

2022-06-22
S2022/03077 (delvis)

Socialdepartementet

Tandvårds- och
läkemedelsförmånsverket
Box 225 20
104 22 Stockholm

Uppdrag att analysera och föreslå hur patienternas tillgång till läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar kan stärkas

Regeringens beslut

Regeringen ger Tandvårds- och Läkemedelsförmånsverket (TLV) i uppdrag att analysera olika handlingsvägar som utvecklar tillgången till läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar, samt utreda och identifiera eventuella områden inom vilka det finns behov av författningsändringar. Utgångspunkten för arbetet ska bygga på en analys av patienternas tillgång till läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar.

TLV ska:

- systematiskt kartlägga och följa upp subventionsbesluten för läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar under de senaste åren för att få en heltäckande kartläggning av hur dessa läkemedel hanteras,
- analysera förutsättningarna och konsekvenserna av ett delvis förändrat förhållningssätt i subventionsbeslut om läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar i syfte att utveckla tillgången,
- se över nuvarande regelverk för beslutsfattande kring läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar,
- utreda hur kriterier såsom försäljningsvolym eller patientantal generellt bör påverka vilket pris, vilken osäkerhet och vilken behandlingsskostnad som accepteras för ett läkemedel, samt
- se över hur förutsättningarna för användning av betalningsmodeller kan utvecklas.

TLV ska, i likhet med övrigt arbete på området bl.a. beakta patienternas tillgång till behandling och jämlik vård över hela landet och den etiska platt-

formen för prioriteringar som gäller inom hälso- och sjukvården, det vill säga människovärdesprincipen, behovs- och solidaritetsprincipen och kostnads-effektivitetsprincipen. En förutsättning för uppdraget är att myndighetens samlade förslag till handlingsvägar inte ska ge staten ökade kostnader för läkemedel jämfört med dagens system.

TLV ska senast den 31 mars 2023 lämna en delredovisning av uppdraget till Regeringskansliet (Socialdepartementet). TLV ska senast den 29 september 2023 lämna en slutredovisning av uppdraget till Regeringskansliet (Socialdepartementet).

Redovisningen av uppdraget ska hänvisa till diarienumret för detta beslut.

För uppdraget får TLV under 2022 använda högst 2 000 000 kronor som ska redovisas mot det under utgiftsområde 9 Hälsovård, sjukvård och social omsorg för budgetåret 2022 uppförda anslaget 1:6 Bidrag till folkhälsa och sjukvård, anslagsposten 18 God vård och folkhälsa. Medlen betalas ut engångsvis efter rekvisition till Kammarkollegiet senast den 1 december 2022. Medel som inte har använts för avsett ändamål ska återbetalas senast den 31 mars 2023 till Kammarkollegiet. Vid samma tidpunkt ska en ekonomisk redovisning lämnas till Kammarkollegiet. Rekvisition, åter-betalning och redovisning ska hänvisa till diarienumret för detta beslut.

Ärendet

Regeringens målsättning är att alla patienter ska erbjudas god vård efter behov på lika villkor. Det inkluderar läkemedel som är effektiva och värdeskapande. Under de senaste åren har staten ökat anslaget för läkemedelsförmånerna, från 25,9 miljarder kronor 2017 till 34,4 miljarder kronor 2022. Regionernas utgifter för klinikläkemedel har också ökat kraftigt. En anledning till den kraftiga utgiftsökningen för läkemedelsförmånerna är bland annat den snabba utvecklingen av och tillgången till nya dyrare läkemedel.

Introduktion av nya och dyra terapier innebär att nödvändiga prioriteringar behöver göras. För att prioritera bland de läkemedel som får marknadsgodkännande prövar TLV vilka läkemedel som ska ingå i läkemedelsförmånerna. Prövningen görs utifrån en värdebaserad prissättning som regleras i lagen om läkemedelsförmåner m.m. (2002:160) och följer

hälso- och sjukvårdens etiska plattform. Den värdebaserade prissättningen innebär att läkemedel prissätts primärt baserat på det uppskattade värdet till samhället i stället för baserat på kostnaden för utveckling eller produktion av produkten eller priset i andra länder. Vid prissättning och subvention tar TLV hänsyn till om det ansökta priset medför en rimlig kostnad utifrån ett antal kriterier och bedömer flera olika underlag. I den hälsoekonomiska utvärderingen jämför TLV olika behandlingar utifrån kostnaden per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår (QALY). Ifall det finns sidoöverenskommelse med läkemedelsföretag kan priset efter rabatt i sidoöverenskommelsen tillämpas i analysen. Faktorer som sjukdomens svårighetsgrad och behov vägs in i bedömningen. För en hög svårighetsgrad eller om det finns få andra behandlingar att välja bland accepteras av TLV i regel en högre kostnad i förhållande till effekten. TLV ska vid sin prövning även ta hänsyn till objektivitetsprincipen, legalitetsprincipen och andra grundläggande rättssäkerhetsprinciper.

