SÄLLSYNTA DIAGNOSER
RARE DISEASES SWEDEN

Inlämnad v. **2019-05-03**

Socialdepartementet

Riksförbundet Sällsynta diagnosers svar på remissen:

# ”Slutbetänkande Tydligare ansvar och regler för läkemedel”

SOU 2018:89
S2019/00100/FS

## Vår slutsats: Ett beklämmande betänkande

– eftersom så lite hänt, under så lång tid, inom ett så livsviktigt område

För snart fyra år sedan besvarade vi remissen ”Läkemedel för djur, maskinell dos och sällsynta tillstånd – hantering och prissättning” (SOU 2014:87). De synpunkter och den kritik vi då framförde kan vi i princip upprepa på nytt, trots att det gått så lång tid. Detta efter att ha läst avsnitten om särläkemedel i det aktuella slutbetänkandet ”Tydligare ansvar och regler för läkemedel” (SOU 2018:89).

Vi hade hoppats på konstruktiva och konkreta förslag, med nya verktyg för att hantera denna ytterst komplexa fråga som debatterats i åratal. Vi är djupt bekymrade över att frågan om tillgång till - ofta livsnödvändiga - läkemedel fortfarande diskuteras med totalt fokus på kostnadsaspekten. Dessutom förutsatte vi att utredningen beaktat vikten av patientcentrerad och jämlik vård, i synnerhet då dessa grundpelare uttryckligen nämns i utredningens direktiv. Men dessa faktorer lyser tyvärr med sin frånvaro, vilket blev en stor besvikelse.

Ytterligare en dyster slutsats är att förståelse från utredarna saknas för hur patienterna upplever att de särbehandlas och förvägras behandling eftersom de har en sällsynt diagnos; till exempel att man som diagnosbärare och anhörig kan nekas tillgång till stoppmediciner för en dödlig sjukdom på grund av förhandlingar och administrativa processer som kan pågå i åratal.

**Vårt svar avser följande delar av betänkandet**

5. *”En ny ordning för statens bidrag för läkemedel”*, sidan 143
5.4 *”Utjämning av landstingens kostnader för läkemedel vid sällsynta sjukdomar”*, sidorna 173-183

5.6.3 *”Stöd vid användning av läkemedel vid sällsynta sjukdomar”* sidorna 198-200

12.5 *”Läkemedel vid sällsynta tillstånd”*, sidorna 401-412.

Landsvägen 50 A, plan 4
Box 1386
172 27 SUNDBYBERG

Kansli +46 (0)72-722 18 34

www.sallsyntadiagnoser.se
info@sallsyntadiagnoser.se

**Språklig kommentar:** I svaret använder vi ”särläkemedel” och ”läkemedel vid sällsynta sjukdomar” som synonyma begrepp.

**Våra allmänna synpunkter på särläkemedel**
Riksförbundet Sällsynta diagnosers generella utgångspunkt är att läkemedel ska betraktas som en självklar del av vården, precis som alla andra behandlingsinsatser. Därför ska särläkemedel inte uppfattas som en separat fråga för sig, skild från alla andra vårdinsatser. Detta gör det ännu märkligare, enligt vår åsikt, att en så tydlig ”prislapp” sätts på läkemedel vid sällsynta sjukdomar, eftersom det inte sker i andra vårdsammanhang.

Skulle det sägas exempelvis ”det blir för dyrt att göra en hjärtoperation på dig”, blev det ett ramaskri. I utredningen (sida 407) görs dock klart att: ”*Tillgången på läkemedel för sällsynta tillstånd i första hand ska förbättras genom att kostnaderna för de dyraste behandlingarna sänks, så att användningen kan öka.*”

Vi ser inte att en sådan särbehandling är förenlig med Hälso- och sjukvårdslagen (HSL) som slår fast att:

> ”*Målet med hälso- och sjukvården är en god hälsa och en vård på lika villkor för hela befolkningen. Vården ska ges med respekt för alla människors lika värde och för den enskilda människans värdighet. Den som har det största behovet av hälso- och sjukvård ska ges företräde till vården.*” (3 kap. 1 §)

Istället anser vi att vården bör följa den lagstadgade skyldigheten att erbjuda personer som har sällsynta diagnoser vård på lika villkor och, då behovet är stort, även företräde i vården. Detta innebär också tillgång till samma kvalitet på behandling och, enligt särläkemedelsförordningen, läkemedel av samma kvalitet och ändamålsenlighet som andra patienter.

