

Socialdepartementet  
[s.registrator@regeringskansliet.se](mailto:s.registrator@regeringskansliet.se)  
[s.fs.registrator@regeringskansliet.se](mailto:s.fs.registrator@regeringskansliet.se)

Stockholm den 17 juni 2015

## Remissvar: Slutbetänkande Läkemedel för djur, maskinell dos och sällsynta tillstånd – hantering och prissättning (SOU 2014:87)

Dnr S2014/9003/FS

Läkemedelsindustriföreningen (LIF) har genom remiss den 2 mars 2015 beretts möjlighet att lämna synpunkter på Läkemedels- och apoteksutredningens slutbetänkande *Läkemedel för djur, maskinell dos och sällsynta tillstånd – hantering och prissättning (SOU 2014:87)*.

LIF avser att lämna separata remissvar för de tre delarna – handel med läkemedel för djur, maskinell dosdispensering och sär-läkemedel. I detta remissvar lämnas synpunkter på sär-läkemedelsdelen.

### Sammanfattning

- Det behövs en ny modell för subventionering av läkemedel för sällsynta sjukdomar då det har visat sig att befintlig modell inte är anpassad för denna grupp av läkemedel. En ny modell skulle kunna bidra till att öka behövande patienters tillgång till de mest avancerade behandlingarna.
- De synpunkter LIF lämnar nedan utgår från behovet av att knyta an till EU:s reglering för sär-läkemedel och Rådets rekommendation att alla medlemsstater ska ha en plan för sällsynta sjukdomar, något som fortfarande saknas i Sverige.
- LIF:s utgångspunkt är att det behövs en sammanhållen – men flexibel – värdebase-rad prissättningsmodell som stimulerar innovation genom utveckling och användning av de läkemedel som patienter, sjukvård och samhället behöver.
- LIF ser inte att det är möjligt att utvidga det presenterade förslaget till bredare grupper av läkemedel utan en förnyad och grundlig analys av vilka konsekvenser det får för den värdebaserade prissättningen, patienters tillgång till de mest avancerade behandlingarna och klimatet för Life Science i Sverige.
- Lagförslaget bör inte gå utöver vad som grundligt beretts i utredningen. Därför föreslås 11 a § utgå i avvaktan på kompletterande beredning samt ändring av 15 a §.
- En centraliserad hantering av finansieringen är att föredra eftersom decentraliserade budgetar är en utmaning för enskilda kliniker och påverkar patienternas möjlighet till behandling negativt.
- Utredningens bedömning – att förslaget beskrivs få en liten effekt på kostnaden för läkemedelsförmånerna – är allt för konservativ. LIF menar att det behövs ett tillskott till det särskilda statsbidraget för läkemedelsförmånerna.
- LIF föreslår att en dialog snarast bör inledas mellan regeringen, landstingen och läkemedelsbranschen om hur förslaget bör utformas och tillämpas till gagn för de patienter med sällsynta diagnoser som väntar på besked om behandling.

## Allmänna synpunkter

LIF konstaterar att det tagit lång tid att nå fram till ett förslag för prissättningen av sär läkemedel. Redan i Läkemedels- och apoteksutredningens första delbetänkande *Pris, tillgång och service – fortsatt utveckling av läkemedels- och apoteksmarknaden (SOU 2012:75)* presenterades en gedigen kartläggning av sär läkemedelsfrågan – *Prioritering och finansiering av läkemedel för behandling av patienter med sällsynta sjukdomar* – som nu kompletterats i slutbetänkandet. Med tanke på de år som passerat är det positivt att det nu presenteras ett seriöst försök till reglering för att ge patienter med avancerade sällsynta sjukdomar jämlik och bättre tillgång till de läkemedel de behöver.

