

Utkast till

# En svensk strategi för sällsynta hälsotillstånd

Kommissionen för innovativa läkemedel



**“Riksdagen har på förslag  
av regeringen antagit  
denna nationella strategi  
för att förbättra situationen  
för personer som lider av  
sällsynta hälsotillstånd.”**

# Genomförande och mål

Denna strategi antas av riksdagen under 2021 och gäller för statsmakternas agerande under 2022 – 2025.

## Mål:

- Under perioden ska ske en påtaglig, mätbar förbättring av bemötandet av och stödet till personer med sällsynta hälsotillstånd. Det innebär att deras rätt till korrekt diagnos utan onödigt dröjsmål, adekvat vård, tillgång till existerande läkemedel och socialt stöd stärks.
- Vården, och inte minst de innovativa vårdmetoder som utvecklas genom framsteg inom cell- och genterapi, ska komma alla till del på jämlika villkor.
- Systemet för subventionering av läkemedel riktade till denna grupp (särsläkemedel) ska reformeras under perioden i syfte att dels öka förutsägbarheten om en medicin är tillgänglig för en viss patient oavsett bostadsort, dels solidariskt hantera de stora regionala skillnader i kostnader som kan uppstå.
- Huvudinriktningen för en reformering av subventionssystemet är att staten övertar hela betalningsansvaret för särsläkemedel.
- Den etiska prioriteringsplattformen justerats så att fler faktorer, bland annat sällsynthet, vägs in i bedömningen av samhällets betalningsvilja.
- Sverige ska tillhöra de tre bästa länderna inom EU när det gäller att säkra att tiden är kort mellan det att läkemedel för sällsynta tillstånd godkänts av den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA tills det är tillgängligt för patienter i Sverige.
- Den statliga myndigheten TLV ska ha kapacitet att göra en hälsoekonomisk utvärdering och, om staten övertar hela betalningsansvaret, slutföra förhandlingar om prissubvention inom tre månader.
- Antalet kliniska studier och tester i Sverige av särsläkemedel och andra terapier riktade till gruppen med sällsynta hälsotillstånd ska under perioden ha ökat med minst 30 procent.
- Forskningen kring sällsynta hälsotillstånd byggs ut inom de ekonomiska ramar som presenteras i 2020 års forsknings- och innovationsproposition.
- Fler nationella vårdrekommendationer utfärdas och genom ett tätt samarbete mellan Socialstyrelsen, de sex regionala centrumbildningarna vid universitetssjukhusen, Ågrenska stiftelsen och fler excellenscentra som bör tillkomma.
- Sverige tillhör 2025, i enlighet med tidigare antagen vision, de bästa länderna i världen i fråga om e-hälsa.

Mot slutet av perioden utvärderas planen. Om vissa mål inte uppnåtts eller om ambitionsnivån kan höjas revideras den och förlängs.

# Inledning

EU:s ministerråd rekommenderade år 2009 medlemsländerna att anta strategier för sällsynta sjukdomar. Rådet menade att förekomsten av dessa sjukdomar kräver särskilda och kombinerade insatser för att förhindra sådan sjuklighet och dödlighet som går att undvika och för att förbättra de drabbades livskvalitet.

Sverige har, till skillnad från de flesta andra länder i Unionen, inte antagit en sådan strategi. Det har dock vidtagits en rad åtgärder i syfte att förbättra situationen.

Men eftersom problemen fortfarande är stora och att det finns en betydande potential att inom rimliga ekonomiska ramar förbättra situationen för de drabbade, är det dags att anta en sådan strategi också i Sverige.

I enlighet med Rådets rekommendation innehåller denna strategi ett antal prioriterade åtgärder med tydliga mål som ska genomföras inom en angiven tidsperiod. Därefter utvärderas den och beslut tas om den behöver revideras och förlängas.

