

## Nyhedsbrev sommer 2025

### Sommerhilsner fra formanden

Det har været et travlt og begivenhedsrigt forår, og vi nærmer oss vår første Generalforsamling som Nordisk patientforening. I dette nyhedsbrev kan du læse om de aktiviteter bestyrelsen og de nationale arbejdsgrupper har gennemført i foråret, herunder deltagelse i nationale og internationale arrangementer, varetagelse af politisk fortalerarbejde i de igangværende lægefaglige spørgsmål i Sverige og Norge, planlægning og gennemførelse af forskellige medlemsaktiviteter, som du kan deltage i, de første skridt til at inkludere Finland i vores forening, og lancering av vores nye medlemstjeneste: "Spørg legen". God læsing!

### Nyheter fra Norge

#### *Ny ordning for individuell vurdering av medisin er innført*



Den 10. april 2025 innførte de norske myndigheter en ordning som gjør at pasienter med alvorlig sykdom kan få en individuell vurdering om å få medisin ut fra deres konkrete helsetilstand, også etter avslag på innføring av relevant medisin i Beslutningsforum. Ordningen er forbehold enkeltpasienter som sammenliknet med andre i sin pasientgruppe er ekstra hardt rammet. Tidligere har denne muligheten kun vært tilgjengelig mens en medisin er under behandling i Beslutningsforum. Det innebærer at lungesyke norske Alfa-1 pasienter som er hardt rammet kan søke om individuell tilgang på Prolastina og Respreeza, hvilket i utgangspunktet et gode nyheter. Det er foreløpig uvisst i hvilken grad ordningen vil være til hjelp for Alfa-1 pasienter, ettersom vi ikke kjenner hvor strenge kriterier som vil bli benyttet for å gi særskilt tilgang til medisin for enkeltindivider. Styret erfarer også at søknadene blir avslått. Ved hjelp av norske Alfa-1 pasienter vil den nasjonale arbeidsgruppe i Norge, sammen med det norske lungeforbundet LHL, undersøke om retten til individuell vurdering er reell og aktuell for Alfa-1 pasienter. Mer informasjon om dette kommer til våre norske medlemmer. Våre øvrige nordiske medlemmer vil få oppdateringer i fremtidige nyhetsbrev.

#### *Lungerehabiliteringsopphold for Alfa-1 pasienter på Gardermoen*

Den årlige lungerehabiliteringen for norske Alfa-1 pasienter på Gardermoen som begynner i uke 44 har inntak 29. og 30. oktober. Oppholdet går over 4 uker. Det er ingen søknadsfrist, men vi anbefaler å få fastlege eller lungelege til å søke for deg, så raskt som mulig!

<https://www.lovisenbergrehabilitering.no/lungerehabilitering>

#### *Alfa-1 Norden kommer til Norge*

Alfa-1 Norden gjennomfører nå sine første arrangementer i Norge. Vi vil være til stede ved Alfa-1 rehabiliteringsoppholdet på Gardermoen for å presentere vår forening og vårt arbeid. Videre avholder vi et cafemøte i Oslo sentrum den 5. juni kl. 11:30. Møtet slutter offisielt kl. 14:00. Cafemøtet er uformelt, og vi informerer om foreningen og vårt arbeid. De norske styremedlemmene og foreningens formann vil delta. Påmelding til [info@alfa-1norden.org](mailto:info@alfa-1norden.org) senest 1. juni. Deltakelse krever ikke medlemskap, og foreningen betaler mat og drikke. Både pasienter og pårørende er hjertelig velkomne.

## Nyheter fra Sverige



### *Medisinsaken*

I Sverige har NT-rådet som kjent bestilt en helseøkonomisk vurdering av Prolastina og Respreeza for å avgjøre om medisinene blir innført i Sverige for behandling av alvorlig emfysem ved Alfa-1 mangel. I forbindelse med dette gjennomførte Alfa-1 Norden i januar et digitalt møte med TLVs (Svenska Tann- och Läkemedelsverk) ledere som har ansvar for de helseøkonomiske evalueringene. Vi kom med innspill i form av rørende pasienthistorier og hvorfor medikamentene er så viktige for pasienter med alfa-1-antitrypsinmangel. Den helseøkonomiske vurderingen av Prolastina er nå igangsatt. Status på evalueringene kan følges på denne lenken:

