

Från löften till lösningar

Bättre vård och stärkt tillgång till läkemedel för patienter med sällsynta hälsotillstånd



Sverige står inför ett avgörande vägval

Sverige står inför ett avgörande vägval. Ska Sverige vara ett välfärdsland som erbjuder vård för de allra mest sårbara? Eller ska Sverige vara ett land där svårt sjuka tvingas vänta länge eller inte ens erbjuds behandling som är tillgänglig i övriga europeiska länder? Ska Sverige vara ett ledande forskningsland där innovationer snabbt kommer patienterna till del eller ett land som väljs bort när nya läkemedel introduceras?

I EFPIA:s¹ senaste rapport om tillgång till säräkemedel i Europa placerades Sverige 2025 tydligt under EU-snittet. Idag är 45 icke-onkologiska säräkemedel godkända av den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA. Endast 10 av dessa läkemedel är tillgängliga i Sverige. Totalt har 21 europeiska länder bättre tillgång till säräkemedel än Sverige, däribland Tyskland, Danmark, Slovenien och Bulgarien.²

Det duger inte. Sverige måste ha högre ambitioner. Tillgången till innovativa behandlingar för patienter med sällsynta hälsotillstånd måste stärkas. Därför föreslår Kommissionen för Innovativa Säräkemedel, en sammanslutning av 13 forskningsintensiva läkemedelsföretag som efterlyser förbättringar inom vården av sällsynta hälsotillstånd, ett nytt mätbart nationellt mål för tillgång till säräkemedel:



Sverige ska mer än fördubbla andelen tillgängliga icke-onkologiska säräkemedel från dagens **22 procent till minst 50 procent före 2030**.

Det är ett ambitiöst mål men ett nödvändigt mål om Sverige ska ha ambitionen att vara en ledande välfärds- och innovationsnation. Det skulle också innebära att Sverige etableras som ett av de tio främsta länderna i Europa när det gäller tillgång till icke-onkologiska säräkemedel.

I detta valmanifest presenterar vi ett antal reformer och åtgärder som kan bidra till att uppnå detta mål och stärka den långsiktiga tillgången till säräkemedel och vård för personer med sällsynta hälsotillstånd:

- **Komplettera den nationella strategin för sällsynta hälsotillstånd med läkemedelsperspektivet**
- **Reformera värderingsmodellen för säräkemedel**
- **Inför en nationell introduktions- och utjämningspeng**
- **Inför ett tydligt och långsiktigt hållbart statligt kostnadsansvar**
- **Inför en ny, särskild nationell vårdgaranti för personer med sällsynta sjukdomar**
- **Effektivisera beslutsprocesser samt samordningen mellan myndigheter, regioner och nationella beslutsfattare**
- **Inrätta nationella register för säräkemedel och patientutfall**

¹ Från Den europeiska branschorganisationen för läkemedelsföretag.

² FIQVIA, *EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2025 Survey*, 2025, <https://www.efpia.eu/media/mnfdwzax/efpia-patients-wait-indicator-2025.pdf>

När vården inte lever upp till de etiska riktlinjerna

I Sverige finns en stark ambition om att vården ska vara jämlik och bygga på allas lika värde. Ändå finns det grupper som gång på gång hamnar i skymundan. Personer med sällsynta hälsotillstånd är en av dem.

Sällsynta hälsotillstånd är tillstånd som drabbar ett litet antal människor jämfört med befolkningen i stort. I EU och av Socialstyrelsen definieras ett sällsynt hälsotillstånd som en sjukdom eller skada som drabbar färre än 1 av 2 000 personer.

Men sällsynta hälsotillstånd är inte ovanliga. Tillsammans finns det uppskattningsvis 500 000 personer i Sverige som lever med ett sällsynt hälsotillstånd. Det är ungefär lika många personer som lever med en cancerdiagnos. Totalt finns det mellan 6 000 och 8 000 kända sällsynta hälsotillstånd.

Sällsynta hälsotillstånd omfattar en rad olika diagnoser, ofta med genetiska orsaker. Många sällsynta hälsotillstånd påverkar flera delar av kroppen samtidigt och förekommer som syndrom (en kombination av olika symtom). Syndromen är vanligtvis komplexa och kan påverka både fysiska organ och kognitiva eller psykiska förmågor, vilket kan leda till omfattande funktionsnedsättning och smärta. För många är tillstånden livslånga och direkt livshotande. Ofta debuterar tillstånden hos nyfödda eller barn.

Sällsynta hälsotillstånd har stor påverkan på både patienter och deras familjer. Att leva med en sjukdom som drabbar få innebär särskilda påfrestningar jämfört med mer vanligt förekommande tillstånd. Kunskapen inom vården är ofta otillräcklig, vilket kan leda till sen eller felaktig diagnostik och bristande vårdinsatser.

Diagnostik och behandling försvåras ytterligare av att liknande symtom kan ha olika bakomliggande orsaker, ofta kopplade till komplexa syndrom. Sammantaget innebär detta att många patienter får vänta i flera år på en korrekt diagnos och när diagnosen väl ställs följer ofta en lång kamp för att få tillgång till nödvändiga vårdresurser. Därtill är möjligheterna till stöd och erfarenhetsutbyte med andra i samma situation begränsade.



Problembeskrivning

Sveriges hälso- och sjukvård är byggd på principen om jämlik tillgång till vård och läkemedel. Men för patienter med sällsynta hälsotillstånd brister denna princip varje dag.