Ett samlat nationellt grepp motiveras inte minst av tre problem som återkommer i analyser, rapporter och undersökningar från myndigheter, patientorganisationer och läkemedelsbolag:

- Ojämlig tillgång till vård över landet
- Ovisshet om och när svenska patienter kan få tillgång till internationellt godkända läkemedel
- Problem för nya, innovativa och ofta kostsamma terapier att rymmas inom den svenska modellen för hälsoekonomisk utvärdering (HTA-modellen).

Socialstyrelsen presenterade ett underlag till svensk strategi 2012 och har därefter återkommit till frågeställningarna i flera sammanhang. En rad åtgärder har som nämnts också vidtagits. Flera statliga utredningar har belyst aspekter av de aktuella frågorna. Det gäller exempelvis "Träning ger färdighet. Koncentrera vården för patientens bästa" (SOU 2015:20), "Effektiv vård" (SOU 2016:2), "Tydligare ansvar och regler för läkemedel" (SOU 2018:39) och "Ett sammanhållet system för kunskapsbaserad vård" (SOU 2020:36). Förslagen i denna strategi ligger i linje med flera aktuella planer och processer, exempelvis den nyligen antagna svenska life science-strategin, förslaget till ett bättre system för kunskapsstyrning och arbetet med personcentrerade och sammanhållna vårdförlopp.

## Bakgrund

Att ha en sjukdom eller ett begränsande hälsotillstånd som få eller mycket få andra lider av medför extra påfrestningar, jämfört med att drabbas av något som berör relativt många. Kunskapen inom vården är mindre, vilket kan försena korrekt diagnosticering och adekvata vårdinsatser. Underlaget för forskning är mindre. Möjligheten att få råd och stöd av andra drabbade av samma symptom är mindre. Systemet för att godkänna och tillgängliggöra läkemedel ställs inför särskilda utmaningar genom att underlaget för bedömningar är litet och möjligheterna till jämförelser med alternativa behandlingar också ofta är litet eller obefintligt.

Statsmakterna har länge varit medvetna om att mycket ovanliga sjukdomar kräver särskilda insatser och lösningar. Idag uppskattas antalet sällsynta sjukdomar till uppemot 8 000. För flertalet (95 procent) av dem finns ännu inte några verksamma behandlingar. Men den medicinska utvecklingen har gått framåt och forskningsgenombrott har givit hopp om ett längre och bättre liv för fler och fler drabbade.

I utredningar och rapporter från myndigheter har brister i det offentliga stödet till de utsatta människor, som denna strategi ytterst berör, dokumenterats. Vittnesmål från drabbade individer och deras familjer belyser hur brutalt dessa brister ibland påverkar livet. Det kan handla om att hänvisas från den ena kliniken till den andra utan att någonstans få adekvata besked. Eller att kommunala instanser inte är redo att ställa upp med den assistans som krävs för göra livet uthärdligt. Eller att se en anhörig bli allt sämre, trots vetskapen att det finns en behandling som skulle hjälpa, men som svenska myndigheter inte anser sig kunna tillhandahålla.

Några siffror kan nämnas för att illustrera den beskrivna verkligheten. Den genomsnittliga tiden för att få en korrekt diagnos för personer med sällsynta sjukdomar har i en studie uppskattats till närmare fem år. Av 172 befintliga läkemedel riktade mot sällsynta diagnoser är endast 57 tillgängliga för patienter i Sverige – motsvarande siffra i Danmark är 146.

Men till bilden hör också, som redan konstaterats, att utvecklingen innehållit flera positiva inslag.

- Omfattande forskningsinsatser har gett positiva resultat och för flera sällsynta tillstånd finns nu behandlingar som kan bota, bromsa eller lindra sjukdomen eller funktionsnedsättningen. Inte minst cell- och genterapier har ökat hoppet för många.
- Sex regionala centra för sällsynta diagnoser har byggts upp vid universitetssjukhusen.
- Ågrenska stiftelsen i Göteborg har givits möjlighet att spela en nationell roll
- Staten har i en överenskommelse med Sveriges Kommuner och Regioner, SKR, avsatt särskilda medel, bland annat till stöd till patientorganisationer.

