



**VESTRE LANDSRET
DOM**
afsagt den 9. juli 2021

Sag BS-8636/2020-VLR
(16. afdeling)

Værge 1 for Sagsøger 1 (beskikket
advokat Karsten Høj)

mod

Ankenævnet for Patienterstatningen
(advokat Finn Schwarz)

Sag BS-8637/2020-VLR
(16. afdeling)

Værge 2 for Sagsøger 2 (beskikket
advokat Karsten Høj)

mod

Ankenævnet for Patienterstatningen
(advokat Finn Schwarz)

Sag BS-8638/2020-VLR
(16. afdeling)

Værge 3 for Sagsøger 3

(beskikket advokat Karsten Høj)

mod

Ankenævnet for Patienterstatningen
(advokat Finn Schwarz)

Sag BS-8639/2020-VLR
(16. afdeling)

Sagsøger 4 (beskikket advokat
Karsten Høj)

mod

Ankenævnet for Patienterstatningen
(advokat Finn Schwarz)

Sag BS-8641/2020-VLR
(16. afdeling)

Værge 5 for Sagsøger 5
(beskikket advokat Karsten Høj)

mod

Ankenævnet for Patienterstatningen
(advokat Finn Schwarz)

Sag BS-8644/2020-VLR
(16. afdeling)

Værge 3 for Sagsøger 6 (beskikket
advokat Karsten Høj)

mod

Ankenævnet for Patienterstatningen
(advokat Finn Schwarz)

Landsdommerne Lars Christensen, Malene Værum Westmark og Torben Riise (kst.) har deltaget i sagernes afgørelse.

Sagerne er anlagt ved Retten i Aarhus den 27. september 2019. Ved kendelse af 24. februar 2020 er sagerne henvist til behandling ved landsretten efter retsplejelovens § 226, stk. 1. For landsretten har sagerne været forberedt og hovedforhandlet samlet.

Påstande

Sagsøger 1 har nedlagt påstand om, at sagsøgte, Ankenævnet for Patienterstatningen, skal anerkende, at en erfaren specialist på det pågældende område under de i øvrigt givne forhold kunne have ordineret Spinraza til ham i forbindelse med behandlingen på Behandlingssted 2 i perioden fra 12. oktober 2017 til 1. april 2019, jf. klage- og erstatningslovens § 20, stk. 1, nr. 1, 1. led.

Sagsøger 2 har nedlagt påstand om, at sagsøgte, Ankenævnet for Patienterstatningen, skal anerkende, at en erfaren specialist på det pågældende område under de i øvrigt givne forhold kunne have ordineret Spinraza til hende i forbindelse med behandlingen på Behandlingssted 2 i perioden fra 12. oktober 2017 til 1. april 2019, jf. klage- og erstatningslovens § 20, stk. 1, nr. 1, 1. led.

Sagsøger 3 har nedlagt påstand om, at sagsøgte, Ankenævnet for Patienterstatningen, skal anerkende, at en erfaren specialist på det pågældende område under de i øvrigt givne forhold kunne have ordineret Spinraza til ham i forbindelse med behandlingen på Behandlingssted 1 i perioden fra 12. oktober 2017 til 28. juni 2018, jf. klage- og erstatningslovens § 20, stk. 1, nr. 1, 1. led.

Sagsøger 4 har nedlagt påstand om, at sagsøgte, Ankenævnet for Patienterstatningen, skal anerkende, at en erfaren specialist på det pågældende område under de i øvrigt givne forhold kunne have ordineret Spinraza til ham i forbindelse med behandlingen på Behandlingssted 1 i perioden fra 7. marts 2017 til 1. april 2019, jf. klage- og erstatningslovens § 20, stk. 1, nr. 1, 1. led.

Sagsøger 5 har nedlagt påstand om, at sagsøgte, Ankenævnet for Patienterstatningen, skal anerkende, at en erfaren specialist på det pågældende område under de i øvrigt givne forhold kunne have ordineret Spinraza til hen-

de i forbindelse med behandlingen på Behandlingssted 1 i perioden fra 7. marts 2017 til 1. april 2019, jf. klage- og erstatningslovens § 20, stk. 1, nr. 1, 1. led.

Sagsøger 6 har nedlagt påstand om, at sagsøgte, Ankenævnet for Patienterstatningen, skal anerkende, at en erfaren specialist på det pågældende område under de i øvrigt givne forhold kunne have ordineret Spinraza til ham i forbindelse med behandlingen på Behandlingssted 1 i perioden fra 12. oktober 2017 til 27. juni 2018, jf. klage- og erstatningslovens § 20, stk. 1, nr. 1, 1. led.

Ankenævnet for Patienterstatningen har i alle sagerne har påstået frifindelse, subsidiært hjemvisning.

Sagsøgerne har alle fri proces og retshjælpsdækning.

Sagsfremstilling

Vedrørende alle sagerne

Sagsøgerne lider alle af muskelsvindssygdommen spinal muskelatrofi (SMA), for Sagsøger 4 og Sagsøger 5s vedkommende SMA type I, og for de øvrige sagsøgeres vedkommende SMA type II. Sygdommen beskrives nærmere nedenfor i Medicinrådets endelige vurdering af 16. august 2017 af klinisk merværdi af lægemidlet Spinraza.

I et "Principppapir om prioritering for sygehuslægemidler" af 31. marts 2016 fra Sundheds- og Ældreministeriet anførtes det:

" ...

Der er enighed blandt Folketingets partier om, at sundhedsvæsenet skal sikre fri og lige adgang til behandling af høj kvalitet. Patienterne skal have adgang til behandling med sikre, effektive lægemidler samtidig med, at vi skal sikre mest mulig sundhed for pengene.

Udgifterne til sygehusmedicin er steget de senere år, hvorfor fokus derfor er rettet mod tiltag, som kan dæmpe udgiftsvæksten og samtidig sikre patienterne behandling af høj faglig kvalitet. På sigt kan fokus også rettes mod teknologi og behandlinger generelt.

Overordnede principper for prioritering

Partierne er enige om 7 overordnede principper for prioritering på området for sygehuslægemidler. De overordnede principper omhandler vurderingen af lægemidler og skal ses i lyset af den nuværende ansvars- og opgavefordeling i sundhedsvæsenet. Alle principper er væsentlige og skal ses i sammenhæng. Principperne lyder som følger:

1. *Faglighed*: Ved vurdering af lægemidler skal der ske en grundig og systematisk vurdering af den behandlingsmæssige gevinst for patienterne samt den dokumentation, der ligger til grund herfor. Ved vurderingen af lægemidler skal der inddrages den nødvendige og tilstrækkelige faglige ekspertise.
2. *Uafhængighed*: Vurdering af lægemidler skal ske ud fra objektive kriterier og på baggrund af faglige vurderinger, således at der sikres et uafhængigt udarbejdet beslutningsgrundlag og derved armslængde til det politiske niveau.
3. *Geografisk lighed*: Der skal ske en ensartet ibrugtagning og anvendelse af lægemidler på tværs af hele landet. Der skal desuden være entydighed i, hvordan de forskellige regioner og sygehuse håndterer de tilfælde, hvor lægemidler afvises til ibrugtagning som standardbehandling.
4. *Åbenhed*: Der skal være størst mulig åbenhed i vurderingen af lægemidler. Dvs. at der skal være åbenhed om både processer, metoder, kriterier og det materiale, der udarbejdes i forbindelse med vurderingen af lægemidler. Det skal således være muligt for alle at se grundlaget og begrundelserne for at til- eller fravælge nye lægemidler, jf. også Transparensdirektivets krav i forhold til objektivitet og gennemsigtighed. Åbenheden har også til formål at facilitere en offentlig debat.
5. *Hurtig ibrugtagning af ny, effektiv medicin*: Patienter skal have gavn af behandlingsmæssige fremskridt. Danmark skal fortsat være et af de lande, der hurtigst ibrugtager nye lægemidler, hvor der er dokumenteret mereeffekt.
6. *Mere sundhed for pengene*: Midlerne i sundhedsvæsenet, herunder til sygehuslægemidler, skal bruges med omtanke, da det ellers kan få konsekvenser for forebyggelse, behandling eller pleje i andre dele af sundhedsvæsenet. Nye lægemidler, som har en veldokumenteret mereeffekt skal ikke afvises alene på grund af økonomi. Såfremt et nyt lægemiddel skal være standardbehandling, skal der således være et rimeligt forhold mellem prisen på det nye lægemiddel og den merværdi, som lægemidlet vurderes at kunne tilbyde sammenlignet med eksisterende standardbehandling.
7. *Adgang til behandling*: Der skal sikres lige adgang for både store og små patientgrupper og tages højde for patienters individuelle be-

hov. Det skal være muligt ud fra en konkret lægefaglig vurdering at behandle med lægemidler, som er afvist til standardbehandling. Det gælder eksempelvis i forhold til at kunne yde behandling af høj kvalitet til patienter med sjældne sygdomme eller i forhold til at kunne behandle for at undgå funktionsnedsættelse.”

Den 3. april 2016 udsendte Sundheds- og Ældreministeriet en pressemeddelelse om partiernes enighed om de syv prioriteringsprincipper for sygehusmedicin.

I et notat af 4. april 2016 fra Danske Regioner anførtes bl.a.:

”Model for vurdering af lægemidler

1. Indledning

Danske Regioner har iværksat en række initiativer på medicinområdet for at sikre en effektiv anvendelse af især sygehusmedicin.

...

2. Armslængde princip

De overordnede rammer for arbejdet i Medicinrådet fastlægges af Danske Regioners bestyrelse. På baggrund af de politisk givne rammer træffer Medicinrådet uafhængige beslutninger med udgangspunkt i et armslængdeprincip til det politiske system. Regionerne kan således ikke pålægge Medicinrådet at træffe bestemte beslutninger.

Medicinrådet består af et formandskab (formand og næstformand), som har det fulde ansvar for rådets faglige vurderinger og budget. Formandskabet ansætter Medicinrådets direktør, som ansætter det resterende sekretariat og står for den daglige drift.

3. Medicinrådets formål

- Medicinrådet sikrer hurtig og ensartet ibrugtagning af nye sygehuslægemidler på tværs af sygehuse og regioner
- Medicinrådet stiller større krav til dokumentationen for, at ny og eksisterende medicin er til gavn for patienterne
- Medicinrådet sikrer stærkere grundlag for Amgros’ prisforhandlinger og udbud

Medicinrådet respekterer i sit arbejde de syv prioriteringsprincipper for sygehusmedicin, som Folketingets partier har givet deres tilslutning til.

4. Modelbeskrivelse

Medicinrådet vurderer, om ny medicin skal tages i brug som standardbehandling, samt hvordan såvel ny som eksisterende medicin skal placeres i behandlingsvejledninger for medicinanvendelse.

4.1 Vurdering af nye lægemidler

Lægemiddelvirksomheder ansøger Medicinrådet om ibrugtagning af ny sygehusmedicin (eksklusiv generika og biosimilære lægemidler) som standardbehandling. Med standardbehandling menes, at lægemidlet indføres som et alment anvendt behandlingstilbud til en patientgruppe.

For at understøtte en hurtig ibrugtagning af ny og effektiv medicin, kan virksomhederne varsle Medicinrådet om nye lægemidler, når et lægemiddel har modtaget en 'positive opinion' fra Det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA), hvilket er ca. 3 måneder før EMA godkender lægemidler til markedsføring. Virksomheder fremsender den endelige ansøgning, når EMA har udstedt en markedsføringstilladelse.

Medicinrådet foretager på baggrund af ansøgningen og de foreliggende studier en lægefaglig og statistisk vurdering af det nye lægemiddel og placerer det i en af nedenstående seks kategorier for merværdi. Samtidig høres de relevante fagudvalg eller det faglige forum under Medicinrådet med henblik på, at deres vurdering kan indgå i det samlede beslutningsgrundlag. Fagudvalg og faglige fora er nærmere beskrevet i bilag 1 om faglighed i Medicinrådet.

Merværdi er den ekstra værdi et lægemiddel tilbyder i forhold til nuværende behandling med hensyn til livsforlængelse, bivirkninger og livskvalitet.

- Kategori 1: Stor merværdi sammenlignet med standardbehandling/ andre behandlinger
- Kategori 2: Vigtig merværdi sammenlignet med standardbehandling/ andre behandlinger
- Kategori 3: Lille merværdi sammenlignet med standardbehandling/ andre behandlinger
- Kategori 4: Ingen merværdi sammenlignet med standardbehandling/ andre behandlinger
- Kategori 5: Negativ merværdi sammenlignet med standardbehandling/ andre behandlinger
- Kategori 6: Ikke-dokumenterbar merværdi sammenlignet med standardbehandling/ andre behandlinger

...

Med protokolleret ibrugtagning menes, at et lægemiddel indføres som behandlingstilbud til en patientgruppe, men at dets anvendelse skal monitoreres for en periode, indtil der er tilstrækkelige data til, at Medicinrådet kan vurdere, om lægemidlet fortsat skal anvendes. Det kan f.eks. være relevant, hvis der i de foreliggende studier er en dokumenteret merværdi af et nyt lægemiddel, men hvor rådet kan være i tvivl om, hvorvidt merværdien kan genfindes i dansk klinisk sammenhæng.

...

Såfremt Medicinrådet ikke finder forholdet mellem pris og merværdi rimeligt, og rådet heller ikke kan forsvare at tage lægemidlet i brug til en snævrere indikation eller en mindre patientpopulation, meddeler rådet, at lægemidlet ikke kan anbefales som standardbehandling. Virksomheder har altid mulighed for at indmelde en ny pris eller fremsende ny dokumentation.

...

5. Nye lægemidler som ikke anbefales som standardbehandling

Medicinrådet vil ikke ændre ved, at det fortsat er op til den enkelte læge at vurdere, hvilken medicin der er bedst for den enkelte patient. Lægen skal dog have en faglig begrundelse for at afvige fra Medicinrådets faglige anbefalinger. ”

I et brev af 6. oktober 2016 til Danske Regioner anførte Sundheds- og Ældreministeriet bl.a.:

”Danske Regioner har i henvendelse af den 31. august 2016 orienteret ministeriet om etableringen af Medicinrådet, herunder at rådet efter Danske Regioners vurdering kan etableres efter sundhedslovens § 78, stk. 3. Sidstnævnte bestemmelse indeholder hjemmel til, at regionsrådene kan samarbejde med hinanden, herunder i selskabsform, om løsning af fælles opgaver efter afsnit VI, XI, XII og XIV-XVI i sundhedsloven og opgaver, der har tilknytning hertil, og som regionsrådet lovligt kan varetage efter anden lovgivning samt påtage sig dermed forbundne udgifter.

Til oplysning af sagen har Danske Regioner vedlagt 5 bilag til henvendelsen i form af et udkast til kommissorium for rådet, et udkast til forretningsorden for rådet, et notat udarbejdet af Kammeradvokaten vedr. oprettelse og organisering af rådet, et budget for rådet samt et notat om modellen for vurdering af lægemidler.

...

I vurderingen af, hvorvidt Medicinrådet kan etableres efter sundhedslovens § 78, stk. 3, er det afgørende, om der overlades myndighedskompetence fra regionerne til Medicinrådet. I bekræftende fald skal ministeren for sundhed og forebyggelse (i dag sundheds- og ældreministeren) ansøges om godkendelse, jf. § 11, stk. 3 i BEK nr. 841 af 7. januar 2014.

Ministeriet er i nærværende sag enig med Danske Regioner og Kammeradvokaten i, at mest taler for, at der ikke overlades myndighedskompetence fra regionerne til Medicinrådet, hvorfor Medicinrådet vurderes at kunne etableres efter § 78, stk. 3 i sundhedsloven. Ministeriet lægger i den forbindelse særligt vægt på, at Medicinrådet ikke vurderes at træffe forvaltningsretlige afgørelser ved vurdering af nye lægemidler, idet rådets udstedelse af anbefalinger/behandlingsvejledninger ikke vil være juridisk bindende over for regionerne. Det er således i princippet op til den enkelte region at afgøre, hvorledes anbefalingerne/behandlingsvejledninger skal implementeres.

Angående sammensætningen af Medicinrådet skal ministeriet gøre indsigelse i for hold til Lægemiddelstyrelsens og Sundhedsstyrelsens rolle, jf. det fremsendte udkast til kommissorium for Medicinrådet. I kommissoriet lægges der op til, at de to styrelser hver især udpeger en repræsentant, som vil være fuldgældigt medlem af Medicinrådet. Henset til styrelsernes myndighedsopgaver og rådets beslutningsstruktur vurderer ministeriet det mest hensigtsmæssigt, at styrelsernes repræsentanter ikke er fuldgældige medlemmer. Ministeriet stiller således styrelsernes repræsentanter til rådighed som observatører på linje med repræsentanten fra Lægemiddelindustriforeningen (Lif).

Sundheds- og ældreministeren forventer desuden, at Medicinrådet i sit arbejde respekterer de 7 prioriteringsprincipper for sygehuslægemidler, som samtlige partier i Folketinget har givet deres tilslutning til.

Afslutningsvis skal ministeriet anmode om at blive orienteret i det omfang, det besluttes, at Medicinrådet påtager sig opgaver udover de, der er listet under pkt. 2.1.1 – 2.1.4 i kommissoriet, som ligger i naturlig forlængelse af disse eller medicinanvendelsen i øvrigt.

..."

I kommissoriet for Medicinrådet er bl.a. anført:

" ...

2. Formål

- 2.1 Medicinrådets formål og opgaver er følgende inden for rammerne af Danske Regioners formål, jf. § 2 i vedtægterne for Danske Regioner:
 - 2.1.1 Medicinrådets formål er inden for rammerne af sundhedslovens § 78, stk. 3, til de fem danske regioner at anbefale ibrugtagning af ny medicin og nye indikationsudvidelser. Herudover skal Medicinrådet udstede behandlingsvejledninger og rekommandationer for anvendelsen af medicin på sygehusene og i primærsektoren.
 - 2.1.2 Medicinrådet skal sikre hurtig og ensartet ibrugtagning af ny medicin på tværs af sygehuse og regioner.
 - 2.1.3 Medicinrådet foretager en faglig vurdering af medicinen, således at medicinanvendelse på både sygehusene og i visse tilfælde også primærsektoren er til gavn for patienterne.
 - 2.1.4 Medicinrådet anbefaler ibrugtagning og udsteder rekommandationer på baggrund af prisforhandlinger og udbud foretaget af Amgros I/S, hvorved regionerne sikres, at sygehusenes indkøb af lægemidler sker på de bedst mulige vilkår. Medicinrådets anbefalinger er ikke bindende for regionerne.
 - 2.1.5 Medicinrådet kan påtage sig yderligere opgaver udover dem listet under pkt. 2.1.1 - 2.1.4, som ligger i naturlig forlængelse af disse eller medicinanvendelse i øvrigt.
 - 2.1.6 Medicinrådet arbejder i henhold til Folketingets syv principper for prioriteringer inden for sygehusmedicin.

..."

I Medicinrådets endelige vurdering af 16. august 2017 af klinisk merværdi af lægemidlet Spinraza, med det generiske navn nusinersen, til spinal muskelatrofi, var bl.a. anført:

" ...

Medicinrådets konklusion

Medicinrådet vurderer, at nusinersen til spinal muskelatrofi (SMA) giver en:

- Vigtig klinisk merværdi hos **præsymptomatiske børn** med dokumenteret 5q SMA gendefekt og 2-3 *SMN2*-kopier (meget lav evidenskvalitet)
- Vigtig klinisk merværdi for patienter med **SMA type I** (lav evidenskvalitet)
- Lille klinisk merværdi for patienter med **SMA type II** (meget lav evidenskvalitet)
- Ikkedokumenterbar klinisk merværdi for patienter med **SMA type III** (ingen evidens)

...”

Som baggrund for vurderingen var om spinal muskelatrofi bl.a. anført (noter udeladt):

”5q Spinal muskelatrofi (SMA) er en sjælden genetisk neurodegenerativ sygdom, der manifesterer sig ved progressiv kraftnedsættelse og muskelatrofi. En gendefekt i Survival motorneuron (*SMN*)1 reducerer mængden af funktionelt *SMN*-protein, hvilket resulterer i degeneration af motorneuroner i rygmarv og hjernestamme og efterfølgende muskelatrofi [1]. Spinal muskelatrofi kan i sjældne tilfælde være forårsaget af mutationer andre steder i genomet. SMA relateret til mutationer i *SMN1* benævnes derfor 5q spinal muskelatrofi (her blot forkortet SMA). SMA er den hyppigste genetisk betingede årsag til dødsfald blandt spædbørn [2]. Arvegangen er autosomal recessiv, og incidensen i Skandinavien er estimeret til 1 ud af 6000 fødte børn [1].

...

SMA underinddeles i fem forskellige former (SMA type 0-IV) ud fra antal *SMN2* kopier, symptomernes sværhedsgrad, tidspunkt for manifestation og barnets motoriske udvikling (Tabel 1) [3,4]. Jo færre antal kopier af *SMN2* desto tidligere debuterer symptomerne, og jo alvorligere er sygdommen.

Tabel 1. Klinisk klassifikation af spinal muskelatrofi [3].

Type	Population	Årlige tilfælde	Symptomdebut (alder) [3]	Karakteristika/ udviklingstrin [3]	Gennemsnitlig overlevelse [3,4]	Antal SMN2-kopier [5]
Type 0	-	-	Medfødt	Ingen	< 6 måneder	1
Type I	-	1-2	0-6 måneder	Sidder aldrig	< 2 år	2-3
Type II	90 personer (pr. august 2014) [6]	Ca. 2 [6]	6-18 måneder	Går aldrig	> 2 år-kan have op til normal levetid	3-4
Type III	70 personer (pr. januar 2010) [7]	1-2 [7]	> 18 måneder	Heterogent symptom mønster. Står og går, men bliver permanente kørestolsbrugere inden eller i tidlig voksenalder	Normal levetid forventes	4
Type IV	-	-	Voksenalder	Går i voksenalderen	Normal levetid forventes	4-5

...

Behandlingen, der tilbydes i Danmark, svarer ifølge fagudvalget og hovedtræk til internationale standarder. Patienter med SMA type I tilbydes som udgangspunkt ikke invasiv ventilationsbehandling i Danmark. Der er dog få SMA type I patienter, der efter forældrenes ønske får invasiv respiration.

..."

I "Medicinrådets anbefaling vedrørende nusinersen som standardbehandling til patienter med 5q spinal muskelatrofi" af 12. oktober 2017, var bl.a. anført:

"Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet **anbefaler ikke** nusinersen som standardbehandling til patienter med 5q spinal muskelatrofi.