Det är angeläget att förslaget hanteras skyndsamt för att patienter som väntat på behandling under lång tid – i avvaktan på utredningens förslag – ska få den behandling de har behov av. Det är dock lika angeläget att utredningens förslag analyseras utifrån de förändringar som skett i Sverige sedan utredningens direktiv skrevs 2011. Utifrån de kriterier som utredningen föreslagit är det tydligt att förslaget avses tillämpas mycket smalt, för en handfull läkemedel per år som inte kan beviljas förmån utifrån 15 §. Det finns både för- och nackdelar med en snäv tillämpning. Fördelen är att den nya ordningen på ett tydligt sätt avgränsas och ”inte undergräver nuvarande system med värdebaserad prissättning”. Nackdelen är att det fortsatt kan finnas läkemedel för sällsynta sjukdomar som patienterna inte får tillgång till. Förslaget behöver därför analyseras dels utifrån utredningens uppdrag - att utreda behovet av en prismodell för sär läkemedel – dels utifrån Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets (TLV) uppdrag att vidareutveckla den värdebaserade prissättningen. Eftersom en analys ur det senare perspektivet helt saknas i betänkandet kan LIF inte ta slutgiltig ställning till förslaget. Det behövs en kompletterande beredning som omfattar en konsekvensanalys i fråga om de förändringar som nu pågår för att öka samarbetet mellan landstingen och TLV i syfte att säkerställa en snabbare och jämlik användning av nya läkemedel mer generellt. I praktiken är det avgränsningen av patientgruppens storlek som avgör perspektiv.

Det stegvisa godkännandet ska i framtiden säkerställa tidig tillgång till nya läkemedel för de patienter som har störst behov, vilket överlappar med de läkemedel som föreslås hantearas enligt en ny process. Det bör säkerställas att den nya processen uppfyller de krav som det stegvisa godkännandet – enligt Läkemedelsverket slutrapport *Stegvist godkännande och införande av nya läkemedel NLS-projekt 6.6* – ställer på en flexibel prissättning där det finns möjlighet att både höja och sänka priset utifrån den kunskap som växer fram.

Det förslag som Läkemedels- och apoteksutredningen lämnat är viktigt – men långt ifrån tillräckligt – för att Sverige ska leva upp till Rådets rekommendation att alla medlemsstater ska ha nationella planer för sällsynta sjukdomar. Kommissionens rapport från förra sommaren visar att 16 länder har sådana strategier, men inte Sverige. Det presenterade förslaget bör därför kopplas till framtagande av den svenska planen för sällsynta sjukdomar.

Det presenterade förslaget skapar en grund för att patienter med allvarliga och mycket sällsynta sjukdomar ska få tillgång till den läkemedelsbehandling de behöver. För att denna möjlighet ska kunna omsättas i praktik behövs en mer detaljerad diskussion om det praktiska genomförandet. Det har, som vi konstaterat ovan, tagit lång tid att nå fram till ett förslag för prissättningen av läkemedel för sällsynta sjukdomar. LIF ser därför gärna att en di-

olog snarast inleds mellan regeringen, landstingen och läkemedelsbranschen om hur förslaget ska kunna införas och tillämpas till gagn för de patienter som väntar på besked om behandling.

### **Förslaget sett utifrån ett renodlat sär läkemedelsperspektiv**

De synpunkter som LIF lämnar nedan utgår från behovet att knyta an till EU:s reglering för sär läkemedel och Rådets rekommendation att alla medlemsstater ska ha en plan för sällsynta sjukdomar, något som fortfarande saknas i Sverige. Ett kriterium för att få sär läkemedelsstatus i EU är att det saknas andra godkända behandlingar. Det medför att många sär läkemedel är viktiga innovationer. Ett tydligare erkännande av sådan innovation skulle öka tillgången till de mest avancerade behandlingarna för patienter med sällsynta sjukdomar och stärka Sveriges position inom Life Science.

Utredningen väljer att inte begränsa förslaget till läkemedel med sär läkemedelsstatus. Det är förståeligt att en svensk prismodell skulle omfatta alla läkemedel för sällsynta och mycket allvarliga sjukdomar, oavsett status. Principiellt ser LIF dock ett problem med en svensk reglering som inte anammar den definition som används av EU. Det är ologiskt att ha regulatoriska stimulansåtgärder på EU-nivå men vara mer restriktiv i den svenska prisregleringen. Utredningen visar att de flesta sär läkemedlen tidigare fått subvention i Sverige genom den gängse värdebaserade prissättningen och föreslår som kompromiss den snävare definitionen ”ultra orphan drugs” – som numera är definierad i EU-parlamentets och rådets förordning om kliniska prövningar. LIF menar att Sverige – som ett led i framtagandet av den nationella planen för sällsynta sjukdomar - måste ta tydlig ställning för EU-definitionen. Det bör dock redan nu förtydligas om det som avses är antalet personer med en viss sjukdom eller antalet personer som är kvalificerade för behandling utifrån läkemedlets indikation.

