



Kommentar till TLVs delrapportering av regeringsuppdraget om säräkemedel

Lif har med stort intresse läst rapporten *Uppdrag att analysera och föreslå hur patienternas tillgång till läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar kan stärkas*. Det är värdefullt att TLV kompletterar tidigare analyser från regionerna och Lif. Det är dock oroväckande att myndigheten övergripande sammanfattar analysen med att dagens system i många delar fungerar väl. Det står i skarp kontrast till uppdragets bakgrund i riksdagens tillkännagivande om att regeringen bör ta fram en särskild nationell strategi och en särskild finansiering för att säkerställa att patienter i hela landet får tillgång till läkemedel mot sällsynta sjukdomar.

En förklaring till diskrepansen kan vara att analysen har ett tydligt inifrånperspektiv. Andra aktörers perspektiv saknas i stor utsträckning. Det viktigaste perspektivet är givetvis patienternas, vilkas möjlighet till behandling direkt påverkas av TLVs förmånsbeslut och NT-rådets rekommendationer. Även läkemedelsföretagens förutsättningar att verka i Sverige påverkas i stor utsträckning av myndighetens och regionernas arbete.

Delrapporten ger dock en möjlighet att kommentera och ge inspel så att myndigheten kan ta med ytterligare aspekter i det fortsatta arbetet med regeringsuppdraget. Under rubriken *Nästa steg i uppdraget* lyfter myndigheten frågan om på vilket sätt företagen kan bidra till ett effektivt ansökningsförfarande. För att kunna besvara frågan behövs mer kunskap om företagsperspektivet och därför lämnar Lif nedanstående kommentarer.

Kommentarer

TLV:s och NT-rådets handläggning påverkar läkemedelsföretagens beslut

TLV rapporterar att omkring två tredjedelar av säräkemedlen omfattas av läkemedelsförmånen eller har en positiv rekommendation från NT-rådet. Därmed bortses det ifrån att läkemedelsföretagen inte tillhandahåller 39 av de sammanlagt 145 säräkemedel - som hittills godkänts av europeiska läkemedelsmyndigheten EMA - på den svenska marknaden. Det framgår inte av analysen om företagen som står bakom dessa säräkemedel även beslutat att inte ansöka om läkemedelsförmån eller om regionerna inte prioriterat säräkemedlet för nationell samverkan. De [analyser som Lif publicerat](#) visar att det är fallet för minst hälften av alla typer av läkemedel som inte tillhandahålls. De 39 säräkemedel som inte tillhandahålls utgör – tillsammans med de 33 säräkemedel med fått avslag, negativ rekommendation eller dragits tillbaka av företaget – hälften av de 145 säräkemedel som omfattas av analysen. Det går dock inte att utläsa om det betyder att hälften av läkemedlen inte är tillgängliga eller om det blir en dubbelräkning.

Det saknas en analys av orsakerna till att läkemedelsföretagen för drygt vart fjärde säräkemedel väljer att avstå från att tillhandahålla det på den svenska marknaden. Regionerna nämner i ett kunskapsunderlag att det i vissa fall saknas patienter med behov av behandling. Det hade bidragit med viktig kunskap om TLV analyserat för hur många säräkemedel som det faktiskt saknas patienter i Sverige. Andra orsaker har belysts i Läkemedelsutredningens slutbetänkande *Tydligare ansvar och regler för läkemedel (SOU 2018:89)* där tabell 2 i bilaga 10 redovisar att den vanligaste orsaken var att läkemedelsföretagen för hälften av



särläkemedlen bedömde att den svenska betalningsviljan var för låg. Utredningens analys utgick från de analyser som Lif gör löpande och i den [senaste rapporten](#) (läkemedel godkända 2018-2020) angav de läkemedelsföretag som inte planerade att tillhandahålla läkemedlet i Sverige att företaget saknade resurser och/eller närvaro i Sverige samt att möjligheten att få ett positivt förmånsbeslut eller NT-rekommendation bedömdes vara låg.

Den svenska betalningsviljan, läkemedelsföretagens bedömning av att kunna lyckas i TLVs utvärdering och hur enkelt det svenska systemet uppfattas är alla frågor som TLV råder över.