- Det internationella samarbetet har utvecklats, bland annat genom det europeiska referensnätverket Orphanet.

Det finns alltså en grund att bygga vidare på. Svensk sjuk- och hälsovård befinner sig i ett dynamiskt utvecklingskede där mycket nytt bryter fram. Vetenskapliga genombrott öppnar nya möjligheter. Det handlar om nya diagnosmetoder, nya behandlingsalternativ och avancerat IT-stöd för sådant som kunskapsspridning, tolkning av röntgenbilder och diagnosticering. Denna strategi bidrar till att dessa nya möjligheter också kommer dem som drabbats av sällsynta hälsotillstånd till del.

## Definition av sällsynthet

Om sällsyntheten ska motivera särskilda insatser och systemlösningar krävs en definition. Internationellt finns olika alternativ. EU:s rekommendation talar om att högst fem av tiotusen personer ska ha sjukdomen eller funktionsnedsättningen. Socialstyrelsen, som nyligen förordat termen "Sällsynta hälsotillstånd" som den bästa på svenska, tillämpar samma definition. Om Sverige, för enkelhetens skull, antas ha 10 miljoner invånare innebär det för oss alltså högst 5 000 personer.

Det bör dock framhållas att grupperna som berörs av sällsynta diagnoser i de flesta fall är långt mindre. I de sammanhangen talas på engelska om "ultra rare diseases". EU har där en definition som för svensk del skulle sätta en gräns vid 200 personer. Men i många fall är förekomsten, prevalensen, ännu mindre än så. Det finns internationellt erkända diagnoser som i Sverige bara fastställts för en enda person. En följd av detta är att kostnaderna för regionerna kan bli mycket ojämnt fördelade.

## Bemötande och omhändertagande

Vittnesbörden från patienter och anhöriga om brister i vårdens bemötande och omhändertagande är många och trovärdiga. Det måste göras ännu mer än hittills för att förändra detta.

Ett första, avgörande steg för en patient är att få sitt tillstånd diagnosticerat. Ofta drar detta ut på tiden och feldiagnoser är inte ovanliga. Det är inte svårt att förstå att en läkare som ställs inför en symptombild som han eller hon aldrig mött under sin utbildning eller dittillsvarande praktik känner sig vilsen. I utredningen "Kunskapsbaserad och jämlik vård" (SOU 2017:48), med Sofia Wallström som utredare, redovisas en enkät om de vanligaste vägarna för läkare att hantera en situation där de egna kunskaperna inte

räcker till. De två vanligaste svaren var "Söka på kommersiella hemsidor" och "Fråga en kollega". Nationella riktlinjer användes sällan och inte heller IT-baserade beslutsstöd som finns utnyttjades i någon större utsträckning.

Den beskrivna situationen är inte acceptabel. Systemet för vårdens kunskapsförsörjning måste förbättras. Ofta finns information att tillgå, men det tycks alltså inte räcka. Stiftelsen Ågrenska driver på Socialstyrelsens uppdrag en databas som idag omfattar över 300 sällsynta hälsotillstånd. Det tidigare nämnda Orphanet förtecknar över 6 700 sällsynta sjukdomar och har ett uppslagsverk med ungefär 2 800 diagnoser.

Det finns alltså ett embryo till ett fungerande informationssystem, men det förefaller ändå vara långt kvar till dess funktion är tillfredsställande. Den tiden måste förkortas som ett viktigt led i denna strategi.

Systemet där stiftelsen Ågrenska i Göteborg utvecklats till en nationell resurs har fungerat och kan bibehållas men det är samtidigt viktigt att Socialstyrelsen flyttar fram sina positioner och tillsammans med centrumbildningarna vid de sex universitetssjukhusen tar ansvar för att fler nationella vårdrekommendationer utfärdas och att kunskapsförsörjningen till vårdsystemets yttersta kapillärer fungerar bättre. Det finns också behov av fler specialistcentra som samlar kunskap från berörda kliniker och med hjälp av kompetens från olika discipliner utvecklar expertis inom en specifik sjukdom eller sjukdomsgrupp.