Det kommer allt fler nya läkemedel som riktar sig till små patientgrupper. Sedan 2000 finns ett regelverk inom EU som ger sär läkemedelsklassning till läkemedel som uppfyller vissa villkor. Villkoren innebär bland annat att läkemedlet är avsett för diagnos, prevention eller behandling av ett livshotande, allvarligt funktionsnedsättande sjukdomstillstånd som förekommer hos högst 5 per 10 000 individer inom EU. Därutöver krävs det även att det antingen saknas tillfredsställande, inom EU godkända, metoder för diagnos, förebyggande eller behandling av tillståndet i fråga eller om det finns godkända metoder, att det nya läkemedlet bedöms innebära en betydande fördel för berörda patienter. Med betydande fördel avses antingen en kliniskt relevant fördel eller ett betydande bidrag till patientvården. Beslut om sär läkemedelsstatus innebär en rad förmåner för den aktuella produkten:

- Ensamrätt för behandling av patientgruppen inom EU under 10 år.
- Kostnadsfri eller reducerad avgift för vetenskaplig rådgivning av läkemedelsmyndighet.
- Kostnadsfri eller reducerad avgift för godkännande.
- Kostnadsfri inspektion innan godkännande.
- Företräde till EU:s forskningsprogram inom de så kallade ramprogrammen.
- Särskilda stimulansåtgärder inom enskilda medlemsstater.

Baserat på uppgifter från EU-kommissionen om vilka preparat som har sär läkemedelsstatus fanns det 72 sär läkemedel för försäljning i Sverige 2021.

Av dessa hanteras drygt 40 läkemedel inom öppenvården och drygt 70 i slutenvården, vissa säräkemedel används därmed i både öppenvård och i slutenvård. Enligt beräkningar från TLV uppskattas den totala kostnaden för dessa säräkemedel uppgå till mellan 2,5 och 3 miljarder kronor 2021, varav cirka 750 miljoner kronor såldes inom läkemedelsförmånerna i öppenvård. Kostnaden per patient för ett års behandling kan uppgå till flera miljoner kronor för vissa säräkemedel, men långt ifrån alla säräkemedel är så kostsamma. Flera läkemedel som klassificerats som säräkemedel kan också användas vid icke sällsynta tillstånd som vanliga läkemedel. Kostnaderna omfattar således behandling av sällsynta *och* icke sällsynta tillstånd.

TLV har i ett antal ärenden tagit hänsyn till att en behandling är riktad mot ett sällsynt tillstånd genom att då acceptera en högre kostnad per hälsovinst än vad som normalt accepteras (se till exempel TLV:s beslut dnr 1967/2015). Det har TLV gjort bland annat med stöd av slutsatserna i en rapport av Prioriteringscentrum i en bilaga till Läkemedels- och Apoteksutredningen (SOU 2014:87). Författarna till rapporten menar att hälso- och sjukvårdens etiska plattform ger en möjlighet att ta särskilda hänsyn vid prioritering av läkemedel riktade till sällsynta och mycket svåra tillstånd. I rapporten diskuteras hur sällsynt ett tillstånd bör vara för att komma i fråga för den högre accepterade kostnaden per hälsovinst. Författarna menar att avgränsningen i patientantal bör sättas betydligt lägre än den vedertagna definitionen av säräkemedel.

Riksrevisionen har i en granskning av TLV:s arbete som publicerades 2021 (RiR 2021:14), angett att det behövs nya kriterier för prissättning och subventionering för att möjliggöra att ta in vissa typer av nya dyra läkemedel i förmånerna, särskilt läkemedel mot svåra sällsynta kroniska tillstånd. Samtidigt är det enligt Riksrevisionen viktigt att de nya kriterierna utformas på ett väl avvägt sätt. Det måste fortfarande vara en prövning av läkemedlets kostnad i förhållande till hälsovinsten som ligger till grund för subventionsbeslutet.

En välfungerande prisdynamik för läkemedel över hela dess livscykel är viktig. Om en viss typ av läkemedel ska prioriteras ur ett resursperspektiv, behöver det parallellt utvecklas förslag på hur priserna kan påverkas nedåt vid till exempel höga försäljningsvolymerna. De teoretiska argumenten för och emot detta bör utredas parallellt med frågan om högre accepterad kostnad för läkemedel vid små patientpopulationer.

För att över tid kunna utvärdera rimlig kostnad för läkemedel är det viktigt att kontinuerligt kunna följa upp användningen av läkemedlet i klinisk vardag, vilket i sin tur kräver tillgång till relevanta uppföljningsdata. I uppdraget ingår att identifiera behovet av data för att förbättra förutsättningarna för uppföljning.

Regeringen beräknar att avsätta medel för genomförandet av uppdraget för 2023 under förutsättning att riksdagen anvisar medel för det aktuella anslaget.

På regeringens vägnar

Ardalan Shekarabi

Almina Kalkan

Kopia till
Kammarkollegiet