

5 september 2023

Svaret på remiss om EU-läkemedelslagstiftning: Kommissionens förslag på förordning och direktiv om humanläkemedel

Dnr Remiss: S2023/01768

Remissinstans:

Riksförbundet Sällsynta diagnoser, Box 1386, 17227, Sundyberg, info@sallsyntadiagnoser.se

Riksförbundet Sällsynta diagnoser representerar 16.000 medlemmar och närmare 200 olika sällsynta hälsotillstånd. Vi arbetar för att alla personer i Sverige som lever med sällsynta hälsotillstånd ska ha tillgång till bästa vård, stöd och behandling.

Sammanfattning

Riksförbundet Sällsynta diagnoser välkomnar EU kommissionens initiativ att revidera EU:s läkemedelslagstiftning och instämmer med den föreslagna direktivets och förordningens fem huvudmål.

Tydligt ställningstagande

I vårt svar kommer vi fokusera på följande tre av fem målen i förslaget för reviderad EU läkemedelslagstiftning:

1. Säkerställa att alla patienter i EU får snabb och rättvis tillgång till säkra och effektiva läkemedel till rimligt pris.
2. Förbättra försörjningstryggheten och säkerställa att patienter alltid har tillgång till läkemedel, oavsett var i EU de bor.
3. Erbjudna en attraktiv, innovations- och konkurrenskraftsvänlig miljö för forskning, utveckling och produktion av läkemedel i Europa.

En generell kritik vi vill framföra är att en anpassad version av EU Kommissionens förslag på förordning och direktiv om humanläkemedel borde tagits fram för patientorganisationer, inte minst ett förtydligande av de ställen i dokumentet där patientmedverkan nämns. Den sammanfattning som finns i form av ett "factsheet" förmedlar en första överblick för den intresserade allmänheten men är otillräckligt för att kunna ge en djupare återkoppling på förslagen.

1. Säkerställa att alla patienter i EU får snabb och rättvis tillgång till säkra och effektiva läkemedel till rimligt pris

Riksförbundet Sällsynta diagnoser välkomnar EU:s reformförslag för läkemedelslagstiftningen avseende snabbare och mer rättvis tillgång till effektiva läkemedel till rimligt pris. Vi delar kommissionens bild på brister, behov av anpassning och reformförslagets målformulering

Följande punkter vill vi lyfta som särskilt viktiga

Riksförbundet Sällsynta diagnoser välkomnar det tydliga ställningstagande och stöd för snabbare processer som förhoppningsvis leder till snabbare marknadstillträde.

Särskilt välkomnar vi tydliga incitament för **gemensam upphandling** medlemsländerna emellan och särskilt för sär läkemedel, som förtydligas i EU kommissionens förslag till ny läkemedelslagstiftning, direktiv COM(2023) 192, punk 49, sida 29.

Andra delar i direktivet som vi ser som viktiga incitament i sammanhanget är:

- möjligheten till **elektronisk ansökan om marknadstillträde** EU Direktiv COM(2023) 192, Article 6, punk 1, sida 55.
- Försäkran att medlemsländerna bör **behandla ansökan om marknadstillträde inom 180 dagar**. EU Direktiv COM(2023) 192, Article 30, sida 70.

Vi välkomnar att **särläkemedel per automatik klassas som behandlingar för icke tillgodosedda behov** (unmet medical need), se EU Direktiv COM(2023) 192, artikel 83, sida 101.

Följande punkter ställer vi oss kritiska till

Överlag hade vi velat se tydligare incitament för **strukturerat, tidigt samarbete mellan alla relevanta nyckelaktörer**, d.v.s (1) kliniska experter från nätverk resulterande av EU:s forskningsstödprogram så som Europeiska referensnätverk (ERN), International Rare Diseases Research Consortium (IRDIRC) och Rare Disease partnerships, (2) patientrörelse, (3) HTA experter, (4) ”payers”, (5) regulatoriska myndigheter, (6) företag.

I detta krav är vi enstämmiga med våra europeiska systerorganisationer EURORDIS¹ och EPF².

¹ <https://www.eurordis.org/publications/eurordis-proposal-on-the-revision-of-the-orphan-medical-products-and-paediatric-regulation/>

² <https://www.eu-patient.eu/contentassets/df1fab825da414aa4230a7abb1e1208/20230712-epf-recommendations-on-the-pharmaceutical-legislation.pdf>

SÄLLSYNTA "DIAGNOSER" RARE DISEASES SWEDEN

Incitament för *samarbete enligt ovan hade vi velat se* till exempel i följande delar av EUs läkemedelslagstiftnings reformförslag:

- Bedömning av och möjlighet att föreslå *generiska läkemedel, biosimilarer och repurposing* av befintliga behandlingar,
- Möjlighet att *lyfta behov att lansera produkter i EU-medlemsländer* där stort behov finns (high unmet needs),
- Möjlighet att *bidra till rapportering av brist på tillgång till läkemedel*,
- Möjlighet att *bidra till definition av icke tillgodosedda behov* (unmet medical need),
- Inom det föreslagna stödet från EMA för ansökande och läkemedelsutvecklare som ska leda till snabbare godkännande av lovande, innovativa läkemedel för exceptionella terapeutiska framsteg och/eller icke tillgodosedda behov,
- För ökad *möjlighet att bidra med "real world data"* till framtagande, godkännande och uppföljning av läkemedel för exceptionella terapeutiska framsteg och/eller icke tillgodosedda behov.