Bristerna i vårdens befintliga IT-system är väl kända. Oförmågan från regionernas sida att samordna sina journalsystem så att de är lätt åtkomliga för andra vårdgivare och forskning har kritiserats mycket. Inom ramen för denna strategi är det mycket viktigt att dessa problem löses och kunskapsstödet till läkare – men också andra som kommer i kontakt med individer och familjer som drabbats av en ovanlig diagnos, som kuratorer, psykologer och kommunala bedömare av hemtjänst- och assistansbehov – förbättras. E-hälsomyndigheten har ett ansvar på den statliga nivån, men hittills har regionernas självstyre kraftigt försenat utvecklingen.

Beslutsamma steg tas också inom ramen för denna strategi för att förverkliga den redan antagna visionen att Sverige till år 2025 ska vara världsledande inom e-hälsa.

Möjligheterna att fastställa en diagnos förbättras successivt, inte minst genom genforskningens framsteg. På några år har det skett enorma landvinningar inom diagnostisk genetik. Vissa patienter med en sällsynt diagnos möter en tvekan från vården om gendiagnostik ska utnyttjas, ibland med hänvisning till kostnaderna. Det bör slås fast att den diagnostiska genetikens möjligheter måste utnyttjas fullt ut.

Kommunerna möter personer med sällsynta hälsotillstånd i olika sammanhang. Det kan gälla behov av hemtjänst, färdtjänst eller assistans. Barn och ungdomar kan vara i behov av anpassad skolgång. Erfarenheten är att den kunskap som krävs för att få de rätta kommunala besluten ofta saknas. I många fall bör sjukvården kunna göra mer för att säkra att kommunerna har den rätta förståelsen för de individuella behov som de diagnosticerade personerna har.

Socialstyrelsen får i denna strategi ett tydligt ansvar för att också primärkommunernas personal har tillräckliga kunskaper om sällsynta diagnoser och hälsotillstånd.

## Forskning

Det forskas mycket om sällsynta diagnoser, men ändå inte tillräckligt. De genombrott som kommer betyder enormt mycket för de berörda individerna, varför en ännu högre volym på forskning och utveckling är önskvärd. Den relativt kraftiga ökningen av de statliga forskningsanslagen som ägt rum i Sverige sedan 2008 har givit goda resultat och med den forskningsfinansiering för åren 2021 till 2024 som presenterats hösten 2020 finns förutsättningar för en fortsatt volymexpansion och nya, viktiga genombrott.

Inom EU:s forskningsprogram har sällsynta sjukdomar varit prioriterade och fortsätter att vara det. Det är mycket bra. Det faktum att underlaget i varje land är relativt litet i varje land är litet gör detta till ett mycket passande område för internationellt forskningssamarbete.

Läkemedelsutvecklingen äger ofta rum genom ett samspel mellan akademisk forskning och läkemedelsföretag. I normalfallet har akademisk grundforskning identifierat möjliga framkomstvägar och publicerat resultat tillgängliga för alla, varefter läkemedelsbolag söker fungerande lösningar och testar tänkbara alternativ. Arbetsfördelningen kan variera och om samarbetet ska vara tätare, vilket ibland båda parter kan vinna på, ställer det krav på hög integritet från båda håll.

De forskande läkemedelsföretagens affärslogik balanserar stora risker med möjligheten att på några produkter göra tillräckliga vinster. Deras framgång avgörs framför allt av de nationella myndigheternas beslut om godkännande och subventionering, som behandlas under nästa punkt. Men också relationen till den akademiska forskningen och möjligheterna till kliniska tester är en viktig faktor för många företag.

Inom ramen för de ökade anslagen till innovation och utvecklingen i höstens Forskningsproposition uppdras Vinnova att vidta ytterligare åtgärder för att attrahera fler läkemedelstester till Sverige rörande sällsynta läkemedel och andra terapier vid sällsynta diagnoser.



