
 HELSE BERGEN Haukeland universitetssjukehus	<b>Bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse (MT)</b>	 HELSE VEST
Kategori: Pasientbehandling/Legemidler	Gyldig fra/til: 05.02.2025 / 05.02.2026	
Organisatorisk plassering: Helse Bergen HF/Fellesdokumenter/Pasientbehandling	Versjon: 2.00	
Godkjenner: Marta Ebbing	Prosedyre	
Dok. ansvarlig: Legemiddelkomiteen	Dok.id: D64692	

## Innhold

1	Hensikt .....	1
2	Målgruppe og avgrensning .....	1
3	Definisjoner.....	2
4	Ansvar .....	2
5	Gjennomføring.....	2
5.1	<b>Compassionate use program (CUP)</b> .....	2
5.2	<b>Compassionate use named pasient</b> .....	3
5.3	<b>Avtalemaler</b> .....	3
5.4	<b>Dokumentasjon</b> .....	4
5.5	<b>Fravik fra prosedyren</b> .....	4
5.6	<b>Avvik fra prosedyren</b> .....	4
6	Referanser.....	4
7	Forankring.....	4
8	Endringer siden forrige versjon.....	4

## 1 Hensikt

Sikre god og enhetlig praksis for bruk av nye legemidler uten markedsførings tillatelse (MT) innad i Helse Vest, i tråd med føringene fra Nye Metoder (se under).

## 2 Målgruppe og avgrensning

Målgruppen er ledere og helsepersonell i sykehus, helseforetak og sykehusapotek i Helse Vest.

Kravene i denne prosedyren gjelder kun for legemidler oppført på nasjonal liste, se Nye metoder - Retningslinje for bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse (compassionate use). Hvilke legemidler som oppføres på denne listen bestemmes i samråd mellom de regionale helseforetakene og Direktoratet for medisinske produkter (DMP).

Prosedyren gjelder derfor ikke:

- «Gamle» legemidler uten MT med «etablert» bruk
- Bruk av uregistrerte legemidler på grunn av leveringssvikt
- Legemidler som inngår i en klinisk utprøving etter gjeldende protokoll i tråd med norsk regelverk

- Off-label bruk, dvs. legemidler med MT som brukes utenfor godkjent indikasjon

### 3 Definisjoner

**Compassionate use:** Regulatorisk ordning ment for å gi pasienter uten andre tilfredsstillende behandlingsmuligheter adgang til nye legemidler i tidlig utviklingsfase.

**Compassionate use programme (CUP):** DMP vurderer og godkjenner CUP før de settes i gang. Produsent av det aktuelle legemiddelet skal søke om slik godkjenning. For oversikt over pågående og utgåtte godkjente CUP se: Søknad om compassionate use program - Direktoratet for Medisinske Produkter.

**Compassionate use named patient:** Dette er ikke program i regulatorisk forstand, men baserer seg på bruk av godkjenningsfritak. Dette omtales også av industrien som «named patient programme», «named patient use», «expanded eller early access programme» mv.

**Markedsføringstillatelse (MT):** I utgangspunktet skal alle legemidler som brukes i Norge være godkjent av DMP, slik at produsenten får MT for legemidlet. Når et godkjent legemiddel selges i apotek i Norge har det status som markedsført.

**Godkjenningsfritak:** Også kalt registreringsfritak. Søknad med medisinsk begrunnelse som lege må skrive for å bruke legemidler uten MT i Norge. Forskriver påtar seg et særskilt ansvar for at bruken er forsvarlig. Se også: Godkjenningsfritak.

### 4 Ansvar

Nivå 2-leder er ansvarlig for å påse at prosedyren er kjent blant aktuelt helsepersonell.

Behandlingsansvarlig spesialist skal følge prosedyren ved tilbud om «gratis legemiddel», «named patient use»-programmer, «compassionate use named patient» eller tilsvarende.

### 5 Gjennomføring

Det kan inngås avtale om bruk av nytt legemiddel uten MT ved følgende to situasjoner:

#### 5.1 Compassionate use program (CUP)

Legemiddel er godkjent av DMP i CUP. For CUP skal produsenten sende søknad til DMP. DMP orienterer Sykehusinnkjøp, Divisjon legemidler. Sykehusinnkjøp forestår inngåelse av en nasjonal standardavtale på vegne av de regionale helseforetakene.

#### **Praktisk gjennomføring og ansvarsforhold ved Compassionate use program:**

- Ved ønske om bruk av legemiddel i etablerte CUP, innehar Sykehusinnkjøp, divisjon legemidler **nasjonal standardavtale**.
- **Behandlingsansvarlig spesialist** kontakter leverende sykehusapotek og sender søknad om godkjenningsfritak til DMP.

- **Leverende sykehusapotek** har ansvar for å kontrollere at nasjonal avtale foreligger, og fylle ut standardavtale med leverandør.

## 5.2 Compassionate use named pasient

Søknad til DMP om forskrivning av nytt legemiddel uten MT på godkjenningfritak (også kalt registreringsfritak) til enkeltpasient eller til bruk ved institusjon. Sykehusinnkjøp HF, Divisjon Legemidler forestår inngåelse av en nasjonal standardavtale på vegne av de regionale helseforetakene.