<https://www.tlv.se/lakemedelsforetag/halsoekonomiska-bedomningar-och-rapporter-kliniklakemedel.html>

### *Møte med svenske lungeleger*

Alfa-1 Norden har hatt gjennomført et møte med Alfa-1 lungespesialistene Hanan Tanash og Eeva Piitulainen ved Lunds Universitet i Malmö. Vi informerte om vår nydannede organisasjon, våre aktiviteter og vårt arbeid for å sikre medisin til Alfa-1 pasienter. Både Tanash og Piitulainen støtter Alfa-1 Nordens arbeid for å sikre at svenske pasienter med Alfa-1 mangel får tilgang til de godkjente legemidlene Prolastina og Respreeza, og vi er takknemlig for deres støtte.

### *Møter med politikere i Riksdagen*

Alfa-1 Norden fulgte Riksdagens spørretime om Orphan Drugs (medisin for sjeldne sykdommer) den 13. februar og talene som ulike politikere holdt der. Vi har også deltatt på et lunsjseminar i Riksdagen 7. mai om hvordan Sverige skal bli verdens beste land for personer med sjeldne diagnoser. Interessant! Et tips vi fikk fra politikere i Sosialutvalget er at hver enkelt av oss kan kontakte politikere uansett nivå. Be dem henvende seg til partiets stortingspolitikere om «hva som vil skje med valgløftet fra 2022 for å løse spørsmålet om pasienttilgang til Orphan Drugs, som inkluderer regionenes kliniske legemidler». Vi ser at omorganisering ikke er nøkkelen, men at det behøves prioritering og modighet blant politikere og lungeleger, som var avgjørende for at medisinene Prolastina og Respreeza ble innført i Danmark. Vi har også fremhevet at nye studier på disse to legemidlene ikke lenger er etiske, ettersom de pasienter som ikke mottar medisin får lungeskade, og vi allerede har tilstrekkelig kunnskap om at medisinene virker. Det som kreves er større betalingsvilje hos de svenske beslutningstakere, regjeringen må lytte til fagpersonene og budsjettere sentralt for nasjonal innføring av Respreeza og Prolastina.

I Sverige har vi fokusert på direkte kontakt med politikere i Socialutskottet for å påvirke medisinsaken. I den forbindelse har alle medlemmer av Riksdagens Socialutskott mottatt eposter fra Alfa-1 Norden. Overskriften var "Svenske pasienter med alfa-1-antitrypsinmangel mangler livsforlengende behandling. Vi trenger din hjelp til å endre dette!" Flere politikere har svart, og den 11. april gjennomførte vi et møte med Christian Lindefjärd, tjänstgörande riksdagsledamot for Sverigedemokraterna. Der fortalte vi om sykdomsbyrden og den reduserte fysiske og psykiske livskvaliteten som de Svenske Alfa-1 pasientene opplever fordi de ikke har tilgang på livsforlengende bremsemedisinene Prolastina og Respreeza for emfysem. Vi løftet også frem hvor urettferdig det er at svenske pasienter, som har stilt sine kropper til rådighet for å frembringe bevis for at medisinen virker i medisinske studier, ikke kan få nytte av denne medisinen, og at den kun er forbeholdt Alfa-1 pasienter i andre land. Vi diskuterte i tillegg vår bekymring for at TLV skal stille

urealistiske høye krav til forskning på effekt av Prolastina og Respreeza, ettersom dette ikke kan oppnås når vi er så få pasienter til å delta i studiene. Lindefjärd, som ikke kjente til Alfa-1 mangel, hadde forståelse for vår vanskelige situasjon. Vi ba om hans hjelp til å belyse vår sak i Riksdagen og påvirke på de måter han kan, og han ville diskutere saken videre i Socialkomiteen.

Den 24. april møtte vi politiker Anders W. Jonsson, som er Tjänstgörande riksdagsledamot i Centerpartiet. Her diskuterte vi Alfa-1 mangel, de svenske Alfa-1 pasientenes vanskelige situasjon og den pågående medisinsaken i Sverige. Dette førte til at Jonsson valgte å løfte frem Alfa-1 pasienter i sin interpellasjonsdebatt på Riksdagen den påfølgende mandagen. Det finnes opptak av debatten fra [Riksdagen her](#). For hurtig tilgang spol frem til 12:50 min. Den 13. mai 2025 møtte foreningen også Thomas Ragnarsson som er tjenestegjøre riksledamot for det Moderate samlingspartiet, hvor vi diskuterte den vanskelige situasjonen for svenske Alfa-1 pasienter. Ragnarsson skulle diskutere saken vår videre med sine kolleger, og vi skal holde et nytt møte med han innen sommeren.