Ansøger har valgt at sætte prisen for nusinersen urimeligt højt, og Rådet finder ikke, at der er proportionalitet mellem ansøgers prisforlangende og effekten af at tage nusinersen i brug som standardbehandling til SMA.

I lyset af fagudvalgets vurdering og ved anvendelse af alvorlighedsprincippet anbefaler Medicinrådet imidlertid, at der kan iværksættes protokolleret ibrugtagning af nusinersen til præsymptomatiske spædbørn samt til patienter med SMA type I med to SMN2-kopier og symptomdebut før seks måneders alderen, som ikke er i permanent respira-

tionsbehandling. Denne beslutning er truffet under iagttagelse af Folke-tingets syv principper for prioritering af sygehuslægemidler.

Hvis ansøger vælger at sænke sit prisforlangende, er Medicinrådet indstillet på, at vurdere om en eventuel ny pris står i rimeligt forhold til lægemidlets kliniske værdi.

...

Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, at nusinersen til spinal muskelatrofi (SMA) giver:

- Vigtig klinisk merværdi for patienter med **SMA type I**, da ét studie har vist, at nusinersen har effekt både på dødelighed og motorisk funktion.
- Vigtig klinisk merværdi hos **præsymptomatiske børn** med dokumenteret 5q SMA gendefekt, som tyder på SMA type I eller II, da ét studie har vist, at nusinersen ser ud til at forebygge eller forsinke udviklingen af sygdommen.
- Lille klinisk merværdi for patienter med **SMA type II**, da ét studie indtil nu kun har vist en lille effekt på motoriske funktioner.
- Ikkedokumenterbar klinisk merværdi for patienter med **SMA type III**, da der ikke findes studier, som kan vise, om nusinersen har effekt for denne gruppe patienter.

Der er ikke aktuelt viden om effekten af nusinersen udover 13-15 måneders behandling.

...

Tilslutning til anbefalingen

Anbefalingen har tilslutning fra 13 rådsmedlemmer. Danske Patienters to rådsmedlemmer har afgivet dissens vedrørende type II og III, som vil fremgå af referatet fra mødet.

..."

I baggrundsmaterialet til anbefalingen var bl.a. anført:

" ...

5 Resume af økonomisk beslutningsgrundlag

Formålet med den sundhedsøkonomiske analyse er at vurdere de inkrementale omkostninger forbundet med behandling af SMA i form af

de gennemsnitlige meromkostninger pr. patient og de samlede budgetkonsekvenser for regionerne ved ibrugtagning af nusinersen (Spinraza) som standardbehandling.

Amgros' vurdering tager udgangspunkt i dokumentationen indsendt af ansøger. Det antages i den økonomiske analyse, at for nuværende er ca. 80 patienter kandidater til behandling af den ansøgte indikation. I analysen sammenlignes behandling med Spinraza i kombination med Best Supportive Care (BSC) over en tidshorisont på 15 måneder.

I analysen, som Amgros mener er mest sandsynlig, er meromkostningerne per patient for Spinraza for 15 måneder, sammenlignet med BSC: 4.384.558 DKK med nuværende listepriis for Spinraza.

Amgros vurderer, at budgetkonsekvenserne for sygehusene ved at tage Spinraza i brug til behandling af SMA, vil være ca. 65 millioner DKK per år om 1 år, og ca. 250 millioner per år om 5 år baseret på listepriisen. Budgetkonsekvenserne fordeler sig således for populationerne:

- Ca. 10 millioner DKK per år i år 1 og ca. 20 millioner DKK per år i år 5 for SMA type I
- Ca. 20 millioner DKK per år i år 1 og ca. 110 millioner DKK per år i år 5 for SMA type II
- Ca. 25 millioner DKK per år i år 1 og 120 millioner DKK per år i år 5 for SMA type III.

Behandling med Spinraza er forbundet med meget høje meromkostninger sammenlignet med "Best Supportive Care" (BSC) til behandling af SMA type I, SMA type II og SMA type III. Dette skyldes næsten udelukkende lægemiddelomkostningerne for Spinraza. De øvrige omkostninger, som er forbundet med standardbehandlingen af SMA, påvirker ikke meromkostningerne per patient i den valgte model. Overordnet er usikkerheden omkring meromkostningerne for Spinraza relativt lav.

...

6 Overvejelser omkring alvorlighed/forsigtighed

Medicinrådet har fundet alvorlighedsprincippet særdeles relevant i forhold til vurderingen af nusinersen, men selv en fuld anvendelse af dette perspektiv på problemstillingen har ikke kunnet legitimere den meget høje pris.

..."

I mindretalsudtalelsen fra Danske Patienters medlemmer af Medicinrådet var bl.a. anført:

" ...

Alene af den grund, at spinal muskelatrofi er en irreversibel fremadskridende invaliderende sygdom, gør sygdommen til en alvorlig sygdom, hvor de almindelige kriterier for ibrugtagning af lægemidler bør fraviges.

Dette forhold forstærkes af, at sygdommen debuterer hos Behandlingsafdelingen. Det forstærkes yderligere af at sygdommen for visse grupper indebærer en markant risiko for tidlig død. Og dette forstærkes yderligere af, at der indtil nu ikke forefindes nogen anden form for behandling.

...

Ud fra en samlet vurdering anbefaler Danske Patienter en ibrugtagning til spinal muskelatrofi type 1 og som minimum en individuel anvendelse hos patienter med spinal muskelatrofi type 2 og 3 særligt hos patienter med stor risiko for kraftig forværring eller livstruende tilstand. Der anbefales en systematisk indsamling af erfaring med patienter, der behandles."

Ingen af sagsøgerne er omfattet af den gruppe af patienter med SMA type I, for hvilke Medicinrådet anbefalede iværksættelse af protokolleret ibrugtagning af nusinersen.

I brev af 15. december 2017 fra formanden og næstformanden for lægemiddelrådet i Region 1 til hospitalsdirektionerne, var bl.a. anført:

" ...

Følgende typer af Lægemidler er omfattet af kravet om lægemiddelrådet i regionens faglige vurdering inden ibrugtagning:

- Alle *genuint nye lægemidler*, som endnu ikke har været vurderet af Medicinrådet (tidligere KRIS eller RADS), samt alle lægemidler, som har fået afslag som standardbehandling i Medicinrådet (tidligere KRIS eller RADS).

..."

I en "FAQ (frequently asked questions)" om "Fremgangsmåde for ibrugtagning af nye lægemidler Region 1 hospitaler", som der var henvist til i brevet, var bl.a. anført:

Information om fremgangsmåden		
	Spørgsmål	Svar
1.	Hvilke lægemidler er omfattet af kravet om en faglig vurdering fra lægemiddelrådet i regionen inden ibrugtagning?	- Alle <i>genuint nye</i> lægemidler (se spørgsmål 2), som er optaget i medicinpriser.dk efter d. 1. februar 2016 og som endnu ikke er vurderet i Medicinrådet¹, samt lægemidler som har fået afslag som standardbehandling til den pågældende indikation fra Medicinrådet - Særligt <i>dyre analoge lægemidler</i>, som findes på apotekets liste over lægemidler, som er omfattet af fremgangsmåden (se spørgsmål 4) - Alle <i>nye eksperimentelle lægemidler</i> (lægemidler, som <i>ikke</i> er blevet markedsført i Danmark endnu).
	...	...
8.	Er der mulighed for at søge om en vurdering af ibrugtagning til enkelt personer med et af lægemiddel afvist som standardbehandling af Medicinrådet?	Lægemidler, som har fået afslag i forhold til standardbehandling i Medicinrådet, kan i enkelte tilfælde undtagesvist tages i brug. Dette sker i samarbejde mellem den behandlingsansvarlige læge og dennes ledelse/direktion. Ansøgningen om at anvende et lægemiddel, som er blevet afvist som standardbehandling i Medicinrådet skal sendes til lægemiddelrådet i regionen.
9.	Hvem kan søge lægemiddelrådet i regionen om en vurdering af ibrugtagning?	Vurderingen af ibrugtagningen af et genuint nyt lægemiddel eller et eksperimentelt lægemiddel skal søges af afdelingsledelser med accept fra ansøgers direktion.
	...	...
14.	Hvordan håndteres eventuelle faglige uenigheder om vurderingen?	Lægemiddelrådet i regionens formandskab vil drøfte vurderingen i dialog med ansøger samt ansøgers ledelse og direktion med henblik på at finde en løsning.

..."

I tidsrummet mellem den 19. februar og den 18. marts 2018 anmeldte forældre til sagsøgerne deres børns skader til Patienterstatningen, idet de overordnet set anførte, at deres børn burde have været behandlet med Spinraza, og at sådan behandling kunne have forbedret børnenes tilstand eller i det mindste forhindret fortsat forringelse af deres tilstand.

Beskrivelserne af behandlingsskaderne i anmeldelserne er gengivet nedenfor for hver af sagsøgerne.

I et notat fra Danske Regioner af 23. marts 2018 er det bl.a. anført:

”Vejledning om anvendelse af lægemidler som ikke er anbefalet af Medicinrådet

1. Baggrund

Regionerne har efter forudgående dialog med bl.a. sundhedsfaglige organisationer og patientorganisationer oprettet Medicinrådet den 1. januar 2017. Medicinrådet vurderer, om nye lægemidler (herunder nye indikationer) skal anbefales eller ikke anbefales ibrugtaget som standardbehandling på landets sygehuse. Med standardbehandling menes, at et lægemiddel indføres som et alment anvendt behandlingstilbud på landets sygehuse til en patientgruppe.

Medicinrådets anbefaling hviler som udgangspunkt på følgende grundlag:

- Medicinrådets kategorisering af lægemidlers merværdi
- Amgros omkostningsanalyse
- Folketingets 7 principper for prioritering af sygehuslægemidler

Medicinrådet kan i særlige tilfælde inddrage alvorlighed i beslutningsgrundlaget. Dette kan ske ud fra en betragtning om, at et sygdomsområde med stor alvorlighed for patienterne kan give anledning til accept af større omkostninger forbundet med et nyt lægemiddel, end det er tilfældet for sygdomsområder med mindre alvorlighed for patienterne. Medicinrådet kan også i særlige tilfælde lægge vægt på et forsigtighedsprincip, som skal sikre, at en uforholdsmæssig stor andel af sundhedsvæsenets økonomiske midler ikke allokeres i retning af en medicinsk behandling.

2. Individuel behandling

Når et nyt lægemiddel til behandling af en indikation ikke opfylder Medicinrådets faglige kriterier og/eller, at lægemidlets dokumenterede merværdi for patienterne af lægemidlet ikke er stor nok til at retfærdig-

gøre et lægemiddels omkostninger sammenlignet med eksisterende standardbehandling, så anbefaler Medicinrådet, at lægemidlet ikke bør anvendes som et generelt standardtilbud på hospitalerne.

Oprettelsen af Medicinrådet ændrer imidlertid ikke ved, at der kan være tilfælde, hvor den behandlingsansvarlige læge efter at have foretaget en samlet vurdering af en patient vurderer, at der er særlige forhold, som gør, at man bør overveje at tilbyde patienten lægemidlet. Vurderingen skal altid forelægges for den ledende overlæge og på en lægekonsference, hvor flere speciallæger vurderer fordele og ulemper ved behandlingen for den konkrete patient. Før beslutningen effektueres, bør sagen forelægges for et fagligt forum fx den regionale lægemiddelkomite, som hurtigst muligt og inden for 14 dage vurderer, om man kan anbefale ibrugtagning. Det er herefter op til den behandlingsansvarlige læge at træffe endelig beslutning om behandling. Eventuel ibrugtagning af lægemidlet skal altid foregå protokolleret og med systematisk opfølgning.

..."

I forbindelse med Patienterstatningens behandling af anmeldelserne af patientskaderne skrev Behandlingssted 1 den 4. april 2018 bl.a. således til Patienterstatningen:

"Svar fra Behandlingssted 1 vedr. henvendelse om behandling med Spinraza/nusinersen

Patienterstatningen har i forbindelse med modtagelse af 6 anmeldelser af patientskader hos børn med SMA type I og type II i brev af 8. marts 2018 anmodet Behandlingssted 1 om at redegøre for en række spørgsmål i relation til ordination af Spinraza/nusinersen. Spørgsmålene har været drøftet med Behandlingsafdelingen og Hospital 1s svar følger nedenfor.

Spørgsmål:

1. I hvilket omfang Region 1 har pålagt Behandlingssted 1 at følge Medicinrådets anbefalinger, herunder om Region 1 har overladt skønnet af, hvornår Spinraza kan ordineres til en konkret patient, til Behandlingssted 1?
2. Det bedes oplyst, om der ved vurdering af, om der kan ordineres Spinraza, skelnes mellem:
 - Præsymptomatiske børn med dokumenteret 5q SMA
 - SMA type I

- SMA type 2
 - Børn der bruger respirator
3. Det bedes endeligt beskrevet, om nogle SMA-børn - men ikke andre har fået ordineret Spinraza i forbindelse med behandling på Hospital 1?

Besvarelse:

Ad. 1)

Medicinrådet er et uafhængigt råd. Rådets formål er at udarbejde anbefalinger for anvendelse af sygehusmedicin ud fra medicinens effekt og betydning af behandlingen sammenholdt med prisen for lægemidlet. Anbefalingerne er nødvendige for, at regionerne kan prioritere, hvad pengene i sundhedsvæsenet skal bruges til på tværs af diagnoser - både sjældne, hyppige, alvorlige og mindre alvorlige - samt sikre ensartet behandling på tværs af regionerne. Medicinrådets anbefalinger vedtages på baggrund af faglige vurderinger af et fagudvalg, der er nedsat til specifikt at vurdere det pågældende behandlingsområde.

Medicinrådet har på baggrund af den høje pris og den begrænsede evidens for, hvilke patienter, der vil have gavn af behandlingen. anbefalet, at Spinraza ikke anvendes som standardbehandling til spinal muskeltrofi.

På Behandlingssted 1 ligger ansvaret for beslutning om, hvornår Spinraza kan ordineres til konkrete patienter, i klinikledelsen i Behandlingsafdelingen. Det er afgørende for Behandlingsafdelingen, at patienter sættes i behandling på baggrund af konkret viden. Klinikken følger derfor Medicinrådets anbefaling og tilbyder kun behandlingen til de patienter, som opfylder de kriterier, Medicinrådet har lagt til grund for at bruge alvorlighedsprincippet.

Ad. 2)

Ved vurdering af, om der kan ordineres Spinraza henvises således til Medicinrådets anbefalinger herunder alvorlighedsprincippet. Ifølge alvorlighedsprincippet skal det være muligt - ud fra konkret lægefaglig vurdering - at behandle med lægemidler, som er afvist til standardbehandling.

I lyset af fagudvalgets vurdering og ved anvendelse af alvorlighedsprincippet anbefaler Medicinrådet således, at der kan iværksættes protokolleret ibrugtagning af nusinersen til præsymptomatiske spædbørn samt til patienter mcd SMA type I med 2-3 SMN2-kopier og symptom-

debut for seksmånedsalderen, som ikke er i permanent respirationsbehandling.

Ad. 3)

Tre børn har forud for Medicinrådets anbefalinger fået ordineret Spinraza på Behandlingssted 1 efter vurdering i den Regionale Lægemiddelkomite.

..."

Den 9. april 2018 skrev Behandlingssted 3 bl.a. således til Patienterstatningen:

" ...

Patienterstatningen har i brev af 8. marts 2018 (jeres sagsnummer 18-2048) stillet en række spørgsmål til Behandlingssted 3 vedr. Spinraza behandling af børn med SMA.

Hermed følger svar fra ledende overlæge på Behandlingsafdelingen på Behandlingssted 3, Overlæge 1:

"Beslutningsproces vedrørende behandling med Spinraza

Der foreligger ikke et formelt pålæg fra Region 3, om at Behandlingssted 3 skal følge Medicinrådets anbefalinger - heller ikke vedr. Spinraza.

I stedet gælder det, at ny dyr behandling inden for Medicinrådets anbefalinger refunderes centralt i Region 3, mens ny dyr behandling uden for Medicinrådets anbefalinger skal finansieres af Behandlingssted 3 selv.

I det aktuelle tilfælde med Spinraza har sagsbehandlingen internt på Behandlingssted 3 været, at de behandlende læger i det neuropædiatriske team, efter både en intern drøftelse og drøftelser med de øvrige behandlende læger på Behandlingssted 1 og Behandlingssted 2, har anmodet afdelingsledelsen (AL) på Behandlingsafdelingen om mulighed for at kunne tilbyde behandling til 3 børn med SMA type 1 og 7 børn med SMA type 2.

Afdelingsledelsen imødekom anmodningen om behandling af de 3 med SMA type 1, da denne patientgruppe ligger inden for Medicinrådets anbefalinger.

For de 7 børn med SMA type 2 spurgte AL ind til, om der var individuelle forhold hos nogle eller alle de 7 børn, som talte for behandling - ud over grundsygdommen i sig selv. Hvilket der ikke var.

Herefter videresendtes anmodningerne til Hospitalsledelsen, der besluttede af give afslag på dem. Dette blev 13/12 meddelt de behandlende læger.

Afdelingsledelsen har i forløbet været i kontakt med de øvrige børneafdelingsledelser på Behandlingssted 1 og Behandlingssted 2 m.h.p. at sikre, at der gives et ens tilbud om Spinraza-behandling nationalt.

Der følges aktuelt ingen børn med præsymptomatisk SMA, men de ville i givet fald være tilbudt behandlingen i.h.t. Medicinrådets anbefalinger.

I henhold til behandlingsprotokollen for Spinraza (vedhæftet) tilbydes behandlingen ikke til børn i respirator, og de behandlende læger har derfor ikke anmodet om behandling til denne patientgruppe.

Under alle omstændigheder er det ikke den enkelte behandlende læge, som på egen hånd tager stilling til, om en given ny dyr behandling skal iværksættes eller ej."

Den 18. april 2018 skrev Behandlingssted 2 bl.a. således til Patienterstatningen:

" ...

Direktionen på Behandlingssted 2 er blevet bedt om at redegøre for i hvilket omfang Region 2 har pålagt Behandlingssted 2 at følge Medicinrådets anbefalinger, herunder om skønnet af ordinering af Spinraza er overladt til Behandlingssted 2.

Det er den enkelte læge på afdelingen, som foretager den indledningsvis vurdering af, hvorvidt der er grundlag for at ordinere Spinraza. I den forbindelse har Medicinrådets anbefalinger afgørende betydning.

På linje med Medicinrådets anbefalinger skelnes der i Region 2 mellem hvorvidt der er tale om SMA type I (herunder præsymptomatiske børn med dokumenteret 5q SMA) eller SMA type II. I Region 2 findes der ikke SMA-børn i kategorien "børn, der bruger respirator".

I relation til SMA type I har Medicinrådet givet grønt lys for anvendelsen af Spinraza i behandlingen. Et barn har i tråd med denne anbefaling

modtaget 4 doser spinraza efter forskrifterne og med protokollerede undersøgelser af færdighedsniveau.

Medicinrådet anbefaler fortsat ikke Spinraza til behandling af SMA type II. Behandlingssted 2 følger overordnet anbefalingen og har ikke udskrevet Spinraza til denne patientgruppe, men afventer møde i Medicinrådet den 17. april og 24. april.

Behandlingssted 2 er blevet bedt om at beskrive om nogle SMA-børn, men ikke andre, har fået ordineret Spinraza i forbindelse med behandling på Behandlingssted 2. Der har været opmærksomhed på det syvende princip om adgang til behandling, og herunder at det skal være muligt at tage højde for patientens individuelle behov. I gruppen af SMA type II børn har den behandlende læge efter konkrete vurderinger ikke fundet, at der var særlige individuelle behov, som kunne begrunde en udskrivelse af Spinraza. Det er anført, at det er yderst vanskeligt for den enkelte læge at forudsige effekt endsige udvælge enkelte patienter, der kunne have særligt gavn af behandlingen, medmindre der foreligger forudgående konkret viden om medicinens effekt i relation til pågældende patient.

På nuværende tidspunkt findes der ikke på Behandlingssted 2 eller i Region 2 retningslinjer for ansøgning om brug af eksperimentelle eller ikke anbefalede lægemidler, men som følge af denne sag er der sat fokus på behovet herfor, hvorfor der nu er igangsat et arbejde i regi af lægemiddelrådet i regionen.”

I et brev af 9. april 2018 til formanden for Danske Regioner skrev sundhedsministeren bl.a.:

”Som jeg - har du sikkert også fulgt debatten om Medicinrådets arbejde med Spinraza tæt. Som du ved, er det min klare opfattelse, at Medicinrådets anbefalinger er et vigtigt redskab til at prioritere sygehusmedicin og giver det offentlige sygehusvæsen forbedrede forhandlingsmuligheder, der skal være med til at sikre, at vi bruger pengene, hvor de gør mest gavn.

Da Folketingets partier alle blev enige om de 7 principper for prioritering af sygehuslægemidler, var det netop for at give klare retningslinjer for, hvordan regionerne og Medicinrådet kan træffe beslutning om prioritering.

Med principperne satte vi i Folketinget hegnspæle, der tog højde for alle danske patienter. Et af principperne er *adgang til behandling*, der giver

mulighed for at afvige fra den anbefalede standardbehandling, hvis det efter den lægefaglige vurdering er det bedste valg for patienten. Alle 7 principper blev nøje udvalgt for at vægte de mange vigtige hensyn, der skal tages højde for i en prioriteringssituation, og principperne skal ses i sammenhæng. Danske Regioner bakkede i sin tid op om både dette og de øvrige principper.

Det er i forbindelse med Medicinrådets afvisning af Spinraza som standardbehandling og den efterfølgende samrådsdebat i Folketinget, samt fra det fortrolige bilag, der dannede grundlag for samrådet, blevet klart, at flere læger ikke finder, at de reelt har mulighed for at afvige fra standardbehandlingen.

Danske Regioner har i forbindelse med sagen om Spinraza oplyst mig, at regionerne har fastlagt en procedure for, hvordan læger kan afvige fra standardbehandling. Det synes imidlertid nødvendigt, at Danske Regioner styrker denne procedure i dialog med lægerne, og at regionerne også i den lokale dialog med lægerne sikrer fokus på præmissen om, at de konkrete vurderinger og beslutning om fravigelser fra anbefalingerne skal løses på regionalt niveau.”