Processen för *definition av icke tillgodosedda behov* (unmet medical need) beskrivs detaljerad i EU Direktiv COM(2023) 192, punk 50, sida 29 – 30. Här hade vi önskat en *process som tydligt kräver samarbete med alla nyckelaktörer*. Se exempel för sådan process nedan för ett sällsynt hälsotillstånd:

- Diagnosspecifik, multiprofessionell referensgrupp sammanställs vid planerad framtagande av läkemedel, där patientorganisationer, klinisk verksamhet från Europeiska Referensnätverk, EUs Rare Disease Partnership program, HTA experter, "regulators and payers" ingår.
- Referensgruppen bidrar i följande steg i processen:
 - definition av icke tillgodosedda behov (unmet medical need)
 - bedömning vid "market authorisation"
- Referensgruppen bidrar med följande expertis:
 - Kunskap om hälsotillståndet och kunskap om vilka brister som finns,
 - Synpunkter på befintligt dataunderlag och behov av till exempel kliniska register
 - Data till och möjlighet att genomföra "natural history studies"
- I processen ingår
 - Formulering av tydliga krav till sökande av tillstånd (för godkännande av läkemedel) om att samarbeta med patient-, och civilsamhällets rörelse,
 - Tydliga anvisningar och stöd för att bygga upp ett framgångsrikt och långsiktigt samarbete med patient- och civilsamhällets rörelse.

Utöver befintliga incitament för utveckling av behandlingar som bemöter icke tillgodosedda behov (unmet medical need), hade vi velat se **specifikt stöd och tydliga incitament för behandlingsutveckling för ultra sällsynta hälsotillstånd**, d.v.s tillstånd med lägre prevalens än de 400 vanligaste sällsynta tillstånd. En tydlig koppling till europeiskt forskningsstödprogram som ERN, IRDIRC och RD partnerships hade varit av ytterligare betydelse.

Vidare hade vi velat se att resurser erbjuds till exempel i form av ett **stöd till register** för insamling av "real world evidence".

Vi hade dessutom velat se att reformförslagen efterfrågar en **tidig dialog över landsgränser mellan alla relevanta parter**, vårdprofessionen, patientrörelsen, beslutsfattare, företag, EMA, regulatoriska myndigheter och finansiärer.

Förutom ovan, **önskar vi ett förtydligande om krav på lansering i alla medlemsländer även kommer att ställas på generika**. Det är en ytterst viktig förutsättning för att säkerställa tillgång till befintlig behandling för patienterna.

2. Förbättra försörjningstryggheten och säkerställa att patienter alltid har tillgång till läkemedel, oavsett var i EU de bor.

Riksförbundet Sällsynta diagnoser välkomnar EU:s läkemedelslagstiftnings reformförslag avseende snabbare mer **rättvis tillgång till effektiva läkemedel oavsett var i EU man bor**. Vi delar kommissionens bild på behov av tydligare incitament för företagen att göra läkemedel tillgängliga i alla medlemsländer liksom kommissionens ökade befogenheter för anpassning av läkemedelstillverkning och -distribution och EMA:s samordnande roll i övervakning av läkemedelsförsörjningen.

3. Erbjud en attraktiv, innovations-och konkurrenskraftsvänlig miljö för forskning, utveckling och produktion av läkemedel i Europa

Riksförbundet Sällsynta diagnoser välkomnar EU's läkemedelslagstiftnings reformförslag avseende **ökat stöd för utveckling av lovande läkemedel** i form av ökat stöd och rådgivning från EMA för ansökande och läkemedelsutvecklare.

Följande punkter ställer vi oss kritiska till

Liksom våra kommentarer till punkt 1. "Säkerställa att alla patienter i EU får snabb och rättvis tillgång till säkra och effektiva läkemedel till rimligt pris" hade vi även under denna punkt velat se **tydligare incitament för strukturerat, tidigt samarbete mellan alla relevanta nyckelaktörer**, d.v.s (1) kliniska experter från nätverk resulterande av EUs forskningsstödprogram, d.v.s. Europeiska referensnätverk (ERN), International Rare Diseases Research Consortium (IRDIRC), Rare Disease partnerships, (2) patientrörelse, (3) HTA experter, (4) "payers", (5) regulatoriska myndigheter, (6) företag.

Vi hänvisar till våra förslag under punkt 1 även i detta sammanhang.

Ytterligare punkter vi hade velat se som del i reformförslaget

- Att EMA kräver från sökande företag att **informera om läkemedels "added therapeutic value"** som helst tas fram i samråd med patientrörelsen. Detta för att få en bättre överblick över läkemedlens möjligheter till "compassionate use", ett område av stor potential för sällsynta hälsotillstånd där det finns behandling för bara uppskattningsvis 5 procent av alla mer än 8 000 sällsynta diagnoser.
- Tydliga krav på att **inkludera "patient-relevant outcome measures"** (PROM) and **"patient relevant experience measures"** (PREM) i marketing authorisation dossier.

Med vänliga hälsningar



Maria Westerlund
Förbundsordförande

maria.westerlund@sallsyntadiagnoser.se