Det är både beklämmande och betänkligt att det knappt har hänt något avgörande inom särläkemedelsområdet sedan slutet av 1990-talet, trots att denna fråga avhandlats åtskilliga gånger därefter, ibland med braskande rubriker som ”Prislapp på livet” etc.

**Specifika synpunkter**
Jämlik vård är något som ständigt påtalas och eftersträvas. Men här ser vi uppenbara risker med att detta ändå inte uppnås. Det finns flera orsaker till detta.

***Normer och nya verktyg saknas för bedömning och hantering***
Även om vi anser att särläkemedel inte bör få en särställning i diskussioner kring vårdkostnader, har vi förståelse för dilemmat med ofta kostsamma läkemedel och ibland oviss effekt på grund av att det per definition berör en liten grupp diagnosbärare. Här är vi mycket bekymrade eftersom vi inte ser några tydliga direktiv eller verktyg som kan hjälpa parterna att hantera denna frågan på ett överskådligt och transparent vis.

Risken är stor för att slumpen och tillfälligheter, snarare än de medicinska behoven, avgör hur frågan hanteras i det enskilda fallet, då entydiga normer och direktiv saknas. Denna brist ser vi som ännu svårare att acceptera eftersom det finns gångbara lösningar som framgångsrikt används av andra EU-länder, såsom till exempel att införa ett nationellt styrt, preliminärt

godkännande av särläkemedel på den svenska marknaden. Detta i kombination med en nära, individuell uppföljning för bedömning av läkemedlens effektivitet och åtföljande kostnadsbesparingar ur ett helhets-samhällsperspektiv.

Inte heller det nu aktuella slutbetänkandet från läkemedelsutredningen innehåller några tydliga verktyg för en transparent hantering av bedömning av kostnadseffektivitet för särläkemedel. Därför kommer denna livsavgörande fråga även i fortsättningen att besvaras från fall till fall. Detta genom långdragna resonemang och sega förhandlingar, med parter som hänvisar till varandra när inget händer. Detta sker dessutom separat i varje region och ökar ojämlikheten i behandlingen, orsakar långa väntetider som medför stort individuellt lidande för enstaka patientgrupper. Dessutom skapas oro och osäkerhet, både bland patienter och läkemedelsindustrin.

En tillkommande komplikation är att läkemedelsföretag måste ”inbjudas” för att kunna initiera processen att introducera ett särläkemedel.

***Kvalitetsregister för sällsynta diagnoser – finns endast i minimal omfattning***
Kvalitetsregister är ytterligare en metod för att underlätta uppföljning av särläkemedlen. Sådana register saknas i regel för sällsynta diagnoser, med enstaka undantag. Utredningen anger emellertid inga tillvägagångssätt för att skapa heltäckande kvalitetsregister för detta område.

***Alternativa samhällskostnader beaktas inte***
Vilka kostnader uppstår på andra ställen i samhället, när särläkemedel inte beviljas av kostnadsskäl och/eller för att medlens effekt anses vara för liten eller osäker? Detta borde utredningen ha beaktat och belyst. Men om bedömningarna av alternativa samhällskostnader görs på samma grund som för vanliga läkemedel medför detta svårigheter och stor osäkerhet i bedömningen av särläkemedel. Att inhämta statistik och fakta från en liten diagnosgrupp medför stora problem. Därmed blir beräkningen av samhällskostnaden inte säkerställd på ett adekvat vis.

Här är stuprörstänkandet en del av dilemmat. Berörda aktörer ser i regel endast till sin egen budget. Därtill har de själva inget att vinna på eventuella besparingar i andra delar av samhället som följd av att särläkemedel har getts till en diagnosbärare, exempelvis genom minskade kommunala utgifter, möjlighet att arbeta istället för att vara långtidssjukskriven, utebliven LSS-kostnad, färre operationer etc.

Utredningen borde ha gett förslag för att befrämja en helhetssyn på samhällsekonomin. Detta synsätt saknas som följd av den totala fixeringen vid läkemedelskostnaden per patient och år.

***Patientperspektivet saknas, vilket försvårar uppföljningen***
Detta patientperspektiv är framför allt betydelsefullt vid uppföljningen av särläkemedlens effekt, något som kan vara vanskligt att genomföra, då det handlar om små patientgrupper med stora variationer av sjukdomsförloppet, även inom en och samma diagnosgrupp. Därför behövs former för ett patientcentrerat arbete, så att patienternas expertis inom den egna diagnosen tas tillvara vid utvärderingar av läkemedlen.

Vi anser det som särskilt viktigt att patientgrupper får en tydlig schemalagd roll i alla steg och förhandlingar kring införandet och utvärdering av särläkemedlens kostnadseffektivitet. Det bör även ingå tydlig finansiell kompensation för inkludering av denna kompetens, precis som det är självklart för alla andra inblandade experter. Utredningen ger ingen vägledning för hur det ska uppnås.

***Finansiering efter forskningsstudie?***
Vem ska ansvara för finansiering av särläkemedel efter forskningsstudie, innan godkännande och subvention av TLV? Frågan lämnas obesvarad av utredningen. Denna fråga är dock oerhört viktig inte bara för patienterna, utan även för Sverige som forskningsattraktivt land. Nu är ”risken” att läkemedelskostnaden efter framgångsrik forskning hamnar på en klinik, vilket kan innebära att man avstår från forskning av rädsla för eventuella framtida kostnader.

***Statligt stöd – steg i rätt riktning, om än otillräckligt***
En nyhet var ändå att utredningen föreslagit ett statligt stöd ”vid höga kostnader för läkemedel vid sällsynta sjukdomar”. Syftet är att ”hantera höga kostnader för en begränsad grupp läkemedel för vissa landsting”. Men det framhålls nogsamt att detta ska vara ett fast totalbelopp som endast kan ändras om ”tungt vägande skäl föreligger”.

Ett sådant generellt stadsbidrag innebär dock inga garantier för användning av särläkemedel. Det föreligger därför en risk att användningen av särläkemedel kommer att minska, då regionerna inför sparåtgärder vid dålig ekonomi eller som följd av andra prioriteringar.

Motiveringen för detta hårda kostnadstak är ytterst svår att förstå, eftersom den går tvärt emot utredningens egen sammanställning av marknadsutvecklingen som, efter stimulering av EU förordningen (EG) 142/2000, ökar i betydligt högre takt än läkemedelsutvecklingen överlag. Denna utveckling innebär att allt fler livräddande läkemedel för sällsynta diagnoser kommer tas fram under de närmaste åren. Utredningens reaktion på detta, att med alla medel försöka stoppa denna förmodligen livsavgörande utveckling för många patienter med sällsynta diagnoser, är ett fasansfullt hån ur patientperspektivet. Det verkar oundvikligt att den föreslagna finansieringen inte kommer att räcka för de förväntade framtida läkemedelskostnaderna.

Ett nyinrättat läkemedelsråd – med regioner i samverkan – ska besluta vilka läkemedel som ska ingå, eller tas bort, från denna finansiering. Vi anser att initiativet som främjar samarbete mellan regionerna är ett steg i rätt riktning. Vi hade dock önskat oss ett ännu tydligare nationellt styre för att verkligen få stopp på de rådande ojämlikheterna över landet.

Vi befarar att osäkerheten kring denna punkt är stor, eftersom den nya funktionens ställning fortfarande är oklar. Det finns varken tydlighet kring detta nya råds mandat/makt eller dess verktyg för bedömning/mätning av kriterierna som ligger till grund för beslutsfattandet. Detta är även ett exempel på när brukarmedverkan ska ingå. Inriktningen för den planerade funktionen bör vara att uppnå bredare och djupare samverkan mellan samtliga berörda parter, för att förbättra tillgången på särläkemedel.

Det är dessutom oklart hur följande tre av utredningens uttalanden ska gå ihop och kunna säkerställa en säkrad framtida finansiering, samt på vilka ekonomiska analyser dessa antaganden är baserade:

- Marknadsandel av godkända särläkemedel kommer öka med 120 nya särläkemedel till år 2025 (se SOU 2018:89, sida 402)
- Läkemedelsrådet ska verka för att listan med särläkemedel som omfattas av statligt stöd ska utvecklas och inte vara en inaktuell lista, något som skedde under modellen av solidarisk finansiering (se SOU 2018:89, sidorna 175-177)
- Posten för finansiering av statligt stöd för landstingens kostnader för läkemedel vid sällsynta sjukdomar ska vara fast och kan inte öka under åren (se SOU 2018:89, sidorna 175-177).

***Hur stor är ökad betalningsvilja"? Var går smärtgränsen?***
I betänkandet nämns att "ökad betalningsvilja" kan finnas för läkemedel vid sällsynta sjukdomar, just på grund av sällsyntheten. Vår åsikt är att det visserligen är ett i grunden positivt resonemang, men för ospecifikt.

Pudelns kärna är och förblir: Hur mycket får ett särläkemedel maximalt kosta? Var går smärtgränsen? Vår uppfattning är att utredningen avstått från att besvara denna avgörande fråga. Snarare har den gått som katten runt het gröt, med formuleringar om omotiverat höga priser, antydningar om oskälig prissättning etc., trots att kostnadsaspekten är grundpelaren för utredningens resonemang.

Vår slutsats: På särläkemedelsfronten inte särskilt mycket nytt. Trots två års utredande. Pengarna tycks vara utgångspunkten, inte patienternas behandling och välmående. Om patienterna inte får godkända särläkemedel, vad är då syftet med lagstiftningen som ska befrämja just tillgången på sådana läkemedel?

**Våra kompletterande förslag**
Naturligtvis vill vi inte bara kritisera, utan även vara konstruktiva. Förutom det som redan nämnts om vikten av att beakta patientmedverkan, uppföljning, alternativa samhällskostnader etc. vill vi därför ge följande förslag:

- Läkare som förskriver särläkemedel bör ha mycket hög kompetens, både vad gäller diagnoserna och förutsättningarna för de enskilda patienterna.
- Därtill är det väsentlig att förskrivningen kompletteras med nationella riktlinjer och föreskrifter.
- För att inte hindra utvecklingen och framtagandet av innovativa läkemedel kan det vara motiverat att preliminärt godkänna särläkemedel med något lägre beviskrav, jämfört med andra läkemedel. I gengäld kan större uppföljningskrav ställas på särläkemedel.
- Det måste gå snabbare och enklare att få tillgång till särläkemedel i Sverige, vilka är godkända på den europeiska marknaden. Eftersom de hälsoekonomiska bedömningarna är svåra att ta fram för särläkemedel vill vi öka tillgång till särläkemedel

- utan ständigt förhalande – till exempel genom tillfälligt införande av ett godkänt läkemedel, som gör det möjligt att fastställa hur brett det kan användas och därefter göra en prisbedömning. Om det på långt sikt visar sig att ett preparat för en liten patientgrupp även har andra användningsområden än det ursprungliga, bör villkoren omförhandlas med automatik.

- Den solidariska finansieringen ska inte enbart gälla godkända läkemedel, utan också inbegripa kliniska studier. I nuläget riskerar en enda klinik tvingas bära hela kostnaden för forskningsstudier, vilket kan verka hämmande för forskningen och Sverige som ett Life-Science-land i framkant.

Med vänliga hälsningar

Riksförbundet Sällsynta diagnoser

Malin Grände,
kanslichef
mailto:malin.grande@sallsyntadiagnoser.se
070-332 68 78