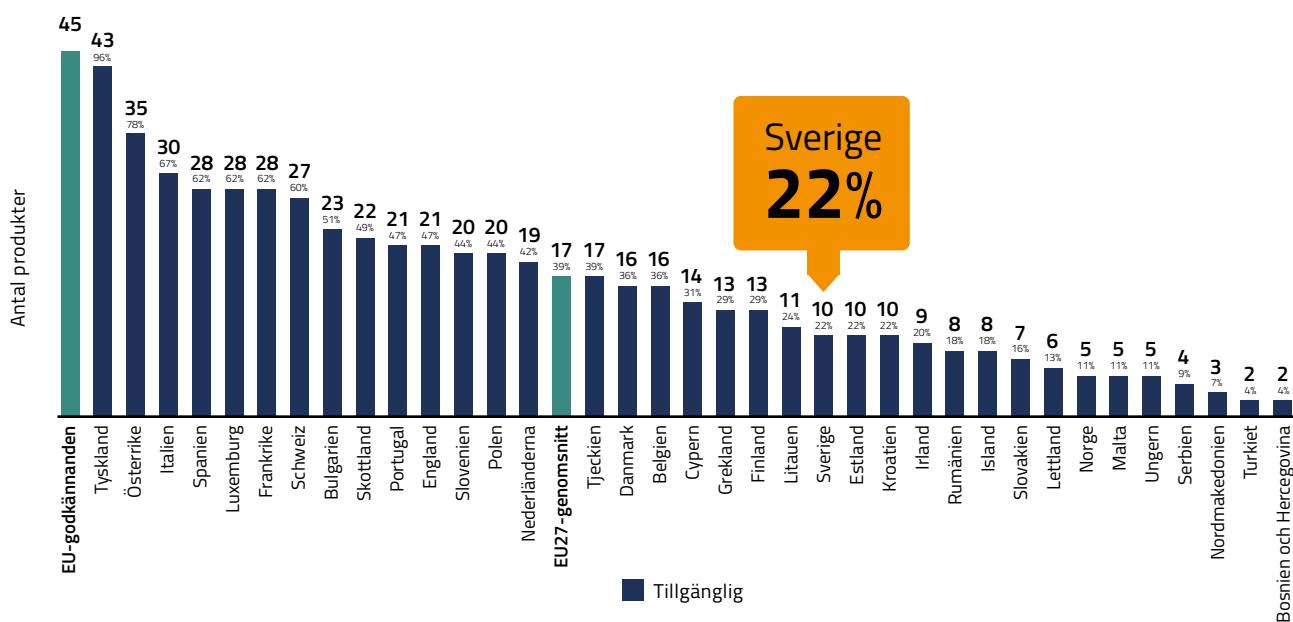
Många får sin diagnos först efter en lång och komplicerad resa genom sjukvården. Andra får en diagnos snabbare men får vänta länge på tillgång till livsavgörande behandlingar om de överhuvudtaget får tillgång till dem.

I rapporten Vad får framtidens läkemedel kosta och vad kan de ge i besparingar? (2025) skriven av Ulf Persson på uppdrag av Kommissionen, kännetecknas läkemedel för behandling av sällsynta hälsotillstånd, så kallade sär-läkemedel, av att de är framtagna för små eller mycket små patientgrupper, med höga utvecklingskostnader och ibland komplex hantering som kräver specialistkompetens.

Samtidigt som dessa utmaningar präglar området har utvecklingen av sär-läkemedel varit positiv och flera nya preparat, som ofta har visat god effekt, har tagits fram. Under de senaste åren har den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) godkänt mellan 10 och 15 nya sär-läkemedel varje år.³ Ändå finns det idag ett stort antal internationellt godkända sär-läkemedel som inte subventioneras eller används i den svenska vården.

EFPIA, den europeiska branschorganisationen för läkemedelsföretag, publicerar regelbundet rapporter om tillgången till sär-läkemedel i Europa. Rapporten analyserar tillgängligheten av de idag 45 sär-läkemedel som godkänts av EMA i respektive EU-land. I den senaste jämförelsen hamnar Sverige under EU-snittet (17 av 45) med endast 10 av 45 sär-läkemedel tillgängliga i någon form för svenska patienter (22 procent tillgänglighet). Totalt har 21 europeiska länder bättre tillgång till dessa läkemedel än Sverige, däribland Tyskland, Danmark, Slovenien och Bulgarien.⁴ Majoriteten av de västeuropeiska länder vi vanligtvis jämför oss med vad gäller hälso- och sjukvårdens utveckling erbjuder alltså både större och snabbare tillgänglighet till nya sär-läkemedel.

Andelen tillgängliga icke-onkologiska sär-läkemedel i Europa januari 2026



³ Jonas Andersson, Från ord till handling - Åtta förslag för en bättre och snabbare tillgång på sär-läkemedel i Sverige (Kommissionen för Innovativa Sär-läkemedel, 2024), <https://www.isl-forum.se/wp-content/uploads/2024/06/Fran-ord-till-handling-2024.pdf>

⁴ Max Newton m.fl., EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2025 Survey (EFPIA, 2026), <https://www.efpia.eu/media/mnfdwzax/efpia-patients-wait-indicator-2025.pdf>

Rapporten visar också att tillgången till nya läkemedel generellt har försämrats i Sverige under de senaste åren. För sex år sedan nådde 63 procent av nya läkemedel svenska patienter jämfört med 49 procent idag.



Detta är ett underbetyg för Sveriges förmåga att säkerställa jämlik och snabb tillgång till livsviktiga behandlingar.

Problematiken förvärras ytterligare av de geopolitiska och marknadsmässiga förändringar som just nu ritar om den globala läkemedelsmarknaden. När fler länder ser över sina modeller för läkemedelsprissättning ökar trycket på marknader med låg betalningsvilja. Det riskerar att ytterligare försämma tillgången till nya behandlingar i länder som Sverige. För särlekemedel, där patientgrupperna är små och utvecklingskostnaderna höga, kan detta leda till att företag väljer att senarelägga eller helt avstå från lanseringar på den svenska marknaden. Det innebär att patienter riskerar att drabbas ännu hårdare av brist på tillgång till behandling än vad de gör idag, bara för att de är födda i Sverige.

På sikt riskerar omvärldsutvecklingen även påverka investeringar i klinisk forskning, innovation och Sveriges konkurrenskraft som life science-nation. Investeringar i läkemedelsutveckling har ett tydligt innovationsperspektiv, något som bland annat underbyggs i Ulf Perssons i rapport för Kommissionen.⁵ Den omfattande forskning, avancerade teknologi och långsiktiga FoU som krävs för att utveckla nya terapier driver medicinska genombrott, teknologisk utveckling och ny vetenskaplig kunskap med bredare påverkan än den enskilda behandlingen i sig. Life science-sektorn fungerar därmed som en innovationsmotor med starka incitament att utveckla behandlingar för tidigare underbehandlade eller obotliga sjukdomar.

