

1. Varför behövs det en Kommission för innovativa läkemedel?

Alla bolag som ingår i kommissionen upplever att det svenska systemet för utvärdering, introduktion och finansiering av nya, innovativa och ofta kostsamma läkemedel för sällsynta sjukdomar inte fungerar tillfredsställande. Samordning av processerna mellan inblandande parter blir många gånger otillfredsställande, vilket drabbar alla inblandade. För personer med sällsynta sjukdomar innebär dagens system att tillgången till livsavgörande mediciner blir slumpmässig och därmed ojämlig och orättvist.

Under de senaste åren har nya framforskade läkemedel möjliggjort en nämnvärd förbättrad behandling för många av dessa sällsynta sjukdomar. Behandlingar som inte fanns tillgängliga för ett 10 tal år sedan. Men hur ser tillgängligheten av läkemedlen ut för patienterna? Patientsäkerhetslagen ska säkerhetsställa att alla har rätt till en effektiv behandling när så finns oavsett hur vanlig/sällsynt sjukdomen är.

2. Vad menar ni med "sällsynta sjukdomar"?

Enligt Europeiska kommissionen är definitionen för en sällsynt sjukdom "en livshotande eller kronisk försvagande sjukdom som har en så låg prevalens att specifika kombinerade krafter krävs för att ta itu med dem". Låg prevalens definieras som mindre än 1 på 2 000 personer.

3. Är detta ett nytt problem?

Nej. Dagens modell särskiljer inte läkemedel för sjukdomar, där det finns ett flertal behandlingsalternativ från läkemedel för sällsynta eller mycket sällsynta sjukdomar, där det saknas alternativ behandling. Antalet patienter som ligger till grund för vissa beslut skiljer sig även markant åt.

Bedömning och utvärdering sker alltså idag genom samma processer och på likvärdiga premisser. Vår samlade erfarenheter visar att den generella modellen **inte** kan appliceras på läkemedel för att få till ett tillfredsställande beslut gällande utvärdering, introduktion och finansiering.

Handläggningen medför även många gånger en lång och osäker väntan för patienterna. Det finns patienter med livshotande eller allvarligt funktionsnedsättande sjukdomar som har väntat i år på ett besked om behandling trots att kostnaden för deras läkemedel bara utgör ett par procent av de totala läkemedelskostnaderna, eftersom det handlar om så få patienter.

4. Vad bör man göra åt problemet?

Regeringen bör titta närmare på denna fråga inom ramen för den utredning som nu granskar behovet av nationella riktlinjer i vården. Vi anser att staten behöver ta ett samlat ansvar för tillgängligheten av läkemedel till patienter med sällsynta diagnoser, dels för att de inte passar in i mallen för hur läkemedel bedöms idag ur ett kostnadseffektivitetsperspektiv, och dels för att antalet patienter med sällsynta och kostsamma behandlingar inte fördelas jämnt över landet. Staten har tidigare tagit över kostnadsansvaret för behandlingar av t ex HIV, lysosomala inlagringssjukdomar, Hepatit C och hemofili. Vi anser att kostnaden för behandlingen av sällsynta och mycket sällsynta sjukdomar med stor fördel skulle gynnas av att täckas av ett statligt ansvar.

5. Vilka ingår i kommissionen?

Det är nio forskningsintensiva bolag som har gått ihop och bildat kommissionen för innovativa läkemedel: Actelion, Alexion, Amicus, BioMarin, Kyowa Kirin, Raptor, Sanofi, Shire och Vertex. De är verksamma inom olika områden såsom onkologi, enzymbrist, testosteronbrist, genetiska sjukdomar, lysomala inlagringssjukdomar, metabola sjukdomar och cystisk fibros.

6. Vad väntar ni uppnå med arbetet

Vårt mål är att försöka förmå staten att övertar det finansiella ansvaret för behandling för patienter som drabbats av sällsynta och mycket sällsynta sjukdomar. Det gör man bäst genom att ta över betalningsansvaret från landstingen. Staten har sedan många år tillbaka övertagit betalningsansvaret för ett antal särskilt svåra sjukdomar vars prevalens drabbar landstingen väldigt ojämnt: AIDS/HIV, hepatit C. Detta skulle lyfta den enskilde klinikers/landstingets kostnadsansvar och därmed få bukt på den ojämna kostnadsbelastning.

Vår strävan är även att öka medvetande gällande den komplexa frågan genom att initiera en ökad debatt samt samarbete med inblandad parter så som politiker, beslutsfattare, patientorganisationer och kliniker. Vi är väl medvetna om att detta är en komplex fråga och vi står ödmjuka inför världens idag svåra prioriteringar när det gäller behandlingstillgänglighet.

