

Nationella stimulansmedel sällsynta sjukdomar

Bakgrund – analys:

Frågan om snabb och jämlik tillgång till nya, EU-godkända läkemedel mot sällsynta diagnoser är en omdebatterad fråga, sedan fler år tillbaka. Riksdagen har vid flera tillfällen uppmanat regeringen att ta fram förslag om särskild finansiering av sär läkemedel, senast våren 2022. Något sådant förslag har emellertid inte lagts. Tidigare har regeringen slutit överenskommelser med Sveriges Kommuner och Regioner, SKR, som bland annat har berört vård och behandling av sällsynta sjukdomar.

I överenskommelsen för 2021 pekas två områden ut som särskilt angelägna – verksamheten vid centrumen för sällsynta diagnoser och nationell samordning. Regeringen avsätter, enligt överenskommelsen, totalt tio miljoner kronor, varav sex miljoner tilldelas landets medicinska centrum för sällsynta diagnoser och fyra miljoner går till den samverkansregionala strukturen för kunskapsstyrning. Regeringen och SKR har slutit liknande överenskommelser 2018 och 2019. Anslagen är tämligen blygsamma och frågan om tillgång till läkemedel har aldrig omfattats.

Frågan om särskild nationell finansiering av sär läkemedel har behandlats i flera statliga utredningar, bland annat i Toivo Heinsoos läkemedelsutredning från 2018. Heinsoo presenterade där ett konkret förslag till nationell pott, som ett inslag i en större läkemedelsreform, som skulle öka den nationella finansieringen av sär läkemedel och också bidra till ökad utjämning av kostnader över landet.

Ansvar och kostnader för vård och läkemedel för personer med sällsynta diagnoser är delad mellan stat och regioner. TLV beslutar om läkemedel som ska ingå i läkemedelsförmånen, medan klinikläkemedel i första hand utvärderas av NT-rådet. Vissa nya terapier som fått EU-godkännande tas inte upp för utvärdering över huvudet taget på grund av att patientgruppen är så liten. I vissa fall har NT-rådet gett negativa rekommendationer, men vissa regioner har trots det valt att köpa in läkemedlen och behandla patienter. Hanteringen av sällsynta sjukdomar visar ytterst på det problematiska i hur den nuvarande modellen för arbetsfördelning tar sig uttryck – patienter får inte rätt vård, resurser används inte effektivt och förutsättningarna skiljer sig mellan olika delar av landet.

Sveriges Kommuner och Regioner, SKR, har i ett positionspapper om läkemedel föreslagit att det behöver etableras ett fungerande system för solidarisk finansiering av läkemedel som omfattar både recept- och rekvisitions läkemedel och som innebär en fördelning av ansvaret för finansiering mellan stat och region. SKR anser också att ett system för statlig medfinansiering av vissa terapier behövs. ”Staten behöver ge ekonomiskt stöd i särskilt utmanande situationer där nya läkemedelsbehandlingar som bedöms effektiva är förknippade med mycket höga kostnader för både läkemedel och andra vårdinsatser”, anförs i positionspapperet.¹ SKR:s modell bör prövas positivt – och ligger väl i linje med det förslag om särskilda stimulansmedel som presenteras i denna promemoria.

Staten försöker ofta lösa styrningsproblemen genom att utarbeta nationella strategier, ta fram ekonomiska incitament riktade till regionerna eller att skapa särskilda stimulansmedel – allt i syfte att styra den nationella utvecklingen i önskvärd riktning. Om frågan om sär läkemedel

¹ *Sverige behöver ett modernt regelverk för läkemedel*, positionspapper (2021-03-26), Sveriges Kommuner och Regioner, SKR

ska få en rimlig lösning krävs det åtgärder längs alla dessa fronter. Och det behövs åtgärder på både kort och lång sikt.

Den politiska uppslutningen kring reformer för sär läkemedel är stor. Men det saknas tillräcklig konkretion i förslag och beslut. Hur en större reform för sär läkemedel ska se ut är en inte alldeles enkel politisk fråga. Läkemedelsindustriföreningen, Lif, har exempelvis lagt fram ett förslag till långsiktig reform.² Området är komplext, det finns många intressen involverade och det finns krav på kostnadskontroll och kostnadseffektivitet. Det är viktigt att reformarbetet inte stannar upp på grund av att alla detaljer i en kommande större reform inte är utklarade.

Det finns därför goda skäl att inleda en försöksverksamhet med nationella stimulansmedel för sällsynta sjukdomar. Att inleda en försöksverksamhet är ett sätt att få i gång en viktig process utan att politiken måste binda sig långsiktigt. Förslaget presenteras närmare nedan.

