

2024-02-29  
S2024/00481 (delvis)**Socialdepartementet**Tandvårds- och  
läkemedelsförmånsverket  
Box 225 20  
104 22 Stockholm

## Uppdrag att fortsätta analysera förutsättningar och utveckla verktyg för att stärka tillgången till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd

### Regeringens beslut

Regeringen ger Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) i uppdrag att fortsätta utveckla förutsättningar och verktyg för att stärka tillgången till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd inom nuvarande system.

Utgångspunkten för uppdragets genomförande ska bygga på, men inte vara begränsad till, de förslag som myndigheten har lämnat i sin rapport Stärkt tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd (S2022/03077). Särskild vikt ska läggas vid hur förslagen om patientstorlek och försäljningsvolym kan påverka den accepterade kostnaden för ett läkemedel och hur det ska fungera i praktiken. Resultatet av arbetet ska vara utvecklade förhållningssätt, metoder och arbetssätt samt en konsekvensanalys av dessa.

TLV ska, i likhet med övrigt arbete på området, bl.a. beakta patienternas tillgång till behandling och jämlik vård över hela landet samt den etiska plattformen för prioriteringar som gäller inom hälso- och sjukvården. Det vill säga, människovärdesprincipen, behovs- och solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen. En förutsättning för uppdraget är att myndighetens samlade förslag till handlingsvägar inte ska ge staten ökade kostnader för läkemedel jämfört med nuvarande system.

TLV ska när uppdraget utförs vid behov föra dialog med relevanta aktörer, däribland branschföreträdare för näringslivet.

TLV ska senast den 31 december 2024 lämna en slutredovisning av uppdraget till Regeringskansliet (Socialdepartementet).

För uppdraget får TLV under 2024 använda högst 4 000 000 kronor. Av medlen ska 2 000 000 kronor redovisas mot det under utgiftsområde 9 Hälsovård, sjukvård och social omsorg för budgetåret 2024 uppförda anslaget 1:6 Bidrag till folkhälsa och sjukvård, anslagsposten 18 God vård och folkhälsa. Av medlen ska 2 000 000 kronor redovisas mot det under utgiftsområde 9 Hälsovård, sjukvård och social omsorg för budgetåret 2024 uppförda anslaget 1:6 Bidrag till folkhälsa och sjukvård, anslagsposten 29 Ordnat införande och strukturerad uppföljning.

Medlen betalas ut engångsvis efter rekvisition till Kammarkollegiet senast den 1 december 2024.

Medel som inte har använts för avsett ändamål ska återbetalas senast den 31 mars 2025 till Kammarkollegiet. Vid samma tidpunkt ska en ekonomisk redovisning lämnas till Kammarkollegiet.

Redovisning, rekvisition och återbetalning ska hänvisa till diarienumret för detta beslut.

## **Ärendet**

Utvecklingen av nya effektiva läkemedel mot sällsynta hälsotillstånd representerar betydande framsteg inom medicinsk forskning och behandling, samtidigt som det skapar stora möjligheter för den som lever med ett sällsynt hälsotillstånd. Där det tidigare saknats behandling har dessa nya läkemedel potentialen att förbättra livskvalitet och förlänga liv, vilket också bidrar till hela samhällets hälsa och välbefinnande.

Att fler behandlingsmöjligheter utvecklas är positivt och angeläget men medför också utmaningar för att patienter ska få tillgång till effektiva läkemedel på ett jämlikt och kostnadseffektivt sätt. Läkemedel för sällsynta hälsotillstånd är i många fall högt prissatta samtidigt som långtidsdata saknas.

Regeringens mål är att verka för ett långsiktigt hållbart system som ger utrymme för fortsatt utveckling utan att andra viktiga samhällsnyttor trängs undan. I ett sådant system är rimliga kostnader en förutsättning för att säkerställa hållbarheten i tillgängligheten. Utmaningen ligger i att skapa

balans mellan tillgänglighet och kostnadseffektivitet, det gäller för behandlingar av både vanliga och ovanliga sjukdomar.

Riksdagen har tillkännagett för regeringen det som utskottet anför om dels strategi och finansiering rörande läkemedel mot sällsynta sjukdomar och diagnoser (bet. 2021/22:SoU21 punkt 4, rskr. 2021/22:199), dels en nationell handlings- och samordningsplan för sällsynta sjukdomar (bet.2022/23:SoU13 punkt 2, rskr. 2022/23:192).

Regeringen ser i likhet med riksdagen ett behov av ett utvecklat och samordnat arbete inom området sällsynta hälsotillstånd. Regeringen har därför gett Socialstyrelsen ett uppdrag att ta fram ett förslag till en nationell strategi inom området sällsynta hälsotillstånd (S2024/00038). Socialstyrelsen ska när uppdraget utförs bl.a. utgå från patientgruppernas behov och bidra till samsyn kring mål och prioriteringsområden för inriktningen framåt. Det ingår inte i uppdraget att inkludera läkemedel för behandling av sällsynta hälsotillstånd.

Inom ramen för överenskommelsen mellan staten och Sveriges Kommuner och Regioner (SKR) om statens bidrag till regionerna för läkemedelsförmånerna m.m. 2024, ska Regeringskansliet tillsammans med SKR och TLV analysera förutsättningarna för, och ta fram förslag på hur parterna kan bidra till att tillgången till nya effektiva läkemedel kan stärkas samtidigt som en långsiktig hållbar prissättning och en kostnadseffektiv användning av läkemedel kan säkerställas. Målsättningen med arbetet är att verka för ett system med långsiktigt hållbara kostnader, där effektiva läkemedel är tillgängliga för patienter med såväl vanliga som ovanliga hälsotillstånd, efter behov.

TLV har fått flera regeringsuppdrag med anknytning till området. Under hösten 2023 redovisade TLV uppdragen Betalningsmodeller för avancerade läkemedelsbehandlingar (S2022/03078) och Stärkt tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd (S2022/03077). I den senare redovisningen föreslås bl.a. att TLV i myndighetens beslut i större utsträckning ska ta hänsyn till patientantal och volym. Därmed skulle det under vissa förutsättningar innebära en högre accepterad kostnad i relation till nyttan för läkemedel för mycket små patientgrupper, samtidigt som kostnaderna för läkemedel med mycket stor försäljningsvolym bör vara lägre. Detta bedöms vidare leda till långsiktigt hållbara kostnader. TLV föreslår också att stärkta förutsättningar

för förhandlingar och användning av mest ändamålsenliga avtalskonstruktion. TLV bedömer att det krävs fortsatt arbete och resurser för att genomföra förslagen.

TLV får därför i uppdrag att fortsätta utveckla förutsättningar och verktyg för att stärka tillgången till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd inom nuvarande system. Utgångspunkten för uppdragets genomförande ska bygga på, men inte vara begränsad till, de förslag som myndigheten har lämnat i sin rapport Stärkt tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd (S2022/03077).

På regeringens vägnar

Acko Ankarberg Johansson

Mimmi Lövbom

Kopia till

Kammarkollegiet