Folketinget Sundheds- og Ældreudvalg stillede den 6. april 2018 følgende spørgsmål nr. 809 (Alm. del) til sundhedsministeren:

” ...

”Ministeren bedes i forlængelse af besvarelse af samrådsspm. BE, BF og BG vedr. Medicinrådet og prioritering af sygehusmedicin, oplyse, hvor mange gange læger har benyttet sig af den frie ordinationsret til at ordinere præparatet Spinraza til en patient, selvom præparatet ikke er godkendt af Medicinrådet til standardbehandling”

...

I sin besvarelse af spørgsmålet den 4. maj 2018 anførte sundhedsministeren bl.a. følgende:

” ...

Danske Regioner oplyser den 2. maj 2018 følgende:

”Det kan oplyses, at der aktuelt er ... patienter i behandling på Hospital X samt en patient i behandling på Behandlingssted Y. Herudover har der indtil for ganske nyligt været ... i behandling på Behandlingssted Z,

mens forældrene til ... patienter har takket nej til behandling på Behandlingssted Y. Fælles for disse patienter er, at de har opfyldt Medicinrådets kriterier for protokolleret behandling med Spinraza."

I dag er der således ingen læger, der har ordineret Spinraza til patienter, der ikke falder inden for Medicinrådets kriterier for protokolleret behandling.

Danske Regioner oplyser videre, at:

"Danske Regioner er i dialog med regionerne om, hvordan de lokalt kan sikre, at der foretages konkrete vurderinger og beslutninger om fravigelser fra Medicinrådets anbefalinger om ibrugtagning af nye sygehuslægemidler, herunder Spinraza.

I de tilfælde, hvor den behandlende læge efter at have foretaget en samlet vurdering af en patient vurderer, at der er særlige forhold, som gør, at man bør overveje at tilbyde patienten lægemidlet, er regionerne enige om følgende procedure. Vurderingen skal altid forelægges for den ledende overlæge og på en lægekonsference, hvor flere speciallæger vurderer fordele og ulemper ved behandlingen for den konkrete patient. Før beslutningen effektueres, bør sagen forelægges for et fagligt forum fx den regionale lægemiddelkomité, om man kan anbefale ibrugtagning. Det er herefter op til den behandlingsansvarlige læge at træffe endelig beslutning om behandling.

Det indebærer, at behandling med Spinraza kan anvendes i særlige tilfælde til de patientgrupper, hvor lægemidlet ikke er anbefalet af Medicinrådet. Det er imidlertid ikke det samme som, at en læge kan anvende lægemidlet blot fordi, at vedkommende læge mener, at et lægemiddel burde være standardbehandling til patienter med spinal muskeltrofi. Hvis patienter sættes i behandling med den begrundelse, så bliver medicinen gjort til standardbehandling udenom Medicinrådet, og etableringen af Medicinrådet vil ikke have nogen effekt."

Den 30. maj 2018 offentliggjorde Medicinrådet en ny anbefaling vedrørende nusinersen som standardbehandling til patienter med 5q spinal muskeltrofi.

I anbefalingen er bl.a. anført:

" ...

Medicinrådets anbefaling

Medicinrådet finder, at der fortsat ikke er et rimeligt forhold mellem den dokumenterede effekt af nusinersen og ansøgers prisforlangende.

Under hensyntagen til alvorlighedsprincippet, finder Medicinrådet imidlertid, at der er grundlag for at anbefale ibrugtagning af nusinersen som mulig standardbehandling til følgende patientpopulationer, hvor der er evidens for effekt:

- 1) Præsymptomatiske spædbørn med 2-3 SMN2-kopier
- 2) Børn med SMA type 1, som opfylder følgende kriterier:
 - 2-3 SMN2-kopier
 - alder ved symptomdebut maks. 6 måneder
 - ikke er i permanent respirationsbehandling ved opstart af behandling
- 3) Børn med SMA type 2, som opfylder følgende kriterier:
 - mindst 2 SMN2-kopier
 - alder ved symptomdebut maks. 24 måneder
 - maks. 4 års sygdomsvarighed ved opstart af behandling
 - ingen assisteret ventilation udover natligt behov og mere end 95 % SaO₂ uden assisteret ventilation.

Nusinersen kan ikke anbefales som mulig standardbehandling til patienter med SMA generelt.

...

Sundhedsfaglig vurdering

Medicinrådet vurderer, at nusinersen til spinal muskelatrofi (SMA) giver:

- Vigtig klinisk merværdi for patienter med **SMA type 1**
- Vigtig klinisk merværdi hos **præsymptomatiske børn** med dokumenteret 5q SMA gendefekt, som tyder på SMA type 1 eller 2
- Lille klinisk merværdi for patienter med **SMA type 2**. En ny gennemgang af publicerede data indikerer dog, at nusinersen har en større klinisk merværdi hos patienter med SMA type 2, der starter behandlingen tidligt (< 24 måneder efter symptomdebut) sammenlignet med patienter, der starter behandlingen sent (> 44 måneder efter symptomdebut)
- Ikkedokumenterbar klinisk merværdi for patienter med **SMA type 3**.

Der er ikke aktuelt publicerede data om effekten af nusinersen udover 13-15 måneders behandling.

..."

Ved afgørelser af 20. august 2018 meddelte Patienterstatningen alle sagsøgerne, at de ikke var berettiget til erstatning efter lov om klage- og erstatningsadgang

inden for sundhedsvæsenet, og at betingelserne for yde erstatning efter lovens § 20, stk. 1, nr. 1 - 4, ikke var opfyldt.

Afgørelserne var – bortset fra individuelle sagsfremstillinger og et individuelt afsnit i hver af begrundelserne – enslydende, herunder bl.a. således:

" ...

Afgørelse

... er ikke berettiget til erstatning efter lov om klage- og erstatningsadgang inden for sundhedsvæsenet.

Betingelserne for at yde erstatning efter lovens § 20, stk. 1, nr. 1, er ikke opfyldt.

Vi lægger til grund, at den behandlende læge i denne sag reelt ikke havde mulighed for at ordinere lægemidlet Spinraza, fordi lægemidlet var for dyrt set i forhold til den dokumenterede effekt. Der foreligger derfor en såkaldt ressourcebegrænsning. Når en manglende behandling skyldes, at der ikke er ressourcer til at fortage den, er der allerede af den grund ikke mulighed for erstatning. Under afsnittene 1-5 og under "Begrundelse" nedenfor giver vi en redegørelse for, hvordan vi er kommet frem til dette resultat.

...

Begrundelse

Det er et politisk/økonomisk spørgsmål, om de økonomiske midler, der er til rådighed i regionen, skal bruges på fx patientbehandlinger, nye lokaler eller medicin. Det er også en politisk/økonomisk beslutning, om der skal være adgang til ny dyr medicin.

Efter ordlyden af KEL § 20, stk. 1, nr. 1, den ovenstående Højesteretsdom fra 2008 og forarbejderne til patientforsikringsloven, nu KEL, er der ikke er noget erstatningsansvar efter KEL § 20, stk. 1, nr. 1, hvis den behandlende læge ikke havde Spinraza til rådighed; altså at han eller hun ikke havde adgang til at ordinere lægemidlet.

Patienterstatningen lægger på baggrund af svarene fra de tre hospitaler til Patienterstatningen, sundhedsminister A's brev af 9. april 2018 til formanden for Danske Regioner, den nævnte mail og SMS, samt Danske Regioners nye kommende procedu- reregler til grund, at de behandlende læger i disse 7 sager ikke havde adgang til at ordinere Spinraza. Selv om den nye procedure bliver ind-

ført, vil den enkelte læge heller ikke uden videre kunne ordinere Spinraza.

...

Der foreligger således en ressourcebegrænsning. Som der er redegjort for ovenfor, betyder det, at der ikke er erstatningsansvar, uanset om der måtte foreligge en patientskade.

Patienterstatningen har ikke taget stilling til, om der foreligger en patientskade i nogen af de anmeldte sager, altså om patienterne er blevet yderligere svækkede, fordi de ikke har fået Spinraza. Det skyldes, at vi efter fast administrativ praksis ikke realitetsbehandler en sag, hvis vi må lægge til grund, at der manglede ressourcer til den ønskede behandling.

..."

De individuelle sagsfremstillinger og de individuelle afsnit fra begrundelserne er gengivet nedenfor for hver af sagsøgerne.

I tidsrummet mellem den 27. august og den 17. september 2018 blev Patienterstatningens afgørelser for alle sagsøgernes vedkommende påklaget til Ankenævnet for Patienterstatningen, idet det overordnet set fortsat blev anført, at børnene burde have været behandlet med Spinraza, og at sådan behandling kunne forbedre deres tilstand eller i det mindste forhindre fortsat forringelse af deres tilstand. Endvidere blev det anført, at Patienterstatningen ikke i afgørelserne havde inddraget og taget stilling til de enkelte børns særlige forhold, som i den forbindelse blev fremhævet.

Den 7. februar 2019 besvarede sundhedsministeren Folketingets Sundheds- og Ældreudvalgs spørgsmål nr. 259 (Alm. del), således:

" ...

Spørgsmål nr. 259:

"Ministeren bedes kommentere henvendelsen vedr. lægemidlet Spinraza, SUU alm. del – bilag 105, og oplyse, hvorvidt hver enkelt region efterlever de 7 principper for prioritering inden for sygehusmedicin, særligt det 7. princip om lige adgang til behandling."

Svar:

I SUU alm. del - bilag 105 anføres det, at Medicinrådet ikke tager højde for, at Spinraza er til en meget lille patientgruppe, og at der ikke findes

alternativ behandling til patienterne med Spinal Muskel Atrofi (SMA). Det foreslås derfor, at der indføres et 8. princip, der sikrer små patientgrupper behandling, hvis der ikke findes anden tilgængelig behandling.

Danske Regioner og Medicinrådets formænd har på møde i efteråret 2018 oplyst til sundhedsordførerne, at Medicinrådet vurderer lægemidler ens, f.eks. ift. antallet af patienter, om patienterne har et behandlingstilbud i forvejen, eller om der er tale om et lægemiddel til behandling af en sjælden sygdom.

De syv principper, som et enigt Folketinget vedtog i 2016, skal sikre, at borgere kan få den nødvendige behandling, når der forelægger data og evidens for, at behandlingen virker.

Danske Regioner har endvidere over for ministeriet bekræftet, at lægemidler til sjældne sygdomme har samme mulighed som øvrige lægemidler ift. at opnå status af standardbehandling.

Et 8. princip, som foreslået i bilaget, vil indebære risiko for behandling med lægemidler, hvor effekten for patienterne ikke er dokumenteret.

Det synes jeg ikke, er den rette vej at gå. Der skal være evidens for lægemidlets virkning, inden vi tager det i brug.

Danske Regioner har endvidere oplyst, at det er deres opfattelse, at det med forslaget om at indføre et 8. princip:

"... ikke [vil] give mening at have et Medicinråd, hvis det ikke også har mulighed for at forholde sig til lægemidler til små patientgrupper/sjældne sygdomme. Uagtet, at det er sjældne sygdomme, så vil man med en manglende mulighed for vurdering af disse lægemidler kunne risikere, at der tages dyre lægemidler i brug med ingen eller meget lille merværdi. Lægemidler som i visse tilfælde kan koste sundhedsvæsenet store millionbeløb. Ressourcerne til at finansiere disse lægemidler skal i givet fald skulle findes andre steder i sundhedsvæsenet, og samlet set kan man risikere at opnå mindre sundhed for pengene."

I spørgsmålet anmodes jeg også om at oplyse, hvorvidt hver enkelt region efterlever de 7 principper for prioritering inden for sygehusmedicin, særligt det 7. princip om lige adgang til behandling. Ministeriet har i den forbindelse indhentet bidrag fra Danske Regioner, som har oplyst følgende:

"Medicinrådet blev oprettet pr. 1. januar 2017. Medicinrådet udsteder uafhængige anbefalinger til regionerne om ibrugtagning og anvendelse af medicin."

Når Medicinrådets anbefalinger foreligger fremsendes de til regionerne, som sikrer, at anbefalingerne implementeres.

Folketinget har i forbindelse med oprettelsen af Medicinrådet opstillet 7 overordnede principper for prioritering af sygehusmedicin.

Regionerne er enige i, at det skal være muligt ud fra en konkret lægefaglig vurdering at ordinere et lægemiddel, som ikke er anbefalet af Medicinrådet (princip 7). Regionerne har derfor i fællesskab udarbejdet en vejledning for anvendelse af ikke anbefalede lægemidler. Det følger af vejledningen, at såfremt lægen vurderer, at der er særlige forhold, som gør, at man bør overveje at tilbyde patienten et lægemiddel, så skal lægen forelægge vurderingen på en lægekonference, hvor flere speciallæger vurderer fordele og ulemper ved behandlingen af den konkrete patient. Før beslutningen effektueres, bør sagen forelægges for et fagligt forum fx den regionale lægemiddelkomité, som inden for 14 dage vurderer, om man kan anbefale ibrugtagning. Det er herefter op til den behandlingsansvarlige læge at træffe endelig beslutning om behandling.

Det indebærer, at behandling med eksempelvis Spinraza kan anvendes i særlige tilfælde til de patientgrupper, hvor lægemidlet ikke er anbefalet af Medicinrådet. Det er imidlertid ikke det samme som, at en læge kan anvende lægemidlet blot fordi, at vedkommende læge mener, at et lægemiddel burde være standardbehandling til patienter med spinal muskelatrofi. Hvis patienter sættes i behandling med den begrundelse, så bliver medicinen gjort til standardbehandling udenom Medicinrådet, og etableringen af Medicinrådet vil ikke have nogen effekt."

Danske Regioner har endvidere om de enkelte regioners efterlevelse af de 7 principper oplyst:

"De enkelte regioner efterlever det 7. princip.

Region 1:

Anbefalinger om ibrugtagning af et lægemiddel uden for standardbehandling varetages af Region 1's _____ på Hospitalerne. _____ som hører under den regionale lægemiddelkomité, blev nedsat for at skabe en mere ensartet og fagligt funderet tilgang til ibrugtagning af nye lægemidler samt sikre en rationel behandling af patienterne, herunder mulighed for afvigelse fra Medicinrådets anbefalinger.

Vurderinger om ibrugtagning af lægemidler uden for standardbehandling udarbejdes med faglig bistand af Klinisk Farmakologisk Afdeling på Bispebjerg Hospital.

Region 3

Det er det faglige miljø, der sammen med afdelingens ledelse drøfter og træffer beslutning om behandlingen inden for eget råderum. Der søges faglig rådgivning fra Klinisk Farmakologisk Afdeling. Den faglige indstilling, den faglige rådgivning og de økonomiske konsekvenser forelægges Hospitalsledelsen.

Region 2

Ansøgninger om ibrugtagning af lægemidler, som ikke er anbefalet som standardbehandling, rettes til formanden for Det Regionale Lægemiddelråd. Formanden træffer afgørelse efter at have konsulteret Afdeling for Klinisk Farmakologi samt relevante specialister inden for fagområdet. I tvivlstilfælde eller ved ønske om en second opinion, forelægges sagen for koncernledelsen.

Region 4

Sygehusafdelingerne har mulighed for at ansøge om ibrugtagning af et lægemiddel til en konkret patient, selvom lægemidlet er afoist som standardbehandling af Medicinrådet. Ansøgerens argumenter for ibrugtagning af lægemidlet vurderes af formandskabet i Den regionale Lægemiddelkomité og af Klinisk Farmakologisk Enhed i Region 4. Svaret foreligger inden for 48 timer. På kræftområdet afholder en af næstformændene i Den regionale Lægemiddelkomité desuden faste møder med onkologerne i regionen med henblik på kvalificeret ibrugtagning af lægemidler, som afviger fra standardbehandling.

Region 5

I de særlige tilfælde, hvor den behandlingsansvarlige læge samlet vurderer, at det bør overvejes at igangsætte en patient med et lægemiddel, der ikke er godkendt til standardbehandling og som har et betydeligt omkostningspotentiale, følges den fælles regionale vejledning om anvendelse af lægemidler, som ikke er anbefalet af Medicinrådet. Region 5 er der sikres en procedure i overensstemmelse hermed og inden for den angivne tidsramme."

Jeg kan supplerende om efterlevelsen af det 7. princip henvise til mit svar på SUU alm. del spm. 1167 den 24. september 2018."

Ved afgørelser af 1. april 2019 blev Patienterstatningens afgørelser stadfæstet af Ankenævnet for Patienterstatningen.

I begrundelserne for alle afgørelserne var anført:

" ...

Ankenævnet for Patienterstatningen er enig i, at ... ikke har ret til erstatning efter § 20, stk. 1, nr. 1, i klage- og erstatningsloven.

Ankenævnet henviser til den begrundelse, Patienterstatningen har givet i sin afgørelse.

Ankenævnet kan supplerende tilføje, at alle Folketingets partier i marts 2016 blev enige om 7 overordnede principper for prioritering af sygehusmedicin. Formålet med vedtagelsen af principperne var ifølge pressemeddelelse af 3. april 2016 at sætte rammen for prioriteringer inden for sygehusmedicin. Der blev ved vedtagelsen af principperne ikke taget stilling til, om eventuel manglende overholdelse af principperne skulle medføre kompensation i form af erstatning eller godtgørelse.

Det afgørende er herefter, om det må antages, at en erfaren specialist på det pågældende område under de i øvrigt givne forhold ville have handlet anderledes ved undersøgelse, behandling eller lignende, jf. klage- og erstatnings lovens § 20, stk. 1, nr. 1. Ved vurderingen skal der tages hensyn til de ydre forhold, der rent faktisk stod til rådighed i den konkrete behandlingssituation. Klage- og erstatningslovens sigte er ikke at pålægge sygehusene en optimal standard uafhængigt af tilgængelige ressourcer. Hvis ydre forhold i form af ressourcemæssige begrænsninger eller prioriteringer har været årsagen til, at en patient ikke er blevet tilbudt en bestemt behandling, er der ikke et erstatningsansvar efter § 20, stk. 1, nr. 1. I dette tilfælde er der nemlig ikke grundlag for at antage, at den erfarne specialist kunne have handlet anderledes i samme situation.

Ankenævnet vurderer på baggrund af sagens oplysninger, at det må lægges til grund, at den manglende behandling med Spinraza var betinget af ressourcemæssige forhold.

Da patientens bopælsregion ifølge sundhedslovens § 235 afholder udgifterne til sygehusbehandling, må det desuden lægges til grund, at en erfaren specialist ikke ville have undersøgt muligheden for at få ... henvist til behandling med Spinraza i en anden region.

Dermed er betingelserne for at yde erstatning i klage- og erstatningsloven ikke opfyldt.

Afslutningsvis kan det oplyses, at det ligger udenfor ankenævnets kompetence at efterprøve Medicinrådets vurdering. Det ligger ligeledes udenfor ankenævnets kompetence at vurdere sammensætningen af Medicinrådet, herunder medlemmernes habilitet.

Med disse bemærkninger kan ankenævnet stadfæste Patienterstatningens afgørelse af 20. august 2018.

..."

I nogle af begrundelserne var der tillige henvist til individuelle forhold for den enkelte klager. Disse dele af begrundelserne gengives nedenfor.

Særligt vedrørende Sagsøger 1

I anmeldelsen til Patienterstatningen af 3. marts 2018 var Sagsøger 1s behandlingsskade beskrevet således:

" ...

Sagsøger 1 fik i 2010 konstateret muskelsvind (Spinal Muskelastrosfi type II). På dette tidspunkt var der ingen behandling for selve muskelsvindsdagnosen men alene fysio- og ergo terapi.

Spinraza blev d. 23 dec. 2016 godkendt i USA (FDA godkendt) og d. 24 april godkendt i Europa (EMA godkendt) til alle typer af SMA (det er forskelligt om SMA kategoriseres som type I, II og III. De behandlende læger på Behandlingssted 2 ventede således kun på den sidste godkendelse i Danmark og har af flere omgange tydeligt sagt at organiseringen ift. medicingivningen var på plads og kun manglede den danske godkendelse. Medicinrådet afviste d. 12 okt. 2017 og igen d. 30 januar 2018 at godkende Spinraza med begrundelsen at effekten ikke var høj nok ift. prisen. Vi har af to omgange henvendt os til Behandlingssted 2 ift. at igangsætte behandlingen med henvisning til det 7 princip for Medicinrådets retningslinjer. Begge gange er blevet afvist med henvisning til Medicinrådets beslutning fra d. 12 okt. 2017. Sagsøger 1 har som følge af sin Muskelsvind mistet betydelig hovedkontrol det sidste ½ år, har svært ved at løfte hans arme og spille eks. IPAD, haft luftvejsinfektioner og betydelige psykiske men som følge af at der ikke er råd til i Danmark at behandle hans muskelsvind.

..."

Sagsfremstillingen i Patienterstatningens afgørelse vedrørende Sagsøger 1 var sålydende:

"Sagsfremstilling

Du har 3. marts 2018 på vegne af din søn Sagsøger 1 søgt erstatning, fordi du mener at Sagsøger 1s helbredstilstand er blevet forringet som følge af, at han ikke er blevet sat i behandling med lægemidlet Spinraza.

Spørgsmålet om, hvorvidt der foreligger en patientskade, når en patient ikke får ordineret ny og dyr medicin, er en ny sagstype i Patienterstatningen. Vi betragter derfor sagen som principiel sammen med de øvrige erstatningssager om manglende ordination af Spinraza.

Vi har på baggrund af din anmeldelse, journalmaterialet og sagens øvrige oplysninger lagt følgende til grund for afgørelsen:

Det fremgår af sagens oplysninger, at Sagsøger 1 i 2010 fik stillet diagnosen Spinal Muskelatrofi Type 2. Desuden lider Sagsøger 1 af en stofskiftelidelse.

Du har i anmeldelsen oplyst, at lægerne på Behandlingssted 2 afventede at lægemidlet Spinraza blev godkendt i Danmark, men at Medicinrådet 12. oktober 2017 afviste at godkende Spinraza med begrundelsen, at effekten ikke var høj nok i forhold til prisen. I har efterfølgende to gange med henvisning til det 7. princip for Medicinrådets retningslinjer henvendt jer til Behandlingssted 2 med henblik på at få Sagsøger 1 i behandling med Spinraza. I har fået afvisning fra hospitalet med henvisning til Medicinrådets beslutning.

Det fremgår desuden af anmeldelsen, at du mener, at Sagsøger 1 som følge af den manglende behandling med Spinraza har mistet betydelig hovedkontrol det sidste halve år, at han har svært ved at løfte sine arme, at han har luftvejsinfektioner og betydelige psykiske men som følge af, at der ikke er råd til i Danmark at behandle hans sygdom.