Det vil utover året bli avholdt flere møter med svenske politikere for å skape oppmerksomhet omkring de svenske Alfa-1 pasientenes situasjon. Heldigvis er det også kommet nytt godt materiale, «Meet our members campaign» fra Alpha-1 Europe Alliance, som er tilgjengelig fra 25. april til 24. mai. Denne skal også brukes i kontakt med politikere.

#### *Lær mer om legemidler og medisinsk teknologi*

Det skjer mye på legemiddelfronten for alle med Alfa-1-antitrypsinmangel nå. Flere studier er i startfasen eller pågående. I den forbindelse har EUPATI Sverige god nettbasert og gratis opplæring på sine nettsider for deg som pasient, representant eller pårørende. Du velger selv når du vil gjennomføre opplæringen. Se mer informasjon på <https://eupati.se/utbildning/>

### **Medlemsaktiviteter i Sverige 2025**

#### *Svensk WhatsApp gruppe*

Vil du være med å planlegge/gjennomføre en liten eller stor aktivitet i Sverige? Vi har en chattegruppe i WhatsApp. Admin er styrets svenske nasjonale kontaktperson Monika Lorentzen. Målet er å gjøre det enkelt å ta direkte kontakt med hverandre og samarbeide. Når du ikke lenger ønsker å være en del av chattegruppen, er det enkelt å forlate på eget initiativ. Vil du bli med i chattegruppen? Informer da vår svenske nasjonale kontaktperson Monika Lorentzen på e-post [info@alfa-1norden.org](mailto:info@alfa-1norden.org)

#### *Cafémøte i sentrale Göteborg snart!*

Hold av tirsdag 27. mai mellom kl. 16:00 og 19:00 på Rosenkafet i Trädgårdsforeningen, Slussgatan 1 i Göteborg. Målet er å gi en møteplass for alle med alfa-1 antitrypsin-mangel. Vi informerer om vår pasientforening og vårt arbeid. Deltakelse krever ikke medlemskap. Alfa-1 Norden byr på mat og drikke. Medlemmer fra styret vil delta. Påmelding må skje snarest via e-post til [info@alfa-1norden.org](mailto:info@alfa-1norden.org). Eventuelle spørsmål kan rettes til svensk nasjonal kontaktperson Monika Lorentzen via e-posten over.

### *Medlemsweekend i Sverige*

Det er planlagt medlemsweekend i Stockholm 19-21 september, med faglig og sosialt innhold. Invitasjon kommer når planlegging og agenda er ferdig. En av foreleserne kan antakelig kun komme på fredagskvelden, så hold av tiden allerede fra kl. 17.00 på fredagen.

### *Fase-3 studie på leversykdom er startet i Sverige*

Hvis du har leverskade fra alvorlig AAT-mangel (ZZ), kan du muligens delta i en fase 3-studie av et lovende medikament. Studiet pågår i Huddinge og Linköping. Registrer deg via lenken <https://theredwoodliverstudy.com/sv-se> eller send en e-post til [info@alfa-1norden.org](mailto:info@alfa-1norden.org) så hjelper vi deg med å ta kontakt med studiestedet.

### **Nyheder fra Danmark**

#### *Velkommen til Cafemøde i maj på Scandic Sydhavnen, København*



Det er dejligt at kunne informere om, at Alfa-1 Norden afholder et cafemøde inden sommerferieperioden. Vi har reserveret lokale mandag den 26. maj 2025 kl. 17.00 på Scandic Sydhavnen i København. Mødet bliver afholdt ganske uformelt – og vi taler om det, vi har behov for og det, der kan trænge sig på for os. Mødet er for alle, patienter og pårørende – og medlemskab af foreningen er ikke en forudsætning for at deltage. Vi serverer lidt at drikke og smørrebrød som afslutning på mødet ved 19-tiden. Tilmelding er nødvendig, idet der er begrænset plads. Kom og vær med. Det plejer at være meget interessant. Orientering om cafemødet med tilmelding vil også blive sendt direkte via e-mail. Du kan tilmelde dig til [kate.lindahl@alfa-1norden.org](mailto:kate.lindahl@alfa-1norden.org)

