

---

## Kan man patentere solen?

---

LEDER

LARS SLØRDAL

[lars.slordal@ntnu.no](mailto:lars.slordal@ntnu.no)

Lars Slørdal (f. 1955) er professor i farmakologi ved Norges teknisk-naturvitenskapelige universitet og overlege ved Avdeling for klinisk farmakologi ved St. Olavs hospital.

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

---

### Vi trenger en rasjonell, transparent og mindre kynisk ordning for prising av nye legemidler.

I 1955 fremstilte en gruppe forskere under ledelse av den amerikanske virologen Jonas Salk en effektiv vaksine mot poliomyelitt. Vaksinen utryddet sykdommen i vår del av verden – og overalt hvor den ellers fikk tilstrekkelig innpass. Da Salk ble spurt om hvem som eide patentet på vaksinen, svarte han: «Oss alle, vil jeg mene. Det finnes ikke noe patent. Kan man patentere solen?» (1).

Spinal muskelatrofi (SMA) er en lidelse hvor tap av motoriske nevroner i ryggmargen fører til progredierende bortfall av muskelfunksjon. Sykdommen rammer ca. 1:10 000 individer. Den skyldes vanligvis inaktiverende endringer i genet *SMN1* på kromosom 5. Genet koder for et overlevelsesmotorneuron (survival motor nevron, SMN)-protein, som – jf. navnet – er livsviktig for disse nevronene. Vi har også en variant av *SMN1*-genet, *SMN2*, men produksjonen derfra er for liten til fullt ut å erstatte dysfunksjonelt *SMN1*. Alvorlighetsgraden av spinal muskelatrofi er relatert til *SMN2*s evne til å kompensere for bortfalt proteinproduksjon fra *SMN1*. Antallet *SMN2*-kopier danner basis for inndelingen av sykdommen fra type 0 til type IV. De med type 0 (og en kopi av *SMN2*) utvikler symptomer in utero og dør vanligvis kort tid etter fødselen, mens de med type IV (og  $\geq 4$  kopier av *SMN2*), som utgjør færre enn 5 % av alle med sykdommen, utvikler milde symptomer fra 20–30-årsalderen og har normale leveutsikter. Pasienter med type I, som har to kopier av *SMN2*, utvikler symptomer kort tid etter fødselen og har ubehandlet leveutsikter i størrelsesorden 24 måneder. De utgjør nær 60 % av de rammede (2).

I desember 2016 og i mai 2017 fikk legemidlet nusinersen (med salgsnavnet Spinraza) markedsføringstillatelse i henholdsvis USA og EU/EØS (3). Nusinersen er et antisense-oligonukleotid som kan øke produksjonen av funksjonelt SMN-protein fra *SMN2*.

Terapiprinsippet er relativt nytt og så langt det eneste med effekt mot spinal muskelatrofi. Nusinersen ble utviklet av Cold Spring Harbor Laboratory, University of Massachusetts Medical School og de to kommersielle aktørene Ionis Pharmaceuticals og Biogen. Sistnevnte eier patentet (3). Midlet administreres intratekalt i enkeltdoser opprinnelig prissatt til kr 777 135, noe som innebærer legemiddelkostnader på 4 662 810 første år og 2 331 405 de påfølgende år (4).

Statens legemiddelverk har utarbeidet en «hurtig metodevurdering» for nusinersen datert oktober 2017 (4). Rapporten på til sammen 74 sider består av en gjennomgang av bakgrunn/dokumentasjon på 28 sider og økonomiske overveielser som legger beslag på 15 sider. Det konkluderes (s. 56) med at nusinersen har effekt, men at «størrelsen på effekt er meget usikker» (4). Denne rapporten utgjorde trolig en viktig del av grunnlaget da Beslutningsforum for nye metoder i telefonmøte 12.2.2018 med visse begrensninger vedtok å dekke behandling med nusinersen for pasienter i alderen 0–18 år (5). Beslutningen «er resultat av en lang prosess og en grundig vurdering av de menneskelige konsekvenser», men vi vet lite om hva som er tillagt vekt, ut over at prisen på nusinersen er reforhandlet med Biogen – og unndratt offentlighet (5).

