
Når Nye metoder er i utakt med klinisk praksis, må ikke livreddende behandling hindres

KRONIKK

NILS MORTEN LEKNES

nils.morten.leknes@unn.no

Nils Morten Leknes er spesialist i blodsykdommer og i indremedisin og er overlege ved Seksjon for blodsykdommer, Universitetssykehuset Nord-Norge, Tromsø.

Forfatteren har fylt ut ICMJE-skjemaet og oppgir ingen interessekonflikter.

ANDERS VIK

Anders Vik er ph.d., spesialist i blodsykdommer og i indremedisin og er overlege ved Seksjon for blodsykdommer, Universitetssykehuset Nord-Norge, Tromsø og førsteamanuensis ved UIT Norges arktiske universitet.

Forfatteren har fylt ut ICMJE-skjemaet og oppgir ingen interessekonflikter.

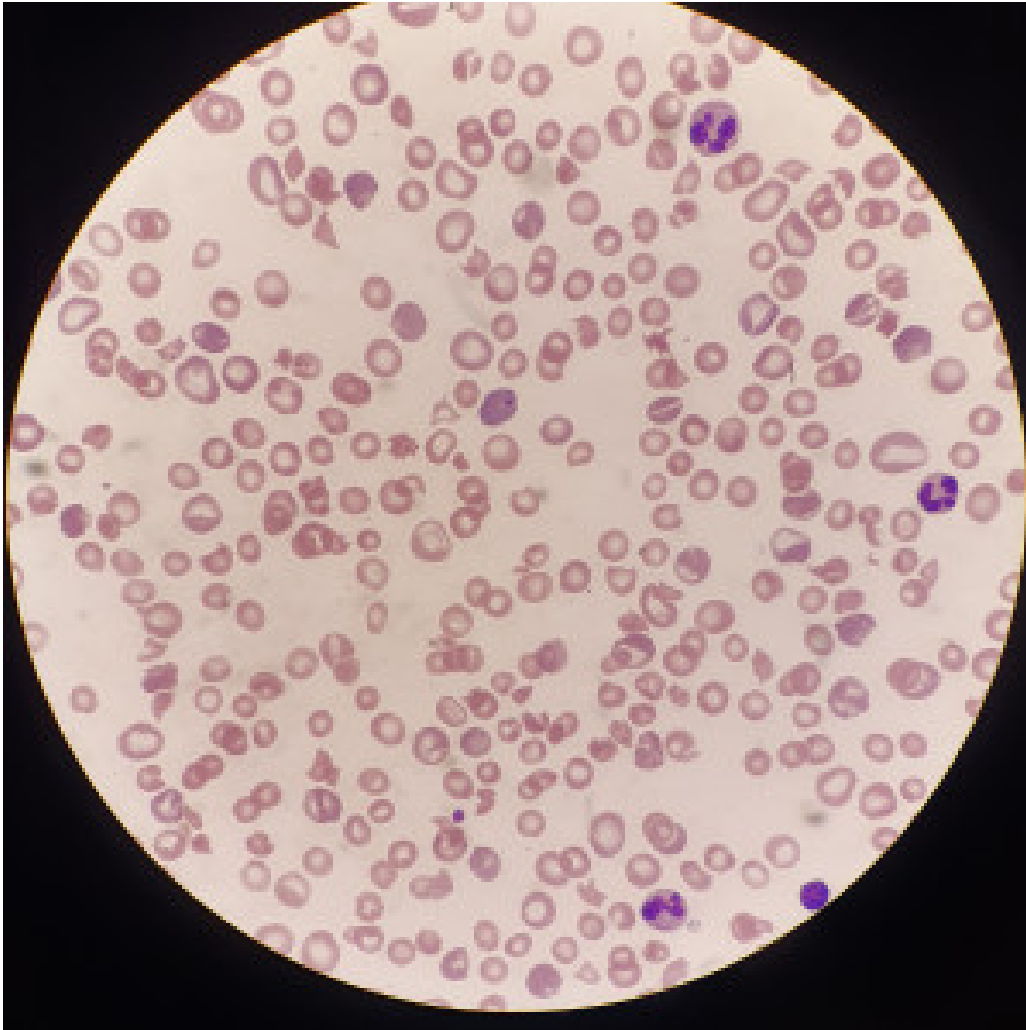
TRUDE GIVERHAUG

Trude Giverhaug er ph.d., cand.pharm og legemiddelfaglig rådgiver ved Kvalitetsavdelingen, Fag-, analyse og styringssenteret, Universitetssykehuset Nord-Norge, Tromsø.