Till skillnad från många andra forskningsområden finns ofta en tydlig väg från forskning till konkret patientnytta, klinisk implementering och kommersiell tillämpning. Därför bör värdet av innovativa läkemedel bedömas utifrån deras långsiktiga effekter snarare än enbart utifrån initial behandlingskostnad. Många moderna terapier innebär höga kostnader i introduktionsfasen men kan över tid minska kostnader för annan vård, omsorg och sjuklighet. När patentskydd upphör och konkurrens tillkommer sjunker dessutom priserna ofta, samtidigt som behandlingarna kan komma fler patienter till del.

För patienter kan tillgången till särlekemedel innebära skillnaden mellan ett liv med svår smärta och funktionsnedsättning och ett liv med ökad självständighet, bättre livskvalitet och i vissa fall överlevnad. När rätt behandling finns på plats påverkas inte bara patienten utan också närstående som får möjlighet till ett mer hållbart vardagsliv, samtidigt som samhället vinner genom minskat vårdbehov och ökad delaktighet. Frågan handlar om huruvida Sverige ska vara ett riktigt välfärdssamhälle och om patienter ska kunna känna trygghet i att rätt vård och behandling finns tillgänglig när den behövs, oavsett diagnos eller bostadsort.

⁵ Ulf Persson, *Vad får framtidens läkemedel kosta och vad kan de ge i besparingar?* (Kommissionen för Innovativa Särlekemedel, 2025), <https://www.isl-forum.se/wp-content/uploads/2025/04/Vad-far-framtidens-lakemedel-kosta-och-vad-kan-de-ge-i-besparingar.pdf>

Nuläge och utmaningar

Trots hög medicinsk kompetens och starka offentliga system halkar Sverige efter jämförbara europeiska länder när det gäller att göra säräkemedel tillgängliga för patienter. Det följer inte av någon naturnödvändighet utan är ett resultat av prioriteringar och processer som går att förändra. Följande utmaningar anser Kommissionen vara de största och viktigaste för politiken att ta itu med under den kommande mandatperioden.

► 1. Diagnos och identifiering

Ett första och avgörande steg för en patient är att få sitt tillstånd korrekt diagnostiserat. Cirka 80 procent av de sällsynta diagnoserna har en känd genetisk orsak.⁶ En korrekt diagnos har direkt betydelse för vård, omhändertagande, familjeplanering och stödinsatser för individen och hela familjen. Möjligheterna att ställa diagnos har dessutom utvecklats kraftigt de senaste åren och allt fler tillstånd kan idag behandlas, vilket gör tidig utredning och diagnostik ännu viktigare.

För patienter med sällsynta hälsotillstånd drar utredningen ofta ut på tiden och feldiagnoser är inte ovanliga. Den senaste medlemsundersökningen från Riksförbundet Sällsynta diagnoser visar att det i genomsnitt tar sju år att få en diagnos.⁷ En av fem får vänta över tio år, och hälften får sin diagnos först i vuxen ålder. När diagnosen väl ställs uppger var tredje person att vården förbättras – men då har ofta värdefull behandlingspotential redan gått förlorad.

Idag saknas en sammanhållen nationell strategi för genetisk diagnostik med resultatet att många patienter faller mellan stolarna och går miste om tidig och livsavgörande vård. En utmaning är att patienter med sällsynta hälsotillstånd ofta utreds för vanliga sjukdomar innan rätt diagnos kan ställas. För att korta tiden till diagnos och säkerställa jämlik vård i hela landet krävs riktade och samordnade insatser.

► 2. Illa anpassade värderings- och beslutsmodeller

Det svenska förmånssystemet för läkemedel, som förvaltas av Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, bygger idag till stor del på så kallad värdebaserad prissättning där priset sätts utifrån den förväntade nyttan för befolkningen och den betalningsvilja som finns i Sverige snarare än utifrån exempelvis produktionskostnader eller priser i andra länder. I praktiken innebär det att läkemedel subventioneras om de bedöms vara tillräckligt kostnadseffektiva.

Samtidigt tar det i dag alldeles för lång tid för patienter att få tillgång till läkemedel som redan har godkänts av EMA. För patienter kan väntan innebära irreversibel sjukdomsutveckling och förlorade behandlingsmöjligheter. En modell som bör övervägas är tillgång från dag ett medan frågor om långsiktig prissättning, ersättning och riskdelning hanteras parallellt.

⁶ Centrum för sällsynta diagnoser Väst, "Om sällsynta hälsotillstånd", *Sahlgrenska Universitetssjukhuset*, senast uppdaterad 18 mars 2025, <https://www.sahlgrenska.se/om-sjukhuset/organisation/centrumbildningar/csdvast/om-csd-vast/om-sallsynta-halsotillstand/>

⁷ Riksförbundet Sällsynta diagnoser, "Ny medlemsundersökning visar: Stora brister inom vården i behandlingen av sällsynta diagnoser", *Riksförbundet Sällsynta diagnoser*, senast uppdaterad 17 oktober 2024, <https://www.sallsyntadiagnoser.se/post/ny-medlemsunders%C3%B6kning-visar-stora-brister-inom-v%C3%A5rden-i-behandlingen-av-s%C3%A4llsynta-diagnoser>

Problemet när det kommer till sär läkemedel är att samma värderingsmodell tillämpas som för läkemedel mot vanliga folksjukdomar trots att förutsättningarna är helt olika. Sär läkemedel utvecklas för mycket små patientgrupper, vilket gör att utvecklingskostnaderna måste bäras av betydligt färre personer och att traditionella mått på kostnadseffektivitet ofta slår helt fel. Samtidigt behöver bedömningen av faktorer som livskvalitet, medicinsk innovation och långsiktig samhällsnytta bättre anpassas till verkligheten för personer med sällsynta hälsotillstånd för att fånga den samlade påverkan på patienter, anhöriga och samhälle.

Dessutom fångar värderingsmodellen idag inte fullt ut de samhällsekonomiska konsekvenserna av att patienter med sällsynta hälsotillstånd inte får behandling i tid. Försämrade hälsa och ökade vårdbehov leder till större belastning på både hälso- och sjukvården och andra samhällsresurser. När barn och unga drabbas innebär det ofta att anhöriga behöver minska sin arbetstid eller lämna arbetslivet helt för att ge stöd och omsorg. Trots detta vägs anhörigas situation och de långsiktiga konsekvenserna för familjeliv, arbetsförmåga och samhällsekonomi sällan in på ett tillräckligt sätt i de hälsoekonomiska bedömningarna.

