

# Nyhetsbrev LHL Alfa-1

## vinter 2025

### Julehilsen fra arbeidsutvalget

2025 har vært et begivenhetsrikt år hvor Alfa-1 arbeidet primært har foregått på Nordisk- og EU nivå. Året ble innledet ved at Bremsemedisinene for emfysem Prolastina og Respreeza ble tatt opp til en helseøkonomisk vurdering av det det svenske NT-rådet som bestemmer hvilke nye legemidler som skal være gratis tilgjengelig for svenske borgere. Et positivt vedtak i Sverige vil kunne ha stor betydning for Norge, ettersom vi da blir det eneste skandinaviske landet som ikke tilbyr bremsende behandling for Alfa-1 emfysem. Arbeidsutvalget har derfor lagt mye krefter i å jobbe gjennom den nordiske Alfa-1 foreningen for å påvirke svenske politikere og beslutningstakere, sammen med de svenske styremedlemmene i Alfa-1 Norden. Vi har lyktes i å få møter med svenske politikere med omtale i Riksdagen. Vi har hatt møter med det svenske NT-rådet og TLV som skal foreta den helseøkonomiske vurderingen, og i korrespondanse med den svenske sosialkomiteen på Riksdagen har vi opplyst om sykdomsbyrden og behovet for medisin. Senest har vi produsert to podkaster og en advertorial/artikkel i Nettdoktor Pro. som vi vil bruke til videre påvirkningsarbeid både i Norge og Sverige. Arbeidet i Sverige har vært betydelig enklere enn i Norge, ettersom politikere har vært imøtekommende og villige til å møte oss. Vi håper på et positivt vedtak i Sverige og at dette kan brukes inn i den norske medisinsaken. Nå tar vi juleferie. Vi ønsker alle en fredelig jul og kommer sterkere tilbake i 2026.

### Oppdatering i den norske medisinsaken

Arbeidsutvalget erfarer at det fortsatt er stillstand i forhandlingene mellom Sykehusinnkjøp og leverandørene av Prolastina og Respreeza, bremsemedisiner for emfysem. I begynnelsen av 2026 kommer vi til å be om møter med relevante instanser for å få fremgang i saken. Vårt mål er å synliggjøre at Alfa-1 pasienter i Norge har et reelt behov for medisin og at det ikke er akseptabelt å holde norske Alfa-1 pasienter på vent. I mellomtiden minner vi på at det er anledning til å søke om medisinene på individuelt grunnlag, dersom man kan dokumentere at man er ekstra hardt rammet av sykdommen sammenliknet med pasientgruppen ellers. Denne søknaden må fremmes av lungelegene på ditt sykehus. Be om henvisning til lungeavdeling fra din lege slik at du kan diskutere dette med lungeavdelingen i ditt helseforetak dersom du tenker at dette kan gjelde deg.



Dr. Hanan Tanash. Foto Nettdoktor.Pro.

### Dr. Tanash støtter Svenske Alfa-1 pasienter i kampen for bremsemedisin

Alfa-1 Norden har nylig publisert en advertorial-artikkel i det svenske magasinet Nettdoktor.Pro. Artikkelen, som heter "Emfysem: Är det rättvist att värderasvenska Alfa-1-pasienters liv i pengar?", omhandler den pågående medisinsaken i Sverige. Dr. Tanash, som er overlege ved lunge- og allergiseksjonen på Skånes universitetssjukhus, gir tydelig støtte til de svenske Alfa-1 pasienter i deres kamp for å få bremsemedisin for emfysem (Prolastina og Respreeza). Hun uttaler at:

*"Patienter med svår alfa-1-antitrypsinbrist och emfysem som uppfyller kriterierna måste få samma möjlighet till behandling som patienter i andra länder. Att neka dem denna behandling innebär att vi sviker en redan hårt drabbad patientgrupp. Det leder till en ojämlik vård och innebär att svenska patienter får sämre förutsättningar än patienter i många andra länder".* Artikkelen kan leses på [Nettdoktor.Pro](https://nettdoktor.pro)

Vil du hjelpe de Svenske Alfa-1 pasienter til å få livsforlengende bremsemedisin for emfysem? Da kan du bidra med å dele denne artikkelen med venner, bekjente, lungeleger, politikere og journalister. Sammen kan vi påvirke!