Ved kontrol på Behandlingssted 2 21. september 2017 fremgår det, at I venter spændt på, hvornår Sagsøger 1 kan komme i behandling med Spinraza.

Af journalnotat fra Behandlingssted 2 2. november 2017 fremgår følgende:

"Sagsøger 1 har spinal muskelatrofi type 2 med 3SMN2 kopier. Far ringer i anledning af, at Spinraza ikke er blevet godkendt af medicinrådet, grundet manglende proportionalitet mellem Biogen's pris og effekt iff. at bruge medicinen som standardbehandling til spinal muskelatrofi. Far spørger om der i Sagsøger 1's tilfælde er mulighed for at lave en undtagelse. Medicinrådet har anbefalet, at der bliver iværksat protokolleret ibrugtagning af medicinen til præsomatiske spædbarn samt til patienter med SMA type 1 med 2 SMN2 kopier og symptomdebut før 6 mdr. alderen, som ikke er permanent respiratorbehandling.

Sagsøger 1 ligger ikke i den gruppe og vil derfor ikke, ifølge medicinrådets anbefalinger, være kandidat til Spinraza aktuelt."

Den 9. januar 2018 rettede du igen henvendelse til hospitalet vedrørende muligheden for at sætte Sagsøger 1 i behandling med Spinraza. Du oplyste, at Sagsøger 1 skulle have fjernet de stænger, som han havde fået indopereret i ryggen, da de havde løsnet sig, og du ønskede, at man forud for ny rygoperation skulle sætte Sagsøger 1 i behandling med Spinraza for at gøre Sagsøger 1 så god som muligt rent muskulært. Hospitalets læger vurderede dog, at der ikke var belæg for, at behandling med Spinraza kunne ændre på operationsforløbet. Hospitalets holdning var således den samme som beskrevet i notat af 2. november 2017.

14. februar 2018 har den specialeansvarlige overlæge på Hospital 2 foretaget en vurdering af, om Sagsøger 1 burde blive sat i behandling med Spinraza forud for ny rygoperation. Han har noteret følgende i journalen:

1. "Spinraza har ikke en sådan dokumenteret effekt, at vi på nogen måde kan forvente, at hans bevægeevne og muskelfylde vil styrkes, hvis vi starter behandling på nuværende tidspunkt og følger den op frem til kommende rygoperation den 20.03.18
2. Spinraza kan muligvis have en forhindrende effekt på tab af færdigheder. Her tænkes specielt på finmotorik af hænderne, i så fald kræver dette en langvarig medicinsk behandling.
3. Der er en mindre men ikke fuldstændig negligerbar risiko for introduktion af bakterier til rygmarsvæskeshulrummet. Dette kan ses ved lumbalpunktur. Der er som bekendt infektion i vævet omkring metal, og der har også været osteomyelittegn. Han er i forebyggende medicinsk behandling. Hvis bakterier indføres, drejer det sig formentlig om delvist resistente stafylokokker, som kan være vanskelige at behandle i det tilfælde, at de vokser i rygmarsvæsken og dermed også i hjernens hulrumssystem. Det vurderes, at risiko herfor og mulig mindre effekt på kort sigt af Spinraza ikke står mål med hinanden.
4. Behandling med Spinraza bør vente med opstart til operation er veloverstået og infektionen er på plads. Man kan da på langt sigt håbe på en mindre forebyggende effekt på tab af håndfunktion, men en mere tydelig effekt kan ikke stilles i udsigt med den viden vi har nu.
5. Med henblik på ernæring kan bedring af ernæringstatus op til operation evt. erhverves ved intravenøs ernæring i en tidsperiode. Dette skal i så fald drøftes med Behandlingssted 1."

Behandlingssted 2 har desuden sendt bemærkninger til sagen. Det fremgår heraf, at Medicinrådet gav tilladelse til ibrugtagning af Spinraza til præsymptomatiske spædbørn og til børn med SMA type I med 2 SMN kopier og med behandlingsstart før 6 måneders alderen. Sagsøger 1 var ikke i denne kategori og kunne derfor ikke komme i behandling. Det oplyses også, at Patienter med SMA type II har en langsomt fremadskridende forværring af deres motoriske handicap, som Spinraza i bedste fald kan bremse udviklingen af, når behandlingen gives over mindst 6 måneder. Hvis Sagsøger 1 for 6 måneder siden var blevet sat i behandling med Spinraza kunne man i bedste fald forvente en bevaring af funktionsniveau - opbremsning i tab af hovedkontrol og tab af håndfunktion. Det er udelukkende ved at behandle, at man kan få et billede af, om Spinraza vil kunne have en effekt på det enkelte barn.

..."

Det individuelle afsnit i Patienterstatningens begrundelse vedrørende Sagsøger 1 var sålydende:

"Dette fremgår også af den konkrete sag, hvor det af journalnotat fra 2. november 2017 fremgår, at Sagsøger 1 ikke er kandidat til Spinraza, da Sagsøger 1 ikke hører under en af de grupper, som Medicinrådet anbefaler medicinen til."

Den 12. november 2018 indgav overlæge Vidne 1 ansøgning om ibrugtagning af Spinraza udenfor Medicinrådets anbefalinger til Sagsøger 1, hvori bl.a. var anført:

" ...

er 9 år gammel. Han har haft symptomer på muskelsvækkelse i 8½år. Han kan anvende hænder til joystick og tastatur. Han er tynd. Får udelukkende mad peroralt. Får tilstrækkeligt med kalorier med tilskud af Nutrini. Skal spise hyppigt grundet sin MCAD. Har ikke kunstig ernæringsvej. Vejrtrækningen er udelukkende diaphragmatisk. Han anvender CPAP system om natten. Desuden hostemaskine. Har netop været igennem en lungebetændelse med atalektase. Sidder i kørestol og skal liftes/bæres ved transfer. Han har i kørestolen bælte om livet. Det kan løsnes så han kan hælde kroppen lidt frem. Holder hovedet i den forbindelse. Der er kontrakturer af led. Han er opereret for skoliose med indlæggelse af stav. Sidst korrigeret i september 2018.

Grundet alder er ikke inkluderet i den gruppe af børn der kan gives standard behandling med Spinraza. Den foreliggende litte-

ratur tyder ikke på at behandlingseffekt kan opnås. Men undersøgelser er også sparsomme når det gælder den lidt ældre aldersgruppe (fra 4 til 12 år). Se vedlagte generelle beskrivelse af nuværende viden om effekt af Spinraza.

Der søges fordi har en genetisk betinget sygdom hvor der ingen kausal behandling er. Udelukkende understøttende behandling. Hans handicap vil progrediere over de kommende år og meget tyder på at han inden for 5 – 10 skal tilkobles respirator permanent for at overleve.

Den tvivl om effekt der måtte være skal komme ham til gode. Der tænkes her specielt på et opnå at standse forværring.

Behandling skal ophøre efter 2 år hvis ikke effekt kan dokumenteres med nedennævnte redskaber.

Der dokumenteres effekt med HFMSE skalaen for neuromuskulære lidelser. Der registreres ved start og hver ½ år.

Ansøgning sker i samråd med neuroteamet ved Behandlingssted 4 Endvidere er der løbende korrespondance med Behandlingssted 3 og Behandlingssted 1 vedrørende monitorering. Der anvendes fælles redskaber og fælles database. Sagsøger 1 følges endvidere i Behandlingsafdeling 1 og Behandlingsafdeling 2 og data herfra vil blive registreret løbende og indgår i endelig beslutning om eventuelt ophør om 2 år.

..."

I lægemiddelrådet i Region 2s besvarelse af ansøgningen den 10. december 2018 var bl.a. anført:

"...

Desværre kan lægemiddelrådet i regionen IKKE på det foreliggende grundlag imødekomme ansøgningen.

Begrundelsen er, at Sagsøger 1 efter det oplyste er 9 år og har haft symptomer på muskelsvind siden ca 6 mdrs alderen dvs i ca. 8,5 år. Der foreligger ikke publicerede videnskabelige data, der tyder på, at behandlingen kan have effekt så længe efter sygdomsdebut.

Netop sygdomsvarigheden har været diskuteret endog meget grundigt i Medicinrådet, som finder, at behandlingen skal startes senest 4 år efter symptomdebut.

Der er ikke i ansøgningen anført nogen begrundelse, der kunne tilsige, at behandlingen kunne have effekt i netop tilfælde. Der er derfor ikke grundlag for i dette tilfælde at fravige de almindelige retningslinjer.

..."

I begrundelsen for Ankenævnets for Patienterstatningens afgørelse af 1. april 2019 var for Sagsøger 1 særligt anført:

" ...

Af sagens akter fremgår det, at Behandlingssted 2 i 2017 afventede Medicinrådets godkendelse af Spinraza. Da Medicinrådet den 12. oktober 2017 anbefalede, at Spinraza ikke skulle bruges som standardbehandling til patienter med SMA type 2, meddelte Behandlingssted 2 ifølge journalnotat af 2. november 2017, at Sagsøger 1 ikke var kandidat til behandling med Spinraza. Værge 1 bad den 9. januar 2018 hospitalet om endnu en gang at overveje muligheden for at behandle Sagsøger 1 med Spinraza. Ifølge journalnotat af 23. januar 2018 gav hospitalet dog endnu en gang afslag af de grunde, der tidligere var blevet oplyst.

Det fremgår videre af sagens akter, at Behandlingssted 2 den 12. november 2018 søgte lægemiddelrådet i regionen om tilladelse til at behandle Sagsøger 1 med Spinraza udenfor Medicinrådets anbefalinger. Dette blev afslået af lægemiddelrådet i regionen ved skrivelse af 10. december 2018.

..."

Særligt vedrørende Sagsøger 2

I anmeldelsen til Patienterstatningen af 3. marts 2018 var Sagsøger 2s behandlingsskade beskrevet således:

" ...

Sagsøger 2 fik sin diagnose da hun var kun 1 år gammel. Den gang var der ikke medicinsk behandling der kunne afhjælpe hendes situation.

Der er der nu, Spinraza, men det må ikke tages i brug i Danmark, grundet det er for dyrt. Medicinen er godkendt, altså ikke længere test medicin.

Neurolog Behandlingssted 2 Vidne 1 har givet os på skrift at Sagsøger 2 er helt klart målgruppen for medicinen. Han har ligeledes givet os afslag på at han ikke har mulighed for at tage medicinen i brug. MEN at hun ikke får behandling betyder at hun stille og roligt taber kræfter. Hun taber førlighed og livsvigtige funktioner. Blandt andet har Sagsøger 2 i løbet af halvandet år fået en ryg scoliose på 98 grader, grundet hendes sygdom, og skal her 13/3 opereres herfor.

..."

Sagsfremstillingen i Patienterstatningens afgørelse vedrørende Sagsøger 2 var sålydende:

" ...

Du har 3. marts 2018 på vegne af din datter Sagsøger 2 søgt erstatning, fordi du mener at Sagsøger 2s helbredstilstand er blevet forringet som følge af, at hun ikke er blevet sat i behandling med lægemidlet Spinraza.

Spørgsmålet om, hvorvidt der foreligger en patientskade, når en patient ikke får ordineret ny og dyr medicin, er en ny sagstype i Patienterstatningen. Vi betragter derfor sagen som principiel sammen med de øvrige erstatningssager om manglende ordination af Spinraza.

Vi har på baggrund af din anmeldelse, journalmaterialet og sagens øvrige oplysninger lagt følgende til grund for afgørelsen:

Det fremgår af sagens oplysninger, at Sagsøger 2 er diagnosticeret med Spinal Muskelatrofi type 2.

Du har i anmeldelsen anført, at en neurolog fra Behandlingssted 2 på skrift har oplyst, at Sagsøger 2 helt klart er målgruppen for Spinraza, men at han ikke har mulighed for at tage medicinen i brug. Du mener, at det har betydet, at Sagsøger 2 taber kræfter i form af førlighed og livsvigtige funktioner.

Af journalnotat fra ortopædkirurgisk afdeling på Behandlingssted 2 21. juni 2017 fremgår det, at røntgenbilleder af Sagsøger 2s ryg i liggende stilling viser en skoliose (skæv ryg) på 30 grader og i siddende

på 60 grader. Det fremgår desuden, at Sagsøger 2 var kandidat til behandling med Spinraza. Da man var usikker på, hvilken effekt medicinen ville få, besluttede man at være tilbageholdende med kirurgisk aktivitet.

Ved kontrol på Neurologisk afdeling 25. september 2017 oplyser du, at du er bekymret for Sagsøger 2s ryg. Du har talt med andre forældre til børn med muskelsvind, hvor rygoperation er kommet lidt for sent. Det fremgår desuden af journalen, at man afstod fra undersøgelse, da der var megen tale omkring forestående behandling med Spinraza. Man formodede at Spinraza ville blive godkendt i meget nær fremtid til behandlingsstart før årsskiftet.

I journalnotat fra 30. oktober 2017 er det oplyst, at I var meget chokerede over, at Spinraza ikke var blevet godkendt, og at I var interesserede i at finde ud af, om Sagsøger 2 skulle have sin ryg opereret, når nu medicinsk behandling ikke var muligt foreløbigt.

22. november 2017 var Sagsøger 2 igen til kontrol på ortopædkirurgisk afdeling på Behandlingssted 2, hvoraf følgende fremgår:

"Møder til kontrol. Desværre er der ikke rigtig sket yderligere i sagen. Kører lidt i ring, idet der ikke er truffet beslutning om hendes rygoperation i lyset af, at der stadigvæk er en procedure, der kører omkring medicinsk behandling. Jeg mener ikke, at hoftekirurgi og for den sags skyld knækirurgi er på tale før skoliosen og dermed også bækkenet i en omfang er rettet op.

Vil være yderst tvivlende overfor om en medicinsk behandling vil kunne ændre på de allerede eksisterende deformiteter. Kan derfor være usikker på om der er grund til at afvente en afgørelse i sagen om medicinsk behandling før man tager stilling til den rygkirurgisk intervention."

Ved kontrol 20. december 2017 fremgår det, at Sagsøger 2 har fået tiltagende problemer med smerter i ryggen, og at hun nu heller ikke kan ride længere. En røntgenundersøgelse i siddende stilling viste skoliose på knap 80 grader. Man ville stile imod en rygoperation og derefter en hofteoperation.

Det fremgår videre af journalen, at I ønskede en second opinion og blev henvist til Behandlingssted 3.

..."

Det individuelle afsnit i Patienterstatningens begrundelse vedrørende Sagsøger 2 var sålydende:

" ...

Dette fremgår også af den konkrete sag, hvor du har forklaret, at en læge på Behandlingssted 2 har oplyst dig om, at Sagsøger 2 er i målgruppen for Spinraza, men at han ikke har mulighed for at tage medicinen i brug.

..."

Den 12. november 2018 indgav overlæge Vidne 1 ansøgning om ibrugtagning af Spinraza udenfor Medicinrådets anbefalinger til Sagsøger 2, hvori bl.a. var anført:

" ...

Sagsøger 2 er 11 år gammel. Han har haft symptomer på muskelsvækkelse i 10 år. Han kan anvende hænder og løfte arme med overarme til vandret. Vejrtrækningen er delvist diaphragmatisk. Hun anvender ikke respirationsudstyr fast, dog CPAP når hun falder i søvn. Men kan have behov for CPAP og hostemaskine ved forkølelser. Sidder i kørestol og liftes ved transfer. Kan ikke længere stå sikkert. Holder krop og hoved i kørestol. Der er begyndende kontrakturer af led. Sagsøger 2 er opereret for skoliose med indlæggelse af stav i 2018.

Grundet alder er Sagsøger 2 ikke inkluderet i den gruppe af børn der kan gives standard behandling med Spinraza. Den foreliggende litteratur tyder ikke på at behandlingseffekt kan opnås. Men undersøgelser er også sparsomme når det gælder den lidt ældre aldersgruppe (fra 4 til 12 år). Se vedlagte generelle beskrivelse af nuværende viden om effekt af Spinraza.

Der søges fordi Sagsøger 2 har en genetisk betinget sygdom hvor der ingen kausal behandling er. Udelukkende understøttende behandling. Hendes handicap vil progrediere langsomt over de kommende år.

Den tvivl om effekt der måtte være skal komme ham til gode. Der tænkes her specielt på at opnå at standse forværring.

Behandling skal ophøre efter 2 år hvis ikke effekt kan dokumenteres med nedennævnte redskaber.

Der dokumenteres effekt med HFMSE skalaen for neuromuskulære lidelser. Der registreres ved start og hvert ½ år.

Ansøgning sker i samråd med neuroteamet ved Behandlingssted 4. Endvidere er der løbende korrespondance med Behandlingssted 3 og Behandlingssted 1 vedrørende monitorering. Der anvendes fælles redskaber og fælles database. Sagsøger 2 følges endvidere i Behandlingsafdeling 1 og Behandlingsafdeling 2 og data herfra vil blive registreret løbende og indgår i endelig beslutning om eventuelt ophør om 2 år.

..."

I lægemiddelrådet i Region 2s besvarelse af ansøgningen den 10. december 2018 var bl.a. anført:

"...

Desværre kan lægemiddelrådet i regionen IKKE på det foreliggende grundlag imødekomme ansøgningen.

Sagsøger 2 er 11 år og det er i ansøgningen oplyst, at hun har haft symptomer siden 1-års alderen – dvs i ca. 10 år.

Der foreligger ikke publicerede videnskabelige data, der tyder på, at behandlingen kan have effekt så længe efter sygdomsdebut. Netop sygdomsvarigheden har været diskuteret endog meget grundigt i Medicinrådet, som finder, at behandlingen skal startes senest 4 år efter symptomdebut.

Der er ikke i ansøgningen anført nogen begrundelse, der kunne tilsige, at behandlingen kunne have effekt netop i Sagsøger 2s tilfælde. Der er derfor ikke grundlag for i dette tilfælde at fravige de almindelige retningslinjer.

..."

Særligt vedrørende Sagsøger 3

I anmeldelsen til Patienterstatningen af 27. februar 2018 var Sagsøger 3s behandlingsskade beskrevet således:

"...

Da Sagsøger 3s sygdom er (indtil videre) uhelbredelig, er alle skridt i den rigtige retning positive. Da vi hørte rygter om Spinraza i efteråret 2016 blev vi helt vilde. Endelig var der en behandling for Sagsøger 3. Da vi, i foråret 2017, var til kontrol på Behandlingssted 1 var beskeden fra Sagsøger 3s behandlende læge at "Hvis ikke Sagsøger 3 og hans bror skulle have Spinraza, så vidste han ikke hvem der så skulle have det". Derfor var en ekstra stort chok og en ekstra stor sorg, da vi fik at vide, at han ikke kunne få behandling på baggrund af Medicinrådet beslutning om at det ikke kunne anbefales som standardbehandling. Derfor har Sagsøger 3 ikke modtaget den behandling hans læge mener er den bedste for ham.

..."

Sagsfremstillingen i Patienterstatningens afgørelse vedrørende Sagsøger 3 var sålydende:

" ...

Du har 27. februar 2018 på vegne af din søn Sagsøger 3 søgt erstatning, fordi du mener, at Sagsøger 3s helbredstilstand er blevet forringet som følge af, at han ikke er blevet sat i behandling med lægemidlet Spinraza.

Spørgsmålet om, hvorvidt der foreligger en patientskade, når en patient ikke får ordineret ny og dyr medicin, er en ny sagstype i Patienterstatningen. Vi betragter derfor sagen som principiel sammen med de øvrige erstatningssager om manglende ordination af Spinraza.

Vi har på baggrund af din anmeldelse, journalmaterialet og sagens øvrige oplysninger lagt følgende til grund for afgørelsen:

Du har i anmeldelsen oplyst, at I i forbindelse med kontrol af Sagsøger 3 på Behandlingssted 1 i foråret 2017 fik oplyst af lægen, at hvis ikke Sagsøger 3 skulle have Spinraza, så vidste han ikke, hvem der skulle have det. I blev derfor overraskede, da I senere blev oplyst om, at Sagsøger 3 ikke kunne komme i behandling med Spinraza på grund af, at Medicinrådet havde besluttet, at Spinraza ikke kunne anbefales som standardbehandling.

Du mener derfor, at Sagsøger 3 ikke har modtaget den behandling, som lægen har ment ville være bedst for ham.

Du har oplyst, at Sagsøger 3s tilstand det sidste halve år er blevet forværret signifikant. At hans muskelstyrke er blevet svagere, at han har fået voldsomme kontrakturer i hofterne, hvilket betyder, at han ikke længe-

re kan ligge fladt på maven og stort set ikke kan sprede sine ben. Dette har blandt andet besværliggjort behandling i ståstativ. Desuden er hans rygmuskulatur blevet væsentligt svagere, hvilket har medført, at han har fået korset.

Det fremgår af sagens oplysninger, at Sagsøger 3 er diagnosticeret med Spinal muskelatrofi Type 2 og er kørestolsbruger.

Ved kontrol på Behandlingssted 1 23. april 2015 fremgår det af journalen, at Sagsøger 3 inden for det sidste halve års tid havde mistet muskelstyrke, men at han kunne strække knæene fint og havde god hoftebevægelighed. Der var ikke kontrakturer. Han havde ståstativ, som fungerede som gangvogn.

12. maj 2016 fremgår det af journalen, at Sagsøger 3 mangler 10 grader for at kunne strække begge knæ ud, at han havde god hovedkontrol, perfekt ryg og ikke klikkede i hofterne.

Ved kontrol 8. juni 2017 fremgår det af journalen, at Sagsøger 3s situation var stabil, og at man havde talt om behandling med Spinraza, hvor man forventede en afgørelse i efteråret. Ifølge journalen blev I 12. december 2017 oplyst om, at der i øjeblikket ikke var mulighed for at behandle med Spinraza i Danmark.

Den 23. januar 2018 ordinerede en læge på Behandlingssted 1 korset til Sagsøger 3, da han klagede over smerter i lænden, og man kunne konstatere, at han trak skævt i kørestolen og havde mange ensidige bevægelser

..."

Det individuelle afsnit i Patienterstatningens begrundelse vedrørende Sagsøger 3 var sålydende:

" ...

Dette fremgår også af den konkrete sag, hvor du har forklaret, at Hospital 1s begrundelse for ikke at sætte Sagsøger 3 i behandling med Spinraza var, at Medicinrådet havde besluttet, at Spinraza ikke kunne anbefales som standardbehandling.

..."