Analysens myndighetsperspektiv avspeglas i att avslagna och avskrivna ärenden slagits ihop. För företag är det olika beslut att låta ett ärende att gå till ett publikt avslag för möjligheten att få beslutet prövat i domstol eller att dra tillbaka ansökan för att undvika att TLV:s hälsoekonomiska värderingen påverkar värderingen i andra länder eller att informationen om det ansökta priset blir publikt. En närmare analys av företagets agerande när det står klart att ansökningar kommer att bifallas hade bidragit med viktig kunskap.

Skillnaden i läkemedelsföretagets och myndighetens antaganden

De analyser som TLV presenterar fokuserar på patientnytta (QALY) och kostnadseffektivitet (ICER). Det framgår dock inte tydligt och konsekvent om det som redovisas är beräkningarna som läkemedelsföretagen ansökt med eller de justerade beräkningarna som TLV baserat sina beslut på.

Enligt läkemedelsförmånslagen ska sökanden visa att villkoren enligt 15 § är uppfyllda och lägga fram den utredning som behövs. Den utredningen omfattar en hälsoekonomisk analys som baseras på företagets antaganden. I många fall innebär TLV:s handläggning av läkemedelsföretagets ansökan att myndigheten gör andra antaganden. Eftersom det är okänt om företagets eller myndighetens antaganden är de mest korrekta hade det bidragit med viktig kunskap om TLV närmare beskrivit skillnaderna mellan företagets och myndighetens ICER.

Vid beräkningen av kostnadseffektivitet (ICER) är det ansökta priset givet. Antagandena gäller till stor del de kliniska läkemedelsprövningar eller andra studier som legat till grund för särläkemedlets marknadsföringsgodkännande. Det hade bidragit till viktig kunskap om myndigheten närmare beskrivit om den låga eller osäkra patientnytta som nämns i 3.3.8 beror på att företaget inte gjort de studier som kan förväntas eller om det finns etiska och/eller praktiska skäl till att oblandade kliniska studier utan kontrollgrupp används och att kliniska studiedata för långtidseffekten saknas.

Beräkningen av kostnadseffektivitet (ICER) påverkas också av valet av jämförelsealternativ. Särläkemedel är enligt EU:s definition läkemedel där det inte finnas någon annan godkänd metod för att diagnostisera, förebygga eller behandla det aktuella tillståndet som ger likvärdig nytta. Jämförelsealternativet blir därför ofta bästa omvårdnad vilket är en insats som har låg effekt och låga kostnader och som sällan är hälsoekonomiskt utvärderad. Det hade bidragit med viktig kunskap om TLV analyserat i vilken grad som denna aspekt förklarar skillnader i företagets och myndighetens antaganden i den hälsoekonomiska analysen och därmed sannolikheten för ett positivt beslut av TLV eller NT-rådet.

Läkemedelsföretagens förståelse av det svenska systemet

I rapporten beskrivs att regioner valt att använda 15 av 23 särläkemedel för vilka förmånsansökan avslagits eller dragits tillbaka av företaget. Regionerna har därmed gjort en



annan bedömning än TLV och troligen använt det särskilda statsbidraget för att betala för användningen genom den möjlighet till individuella undantag som finns i överenskommelsen mellan staten och regionerna. För läkemedelsföretag är det svårt att förutse om ett sär-läkemedel kommer att användas på detta sätt och om företaget har möjlighet att påverka sådan användning. Det hade bidragit med viktig kunskap om TLV närmare analyserat i vilka situationer som negativa förmånsbeslut och regionala beslut om individuell användning är ändamålsenliga och om hanteringen är förenlig med att myndigheten i uppdraget ska beakta patienternas tillgång till behandling och jämlik vård över hela landet.

Företagens möjlighet att teckna avtal

Förhandlingar beskrivs vara ett viktigt verktyg för att kunna tillgängliggöra sär-läkemedel. I Figur 8 tydliggörs att regionernas beslut om att delta i trepartsöverläggningar har en direkt effekt på myndighetens beslut. Med trepartsöverläggning bifalls två tredjedelar av ansökningarna jämfört med att mer än 80 procent av ansökningarna avslås om läkemedelsföretaget begärt men regionerna inte beviljat trepartsöverläggning. Sammantaget har läkemedelsföretaget begärt trepartsöverläggning för tre av fyra ansökningar och regionerna har beviljat varannan av dessa. Det hade bidragit till viktig kunskap om TLV närmare analyserat vad som karaktäriserar de läkemedel där regionerna medgivit trepartsöverläggningar samt motiveringar till att trepartsöverläggningar inte beviljats av regionerna samt i vilken utsträckning det riskerar att påverka konkurrensen i de fall det tillkommer nya sär-läkemedel för samma sjukdom.