Forfatteren har fylt ut ICMJE-skjemaet og oppgir ingen interessekonflikter.

Vi valgte å gi kaplasizumab til en pasient med refraktær immunmediert trombocytopenisk purpura, til tross for at Beslutningsforum hadde avslått behandlingen for denne indikasjonen. Det reddet trolig livet til pasienten. Nå er den

nye tilgangsordningen tilgjengelig, men saksbehandlingstiden vil være avgjørende ved akutt alvorlig sykdom.



Utstryk av pasientens blod ved innleggelse. Foto: Nils Morten Leknes

Retten til nødvendig helsehjelp er individuell og må vurderes for den enkelte pasient. Pasientansvarlige leger må være bevisste på dette, ikke minst ved akutt alvorlig sykdom. Noen ganger vil det være konflikt mellom hva klinikerne vurderer som forsvarlig helsehjelp og hvilken behandling som finansieres av det offentlige helsevesenet.

Ervervet trombotisk trombocytopenisk purpura, i tillegg til plasmautskifting og immunsuppresjon, er godkjent indikasjon for kaplasizumab [\(1\)](#). Tilstanden forårsakes av svært lav aktivitet av ADAMTS13 – proteasen som spalter von Willebrand-faktor. Kaplasizumab hemmer interaksjonen mellom von Willebrand-faktor og blodplater, og hindrer dermed den abnorme plateadhesjonen som er forbundet med immunmediert trombotisk trombocytopenisk purpura (iTTP) og som forårsaker tromboser og blødninger [\(1\)](#). Kaplasizumab ble meldt til metodevurdering for denne indikasjonen i 2017 og ble avslått i 2020 [\(2\)](#). Behandlingen er tatt i bruk i andre land og er anbefalt i flere behandlingsretningslinjer og oppslagsverk [\(3–6\)](#).

Pasient som fikk kaplasizumab

En tidligere frisk ung mann ble innlagt med immunmediert trombotisk trombocytopenisk purpura og behov for intensiv- og respiratorbehandling. Standardbehandlingen ga manglende effekt. Hemolyse, alvorlig trombocytopeni og cerebral påvirkning persisterte, forenlig med refraktær immunmediert trombotisk trombocytopenisk purpura. Etter syv dager søkte behandlende lege lokal fagsjef om bruk av kaplasizumab til pasienten, som da var kritisk syk, lå på respirator og fikk to daglige plasmautskiftninger. Søknaden ble avslått med henvisning til Beslutningsforums vedtak og føring om at avslåtte legemidler ikke skal tas i bruk i den offentlige helsetjenesten.

Avgjørelsen ble påklaget ti dager senere med henvisning til at pasienten var ung, tidligere frisk og hadde utsikter til mange gode leveår ved respons på omsøkt behandling. Det var gitt intensivert immunsuppressiv behandling med syklofosamid og, etter hvert, bortezomib uten tegn til bedring. MR viste tilkommet hjerneinfarkt.

Uten tillegg av kaplasizumab var den medisinske vurderingen at det forelå høy risiko for død, eventuelt overlevelse til et liv med pleiebehov. Behandling med kaplasizumab ble derfor godkjent av medisinsk fagsjef til tross for Beslutningsforums avslag.

Det ble totalt gitt 29 doser kaplasizumab (inntil ADAMTS13-aktivitet > 10 %). Pasienten ble utskrevet fra intensivavdelingen fire døgn etter første dosen med kaplasizumab, etter totalt 25 intensivdøgn, hvorav 10 døgn på respirator. Etter 13 måneder er pasienten meget godt fysisk rehabilitert, men med vedvarende lett redusert kognitiv funksjon.

Effekt av kaplasizumab

Kaplasizumab var høyst sannsynlig livreddende behandling i dette tilfellet, og vi mener det nå er på tide med en ny metodevurdering for dette legemiddelet. Nye registerdata og klinisk erfaring må tas hensyn til for å sikre at norske pasienter ikke underbehandles.

