

Digitalt förbundsårsmöte lördag 23 april 2022 – (Bilaga nr 5B)

## Motion från FAMY Norrbotten:

"Fokus på tillgängliggörande av nya innovativa terapier vid sällsynta diagnoser"

### Styrelsens förslag till beslut, med sammanfattning av motionen och kommentarer

Medlemsföreningen FAMY Norrbotten har lämnat en motion till årsmötet, med förslaget:

- **"Fokus på tillgängliggörande av nya innovativa terapier vid sällsynta diagnoser"**

Motionen har bifogats till årsmöteshandlingarna (bilaga nr 5A).

Motionären påtalar att framsteg inom forskningen medför att nya, innovativa läkemedel introduceras för behandling av ovanliga sjukdomstillstånd. Vidare påpekas att dessa behandlingar alltid blir dyra per individ och att den vetenskapliga dokumentationen om effekt är begränsad. Det medför att berörda myndigheter ofta avstyrker användning till drabbade personer i Sverige. Enligt motionen sker ingenting, om vi inte sätter tryck på beslutande politiker att förändra direktiv och uppdrag, för i första hand Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) och Rådet för nya terapier (NT-rådet).

Ett första krav är att patienter/patientföreträdare skall kunna ge synpunkter vid beslut om introduktion och tillgängliggörande av nya terapier.

#### Styrelsens kommentarer

Motionen har inkommit före utsatt tid. Förbundsstyrelsen har beaktat motionärens synpunkter och åtgärdsförslag.

Riksförbundet har länge arbetat med frågor kring nya terapier för sällsynta hälsotillstånd. Vi känner därför mycket väl till problematiken som motionären beskriver. Under 2021 medverkade vi exempelvis i följande sammanhang, relaterade till nya terapier och kostnaderna för/finansieringen av dessa:

- Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV), referensgrupp för regeringsuppdrag om precisionsmedicin: Medverkan i en utredning om nya tillvägagångssätt för prissättning av nya läkemedel. Arbetet pågår och vi håller kontakt med TLV.
- Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV), Nämnden för läkemedelsförmåner.

Därtill efterfrågar Sveriges Kommuner och Regioner (SKR), med NT-rådet, vår kompetens inom området och vi samarbetar med SKR i varierande sammanhang.

# SÄLLSYNTA "DIAGNOSER" RARE DISEASES SWEDEN

Vi följer således utvecklingen inom området nya terapier. Då påtalar vi vad som måste beaktas, utredas och åtgärdas med tanke på personer som har sällsynta hälsotillstånd.

Vidare har vi kontakter med Lif – de forskande läkemedelsföretagen, angående denna fråga. Lif hade tidigare en "orphan drugs-grupp" för sällsynta läkemedelsföretag, där vi kunde delta. Gruppen finns dock inte kvar, men vi har efterfrågat en ny motsvarande arbetsgrupp, som ett forum för våra medlemsföreningar och Lif:s sällsynta läkemedelsföretag. ("Orphan drugs" är den engelska benämningen för sällsynta läkemedel.)

Vi har också informationsutbyte med Kommissionen för innovativa sällsynta läkemedel, om nya terapier.

Därtill samarbetar vi med några andra funktionsrättsförbund som också berörs av denna problematik, främst Nätverket mot Cancer och Riksförbundet Cystisk fibros.

Vi har även, genom motionsunderlag, bidragit till att problemkomplexet kring nya terapier för sällsynta hälsotillstånd uppmärksammas i riksdagsmotioner. Exempel: i motionen "[Liberal läkemedels- och apotekspolitik](#)", av Lina Nordquist m.fl. (L), föreslås bland annat följande:

*"För en del allvarliga och mycket sällsynta tillstånd finns ingen fungerande behandling. Samtidigt är de svårt sjuka patienterna så få att det tar oerhört lång tid att samla data om möjliga behandlingar. Vi anser att det behövs ett mellanläge mellan klinisk prövning och godkänt läkemedel, ett sällsynt godkännande, där säker och lovande behandling får ordinerats under strikt övervakning och noggrann insamling av hälsodata."*

Vår europeiska arbetsorganisation EURORDIS är också sedan länge verksam inom området nya terapier/[Orphan drugs](#).

Vi har fortlöpande kontakter med EURORDIS, bland annat inför Sveriges EU-ordförandeskap 2023, då vi vill få fokus på sällsynta hälsotillstånd.

Styrelsen vill dock framhålla att Riksförbundet arbetar ur ett helhetsperspektiv. Nya terapier är en del av helheten, en av flera intressepolitiska frågor. Långt ifrån alla medlemsföreningar berörs av denna problematik, eftersom behandlingar saknas för många sällsynta hälsotillstånd. Främst med tanke på detta, anser styrelsen att Riksförbundet inte har möjlighet att göra ännu mer inom området nya terapier.

Men givetvis ser styrelsen gärna ökat engagemang från medlemsföreningar i denna fråga. Ett sådant "internt föreningssamarbete" kring nya terapier pågår. Fem medlemsföreningar (Svenska MPS-föreningen, Svenska FOP-föreningen, Svenska PKU-föreningen, Fabryföreningen i Sverige och XLH Svenska Patientföreningen) har, tillsammans med två läkemedelsbolag (Amicus och BioMarin), tagit initiativ till en [kampanj](#) för att få ändring i reglerna och processen kring hur läkemedel för sällsynta diagnoser införs i Sverige.

Flera sådana initiativ välkomnas av styrelsen!

**SÄLLSYNTA  
"DIAGNOSER"**  
RARE DISEASES SWEDEN

Styrelsens förslag till beslut till årsmötet

Att motionen från FAMY Norrbotten därmed anses vara besvarad.