdateringer vil komme dersom vi lykkes. Har du ikke fått svart på undersøkelsen kan du fortsatt gjøre det på vår LHL nettside: <https://www.lhl.no/lokallag/interessegrupper/lhl-alfa1/medlemsundersokelse/>

Første generalforsamling i Alpha-1 Europe Alliance avholdt

I november ble den aller første generalforsamlingen i Alpha-1 Europe Alliance avholdt. Alliansen er en paraplyorganisasjon som skal jobbe for god helsehjelp og lik tilgang til medisin for



personer med Alfa-1 mangel på europeisk nivå. Det betyr at europeiske pasientorganisasjoner nå har fått én stemme, og denne stemmen kan nå brukes opp mot det nivået i Europa vi hittil ikke har nådd: Det europeiske legemiddelverket (EMA), Europaparlamentet (EP), EU-kommisjonen, EURORDIS sjeldne sykdommer og andre regionale organisasjoner i verden. Knut fra AU har deltatt aktivt i dannelsen og han kommer til å delta videre i alliansens arbeid. Infrastruktur, intern organisering og digitale flater er i startgroppen for å utvikles, men du kan ta en første kikk på nettsiden til alliansen og lese om det arbeidet de planlegge å gjøre ved å besøke dem på deres [hjemmeside](#).

Alpha-1 Europe Alliance på rundebord i Europaparlamentet

Europaparlamentet (EP) hadde et rundebord med innlegg fra blant andre Alpha-1 Global (USA), Alpha-1 Europe Alliance, og politikere fra EP. På programmet stod presentasjon av den nydannede europeiske alliansen, generell informasjon om Alfa-1 mangel, samtaler omkring SoHO reguleringer (som slår uheldig ut for medisiner basert på donorblod) og diskusjoner om utfordringer med tilgang til medisiner og behandling for europeiske Alfa-1. Programmet ble strømmet digitalt. Dessverre var det noen tekniske problemer som gjør at det foreløpig ikke har kommet ut et opptak fra seansen. Men det er tegn på at Alfa-1 Antitrypsin mangel får mer og mer oppmerksomhet rundt omkring, og det trenger vi.

Canada har godkjent bremsemedisinen til sine borgere på «Blå resept»

Bremsemedisinen som nå er oppe til vurdering i Beslutningsforum i Norge er fra og med neste år tilgjengelig for Canadiere med Alfa-1 mangel som har emfysem og følger tilleggskriterier (diagnostisert av spesialist, FEV1 under 80%, ikke-røyker og lavt nivå av Alfa-1 i blodet). Frem til nå har behandlingen kun vært tilgjengelig i Quebec og British Columbia. Canadiske borgere behøver nå ikke lenger flytte til andre stater for å få den livsforlengende medisinen. Det er bra for Norge og vår medisinsak at flere land velger å

tilby denne medisinen til sine borgere. Vi gratulerer og gleder oss sammen med de Canadiske Alfaene. AU jobber på for at det skal bli de norske Alfaenes tur til å få bremsemedisin.

Ny registerstudie viser at bremsemedisinen gir økt overlevelse

I november i år ble det publisert en ny registerstudie på den bremsemedisinen som nå er oppe til vurdering i Norge. Hensikten var å sammenlikne hvordan det går helsemessig med Alfa-1 pasienter som får bremsemedisin sammenliknet med de som ikke får bremsemedisin. Pasienter i Sveits og Østerrike som får medisinen ble sammenliknet med pasienter i Irland som ikke får denne medisinen. Studien fant at Alfa-1 pasienter som mottar medisin lever lenger og at tiden frem til transplantasjon kan forlenges. Den viser også at det ikke alltid er sammenheng mellom FEV1 og emfysemutvikling. Spesielt hos personer over 50 år kan man se at fall i FEV1 kan stagnere mens emfysemet fortsetter å utvikle seg. Forskerne i studien mener at vi nå vet såpass mye om medisinenes effekt at det begynner å bli etisk tvilsomt å gjøre flere effektstudier (RCT) etter som en gruppe da ikke får medisin som nå har vist effekt. De nevner også at man bør vurdere å ta medisinen i bruk før man blir alt for syk, ettersom dette kan spare samfunnet for utgifter til medisinsk behandling og uføretrygd. Det er høyst usikkert om man vil ta hensyn til denne studien i den pågående norske metodevurderingen. Det finnes lite forskning på bremsemedisinen, og det er krevende å forske på pasientgrupper der det blir få deltakere fordi sykdommen er sjelden. Norge har heller ingen tradisjon for å ta med sparte samfunnskostnader som uføretrygd ol. i regnestykket når man skal vurdere om prisen på et legemiddel er forsvarlig. AU vil kjempe for at denne registerstudier, og andre studier som viser at medisinen har effekt også skal telle med i den norske metodevurderingen. Med bakgrunn i den siste studien vil AU derfor lage et nytt skriftlig innspill til Nye Metoder der vi adresserer dette. Registerstudien kan du for øvrig lese her på engelsk: <https://www.atsjournals.org/doi/full/10.1164/rccm.202305-0863OC> Det

Har du fått med deg vår Alfa-1 mediekampanje?



The advertisement features a purple background with white and light purple geometric shapes. In the top left corner is the LHL logo. The main text asks, 'Har du KOLS eller problemer med lungene? Da kan du ha Alfa-1 antitrypsinmangel.' Below this is a blue button with white text that says 'Sjekk deg selv'. On the right side, there is a circular inset photo of an elderly woman with grey hair, wearing glasses and a hospital gown, with an oxygen tube in her nose.

I løpet av høsten har vi hatt en Alfa-1 kampanje på mange digitale flater, og vi har også ved hjelp av legene i KBB Medic AS fått oppgradert det digitale verktøyet Kolshjelpen slik at de som svarer på testspørsmål får informasjon om Alfa-1 mangel. KBB Medic lagde også en kort



video om Alfa-1 som du kanskje har sett, i hvert fall er det 15 000 andre som har sett videoen helt ferdig. Hittil har det totalt vært over 1 million visninger på FB! Vi er veldig glade for at vi endelig ha fått en Alfa-1 informasjonsvideo med norske lungeleger. Svært mange har også benyttet seg av Sjekk-deg-selv knappen som leder til Kolshjelpen når det har vært lunge-relevante artikler i ulike medier, f.eks. om Kronprinsesse Mette-Marit og hennes lungesykdom Lungefibrose. Finansiering av

kampanjen skaffet AU fra eksterne kilder. Alfa-1 videoen kan du se her: <https://www.facebook.com/100064603453279/videos/pcb.10159226059212016/365581249302444> Kolshjelpen finner du på denne lenken: <https://kolshjelpen.no/> Testen kan du prøve her: <https://kolshjelpen.codelab.no/testdegself>

Innsamlede SPLEIS-midler går til «Prosjekt oppmerksomhet»

Tikki i AU skaffet oss en større sum penger fra SPLEIS-aksjonen hun satte i gang da hennes mor døde av Alfa-1 relaterte komplikasjoner i fjor. Vi har bestemt at pengene skal brukes til ytterligere oppmerksomhetsarbeid for Alfa-1 saken, slik at tilstanden kan bli mer kjent både blant publikum og hos norske beslutningstagere. Midlene er nå øremerket et eget «Prosjekt oppmerksomhet» der vi sammen med LHL skal gjennomføre ulike digitale prosjekter for å skape blest om Alfa-1 mangel. Vi takker alle som har bidratt til denne saken.

*AU runder av årets siste nyhetsbrev med å ønske dere
alle en riktig god jul og et godt nytt år!*