I PubMed gir søkeordet «nusinersen» 60 treff. Det er publisert to kontrollerte studier; en av effekter hos barn med debut av spinal muskelatrofi i løpet av de første seks månedene etter fødsel (6), og en hos barn med senere sykdomsdebut (7). De yngste barna ble vurdert for sentrale motoriske ferdigheter i henhold til del 2 av Hammersmith Infant Neurological Examination (HINE2), hvor maksimalskår var 23 poeng (2). Resultatene i artikkelen er dikotomiserte, og det angis at 37/73 (51 %) i behandlingsgruppen og 0/37 i kontrollgruppen nådde predefinert ferdighetsnivå (6). Ved ettårsalderen vil friske barn (2) og barn med spinal muskelatrofi som ikke har begynt å utvikle symptomer (4) oppnå ca. 22 poeng ved HINE2. I U.S. Food and Drug Administrations evaluering av studien leser vi at de nusinersenbehandlede pasientene i gjennomsnitt gikk fra ett HINE2-poeng ved behandlingsstart til fire poeng ved 12 måneder – altså en forbedring på tre poeng (2). Ved siste oppfølging var 39 % av pasientene i nusinersengruppen og 68 % i kontrollgruppen enten døde eller respiratoravhengige (6). I den andre kontrollerte studien, som omfattet en mer heterogen gruppe barn i alderen 2–9 år (7), var det primære endepunktet endringer i Hammersmith Functional Motor Scale – Expanded. Denne måler 33 aktiviteter og gir en maksimal poengsum på 66. Ved siste oppfølging hadde nusinersenpasientene i gjennomsnitt klatret 3,9 poeng på skalaen, mens kontrollpersonene hadde mistet ett poeng, altså en forskjell på 4,9 poeng. (7).

Nusinersen helbreder altså ikke. Og det ser ut til å være et legemiddel som yter mye mindre enn prisen tilsier. Min første oppfordring går til patentinnehaver: Et slikt misforhold mellom kostnad og nytte kan bare bedres med drastisk prisreduksjon. Til myndighetene: Denne saken er trolig bare en forsmak på hva vi har i vente. Etabler transparente og tydelige trafikkregler for hvordan slike saker skal håndteres, øk den faglige tyngden i beslutningsprosessene og slutt med hemmelighetskremmeriet. Og til oss alle: Vi må finne en annen og mindre kynisk måte å prise og distribuere legemidler på. Jeg vet ikke hvordan dette kan gjøres, men har de siste dagene – i beste Elling-ånd – tatt meg selv i å tenke på en pensjonert landsmoder med handlings- og gjennomføringskraft og gode forbindelser i Verdens helseorganisasjon. Kan hun og likesinnede rekrutteres til innsats for mer rasjonell og rettferdig legemiddeltilgang? Kan vi finne tilbake til Jonas Salks idealer?

---

## LITTERATUR

1. Could you patent the sun? <https://www.youtube.com/watch?v=erHXKP386Nk> (28.2.2018).
2. Center for Drug Evaluation and Research. Application number: 209531Orig1s000: Office Director Memo. [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/nda/2016/209531Orig1s000ODMemo.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/nda/2016/209531Orig1s000ODMemo.pdf) (28.2.2018).
3. Wikipedia. Nusinersen. <https://en.wikipedia.org/wiki/Nusinersen> (28.2.2018).
4. Statens legemiddelverk. Hurtig metodevurdering av Spinraza (nusinersen). <https://legemiddelverket.no/nyheter/hurtig-metodevurdering-av-spinraza-nusinersen> (28.2.2018)
5. Beslutningsforum for nye metoder. Foreløpig protokoll for møte 12.2.2018. <https://nyemetoder.no/Documents/Beslutninger/Beslutningsforum%2020180212%20-%20protokoll%20forel%c3%b8pig.pdf> (28.2.2018).
6. Finkel RS, Mercuri E, Darras BT et al. Nusinersen versus sham control in infantile-onset spinal muscular atrophy. *N Engl J Med* 2017; 377: 1723 - 32. [PubMed][CrossRef]
7. Mercuri E, Darras BT, Chiriboga CA et al. Nusinersen versus sham control in later-onset spinal muscular atrophy. *N Engl J Med* 2018; 378: 625 - 35. [PubMed][CrossRef]

---

Publisert: 16. april 2018. Tidsskr Nor Legeforen. DOI: 10.4045/tidsskr.18.0253  
Opphavsrett: © Tidsskriftet 2026 Lastet ned fra tidsskriftet.no 11. juli 2026.