Bristen på transparens i beslutsprocesserna förvärrar situationen ytterligare. Det finns exempelvis ingen möjlighet att överklaga negativa rekommendationer från Rådet för nya terapier (NT-rådet), som ger vägledning till regionerna om hur och om läkemedel ska användas i vården. Samtidigt upplevs processerna ofta som långa och svåröversäglbara med otydliga bedömningskriterier och begränsad insyn i hur prioriteringar görs. Dessutom redovisar normalt varken NT-rådet eller regionernas fullmaktsgroup, som beslutar vilka läkemedel som får gå vidare till nationella pris- och införandeförhandlingar samt omfattas av nationella rabattavtal, tydliga motiveringar när rekommendationer eller beslut blir negativa.

► 3. Bristande uppföljning och kunskapsdelning

Idag saknas en systematisk och nationellt samordnad uppföljning av vård och behandling för personer med sällsynta hälsotillstånd. Kunskap om behandlingseffekter, arbetssätt och patientutfall sprids inte tillräckligt mellan regionerna, vilket leder till att samma problem upprepas. Samtidigt saknar många regioner resurser och strukturer för långsiktig uppföljning och samordnad vård av små och komplexa patientgrupper. Att specialistkunskap, avancerad diagnostik och nya läkemedel dessutom är koncentrerade till ett fåtal regioner förstärker skillnaderna i införandet, tillgång och behandling trots likvärdiga medicinska behov.

Bristen på nationell datainsamling om behandlingseffekt, tillgång till läkemedel och patientutfall försvårar lärande, uppföljning och välgrundade beslut. Utan ökad transparens och gemensam kunskapsuppbyggnad riskerar vården att bli ojämlig, samtidigt som möjligheten till effektiv resursanvändning och kvalitetsutveckling går förlorad. Detta påverkar ytterst patienternas tillit till vårdssystemet och möjligheten att känna trygghet i att vården är jämlig och att tillgång till expertis och behandling inte avgörs av bostadsort.

► 4. Otydligt ansvar – nationellt och regionalt

Styrningen och samordningen inom vården för patienter med sällsynta hälsotillstånd är idag splittrad mellan olika aktörer. Detta är en av slutsatserna i Jonas Anderssons rapport Från ord till handling – Åtta förslag för en bättre och snabbare tillgång på sär läkemedel i Sverige (2024) för Kommissionen. Ansvaret är utspritt mellan 21 självstyrande regioner och flera olika myndigheter utan en tydlig samlade kraft. I vissa fall utvärderas ett sär läkemedel av TLV, i andra fall hamnar frågan hos regionernas gemensamma organ, NT-rådet. I en tredje typ av fall avgörs tillgången av de

21 regionala läkemedelskommittéerna, som ger anvisningar om användningen av läkemedlen, med olika prioriteringar och budgetförutsättningar.

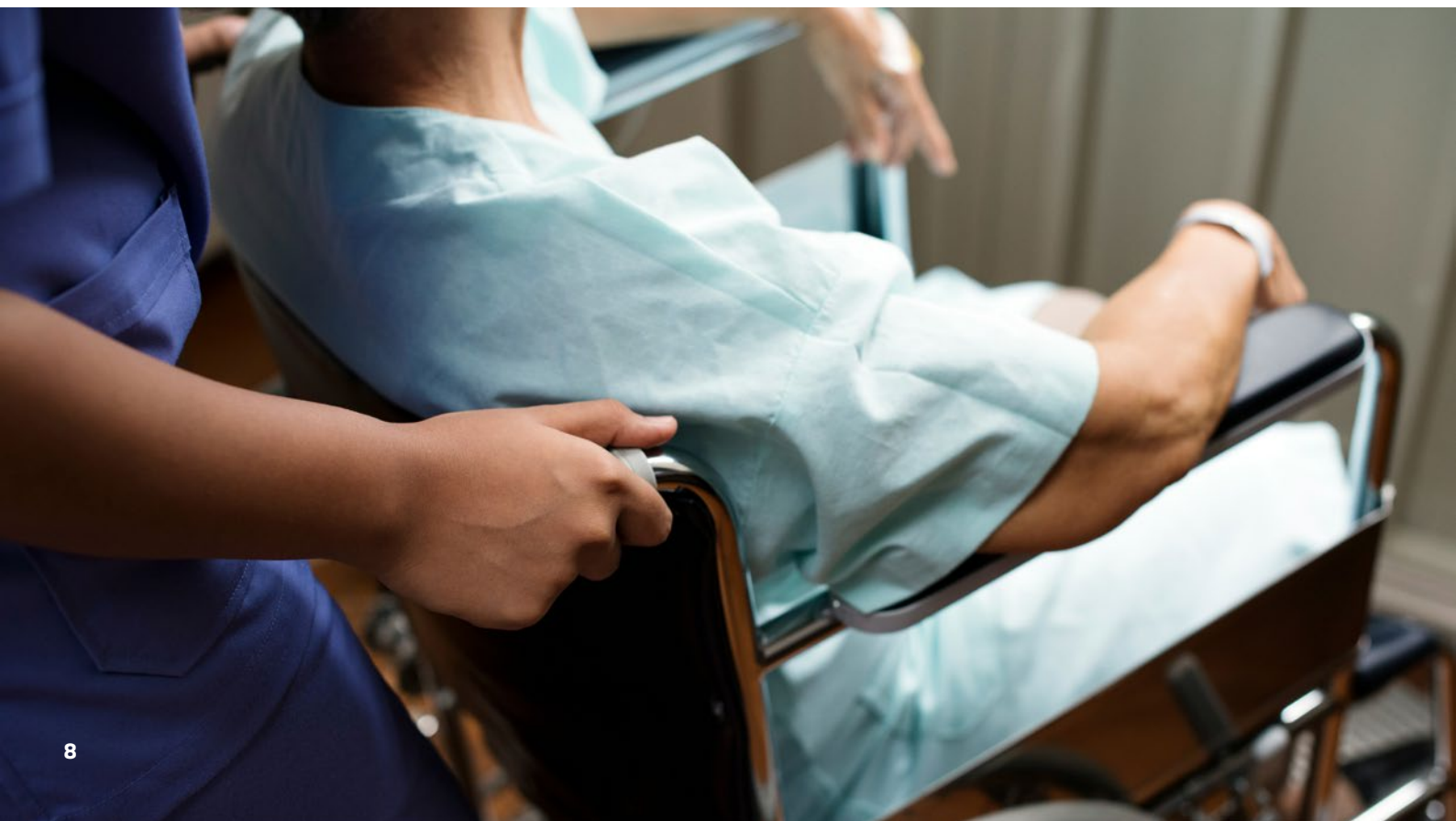
Många av de företag som utvecklar och tillhandahåller sär läkemedel i Sverige upplever att det nuvarande systemet för utvärdering, införande och finansiering av nya läkemedel för sällsynta hälsotillstånd inte fungerar tillfredsställande. Ytterst kvarstår den grundläggande frågan om vem som ska betala för sär läkemedel. Ska kostnaden bäras av staten genom läkemedelsförmånen efter beslut av TLV, av regionerna inom sina egna budgetar, eller av staten genom särskilda statsbidrag utanför förmånen? När finansieringsansvaret är oklart riskerar sär läkemedel att hamna mellan systemen.