Förslaget: nationella stimulansmedel för sällsynta sjukdomar

Förslaget innebär att staten inleder en försöksverksamhet med nationella stimulansmedel för sällsynta sjukdomar – med följande inslag:

- Riksdagen fattar i samband med den ordinarie budgetbehandlingen hösten 2022 beslut om att avsätta särskilda nationella stimulansmedel för finansiering av läkemedel mot sällsynta diagnoser. Initiativet kan ske genom regeringens budgetproposition eller genom oppositionens budgetar, som vinner riksdagens bifall.
- Definitionen av sällsynthet ska följa EU:s riktvärde: I Europa definieras en diagnos som sällsynt om den förekommer hos högst 5/10 000 personer. Tillstånden ska även vara livshotande eller inkludera en omfattande funktionsnedsättning för att falla under denna definition.
- Med utgångspunkt i riksdagens beslut sluter regeringen en överenskommelse med Sveriges Kommuner och Regioner om en försöksverksamhet. Överenskommelsen innehåller en närmare beskrivning av enligt vilka principer resurserna ska fördelas, hur det nya systemet och användningen av pengarna ska utvärderas från kvalitets- och effektivitetssynpunkt med mera.
- Försöksverksamheten pågår under fyra år. Om beslut i riksdagen fattas under hösten 2022 bör verksamheten kunna påbörjas under 2023. Försöksverksamheten pågår således under åren 2023–2026.
- Försöksverksamheten utvärderas i sin helhet efter försöksperiodens utgång, dvs efter 2026. Det är en rimlig tidsperiod för att kunna göra rimliga bedömningar av effekter i fråga om såväl kvalitet som effektivitet. En halvtidsavstämning bör emellertid göras efter 2024. Efter en sådan avstämning kan smärre justeringar göras inför de återstående två åren och vissa preliminära slutsatser dras.
- Försöksverksamheten ska utvärderas av oberoende expertis. Till denna utvärdering ska knytas en expert- och referensgrupp bestående av företrädare för väsentliga

² Lif i dialogmöte med socialdepartementet, SKR och TLV om sär läkemedel, 22 april 2022
[<https://lif.se/nyheter/2022/4/lif-i-dialogmote-med-socialdepartementet-skr-och-tlv-om-sar-lakemedel/>]

intressenter såsom SKR, myndigheter, patientorganisationer och läkemedelsindustrin. I uppdraget för utvärderingen ska ingå att, om så anses rimligt, lägga förslag om mer långsiktiga lösningar på finansieringen av sär läkemedel.

- Riksdagen har fattat en rad beslut om sär läkemedel, dels de två tillkännagivandena, dels ett budgetbeslut hösten 2022. Socialutskottet följer därför, som ett led i sin uppföljnings- och kontrollverksamhet gentemot regeringen, upp försöksverksamheten. Det sker dels i samband med halvtidsavstämningen, dels i samband med slututvärderingen. Uppföljningen sker exempelvis genom hearingar och seminarier där viktiga intressenter och experter får komma till tals.
- Överenskommelsen mellan regeringen och SKR innehåller i huvudsak följande tre delar:
 1. en ekonomisk satsning på sär läkemedel genom en försöksverksamhet,
 2. krav på återrapportering från regionerna kring vilka förbättringar i fråga om ökad transparens, tillgänglighet och nationell likvärdighet som äger rum när det gäller sär läkemedel som regionerna genomför
 3. uppdrag till relevant myndighet (TLV eller Socialstyrelsen ligger närmast till hands) att inrätta ett "policylab" (utvecklas nedan) för utveckling av nya idéer för hur sär läkemedel kan finansieras

Utvärderingen ska genomföras av oberoende expertis till vilken knyts ovan nämnda expert- och referensgrupp.

- Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV, har fått i uppdrag att inom apoteksområdet leda ett projekt, som kallas "policylab", för att utveckla nya farmaceutiska tjänster; det kan handla om exempelvis läkemedelssamtal för äldre eller inhalationsvägledning. I "policylab" ingår de viktigaste apoteksaktörerna liksom de viktigaste myndigheterna. Modellen kan överföras till området sär läkemedel. Bli också ett sätt för TLV att känna ett tydligare ägarskap för frågan och får jobba med utveckling och policy. Inom området sär läkemedel skulle patientföreningar, läkemedelsföretag, myndigheter, sjukvårdshuvudmän (både SKR och privata) kunna ingå.
- De nationella stimulansmedlen omfattar de två första åren 100 miljoner kronor årligen, under år tre och fyra 200 miljoner kronor. Beloppet 200 miljoner tar sin utgångspunkt i den analys och de beräkningar som Toivo Heinsoo gjorde i sin utredning från 2018. I utredningen finns ett räkneexempel som anger siffran 200 miljoner approximativt för statens resurstillskott till regionerna.
- De ekonomiska resurserna fördelas till regionerna utifrån ansökan från regionerna. Lämplig och relevant central myndighet prövar ansökningarna i enlighet med de kriterier (uppnådda mål, kostnadsbörda med mera) som fastslås i överenskommelsen mellan regeringen och SKR. Regionerna bör kunna få ersättning för delar eller hela kostnaden för sär läkemedel inom sin region.