## Ny podkast om å forlate Norge for å få bremsende medisin for emfysem

Vi du hjelpe Norske Alfa-1 pasienter til å få medisin og skape mer oppmerksomhet omkring Alfa-1 mangel? Da kan du bidra ved å dele podden med venner, bekjente, lungeleger, politikere og journalister i Norge. Sammen kan vi påvirke!

Avslaget på bremsemedisin i Beslutningsforum for nye metoder har alvorlige konsekvenser for mange norske Alfa-1 pasienter og medlemmene i arbeidsutvalget er intet unntak. Noen av Alfa-1 pasientene i Norge har ikke sett noen annen utvei enn å flytte til utlandet. Kari i AU en er av de som er på flyttefot for å få bremse sin lungesykdom. Hun har valgt å stå frem med sin historie i en podkast med tittelen «Grenseløs urettferdighet – Når håpet om medisin bare finnes i utlandet». Du kan lytte til podden på Alfa-1 Nordens YouTube kanal <https://www.youtube.com/@alfa-1Norden824>



## Alfa-1 Symposium i Køge er tilgjengelig online

Den 6. november avholdte den nordiske Alfa-1 foreningen et symposium som omhandlet lungesykdom, behandling, biokjemiske endringer og hjertesykdom hos Alfa-1 pasienter. Her var det mye spennende læring og det ble tatt opptak av foredragene. Symposiumet er tilgjengelig på denne lenken: <https://www.youtube.com/@alfa-1Norden824>



## Kamada trekker sin studie på inhalert Alfa-1

Kamada trekker sin Fase 3 studie på inhalert Alfa-1 antitrypsin. Dette etter at interne beregninger viser at det er usannsynlig å statistisk kunne vise effekt på FEV1 som de godkjennende myndigheter i EU og USA krever. Erfaringene viser at det er vanskelig å benytte FEV1 som mål i Alfa-1 studier grunnet begrenset deltakerantall og langsomt utviklende sykdom. Vi er skuffet over myndighetenes krav om FEV1 som utkomstmål, og håper at dette fjernes i fremtidige Alfa-1 studier. Det understrekes at medisinen er trygg og data som er innsamlet vil bli publisert.

## Kunstig Alfa-1 antitrypsin er lovende

Legemiddelselskapet Sanofi tester ut en ny infusjonsmedisin som de håper kan bremse skadevirkningene av enzymet neutrofil elastase som fører til emfysemutvikling hos Alfa-1 lungesyke. Studien, ved navn ElevAAte, er pågående blant annet i Sverige og Danmark. Legemiddelet som undersøkes kalles Efdoralprin alfa (tidligere INBRX-101). Det er et eksperimentelt Alfa-1 antitrypsin, som gis intravenøst hver 3 eller 4 uke. Efdoralprin alfa lages i laboratoriet og har en annen form enn normalt Alfa-1 antitrypsin. Det kan derfor sveve lenger i blodet enn naturlig Alfa-1 antitrypsin som man finner i legemidlene Prolastina og Respreeza, som begge er høstet fra menneskeblod og gis som infusjon 1 gang i uken. De første funn fra ElevAAte fase II studien virker lovende. Behandlingen ser ut til å ha få bivirkninger og pasienter som infuseres med Efdoralprin alfa får

økning opp mot normalt nivå av funksjonell Alfa-1 antitrypsin i blodet. Konsentrasjonen i blodet holder seg også høyere enn beskyttende nivå i flere dager, sammenliknet med standard infusjon. Produksjon av dagens bremsemedisin for emfysem er dyrt og tidkrevende. Eksempelvis kreves det 900 donorer for å fremskaffe nok Alfa-1 antitrypsin til en pasient. I tillegg er det personlige og samfunnsmessige kostnader knyttet til de ukentlige infusjoner på sykehus. Behandling med kunstig Alfa-1 vil være derfor være banebrytende i det det kan produseres i laboratoriet, uavhengig av bloddonorer og krever færre infusjoner. Medisinen testes nå videre for å undersøke sikkerhet for pasientene. Studien er i en tidlig fase så det vil ta tid før man vet om den er sikker og om den bremser emfysemutviklingen på samme måte som Prolastina og Respreeza. Arbeidsutvalget vil holde dere oppdatert når det kommer nye funn fra studien.



