

Ett samlat åtgärds paket för att förbättra tillgången till läkemedel för patienter med sällsynta sjukdomar

Bakgrund och behov

Läkemedelsutredningen har visat att tillgången på sär läkemedel i Sverige är genomsnittlig i ett europeiskt perspektiv. I andel sär läkemedel som når patienterna ligger Sverige på elfte plats av 26 länder med 42 procent av de sär läkemedel som blev EMA-godkända 2014–2016 tillgängliga 2017. Vad gäller tiden från EMA-godkännande till patienttillgång så är 13 europeiska länder snabbare än Sverige enligt samma undersökning.

Regeringen stödjer regionernas utveckling av nationell samordning för att stärka området sällsynta sjukdomar. Målsättningen är att skapa ökade förutsättningar för en god, jämlik och tillgänglig vård med patienten i centrum när det gäller vård och behandling av personer med sällsynta sjukdomar. I de fall som det finns läkemedelsbehandling att tillgå kan det vara en viktig del i vården av patienten. Regeringsstödet till regionerna för sällsynta sjukdomar omfattar dock inte läkemedelsområdet trots att det finns problem i processen för introduktion av läkemedel för sällsynta sjukdomar som försvårar tillgången till behandling för dessa ofta svårt sjuka patienter.

Ojämnt fördelade kostnader över landet

Användningen av läkemedel vid sällsynta sjukdomar innebär ofta stora kostnader per behandlad patient. Då dessa sjukdomar kan vara ojämnt fördelade mellan regionerna kan det medföra särskilda utmaningar för mindre regioner. Det innebär en risk för ojämlig tillgång till läkemedel för patienter med sällsynta sjukdomar. Läkemedelsutredningen konstaterade att modellen för solidarisk finansiering, som regleras inom ramen för överenskommelsen mellan staten och regionerna om statens bidrag till regionerna för läkemedelsförmånens kostnader, måste utvecklas och hanteras mer aktivt. Därtill menar utredningen att den solidariska finansieringen måste omfatta inte bara läkemedel som ingår i förmånerna utan även klinikläkemedel. Mot bakgrund av den snabba introduktionen av nya läkemedel och att det på senare år har introducerats många nya läkemedel för sällsynta sjukdomar är det också viktigt att modellen hela tiden kan hållas aktuell för att säkerställa att patienter kan få tillgång till nya läkemedel för sällsynta sjukdomar.

Otydliga processer kan medföra problem för läkemedel för sällsynta sjukdomar

Nuvarande otydliga och i stort sett oreglerade processer för ordnat införande av läkemedel skapar stor osäkerhet för läkemedelsföretag och patienter om vad som gäller vid introduktion av läkemedel på den svenska marknaden. Det innebär därför en risk att företagen avvaktar med att lansera läkemedel i Sverige. Läkemedelsutredningen har visat att en upplevd låg betalningsvilja och komplicerade processer har inneburit att läkemedel för sällsynta sjukdomar inte har lanserats i Sverige.

Nuvarande processer för ordnat införande är svåra att förstå för större företag som lanserar många produkter men det är ännu svårare för de ofta mindre företag som introducerar läkemedel för just sällsynta sjukdomar. Dessa företag har kanske inte ens representation i

Sverige. Läkemedelsutredningen har visat att läkemedel för sällsynta sjukdomar inte alltid tas upp till förhandling om avtal med eventuell efterföljande rekommendation trots att kostnaden per patient kan vara mycket hög. En orsak är att läkemedlen sällan identifieras i regionernas horisontspaning och det har därmed inte heller gjorts en tidig bedömningsrapport för läkemedlet. En annan orsak är att den totala budgetpåverkan av läkemedlet är låg och därför prioriteras läkemedlet i fråga inte för ordnat införande eftersom resurserna som är avsatta för att hantera denna process är begränsade. Läkemedel för sällsynta sjukdomar riskerar därför att hamna mellan den nationella processen och den regionala processen för införande vilket leder till en onödig fördröjning för patienterna.

Det är oklart vilket regelverk som handläggningen och hanteringen av ärenden inom ramen för ordnat införande faller under. Förvaltningslagen (2017:900, FL) ställer bland annat krav på effektiv och säker ärendehandläggning, partsinsyn och beslutsmotivering samt föreskriver om serviceskyldighet och förbjuder jäv. Ett problem är emellertid att det är oklart om förvaltningslagen behöver tillämpas på processen för ordnat införande. Trots avsaknaden av en formell reglering av processen finns det inget som hindrar att arbetet ändå bedrivs utifrån förvaltningsrättsliga principer. Idag försvåras det dock av en resurs- och kapacitetsbrist hos nuvarande organisation.

Möjlighet

Arbetet med att förbättra vården för patienter med sällsynta sjukdomar måste ske genom att staten och regionerna tar ett gemensamt ansvar utifrån en helhetssyn där både finansieringen och processerna för introduktion av läkemedel för sällsynta sjukdomar ingår.

Under senare tid har det skett lovande utveckling kring handläggningen av vissa läkemedel för sällsynta sjukdomar, där kliniska experter har involverats på ett strukturerat sätt. Det är en utveckling som bör stödjas och utvecklas vidare till en tydlig modell.

Läkemedelsutredningen lämnade förslag om att utveckla modellen för solidarisk finansiering av läkemedel för sällsynta sjukdomar. Förslaget är att modellen bara ska omfatta läkemedel som har bedömts som kostnadseffektiva på nationell nivå. Det ställer krav på stärkt kapacitet i processen för ordnat införande så att alla företag med läkemedel för sällsynta sjukdomar ges samma möjlighet att genomföra eventuella förhandlingar som kan krävas för att uppfylla kraven för att ingå i läkemedelsförmånen.

Mot bakgrund av att regeringen stödjer och har en gemensam målsättning med regionerna att utveckla en nationell samordning av vården för patienter med sällsynta sjukdomar så är det rimligt att staten även stödjer processen för ordnat införande av läkemedel för sällsynta sjukdomar. Även om det i dagsläget är otydligt vilket regelverk som är tillämpligt på processen för ordnat införande är det rimligt att eftersträva att förvaltningsrättsliga principer följs. Med tanke på den snabba utvecklingen av läkemedel för sällsynta sjukdomar går det inte att invänta att en eventuell reglering av processerna för ordnat införande är på plats

Förslag

En pragmatisk väg framåt för att stärka tydlighet och förutsägbarhet i processerna samt minska den ojämlika ekonomiska påfrestningen bland regionerna för läkemedel för sällsynta sjukdomar är att staten utökar stödet till regionerna för att utveckla nationell samordning av vården för patienter med sällsynta sjukdomar så att även en samordning på läkemedelsområdet ingår samt att den solidariska finansieringen för läkemedel utvecklas:

- Staten och SKR enas inom ramen för överenskommelsen om statens bidrag till regionerna för kostnaderna för läkemedelsförmånen om att utveckla den solidariska finansieringen för läkemedel för sällsynta diagnoser i likhet med Läkemedelsutredningens förslag.
- Staten finansierar uppbyggnaden och driften av ett formellt kansli inom SKR i syfte att ordnat införande-processen ska hanteras enligt förvaltningsrättsliga principer och att öka antalet läkemedel för sällsynta sjukdomar som hanteras inom ramen för ordnat införande.