



tilbud. Det er enighet om at høy kvalitet i tjenesten krever sterke fagmiljøer. Pulverisering fra nasjonale til regionale tilbud synes ikke fornuftig. Dette har blitt tydelig i eks. ERN-søknad til EURO-NMD ledet av EMAN ved OUS, grunnet svært tidkrevende prosess. Videreutvikling av allerede eksisterende formelle nettverk (*Norsk nevromuskulært kompetansesamarbeid*), det nasjonale diagnostiske miljøet, og ennå tettere samarbeid med Helse Vest og Midt synes fornuftig å jobbe videre med.

- **Vedtak:** Saken tas til orientering.

Sak 16/2021

VP -22 og årsrapport -21, inkl. gjennomgang av nye rapporteringsmaler v/Andreas Rosenberger

- Ny rapporteringsløsning for NKSD ble grunnleggende presentert på forrige senterrådsmøte (sak 9/2021). Arbeidet er nå ferdigstilt i første omgang, og maler for årsrapportering -21 og virksomhetsplan/årsrapport -22 er sendt ut til alle sentrene. Den nye løsningen er basert på excel, og formålet er en mer harmonisert rapportering på sentrene, samt tydeligere resultatmål til eierlinjen. Det er en omfattende endring, der det har vært mange og gode diskusjoner i arbeidsgruppen og NKSDs ledergruppe.
- Frambu rapporterer all aktivitet i egen rapport, mens NMK og EMAN leverer samlet dokument. Norsk nevromuskulært kompetansesamarbeid beskrives i rapport fra NMK/EMAN.
- Det er vesentlig å evaluere hvordan rapportering har fungert ila våren -22. Dette arbeidet ledes av arbeidsgruppen. Malene og sentrale diskusjoner knyttet til enkelte variabler gjennomgås i møtet.
- Enhetene går gjennom aktuelle prosjekter og planer for 2022. Disse legges inn i VP og sendes Senterrådet ila desember før endelig innsending til NKSD.

Innspill til saken

- Senterrådet stiller seg generelt positive til nye overordnede maler, men har innspill til følgende momenter:
 - Registrering av henvendelser fra fagpersoner er tidkrevende. Skal dette veie tyngre enn klinisk aktivitet som ikke omfattes av ORPHA-kodeverket? Diskusjon rundt registrering av klinisk aktivitet, som per i dag ikke registreres fullt ut gitt virksomhetslert og omfattende diskusjoner både i arbeids- og ledergruppen i NKSD. Målet er å tydeliggjøre ORPHA-implementering.
 - Frambu VP sendes også til FFM?
- **Vedtak:** Saken tas til orientering. Enhetene jobber videre med å legge inn aktuell aktivitet for 2022 inn i virksomhetsplanen, og senterrådet vil få tilsendt utkast til gjennomlesing før endelig innsending til NKSD 24.01. Frambu sender også sin VP til FFM der også aktivitet for det nevromuskulære feltet beskrives.

Sak 17/2021

Oppdatering fra Muskelregisteret v/Andreas Lahelle

- Muskelregisteret har etter flere år med varsel om tap av nasjonal status, nå fått klarsignal for omstrukturering og endring av variabeloppsett. Dette basert på innsendt brev på vegne av datatabehandleransvarlig UNN og Fagrådet. Omstrukturering betyr at registeret bygges om med et modulbasert oppsett.



- Grunnmodul med personopplysninger som også har koblinger til andre sentrale nasjonale registre (NPR osv.)
 - Diagnosespesifikke moduler: Spinal muskelatrofi, Duchenne muskeldystrofi, muskeldystrofier og Dystrophia Myotonica
 - De diagnosespesifikke modulene får underliggende medikamentmoduler ettersom det kommer nye medikamenter med behov for monitorering av effekt osv. på markedet
- Resultatet av omstruktureringen er at Muskelregisteret i større grad svarer ut mandatet for et nasjonalt medisinsk kvalitetsregister.
 - Det jobbes med å finne løsning for overføring av de diagnosene som fases ut av registeret til Sjeldenregisteret. Mulige undermoduler i dette registeret. Målet er at oversikten over registreringer også for disse diagnosegruppene, som i mindre grad egner seg for et nasjonalt medisinsk kvalitetsregister, følges opp og videreutvikles i Sjeldenregisteret.

Innspill til saken

- Er det naturlig å dele opp i fire grupper, eller hadde Spinal muskelatrofi og Muskeldystrofier vært tilstrekkelig?
- Hvordan håndtere diagnosene som tas ut? Vil registerkvaliteten bli den samme for disse?
- Der det er kommet behandlinger, eks. for myotonier, passer ikke dette inn i registeret? Kan sjeldenregisteret implementere slike forhold?
- **Vedtak:** *Saken tas til orientering, og innspillene tas i betraktning videre. Det er enighet om at kommunikasjon av hva de planene som nå foreligger må kommuniseres bredt ut, spesielt til brukerne.*

Sak 18/2021

Innføring av Zolgensma i Norge v/Sean Wallace

- Etter en lengre prosess i Nye Metoder og gjennom Beslutningsforum ble Zolgensma godkjent for bruk til behandling av Spinal muskelatrofi (SMA) i Norge den 25.11. Medikamentet har en ny betalingsmodell som er resultatbasert, og vil tilsi at det skal betales i avdrag for å ansvarliggjøre også Novartis som produsent.
- Det finnes fortsatt begrenset forskning på medikamentet, og indikasjonene for oppstart er derfor smale og begrenset til de yngste barna som diagnostiseres med SMA:
 - *Spedbarn <6 mnd med manifest 5q SMA type 1 med bi-allelisk mutasjon i SMN1-genet. Pasienten skal ikke ha tydelige symptomer ved fødsel (type 0) og ikke trenge ventilasjonsstøtte > 16 timer pr. døgn*
 - *Spedbarn < 6 mnd. med presymptomatisk påvist bi-allelisk mutasjon i SMN1-genet og påvist 2 eller 3 kopier av SMN2-genet*
 - *Barn 6-18 mnd. og med en vekt < 13.5 kg der behandling med Spinraza har gitt bivirkninger eller komplikasjoner, kan i spesielle tilfeller vurderes for overgang til Zolgensma såfremt de ikke er uttalt svake og kan puste selv*
 - *Pasienter <6 mnd. som har startet med Spinraza før Zolgensma var tilgjengelig, kan konverteres til Zolgensma*



- Det er vist best effekt ved oppstart presymptomatisk, og med implementeringen av SMA i nyfødtscreeningen tidligere i høst, gir dette spennende muligheter.
- Det er en krevende logistisk rigg for å sette i gang behandling, og er avhengig av tett samarbeid mellom nyfødtscreeningen, det kliniske miljøet og sykehusapoteket på OUS, samt legemiddelprodusenten Novartis. Ikke alle juridiske aspekter er på plass ved gjennomføring av senterrådsmøtet, men det forventes at et nydiagnostisert barn vil få behandlingen per i dag om nyfødtscreeningen skulle avdekke noe.

-Vedtak: *Saken tas til orientering. Senterrådet ser frem til å høre om erfaringer med implementeringen når det har gått noe tid.*

Sak 19/2021

Aktuelle saker fra FFM

Pasientreiser mellom HF. Det ble ikke tid til å diskutere denne saken. Tas videre til neste senterrådsmøte

Ivar Aleksander Hagen
Senterrådsleder

Andreas Rosenberger
Senterleder
Sekretær i senterrådet