#### *Rapport fra Informasjonsmøte i Gentofte*

Den 16. januar ble det avholdt et informasjonsmøte ved Gentofte Hospital. Møtet foregikk over to lokasjoner der deltakere som var samlet i Kolding fulgte møtet online. På møtet gjennomgikk overlege Torgny Wilcke det grunnleggende om Alfa-1 mangel og tilgjengelig behandling, og Fomanden for Alfa-1 Norden Claus Astradsson fikk anledning til å presentere foreningen for de oppmøtte. Det oppstod dessverre noen tekniske problemer som gjorde at man ikke fikk opptak av formandens presentasjon. Gikk du glipp av arrangementet er det enda ikke for sent å lære litt: Forelesingen til Torgny Wilcke er, sammen med andre forelesinger om Alfa-1 mangel, nemlig tilgjengelig på Alfa-1 Nordens YouTube kanal <https://www.youtube.com/@alfa-1Norden824>

#### *Sjældne Diagnoser*

Alfa-1 Norden er medlem af den frivillige organisation for små foreninger – [Sjældne Diagnoser](#). De tilknyttede foreningers



**Sjældne Diagnoser**

medlemmer er voksne og barn med sjældne sykdomme og handicap. I 2024 hadde Sjældne Diagnoser 55 medlemsforeninger. Alfa-1 Norden deltager i de arrangementer, som Sjældne Diagnoser afholder – og Alfa-1 Norden har i mange år vært representert i Sjældne Diagnoser forretningsudvalg. Medio marts 2025 afholdt Sjældne Diagnoser medlems- og representantskabsmøde, hvor der bl.a. blev informeret om bl.a. Sjældne-dagen, Guldkundeundersøgelsen, Sjældne Diagnoser navigatorer og bisiddere samt Helpline. Den sidste dag i februar måned blev Sjældne-dagen markeret verden over. I Danmark skete det i form af en rundbordssamtale på Christiansborg med fokus på fremtidige løsninger og bedre vilkår for mennesker med sjældne sykdomme og handicap i den kommende reform af det danske sundhedsvæsen. Ved rundbordssamtalen lanceres også „Nordic Roadmap for Rare Diseases“,

som præsenterer konkrete anbefalinger til tidlig diagnosticering, nationale strategier og adgang til innovativ medicin. Sjældne Diagnoser har i samarbejde med medicinalvirksomhederne Alexion AstraZeneca Rare Disease, Novo Nordisk Danmark, Sobi og Takeda har taget initiativ til rundbordssamtalen, hvor Monika Rubin, sundhedsordfører for Moderaterne, var vært ved samtalen. Denne rundbordssamtale kan være et vigtigt skridt på vejen til at skabe et stærkt sjældne-fokus – både i forbindelse med sundhedsreformen og også generelt. Seniorforsker Steen Bengtsson præsenterede de første tal fra Guldkundeundersøgelse 2024 – og sammenholdt resultaterne fra 2024 med resultaterne fra Guldkundeundersøgelserne i 2004 og 2014. Undersøgelsen belyser (udviklingen i) livsvilkår, sundheds- og social støtte samt oplevelser af diskrimination mv., og samlet set viser undersøgelsen, at mens der er sket forbedringer på visse områder (f.eks. forståelse i sundhedsvæsenet), giver social støtte og koordination fortsat meget store udfordringer for personer med sjældne diagnoser. Den færdige rapport for Guldkundeundersøgelsen 2024 foreligger endnu ikke, men de tidligere rapporter kan læses på <https://sjaeldnediagnoser.dk/guldkundeundersogelse/>

### ***Bliv med på teenager tur til Cold Hawaii***

*Kan i gætte, hvad vi skal...?*

Vi skal på teenage tur (kun fra 10-18 år) og selvfølgelig med forældre. Cold Hawaii kalder i Klitmøller den 23-24 august 2025. Vi får undervisning lørdag kl. 15 og igen søndag kl. 10, hvor vi også låner både udstyr og våddragt. Vi skal bo på Nystrup Camping i hytter/tønder, spise pizzaer, slik og spille spil. Medbringe godt tøj og sengetøj, Ankomst fra kl. 13, husk vi skal stå klar på stranden kl. ca. 14:30. **TILMELDING SENEST DEN 20. juni**, til Gunhil på: [gunhil.norhave@alfa-1norden.org](mailto:gunhil.norhave@alfa-1norden.org) Mange hilsner, Anders og Gunhil