«Kaplasizumab var høyst sannsynlig livreddende behandling i dette tilfellet, og vi mener det nå er på tide med en ny metodevurdering for dette legemiddelet»

Beslutningsforums avslag fra 2020 er etter vår oppfatning for generelt og i utakt med dagens internasjonale erfaringer og anbefalinger. Behandlende leger og medisinsk fagsjef vurderte for vår pasient at det var uforsvarlig å ikke forsøke kaplasizumab. Behandlingen hadde frapperende effekt, og pasienten overlevde med et godt fysisk funksjonsnivå.

Insidensen av immunmediert trombotisk trombocytopenisk purpura er < 5 per million innbyggere per år. Standardbehandlingen er effektiv hos 80–90 % og består av høydose kortikosteroider, daglige plasmautskiftninger og rituksimab (7). Behandlingsresistent sykdom forekommer hos ca. 10 %, det vil si hos omtrent én pasient per år i Norge. Svikter standardbehandlingen, er dette forbundet med svært dårlig prognose (8).

Behandling med kaplasizumab ble sammenlignet med placebo i en randomisert fase III-studie fra 2019 (8), som også er referert til i metodevurderingen (2). Studien viste raskere stigning i platetall, kortere innleggelsestid, redusert behov for intensivbehandling og plasmautskiftning samt lavere forekomst av komposittendepunktet iTTP-relatert død, trombose og tilbakefall hos pasienter som ble randomisert til kaplasizumab. Resultatene har vært mye diskutert, særlig den lave mortaliteten i placebogruppa – 4 %. I denne gruppa hadde 53 % av pasientene en seinere episode av sykdommen, som ofte har et mildere forløp enn den initiale episoden. I placebogruppa fikk 38 % tilbakefall i studieperioden og ble da behandlet med kaplasizumab. Det er sparsomt med data på mortalitet ved standardbehandling av pasienter med immunmediert trombotisk trombocytopenisk purpura. Ved to sykehus i Sverige (Skåne universitetssjukhus og Karolinska universitetssjukhus) var mortaliteten på henholdsvis 15 % og 33 % i perioden 2016–19 (9). Mortaliteten ved tillegg av kaplasizumab har i flere studier vært 0–1 % (8, 10, 11).

Økonomiske betraktninger

Vår pasient fikk 10 mg kaplasizumab daglig i 29 dager til en kostnad på ca. 2 millioner kroner. Gitt et estimat for døgnkostnad ved en intensivsenhet på om lag 55 000 kroner, ville trolig innleggelse i intensivavdeling og daglig plasmautskiftning i 1 måned kostet omtrent det samme. ADAMTS13-aktiviteten var > 10 % for første gang på dag 47, 26 døgn etter oppstart av kaplasizumab. Vi anslår at kaplasizumab hos denne pasienten, forutsatt overlevelse, reduserte behovet for intensivbehandling med 25–30 døgn. Studier viser at oppstart med kaplasizumab på diagnositidspunktet reduserer behovet for og varigheten av intensiv- og sykehusopphold betydelig (8, 10, 11).

Behandlingen påførte dermed trolig ikke sykehuset merutgifter. Hadde man startet behandling med kaplasizumab tidligere, ville dette mest sannsynlig vært ressursbesparende og kunne ha gitt et bedre behandlingsresultat.

«Behandlingen påførte trolig ikke sykehuset merutgifter. Hadde man startet behandling med kaplasizumab tidligere, ville dette mest sannsynlig vært ressursbesparende»

Legemidler som Beslutningsforum har avslått

Nye metoder er det politisk vedtatte prioriteringssystemet for hvilke legemidler som skal finansieres i den norske offentlige spesialisthelsetjenesten. Alle nye legemidler spesialisthelsetjenesten har finansieringsansvar for, skal metodevurderes ut fra prioriteringskriteriene nytte, ressurser og alvorlighet før de tas i bruk. Beslutningsforum er Nye metoders besluttende organ. Når Beslutningsforum beslutter at et legemiddel ikke skal innføres, betyr det at legemiddelet ikke vil bli finansiert av den offentlige helsetjenesten. Avslåtte legemidler er fortsatt regulatorisk godkjent, er oppført i Felleskatalogen og er tilgjengelig for forskrivning/ordinering, men helseforetaket dekker altså ikke utgiftene.