► 5. Stora regionala skillnader

Utöver att sär läkemedel introduceras i Sverige i långsammare takt och i mindre omfattning än i många jämförbara länder finns det idag ingen garanti för att enskilda patienter med sällsynta hälsotillstånd faktiskt får tillgång till de behandlingar som finns i Sverige.

Beslutet om att ge en patient ett sär läkemedel är sist och slutligen ett beslut av den behandlande läkaren som behöver förhålla sig till riktlinjer och rekommendationer i den region den 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.

Patientgrupperna för sällsynta hälsotillstånd är mycket små och ibland rör det sig om en enda patient i hela landet. Det gör att kostnaderna för behandling kan slå mycket ojämnt mellan regionerna. För en mindre region kan enstaka patienter med behov av avancerade och kostsamma behandlingar få stora ekonomiska konsekvenser.



Vad har skett inom politiken den innevarande mandatperioden?

En viktig del av Kommissionens arbete är att följa politikens utveckling på området sällsynta hälsotillstånd. Det är politiska beslutsfattare och ansvariga myndigheter som ytterst har makten att skapa verklig förändring. Under mandatperioden 2022-2026 har frågan om sällsynta hälsotillstånd uppmärksammats och ett antal viktiga steg har tagits:

År 2022 enades riksdagens socialutskott med bred uppslutning om ett tillkännagivande till regeringen om att förbättra tillgången till sÄrläkemedel och om behovet av en strategi för sällsynta hälsotillstånd. Som ett svar på riksdagens tillkännagivande fick TLV i juni 2022 i uppdrag av regeringen att analysera och föreslå hur patienternas tillgång till läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar kan stärkas.

Detta tillkännagivande fungerade som en startpunkt för mycket av det arbete som därefter har genomförts under mandatperioden och har satt tonen för en mer samlad och långsiktig nationell ambition inom området sällsynta hälsotillstånd.

Socialstyrelsen har arbetat fram en nationell strategi inom området sällsynta hälsotillstånd. Rapporten är ett gediget underlag och lyfter sex prioriterade områden för tidigare diagnoser, mer jämlik och samordnad vård samt ökad delaktighet.

Kommissionens förhoppning är att strategins rekommendationer kan komma att innebära påtagliga förbättringar i vården. Men då tillgång till läkemedel inte ingick i Socialstyrelsens uppdrag saknas detta viktiga perspektiv helt i rapporten. Samtidigt skapar det osäkerhet att regeringen har avvaktat med att anta strategin. Utan ett formellt antagande och en plan för genomförande riskerar strategin att få begränsad praktisk betydelse.

I juni 2023 gav regeringen en parlamentariskt sammansatt kommitté, Vårdansvarskommittén, i uppdrag att ta fram beslutsunderlag som gör det möjligt att stegvis och långsiktigt införa ett helt eller delvis statligt huvudmannaskap för hälso- och sjukvården. I sitt slutbetänkande föreslår Vårdansvarskommittén att staten ska ta ett utökat ansvar för sex områden inom hälso- och sjukvården, däribland läkemedel.

Kommissionen välkomnar ambitionen att stärka statens ansvar för och nationella styrning av hälso- och sjukvården. För personer med sällsynta hälsotillstånd är ett starkare nationellt ansvar särskilt viktigt eftersom vården idag präglas av små patientgrupper, begränsad specialistkompetens och ojämlig tillgång till diagnostik och behandling mellan olika delar av landet. Dessa utmaningar kräver en mer samordnad nationell styrning inte minst inom läkemedel, specialistvård och kunskapsutveckling.

Regeringen har gett tre olika uppdrag till Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) där myndigheten har fått i uppdrag att kartlägga tillgången till nya terapier mot sällsynta hälsotillstånd samt att stärka tillgången till läkemedel för patientgruppen.

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) beslutar om vilka läkemedel som ska ingå i läkemedelsförmånerna, det vill säga vilka läkemedel som ska subventioneras och därmed bli tillgängliga för patienter till ett rimligt pris. Besluten grundas på så kallade hälsoekonomiska utvärderingar där läkemedlets nytta, kostnadseffektivitet och hur allvarligt sjukdomstillståndet är vägs samman.

Kommissionen har följt regeringsuppdragen nära, haft dialog med TLV under arbetets gång och skickat in förslag till hur en bättre modell för ökad betalningsvilja för sär läkemedel skulle kunna utformas. Huruvida TLV:s nya så kallade trappstegsmodell, där kraven på kostnadseffektivitet anpassas stegvis utifrån hur allvarlig sjukdomen är och hur liten patientgruppen är, faktiskt kommer att innebära att fler behandlingar tillgängliggörs återstår att se men initiala analyser visar enbart på en marginell förbättring. Kommissionen följer nu utfallet av nya ansökningar och avrapporterar löpande genom verktyget Annual Tracker.

I budgeten för 2026 avsatte regeringen 450 miljoner kronor per år 2026–2028 för att utveckla arbetet inom sällsynta hälsotillstånd.

Att regeringen har riktat särskilda medel till området sällsynta hälsotillstånd är positivt inte minst mot bakgrund av de omfattande utmaningar som patienter med sällsynta diagnoser fortsatt möter. Mot denna bakgrund är det avgörande att regeringen redovisar hur medlen ska fördelas och vilka långsiktiga prioriteringar som ska styra satsningen innan valet, vilket i början av maj 2026 ännu inte har gjorts.