Det foreligger to ulike versjoner av de nasjonale standardavtalene, avhengig av om forventet behandlingsvarighet er kort (<6mnd) eller lengre, jfr Nye metoder - Retningslinje for bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse (compassionate use). Oppdaterte bilag til avtalemalerne kan etterspørres fra [compassionateuse@sykehusinnkjop.no](mailto:compassionateuse@sykehusinnkjop.no).

### **Praktisk gjennomføring og ansvarsforhold ved Compassionate use named patient:**

- Før førstegangsbruk ved helseforetak i Helse Vest av legemiddel som omfattes av denne prosedyren, skal minst to spesialister ha gjort en faglig vurdering av behandling med legemiddelet for den aktuelle pasientgruppen. Begrunnet forespørsel om bruk rettes til spesialistenes **seksjonsoverlege**.
- **Seksjonsoverlege**, eller den seksjonsoverlege bemyndiger, er ansvarlig for at det utarbeides avtaleutkast basert på relevant standardavtale.
- **Behandlingsansvarlig spesialist** kontakter leverende sykehusapotek for å initiere kontakt mellom apotek og produsent, og har ansvar for utforming av søknad om godkjenningfritak til DMP<sup>1</sup> og individuell søknad til produsenten<sup>2</sup>.
- **Leverende sykehusapotek** og **produsent** lager avtale om distribusjon med mer.
- **Leverende sykehusapotek** og **helseforetak** lager lokal tilleggsavtale i tilfeller der nasjonal standardavtale med forventet kort varighet benyttes<sup>3</sup>
- Utkastet til avtale mellom behandlingsansvarlig helseforetak i Helse Vest og produsent oversendes aktuelle **nivå 2-leder** for godkjenning. Nivå 2-leder sender avtale til: [compassionateuse@sykehusinnkjop.no](mailto:compassionateuse@sykehusinnkjop.no). Nivå 2-leder er også ansvarlig for at fagdirektør i gjeldende helseforetak blir informert om inngått avtale.

## 5.3 Avtalemaler

<sup>1</sup> **Behandlingsansvarlig spesialist** må sende søknad om godkjenningfritak for legemidler (jf. legemiddelforskriften § 2-5) til DMP. Skjema finnes i følgende nettside: [Godkjenningfritak](#). Elektronisk søknad kan sendes via e-resept.<sup>1</sup>

<sup>2</sup> **Individuell søknad til produsenten**: Når avtale mellom produsent og behandlingsansvarlig helseforetak i Helse Vest, og produsent og leverende sykehusapotek foreligger, har **behandlingsansvarlig spesialist** ansvaret for å sende søknad om bruk for enkeltpasienter ihht. produsentens krav til dette i det enkelte tilfelle. Sensitive pasientopplysninger skal ikke oppgis til produsent. Behandlingsansvarlig spesialist har i hvert enkelt tilfelle ansvaret for forsvarlig indikasjonsstilling, informasjon til pasienten og gjennomføring og oppfølging av behandlingen.

<sup>3</sup> Dersom det benyttes "nasjonal standardavtale kort varighet" betaler eksternt leverandør kun for apotekets importkostnader, samt ev. andre avtalte ekstraoppgaver. Lokalt sykehus betaler alt av håndtering og ev. tilvirkning.

Avtalemaler for standardavtaler, samt oversikt over inngåtte avtaler mellom legemiddelleverandør og RHF finnes på nettsidene: [Nye metoder - Retningslinje for bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse \(compassionate use\)](#)

#### 5.4 Dokumentasjon

Bruk av legemidler som omfattes av denne prosedyren skal dokumenteres i pasientens journal.

#### 5.5 Fravik fra prosedyren

Det skal ikke gjøres fravik fra prosedyren.

For legemidler som omfattes av denne prosedyren gjelder generelt: Det er ikke anledning til å endre vilkårene i standardavtalen med mindre det foreligger en beslutning fra nasjonalt fagdirektørmøte.

#### 5.6 Avvik fra prosedyren

Alle avvik fra prosedyren skal meldes i avvikssystemet Synergi.

## 6 Referanser

Eksterne referanser

[3.2.2.7.10 Sykehusinnkjøp HF, Divisjon Legemidler](#)

[2.7.3 Godkjenningsfritak](#)

[2.20.2.8 OUS eHåndbok: Bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse \(MT\) ID: 130068 \[prosedyre\]](#)

[2.7.12 compassionateuse@sykehusinnkjop.no](mailto:compassionateuse@sykehusinnkjop.no)

[3.2.2.7.2 Nye Metoder](#)

[2.7.11 Søknad om compassionate use program - Direktoratet for Medisinske Produkter](#)

[3.2.2.7.3 Nye metoder - Retningslinje for bruk av nye legemidler før markedsføringstillatelse \(compassionate use\)](#)

## 7 Forankring

Prosedyren er vedtatt i regionalt legemiddelutvalg, Helse Vest, og tiltrådt med noen små tilpasninger av Helse Bergen HF, Haukeland universitetssjukehus.

## 8 Endringer siden forrige versjon

1. Erstattet alle oppføringer av SLV med DMP
2. Oppdatert lenker som ikke fungerer
3. Forenklet tekst og flyttet utfyllende info til fotnoter i samråd med representanter for RLMU
4. Endret epostadresse fra [post@sykehusinnkjop.no](mailto:post@sykehusinnkjop.no) til [compassionateuse@sykehusinnkjop.no](mailto:compassionateuse@sykehusinnkjop.no)
5. Endret dokumenttype fra retningslinje til prosedyre