Allerede i evalueringen av Nye metoder i 2021–22 ble det foreslått å etablere en unntaksordning for avslåtte legemidler [\(12\)](#). Man valgte imidlertid å ikke gjøre dette, da «... forsvarlighetskravet *under nærmest alle omstendigheter* vil være oppfylt selv om pasienter ikke kan tilbys behandling som har fått nei-beslutning i Beslutningsforum. RHF-ene mener således at innføring av et system for håndtering av unntak etter nei-beslutning ikke er nødvendig for å ivareta denne problemstillingen» [\(13\)](#). Det var vår mening at «under nærmest alle omstendigheter» ga et visst handlingsrom for bruk av avslåtte legemidler i helt spesielle tilfeller og at vår pasient kunne komme innunder dette.

Tilgangsordningen som ble etablert i april 2025, åpner for bruk av metoder og legemidler som er besluttet ikke innført i spesialisthelsetjenesten. Ordningen gjelder for pasienter som er vurdert som «klinisk eksepsjonelle», det vil si forventes å ha vesentlig større nytte av behandlingen, har mer alvorlig sykdom eller har andre særskilte medisinske årsaker som skiller dem fra gruppen som er metodevurdert. Søknad fra lege om slik behandling må vurderes og godkjennes av fagdirektør i helseforetaket og deretter av en interregional vurderingskomité [\(14\)](#).

Begrepene faglig forsvarlighet og nødvendig helsehjelp gjenfinnes flere steder i helselovgivningen. Helsepersonell skal utføre sitt arbeid i samsvar med de krav til faglig forsvarlighet og omsorgsfull hjelp som kan forventes ut fra helsepersonellens kvalifikasjoner, arbeidets karakter og situasjonen for øvrig (helsepersonelloven § 4). Hadde vi ivaretatt pasientens rett til nødvendig helsehjelp om vi i dette tilfellet overså kjennskapet til internasjonal praksis og anbefalinger og heller etterlevde Beslutningsforums fire år gamle vedtak? Fra juristhold har det blitt framhevet «at retten til nødvendig helsehjelp som menneskerettighet er individuell og at mennesker kan ha et rettskrav på en metode dersom det er den eneste som kan gi forsvarlig hjelp, selv om denne ikke er godkjent av regionalt helseforetak» [\(15\)](#).

Immunmediert trombotisk trombocytopenisk purpura er en sjelden og heterogen sykdom. I slike tilfeller er dokumentasjonen av nye legemidlers effekt og sikkerhet ofte begrenset, spesielt for subpopulasjoner.

Tilgangsordningen vil på en bedre måte kunne ivareta retten til nødvendig helsehjelp i slike tilfeller. Ved akutte tilstander, som denne sykdommen er, er kort saksbehandlingstid essensielt for å unngå prognosetap.

Fagmiljøene opparbeider seg erfaring med nye legemidler både nasjonalt og internasjonalt. En kostnad-nytte-vurdering av et legemiddel kan etter en tid fremstå som mangelfull fordi det er publisert nyere studier, men også fordi man i land med et større befolkningsgrunnlag og annet finansieringssystem enn i Norge kan ha opparbeidet seg relevant og verdifull klinisk erfaring. Det siste synes å være tilfelle her, siden flere internasjonale retningslinjer anbefaler kaplacizumab som førstelinjebehandling til *alle* med immunmediert trombotisk trombocytopenisk purpura, med særlig sterk anbefaling ved alvorlige og/eller refraktære tilfeller.

«Fagmiljøene bør foreslå nye metodevurderinger for avslåtte legemidler når klinisk praksis oppleves å være i utakt med legemidlenes status i Nye metoder»

Fagmiljøene bør foreslå nye metodevurderinger for avslåtte legemidler når klinisk praksis oppleves å være i utakt med legemidlenes status i Nye metoder. Kliniske fageksperter må involveres i metodevurderingene. Saksbehandlingstiden i den nyetablerte tilgangsordningen må være kort når tid til innsatt behandling kan være avgjørende for utfallet. Ved livstruende akutte tilstander som refraktær immunmediert trombotisk trombocytopenisk purpura må behandlingsansvarlig lege vurdere varigheten av søknadsprosessen opp imot pasientens individuelle rett til nødvendig helsehjelp.

Pasienten har gitt samtykke til at artikkelen blir publisert.