7. Hur vill kommissionen att framtidens prismodell ska se ut?

En sammanhållen - men flexibel – värdebaserad prissättningsmodell är att föredra.

Behovs- och solidaritetsprincipen är av stor betydelse vid värdebaserad prissättning av läkemedel vid allvarliga och sällsynta sjukdomar. Många sällsynta sjukdomar är så ovanliga att det nästan är slumpmässigt när och var patienterna söker vård, vilket försvårar planering och budgetering. Ett allt för decentraliserat kostnadsansvar blir därför svårt att hantera för enskilda kliniker - vilket direkt slår mot patienternas tillgång till behandling.

Det är rimligt att utgå från hur sällsynt sjukdomen är och hur stor total budgetpåverkan en subvention skulle ha. En nationell hantering av finansieringen för allvarliga och sällsynta sjukdomar bör vara hanterbar eftersom budgetpåverkan i många fall kan beräknas med stor säkerhet utifrån en ofta tydligt definierad patientpopulation och en väl avgränsad indikation.

En värdebaserad prissättningsmodell skulle även stimulera innovation genom utveckling av de läkemedel som patienter, sjukvård och samhället behöver.

8. Vad innebär värdebaserad prissättning?

Förmånssystemet för läkemedel bygger till stora delar på principen om värdebaserad prissättning (VBP). VBP är baserad på förväntad nytta i stället för alternativa kriterier såsom t ex produktionskostnaden för läkemedlet eller priser i andra länder, s.k. referenspriser. VBP innebär att läkemedlen subventioneras utifrån den betalningsvilja som finns i Sverige. Enligt VBP ska priset på ett läkemedel spegla de förväntade framtida positiva effekterna på befolkningen och den betalningsvilja som finns för detta.

9. Kommer det inte att bli väldigt stora kostnader för det offentliga om alla ska få sina mediciner?

För åren 2013 till 2020 bedöms kostnaderna för sär läkemedel växa från ca 2.7 % till 3.9 % för att sedan stabiliseras runt 4.1% av den samlade kostnaden för läkemedel. Om det är mycket eller lite för att ge tillgång till livsviktiga mediciner åt patienter med sällsynta sjukdomar får någon annan bedöma.

10. Kan läkemedel få kosta hur mycket som helst?

Det kan kommissionen inte bedöma. Men i debatten lyfts ofta priset på smala, forskningsintensiva sär läkemedel fram som det stora problemet. Sett till statens budget för läkemedelssubventioner representerar dessa läkemedel endast ett par procent av de totala kostnaderna för läkemedel, eftersom patientgrupperna alltid är mycket små.

11. Kan ni inte ta mindre betalt så att alla som behöver får behandling?

Utveckling av sär läkemedel för sällsynta sjukdomar är förknippat med hög risk och långa, komplexa processer. Vägen till en banbrytande medicin är kantad av hinder och bakslag. Om företag ska ha incitament att trots detta satsa också på smala, innovativa preparat måste det finnas en rimligt förutsägbar marknad.

Den totala inverkan från behandling av extremt sällsynta sjukdomar på hela hälso- och sjukvårdsbudgeten är mycket begränsad, men effekten är livsavgörande för de få patienter som kan få

12. Hur många personer i Sverige har sällsynta sjukdomar?

Det är svårt att ange en exakt siffra. I Sverige finns ca 300 sjukdomar identifierats som sällsynta och allvarliga av Socialstyrelsen. EUs definition på en sällsynt sjukdom är färre än 100 patienter per en miljon invånare, medan definitionen av mycket sällsynta diagnoser (Ultra Rare Disease) är färre än 20 per en miljon invånare. Trots det låga antalet drabbade patienter, är den negativa inverkan på patienter, familjer och samhälle mycket stor eftersom sjukdomarna ofta är mycket allvarliga, kroniska och progressiva med ett högt dödsantal.

FAKTARUTA: Etisk plattform för svensk sjukvård och läkemedelspolicy

TLV:s bedömningar utgår från en etisk plattform med tre grundläggande principer:

- människovärdesprincipen - att vården ska respektera alla människors lika värde,
- behovs- och solidaritetsprincipen – att de som har de största medicinska behoven ska ha mer av vårdens resurser än andra patientgrupper samt
- kostnadseffektivitetsprincipen – att kostnaderna för att använda ett läkemedel ska vara rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter.