

Från ord till handling

*Åtta förslag för en bättre
och snabbare tillgång
på sär läkemedel i Sverige*



Kommissionen för Innovativa Sär läkemedel



Innehållsförteckning

Förord	4
Inledning och definitioner	6
Bakgrund och syfte	7
Problemet	8
En gemensam kollektiv ambitionshöjning	10

Förslag

1. Ett ökat och öronmärkt statsbidrag för särskilda läkemedel	11
2. Regionernas roll och ansvar	12
3. Stärk och utveckla NT-rådet	13
4. En tydligare roll för TLV	14
5. Ny modell för prissättning av särskilda läkemedel	16
6. Tidsgränser i införandeprocessen	16
7. Fler kliniska studier och gemensamt uppföljnings- och utvärderingsarbete	17
8. Utveckling av utfallsbaserade ersättningsmodeller	17
Om öronmärkt statsbidrag	18

Förord

Snabbare och mer jämlikt införande av nya sällsynta läkemedel

Det finns ett antal återkommande utmaningar när nya och avancerade läkemedel mot sällsynta diagnoser möter det svenska systemet för införande. Karaktären på ett nytt läkemedel och dess distribution - genom recept eller rekvisition - avgör hanteringen. Receptläkemedel som kan hanteras av patienten kommer till TLV för utvärdering medan klinikläkemedel landar hos regionernas samverkansorgan NT-rådet.

Bägge institutioner gör hälsoekonomiska utvärderingar, men där upphör också likheterna. TLV är en myndighet som har att förhålla sig till ett antal riktlinjer och regelverk. Dagens modell där NT-rådet har en nyckelroll men samtidigt har drag av "oreglerad myndighet" är långt ifrån optimal. Frånvaron av rättigheter för den sökande (rätten till prövning och prövning inom viss tidsram), den legalt icke bindande karaktären på besluten samt frånvaron av möjlighet till överprövning är alla särdrag som motverkar förutsägbarhet och effektivt införande. Tydligare roller och tydliga ansvar behövs.

Till det kommer det faktum att vissa läkemedel ändå kan nå patienter trots avslag från TLV och en negativ rekommendation från NT-rådet, bara för att en läkare eller en klinik bedömer behandlingen som livsavgörande. För patienter med sällsynta diagnoser som behöver få tillgång till nya, livsavgörande läkemedel finns därmed ett olyckligt inslag av "postkodlotteri".

Det finns betydande vinster för alla berörda parter i ett mer välfungerande system.

I utredningen Tydligare ansvar och regler för läkemedel (SOU 2018:89) konstaterades att tudelningen mellan TLV och regionerna (NT-rådet) för avancerade terapier leder till önskade bieffekter och att det finns behov av att staten stödjer viss läkemedelsanvändning för att åstad-

komma en jämlik och bred tillgång. Utredningen föreslog införande av Läkemedelsrådet, ett nytt landstingsgemensamt organ, med stöd av TLV. Denna idé togs dock aldrig vidare.

SKR konstaterade i ett positionspapper (Sverige behöver ett modernt regelverk för läkemedel, mars 2021) att "de nuvarande systemen för finansiering och kostnadsansvar är svåröverskådliga och otydliga, inte minst som ansvaret för kostnader och finansiering är delat mellan stat och regioner." SKR ansåg bland annat att "Staten behöver ansvara för att, i samverkan med regionerna, utarbeta ett nytt ändamålsenligt system för solidarisk finansiering av läkemedel som omfattar både recept- och rekvisitionsläkemedel och som innebär en fördelning av finansieringsansvaret mellan stat och region."

"Hur kan staten och regionerna justera dagens system på ett sätt som ger patienter med sällsynta diagnoser snabbare tillgång till nya läkemedel på ett så kostnads-effektivt sätt som möjligt?"

Hösten 2023 konstaterade TLV i rapporten Stärkt tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd (S2022/03077) att "[...]förut-sättningarna för nationell samordning skiljer sig åt mellan läkemedel som förskrivs på

recept, för vilka företaget ansöker om att ingå i förmåner, och för rekvisitionsläkemedel. Detta påverkar patienters tillgång till läkemedel, och är tydligt exempelvis för läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd. Bland annat finns skillnader i när hälsoekonomiska värderingar görs, hur lång tid dessa tar och när och hur förhandlingar sker.”

För att bidra till en mer konkret diskussion kring vilka reformer som behövs – både politiska och förvaltningsmässiga – bad Kommissionen för Innovativa Läkemedel Jonas Andersson, mångårig regionpolitiker med mycket god inblick i offentlig förvaltning, att skriva ett idépapper utifrån ett antal frågeställningar, men där den centrala är: Hur kan staten och regionerna justera dagens system på ett sätt som ger patienter med sällsynta diagnoser snabbare tillgång till nya läkemedel på ett så kostnadseffektivt sätt som möjligt?

Kommissionen för Innovativa
Särläkemedel är ett initiativ av
tio forskningsintensiva läkemedels-
företag, bestående av:

ALEXION
ALNYLAM
AMICUS
BIOMARIN
CHIESI
JOHNSON & JOHNSON
ORCHARD THERAPEUTICS
ROCHE
SANOFI GENZYME
VERTEX



OM FÖRFATTAREN:

■ Jonas Andersson har en lång bakgrund som anställd och förtroendevald i Folkpartiets Ungdomsförbund och Folkpartiet, idag Liberalerna. När Västra Götalandsregion bildades 1998 blev han politisk sekreterare för Folkpartiet med ansvar för hälso- och sjukvård och budgetfrågor. Våren 2004 blev han regionråd med ansvar för hälso- och sjukvården och var kvar på det uppdraget till hösten 2021. Mellan 2005 -2019 satt han i Liberalernas partistyrelse och var ordförande för partiet i Västsverige 2009-2019.

Han har haft ett flertal uppdrag i Sveriges kommuner och regioner (SKR) under perioden 2004-2023 och var med i förhandlingsdelegationen (04-07), ordförande för FoU-rådet (07-11), styrelsen och e-beredningen (11-15), sjukvårdsdelegationen (15-19) samt valnämnden (19-23).

Jonas har en filosofie kandidatexamen i personal- och arbetslivsfrågor och en ekonomie kandidatexamen i företagsekonomi vid Göteborgs Universitet.

2019-2022 var han ordförande för fotbollsföreningen GAIS och sedan 2020 driver Jonas företaget "Mötesledaren".

Inledning och definitioner

UTGÅNGSPUNKTEN för rapporten har varit att inom ramen för nuvarande uppgiftsfördelning i sjukvården föreslå mindre men verkningsfulla justeringar för att på ganska kort sikt kunna få systemet att fungera bättre. De problem och utmaningar som jag har försökt att adressera är framför allt;

- A)** Den relativt sett sämre tillgången på särskilda läkemedel för svenska patienter med sällsynta diagnoser och den långsammare introduktionstakten i Sverige jämfört med de flesta jämförbara länderna i Västeuropa, samt bristen på nationell jämlikhet i tillgången på dessa.
- B)** Det dubbelkommando mellan staten och regionerna som kan bli en följd av att TLV och NT-rådet båda gör tolkningar och gör ställningstaganden samt fattar beslut utifrån delvis olika utgångspunkter, och den otydlighet som blir en följd av det finns dubbla vägar för ett särskilt läkemedel att bli tillgängligt – som receptläkemedel eller som kliniskt läkemedel.
- C)** Bristen på en fullt ut tydlig, förutsägbar och transparent förvaltningsmodell när beslut kan följas och provas och där det juridiska ansvaret för alla inblandade parter är klart.

I denna rapport kommer begreppet särskilt läkemedel att användas flitigt och kommer, om inte annat anges, att då syfta på särskilt läkemedel av icke-onkologisk karaktär. Valet av denna definition är att det rör sig om en mindre och avgränsad grupp läkemedel som är lämplig att använda sig av om man vill prova nya beslutsvägar och en

delvis ny rollfördelning som en form av pilotprojekt. Det var också kring denna avgränsade grupp läkemedel som läkemedelsutredningen 2019 presenterade förslag och det är i denna grupp läkemedel där tillgången är som relativt sämst jämfört med den närmaste omvärlden.

Jag har också valt att generellt använda termen ”kliniskt läkemedel” i rapporten och då synonymt med termen ”rekvisitionsläkemedel” för de läkemedel som administreras utanför läkemedelsförmånssystemet.

Ambitionen under författandet av denna rapport har varit att hela tiden ha ett patientfokus även om de förslag som presenteras primärt handlar om förändringar eller kompletteringar i roll- och ansvarsfördelning mellan ett flertal intressenter i hälso- och sjukvårdssystemet.

”Hur får svenska patienter med sällsynta diagnoser bättre och snabbare tillgång till särskilt läkemedel?”

Vilka åtgärder kan och bör vi göra för att raskt flytta fram positionerna och hur kan vi komma till punkt med att med att utreda frågan på längden och tvären och istället gå från ord till handling så att de patienter och deras anhöriga som skulle kunna dra nytta av nya särskilt läkemedel faktiskt också får tillgång till dem.

Jonas Andersson
Rapportförfattare



Bakgrund och syfte

TROTS STORA AMBITIONER och högt uttalad vilja att svenska patienter ska få bättre tillgång till nya läkemedel så visar verkligheten på att svenska patienter i lägre utsträckning, än i de flesta jämförbara västeuropeiska länder, får tillgång till läkemedel och att det också tar längre tid för nya läkemedel att bli tillgängliga i Sverige, efter att de har godkänts av den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA).

Under de senaste åren har en rad initiativ tagits med ambitionen att förbättra tillgången till läkemedel för svenska patienter som har sällsynta hälsotillstånd.

I december 2019 presenterade regeringen en nationell strategi för life science med det uttalade målet att Sverige ska vara en ledande life science-nation. Bland strategins målsättningar och prioriterade områden uttalas bland annat behovet av en mer effektiv process för implementering av nya terapier.

I mars 2022 beslutade en majoritet i riksdagen på förslag från socialutskottet om ett tillkännagivande till regeringen om behovet av en särskild nationell strategi och en särskild finansiering rörande läkemedel mot sällsynta sjukdomar och diagnoser.

I september 2023 presenterade så Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) en rapport från ett efterföljande regeringsuppdrag om hur patienternas tillgång till läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar kan stärkas. Den rapporten ledde till ett förnyat regeringsuppdrag till TLV för att fortsätta utveckla förutsättningar och verktyg för att stärka tillgången till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd. Det uppdraget ska redovisas senast den 31 december 2024.

Sveriges kommuner och regioner (SKR) har på sin kongress i november 2023 gett sin styrelse i uppdrag att arbeta fram en regiongemensam ståndpunkt kring tillgänglighet av läkemedel för patienter med sällsynta sjukdomar.

I överenskommelsen mellan staten och SKR kring läkemedelsstatsbidraget för 2024 initieras också ett gemensamt utvecklingsarbete mellan Regeringskansliet, TLV och SKR för hur parterna kan bidra till att tillgång till nya effektiva läkemedel kan stärkas.

Regeringen har dessutom gett Socialstyrelsen i uppdrag att till den 31 mars 2025 ta fram en nationell strategi inom området sällsynta hälsotillstånd. Den strategin ska dock inte inkludera frågan om läkemedel.

”Det är tydligt att viljan är stor från regeringen att öka den statliga styrningen av och ansvaret för hälso- och sjukvården.”

Samtidigt pågår också en utredning om det framtida huvudmannaskapet i svensk hälso- och sjukvård som ska lägga fram sitt betänkande till regeringen i juni 2025. Det är tydligt att viljan är stor från regeringen att öka den statliga styrningen av och ansvaret för hälso- och sjukvården genom att helt eller delvis flytta huvudmannaskapet till staten. Det vore därför rimligt att man inom ramen för den utredningen fick ett tilläggsdirektiv om att särskilt utreda frågan om ökad nationell jämlikhet i införandet av läkemedel och hur den skulle kunna stärkas med stöd av en statligt finansierad introduktionsersättning.

Syftet med denna rapport är att lägga förslag på förändringar som kan bidra till att gå från ord till handling genom att föreslå ett antal förändringar inom ramen för det nuvarande systemet som kan genomföras relativt snabbt om viljan verkligen finns att förbättra möjligheterna.

Syftet har också varit att föreslå förändringar i organisation och uppgiftsfördelning som leder till en hållbar förvaltningsmodell präglad av ökad tydlighet, större förutsägbarhet och ökad transparens.

Problemet

EFPIA (läkemedelsföretagens europeiska branschorganisation) publicerar regelbundet en WAIT-rapport kring läkemedels tillgänglighet i olika europeiska länder. I den senast presenterade rapporten jämförs bland annat i vilken utsträckning sär läkemedel som godkänts under åren 2018-2021 (44 stycken) var tillgängliga i de olika länderna per den 5 januari 2023 och hur lång tid det tagit för dem att bli tillgängliga från godkännande.

Sverige hamnar i denna jämförelse precis på EU-snittet med 17 av 44 sär läkemedel tillgängliga i någon form för svenska patienter, men Sverige utmärker sig mer tydligt i en västeuropeisk kontext (inklusive bland annat Storbritannien och Schweiz) vad gäller tillgänglighögrandet av sär läkemedel till patienter i landet. Det gäller både tiden för introduktion efter att ett läkemedel har godkänts och i vilken omfattning och utsträckning som sär läkemedel används i svensk hälso- och sjukvård. Majoriteten av de västeuropeiska länder vi mer vanligtvis jämför oss med vad gäller hälso- och sjukvårdens utveckling erbjuder både större och snabbare tillgänglighet till nya sär läkemedel.

Den relativt lägre och långsammare introduktionen av sär läkemedel konstateras också av TLV i sin rapport "Stärkt tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd" från 2023.

Förutom problemet med att sär läkemedel i lägre utsträckning och i långsammare takt introduceras i Sverige så är det ingen garanti för att en enskild patient med en sällsynt diagnos får tillgång till de sär läkemedel som ändå är tillgängliga i Sverige. Beslutet om att ge en patient ett sär läkemedel eller inte är till sist ett beslut av dennes behandlande läkare som dock behöver förhålla sig till riktlinjer och rekommendationer i den region de verkar och i flera fall också till klinikens, sjukhusets eller regionens ekonomi.

Det är detta som ibland beskrivs som att vi har ett postkodlotteri för vem som får tillgång till ett

läkemedel eller inte. Som patient i behov av ett potentiellt sär läkemedel gäller det alltså att vara vinnare både i det europeiska och i det svenska postkodlotteriet för att få tillgång till det.

Gränserna mellan det statliga och regionala ansvaret på detta område bidrar sannolikt också till att processen med introduktion av sär läkemedel försenas.

En viktig part i besluten om sär läkemedel ska vara tillgängliga eller inte är NT-rådet. NT-rådet är ett samarbetsorgan mellan landets regioner som ger rekommendationer om sär läkemedel och andra läkemedel "bör" (starkare rekommendation) eller "kan" (svagare rekommendation) användas i svensk sjukvård.

NT-rådet har också regionernas mandat att kunna förhandla och överenskomma om priser på klinisk läkemedel med läkemedelsbolagen (tvåpartsöverläggningar) och kan genom fullmaktsggruppen ingå i trepartsöverläggningar med TLV och läkemedelsbolagen om prissättning på förmåns läkemedel.

NT-rådet kan (liksom läkemedelsbolagen) ingå i trepartsöverläggningar men har ingen skyldighet att göra det, och väljer någon part att inte delta så blir det heller inga överläggningar och överenskommelser.

NT-rådet är ett samverkansorgan mellan regionerna i syfte att få en mer ordnad och jämlik introduktion av läkemedel i Sverige, men NT-rådet har i dag inget formellt eller tydligt juridiskt ansvar i systemet då det är en form av samverkansorgan där SKR formellt är huvudman, men där SKR i sin tur är en ideell förening bestående av Sveriges alla kommuner och regioner.

Det finns till exempel inga krav på att NT-rådet ska avge en rekommendation eller genomföra en trepartsöverläggning inom ett visst tidsspänn så som till exempel TLV har krav på att i normalfallet komma med ett beslut kring

läkemedel inom förmånssystemet inom 180 dagar. Det finns inte heller någon möjlighet att till exempel överklaga en rekommendation från NT-rådet eller någon tydlig transparens i bakgrunden till ett ställningstagande från NT-rådet då organet inte är en offentlig-rättslig enhet, utan ett samarbetsorgan.

Ytterligare ett problem är att särskilda läkemedel oftast inte riktigt passar in i den vanliga mallen när ett läkemedels kostnad, effekt och nytta ska utvärderas i den värdebaserade prissättningsmodell som generellt tillämpas i Sverige. Orsakerna till detta är flera.

Dels riskerar priset för ett särskilda läkemedel att bli betydligt högre per patient när utvecklingskostnaden för läkemedlet ska delas på färre potentiella patienter. Dels är det vetenskapliga underlaget nästan alltid mer osäkert för särskilda läkemedel.

De modeller och verktyg som generellt används för att beräkna nytta, livskvalitet och

andra kriterier för läkemedel fungerar inte fullt ut för särskilda läkemedel då det är svårt att utveckla, validera och testa verktyg för små populationer med ibland stor heterogenitet.

Det finns mycket som talar för att fler kriterier bör utvecklas och bör användas när det kommer till särskilda läkemedel för personer med sällsynta sjukdomar för att öka gränsen för betalningsvilja för ett visst särskilda läkemedel med en bredare multi kriterie-modell. Dit hör till exempel just sjukdomens sällsynthet, men även dess svårighetsgrad, bristen på andra behandlingsalternativ och påverkan för anhöriga eller samhället.

Sammantaget talar denna beskrivning av problemet för att någonting behöver göras för att öka möjligheten för svenska patienter att få tillgång till särskilda läkemedel. Någonting behöver också göras och förändras för att få en tydligare, mer robust och mer transparent organisation för hur beslut fattas om att tillgängliggöra särskilda läkemedel för svenska patienter.



En gemensam ambitionshöjning

SOM BESKRIVITS I BAKGRUNDEN är ambitionen och viljan hög från i stort sett alla intressenter som är delaktiga i att besluta om sÄrläkemedels användning i Sverige. Flera utredningar pågår och ska inom det närmaste året presenteras och det erbjuder en möjlighet att kunna gå från ord till handling så att svenska patienter med sällsynta diagnoser i större utsträckning kan få tillgång till de läkemedel som finns tillgängliga.

Min slutsats är att det just nu finns ett "window of opportunity" för att åstadkomma en önskvärd förändring av nuläget, men det krÄver att alla intressenter bjuder till i en form av kollektiv ambitionshöjning för att förflytta positionerna framåt.

Det krÄver en samling kring ett gemensamt mål (patienter med sällsynta diagnoser) och mindre av misstÄnksamhet, mindre av pekande med fingrar Åt att någon annan i systemet som man inte tycker bidrar för att underlätta livet för patienter och deras anhöriga.

Svensk hälso- och sjukvård har på många sätt unikt goda förutsättningar för att kunna förflytta Sverige från ett genomsnittligt EU-land till att bli ett utvecklingsnav för sÄrläkemedel för personer med sällsynta diagnoser.

Vi har en god tradition av uppföljning och register i svensk hälso- och sjukvård som kan utgöra grunden för att bÄttre utvärdera effekt och nytta av olika sÄrläkemedel för olika patientgrupper. Vi har en vilja och ambition och en struktur för att genomföra kliniska studier. Vi har, som ett relativt litet land befolkningsmässigt, en närhet och ofta goda samarbeten mellan professionella företrädare i olika delar av landet som möter patienter med liknande sällsynta diagnoser, och vi har en grundstruk-

tur med sex regionala centrum för sällsynta diagnoser som borde kunna ges Än bÄttre förutsättningar för att vara delaktiga i en gemensam ambitionshöjning av hälso- och sjukvården på detta område.

Med allt detta som grund finns förutsättningarna för att flytta fram positionerna och uttala att Sverige, i linje med den nationella life science-strategin, kan och ska bli en ledande arena för införande och utvärdering av sÄrläkemedel.

Genom att utnyttja styrkan i samverkan och samarbete mellan olika intressenter i den klassiska svenska modellen så finns all möjlighet att lyfta ambitionerna och också nå resultat.

I syfte att lösa några av de hinder och problem som i dag hämmar utvecklingen presenteras Åtta reformförslag nedan. De förslag som presenteras Är tänkta att vara mer av justeringar i hur systemet i dag fungerar Än stora omvälvande reformer som tar lång tid att genomföra.

De framlagda förslagen kan också ses som en form av pilotprojekt inom en mindre del av hälso- och sjukvården som kan utgöra en framtida förebild för några av de andra utmaningar som väntar i hälso- och sjukvården. Förslagen Är också sådana att de, enligt min bedömning, inte låser fast oss i ett system som sedan inte utan svårigheter går att Ändra om till exempel beslut om ett delvis annat huvudmannaskap skulle vilja fattas framöver.

Förslagen ska ses som en helhet där ett förÄndringsförslag i en punkt oftast hänger samman med en eller flera av de andra punkterna i denna rapport.

1. Ett ökat och öronmärkt statsbidrag för särläkemedel

Det går inte att komma ifrån att ekonomiska resurser är en av nycklarna för att föra den här frågan framåt. Det finns många samhällssektorer som konkurrerar om de samlade resurserna för offentlig konsumtion, och det finns en konkurrens kring de medel som sjukvården väljer att avsätta till läkemedel.

De senaste åren har regionernas kostnader för läkemedel ökat snabbare än vad statsbidraget för läkemedel har gjort. En relativt stor del av regionernas högre ökningstakt för läkemedel ligger på klinikläkemedel och det är en utveckling som sannolikt kommer att fortsätta och är också ett skäl för staten att ta ett större ansvar för de samlade läkemedelskostnaderna.

Man inte bara kan, utan bör, ställa sig frågan om det är rimligt att staten ska öronmärka en del av statsbidraget för läkemedel till just särläkemedel? Svaret på den frågan är att det finns ett antal goda argument för att så ska ske.

"Särläkemedel är på grund av sin begränsade målgrupp ofta mycket dyrare per patient än de flesta andra läkemedel."

Särläkemedel är på grund av sin begränsade målgrupp ofta mycket dyrare per patient än de flesta andra läkemedel. Det gör att läkemedelsbehandling för en enskild patient kommer att medföra en stor kostnad för sitt sjukhus eller sin region. Detta riskerar att drabba mindre sjukhus och mindre regioner relativt mycket mer än de stora regionerna och förstärker risken för ett postkodlotteri i vilka patienter som får tillgång till ett särläkemedel eller inte.

Redan i dag finns en viss nationell finansiering av läkemedel kopplat till HIV, Gauchers sjukdom och blödarsjuka. Det skulle alltså inte innebära någon ny princip i förhållande till hur vi i en del fall hanterar vissa läkemedel redan i dag. Detta förslag innebär att utöka den gruppen till att omfatta alla särläkemedel

I läkemedelsutredningen (SOU 2018:89) fanns argument och förslag om en vidareutveckling av systemet med solidarisk finansiering som också inkluderar ett särskild finansiellt stöd från staten när det gäller särläkemedel vid sällsynta sjukdomar.

Hälso- och sjukvården globalt och i Sverige står inför spännande möjligheter och kostsamma utmaningar i form av bland annat precisionsmedicin, avancerade terapiläkemedel (ATMP) som kommer att kunna erbjuda bättre, mer potenta och mer träffsäkra behandlingar än tidigare, men till en betydligt högre kostnad. Det kommer med all sannolikhet att kräva liknande finansieringslösningar för att säkerställa att vi får en jämlik vård i Sverige. En särskild öronmärkt finansiering av särläkemedel skulle därför kunna fungera som en sorts pilotverksamhet inom ett område som är i stor förändring och där behovet av nya lösningar kommer att uppstå.

För att förhindra att de gemensamt finansierade särläkemedlen i den öronmärkta potten förskrivs i för stor utsträckning i någon form av indikationsglidning kan det vara rimligt att regionerna ändå bär en viss egenavgift på runt 10% och att statsbidraget då täcker 90% av kostnaderna.

Storleken på det öronmärkta statsbidraget för särläkemedel bör garanteras med en viss uppräknings per år för i alla fall de första tre åren för att därefter kunna utvärdera ifall omfattningen på statsbidraget ligger på en rimlig och korrekt nivå. Därefter är det rimligt att tänka sig att sätta en grundnivå (med viss årlig uppräkning) för fem år i taget för att ge stabila förutsättningar.

Fördelen med en fast storlek på statsbidraget är att de parter som förhandlar om priser är medvetna om att det både finns utrymme och

"Staten bör totalt öka statsbidraget för läkemedel till regionerna och öronmärka en viss andel av detta för finansiering av särskilda läkemedel."

begränsningar i de ekonomiska möjligheterna att gemensamt ta ansvar för. En fast storlek på totalsumman har sannolikt också en återhållande effekt på risken för indikationsglidning eller överkonsumtion.

Det är svårt för mig att inom ramen för denna rapport ha en definitiv synpunkt på hur stort det öronmärkta statsbidraget bör vara men det är viktigt att i ett fortsatt utredningsarbete ha med att det bör täcka kostnader för såväl befintliga särskilda läkemedel och de cirka 10-15 nya särskilda läkemedel som historiskt har godkänts varje år.

Förslag 1: Staten bör totalt öka statsbidraget för läkemedel till regionerna och öronmärka en viss andel av detta för finansiering av särskilda läkemedel. Detta statsbidrag bör kunna finansiera 90% att regionernas kostnader för särskilda läkemedel.

2. Regionernas roll och ansvar

De 21 regionerna är huvudmän och huvudfinansierare i svensk hälso- och sjukvård och

har en självklar nyckelroll i systemet, men de är samtidigt bundna till att agera i en kontext som bestäms av regering, riksdag och olika myndigheter.

Det kan finnas skäl att fundera på om någon annan part än regionerna skulle stå för kostnadsansvaret för alla eller delar av läkemedelskostnaderna, men i det korta perspektivet finns ingen annan part som är mer lämpad för uppdraget.

Regionerna samverkar med varandra i en rad olika frågor och forum för att försöka åstadkomma en mer jämlik vård i landet. Inom detta område samverkar exempelvis regionerna i NT-rådet som är ett rådgivande organ mellan regionerna som administreras via Sveriges kommuner och regioner (SKR). Inom ramen för SKR pågår också en lång rad andra gemensamma projekt och utvecklingsarbeten.

Regionerna samverkar också i ett antal kommunalförbund för att lösa gemensamma uppgifter som exempelvis kommunalförbundet Svenskt Ambulansflyg, eller för att driva en

investeringstung högspecialiserad verksamhet som kommunalförbundet Avancerad Strålbehandling.

Ska man föreslå förändringar i finansieringen eller en annan del av hantering av sär läkemedel går det inte att helt runda regionerna och det är inte heller önskvärt med det huvudmannaskap regionerna i dag har över helheten i hälso- och sjukvården. Om det skulle förändras i framtiden så får det bli en senare fråga.

Mitt förslag är att regionerna bildar ett gemensamt kommunalförbund som blir mottagare av det öronmärkta statsbidraget för sär läkemedel från staten. Ett sådant kommunalförbund kan och bör kanske också ha andra uppgifter på läkemedelsområdet som är av nationellt och regionövergripande intresse.

Det finns flera poänger med att ett öronmärkt statsbidrag placeras hos regionerna i ett samverkansorgan i form av ett kommunalförbund. Dels håller man ihop helheten i att ansvaret för finansieringen av hälso- och sjukvården kommer från ett håll (om än via ett ökat statsbidrag). Dels blir alla regioner delaktiga och engagerade i ett arbete och i beslut som rör sär läkemedel vilket ökar chanserna till en jämlik vård.

Ett kommunalförbund blir framför allt ett offentligt organ och verkar i enlighet med bland annat kommunallagen och förvaltningslagen, med allt som följer av att till exempel kunna överklaga beslut och begära ut handlingar som inte är sekretessbelagda. Såväl transparens som rättssäkerheten skulle öka.

Om ett regiongemensamt kommunalförbund blir mottagare att ett ökat öronmärkt statsbidrag så bör det från statens sida understrykas att betalningsviljan för sär läkemedel också bör öka.

Kommunalförbundet bör vara solidariskt kostnadsansvariga för sär läkemedel under de tio år som dessa läkemedel av den europeiska läkemedelsmyndigheten har en marknadsexklusivitet, för att sedan fasas ut till ordinarie finansiering och ge plats för introduktion av nya

sär läkemedel. Den långa tidshorisonten gör det möjligt för regionerna att förbereda övertagandet för egenfinansiering av dessa läkemedel när de tio åren har gått. Det bör också vara möjligt för kommunalförbundet att föra pengar över åren för att bättre kunna parera variationer i antalet nya godkända sär läkemedel.

Med ett regiongemensamt kommunalförbund för finansiering av sär läkemedel i landet blir det också naturligt att detta kommunalförbund blir huvudman för den verksamhet som idag bedrivs inom ramen för NT-rådet.

Förslag 2: Regionerna bör bilda ett gemensamt kommunalförbund för att framför allt vara mottagare av ett öronmärkt statsbidrag för sär läkemedel och i sin tur finansiera merparten av regionernas kostnader för sär läkemedel.

3. Stärk och utveckla NT-rådet

NT-rådet har en central roll i systemet, men dess organisation leder ofta till kritik. Det finns goda skäl för att tydliggöra denna och stärka NT-rådet genom att tilldela dem fler viktiga uppgifter.

NT-rådet är ett rådgivande organ mellan regionerna som administreras via Sveriges kommuner och regioner (SKR). NT är en akronym för "Nya Terapier" och syftet med rådet är att ge rekommendationer till landets 21 regioner kring användning av nya läkemedel och andra terapier. NT-rådet avger vanligtvis rekommendationer om att ett läkemedel "bör", "kan" eller "bör inte" användas baserat på läkemedlets evidens, effekt, nytta och kostnad.

NT-rådets rekommendationer är just rekommendationer och hanteras i flera fall olika av olika regioner, sjukhus eller förskrivande läkare. Att en patient inte får tillgång till ett sär läkemedel i en viss del av landet jämfört med en annan beror nästan uteslutande på kostnadsaspekten och är inte ett utslag av att läkemedlets effekt värderas olika i olika regioner. Med en hög grad av gemensam finansiering i en egen pott för sär läkemedel försvinner en stor del av denna risk och chanserna för en mer jämlik vård ökar.

NT-rådet kan också ingå förhandlingar med läkemedelsbolagen kring upphandling av särsläkemedel (och andra läkemedel) för att gemensamt överenskomma om ett pris på ett klinisläkemedel.

Det har förts diskussioner om att NT-rådets roll borde övertas av en myndighet eller annat organ. NT-rådets rättsliga ställning är i dag oklar, vilket bland annat fick Läkemedelsutredningen att föreslå ett Läkemedelsråd som ett nytt regiongemensamt organ med tydligare juridisk ställning.

Ett annat problem idag är att NT-rådet fattar tunga och viktiga beslut om rekommendationer kring läkemedel och om att ingå eller inte ingå i trepartsförhandlingar med bolagen kring prisförhandlingar på läkemedel. Men NT-rådet är i dag ett samverkansorgan mellan regionerna i en frivillig samverkan. Därmed saknas transparensen och möjligheten att klaga på och pröva beslut som fattas av NT-rådet.

Det problemet skulle lösas om NT-rådets funktion blir en del av regionernas gemensamma kommunalförbund. De beslut och rekommendationer som fattas av NT-rådet kommer i så fall att ha en mer tydlig legal grund och ställningstaganden skulle följa med ansvarstagande för det öronmärkta statsbidrag som det gemensamma kommunalförbundet har att förvalta.

Det är viktigt att det regiongemensamma kommunalförbundet och NT-rådets uppdrag och arbete blir tydligt reglerat för att säkerställa att statens ambition med ett öronmärkt statsbidrag hanteras på det sätt som förväntas och att deras ställningstagande präglas av förutsägbarhet, likabehandling och transparens.

Om NT-rådets funktion blir en del av det regiongemensamma kommunalförbundet kan de på ett annat och mer tydligt sätt än idag direkt företräda regionerna då de inte bara avger rekommendationer utan tecknar också firma för vilka särsläkemedel som ska göras tillgängliga för vilka patientgrupper i landets regioner.

NT-rådet bör också ha en tydligare uppföljningsroll för att säkra en jämlik introduktion av

särsläkemedel i regionen så att de patienter som förväntas vara behjälpliga av ett särsläkemedel också får tillgång till detta. Därmed kan man förvänta sig en snabbare introduktion av nya särsläkemedel.

Förslag 3: NT-rådets funktion bör bli en del av det regiongemensamma kommunalförbundet och få dess uppdrag att svara för horizon scanning, företräda kommunalförbundet i prisförhandlingar med läkemedelsbolagen gällande särsläkemedel och bidra till att särsläkemedel på ett jämlikt sätt introduceras i regionerna.

4. En tydligare roll för TLV

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) har uppdraget att värdera läkemedels effekt, nytta och evidens och fatta beslut om pris på ett läkemedel utifrån läkemedelsbolagens ansökan om läkemedelsförmån.

TLV utgår i sitt arbete från en värdebaserad prissättning som utgår från hälso- och sjukvårdens etiska plattform för prioritering med människovärdesprincipen, behovs- och solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen.

Utmaningen när det kommer till särsläkemedel är dubbel. Dels har särsläkemedel närmast per definition ett mer osäkert vetenskapligt underlag för evidens på grund av att det är svårare att genomföra den typen av studier man normalt kräver vid bredare läkemedel, dels blir ofta kostnaden per patient betydligt högre då kostnaden för framtagande av ett särsläkemedel ska delas på mycket färre patienter.

Det är rimligt att staten som huvudfinansiär av särsläkemedel i den föreslagna modellen också sätter förutsättningar för värdering av betalningsviljan för ett läkemedel utifrån de HTA-analyser som görs utifrån beprövade mått som QALY, ICER och andra kompletterande kriterier som nu utreds.

TLV har, som tidigare nämnts, under det senaste året redovisat ett regeringsuppdrag och fått ett förnyat sådant för att utveckla modeller



och verktyg där samhällets betalningsvilja ska kunna värderas högre när det kommer till just sär läkemedel bland annat på grund av sjukdomens sällsynthet, svårighetsgrad och patientstorlek. Det är viktigt att detta arbete får fortsätta och kan leda fram till modeller och verktyg som bredare kan värdera nyttan med just sär läkemedel.

I såväl utvecklingsarbetet för nya modeller och verktyg som vid framtida värdering av till exempel svårighetsgrad, behov och nytta behöver patientinvolveringen i processerna bli starkare och mer systematisk på ett liknande sätt som sker i flera av våra grannländer.

Det vore önskvärt att TLV i det förnyade utredningsuppdraget från regeringen fick möjlighet att titta på alternativa eller kompletterande kriteriemodeller för just sär läkemedel utan att vara bundna till att den samlade läkemedelskostnaden ska vara oförändrad. Genom att ta bort den restriktionen kan diskussionen breddas och fokuseras så att nya lösningar lättare kan komma fram som kanske annars inte gör det.

TLV skulle också kunna harmoniera bedömningen och pröva om olika kriteriemodeller kan användas beroende på godkännandenivå från den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA). EMA tillämpar tre nivåer av godkän-

nande av sär läkemedel. Fullt godkännande från start, villkorat godkännande där data samlas och kontinuerligt skickas till EMA, samt en lägre nivå där dokumentation sannolikt aldrig kommer att vara tillfredsställande men där det är exceptionellt viktigt att nya läkemedel kommer till användning.

Vad gäller sär läkemedel så administreras dessa oftast som klinikläkemedel och är därmed inte aktuella för att ingå i läkemedelsförmånen. TLV:s roll är därför redan idag delvis en annan än när det handlar om prissättning på läkemedel inom förmånen.

TLV:s roll bör också delvis förändras i den fortsatta processen när det kommer till att ta fram ett hälsoekonomiskt utvärderingsunderlag för de definierade sär läkemedlen.

Förslag 4: TLV bör få i uppdrag att utforma modeller som gör att sjukdomens svårighetsgrad och bristen på andra behandlingsmöjligheter väger tyngre när det kommer till betalningsvilja. TLV:s roll i processen med sär läkemedel bör också renodlas till att stå för det hälsoekonomiska utvärderingsunderlaget för värderingen av läkemedlets effekt, nytta och evidens baserat på de utökade kriterierna för just sär läkemedel.

5. Ny modell för prissättning av sär läkemedel

Under de senaste åren har i snitt 10-15 nya sär läkemedel per år godkänts av den Europeiska läkemedelsmyndigheten. Det är inte fler än att det är rimligt att tänka sig en modell för prissättning av dessa läkemedel istället för de olika alternativ som i dag tillämpas i form av ansökan via läkemedelsförmånen, upphandlingar eller via trepartsförhandlingar.

Om TLV:s uppdrag mer renodlat blir att svara för ett utvärderingsunderlag så bör prissättningen överlämnas till en diskussion mellan regionerna och läkemedelsbolagen. Den stora skillnaden jämfört med dagens system är att regionerna med ovanstående förslag kan agera som en juridisk person i form av det regiongemensamma kommunalförbundet och dessutom har mandatet att förhandla å regionernas sida. Dessutom har regionerna ekonomiska resurser i form av det öronmärkta statsbidraget för sär läkemedel.

Systemet med trepartsöverenskommelser ersätts då med en tvåpartsöverenskommelse som formellt sett får anses vara en förhandlingsupphandling då det endast finns en säljare och en köpare. Detta borde underlätta då det är de två parterna med ekonomiskt intresse och ansvar som sitter vid bordet och förhandlar om pris och eventuella tilläggsöverenskommelser.

I en tänkt ny modell kommer TLV även fortsatt att ha en roll genom att processen inleds och aktiveras med att bolaget ansöker om introduktion av ett nytt läkemedel till det regionala kommunalförbundet och anger ett försäljningspris. Kommunalförbundet begär sedan om ett hälsoekonomiskt utvärderingsunderlag från TLV på samma sätt som idag som sedan överlämnas till de båda parterna för dialog och överenskommelser.

För att detta ska kunna fungera så krävs tydliga spelregler från början och där det successivt lär utvecklas någon form av transparent praxis för hur betalningsvilja värderas för olika läkemedel och på vilka grunder. Det ska vara tydligt både för staten, regionerna och bolagen vad som ligger till grund för en överenskommelse eller för att en överenskommelse inte nås mellan parterna.

Förslag 5: För sär läkemedel bör det införas en modell för prissättning på dessa produkter och där den sker genom dialog i en förhandlingsupphandling mellan det regiongemensamma kommunalförbundet och de läkemedelsbolag som önskar introducera ett sär läkemedel.

6. Tidsgränser i införandeprocessen

Om vi bestämmer oss för ambitionen att bli ett utvecklingsnav för sär läkemedel i Sverige finns det också skäl att se över hur nya sär läkemedel snabbare kan introduceras i svensk hälso- och sjukvård och därmed snabbare nå de patienter som kan vara i behov av dem.

Med endast en modell för prissättning på sär läkemedel är det viktigt att den modellen innebär en rollfördelning och beslutsgång som är tydlig och klar för alla parter.

TLV har i dag normalt 180 dagar på sig att yttra sig över en ansökan om ett läkemedel som ska ingå i läkemedelsförmånen. I ett läge där TLV i sitt utvärderingsunderlag behöver förhålla sig till det föreslagna priset, men inte på samma sätt behöver yttra sig över priset på sär läkemedel bör man kunde se om det är möjligt att korta den processen med 30-60 dagar.

På samma sätt bör någon form av bortre tidsgräns kunna aktiveras av båda parter i förhandlingsupphandlingen på motsvarande 120-150 dagar, men också vara möjlig att gemensamt överenskomma om att skjuta på för att ge mer tid om båda parter anser att ärendet vinner på en något längre process.

Dessutom bör, som tidigare nämnts, NT-rådet ha en förstärkt roll att följa hur introduktionen i praktiken fungerar när väl ett läkemedel är tillgängligt med offentlig subvention i systemet.

Förslag 6: Tydliga tidsgränser bör finnas i introduktionsprocessen efter att ett sär läkemedel har godkänts av EMA och läkemedelsbolaget har ansökt om introduktion i Sverige. Tiden för TLV att ta fram ett utvärderingsunderlag för läkemedlet

bör försöka kortas till 120-150 dagar och en motsvarande tidsgräns bör kunna aktiveras av båda parter i den efterföljande förhandlingsupphandlingen.

7. Fler kliniska studier och gemensamt uppföljnings- och utvärderingsarbete

I en anda av en kollektiv ambitionshöjning vad gäller tillgången till sär läkemedel i Sverige bör det också vara möjligt att gemensamt höja ambitionerna vad gäller kliniska studier när det kommer till sär läkemedel i syfte att göra Sverige och Norden till en mer konkurrenskraftig nod för kliniska studier.

"Det vore önskvärt att regionerna och läkemedelsbolagen formulerade ett 'letter of intent' om att gemensamt sträva efter att utföra fler kliniska studier i Sverige."

Det vore önskvärt att regionerna och läkemedelsbolagen formulerade ett "letter of intent" om att gemensamt sträva efter att utföra fler kliniska studier i Sverige, överenskomma om förutsättningarna för detta och från regionernas sida tillse att man har en organisation och kapacitet som klarar av att motsvara kraven för att genomföra fler kliniska studier inom avtalade tidsperioder i den svenska hälso- och sjukvården.

Ett sådant gemensamt initiativ skulle ligga i linje med, och kunna vara en del av, vad som föreslogs 2023 av Peter Asplund i utredningen (Ds 2023:8) om förbättrade förutsättningar för kliniska prövningar och tvärsektoriellt partnerskap under namnet SweTrail. Det är önskvärt

att även staten kan bidra till den infrastruktur som behövs för att detta ska hända.

En annan förutsättning för att vi ska kunna flytta fram positionerna inom detta område och kunna öka patientnyttan är att också förbättra förutsättningarna för hur vi kan använda hälsodata. Stiftelsen "Forska!Sverige" har under våren 2024 presenterat förslag som är värda att beakta för att flytta fram positionerna på detta område.

Redan i dag genomförs uppföljning och utvärdering av införda läkemedel av flera intressenter i systemet för att följa bland annat effekt av läkemedlen för att bedöma dess nytta och kostnadseffektivitet. Det arbetet borde intensifieras när det gäller sär läkemedel och gärna i större utsträckning göras inom ramen för en gemensam organisation med staten, regionerna och läkemedelsbolagen och fristående forskare.

Med de svenska kvalitetsregistren och andra sjukdomsspecifika register finns en unik förutsättning för att gemensamt få fram bättre data för uppföljning och utvärdering. Min bedömning är att alla parter har ett intresse av att få bättre data över effekter och nytta för olika målgrupper för att kunna göra välgrundade framtida ställningstaganden kring de läkemedel som introduceras.

En sådan gemensam utvärderingsorganisation skulle också lägga grunden för att i högre utsträckning kunna utveckla och införa fler utfallsbaserade ersättningsmodeller.

Förslag 7: Regionerna och läkemedelsbolagen bör enas om att gemensamt höja ambitionerna vad gäller kliniska studier av sär läkemedel i Sverige. Det är också önskvärt att utveckla någon form av gemensam utvärderingsorganisation av sär läkemedel tillsammans med staten och fristående forskare.

8. Utveckling av utfallsbaserade ersättningsmodeller

Med allt som föreslagits ovan skapas också förutsättningar för läkemedelsbolagen och det regiongemensamma kommunalförbundet att i

ökad utsträckning utveckla och avtala om utfallsbaserade ersättningsmodeller för sär läkemedel. Modeller som i en förlängning skulle kunna vara användbara också för andra läkemedel.

Poängen med utfallsbaserade ersättningsmodeller är dels att säkerställa att uppföljning av effekt och nytta av ett läkemedel faktiskt görs i syfte att skapa mer evidens, dels att kunna reglera ersättning och kostnader utifrån verkliga utfallsdata.

Utfallsbaserad ersättning kan låta eftersträvan svårt för alla parter i teorin, men är sannolikt svårare att hitta hållbara modeller i praktiken. Det får dock inte hindra ambitionen att inom ett relativt begränsat område, där det vetenskapliga underlaget oftare är svagare

när läkemedlet introduceras, kunna premiera verkliga och effektfulla innovationer eller på motsvarande sätt reducera kostnaderna om förväntade effekter av läkemedlet uteblir.

Inspiration för detta bör också kunna hämtas i andra länder, som exempelvis Danmark, som utvecklat flera olika varianter på ersättningsmodeller som också rymmer utfallsmått som en del i prissättningen.

Förslag 8: Regionerna och läkemedelsbolagen bör gemensamt sträva efter att över tid utveckla olika former av utfallsbaserade ersättningsmodeller som bättre kan spegla ett sär läkemedels verkliga effekt i den kliniska vardagen.

W



OM ÖRONMÄRKT STATS BIDRAG:

■ För att förhindra att de gemensamt finansierade sär läkemedlen i den öronmärkta potten förskrivs i för stor utsträckning i någon form av indikationsglidning kan det vara rimligt att regionerna ändå bär en viss egenavgift på runt 10% och att statsbidraget då täcker 90% av kostnaderna.

Storleken på det öronmärkta statsbidraget för sär läkemedel bör garanteras med en viss uppräknings per år för i alla fall de första tre åren för att

därefter kunna utvärdera ifall omfattningen på statsbidraget ligger på en rimlig och korrekt nivå. Därefter är det rimligt att tänka sig att sätta en grundnivå (med viss årlig uppräknings) för fem år i taget för att ge stabila förutsättningar.

Fördelen med en fast storlek på statsbidraget är att de parter som förhandlar om priser är medvetna om att det både finns utrymme och begränsningar i de ekonomiska möjligheterna att gemensamt ta ansvar för.

En fast storlek på totalsumman har sannolikt också en återhållande effekt på risken för indikationsglidning eller överkonsumtion.

Det är svårt för mig att inom ramen för denna rapport ha en definitiv synpunkt på hur stort det öronmärkta statsbidraget bör vara men det är viktigt att i ett fortsatt utredningsarbete ha med att det ska täcka kostnader för såväl befintliga sär läkemedel och de cirka 10-15 nya sär läkemedel som förväntas att godkänns varje år.