I mars 2026 tillsatte regeringen Läkemedelsutredningen med syfte att analysera och lämna förslag på hur statens ansvar för läkemedel och vaccin kan utökas, stärkas och organiseras. Målet är att skapa ett transparent och effektivt system som säkerställer patienters tillgång till kostnadseffektiva och medicinskt motiverade behandlingar.

Kommissionen välkomnar tillsättandet av utredningen och att regeringen tar ett helhetsgrepp över Sveriges läkemedelssystem. För att utredningen ska få verklig effekt behöver sär läkemedel ges en tydlig plats så att även patienter med sällsynta hälsotillstånd omfattas av reformer som stärker tillgången till behandling. Samtidigt är det viktigt att nödvändiga reformer kan genomföras parallellt med att utredningen pågår. Utredningen behöver även beakta den geopolitiska utvecklingen, vilken påverkan det kan få på svensk läkemedelsmarknad och ta fram förslag på adekvata åtgärder.

⁸ CenKommissionen för Innovativa Sär läkemedel, "Annual Tracker", *Kommissionen för Innovativa Sär läkemedel*, <https://www.isl-forum.se/annual-tracker/>



Våra förslag: sju reformer för kommande mandatperiod

Kommissionen anser att staten behöver ta ett samlat ansvar för tillgängligheten av läkemedel till patienter med sällsynta hälsotillstånd, dels för att de inte passar in i mallen för hur läkemedel bedöms idag ur ett kostnadseffektivitetsperspektiv, dels för att antalet patienter med sällsynta och kostsamma behandlingar inte fördelas jämnt över landet.

► 1. Nationell strategi för sällsynta hälsotillstånd måste kompletteras med läkemedelsperspektivet.

Socialstyrelsens nationella strategi för sällsynta hälsotillstånd är ett viktigt och välkommet steg framåt. Den tydliggör behovet av bättre diagnostik, samordnad vård och stärkt forskning för en patientgrupp som länge varit osynlig i systemet. Tyvärr ingick inte tillgång till läkemedel i uppdraget att ta fram strategin och därmed saknas det perspektivet helt.

Kommissionen anser att den nationella strategin behöver kompletteras med tydliga målsättningar för diagnostik, vård, forskning och läkemedel för att snabbt, jämlikt och förutsägbart kunna införa nya behandlingar.

En nationell samordning och tydlig ansvarsfördelning skulle skapa bättre förutsägbarhet för patienter, vården och läkemedelsutvecklare, minska regionala skillnader och säkerställa att medicinska genombrott kommer patienter med sällsynta hälsotillstånd till del i tid.

► 2. Reformerad värderingsmodell

I grunden bör det nuvarande systemet med så kallad värdebaserad prissättning behållas. De skattemedel som kan användas till subventionerade läkemedel är begränsade, vilket gör det rimligt att prioritera läkemedel med störst effekt på överlevnad och livskvalitet. För sär läkemedel har detta system dock visat sig få orimliga konsekvenser, vilket framgår i Ulf Perssons rapport för Kommissionen Vad får framtidens läkemedel kosta och vad kan de ge i besparingar? (2025). Det finns därför behov av några mindre men viktiga justeringar i systemet.

Vi anser att TLV:s så kallade trappmodell för bedömning av sär läkemedel behöver vidareutvecklas till en mer flexibel multikriteriemodell. Modellen behöver ge större vikt åt livskvalitet, avsaknad av alternativ samt långsiktiga effekter på patient och anhöriga. Bedömningar av allvarlighetsgrad behöver bli mer förutsägbara och konsekventa för att skapa tydligare förutsättningar för både vård och läkemedelsutveckling. Samtidigt bör kriteriet kliniskt relevant patientnytta i högre grad utgå från den medicinska nytta som redan har prövats och godkänts inom den regulatoriska processen, snarare än att omprövas i flera led.

Modellen behöver även bättre ta hänsyn till att små patientgrupper och begränsade evidensunderlag är en naturlig del av området för sällsynta hälsotillstånd. Det innebär att osäkerheten ofta blir större än för läkemedel riktade till bredare patientgrupper. Sådan osäkerhet kan hanteras på andra sätt än schablonartade prisreduktioner, exempelvis

genom värdebaserade riskdelningsmodeller såsom utfallsbaserade överenskommelser eller villkorad subvention kopplad till strukturerad datainsamling över tid.

När alternativa terapier saknas behöver en högre betalningsvilja tillåtas med stigande betalningsvilja ju färre patienter som omfattas. Behovs- och solidaritetsprincipen är viktig vid värdebaserad prissättning av läkemedel vid allvarliga och sällsynta hälsotillstånd. Många sällsynta hälsotillstånd 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.

För att komma till rätta med bristerna i dagens värderingsmodell på kort sikt är det viktigt att en ny regering ger Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket i uppdrag att reformera den nuvarande modellen så att större hänsyn tas till sär läkemedels särskilda förutsättningar och fler behandlingar kan godkännas och komma patienter till del.

► 3. Nationell introduktions- och utjämningspeng

Det går inte att komma ifrån att ekonomiska resurser är en av nycklarna för att öka tillgängligheten av sär läkemedel.

Staten bör därför införa en nationell introduktions- och utjämningspeng. Det innebär i praktiken ett särskilt riktat statsbidrag för finansiering av sär läkemedel.

Detta föreslås också av Jonas Anderssons i hans rapport för Kommissionen Från ord till handling - Åtta förslag för en bättre och snabbare tillgång på sär läkemedel i Sverige (2024). Statsbidraget ska kunna finansiera 90 % av regionernas kostnader för sär läkemedel. Bidraget skulle utjämna ekonomisk börda och möjliggöra likvärdigt införande i hela landet.

I budgeten för 2026 föreslog regeringen ett riktat bidrag om 450 miljoner kronor till bland annat området sällsynta hälsotillstånd, vilket visar att riktade bidrag både är fullt möjliga och kan prioriteras även om endast 20 miljoner kronor hittills har avsatts för området.¹⁰

En nationell introduktions- och utjämningspeng skulle på kort sikt kunna hantera några av de största finansieringsrelaterade utmaningarna inom området sällsynta hälsotillstånd som regionerna möter idag och utgöra ett första steg mot ett statligt finansiellt ansvar för sär läkemedel. Det är först genom ett tydligare statligt ansvar som de strukturella skillnaderna mellan regionerna kan minska och patienter i hela landet ges mer jämlik tillgång till behandling.