### **Nyheder fra Finland**

Vi er lige så langsomt startet med at kigge ind i Finland og har som det første oprettet en finsk Facebookgruppe til vores medlemmer som allerede har over 40 medlemmer. ([Alfa-1 antitrypsiinin puutos Norden/Finland - Suomi | Facebook](#))



Der har bla. allerede været spørsmål fra medlemmer oppe at vende samt information fra os angående mulige Clinical Trials, man kan deltage i. For at kunne nå ud til flere medlemmer har vi dog brug for frivillige i Finland, som kunne være interesserede i at være med i en finsk national gruppe til at arrangere møder og events. Spred derfor budskabet, så vi også kan hjælpe vores finske naboer. Vil du bidrage i en finsk arbejdsgruppe kan du kontakte oss på [info@alfa-1norden.org](mailto:info@alfa-1norden.org)

Vi minder vores finske Alfa-1 patienter om, at Wave Life Science-studiet, RestorAATion, som også blev nævnt i vores tidligere nyhedsbrev, skal startes i Turku, Finland. Du kan læse mere om undersøgelsen og kriterierne for deltagelse her: [https://www.aatdclinicaltrial.com/fi-sv/hemsida?fbclid=IwY2xjawJrZYZleHRuA2FlbQlxMQABHn4\\_KCuIAzJ1U8NJ5ZTZHzVW7R72CEaf88bBXHQyIIIHZzVJFksip0JGdC5S\\_aem\\_8il-YRzk4sPrMXmnLsOVQw#1](https://www.aatdclinicaltrial.com/fi-sv/hemsida?fbclid=IwY2xjawJrZYZleHRuA2FlbQlxMQABHn4_KCuIAzJ1U8NJ5ZTZHzVW7R72CEaf88bBXHQyIIIHZzVJFksip0JGdC5S_aem_8il-YRzk4sPrMXmnLsOVQw#1)

### Kjenner du våre digitale kanaler?

Vi minner om at Alfa-1 Norden i tillegg til fysiske treff i de enkelte land også tilbyr Facebook-grupper og nettverk der du kan utveksle erfaringer med andre Alfa-1 pasienter og pårørende, samt nettsider hvor du kan få påfyll av kunnskap. Du finner oss her:

- *Alfa-1 Nordens hjemmeside:* <https://alfa-1norden.org/>
- *Vår YouTube kanal:* <https://www.youtube.com/@alfa-1Norden824>
- *Alfa-1 Norden Norge/Danmark:* <https://www.facebook.com/groups/117199688314977>
- *Alfa-1 Norden Sverige:* <https://www.facebook.com/groups/125433850809675>
- *Alfa-1 Norden Finland:* <https://www.facebook.com/groups/9416750288349452>
- *Familiegruppe på Facebook:* ta kontakt med Lina Ullström via [info@alfa-1norden.org](mailto:info@alfa-1norden.org)
- *Alfa-1 levernettverk:* ta Kontakt med Monika Lorentzen via [info@alfa-1norden.org](mailto:info@alfa-1norden.org)
- *Linkedin:* [https://www.linkedin.com/posts/alfa-1norden\\_we-are-proud-to-launch-our-new-page-here-activity-7260301039847817217-8bvR](https://www.linkedin.com/posts/alfa-1norden_we-are-proud-to-launch-our-new-page-here-activity-7260301039847817217-8bvR)

### Felles nordiske nyheter



#### *Nordisk Alfa-1 foreldregruppe*

Visste du at foreldre til barn med Alfa-1 mangel har en egen lukket Facebook-gruppe i Alfa-1 Norden for støtte og utveksling av erfaringer? Kontaktperson er Lina Ullström. Send en e-post til [info@alfa-1norden.org](mailto:info@alfa-1norden.org) og oppgi e-postadressen din hvis du vil kontakte foreldregruppen. Bor du i Norge og kan tenke deg å bidra som støttefamilie for andre familier som har barn med Alfa-1 mangel? Da vil vi gjerne at du tar kontakt med oss i Alfa-1 Norden på [info@alfa-1norden.org](mailto:info@alfa-1norden.org)

#### *Nordisk levernettverk er under etablering*

Alfa-1 Norden er i gang med å starte et nordisk nettverk for erfaringsutveksling og støtte for personer med Alfa-1 mangel og leversykdom. Anmodningen om interesse er fremmet i Alfa-1 Nordens Facebook-gruppe, og flere er interessert. Du kan uttrykke din interesse for å delta i nettverket ved å sende en e-post til [info@alfa-1norden.org](mailto:info@alfa-1norden.org).