Det er oplyst, at Sagsøger 3 siden den 28. juni 2018 har været behandlet med Spinraza.

Særligt vedrørende Sagsøger 4

Den 7. marts 2017 indgav overlæge Vidne 2 ansøgning om tilladelse til brug af nusinersen som led i et early acces program, herunder til anvendelse på Sagsøger 4.

I formandskabets for den lægemiddelrådet i regionens besvarelse af ansøgningen den 17. marts 2017 var bl.a. anført:

" ...

Opsummering

Nusinersen (Spinraza) synes at have en effekt på udviklingen af muskelsvækkelse og spinal motoratrofi hos patienter med spinal motoratrofi. Effekten er bedst vist for patienter med tidlig debut SMA type 1, men meget tyder på, at der også er en effekt hos patienter med senere debut (SMA type 2-3). Der er ikke data der specifikt understøtter effekt ved meget fremskreden sygdom samt hos patienter i respiratorbehandling. ...

Vurdering

Formandskab for lægemiddelrådet i regionen vurderer, at der ikke er evidens for, at ... vil have gavn af behandling med nusinersen, **hvorfor opstart af behandling til ... ikke anbefales.**
..."

I anmeldelsen til Patienterstatningen af 3. marts 2018 var Sagsøger 4s skade – der var angivet som en lægemiddelskade - beskrevet således:

" ...

Der er kommet den første behandlende medicin på Spinal Muskel Atrofi (SMA), en genetisk muskelsvindssygdom. Den hedder Spinraza. Den kan stoppe progression og evt også give tabte kræfter tilbage. Og her lidt mere beskrivelse af forløbet:

I august 2016 stillede Biogen Spinraza gratis til rådighed i Europa til de hårdest ramte af Spinal Muskel atrofi, dvs type 1, indtil medicinen blev godkendt i Europa. Dette program hed Expanded Access Program (EAP).

...

Vi blev opmærksomme på dette program i august 2016, da Sagsøger 4 var 15 år, og kontaktede Sverige, hvor vi kunne se man allerede havde et testcenter for Spinraza. Overlægen fra det behandlende hospital svarede tilbage at han havde brug for en henvisning fra den danske behandlende neurolog for at gå videre med sagen. Sagsøger 4s neurolog svarede tilbage måneder senere, at det ville koste noget for indlæggelse i Sverige. Det tilbød vi så selv at ville betale, da vi var meget interesseret i at komme i gang (det ville koste max 200.000 kr på et år).

Sagsøger 4s neurolog, Vidne 2, Behandlingssted 1, ringede så igen nogle uger senere og sagde at nu ville man prøve at få EAP til Danmark og indstil- le Sagsøger 4 til behandling her, så kunne vores børn få behandlingen herhjemme. Det var vi selvfølgelig glade for, da det ville være tryggere med behandling i vante omgivelser uden at skulle køre mange hundre- de km. Så neurologen og klinikledelsen på Behandlingssted 1 lavede en indstilling til behandling under EAP for tre børn i Region 1 inklusiv Sagsøger 4, får udleveringstilladelse fra Lægemiddelstyrelsen til alle tre børn - og finder så ud af at der skal søges om godkendelse i Region 1s lægemiddelråd.

Alle forventede at behandlingen skulle i gang i marts 2017, men så sker det helt uventede, at lægemiddelrådet i regionen beslutter at kun den yngste dreng på 5 år i Region 1 kan få behandling, men ikke Sagsøger 4. Så lægemiddelrådet i regionen gik ind og vurderede individuelt hvem kunne få og hvem kunne ikke få medicinen af de tre børn.

Dvs tilbage i marts 2017 kunne Sagsøger 4 være påbegyndt gratis behandling i Danmark (eller tidligere i Sverige), Det kunne have betydet en besparelse for samfundet på mindst 5 x 630.000 kr for to børn (dvs ca 6-7 millioner kr), da de første fire behandlinger gives indenfor otte uger og derefter hver fjerde måned. Det var også en mulighed for tidlig behandling og for at teste systematisk uden omkostninger om den dyre medicin kunne hjælpe Sagsøger 4. Den tredje dreng der blev ansøgt om, en dreng på fem år, har oplevet tydelige funktionsforbedringer over de fem behandlinger han har fået under EAP'en (dvs den gratis behandling).

Nu har medicinrådet så truffet en beslutning og igen er beslutningen at børn med SMA type 1 med respirator ikke må få medicinen. Man kunne ligeså godt i det kriterie havde skrevet 'men ikke Sagsøger 4 + en anden pige' da der jo kun er to større børn med SMA type 1 med respirator i Danmark, og at dette allerede er kendt fra den tidligere afgørelse fra lægemiddelrådet i regionen.

..."

Sagsfremstillingen i Patienterstatningens afgørelse vedrørende Sagsøger 4 var sålydende:

"...

Du har 18. marts 2018 på vegne af din søn Sagsøger 4 søgt erstatning, fordi du mener at hans helbredstilstand er blevet forringet af, at han ikke er blevet sat i behandling med Lægemidlet Spinraza.

Spørgsmålet om, hvorvidt der foreligger en patientskade, når en patient ikke får ordineret ny og dyr medicin, er en ny sagstype i Patienterstatningen. Vi betragter derfor sagen som principiel sammen med de øvrige erstatningssager om manglende ordination af Spinraza.

Vi har på baggrund af din anmeldelse, journalmaterialet og sagens øvrige oplysninger lagt følgende til grund for afgørelsen:

Det fremgår af sagens oplysninger, at Sagsøger 4 er diagnosticeret med spinal muskelatrofi Type 1, og at han bruger respirator.

Du har i anmeldelsen oplyst, at Sagsøger 4 havde mulighed for, at komme i gratis behandling med Spinraza i Sverige under programmet Expanded Access Program, inden lægemidlet blev godkendt i Europa. I valgte dette tilbud fra, da Sagsøger 4s læge på Behandlingssted 1 oplyste, at han og klinikledelsen på Behandlingssted 1 ville indstille til, at behandlingen af Sagsøger 4 med Spinraza kunne foregå i Danmark. Region 1s Lægemeddelkomite gav imidlertid afslag herpå, og efterfølgende er Medicinrådet kommet med en anbefaling, som afviser Spinraza som standardbehandling blandt andet til børn med SMA type 1 med re- spirator.

Det fremgår af journalnotat fra Behandlingssted 1 14. december 2016, at du telefonisk rettede henvendelse til hospitalet vedrørende muligheden for at få Sagsøger 4 i behandling med nusinersen (Spinraza) i Sverige. Man forklarede, at der var tale om eksperimentel behandling, og at der var en række problemer i forhold til at skulle behandle Sagsøger 4 i Sverige. Man oplyste dig om, at man ville undersøge muligheden for at foretage behandlingen i Danmark.

Af journalnotat fra 21. marts 2017 fremgår det, at man på hospitalet har ansøgt både lægemiddelstyrelsen og den Regionale Lægemiddel Komite om tilladelse til at bruge Spinraza til behandlingen af Sagsøger 4. Lægemiddelstyrelsen havde givet tilladelse, men komiteen havde ikke givet tilladelse, og at man derfor ikke kunne tilbyde Sagsøger 4 behandling med Spinraza. Man oplyste endvidere, at dette kunne ændre sig, hvis behandlingen blev godkendt i Danmark.

Ved kontrol af Sagsøger 4 på Behandlingssted 1 10. oktober 2017 oplyste I, at I var meget interesserede i at få Sagsøger 4 i behandling med nusinersen (Spinraza).

I journalen er det 18. maj 2018 noteret, at brev fra en klinikchef på Behandlingssted 1, som svar på henvendelse vedrørende behandling med nusinersen (Spinraza), er sendt til jer.

Af en artikel fra ----- fremgår det, at Sagsøger 4 nu er i behandling med Spinraza i Behandlingsland 1.

..."

Det individuelle afsnit i Patienterstatningens begrundelse vedrørende Sagsøger 4 var sålydende:

" ...

Dette fremgår også af oplysningerne i Sagsøger 4s sag, hvor lægerne har ansøgt om muligheden for at sætte Sagsøger 4 i behandling med Spinraza, og at et endeligt afslag fra hospitalet blev givet i et brev fra klinikchefen. Der foreligger således en ressourcebegrænsning. Som der er redegjort for ovenfor, betyder det, at der ikke er erstatningsansvar, uanset om der måtte foreligge en patientskade.

..."

I begrundelsen for Ankenævnets for Patienterstatningens afgørelse af 1. april 2019 var for Sagsøger 4 særligt anført:

" ...

I anmeldelsen til Patienterstatningen er det anført, at Sagsøger 4 kunne have fået gratis behandling med Spinraza i Sverige under Expanded Access Program (EAP), hvor lægemiddelproducenten stillede medicinen gratis til rådighed. Det krævede dog en hen-

visning fra den danske behandlende neurolog. Familien tilbød selv at betale de øvrige omkostninger, der var forbundet med behandlingen. I samråd med den danske neurolog blev det i stedet besluttet, at man ville forsøge at få Sagsøger 4 behandlet under EAP i Danmark. Det var forventningen, at behandlingen kunne påbegyndes i marts 2017. Lægemiddelstyrelsen gav udleveringstilladelse til medicinen, men Region 1s Lægemiddelkomite gav afslag på at dække udgifterne.

Ankenævnet vurderer, at det var i overensstemmelse med, hvorledes en erfaren specialist på området ville have handlet, at man i samråd med familien besluttede at forsøge at få Sagsøger 4 behandlet i Danmark frem for at henvise ham til behandling i Sverige.

Ved vurderingen har ankenævnet lagt vægt på, at der ifølge journalnotat af 14. december 2016 ville være en række logistiske problemer med behandling i Sverige, ligesom der ville være ventetid på behandling i Sverige. Hertil kommer, at familien ville kunne få dækket alle udgifterne forbundet med behandlingen, og at behandling i Danmark ville være det mest skånsomme for Sagsøger 4.

Betingelserne for at yde erstatning for manglende henvisning til behandling i Sverige er dermed ikke opfyldt.

Ifølge journalnotat af 31. marts 2017 var det ikke muligt at behandle Sagsøger 4 med Spinraza, da Region 1s Lægemiddelkomite gav afslag på at dække udgifterne forbundet med behandlingen med Spinraza. Senere anbefalede Medicinrådet, at Spinraza ikke blev anvendt som standardbehandling til børn med SMA 1 med respirator. Behandlingssted 1 har oplyst, at beslutningen om behandling ligger hos klinikledelsen i Behandlingsafdelingen, og at ledelsen følger Medicinrådets anbefaling.

..."

Det er oplyst, at Sagsøger 4 siden april 2018 har været behandlet med Spinraza. Behandlingen foregår i Behandlingsland 1.

Særligt vedrørende Sagsøger 5

Den 7. marts 2017 indgav overlæge Vidne 2 ansøgning om tilladelse til brug af nusinersen som led i et early acces program, herunder til anvendelse på Sagsøger 5.

I formandskabets for lægemiddelrådet i regionens besvarelse af ansøgningen den 17. marts 2017 var bl.a. anført:

" ...

Opsummering

Nusinersen (Spinraza) synes at have en effekt på udviklingen af muskelsvækkelse og spinal motoratrofi hos patienter med spinal motoratrofi. Effekten er bedst vist for patienter med tidlig debut SMA type 1, men meget tyder på, at der også er en effekt hos patienter med senere debut (SMA type 2-3). Der er ikke data der specifikt understøtter effekt ved meget fremskreden sygdom samt hos patienter i respiratorbehandling. ...

Vurdering

Formandskab for lægemiddelrådet i regionen vurderer, at der ikke er evidens for, at ... vil have gavn af behandling med nusinersen, **hvorfor opstart af behandling til ... ikke anbefales.**

..."

Sagsfremstillingen i Patienterstatningens afgørelse vedrørende Sagsøger 5 var sålydende:

" ...

Du har 3. marts 2018 på vegne af din datter Sagsøger 5 søgt erstatning, fordi du mener at hendes helbredstilstand er blevet forringet som følge af, at hun ikke er blevet sat i behandling med lægemidlet Spinraza.

Spørgsmålet om, hvorvidt der foreligger en patientskade, når en patient ikke får ordineret ny og dyr medicin, er en ny sagstype i Patienterstatningen. Vi betragter derfor sagen som principiel sammen med de øvrige erstatningssager om manglende ordination af Spinraza.

Vi har på baggrund af din anmeldelse, journalmaterialet og sagens øvrige oplysninger lagt følgende til grund for afgørelsen:

Det fremgår af sagens oplysninger, at Sagsøger 5 er diagnosticeret med spinal muskelatrofi type 1 og bruger respirator.

Du har i din anmeldelse gjort gældende, at Sagsøger 5 bliver diskrimineret, da hun har fået afslag på behandling med Spinraza, fordi hun bruger

respirator. Du har gjort gældende, at medicinen er beregnet til alle typer af spinal muskelatrofi.

Sagsøger 5s far fik ved telefonsamtale med Behandlingssted 1 3. januar 2018 oplyst, at der var truffet beslutning om, at behandling med Spinraza indtil videre ikke kunne tilbydes til andre end patienter med SMA type 1 uden respirator og præsymptomatiske børn. Man oplyste, at dette kunne ændre sig, når betingelserne for behandling ændrer sig i Danmark. Man ville informere jer, hvis det skulle ske.

Den 2. februar 2018 fremgår det af journalmaterialet fra Behandlingssted 1, at du rettede henvendelse til hospitalet for at få bekræftet, at Sagsøger 5 ikke kunne blive behandlet med Spinraza. Man oplyste dig om, at Medicinrådet for nylig havde behandlet spørgsmålet om, hvilke grupper af patienter med SMA man kunne behandle med Spinraza. Man oplyste dig om, at Sagsøger 5, selvom hun har SMA type 1, ikke lå inden for disse grupper, da hun er i permanent respiratorbehandling. Du blev oplyst om, at Region 1 havde besluttet at følge Medicinrådets anbefalinger, og at klager over denne beslutning skulle rettes til Region 1.

..."

Det individuelle afsnit i Patienterstatningens begrundelse vedrørende Sagsøger 5 var sålydende:

"...

Dette fremgår også af den konkrete sag, hvor du af Behandlingssted 1 blev oplyst om, at Medicinrådet havde behandlet spørgsmålet om, hvilke grupper af patienter med SMA man kunne behandle med Spinraza, og at Sagsøger 5 ikke lå inden for disse grupper. Du blev oplyst om, at Region 1 havde besluttet at følge Medicinrådets anbefalinger, og at klager over denne beslutning skulle rettes til Region 1.

..."

I begrundelsen for Ankenævnets for Patienterstatningens afgørelse af 1. april 2019 var for Sagsøger 5 særligt anført:

"...

Værgen har anført, at Sagsøger 5 kunne have fået behandling med Spinraza i Sverige under Expanded Access Program (EAP), hvor

lægemiddelproducenten stillede medicinen gratis til rådighed. Det krævede dog en henvisning fra den danske behandlende neurolog.

Ifølge journalnotat af 14. december 2016 meddelte Sagsøger 5s neurolog på Behandlingssted 1, at der ville være en række logistiske problemer med behandling i Sverige, ligesom det ville være nødvendigt at søge om dækning af udgifterne, der var forbundet med behandlingen i Sverige, herunder til indlæggelse. Da der under alle omstændigheder ville være ventetid på behandlingen i Sverige, ville han i stedet undersøge muligheden for at få Sagsøger 5 behandlet under EAP i Danmark.

Neurologen oplyste i e-mail af 16. december 2016 til Sagsøger 5s forældre, at det var hans forventning, at behandlingen i Danmark nok ville kunne gennemføres indenfor samme tidsramme som i Göteborg.

Ankenævnet vurderer, at det var i overensstemmelse med, hvorledes en erfaren specialist på området ville have handlet, at man besluttede at forsøge at få Sagsøger 5 behandlet i Danmark frem for at henvise hende til behandling i Sverige. Behandling i Danmark ville være det mest skånsomme for Sagsøger 5, og der var på beslutningstidspunktet udsigt til, at behandlingen kunne gennemføres i Danmark uden betydende forsinkelser. Hertil kommer, at der ville være væsentlige udgifter forbundet med behandling i Sverige, selv om medicinen var stillet gratis til rådighed af lægemiddelproducenten. Region 1 skulle acceptere at dække disse udgifter.

Lægemiddelstyrelsen gav udleveringstilladelse til medicinen, men selv om medicinen blev stillet gratis til rådighed af lægemiddelproducenten, gav Region 1s Lægemiddelkomite afslag på at dække udgifterne forbundet med behandlingen. Senere anbefalede Medicinrådet, at Spinraza ikke blev brugt som standardbehandling til børn med SMA 1 med respirator. Behandlingssted 1 har oplyst, at beslutningen om behandling ligger hos klinikledelsen i Behandlingsafdelingen, og at ledelsen følger Medicinrådets anbefaling.

..."

Særligt vedrørende Sagsøger 6

I anmeldelsen til Patienterstatningen af 19. februar 2018 var Sagsøger 6s behandlingsskade beskrevet således:

" ...

Da Sagsøger 6s sygdom er (indtil videre) uhelbredelig, er alle skridt i den rigtige retning positive.

Da vi hørte rygter om Spinraza i efteråret 2016 blev vi helt vilde. Endelig var der en behandling for Sagsøger 6. Da vi, i foråret 2017, var til kontrol på Behandlingssted 1 var beskeden fra Sagsøger 6s behandlende læge at "Hvis ikke Sagsøger 6 og hans bror skulle have Spinraza, så vidste han ikke hvem der så skulle have det". Derfor var en ekstra stort chok og en ekstra stor sorg, da vi fik at vide, at han ikke kunne få behandling på baggrund af Medicinrådet beslutning om at det ikke kunne anbefales som standardbehandling. Derfor har Sagsøger 6 ikke modtaget den behandling hans læge mener er den bedste for ham.

..."

Sagsfremstillingen i Patienterstatningens afgørelse vedrørende Sagsøger 6 var sålydende:

" ...

Du har 19. februar 2018 på vegne af din søn Sagsøger 6 søgt erstatning, fordi du mener, at Sagsøger 6s helbredstilstand er blevet forringet som følge af, at han ikke er blevet sat i behandling med lægemidlet Spinraza.

Spørgsmålet om, hvorvidt der foreligger en patientskade, når en patient ikke får ordineret ny og dyr medicin, er en ny sagstype i Patienterstatningen. Vi betragter derfor sagen som principiel sammen med de øvrige erstatningssager om manglende ordination af Spinraza.

Vi har på baggrund af din anmeldelse, journalmaterialet og sagens øvrige oplysninger lagt følgende til grund for afgørelsen:

Du har i anmeldelsen oplyst, at I i forbindelse med kontrol af Sagsøger 6 på Behandlingssted 1 i foråret 2017 fik oplyst af lægen, at hvis ikke Sagsøger 6 skulle have Spinraza, så vidste han ikke, hvem der skulle have det. I blev derfor overraskede, da I senere blev oplyst om, at Sagsøger 6 ikke kunne komme i behandling med Spinraza på grund af, at Medicinrådet havde besluttet, at Spinraza ikke kunne anbefales som standardbehandling. Du mener derfor, at Sagsøger 6 ikke har modtaget den behandling, som lægen har ment ville være bedst for ham.

Du har oplyst, at Sagsøger 6s tilstand det sidste halve år er blevet forværret signifikant. At han er blevet svagere i sin generelle muskelstyrke, og at hans venstre hånd, der er hans dominante, er begyndt at trække

voldsomt indad, så han ikke længere kan åbne og lukke hånden. Han har derfor svært ved at holde fast på ting, hvilket gør det svært at spise med hans dominante hånd. Sagsøger 6 har fået bevilget en skinne som forsøg på genopretning af hans hånd, og han får behandling ved fysioterapeut.

Det fremgår af sagens oplysninger, at Sagsøger 6 er diagnosticeret med Spinal muskelatrofi Type 2.

Ved kontrol 8. juni 2017 fremgår det af journalen, at Sagsøger 6s situation er stabil, og at man har talt om behandling med Spinraza, hvor man forventede en afgørelse i efteråret. Ifølge journalen blev I 12. december 2017 oplyst om, at der i øjeblikket ikke er mulighed for at behandle med Spinraza i Danmark.

Af journalnotat fra 23. januar 2018 fremgår det, at Sagsøger 6 var blevet meget stram i venstre underarm og håndled. Man instruerede i udspænding og træning samt ordinerede en håndskinne.

..."

Det individuelle afsnit i Patienterstatningens begrundelse vedrørende Sagsøger 6 var sålydende:

"...

Dette fremgår også af den konkrete sag, hvor du har forklaret, at Hospital 1s begrundelse for ikke at sætte Sagsøger 6 i behandling med Spinraza var, at Medicinrådet havde besluttet, at Spinraza ikke kunne anbefales som standardbehandling.

..."

Det er oplyst, at Sagsøger 6 siden den 27. juni 2018 har været behandlet med Spinraza.

Forklaringer

Værge 1, Værge 2, Værge 3, Forælder til Sagsøger 4, Værge 5, Vidne 1, Vidne 2 og Vidne 3 har afgivet forklaring.

Værge 1 har forklaret, at Sagsøger 1 fik diagnosen SMA i 2010 og er fra dette tidspunkt blevet fulgt af Overlæge 2 på Behandlingssted 2. Sagsøger 1 er i dag 11 år, og han var 7 år, da problemstillingen

med medicinen Spinraza opstod. Stort set helt tilbage fra 2010 har han og hans kone over for Overlæge 2 efterspurgt medicinsk behandling af Sagsøger 1, og de har også efterspurgt en eventuel behandling i udlandet. Allerede flere år før, Spinraza blev godkendt, havde han og hans kone hørt om medicinen, som dengang hed noget andet. Særligt hans kone, som er kemiker, har haft grundige drøftelser med Overlæge 2 om medicinens virkning på SMA.

Vidne 1 blev først involveret i spørgsmålet om medicin til Sagsøger 1 efter den 12. oktober 2017, hvor Medicinrådet kom med deres anbefaling. Forud for Medicinrådets anbefaling var det deres indtryk, at Medicinrådets godkendelse var en ren formssag, idet EMA og den danske lægemiddelstyrelse forinden havde godkendt medicinen. Overlæge 2 havde også allerede før den 12. oktober 2017 talt med dem om det rent praktiske i forbindelse med, at Sagsøger 1 skulle påbegynde medicinbehandlingen. De havde fx talt om, hvilke ugedage medicinen skulle gives. Bivirkninger var ikke et tema, og eventuelle bivirkninger vil også altid skulle sættes i forhold til, at der er tale om en progressiv sygdom, der svækker Sagsøger 1.

Efter Medicinrådets anbefaling havde de flere samtaler med Vidne 1, som meddelte, at han ikke kunne give Sagsøger 1 Spinraza pga. Medicinrådets anbefaling. Han stillede spørgsmål til Vidne 1 vedrørende Medicinrådets anbefaling. Hans spørgsmål angik fx, om Sagsøger 1 måske alligevel var omfattet af den gruppe, der kunne få medicinen, idet Sagsøger 1s diagnose alene var angivet til "sandsynligvis" type II, ligesom der kunne sættes spørgsmålstejn ved tidspunktet for Sagsøger 1s sygdomsdebut. Herudover udfordrede han Vidne 1 i forhold til, om der var foretaget en individuel og konkret vurdering, idet alle afslagene var enslydende. Han fik det svar, som han også havde fået af Vidne 3, at der var foretaget en individuel og konkret vurdering.

Sagsøger 1 er i øvrigt et ekstremt velfungerende barn, og Sagsøger 1 har selv på nettet fundet informationer om, at man i udlandet giver børn med samme sygdom som ham medicinen. Dette har svækket Sagsøger 1s tillid til systemet. Både Vidne 1 og Overlæge 2 søgte flere gange om tilladelse til at give Sagsøger 1 medicinen. I november 2017 fik Sagsøger 1 sin 2. rygoperation, og han fik herefter en voldsom stafylokokinfektion. I den forbindelse trak Overlæge 2 hans kone til side og fortalte, at de arbejdede meget kraftigt på, at Sagsøger 1 skulle komme i behandling med Spinraza, hvilket Vidne 1 også havde fortalt dem. På en konference i forening X havde Vidne 1 også holdt et oplæg og meddelt, at der blev arbejdet på, at børnene skulle have behandling, og at de alle skulle have tålmodighed.

Sagsøger 1 har stadig ikke fået behandling, og der er sket meget med Sagsøger 1 i løbet af de sidste 4 år, hvor han har lidt et betydeligt funktionstab. Det kan både de og den kommunale ergoterapeut konstatere. I 2017, hvor Sagsøger 1 var 7 år,

kunne han selv rulle rundt om natten, hvilket han ikke kan længere. Dette har betydet, at der nu er behov for fast nattehjælp. For 4 år siden havde han ikke problemer med at holde sit hoved, mens han nu ofte taber hovedet. Også Sagsøger 1s håndfunktion er blevet dårligere, og han er ved at miste følelserne i fingrene. Dette vil betyde, at han på et tidspunkt vil miste evnen til fx at spille iPad. For 4 år siden kunne Sagsøger 1 spise selv og løfte en kop. Dette har han meget svært ved nu. Det går kun nedad. En stagnation i hans sygdom for 4 år siden ville have betydet, at han selv ville kunne spise og tegne, hvilket er ved at forsvinde. Sagsøger 1 går i øvrigt i en almindelig folkeskole, hvor han har en hjælper med, som agerer Sagsøger 1s "arme og ben". Bortset fra sin funktionsnedsættelse er Sagsøger 1 i øvrigt en velfungerende almindelig 11-årig dreng.

Der er tale om en velbeskrevet sygdom, hvor man kender prognosen. Medicinen er godkendt til patienter med alle typer af SMA både i EMA og i Danmark. Alle læger har tilkendegivet, at man nu kan behandle en sygdom, man tidligere ikke kunne behandle. Der er truffet en administrativ beslutning om, hvornår der er en effekt, og hvornår der ikke er en effekt. Han er uforstående overfor, at man i Danmark har meddelt afslag ud fra prisen på medicinen i forhold til effekten. Norge og Sverige har tidligere også givet afslag, men dette har alene været begrundet med medicinens pris. Ham bekendt behandles i dag alle børn med sygdommen i Norge og Sverige, og så vidt han ved, gælder det også i de øvrige EU-lande. Medicinrådets målemetode umuliggør behandlingen af små patientgrupper, hvor der aldrig vil være signifikante resultater. Man kunne i stedet have sammenlignet med andre grupper i Europa, men det har man valgt ikke at gøre. I stedet har man valgt at stå fast på en administrativ beslutning.

Væрге 2 har forklaret, at Sagsøger 2 i dag er 13 år. De hørte om medicinen første gang i august 2016, hvor det gik stærkt med medicinen i USA. I julen 2016 blev medicinen godkendt i USA af FDA. De glædede sig alle - også Sagsøger 2. Der var overvejelser om, hvorvidt Sagsøger 2 skulle have en rygoperation, eller om de skulle vente, idet lægerne forventede, at Spinraza var på trapperne. De modtog også, som det fremgår af journalen fra den 4. april 2017, fra Vidne 1 et brev om, at Sagsøger 2 skulle sættes i behandling med medicinen, så snart det var muligt. Hun deltog i september 2017 i Muskelsvindfondens konference, hvor bl.a. Vidne 2 fra Behandlingssted 1 holdt et oplæg. Vidne 2 og Overlæge 3, var begge meget begejstrede for medicinen og talte om, at der ikke var bivirkninger. De gik derfra med en boblende glæde over den medicin, der var på trapperne. De fik konkrete oplysninger om det rent praktiske i forbindelse med medicingivningen til Sagsøger 2, herunder fx hvilken ugedag den skulle gives.

Der var lagt en detaljeret plan for behandlingen, og de fik at vide, at behandlingen af Sagsøger 2 ville blive iværksat inden nytåret 2017/2018.

Medicinrådets anbefaling af 12. oktober 2017 kom som et uforståeligt og uventet chok for dem. Det kunne sammenlignes med, da Sagsøger 2 fik diagnosen. Hun skrev til Vidne 1 og spurgte, hvad der foregik og fik indtryk af, at Vidne 1 også var uforstående over for afslaget. -----

I en lang periode troede hun, at det ville løse sig, og at Sagsøger 2 ville få behandlingen, når personerne i Medicinrådet blev klar over, hvilken patientgruppe der var tale om. Hun kunne ikke forestille sig, at Medicinrådet, selv om det bestod af læger, vidste, hvad de tog stilling til, når de havde givet afslag. Hendes opfattelse var og er, at Sagsøger 2 er blevet taget som medicinsk gidsel for at presse prisen, idet alle andre lande, herunder vores nabolande, giver den pågældende behandling. Hun bevarede længe håbet om, at Sagsøger 2 ville få medicinen, og i februar 2020 havde hun et møde med Vidne 1, idet hun havde behov for at få at vide, om der stadig var håb. Vidne 1 forklarede, at han fortsat gerne forsøgsvis ville behandle Sagsøger 2, men at han ikke havde muligheden for at ordinere medicinen, idet Vidne 3, som er formand for lægemiddelrådet i regionen, havde meddelt afslag. Man kan vel sige, at Vidne 3 havde "nøglen til det låste medicinskab". Hun forstår godt, at Vidne 3 gav afslag, idet Vidne 3 også er medlem af Medicinrådet.

Siden 2017 har Sagsøger 2 tabt mange kræfter. Hun kan nu ikke længere vende sig i sengen. Tidligere kunne hun bøje sig forover og tage en løs T-shirt af, hvilket hun ikke kan længere. Hendes skoliose har udviklet sig betydeligt, og hun kan ikke længere løfte sine arme op på et bord eller bevæge sine arme frit, idet hun taber kræfter. Hun benytter nu CPAP, som er en respiratorisk maske, for at holde lungerne udfoldet. Tidligere kunne hun drikke af en almindelig kop, men nu må hun benytte sugerør og dør også mere med forstoppelse. Hun udholder generelt mindre i forhold til at tegne og skrive og er ikke længere så adræt i en svømmehal. Hun kunne tidligere selv hælde mælk op og tage øretelefoner i ørerne, men det er ikke længere en mulighed.

Hun er selv sygeplejerske og forstår ikke, hvordan det kan være lovligt at fravælge behandlingen til et handicappet barn, når fravalget påfører barnet et funktionstab.

Væрге 3 har forklaret, at han er far til Sagsøger 3 og Sagsøger 6, der begge har SMA. Sagsøger 3 er i dag 8 år, og Sagsøger 6 er 6 ½ år. De går begge i almindelig folkeskole med fuld støtte. Sagsøger 3 blev kort tid efter Sagsøger 6s fødsel diagnosticeret med SMA, og herefter blev også Sagsøger 6 diagnosticeret.

De hørte om medicinen første gang i efteråret eller vinteren 2016 gennem hans mors kusine, som er børneneurolog, og som lovpriste produktet. Drengene har

hele tiden været tilknyttet Vidne 2 på Behandlingssted 1, og de nævnte medicinen over for ham. I foråret 2017 talte de mere indgående om medicinen. Bl.a. talte de om muligheden for at komme med i et "Early Access Program", men Vidne 2 anbefalede, at de ventede til efteråret, idet Sagsøger 3 og Sagsøger 6 var stærke i forhold til deres diagnose. Vidne 2 var meget tydelig i forhold til, at Sagsøger 3 og Sagsøger 6 var egnede til behandlingen, idet de endnu ikke havde fået mange gener. Vidne 2 sagde direkte, at hvis ikke Sagsøger 3 og Sagsøger 6 skulle have medicinen, kunne han ikke se, hvem der så skulle.

I sommeren 2017 overvejede de, om Sagsøger 6 skulle have indlagt sonde, idet han var plaget af fejlsynkninger. Dette førte til, at Sagsøger 6 ikke havde lyst til at spise, og de måtte give ham sondemad på sutteflaske, så han kunne få nok næring. De valgte at udsætte indlæggelsen af sonde, idet de forventede, at Sagsøger 3 og Sagsøger 6 snart skulle påbegynde behandling med Spinraza.

Da de modtog Medicinrådets anbefaling, indsendte han til Vidne 2 en ansøgning om dispensation. Han havde forinden talt med Vidne 2 i telefonen, og Vidne 2 havde givet udtryk for, at han syntes, det var en god idé at søge om dispensation. Han fik svar den 30. oktober 2017, hvor Vidne 2s chef angav, at de pga. Medicinrådets anbefaling ikke ville give dispensation og ikke ville søge videre. Han bekendt blev der derfor ikke søgt om tilladelse til behandling med Spinraza hos lægemiddelkomitéen. De gik herefter mere ind i en mediepolitisk kamp.

Den 30. maj 2018 udvidede Medicinrådet den tidligere anbefaling vedrørende anvendelsen af medicinen. Dette førte til, at Sagsøger 6 nu var omfattet af den gruppe af børn, som kunne få behandlingen. Få dage efter den 30. maj 2018 ringede Vidne 2 til dem og sagde, at han ville sende en ansøgning om dispensation vedrørende Sagsøger 3, idet Vidne 2 ikke syntes, han kunne forsvare, at to brødre, der var så tæt på hinanden aldersmæssigt, ikke kunne få samme behandling. De har fået modstridende oplysninger om, hvor meget Sagsøger 3 lå uden for anbefalingen. Sagsøger 3 fik symptomer før diagnosen, så der var tvivl om datoen for symptomdebut. Det var magtpåliggende for Vidne 2 at sende ansøgning om dispensation vedrørende Sagsøger 3. Begge drenge opstartede behandling samtidig, og de får stadig behandling.

De har for begge drenge oplevet en effekt af behandlingen allerede efter første stik. De er begge blevet stærkere på alle muskelgrupper. Drengene er vidt forskellige i sygdomsudtryk. Sagsøger 6 døjede tidligere meget med at "tabe hovedet", når han kørte i kørestol på græsplænen, men det er helt væk nu. Begge drenge går i skole og skriver, tegner og spiller Playstation. De har et meget friere liv – især Sagsøger 6, som kan ting, han ikke kunne før. Han kan fx spise selv og lege med Lego, men han kan selvfølgelig ikke tage ting op fra gulvet. Sagsøger 3 er stadig stærk, og der er også områder, hvor han er blevet mere sikker, end han

var før. Han kan fx være med til at spille stikbold i skolen og benytter i den forbindelse sin manuelle kørestol. Drengene er ikke bare stagneret i sygdommens udvikling, men de har oplevet en markant fremgang. Der foretages tests efter behandlingen, og mens man i starten kun foretog målinger af det grovmotoriske, foretages der nu også tests af arme og skuldre. Sagsøger 3 ligger i håndtest så højt, at han kun mangler 2 point for at have fuld skala, hvilket er inden for normalområdet. Dette var ikke tilfældet før behandlingen. Sagsøger 6 er svagere, men han har også udviklet sig positivt. Både Sagsøger 3 og Sagsøger 6 er meget stærke drenge i forhold til det, der var stillet dem i udsigt. Der har på intet tidspunkt været nogen, der har sat spørgsmålstegn ved fremtidig behandling. Medicinen har i forhold til livskvalitet haft en tydelig effekt fra det tidspunkt, den blev givet.

Forælder til sagsøger 4 har forklaret, at hun er mor til Sagsøger 4, som er født i november 2000. Sagsøger 4 var 15 år, da de første gang hørte om Spinraza og det gratis program "Early Access Program" kaldet EAP. Sagsøger 4 har SMA type I. Han blev født som en frisk dreng, men fik respirator da han var 4 år. Da han var 10 år, havde han ikke længere kræfter til at sidde i kørestol, og han måtte herefter ligge i klapvogn. Han er normalt begavet.

Ved et tilfælde så hun, at der i Sverige var åbnet op for EAP til dem, der var hårdest ramt af SMA, og hvor der ville blive givet Spinraza. Hun kontaktede lægerne i Sverige, som var indstillede på behandling af Sagsøger 4, men ville have en positiv henvisning fra Vidne 2. Behandlingen i Sverige ville koste dem 200.000 kr., som de var villige til at betale. Der gik lidt tid, inden Vidne 2 svarede, og han fortalte, at han var ved at få EAP til Danmark. De valgte derfor at vente på, at behandlingen kom til Danmark. I dialogen med Vidne 2 fik de at vide, at alt var i orden, og at han havde fået positivt svar fra Lægemiddelstyrelsen, men at han havde fundet ud af, at lægemiddelrådet i regionen også skulle godkende behandlingen. Vidne 2 ringede til dem efterfølgende og fortalte, at lægemiddelrådet i regionen havde givet afslag. Hun er sikker på, at Vidne 2 i dag ærgrer sig over, at han var medvirkende til, at de ikke tog til Sverige.

Da de ikke kunne få behandling i Danmark, ville de samle penge sammen til, at Sagsøger 4 forsøgsvis kunne få behandling i udlandet. De fløj sammen med Sagsøger 4 til udlandet, hvor de talte med en børneneurolog, som anbefalede dem at kontakte en kendt neurolog i Behandlingsland 1, som de fik en tid hos i april 2018. I Behandlingsland 1 var det gratis program, EAP, stadig godkendt, idet medicinen på daværende tidspunkt ikke endnu generelt var godkendt i Behandlingsland 1. Sagsøger 4 blev en del af programmet i behandlingslandet og blev sat i behandling med 4 behandlinger inden for 2 måneder og herefter hver 4. måned. De kunne nærmest se en opstramning af Sagsøger 4' krop efter første stik. Sagsøger 4 har fået mere styrke i sine arme, og han kan også pludselig holde til at sidde i kørestol igen. De sidste to år har Sagsøger 4 kunnet køre i skole i kørestol. Det er meget væsentligt i forhold til sko-

legang og frihed, at han ikke længere er liggende. De tager stadig til Behandlingsland 1 hver 4. måned, hvor de selv betaler for indlæggelse og transport. Det koster 10.000 kr. pr. indlæggelse. Det gratis program i behandlingslandet blev lukket efter 5 behandlinger, men Biogen har tilladt, at behandlingen fortsætter, så længe Sagsøger 4 og den behandlende læge ønsker det. Sagsøger 4 ønsker at fortsætte behandlingen, selv om det indebærer, at han skal til behandlingslandet hver 4. måned. For Sagsøger 4 er det vigtigste, at hans risiko for at dø tidligt af SMA-komplikationer er formindsket, og det synes de som forældre burde være nok. Der er ikke aktuelt noget, der tyder på, at behandlingen ikke skal fortsætte.

Væрге 5 har forklaret, at hans datter Sagsøger 5 i dag er 12 år. Hans kone havde en søster med SMA, der døde meget tidligt, og hun fik derfor en mistanke om, at Sagsøger 5 havde samme sygdom. Sagsøger 5 var 2 ½ år, da hun fik respirator. Sagsøger 5s hoved fejler ikke noget, og hun er glad og går i specialskole flere dage om ugen. Sagsøger 5 har altid en hjælper hos sig og har også en hjælper med i skole.

På et tidspunkt fandt de ud af, at der var et forsøg i gang med medicinen i Tyrkiet. De fandt efterfølgende ud af, at EAP-forsøget også foregik i Sverige, og de ønskede derfor at påbegynde behandlingen i Sverige. Behandlingen i Sverige ville koste dem 200.000 – 300.000 kr., og de var klar til at tage af sted. Vidne 2 skulle sende nogle dokumenter, som de rykkede for, og i den forbindelse fortalte Vidne 2, at han havde en god nyhed, idet EAP også ville komme til Danmark, og at Sagsøger 5 derfor kunne få behandlingen med medicinen i Danmark i stedet for. De så det som en fordel at kunne fortsætte behandlingen på Behandlingssted 1, hvor de var vant til at komme, og de tog derfor alligevel ikke til Sverige. Det var ikke det økonomiske, der gjorde, at de ikke tog afsted. Han ærgrer sig stadig meget over, at de ikke bare tog til Sverige dengang, og de har tænkt meget på, hvordan Sagsøger 5 ville have haft det i dag, hvis de dengang var taget til Sverige. Han har direkte sagt til Vidne 2, at det er hans skyld, at de ikke tog til Sverige.

Da de fik afslaget fra Medicinrådet, var de til møder, hvor de talte om, at det ikke burde gøre en forskel, at Sagsøger 5 var i respirator. Hun bruger sin tommelfinger til at køre sin kørestol og sin pegefinger til sin computer. Han kan se, at hun er blevet svagere. Hun kan heller ikke bevæge sit hoved så meget mere. De har talt med en familie i Tyrkiet, hvis barn har fået medicinen, og dette har betydet, at barnet, som tidligere var i respirator, nu ikke behøver at benytte respirator hele døgnet. Som en familie med et handicappet barn har de ikke noget privatliv, idet de har hjælpere hele døgnet. Hvis Sagsøger 5 ikke var i respirator hele døgnet, ville det ændre meget for hele familien og også for fx Sagsøger 5s storebror.

Han har opgivet systemet og har ikke længere et håb om, at Sagsøger 5 kan få behandling. De har valgt at fokusere på deres datter. Der er kun to børn i Danmark, der lider af SMA type I, og som er i respirator, og det er Sagsøger 4 og sagsøger 5.

Han er mest bange for, at Sagsøger 5 mister evnen til at køre sin kørestol, hvilket vil ske, hvis hun mister evnen til at benytte sin tommelfinger. Hun er en glad pige. Hvis hun mister evnen til at bevæge sin pegefinger og benytte en computer, vil det gå meget ud over hendes livskvalitet.

Vidne 1 har forklaret, at han i ____ år har været specialeansvarlig overlæge på Behandlingssted 2 Han blev for ca. ____ år siden medlem af _____.

Man har ikke kunnet behandle årsagen til SMA. Spinraza er den første medicin, der har kunnet give en vis behandling. I en dansk sammenhæng talte man første gang om Spinraza for ca. 5 år siden, og det var ca. samtidig med Medicinrådets etablering. Medicinen blev godkendt af FDA i USA, og i midten af 2017 blev medicinen også godkendt i Europa af EMA. Spinraza kan ændre sygdommens mekanisme. Med Medicinrådets anbefaling blev det muligt for de børn med SMA, hvor der var erfaring for, at medicinen virkede bedst, at få behandling med Spinraza.

Han kan huske, at han talte med Sagsøger 2s forældre om, at der kom en medicin, og de drøftede i den forbindelse, om det betød, at de skulle vente med at operere Sagsøger 2. Han var klar over, at Sagsøger 2 også dengang havde en alder, hvor der ikke var dokumentation for en effekt af medicinen. Det drejede sig om, at medicinen måske kunne forhindre tab af færdigheder. Det var hans opfattelse, at tvivlen skulle komme Sagsøger 2 til gode, og at der skulle gives mulighed for over en 2-årig periode at give behandlingen for at se, om medicinen havde en effekt. Der skulle i så fald ske løbende evaluering, og man vidste heller ikke dengang så meget om eventuelle bivirkninger. På Behandlingssted 2 var de klar til at give Sagsøger 2 behandlingen, så snart der var givet tilladelse hertil, og han kan bekræfte, at der allerede var lagt konkrete planer for, hvordan behandlingen rent praktisk skulle foregå.

I Medicinrådet har behandling med Spinraza været behandlet tre gange. Der kom løbende mere sundhedsvidenskabelig litteratur om emnet. Denne litteratur viste desværre, at der var usikkerhed om effekten på ikke helt små børn. Evidensen var dengang ganske sparsom, og det havde de hele tiden været klar over. Når medicinalfirmaet slipper medicinen, er det op til andre at tage forskningen op, og det er i den forbindelse helt afgørende, at der sker en registrering af effekten. Efter hans opfattelse skulle tvivlen komme børnene til gode. Den bekymring, man tidligere havde vedrørende eventuelle bivirkninger af medicinen, viste sig at være ubegrundet. Spørgsmålet vedrørende Spinraza drejer sig om, hvorvidt der er effekt af medicinen eller ej.

Fra hans lægefaglige synsvinkel var han klar til at give behandlingen til Sagsøger 2 og Sagsøger 1 – og også til flere andre børn. På Behandlingssted 2 har de i alt 15 børn med SMA type I og II, hvoraf de to af børnene har SMA type I, og hvor den ene behandles. Problemet var, at børnene var blevet ældre, og dermed er evidensen for effekt mindre. Derfor skulle behandlingen i gang så hurtigt som muligt.

Da Medicinrådets anbefaling forelå, kunne han ikke få medicinen udleveret til Sagsøger 2 og Sagsøger 1, men skulle søge herom. Han kunne ikke have gjort andet, og når han ikke havde medicinen, kunne han ikke give behandlingen. Emnet diskuterede han med sygehusdirektøren på Behandlingssted 2, Vidne 3, som vist også var _____. For at gøre noget for Sagsøger 2 og Sagsøger 1 søgte han lægemiddelrådet i regionen om tilladelse til behandling.

For ham at se er der flere problemstillinger i forhold til at give medicinen. Ud over det rent praktiske med, at medicinen konkret skal være tilgængelig, er der et rent fagligt spørgsmål, idet det er nødvendigt, at der er en fælles faglighed. For så vidt angår børn med SMA type II, har de lidt ældre børn ikke så god effekt af medicinen som de yngre, og hvis man til trods for evidensen alligevel vil give medicinen, kræver det en fælles strategi hospitalerne imellem. Medicinrådet består af dygtige folk. Det duer under ingen omstændigheder som en "enlig svale" at gå egne veje, og dette gælder uanset medicinens pris. I klinisk praksis duer det 7. princip derfor ikke. Når politikere taler om den frie ordinationsret, er det et indholdsløst udsagn, for man kan ikke stå alene med en ordination. De bygger deres behandling på evidens og har retningslinjer for, hvad de skal gøre. Her kommer fagligheden og ansvaret op. Der opstår derfor et spændingsfelt mellem det, der er muligt for ham, og politikernes forventninger.

Han kan bekræfte, at fagudvalget for ca. 1 år siden ud fra den tilgængelige evidens anbefalede en ændret vurdering af behandlingen med Spinraza til børn med SMA type II og III. Medicinrådet fulgte ikke denne anbefaling. Medicinrådet udførte et grundigt stykke arbejde og vurderede, at evidensen for de ældre børn med SMA type II ikke var påfaldende tydelig.

Vidne 2 har forklaret, at han er overlæge på Behandlingssted 1. På Behandlingssted 1 behandler de _____. Det har også for ham været en ny proces, hvor nogle ting har udviklet sig anderledes end forventet.

Han er patientansvarlig læge for Sagsøger 5, Sagsøger 3 og Sagsøger 6, og han har også været patientansvarlig læge for Sagsøger 4, indtil Sagsøger 4 blev 18 år. Han blev først konkret konfronteret med medicinen Spinraza i starten af 2017, da det blev muligt at bruge stoffet i programmet EAP under nogle nærmere angivne omstæn-

digheder. Han blev kontaktet af Sagsøger 4s og Sagsøger 5s forældre, idet de var interesseret i at komme til udlandet for at få deres børn behandlet med Spinraza. I Danmark opstod der en mulighed for, at Spinraza blev frigivet til behandling af børn med SMA type I, som både Sagsøger 5 og Sagsøger 4 lider af. For at spare forældrene for udgiften til behandling i udlandet søgte han om tilladelse til behandling af Sagsøger 5 og Sagsøger 4. Han blev overrasket, da der blev givet afslag, da prisen på medicinen som en del af EAP-programmet var reduceret. De fik tilladelse til at behandle andre børn, som ikke er med i nærværende sag, idet disse faldt inden for tidligere studier, hvilket ikke var tilfældet med Sagsøger 5 og Sagsøger 4. Da børnene med SMA har forskellig alder og sygdomsniveau, er det svært ud fra studier at indsamle data. Hovedformålet med EAP var ikke at indsamle data, men at opnå en forbedring af sygdomstilstanden. Der er aldrig en garanti for at få en tilladelse, men han forventede en godkendelse, da der er tale om en sjælden sygdom med en lille volumen, og da det drejer sig om børn, der er truet på livsvigtige funktioner. Hertil kommer, at behandlingen er uden væsentlige bivirkninger. Sagsøger 5 og Sagsøger 4 fik afslag på at deltage i EAP med den begrundelse, at de data, der forelå, kun stammede fra yngre børn, hvor sygdommen ikke var så fremskreden.

Han kan ikke huske den konkrete kontakt til Sagsøger 3 og Sagsøger 6s forældre vedrørende børnenes deltagelse i EAP. Han vil ikke udelukke, at han til Sagsøger 3 og Sagsøger 6s forældre kan have sagt, at hvis ikke Sagsøger 3 og Sagsøger 6 kunne få behandlingen, så vidste han ikke, hvem der skulle have. Han kan huske, at han havde samtaler med forældrene efter Medicinrådets anbefaling. Han var stadig fortrøstningsfuld med hensyn til, at Sagsøger 3 og Sagsøger 6 kunne få behandling, idet de var unge og havde en del funktioner, der kunne bevares. Han regnede ikke med, at man ville fortolke de foreliggende data så snævert, som Medicinrådet valgte at gøre.

Han havde håbet, at de kunne få lov at behandle de fleste børn med SMA, herunder også Sagsøger 4 og Sagsøger 5, idet det er en sårbar patientgruppe, hvor meget tyder på, at behandlingen kan stabilisere sygdommen. Det er svært at finde dokumentation for effekten, men det var dengang og er stadig hans forhåbning, at man ville se lidt stort herpå, når der var tale om børn. Han kan huske, at han deltog i en konference i Muskelsvindfonden i september 2017, hvor han holdt et oplæg vedrørende processen i Medicinrådet og fagudvalgets rolle. Han gav også en opdatering på muligheden for at behandle børnene.

Han blev både skuffet og overrasket over Medicinrådets anbefaling af 12. oktober 2017, idet han fortsat ønskede at behandle børnene med medicinen. Medicinrådet havde en meget snæver fortolkning af data. Andre lande valgte en anden tilgang. Modsat Medicinrådet er han selv tilhænger af, at man får dokumentationen undervejs.

Han havde løbende drøftelser og korrespondance med flere familier efter Medicinrådets anbefaling. Han var også involveret i forbindelse med, at Klinikchef K gav Sagsøger 3 og Sagsøger 6 afslag på deres ansøgning om behandling. Afslaget var begrundet med, at man ikke ville give en behandling, der ikke var omfattet af Medicinrådets anbefaling. Sådan var politikken i hele Region 1. Klinikchef K var og er hans chef. Når der var givet afslag, kunne han ikke dengang behandle Sagsøger 3 og Sagsøger 6.

Der er eksempler på, at der er givet dispensation og dermed medicin til børn, der ikke er omfattet af Medicinrådets anbefaling. I en konkret sag har de søgt om og fået tilladelse til at give medicinen til en patient, der har en særlig genfejl, og hvor de foreliggende data ikke kan bruges til at vurdere medicinens effekt. Herudover har de fået tilladelse til at medicinere i situationer, hvor den tidsmæssige grænse på 4 års sygdomsvarighed alene var marginalt overskredet. Dette var tilfældet for så vidt angår Sagsøger 3, der også var i den særlige situation, at hans bror, Sagsøger 6, kunne få behandling.

På Behandlingssted 1 har de 16 patienter, der er i behandling med Spinraza, og 13 patienter, der ikke er i behandling. På landsplan modtager ca. 26-27 patienter behandling med Spinraza. Han har i sommeren 2020 for de 13 patienter individuelt søgt om tilladelse til at give dem behandlingen, men alle har fået afslag. Han synes, at alle 13 patienter skal behandles, idet de lider af en fremadskridende sygdom, og tvivlen mht. medicinens effekt skal efter hans opfattelse komme patienterne til gode. Formanden for lægemiddelrådet i regionen var dengang også medlem af Medicinrådet. Medicinrådets anbefaling har ret præcist været afgørende for, hvem der i Region 1 har fået behandling. Listepriisen på medicinen er ca. 800.000 - 900.000 kr. pr. år, men regionerne får en afgørende rabat. Den pris, regionerne betaler, er ikke offentlig.

Sagsøger 3 og Sagsøger 6 har nu fået behandlingen i 3 år. Medicinen har ikke haft mirakuløs effekt. Der er mere tale om en stabiliserende virkning, som først kan ses efter måske 5-10 år. Den stabiliserende virkning er dog også vigtig. Hos de små børn ser man en tydelig effekt med det samme, mens man for Sagsøger 3 og Sagsøger 6 først kan se effekterne efter flere år. Behandlingen med Spinraza evalueres løbende med bl.a. tests og styrkeprøver. Evalueringen sker hvert halve år af bl.a. neurologer. Der er indbygget stopkriterier i behandlingen, og hvis der vedvarende er fald i funktioner, kan man anbefale at standse. Dette er ikke sket. De har heller ikke eksempler på, at forældre har ønsket at standse behandlingen.

Vidne 3 har forklaret, at han har været professor i ca. ____ år, og han har siden ____ været lægelig direktør på Behandlingssted 2.

Efter en anbefaling modtog han som _____ to ansøgninger fra Vidne 1 vedrørende Sagsøger 1 og Sagsøger 2. Han læste ansøgningerne og sendte dem til kliniske farmakologer, som har specialer i medicinen. Afgørelsen blev truffet af ham som formand med bistand fra de rådgivere, han benyttede. I dag træffes afgørelsen af tre lægelige direktører med bistand fra farmakologer.

Når han til Patienterstatningen den 18. april 2018 anførte, at Medicinrådets anbefaling har afgørende betydning for den enkeltes læges indledende vurdering af, om der er grundlag for at ordinere Spinraza, skyldes det, at man som læge skal overholde regler, anbefalinger og vejledninger. Som han husker det, var de ansøgninger, Vidne 1 i første omgang sendte, ikke grundige nok, og de kontaktede derfor Vidne 1 og efterspurgte flere oplysninger. Efter modtagelse af yderligere oplysninger fandt han desværre stadig ikke, at der var redegjort for særlige grunde til, at de to patienter, Sagsøger 1 og Sagsøger 2, skulle behandles.

Afslagene kunne ankes til X, der er koncerndirektør og læge, hvilket fremgår af brevene, men afslagene blev ikke påklaget. Vidne 1 kunne ikke fx gå på lageret og hente medicinen, og hvis Vidne 1 ville bruge medicinen, ville der opstå en diskussion af, hvem der i givet fald skulle betale for medicinen.

Lægemiddelrådet i regionen blev oprettet i ..., og han har været formand for rådet siden 2014. Han er ikke Vidne 1s chef. På Behandlingssted 2 er der 6 direktører, og børneafdelingen referer ikke til ham, men han dækker dog forskningsområdet på tværs af afdelingerne.

Spinraza var et af de første præparater, Medicinrådet skulle forholde sig til, og det var det første mulige lægemiddel, der kunne indgå i behandlingen af SMA-patienter. Han er enig i, at det var meget få patienter, og højst 5-10 børn på landsplan, der faldt ind under den gruppe, der ifølge Medicinrådets anbefaling fra oktober 2017 kunne få behandling. Der er årligt ca. 6 nye patienter på landsplan, der bliver diagnosticeret med SMA type II – og muligvis også type I. På Behandlingssted 2 har de haft 2 patienter, der efter Medicinrådets anbefaling kunne få behandling. Han formoder, at de på Behandlingssted 2 har i alt ca. 15-20 patienter med SMA type II. De havde ikke dengang nedskrevne procedurer om, hvordan man individuelt i regionerne skulle tage stilling til ansøgninger om behandling. De har hele tiden behandlet ansøgningerne grundigt og "efter bogen" og har hver gang grundigt undersøgt, om der var kommet ny data ud over den data, der var indleveret til Medicinrådet.

Han og Vidne 1 har løbende talt om Medicinrådets anbefaling, men han kan ikke huske drøftelserne i detaljer. Det er nyt for ham, at der allerede før Medicinrådets anbefaling var lagt detaljerede planer for medicingivningen til den enkelte patient. Vidne 1 havde den opfattelse, at tvivlen om medicinens ef-

fekt skulle komme patienterne til gode, og at patienterne skulle have mulighed for at få behandling i en 2-årig periode. Når der i Medicinrådet ikke generelt blev anbefalet en protokolleret behandling med Spinraza, skyldtes det, at der forelå data, der talte imod, at der var en effekt af medicinen.

Med hensyn til det 7. princip var tanken, at tilladelse til behandling krævede, at der forelå andre omstændigheder end dem, Medicinrådet havde taget stilling til. Det kunne fx være en særlig form for mutation, at den angivne 4 års frist efter symptomdebut kun i begrænset omfang var overskredet, eller at patienten i forvejen deltog i et forsøg. De patienter, der fik afslag, var alene beskrevet som standardpatienter, og denne patientgruppe havde Medicinrådet allerede taget stilling til. De bygger behandlingen på et vidensgrundlag og ikke et håb. Økonomien spillede egentlig ikke en rolle i behandlingen i dispensationsansøgningerne, idet de ikke var kommet til det punkt, hvor økonomien kunne være afgørende. I Region 2 har de fået ansøgninger vedrørende andre patienter end Sagsøger 1 og Sagsøger 2, men de har ikke givet dispensation til nogen.

Anbringender

Sagsøgerne, Sagsøger 1, Sagsøger 2, Sagsøger 3, Sagsøger 4, Sagsøger 5 og Sagsøger 6 har alle overordnet anført, at deres behandling på henholdsvis Behandlingssted 2 og Behandlingssted 1 ikke levede op til den erfarne specialiststandard, idet de behandlende læger ikke – trods deres egen vurdering af, at sagsøgerne var i målgruppen for behandling med Spinraza – ordinerede lægemidlet med henvisning til det 7. princip.

Den manglende behandling med Spinraza har betydet, at det ikke har været muligt at stoppe forværringen af sagsøgernes kroniske lidelser. De allerede indtrådte og fortsat indtrædende forværringer udgør de patientskader, der skal ydes erstatning for.

Patienterstatningen og Ankenævnet for Patienterstatningens begrundelse for, at det var korrekt ikke at gøre brug af det 7. princip med henvisning til sygehuse-nes økonomi og ressourcehensyn kan ikke føre til, at behandlingen var i overensstemmelse med den erfarne specialiststandard, idet Folketingets beslutninger netop havde til hensigt at sikre lige adgang til behandling med lægemidler, som af Medicinrådet var afvist som standardbehandling, hvorfor det 7. princip blev vedtaget uden begrænsning og hensyntagen til ressourcemæssige overvejelser for behandlingsstederne.

Behandlingen med Spinraza var til rådighed for de behandlende læger. Spinraza var produceret, godkendt til anvendelse, og var tilgængeligt i Danmark med mulighed for udlevering. Når de behandlingsansvarlige læger ud fra en samlet lægefaglig vurdering konkluderede, at sagsøgerne ville have gavn af behand-

lingen, hvilket var understøttet af de tilgængelige studier, strider det imod det 7. princip, at regionerne har blokeret for ordinationen.

Det bør i den forbindelse tages i betragtning, at patientgruppen var og er meget lille, samt at der er tale om børn med en alvorlig og progredierende muskelsvindlidelse, hvilket betyder, at det er særligt afgørende for den behandlingsansvarlige læges ordinationsret, at den ikke blokeres af regionerne, som tilfældet har været her.

Regionernes positive beslutning om reelt ansættelsesretligt at pålægge de behandlende læger ikke at anvende den frie ordinationsret kan ikke føre til, at behandlingen ikke i klage- og erstatningslovens forstand var til rådighed. Det gælder særligt, når disse beslutninger klart er i strid med Folketingets beslutninger.

Klage- og erstatningsloven bygger på et objektivi forsikringsprincip, og bedømmelsen af, hvad der er bedste specialiststandard, skal ske under hensyntagen hertil. Ankenævnets hovedsynspunkt om, at det "de facto" ikke var muligt for den behandlingsansvarlige læge at ordinere medicinen, og at sagsøgerne derfor ikke er berettiget til erstatning efter klage- og erstatningsloven har ikke støtte i hverken lovens ordlyd eller formål. Dette gælder særligt, når den manglende behandling ikke hviler på lovgivning vedtaget af Folketinget, men alene er begrundet i regionernes økonomisk begrundende beslutninger.

I modsætning til, hvad der var tilfældet i U2018.3572H, hvor de ressourcemæssige begrænsninger var opstået pludseligt, fordi flere kvinder end forventet skulle indgå i mammografiscreeningen for brystkræft, er fratagelsen af lægernes frie ordinationsret udtryk for en positiv beslutning. Derfor er denne afgørelse ikke sammenlignelig. Regionerne og de sygehusansvarlige har besluttet sig for, at Medicinrådets anbefalinger er bestemmende for, om den enkelte patient kan få den behandling, som den pågældende bør have. Afvisningen af at behandle sagsøgerne med Spinraza strider mod Ministeriets afgørende betingelse om, at Medicinrådet ikke skulle have afgørelseskompetence. I nærværende sag har Medicinrådet "de facto" haft afgørelseskompetencen i forhold til, om sagsøgerne kunne få ordineret Spinraza.

Heller ikke angivelsen i klage- og erstatningsloven om, at vurderingen af, om behandlingen har levet op til bedste specialiststandard, skal foretages efter "de i øvrigt givne forhold", kan føre til, at enhver politisk/økonomisk beslutning er afgørende og "overtrumfer" den lægefaglige vurdering.

Når det afgørende er, om den erfarne specialist kunne have ordineret til Spinraza til sagsøgerne, må der nødvendigvis af retssikkerhedsmæssige grunde ind-

fortolkes et "burde have kunne" ordineret. Specialistreglen er en objektiv norm, og derfor kan den enkelte læges faktiske mulighed ikke være afgørende.

Sagsøgerne Sagsøger 4 og Sagsøger 5 har yderligere anført, at overlæge Vidne 2 burde have udfærdiget henvisninger til dem med henblik på behandling i Sverige, da dette kom på tale, frem for at have stillet deltagelse i et dansk behandlingsprogram i udsigt. Alt tyder på, at Vidne 2 ikke helt vidste, hvor meget der skulle til for få et sådant program gennemført.

Sagsøgerne Sagsøger 1 og Sagsøger 2 har yderligere anført, at de i hvert fald burde have været sat i protokolleret behandling efter Medicinrådets anbefaling af 30. maj 2018, hvor Spinraza blev anbefalet som mulig standardbehandling til nogle patientgrupper.

Ankenævnet for Patienterstatningen har til støtte for den principale påstand om frifindelse overordnet anført, at der ikke er grundlag for at tilsidesætte ankenævnets afgørelser af 1. april 2019.

Ankenævnet er et kollegialt organ med en særlig sagkundskab og erfaring i at bedømme sager efter klage- og erstatningsloven, da ankenævnet blandt andet har medlemmer med juridisk og lægevidenskabelig baggrund, og da ankenævnet behandler et stort antal sager. Dette må tages i betragtning ved bevisbedømmelsen, og sagsøgerne skal derfor påvise et sikkert grundlag for at tilsidesætte ankenævnets afgørelse. Dette er sagsøgernes bevisbyrde, og denne bevisbyrde er ikke løftet.

Efter klage- og erstatningslovens § 20, stk. 1, nr. 1, er det en betingelse for erstatning, at "... det må antages, at en erfaren specialist på det pågældende område under de i øvrigt givne forhold ville have handlet anderledes ... hvorved skaden ville være undgået." Ifølge forarbejderne til patientforsikringslovens § 2, stk. 1, nr. 1, som nu er klage- og erstatningslovens § 20, stk. 1, nr. 1, skal der bl.a. tages hensyn til de ydre faciliteter, der stod til rådighed. Hvis ressourcemæssige begrænsninger har betinget udfaldet af en given behandling, manglende behandling eller undersøgelse, foreligger der ikke et ansvarsgrundlag.

Samme synspunkter findes i den rapport fra 1986, der som led i det lovforberedende arbejde blev udarbejdet af en af Indenrigsministeriet nedsat arbejdsgruppe vedrørende en dansk patient- og lægemiddelforsikringsordning, i vejledning nr. 125 af 25. juni 1992 om erstatningskriterier i patientforsikringsloven og i betænkning 1346/1997 om revision af lov om patientforsikring.

Det følger af retspraksis, at domstolene er tilbageholdende med at tilkende erstatning ud fra betragtninger om ressourceanvendelsen i sundhedssektoren. Selve ressourcefordelingen og tilrettelæggelsen af de tilgængelige ressourcer er

et politisk og økonomisk spørgsmål, og det har ikke været intentionen med patientskadeordningens indførelse, at domstolene eller patientskademmyndighederne skulle censurere offentlige myndigheders beslutninger om ressourceanvendelsen i sygehussektoren.

Ved vurderingen af sagerne har ankenævnet lagt vægt på, at der ved vedtagelsen af de syv principper for prioritering af sygehusmedicin ikke blev taget stilling til, om eventuel manglende overholdelse af principperne skal medføre kompensation i form af erstatning eller godtgørelse. Derfor skal vurderingen af, om der kan ydes erstatning, foretages efter de generelle regler i klage- og erstatningsloven.

Indførelsen af et Medicinråd, der giver anbefalinger om anvendelse af lægemidler, og muligheden for, at læger konkret for patienter, der ikke er omfattet af Medicinrådets anbefalinger om anvendelse af lægemidler, kan ansøge de regionale lægemiddelkomitéer og i visse tilfælde det enkelte hospital, indebærer, at et behandlingsafslag de facto medfører, at den behandlende læge ikke har mulighed for at ordinere den ansøgte medicin til den pågældende patient.

Det er i den forbindelse ikke afgørende, om lægen rent juridisk havde en behandlings- eller ordinationsret, herunder at lægemidlet var produceret og godkendt til anvendelse i Danmark. Lovens sigte er ikke at pålægge sygehusene en optimal standard, hvor al tilgængelig behandling i Danmark skal stå til rådighed for den enkelte læge, og hvor en manglende behandlingsmulighed begrundet i en ressourcemæssig prioritering kan danne grundlag for et erstatningskrav i henhold til klage- og erstatningsloven.

Grundlæggende lighedsprincipper kan ligeledes ikke føre til, at en region bliver erstatningspligtig i en situation, hvor regionen af ressourcemæssige grunde ikke har kunnet tilbyde en bestemt behandling, jf. bl.a. U1985.368H og U2008.2813H. Afgørelsen refereret i U2018.3572H er om muligt endnu klarere angående ressourceproblematikken, idet der i den sag, modsat 1985- og 2008-afgørelserne, ikke var tale om akut opståede behandlingsbehov, og idet culpa-normen kunne siges at være klart fastlagt med fristerne i de omhandlede screeningsprogrammer.

Den ændring af klage- og erstatningsloven, der skete i 2019, og hvorved det nu-gældende stk. 2 blev indsat i § 20, var en politisk reaktion på 2018-afgørelsen, og af forarbejderne til lovændringen fremgår klart, at der gælder en ressource-regel, som medfører en begrænsning i det ellers lempeligere ansvarsgrundlag efter klage- og erstatningsloven, og som videreføres uændret, bortset fra screeningsundersøgelser for kræft.

På den baggrund gøres det gældende, at hvis den behandlende læge de facto har været afskåret fra at ordinere medicinen til den konkrete patient, er betingelserne for at yde erstatning efter klage- og erstatningslovens 20, stk. 1, nr. 1, ikke opfyldt.

Det må lægges til grund, at en erfaren specialist under de i øvrigt givne forhold de facto ikke kunne have ordineret Spinraza uden for Medicinrådets anbefalinger. Dermed foreligger der ikke et ansvarsgrundlag efter klage- og erstatningslovens § 20, stk. 1, nr. 1.

Hvis det må lægges til grund – hvilket bestrides af ankenævnet – at regionerne af ressourcemæssige grunde måtte have begrænset lægernes adgang til at kunne ordinere medicin i videre omfang, end hvad der fra Folketingets side var tiltænkt, kan dette ikke føre til, at der foreligger et ansvarsgrundlag efter klage- og erstatningslovens § 20, stk. 1, nr. 1. Det afgørende er, hvorvidt Spinraza i den konkrete situation var til rådighed som en behandlingsmulighed for den erfarne specialist. Som vurderet af ankenævnet var dette ikke tilfældet.

Det falder uden for sagen at efterprøve, om regionernes prioritering af ressourcerne er rimelige og tilstrækkelige, herunder om regionerne i fornødent omfang har efterlevet det 7. princip.

Ankenævnet har med rette konkret vedrørende de enkelte sagsøgere vurderet, at der ikke er grundlag for at yde erstatning for den manglende behandling med Spinraza, idet eventuelle skader, der måtte være opstået som følge af manglende behandling med Spinraza, ikke er omfattet af klage- og erstatningslovens § 20, stk. 1, nr. 1. De behandlende læger kunne af ressourcemæssige grunde ikke ordinere Spinraza i de perioder, som sagsøgerne har anført i deres påstande.

Nogle af sagsøgerne blev behandlet i Region 1, mens andre blev behandlet i Region 2. I begge regioner krævede behandling med Spinraza tilladelse eller godkendelse fra et regionalt lægemiddelråd eller lægemiddelkomité. De behandlende læger søgte sådanne godkendelser eller tilladelser, men fik i alle tilfælde afslag.

På den baggrund bestrides det, at behandlingen med Spinraza de facto konkret var til rådighed for de behandlende læger.

Til støtte for den subsidiaire påstand om hjemvisning har Ankenævnet for Patienterstatningen anført, at såfremt sagsøgerne måtte få medhold i, at en erfaren specialist de facto under de i øvrigt givne forhold kunne have ordineret Spinraza, må sagen hjemvises med henblik på stillingtagen til, om en erfaren specialist

på området konkret ville have ordineret Spinraza, samt i bekræftende fald om sagsøgerne er påført behandlingsskader som følge af undladelsen heraf.

Retsgrundlag

Lov om klage- og erstatningsadgang inden for sundhedsvæsenet § 20 er sålydende:

”Erstatning ydes, hvis skaden med overvejende sandsynlighed er forvoldt på en af følgende måder:

1. Hvis det må antages, at en erfaren specialist på det pågældende område under de i øvrigt givne forhold ville have handlet anderledes ved undersøgelse, behandling el.lign., hvorved skaden ville være undgået, jf. dog stk. 2,
2. hvis skaden skyldes fejl eller svigt i teknisk apparatur, redskaber eller andet udstyr, der anvendes ved eller i forbindelse med undersøgelse, behandling el.lign.,
3. hvis skaden ud fra en efterfølgende vurdering kunne være undgået ved hjælp af en anden til rådighed stående behandlingsteknik eller behandlingsmetode, som ud fra et medicinsk synspunkt ville have været lige så effektiv til behandling af patientens sygdom, eller
4. hvis der som følge af undersøgelse, herunder diagnostiske indgreb, eller behandling indtræder skade i form af infektioner eller andre komplikationer, der er mere omfattende, end hvad patienten med rimelighed må tåle. Der skal herved tages hensyn til dels skadens alvor, dels patientens sygdom og helbredstilstand i øvrigt samt til skadens sjældenhed og mulighederne i øvrigt for at tage risikoen for dens indtræden i betragtning.

Stk. 2. Begrænsninger af erstatningsansvaret i stk. 1, nr. 1, på grund af de i øvrigt givne forhold, som den erfarne specialist handler under, gælder dog ikke i sager om manglende overholdelse af sundhedslovens §§ 85-85 b.

Stk. 3. Sundhedsministeren kan fastsætte regler om, hvilke skader der efter stk. 1 nærmere er omfattet af loven. Ministeren kan endvidere fastsætte regler om, at visse skader efter stk. 1, nr. 3, er undtaget fra dette kapitel.”

Bestemmelserne i § 20 blev, bortset fra stk. 2, indført ved lov nr. 547 af 24. juni 2005 om klage- og erstatningsadgang inden for sundhedsvæsenet. Til grund for loven lå lovforslag nr. 75 af 24. februar 2005 til lov om klage- og erstatningsadgang inden for sundhedsvæsenet. Af lovforslagets specielle bemærkninger til

bl.a. § 20 fremgår, at bestemmelsen var en uændret videreførelse af den hidtidige bestemmelse i patientforsikringslovens § 2.

Bestemmelsen i patientforsikringslovens § 2, som blev indført ved lov nr. 367 af 6. juni 1991, havde følgende ordlyd:

”Erstatning ydes, hvis skaden med overvejende sandsynlighed er forvoldt på en af følgende måder:

1) hvis det må antages, at en erfaren specialist på det pågældende område under de i øvrigt givne forhold ville have handlet anderledes ved undersøgelse, behandling eller lignende, hvorved skaden ville være undgået,

...”

Forarbejderne til bestemmelsen i patientforsikringslovens § 2 indeholder blandt andet følgende afsnit, jf. de specielle bemærkninger i lovforslag nr. 144 af 8. februar 1991 til lov om patientforsikring:

”Reglen indeholder træk, som også karakteriserer den hidtil gældende culparegel, men ikke er identisk med denne. Det er ikke nogen betingelse, at behandlingen m.v. kan bebrejdes den konkrete læge eller medicinalperson i øvrigt som en fejl eller forsømmelse, som denne burde have undgået ved at udvise en højere grad af agtpågivenhed. Dette følger af, at målestokken for vurderingen af, om skaden kunne være undgået ved andre undersøgelser eller anden behandling m.v., altid er de undersøgelser eller den behandling m.v., som en erfaren specialist på det pågældende område må antages at ville have iværksat. Der skal således helt ses bort fra den konkrete medicinalpersons faglige baggrund og individuelle forudsætninger i øvrigt for at erkende, at anden undersøgelse, behandling m.v. havde været indiceret. Derimod skal der tages hensyn til den konkrete undersøgelses- eller behandlingssituation, herunder de ydre faciliteter, der stod til rådighed, tidsfaktoren ved et nødvendigt akut indgreb m.v. Vurderingen skal således tage udgangspunkt i de konkrete omstændigheder, der forelå på behandlingstidspunktet, men således at den konkrete læge mv. tænkes udskiftet med en erfaren specialist. Ville specialisten under disse omstændigheder have handlet anderledes, end der faktisk blev behandlet, har patienten ret til erstatning i det omfang, det må antages, at skaden herved ville være blevet undgået...”

Forud for fremsættelsen af lovforslaget til patientforsikringsloven havde Indenrigsministeriet som led i det lovforberedende arbejde nedsat en arbejdsgruppe, der i juni 1986 udsendte rapporten ”Patient- og lægemiddelforsikring. Rapport

fra den af indenrigsministeriet nedsatte arbejdsgruppe vedrørende en dansk patient- og lægemiddelforsikringsordning". Af rapportens kap. 3, pkt. 3.3.4.2. C, side 84-88, fremgår blandt andet følgende om skader, som efter arbejdsgruppens opfattelse skulle falde uden for den foreslåede bestemmelse i lovens § 20:

"C. Skaden ville være blevet undgået med en anden behandlingsmetode, men denne stod ikke til rådighed, især af ressourcemæssige grunde.

Denne gruppe adskiller sig fra gruppe B ved, at valg af en alternativ behandlingsmulighed kun fremstod som en teoretisk mulighed, idet man på behandlingstidspunktet af praktiske eller ressourcemæssige grunde ikke havde taget den anden metode i anvendelse herhjemme eller dog ikke på det sygehus, hvor behandlingen fandt sted, uden at der var praktisk mulighed for at overflytte patienten til et andet sygehus.

En patient lider f.eks. af en alvorlig hjertelidelse, der kun kan helbredes ved en hjertetransplantation, som imidlertid ikke tilbydes herhjemme. Der foreligger ikke eksempler fra retspraksis, men det er givet, at domstolene ikke vil censurere offentlige myndigheders beslutninger om ressourceanvendelsen i sygehussektoren m.v., når blot standarden ligger inden for rammerne af det lægeligt forsvarlige.

...

For så vidt angår gruppe C ville tilkendelse af erstatning være et udtryk for, at samfundet på denne måde så at sige betalte sig fra ikke at have taget de optimale behandlingsmetoder i anvendelse, som den internationale lægevidenskabelige udvikling gav mulighed for, eller i øvrigt fra negative virkninger af overordnede politiske beslutninger om, hvilke ressourcer der skal anvendes inden for sygehussektoren m.v. Ud fra en snæver økonomisk synsvinkel kan en sådan erstatningsordning måske være rationel, men arbejdsgruppen finder ikke, at en patientforsikring bør anvendes kynisk som et instrument til at udvikle en "optimal" standard for sundhedsvæsenets kvalitet. Tilkendelse af erstatning i disse tilfælde ville nærme sig til det "garantisynspunkt", som arbejdsgruppen må tage afstand fra Det er dog klart, at erstatning må tilkendes - ud fra de under I anførte synspunkter - såfremt ressourcemæssige begrænsninger sænker standarden til under det lægeligt forsvarlige"

I 1996 nedsatte Sundhedsministeriet et udvalg vedrørende revision af lov om patientforsikring. Baggrunden herfor var, at det i forbindelse med patientforsikringslovens vedtagelse var blevet besluttet, at der senest fem år efter ordningens indførelse skulle foretages en samlet vurdering af ordningen. Med henblik på sådan vurdering blev der nedsat et udvalg, der afgav Betænkning

1346/1997 om revision af lov om patientforsikring. Betænkningens afsnit 2.3.1. om "specialistreglen" i lovens § 2, stk. 1, nr. 1, indeholder blandt andet følgende afsnit:

"Det afgørende ved vurderingen er, om den erfarne specialist, under i de i øvrigt givne forhold, ville have handlet anderledes. Det følger heraf, at der skal tages hensyn til den konkrete undersøgelses- og behandlingssituation, herunder de ydre faciliteter, der stod til rådighed, og tidsfaktoren ved et nødvendigt akut indgreb m.v.

Hvis f.eks. en patient indlægges i en akut livstruende situation på et mindre sygehus, hvor der ikke findes avanceret udstyr, og hvis patienten ikke kan tåle at blive flyttet til specialsygehus, skal specialismålestokken anvendes på grundlag af, hvad den erfarne specialist ville have kunnet udrette under disse forhold - og ikke under de optimale forhold på et specialiseret sygehus."

Klage- og erstatningslovens § 20, stk. 2, blev indført ved lov nr. 1435 af 17. december 2019 om ændring af lov om klage- og erstatningsadgang inden for sundhedsvæsenet og sundhedsloven på baggrund af lovforslag nr. 34 af 3. oktober 2019.

I indledningen af de almindelige bemærkninger til lovforslaget er bl.a. anført:

" Patienter, der kommer til skade i det danske sundhedsvæsen, kan søge erstatning og godtgørelse for behandlings- eller lægemiddelskader efter reglerne i lov om klage- og erstatningsadgang inden for sundhedsvæsenet (klage- og erstatningsloven), jf. lovbekendtgørelse nr. 995 af 14. juni 2018.

I vurderingen af om der er grundlag for at give erstatning, indgår den såkaldte ressourceregel, der medfører en begrænsning i det ellers lempeligere ansvarsgrundlag, som gælder i sager, der afgøres efter klage- og erstatningsloven.

Det var således med baggrund i ressourcereglens, at Patienterstatningen i 2015 gav 22 kvinder afslag på erstatning på trods af, at kvinderne ikke var blevet indkaldt rettidigt til undersøgelse (screening) for brystkræft i Region 1. Selvom kvinderne havde udviklet brystkræft, vurderede Patienterstatningen, at regionen som følge af personalemæssige og økonomiske begrænsninger ikke kunne ifalde erstatningsansvar.

En af sagerne blev indbragt for Højesteret, der den 28. august 2018 stadfæstede Østre Landsrets dom af 15. januar 2018, hvorefter regionen ikke kunne anses for erstatningsansvarlig. Selvom retten til tilbud om screening for brystkræft var lovfæstet i sundhedslovens § 85, vurderede

domstolene, at patienten ikke var berettiget til erstatning for en eventuel skade som følge af manglende overholdelse af screeningsintervallet.

Med dette lovforslag ønsker regeringen at gøre op med denne retstilstand. Det er efter regeringens opfattelse ikke rimeligt, at patienter, som får en skade som følge af forsinket indkaldelse til screening for brystkræft ikke har mulighed for at få deres sag realitetsbehandlet med henblik på eventuel tilkendelse af erstatning efter patienterstatningsordningen med henvisning til ressourcemæssige begrænsninger i en region.

Regeringen vil med lovforslaget endvidere sikre, at tilbud om kræftscreening er hjemlet direkte i sundhedsloven, uanset om det drejer sig om brystkræft, livmoderhalskræft eller tyk- og endetarmskræft. Desuden skal tilbuddene om kræftscreeninger gøres mere gennemsigtige for borgerne, hvilket også fremmer regeringens ønske om en så høj deltagelse i screeningsprogrammerne som muligt.

Det foreslås derfor med lovforslaget at begrænse ressourcereglens anvendelse i patienterstatningssager, således at de personer der fremadrettet påføres en skade som følge af forsinket indkaldelse til screeningsundersøgelse for brystkræft, får adgang til patienterstatning, hvis klage- og erstatningslovens øvrige erstatningsbetingelser er opfyldt.

Det foreslås samtidig at lade begrænsningen i ressourcereglens anvendelse omfatte samtlige screeningsundersøgelser for kræft. Altså også tilbuddene om undersøgelse for livmoderhalskræft og tyk- og endetarmskræft skal samtidig indskrives i sundhedsloven som patientretigheder.

..."

I lovforslagets beskrivelse af gældende ret hedder det bl.a.:

" Efter klage- og erstatningslovens § 20, stk. 1, nr. 1, ydes erstatning og godtgørelse, hvis det må antages, at en erfaren specialist på det pågældende område under de i øvrigt givne forhold ville have handlet anderledes ved undersøgelse, behandling eller lignende, hvorved skaden med overvejende sandsynlighed ville være undgået (specialistreglen).

Patienterstatningsordningen er således en mere favorabel erstatningsordning end den, der følger af dansk rets almindelige erstatningsregler. Ansvarsgrundlaget og bevisreglerne er lempeligere end efter de almindelige erstatningsregler.

Men som det fremgår, er specialistreglen underlagt en begrænsning ved formuleringen 'under de i øvrigt givne forhold', også kaldt ressourcereglen. Denne regel tager sigte på de ressourcemæssige rammer, som den pågældende specialist handler inden for, herunder de fysiske

rammer, tid, økonomi, personel m.v. I de tilfælde, hvor skaden er opstået på baggrund af de ressourcemæssige begrænsninger, som den erfarne specialist handler under, vil skaden ikke være omfattet af klage- og erstatningsloven.

Domstolene ses i sager, hvor der foreligger ressourcemæssige begrænsninger, at give den behandlingsansvarlige medhold i, at patienter, som har fået en skade som følge heraf, ikke er berettiget til erstatning. I dom af 19. september 2008 (U2008. 2813H) vurderede Højesteret således, at det var et politisk-økonomisk spørgsmål i hvilket omfang, der skulle være akut beredskab til operation i weekenden. Betingelserne for at yde erstatning efter klage- og erstatningsloven for skade som følge af ventetid i weekenden var derfor ikke opfyldt.

Senest har Højesteret i dom af 28. august 2018 (U2018. 3572H) fastslået, at en kvinde, som blev indkaldt 38 dage for sent til en undersøgelse for brystkræft, og efterfølgende fik konstateret brystkræft, ikke var berettiget til erstatning efter klage- og erstatningsloven for eventuelle skader som følge af forsinkelsen. Dette skyldtes, at den forsinkede screening kunne henføres til manglende personalemæssige og økonomiske ressourcer i regionen. Højesteret vurderede på den baggrund, at det ikke var tiltænkt, at reglerne i klage- og erstatningsloven skulle anvendes som et instrument til at udvikle en »optimal standard« for sundhedsvæsenets kvalitet. De ressourcemæssige forhold kunne derfor ikke i sig selv føre til, at forholdet var omfattet af klage- og erstatningslovens § 20, stk. 1, nr. 1.

...”

Om Sundheds- og Ældreministeriets overvejelser om den foreslåede ordning er i lovforslaget bl.a. anført:

” Ressourcereglens er imidlertid et vigtigt og nødvendigt element i patienterstatningsordningen. Målestokken for fejlbedømmelsen kan realistisk set ikke være en fejlfri standard, men hvad en erfaren specialist ville gøre i den konkrete situation. Der vil forekomme situationer, hvor den erfarne specialist er nødt til at foretage nogle akutte og konkrete prioriteringer i forhold til f.eks. rækkefølgen af patienternes behandling på baggrund af en række faktorer; herunder overordnede politiske- og økonomiske prioriteringer i forhold til brugen af et behandlingssted.

Sundheds- og Ældreministeriet finder derfor, at lovens udgangspunkt fortsat skal være, at manglende efterlevelse af specialistreglen alene skal være ansvarspådragende, hvis der reelt er mulighed for at handle anderledes med de ressourcer, der faktisk er til rådighed.

...”

Landsrettens begrundelse og resultat

Medicinrådet afgav dets første anbefaling i relation til lægemidlet Spinraza den 12. oktober 2017. Senere afgav Medicinrådet fornyede anbefalinger, men for de perioder, som er omfattet af denne sag, var Medicinrådets gennemgående anbefaling, at lægemidlet ikke kunne anbefales som standardbehandling til de patientgrupper, som sagsøgerne tilhører.

I anbefalingerne fandt Medicinrådet, at der ikke var proportionalitet mellem den forlangte pris for lægemidlet og effekten af at tage det i brug som standardbehandling.

Efter bevisførelsen lægger landsretten til grund, at behandling med Spinraza i Region 1 forud for Medicinrådets anbefaling af 12. oktober 2017 krævede tilladelse/godkendelse af lægemiddelrådet i regionen, og at ansøgninger om behandling af Sagsøger 4 og Sagsøger 5 med lægemidlet blev afslået.

Landsretten lægger endvidere til grund, at det, såvel i Region 1 som i Region 2, efter Medicinrådet var begyndt af afgive anbefalinger om anvendelsen af lægemidlet som standardbehandling, krævede tilladelse fra en regional lægemiddelkomite/et regionalt lægemiddelråd, hvis det skulle anvendes til behandling ud over Medicinrådets anbefaling.

Der blev søgt om tilladelse til sådan behandling til sagsøgerne Sagsøger 1, Sagsøger 2, Sagsøger 3 og Sagsøger 6, men ansøgningerne blev ikke imødekommet.

På den anførte baggrund og efter forklaringerne fra overlægerne Vidne 1 og Vidne 2, lægger landsretten herefter til grund, at Spinraza af ressourcemæssige årsager hverken stod til rådighed til anvendelse til behandling af Sagsøger 1 eller Sagsøger 2 på Behandlingssted 2 eller til behandling af Sagsøger 3, Sagsøger 4, Sagsøger 5 og Sagsøger 6 på Behandlingssted 1 i de perioder, som de har anført.

Som følge heraf kunne en erfaren specialist på det pågældende område under de i øvrigt givne forhold ikke have ordineret Spinraza til sagsøgerne. Herefter, og da det af sagsøgerne i øvrigt anførte ikke kan føre til andet resultat, er der ikke grundlag for at tage sagsøgernes påstande til følge.

Landsretten frifinder derfor Ankenævnet for Patienterstatningen.

Efter sagernes udfald skal hver af sagsøgerne betale sagsomkostninger til Ankenævnet for Patienterstatningen med 50.000 kr. til dækning af udgifter til ad-

vokatbistand inkl. moms. Ud over sagernes værdi er der ved fastsættelsen af beløbet til advokat taget hensyn til sagernes omfang og forløb, samt til, at sagerne har været forberedt og hovedforhandlet samlet.

Da sagsøgerne alle har fri proces og retshjælpsdækninger, skal sagsomkostningsbeløbene til Ankenævnet for Patienterstatningen betales af statskassen, i det omfang der ikke er retshjælpsdækning.

THI KENDES FOR RET:

Ankenævnet for Patienterstatningen frifindes.

I sagsomkostninger skal Sagsøger 1 (retshjælpsforsikringen), subsidiært statskassen, inden 14 dage betale 50.000 kr. til Ankenævnet for Patienterstatningen. Beløbet forrentes efter rentelovens § 8 a.

I sagsomkostninger skal Sagsøger 2 (retshjælpsforsikringen), subsidiært statskassen, inden 14 dage betale 50.000 kr. til Ankenævnet for Patienterstatningen. Beløbet forrentes efter rentelovens § 8 a.

I sagsomkostninger skal Sagsøger 3, (retshjælpsforsikringen), subsidiært statskassen, inden 14 dage betale 50.000 kr. til Ankenævnet for Patienterstatningen. Beløbet forrentes efter rentelovens § 8 a.

I sagsomkostninger skal Sagsøger 4 (retshjælpsforsikringen), subsidiært statskassen, inden 14 dage betale 50.000 kr. til Ankenævnet for Patienterstatningen. Beløbet forrentes efter rentelovens § 8 a.

I sagsomkostninger skal Sagsøger 5 (retshjælpsforsikringen), subsidiært statskassen, inden 14 dage betale 50.000 kr. til Ankenævnet for Patienterstatningen. Beløbet forrentes efter rentelovens § 8 a.

I sagsomkostninger skal Sagsøger 6 (retshjælpsforsikringen), subsidiært statskassen, inden 14 dage betale 50.000 kr. til Ankenævnet for Patienterstatningen. Beløbet forrentes efter rentelovens § 8 a.

Publiceret til portalen d. 09-07-2021 kl. 10:01

Modtagere: Væрге 3, Advokat (H) Karsten Høj, Sagsøgte Ankenævnet
for Patienterstatningen, Advokat (H) Finn Schwarz, Sagsøger 6