Figur 8 visar även att TLV avslår eller att företaget drar tillbaka ansökan för en tredjedel av ärendena där regionerna beviljat trepartsöverläggningarna men det saknas en beskrivning av om orsaken är att regionerna och företagen inte ingått ett avtal eller om det tänkta avtalet inte bedömdes vara tillräckligt för att TLV skulle kunna bifalla ansökan.

Förhandlingar är även ett viktigt verktyg för att uppfylla förutsättningen att myndighetens samlade förslag till handlingsvägar inte ska ge staten ökade kostnader. En analys av hur befintliga avtal bidragit till att minska statens kostnader för sär-läkemedel hade därför bidragit till viktig kunskap.

Användning av tillgängliga verktyg och myndighetens tidigare analyser

Lagen om läkemedelsförmåner ger TLV möjlighet att besluta att ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna endast för ett visst användningsområde (förmånsbegränsning) och även att beslut kan förenas med andra särskilda villkor. Det hade bidragit med viktig kunskap om TLV analyserat i vilken utsträckning som myndigheten använt sig av dessa verktyg för att kunna bifalla förmånsansökningar för angelägna sär-läkemedel.

Betalningsviljan är ytterligare ett verktyg som myndighetens nämnd och NT-rådet förfogar över. Sverige skiljer sig från andra länder med värdebaserad prissättning genom att betalningsviljan inte är reglerad. Av rapporten framgår att TLV vanligen accepterar en ICER på omkring 1 miljon kronor för läkemedel som är avsedda att behandla tillstånd av mycket hög svårighetsgrad samt att 70 procent av de analyserade sär-läkemedlen hade en ICER över 1 miljon kronor. Vidare beskrivs att den högsta ICER som TLV accepterat i ett förmånsbeslut är 2 miljoner kronor. Lif saknar en fördjupad beskrivning av hur myndighetens tidigare grundliga arbete med betalningsviljan för sär-läkemedel (Gauscher) påverkat praxis vad gäller betalningsviljan. En analys av hur betalningsviljan utvecklats över tid skulle bidra med viktig kunskap liksom en



jämförelse med andra samhällssektorer, t. ex. Trafikverkets höjning av värdet av ett statistiskt liv (2018).

TLV har i annat regeringsuppdrag belyst möjligheten att väga in negativa konsekvenser av att vänta med introduktion av ett nytt läkemedel för att hantera osäkerhet. Det hade bidragit till viktig kunskap om TLV analyserat hur ett sådant förhållningssätt hade påverkat de beslut som myndigheten och NT-rådet fattat i de fall det helt saknas behandlingsalternativ och ett negativt beslut riskerat att leda till allvarliga medicinska konsekvenser för berörda patienter.

Övriga kommentarer

- Analysen är delvis svår att bedöma eftersom väldigt få jämförelser görs med andra/alla typer av läkemedel. Det framgår att omkring 60 procent av förmånsansökningarna för säräkemedel bifölls vilket var 20 procent lägre än för läkemedel som inte var säräkemedelsklassade vilket visar på värdet av sådana jämförelser.
- Analysen ger en ögonblicksbild men beskriver inte hur myndighetens beslutsfattande eventuellt har förändrats över tid. Vad gäller handläggningstiderna hänvisas främst till regionernas analys men antalet ansökningar som krävts innan bifall beskrivs för de säräkemedel som inkluderats i läkemedelsförmånen. Det är trots det svårt att få en tydlig bild av hur lång tid det kan ta innan en ansökan bifalls om den tiden är längre för säräkemedel.
- Både regionerna och Lif har i sina respektive analyser använt en uppdelning i onkologiska säräkemedel och icke-onkologiska säräkemedel och identifierat skillnader mellan dessa grupper. TLV gör inte samma uppdelning men det beskrivs att cancer är en tredjedel av säräkemedlen men står för hälften av säräkemedelskostnaden vilket visar att en sådan uppdelning hade kunnat bidra med viktig kunskap. Båda graferna i Figur 3 förefaller dock vara samma.
- En förutsättning för uppdraget till TLV är att myndighetens samlade förslag till handlingsvägar inte ska ge staten ökade kostnader för läkemedel jämfört med dagens system. Det hade bidragit till viktig kunskap om myndigheten gjort en ansats att bedöma risken för ökade kostnader och den eventuella omfattningen.