⁹ Jonas Andersson, Från ord till handling – Åtta förslag för en bättre och snabbare tillgång på sär läkemedel i Sverige (Kommissionen för Innovativa Sär läkemedel, 2024), <https://www.isl-forum.se/wp-content/uploads/2024/06/Fran-ord-till-handling-2024.pdf>

¹⁰ Socialdepartementet, Uppdrag till Socialstyrelsen att betala ut medel till centrum för sällsynta diagnoser (Regeringskansliet, 2026), <https://www.regeringen.se/contentassets/b974bc1ffc7c44fc84a4c6a514393c9d/uppdrag-till-socialstyrelsen-att-betala-ut-medel-till-centrum-for-sallsynta-diagnoser.pdf>

► 4. Tydligt och hållbart statligt kostnadsansvar

Behovet av en starkare och mer sammanhållen statlig styrning inom läkemedelsområdet är stort. Regionerna ska inte, som idag, fatta olika prioriteringar och beslut om läkemedel som leder till ojämlig tillgång för patienter. Och att staten övertar kostnadsansvaret för behandlingar vid sällsynta hälsotillstånd skulle inte vara ett unikt steg. Staten har tidigare tagit över ansvaret för behandlingar av bland annat HIV, Gauchers sjukdom, hepatit C och hemofili.

Det är rimligt att utgå från hur sällsynt sjukdomen är och vilken samlad budgetpåverkan en subvention skulle innebära. En nationell hantering av finansieringen för allvarliga och sällsynta hälsotillstånd bör vara hanterbar, eftersom budgetpåverkan ofta kan beräknas med relativt stor säkerhet utifrån en tydligt definierad patientpopulation och en väl avgränsad indikation. Ett sådant ansvarstagande behöver inte heller innebära stora ekonomiska konsekvenser för staten om det kombineras med pris- och betalningsmodeller som hanterar risken för överutnyttjande. När staten tar över kostnadsansvaret från regionerna justeras statsbidraget i motsvarande grad men utan påverkan på regionernas basfinansiering för den övriga vården.

Staten bör därför överta subventionsansvaret för alla sÄrläkemedel.

► 5. Ny, särskild nationell vårdgaranti för sällsynta sjukdomar

Samtliga patienter i Sverige omfattas av den generella nationella vårdgarantin.

För patienter med sällsynta hälsotillstånd föreslår vi därutöver att staten inför en skärpt och särskild nationell vårdgaranti med ett antal specifika rättigheter och villkor.

Alltför många patienter med sällsynta hälsotillstånd får idag inte tillgång till den vård och behandling de behöver, exempelvis relevanta läkemedel, trots att behoven ofta är mycket omfattande. Skillnaderna mellan olika delar av landet är dessutom stora. Samtidigt har vårdens väntetider fortsatt att öka och den lagstadgade vårdgarantin efterlevs i allt mindre utsträckning.¹¹

Den särskilda vårdgarantin ska ge patienter rätt till behandling med läkemedel som har godkänts av EMA och som har bedömts enligt den särskilt anpassade kostnadsutvärderingsmodell som föreslås ovan, vilken tar större hänsyn till de särskilda förutsättningar som gäller för sällsynta hälsotillstånd.

Förslaget innebär även att patienter ska ha rätt att få behandling inom EU/EES om relevant vård inte kan erbjudas i Sverige. Staten får därmed ett tydligare ansvar för att säkerställa patienters tillgång till vård även över nationsgränserna när nationell kapacitet eller specialistkompetens saknas.

Förslaget inspireras av exempel från Danmark där vårdssystemet har ett tydligt ansvar att i vissa fall hjälpa patienter vidare till annan vårdgivare om behandling inte kan erbjudas inom fastställda väntetider för vissa sjukdomar.¹²

¹¹ Socialdepartementet, *Bättre styrning för en tillgänglig och jämlik hälso- och sjukvård med god kontinuitet* (Regeringskansliet, 2024), <https://www.regeringen.se/contentassets/aea545839dfb48ff87b713b39aa64a57/bättre-styrning-for-en-tillganglig-och-jamlik-halso--och-sjukvard-med-god-kontinuitet-dir.-202450.pdf>

¹² *Vägen till ökad tillgänglighet – delaktighet, tidiga insatser och inom lagens ram*, SOU 2022:22 (Socialdepartementet, 2022), s. 59, <https://www.regeringen.se/contentassets/424411786a2d4b38ba22fef3a169ab56/sou-2022-22.pdf>

► 6. Effektivare samordning och beslutsprocesser

Flera europeiska länder har visat att nationell samordning ger konkreta förbättringar för patienter med sällsynta hälsotillstånd. I Danmark har flera strategier genomförts, med tilldelade resurser och uppföljda resultat. Danmarks exempel visar att en strategi kräver ledarskap, uppföljning och resurser för att ge resultat. Myndigheten för vård- och omsorgsanalys har efterfrågat starkare nationell styrning för att förbättra vården för patienter med komplexa behov. Det gäller i allra högsta grad personer med sällsynta hälsotillstånd.

För att komma till rätta med dagens fragmenterade system ser Kommissionen positivt på att den pågående Läkemedelsutredningen analyserar förutsättningarna för en mer sammanhållen besluts- och finansieringsstruktur för att skapa ökad nationell enhetlighet och långsiktig förutsägbarhet för patienterna.

Ökad samordning kan exempelvis ske genom att harmonisera utvärderingskriterierna så att samma grundprinciper gäller oavsett var i systemet ett läkemedel prövas. Vi efterfrågar också tydliga tidsramar för prövning och införande för att öka förutsägbarheten och stärka transparensen gentemot patienterna.

Slutligen bör systemet öppna för mer flexibla lösningar när kunskapsläget är osäkert. Möjligheter till villkorade godkännanden, riskdelning mellan samhälle och företag samt betalning utifrån faktisk behandlingseffekt, så kallad betalning per utfall, kan göra det möjligt att ge patienter tidigare tillgång till behandling samtidigt som samhällets resurser används ansvarsfullt.