LITTERATUR

1. European Medicines Agency. SPC Cablivi.
<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/cablivi> Lest 13.3.2025.
2. Nye Metoder. Kaplacizumab (Cablivi).
<https://www.nyemetoder.no/metoder/kaplacizumab-cablivi/> Lest 6.7.2025.
3. Arvanitakis A, Cherif H, Dexfoolian H et al. Förvärvad trombotisk trombocytopen purpura hos vuxna – nationella rekommendationer version 2.0. <https://www.sfhem.se/upl/files/201813.pdf> Lest 6.7.2025.
4. Scully M, Rayment R, Clark A et al. A British Society for Haematology Guideline: Diagnosis and management of thrombotic thrombocytopenic purpura and thrombotic microangiopathies. *Br J Haematol* 2023; 203: 546–63. [PubMed][CrossRef]
5. Cuker A. Immune TTP: Initial treatment. UpToDate 2025.
<https://www.uptodate.com/contents/immune-ttp-initial-treatment?>

search=caplacizumab&source=search_result&selectedTitle=2%7E11&usage_type=default&display_rank=1#H3892591934 Lest 25.2.2025.

6. Zheng XL, Vesely SK, Cataland SR et al. ISTH guidelines for treatment of thrombotic thrombocytopenic purpura. *J Thromb Haemost* 2020; 18: 2496–502. [PubMed][CrossRef]
7. Page EE, Kremer Hovinga JA, Terrell DR et al. Thrombotic thrombocytopenic purpura: diagnostic criteria, clinical features, and long-term outcomes from 1995 through 2015. *Blood Adv* 2017; 1: 590–600. [PubMed][CrossRef]
8. Scully M, Cataland SR, Peyvandi F et al. Caplacizumab Treatment for Acquired Thrombotic Thrombocytopenic Purpura. *N Engl J Med* 2019; 380: 335–46. [PubMed][CrossRef]
9. Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. Hälsoekonomisk bedömning av Cablivi (kaplacizumab).
[https://www.tlv.se/download/18.1a8doc34179efdbb7af4de91/1623673527756/bes210601_he_bed_cablivi.pdf%20\(In%20Swedish](https://www.tlv.se/download/18.1a8doc34179efdbb7af4de91/1623673527756/bes210601_he_bed_cablivi.pdf%20(In%20Swedish) Lest 25.2.2025.
10. Coppo P, Bubenheim M, Azoulay E et al. A regimen with caplacizumab, immunosuppression, and plasma exchange prevents unfavorable outcomes in immune-mediated TTP. *Blood* 2021; 137: 733–42. [PubMed][CrossRef]
11. Angelucci E, Artoni A, Fianchi L et al. Real-World Data Analysis of Patients Affected by Immune-Mediated Thrombotic Thrombocytopenic Purpura in Italy. *J Clin Med* 2024; 13: 1342. [PubMed][CrossRef]
12. PROBA samfunnsanalyse. Evaluering av systemet for Nye metoder i spesialisthelsetjenesten. Rapport 2021-16.
<https://www.regjeringen.no/contentassets/09874a0573eb480384061da473458ed1/rapport-evaluering-nye-metoder-2021115-ferdig.pdf> Lest 25.2.2025.
13. Rapport fra de regionale helseforetakene. Unntaksordningen i system for Nye metoder. Februar 2023.
<https://www.nyemetoder.no/4a47fo/siteassets/documents/administrativt-brukes-kun-av-sekretariatet/rapport-fra-de-regionale-helseforetak-om-unntaksordningen-innenfor-nye-metoder.pdf> Lest 6.7.2025.
14. Nye metoder. Tilgangsordningen. Ordning for vurdering av individuell tilgang til metoder som er besluttet ikke innført i spesialisthelsetjenesten. Mars 2025. <https://www.nyemetoder.no/om-systemet/tilgangsordningen/> Lest 13.5.2025.
15. Simonsen MCA. Jusprofessor mener Vestre-initiert ordning bryter loven og menneskerettigheter. *Dagens Medisin* 18.3.2025.
<https://www.dagensmedisin.no/helsepolitikk-og-helseekonomi-legemidler-lov-og-rett/jusprofessor-mener-vestre-initiert-ordning-bryter-loven-og-menneskerettigheter/678478> Lest 13.5.2025.

Publisert: 15. september 2025. Tidsskr Nor Legeforen. DOI: 10.4045/tidsskr.25.0343
Mottatt 21.5.2025, første revisjon innsendt 3.7.2025, godkjent 6.7.2025.
Opphavsrett: © Tidsskriftet 2026 Lastet ned fra tidsskriftet.no 23. juni 2026.