## Rapport fra det europeiske pasientakademiet i Praha



En utfordring for mange pasientorganisasjoner er hvordan de skal nå frem med sitt budskap til helsemyndigheter, eksperter, legemiddelselskaper, beslutningsfora osv. Mangel på å takle denne utfordringen gjør at mange pasienter ikke får den hjelpen de trenger, og har krav på, med lavere livskvalitet og tidlig død som en følge. Innenfor lungeområdet har 6 pasientorganisasjoner nå sluttet krefter og dannet et akademi som skal høyne kompetansen til pasientrepresentanter som frivillig bruker sin tid og energi på å arbeide for at nåværende og fremtidige pasienter skal få det bedre. Pasientorganisasjonene er Alpha-1 Europe Alliance, CF Europe, European Pulmonary Fibrosis Federation (EU-PFF), PHA EUROPE, TB Europe Coalition og Lung Cancer Europe. Akademiet ble arrangert sammen med European Federation of Allergy and Airways Diseases Patients' Associations (EFA). 45 pasient- eksperter møttes altså i Praha i 4 dager i november. Med ett mål for øyet, å styrke sin posisjon innenfor Lungehelse.

Fra den europeiske alliansen for Alfa-1 deltok Frank Willersinn (B), (NO), Mayci Sheldon (UK), og Ron Ewals (NL). Fra Norge deltok Knut Skaar og Kari Dakota Aasheim som begge sitter i arbeidsutvalget i LHL Alfa-1 og i styret for Alfa-1 Norden. I disse 4 dagene ble det jobbet med hvordan pasientorganisasjoner kan påvirke forskning, helsepolitikk og få bedre tilgang på helsehjelp. Pasientorganisasjoner må arbeide hand-i-hand med beslutningstagere for å skape løsninger som kan gi pasientene en bedre hverdag. Blant temaene var derfor oppmerksomhetskampanjer, stigma, endringsledelse, utfordringer innenfor helsehjelp for lungesyke, pasientens rolle i forskning, hvordan forstå forskningsdata, hvordan bli en god representant for pasientene du representerer, dynamisk lederskap, kommunikasjon, og til slutt hvordan få det beste ut av pasientorganisasjonen din. Etter endt kurs fikk både Kari og Knut et flott diplom (foto t.v.) og vi kom hjem med kjekke verktøy i lommen for videre frivillig arbeid.

## Første norske Alfa-1 registerstudie er publisert

Forskningsleder ved sykehuset i Østfold, Dr. Waleed Ghanima, har i de siste par årene vært opptatt med forskning i det norske pasientregisteret. I studien har han forsøkt å finne ut hvor mange pasienter som er registret med Alfa-1 mangel i Norge, og hvilken sykdomsbyrde disse pasientene har sammenlignet med øvrig befolkning. Artikkelen med navnet **The Epidemiology of Alpha-1 Antitrypsin Deficiency in Norway**, ble publisert i magasinet Clinical Epidemiology

Studien finner at vi i 2019 var 10.7 per 100,000 Alfa-1 pasienter i Norge. Til sammenlikning er tallet 12.9 per 100,000 i Danmark. Ikke uventet finner studien at 47% av Alfa-1 pasientene hadde luftveissykdom, der emfysem var mest vanlig (27%) etterfulgt av astma (13%) og leversykdom (6.4%). Kun et fåtall hadde både lever og lungesykdom. (1.6%). Dødeligheten hos de norske Alfa-1 pasientene var 6.2 ganger høyere enn hos den vanlige befolkning. Dr. Waleed Ghanima understreker at det må gjøres tiltak for å bedre diagnostiseringen av Norske Alfa-1 pasienter og at det er behov for behandling tidligere i pasientforløpet. [Artikkelen kan lese på denne linken.](#)

## Nordisk Alfa-1 treff i Norge i 2026

Den nordiske Alfa-1 foreningen planlegger et nordisk treff, 5-7 juni, 2026, nær Oslo. Fra før av har man gjennomført Nordisk treff både i Danmark og Sverige, med stor suksess, og nå står Norge for tur. På agendaen vil det være forelesninger av lungeleger og man vil også ha andre relevante tema for deg som er Alfa-1 pasient eller pårørende. Det forventes hyggelig selskap med andre Alfa-1 pasienter, god mat, drikke og underholdning. Egenandel er 800 NOK og inkluderer forelesninger, mat, drikke og hotellovernatting fra fredag til søndag.



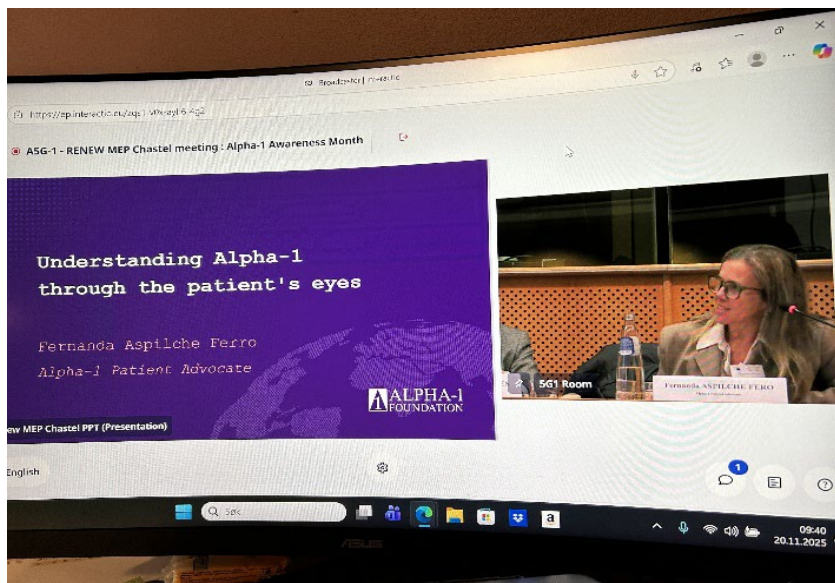
## Møte om Alfa-1 i EU parlamentet

Alfa-1 Global (USA) hadde fått EU parlamentsmedlem Olivier Chastel (Renew, Belgia) til å arrangere et møte om Alfa-1 antitrypsin-mangel. Olivier Chastel er særlig opptatt av at de som er rammet av sjeldne sykdommer ikke også skal rammes av manglende fullverdig helsehjelp, noe som dessverre er tilfelle i flere land i Europa, herunder Norge som ikke har godkjent substitusjonsterapi (bremsemedisin for emfysem). Marc Miravittles (Spania), leder av EARCO og lungelege, påpekte at nettopp substitusjonsterapi var det eneste vesentlige i løpet av 40 år som hadde skjedd i behandlingen av Alfa-1 pasienter med lungeemfysem.

Heldigvis pågår det flere lovende studier og kliniske forsøk på å bedre situasjonen, men foreløpig er det substitusjonsterapi som er den viktigste helsehjelpen for å forlenge antall gode år for emfysemrammede Alfa-1 pasienter.

Sterkest inntrykk gjorde nok Fernanda Aspilche Ferro (leder Alfa-1 Europa, spansk, men bosatt i Belgia) som fortalte om da hun ble rammet av stadig dårligere pust i 40-årene, og raskt fikk diagnosen astma. En diagnose hun levde med i 5 år før hun fikk diagnosen Alfa-1 antitrypsin mangel og lungeemfysem. På det tidspunktet hadde hun passert 2010 som er fristen Belgia har for å gi substitusjonsterapi. Har du fått diagnosen før 2010,

får du terapien på helsevesenets regning, har du fått diagnosen senere, får du ikke hjelp, eller som i Fernandas tilfelle, hvor hun fikk beskjed å sette seg ned å vente på at hun ble dårlig nok til å settes på lungetransplantasjons-venteliste. En inhuman måte å forskjellsbehandle pasienter på, og som parlamentsmedlem Olivier Chastel reagerte sterkt på. Oppsummert kan det sies at det er mange piler som peker i riktig retning nå for Alfa-1 diagnostiserte, men ennå får ikke mange pasienter den helsehjelp de behøver og har krav på.



Fernanda Aspilche Ferro

Med dette avsluttes årets Julebrev.

Vi ønsker alle en fredelig høytid, og et godt nytt år!