► 7. Transparens och datadriven uppföljning

Sverige har med sina nationella kvalitetsregister och sjukdomsspecifika register en unik möjlighet att följa upp och utvärdera vård och behandling på ett sätt som få andra länder kan. Redan idag samlas data in om hur läkemedel används och vilken effekt de har, bland annat för att bedöma nytta och kostnadseffektivitet. För patienter med sällsynta hälsotillstånd behöver detta arbete stärkas och samordnas bättre. Eftersom patientgrupperna är små är varje datapunkt värdefull. Genom gemensam och strukturerad uppföljning kan vi bygga den kunskap som krävs för bättre beslut, snabbare införande och mer jämlik vård.

Kommissionen anser därför att nationella register för sär läkemedel och patientutfall bör inrättas.

Det skulle möjliggöra systematisk uppföljning av behandlingseffekt, jämlikhet i tillgång och hur resurser används över tid. Uppföljningen bör ske i en gemensam struktur där staten, regionerna, läkemedelsföretag och oberoende forskare samverkar. Resultaten ska sammanställas och rapporteras årligen till riksdagen, för att säkerställa transparens, ansvarstagande och en kunskapsbaserad utveckling av vården för personer med sällsynta hälsotillstånd.

Genomförande och ansvar

Flera av Kommissionens reformförslag riktar sig till de aktörer som har störst möjlighet och ansvar att förbättra situationen för patienter med sällsynta hälsotillstånd. Samtidigt står det klart att de utmaningar som präglar denna patientgrupp kräver ett gemensamt ansvarstagande och ett närmare samarbete mellan samtliga berörda aktörer. Även Kommissionen för Innovativa Sär läkemedel har en viktig roll i att synliggöra dagens utmaningar och bidra med läkemedelsutvecklarnas perspektiv på hur tillgången till behandling och innovation kan stärkas. Inför nästa mandatperiod behöver vi därför kraftsamla för att hitta långsiktiga lösningar och nya former för samverkan.

Tabellen redovisar på ett översiktligt sätt Kommissionens syn på hur ansvaret för genomförandet av våra sju föreslagna reformer inom området sällsynta hälsotillstånd bör fördelas mellan relevanta aktörer under kommande mandatperiod.

Aktör	Ansvar
Regering/Riksdag	Anta nationell strategi, lagstifta om nya finansieringsmodeller, anslå adekvata offentliga resurser
TLV, Läkemedelsverket m.fl.	Utveckla anpassade värderingsmodeller, koordinera processer
Regioner	Samverka i gemensamma införandemodeller, bidra med data och uppföljning; harmonisera NT-rådets bedömningar med TLV:s nya trappmodell
Statliga utredningar	Kartlägga budgetpåverkan och föreslå fördelningsprinciper
Läkemedelsindustrin	Medverka i riskdelning, transparens, uppföljningsdata och innovationspartnerskap

Jämlik vård är politiskt valbar

Det är fullt möjligt att skapa ett rättvist och hållbart system för patienters tillgång till sär läkemedel i Sverige. Det kräver politisk vilja, samverkan över nivåer – och mod att tänka nytt.



Patienterna kan inte vänta längre.

Kommissionen för Innovativa Sär läkemedel

Kommissionen för Innovativa Sär läkemedel ("Kommissionen") är ett initiativ av en grupp forskningsintensiva läkemedelsföretag som efterlyser förbättringar inom vården av personer med sällsynta och livshotande sjukdomstillstånd.¹³ Detta inkluderar diagnostisering, sjukdomsbehandling och tillgång till innovativa läkemedel.

Kommissionens målsättning är att lyfta fram förslag som kan bidra till att förbättra den svenska vården för personer med sällsynta hälsotillstånd. Framför allt vill vi uppmärksamma bristerna i det svenska systemet för utvärdering av och tillgång till nya läkemedel för dessa patienter. Läkemedel för sällsynta och mycket sällsynta hälsotillstånd utvärderas idag på samma sätt som läkemedel för bredare patientgrupper trots att förutsättningarna skiljer sig väsentligt åt.

Kommissionen grundades 2016 och har sedan dess arbetat intensivt med att uppmärksamma den bristande tillgången till behandling för patienter med sällsynta hälsotillstånd samt bidra med konstruktiva underlag och förslag för att åstadkomma förbättringar. Genom att anordna seminarier, hearingar, ta fram rapporter och författa månatliga nyhetsbrev sprider Kommissionen kunskap och driver frågan om jämlik tillgång till vård och behandling.

Under 2025 genomförde Kommissionen en analys¹⁴ av Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets modell för att tillgängliggöra fler sär läkemedel i Sverige och tog fram ett nytt verktyg för att mäta införandet av dessa läkemedel, Annual Tracker.¹⁵

Vår vision: En ny nationell modell för sär läkemedel

Vi vill se ett Sverige där:

- Alla patienter – oavsett bostadsort – får tillgång till effektiva behandlingar mot sällsynta hälsotillstånd.
- En höjd betalningsvilja för läkemedel mot sällsynta och mycket sällsynta hälsotillstånd - där värdet av läkemedlet bedöms efter särskilda kriterier som utgår från små patientgrupper.
- Införande av nya läkemedel mot sällsynta hälsotillstånd sker snabbt, transparent och med nationell samordning.
- Staten och regionerna reder ut ansvaret för utvärdering, finansiering och införande på ett långsiktigt hållbart sätt.

¹³ Kommissionen för Innovativa Sär läkemedel, "Om oss", *Kommissionen för Innovativa Sär läkemedel*, <https://www.isl-forum.se/om-oss/>

¹⁴ Kommissionen för Innovativa Sär läkemedel, *Analys av TLV:s nya modell för att tillgängliggöra fler sär läkemedel i Sverige* (Kommissionen för Innovativa Sär läkemedel, 2025), <https://www.isl-forum.se/wp-content/uploads/2025/04/Analys-av-TLVs-nya-modell-for-att-tillgangliggora-fler-sar-lakemedel-i-Sverige.pdf>

¹⁵ Kommissionen för Innovativa Sär läkemedel, "Annual Tracker", *Kommissionen för Innovativa Sär läkemedel*, <https://www.isl-forum.se/annual-tracker/>