### *Alfa-1 Norden lanserer vår nye medlemstjeneste: «Spør legen»*

Det er med glede vi lanserer vår nye medlemstjeneste «Spør legen». Her har våre medlemmer anledning til å stille spørsmål anonymt om Alfa-1 mangel, transplantasjon, leversykdom ol. til våre leger som har spesialistkompetanse på Alfa-1 mangel. Spørsmål kan stilles til [info@alfa-1norden.org](mailto:info@alfa-1norden.org). Spørsmål og svar som er relevante for andre vil bli publisert på vår hjemmeside i anonymisert og forenklet form slik at vi alle kan lære mer om alfa-1 mangel. Vi gjør oppmerksom på at spørsmålene ikke skal erstatte råd og behandling fra din egen lege.

### *Er du ikke medlem i Alfa-1 Norden enda?*

Det er viktig at Alfa-1 Norden får så mange medlemmer fra hele Norden som mulig for å kunne kjempe sterkere for Alfa-1 pasienters rettigheter til å få medisin og behandling i de enkelte nordiske land. Alfa-1 Norden ønsker derfor nye medlemmer hjertelig velkommen. Les mer om påmelding her: <https://alfa-1norden.org/bliv-medlem/>

### **Generalforsamling 2025**

Den første fellesnordiske Generalforsamling gjennomføres søndag 15. juni, hvor alle våre Nordiske medlemmer er velkommen. Til forandring fra i fjor blir årets samling avholdt digitalt, slik at alle våre nordiske medlemmer kan delta, uavhengig av hvor de bor. Bestyrelsen ble valgt for to år i 2024, det vil derfor kun bli avstemming over suppleanter/varamedlemmer i år. Innbydelse med tilhørende dokumenter er utsendt på den e-post du står registrert med i foreningens medlemsregister. Har du ikke mottatt dokumenter bør du sjekke om den har gått i spam-folderen. Har du byttet e-postadresse er det viktig at du gir oss beskjed om dette på [info@alfa-1norden.org](mailto:info@alfa-1norden.org) Hjertelig velkommen skal du være.

### **Felles nordisk undersøkelse for pasienter med sjeldne sykdommer**

Som Alfa-1-pasient vet du bedre enn de fleste hvordan det er å leve med en sjelden sykdom – eller være nær noen som gjør det. Derfor håper vi du vil bruke fem minutter på en kort, anonym undersøkelse, som vil bidra til å forbedre støtten til personer med sjeldne sykdommer i hele Norden. Undersøkelsen er utviklet i samarbeid med og godkjent av SBONN, det nordiske nettverket av pasientorganisasjoner for sjeldne sykdommer, og er tilrettelagt av FTI Consulting for å sikre at diskusjoner og politiske tas på bakgrunn av dine opplevelser.

### *Hvem kan delta?*

Undersøkelsen er for personer som lever med en eller flere sjeldne diagnoser, eller for pårørende til noen med en sjelden diagnose. Hvis du er under 18 år, må en forelder, verge eller et familiemedlem over 18 år fylle ut undersøkelsen på dine vegne.

### *Derfor er din stemme viktig*

Dine innspill gir en unik innsikt i hverdagen med en sjelden sykdom. Hensikten med denne studien er å forstå hva som virkelig betyr noe for pasienter og pårørende – fra utfordringene du møter til hva som får deg til å føle deg mer trygg og støttet i din behandling og livssituasjon.

Undersøkelsen kan besvares via linken herunder frem til 31. maj 2025.