## Särläkemedel – Sverige halkar efter

Den generella insikten att läkemedel förlängt livet och ökat livskvaliteten för många människor världen över gäller också för gruppen med sällsynta hälsotillstånd.

Utvecklingen för särläkemedel har varit positiv och flera nya preparat, som ofta visat sig ha god effekt, har kommit fram. De senaste åren har mellan 15 och 18 nya särläkemedel godkänts varje år.

Att ett läkemedel godkänts är emellertid inte detsamma som att det finns tillgängligt för patienter. Läkemedelsutredningen (SOU 2018:89) redovisar i sitt slutbetänkande hur tillgången på särläkemedel utvecklats i Sverige. I en europeisk jämförelse ligger Sverige på plats elva, alltså strax ovanför mitten. Utredaren påpekar dock att Sverige i fråga om BNP/capita ligger på sjätte plats.

En annan viktig siffra som redovisas i utredningen är hur lång tid det tar för ett läkemedel att ta sig från godkännande av EMA (den europeiska läkemedelsmyndigheten) till patienttillgång. Där hamnar Sverige på fjortonde plats. Detta är inte acceptabelt.

Många av de företag som tillverkar och/eller säljer särläkemedel i Sverige anser att det svenska systemet för utvärdering, introduktion och finansiering av nya läkemedel för sällsynta sjukdomar inte fungerar tillfredsställande. Processerna i Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV), regionernas gemensamma organ för Nya Terapier (NT-rådet) och de regionala läkemedelskommittéerna uppfattas ibland som svårförståeliga och dåligt samordnade. Väntetiderna blir inte sällan oacceptabelt långa och i vissa fall behandlas inte ansökningar alls. Läkemedelsutredningen bekräftar att läkemedel mot mycket sällsynta tillstånd "kunnat falla mellan stolarna." För personer med sällsynta sjukdomar innebär detta att tillgången till livsavgörande mediciner blir slumpmässig och därmed ojämlig och orättvist. Genom att bostadsadressen blir så avgörande har det liknats vid Postkodlotteriet.

Olika förslag om hur dessa problem ska åtgärdas har lanserats. Ett relativt genomarbetat sådant presenterades i Läkemedelsutredningens slutbetänkande 2018. Det utgör ett viktigt underlag till den reform som bör genomföras under planperioden, där huvudinriktningen emellertid bör vara att gå längre än utredningen när det gäller statligt ansvar för finansieringen av särläkemedel.

Den lösning som bör eftersträvas ska göra systemet mer förutsägbart och utjämna den skillnad i betalningsförmåga som finns mellan landets regioner. Den senare aspekten hade varit mindre betydelsefull om en regionreform genomförts, men när en sådan inte kommer till stånd är reformbehovet akut. En liten region, där en eller några få patienter diagnosticeras med en sjukdom där det finns dyra behandlingar att tillgå, får ekonomiska problem.

Att för produkter med så små volymer behöva bollas mellan TLV, som gör den hälsoekonomiska utvärderingen, och regionernas olika instanser (i bästa fall NT-rådet, i värsta fall de 21 regionala läkemedelskommittéerna), som ger anvisningar om nyttjandet, har i många fall varit förödande.

## Staten bör ta över ansvaret

Den lösning som bör vara huvudalternativet för reformeringen inom strategiperioden är att staten övertar subventionsansvaret för alla sär läkemedel. Ett sådant beslut behöver inte få några stora ekonomiska konsekvenser för staten om det kombineras med pris- och betalmodeller, som hanterar riskerna för överutnyttjande. Genom att staten övertar en utgift från regionerna justeras statsbidraget. Det vore heller inte något helt unikt. Staten har tidigare tagit över kostnadsansvaret för behandlingar av till exempel HIV, Gauchers sjukdom, Hepatit C och hemofili.

De argument som framförs här fanns också i Läkemedelsutredningen, som dock stannade för ett något mindre långtgående förslag: statlig subvention av ett system med solidarisk kostnadsfördelning mellan regionerna. Det alternativet kan övervägas om ett fullständigt överförande av kostnaderna till staten av någon anledning visar sig svår genomfört eller dröjer. Ännu ett alternativ som i så fall kan övervägas är att staten tar den fulla kostnaden under ett inledande skede, 18-24 månader av ett sjukdomsförlopp. Syftet med en sådan modell, som används i Tyskland, är att snabbt få en ny terapi på plats och ge den berörda regionen tid till anpassning.

Något som talar för huvudalternativet, att staten övertar hela betalningsansvaret, är att det förenklar den administrativa proceduren. TLV får uppdraget att både göra den hälsoekonomiska bedömningen och förhandla om prissubvention. Den förenklingen är av stort värde. Genom att TLV, till skillnad från NT-rådet, är en myndighet ökar transparensen och rättssäkerheten. Även i detta system ligger naturligtvis det slutliga rekvisitionsbeslutet regionalt och lokalt – ytterst hos behandlande läkare – men nivån på subventionen är då given och inte längre en förhandlingsfråga. Så länge det inte strider mot någon klausul om begränsning av förbrukningen står det dock leverantörerna fritt att erbjuda regionerna ett lägre pris.

Ett problem är att TLV visat sig ha otillräcklig kapacitet för att hantera ansökningar gällande sär läkemedel. En rätt till behandling av alla ansökningar bör gälla. Det kräver att TLV får kapacitet att göra hälsoekonomiska bedömningar och inom tre månader slutföra förhandlingar med alla sökanden. Om detta inte kan uppnås, exempelvis under en viss period, bör en "bagatellgräns" gälla där EMA-godkända preparat, riktade till så få patienter att budgetpåverkan är försumbar, får ett automatiskt, tidsbegränsat godkännande. Det bör också finnas en rätt för sökande att återkomma med en ny begäran om bedömning i fall där väsentliga data kring en terapi ändrats.

## Ny modell för betalningsvilja

Vid sidan av myndighetsprocedurerna är samhällets betalningsvilja, alltså möjligheten att få ut ett pris som på ett rimligt sätt kompenserar för företagets risktagande, det största problemet för dem som tillverkar och/eller säljer läkemedel i Sverige. Det finns anledning att något reformera subventionssystemet.

I grunden bör det nuvarande systemet med så kallad värdebaserad prissättning behållas. De skattemedel som kan användas till subventionerade mediciner kommer alltid att vara begränsade och därför kommer det att vara rimligt att prioritera sådana läkemedel som har störst effekt på överlevnad och livskvalitet. Det system som utvecklats med så kallade "QALY-poäng" (överlevnadsår justerade för livskvalitet) är därför det principiellt rimliga. Men för läkemedel har det visat sig få orimliga konsekvenser. Det finns därför anledning att göra några mindre, men viktiga, justeringar i systemet.

I enlighet med Läkemiddelsutredningens förslag bör lydelsen i prioriteringsplattformen ses över. Det bör bland annat innebära att själva sällsyntheten blir en faktor som motiverar en högre betalningsvilja. Förutom att dessa tillstånd tenderar att nedvärderas när allmänheten tillfrågas i de undersökningar som är en viktig del av systemet, skulle detta kompensera för en del andra inslag i "sällsyntheten". Det gäller framför allt att kostnaden för forskning, framtagning, säkerhetsrapportering och distribution ska slås ut på så få, att den nästan definitionsmässigt blir högre än för andra preparat.

I samband med en sådan förändring bör övervägas att komplettera den nuvarande beräkningsmodellen med ytterligare några kriterier. Det skulle innebära att subventionsgraden påverkades av

- sällsyntheten och allvaret i den enskilda sjukdomen
- innovationsgraden i den erbjudna behandlingen
- tillgång till alternativa behandlingar och dess effekter
- klinisk effekt och fördelar med behandlingen.

En annan fråga som diskuterats, och initierat en process om nya betalningsmodeller inom SKR, är utbudet av läkemedel eller behandlingar som med en hög engångskostnad innebär besparingar på längre sikt. Om exempelvis en viss sällsynt sjukdom kunde botas till en hög engångskostnad skulle det innebära stora utgifter det första året men besparingar flera följande år. Det skulle dock kunna medföra att regionen inte lever upp till det kommunala balanskravet år ett, vilket rest frågan om den inledande utgiften bokföringsmässigt kunde anses motsvara en investering. Eftersom vi här begränsar oss till läkemedlen konstaterar vi att om staten övertar hela betalningsansvaret är inte detta någon stor fråga. Skulle kostnadsansvaret vara delat

också framöver bör en ändring i Kommunallagen ske, som medger att den initiala kostnaden för en region får skrivas av under ett antal år.

Stor öppenhet bör finnas för att under perioden utveckla andra prismodeller. För läkemedelsmarknaden i stort finns flera varianter, exempelvis rabatter vid vissa volymer, takregler om användningen blir större än beräknat, kombination av grundpris och pris per användning etcetera. Läkemedelsföretagen betalar redan varje år tillbaka relativt stora belopp i återbäring till stat och regioner för att sådana klausuler i avtalet utlösts.

En annan prismodell som är av intresse är överenskommelser om delad risk, alltså ett högre pris i utbyte mot att leverantören återbetalar en del om den kliniska nyttan inte blir den förväntade. Modellen tillämpas redan i viss utsträckning men har inte fått något brett genomslag. Rapporter från andra länder talar också om svårigheter. Läkemedelsutredningen konstaterade: "Den svaga länken i systemet är främst uppföljning av effekt i klinisk användning". Detta knyter an till det som sagts om vårdens IT-stöd. Om det utvecklas som önskvärt bör denna "svaga länk" kunna åtgärdas och denna prismodell få en bredare användning. Om det är nödvändigt bör Sekretesslagen ändras så att TLV kan få tillgång till de data som behövs.

## Kostnader för strategin

Vissa förslag i denna strategi kan innebära ökade kostnader för det offentliga. Personer med sällsynta hälsotillstånd är en eftersatt grupp och det är inte orimligt att åtgärdandet av en del brister och systemfel medför ökade utgifter. Det handlar om att leva upp till lagens krav om en jämlik tillgång till vård. Dagens system har ett stort inslag av bristande tillgång och rentav slump.

Exakt hur de ekonomiska konsekvenserna blir är emellertid svårt att beräkna. Bättre medicinsk behandling kan i många fall innebära att människor går från sjukersättning till arbete. Effektivare läkemedel kan ibland innebära en avlastning för sjukvården. Ett väl fungerande IT-stöd kan spara mycket i form av färre vårdmisstag, kortare väntetider etcetera.

Den utökade forskning och utveckling som ingår i strategin bedöms rymmas i den stora anslagshöjning som aviserats komma i forskningspropositionen hösten 2020, vars ackumulerade tillskott av FoU-anslagen för de kommande fyra åren är unikt stort.

I ett svenskt perspektiv är det viktigt att i detta sammanhang också påpeka läkemedelsindustrins betydelse för landets ekonomi. En rapport från analysföretaget Vetsam visar att produktionsvärdet av de anställda inom läkemedelsindustrin i genomsnitt är fyra gånger högre än i näringslivet i övrigt. Läkemedel är, vid sidan av pappersmassa, Sveriges största exportprodukt. "Svensk life science" är alltså ett lönsamt

kluster där privata företag och vården lever i symbios med ömsesidigt beroende. I det perspektivet kan exempelvis satsningar på forskning eller på att locka läkemedelsprövningar till Sverige vara en ren vinst för samhällsekonomin.

Ett annat påpekande, av intresse när det gäller tillgången till och användning av mediciner, är att läkemedelskostnaderna över tid har ökat betydligt långsammare än vårdens övriga kostnader. Rätt utnyttjade kan mediciner minska de totala vårdkostnaderna.



**Kommissionen för Innovativa Säräkemedel är ett initiativ av åtta forskningsintensiva läkemedelsföretag som efterlyser förbättringar inom vården av personer med mycket sällsynta och livshotande sjukdomstillstånd.**