[https://fticonsultingltd.qualtrics.com/jfe/form/SV\\_018Qiz3d5kqpRLU](https://fticonsultingltd.qualtrics.com/jfe/form/SV_018Qiz3d5kqpRLU)

Svarene dine vil direkte påvirke diskusjonene på Nordic Rare Disease Summit 2025, hvor fagfolk på feltet vil bruke innsikten du bidrar med til å forbedre helsevesenet, politiske initiativer og støttesystemer for mennesker som er rammet av sjeldne sykdommer.

#### *Konfidensialitet*

Alle innsamlede data anonymiseres og rapporteres på et overordnet nivå. For spørsmål om databehandling, vennligst kontakt FTI Consulting på: [stratcommresearchemea@fticonsulting.com](mailto:stratcommresearchemea@fticonsulting.com)

#### **Internasjonale nyheter**

##### *Rapport fra Alfa-1 Global Research Conference & Patient Congress*

Konferansen, som er arrangert av amerikanske [Alpha-1 Foundation](#), er delt opp i en forskningsdel og en pasientdel og den gikk av stabelen i Lisboa 4-5 april. Blant veldig mye som ble presentert fra scenen i løpet av 2 dager, nevner vi noe:

- En observasjonsstudie fra Danmark viser at Alfa-1 mangel kan medføre økt risiko for diverse former for kreft. Ikke overraskende er det lever-, lunge-, og hudkreft som er forholdsvis mer hyppige enn hos den gjennomsnittlige befolkning. Denne kunnskap er viktig når helsetjenesten skal følge Alfa-1 pasientgruppen.
- Det ble presentert flere forskningsprosjekter, noen av dem mer modne enn andre, men alle er kommet så langt i utviklingsstadiet at vi kan forvente resultater i løpet av 3-5 år. Det interessante er at studiene er mangfoldige. Inhalasjon, kunstig antitrypsin og genmanipulering. Det siste høres kanskje skummelt ut, men kan også være veien mot en mulig kur.
- Knut Skaar, som er nestformand i Alfa-1 Norden, var spesielt invitert fra den amerikanske Alpha-1 Foundation for å fortelle om Danmark sin 20 års kamp for å kunne få bremsemedisin til lungesyke danske Alfa-1 pasienter, og dernest om hvorfor vi bestemte oss for å skape en Nordisk organisasjon for Alfa-1 pasienter i stedet for nasjonale individuelle organisasjoner.

På konferansen var det også mulighet for individuelle møter, både med leger eller forskere, men også med farmasi selskaper som har en særlig interesse og rolle i utviklingen av behandling og helbred av Alfa-1.

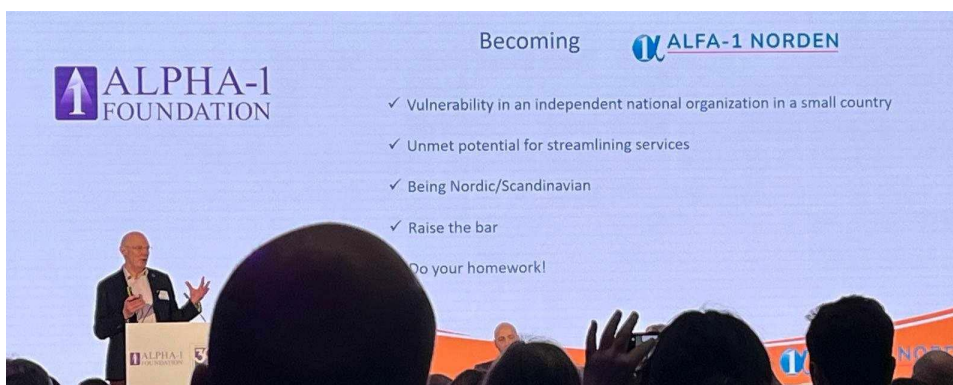


Foto: Nestformann i Alfa-1 Norden, Knut Skaar, beretter om Alfa-1 Norden

## Alpha-1 European Alliance blir rådgivere for ERDERA

Den europeiske paraplyorganisasjonen for nasjonale Alfa-1 organisasjoner, *Alpha-1 European Alliance (A1EA)*, har som kortsiktig mål at Alfa-1 syke skal få medisin der de bor, og et langsiktig mål om å bidra til at vi oppnår å kunne helbrede tilstanden. Det betyr igjen at



*A1EA* skal være et bindeledd mellom de som representerer pasientsiden og de som driver med forskning og utvikling på dette området. Et eksempel på dette er at *A1EA* nå har en avtale med ERDERA-prosjektet om å være bidragsyter til prosjektet. ERDERA prosjektet ([European Rare Diseases Research Alliance](#)) er et EU finansiert prosjekt hvor man kan søke om å få penger til å forskning. I dette tilfelle ønsker en gruppe bestående av 3 universiteter, 2 sykehus, et forskningsselskap og altså *A1EA*, å søke om støtte til et prosjekt hvor sluttproduktet skal være hvordan man bioteknologisk kan skape et flytende stoff som skal brukes til behandling av Alfa-1 antitrypsin lungesyke. Prosjektet skal vare i 3 år og har et budsjettforslag på 3 millioner €, ca. 35 MNoK. Vi vil holde dere oppdatert om resultatet av prosjektet.

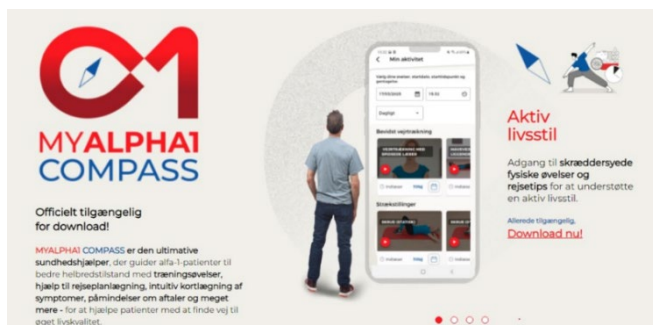
## Nyheter fra forskningen

### Første forsøk på genredigering for å kurere Alfa-1 mangel viser til lovende funn

Legemiddelfirmaet BEAM kan melde om at de første 9 pasienter har prøvd ut legemidlet BEAM 302 som korrigerer i det syke Alfa-1 genet. Dette er en mulig fremtidig behandling som sikter mot å helbrede Alfa-1 mangel, og den første studien på DNA baseredigering for Alfa-1 mangel. Under forsøket observerte man at medisinen førte til at deltakerne produserte normalt Alfa-1 antitrypsin som kunne passere ut i blodbanen. Det ble ikke registrert alvorlige bivirkninger. Vi gjør oppmerksom på at dette er en studie i en tidlig fase, og at det må forskes mer på legemiddelet før produsenten kan søke om å få legemidlet godkjent og det kan tilbys som behandling for Alfa-1 mangel. For å lære om nye behandlingsmetoder har Alfa-1 Norden god dialog med BEAM og andre legemiddelselskaper som forsker på nye terapier for Alfa-1 mangel. Vi vil holde dere oppdatert om videre fremdrift i denne studien. Du kan lese mer om resultatene fra BEAM studien i magasinet *Crispr medicine news*: <https://crisprmedicinene.com/news/beam-therapeutics-reports-clinical-proof-of-concept-data-for-beam-302-in-alpha-1-antitrypsin-deficie/>

### Ny Alfa-1 app er lansert i Danmark

CSL Behring har nylig lansert en livsstils-app for å håndtere hverdagen med Alfa-1 mangel. Appen som heter **MyALPHA1COMPASS** kan benyttes til å få råd om fysisk aktivitet, støtte til reiser og andre praktiske tips. Man kan holde øye med sine symptomer, medisinbruk og livskvalitet, i tillegg til å få hjelp med å holde oversikt over avtaler med helsepersonell.



Appen, som er gratis, kan lastes ned på Google Play eller App Store. Du kan lese mer om appen på våre hjemmesider: <https://alfa-1norden.org/ny-app-goer-det-nemmere-at-haandtere-livet-med-alfa-1-antitrypsinmangel/>

## *Felles europeisk vikingekampanje er lansert*

Har du fått med deg den seneste Facebook-informasjonskampanjen om Alfa-1 mangel, som viser sammenhengen mellom Alfa-1 mangel og Vikingene? Kampanjen ble arrangert av Alpha-1 Europe Alliance. Alfa-1 Norden har bidratt med å oversette tekst, og publisere materiale til de nordiske språk. Bidra gjerne til å få delt denne kampanjen videre på Facebook. Kampanjen finner du på vår nye offisielle Facebook-side:

[Alfa-1 Norden / Alpha-1 Nordic](#)



**Med dette ønsker bestyrelsen alle våre medlemmer en deilig sommer!**