Läkemedel för allvarliga och sällsynta sjukdomar bör även fortsättningsvis om möjligt prissättas enligt 15 § förmånslagen, genom särskild metodologisk hänsyn när behandlingen avser ett mycket litet antal patienter, vilket bidrar till större osäkerhet i den underliggande kliniska dokumentationen och i de hälsoekonomiska modellerna. För flera sällsynta sjukdomar kan det vara mycket svårt att visa kostnadseffektivitet. Då måste det ses som ett värde i sig – utifrån den etiska plattformen – att ett EMA-godkännande med sär läkemedelsstatus innebär att sjukdomstillståndet bedömts vara allvarligt och att det därför varit angeläget att få fram läkemedelsbehandling.

Vid värdering av läkemedel för allvarliga och sällsynta sjukdomar behöver behovs- och solidaritetsprincipen ges stor tyngd och vägas in på ett strukturerat sätt. Eftersom det råder stor kunskapsbrist kring sällsynta sjukdomar är det viktigt att involvera de få specialister som finns - och anlita internationella experter när det behövs – i behovsbedömningen. Det är därför positivt att det framgår av utredningens förslag att Tandvårds- och läkemedelsförmånsnämnden kan adjungera en eller flera experter med rätt att yttra sig. LIF vill dock understryka att de bedömningar som görs inte kan ompröva EMA:s bedömning att ett läkemedel är det enda godkända behandlingsalternativet eller att det medför ”significant benefit” jämfört med tidigare existerande behandlingar.

Förslaget tar en bred utgångspunkt i behovet av att producera, hålla samman och överföra kunskap om sällsynta sjukdomar och deras behandling. Det är positivt att villkoren för an-

vändningen föreslås omfatta en vårdplan eller ett program med en beskrivning av hur vården ska organiseras för att ge patienterna tillgång till utredning, behandling, uppföljning och vetenskaplig utvärdering. De Centrum för Sällsynta Diagnoser (CSD) som är under uppbyggnad på regional nivå bör kunna åstadkomma en bättre och mer sammanhållen vård. Det kan övervägas om förmånsbeslut baserade på den nya processen kan kopplas till att behandlingen sker vid ett sådant CSD och att uppföljning sker av alla behandlade patienter. Genom att stärka kopplingen mellan värdebaserad prissättning och faktisk uppföljning ökar dynamiken i takt med att ökad kunskap samlas kring det faktiska värdet som levereras. Det bör undersökas om det är möjligt att utveckla en plattform som förenklar uppföljningen genom att minska den administrativa bördan och bygga Sveriges ställning som erkänd forskningsnation inom Life Science.

Möjligheten att subventionera ett läkemedel utifrån 15§ i läkemedelsförmånslagen styrs av de tre etiska principerna – människovärdesprincipen, behovs- och solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen, sett från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter. TLV har på senare tid genom samarbete med landstingen ökat fokus på samhällets betalningsvilja. I bilaga 4 i utredningens första delbetänkande (SOU 2012:75) beskrivs hur betalningsviljan kan ses öka med en minskad förekomst av sjukdomen vilket beskrivs grafiskt som en ”ostkurva”. LIF ser ”ostkurvan” som en åtgärd för att kunna inkludera fler läkemedel för allvarliga och sällsynta sjukdomar i läkemedelsförmånen enligt 15§. Det bör därför övervägas att – på lämpligt sätt - förtydliga detta synsätt i regleringen av läkemedelsförmånerna.

Många allvarliga och sällsynta sjukdomar är så ovanliga att det nästan är slumpmässigt när och var patienterna söker vård, vilket försvårar vårdens planering och budgetering. En alltför decentraliserad budget blir en utmaning för enskilda kliniker och påverkar direkt patienternas möjlighet till behandling. En centraliserad hantering av finansieringen är därför att föredra. Utredningens förslag innebär att fler läkemedel kommer att subventioneras. I konsekvensanalysen beskrivs förslaget få en liten effekt på kostnaden för läkemedelsförmånerna utifrån antagandet att ett fåtal produkter per år kan bli aktuella för beslut enligt den nya modellen. LIF menar att det är en alltför konservativ bedömning och att det behövs ett tillskott till det särskilda statsbidraget för läkemedelsförmånerna för att säkerställa att patienter med allvarliga eller livshotande sällsynta sjukdomar verkligen får en jämlik tillgång till de behandlingar de behöver.

#### *Föreslagen lagändring*

LIF anser att behovet av lagstiftning sett ur sÄrläkemedelsperspektivet skulle täckas av föreslagen 15 a § med följande förändring:

*"Om ett receptbelagt läkemedel för en sällsynt sjukdom inte uppfyller kraven i 15 § får Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket fastställa ett inköpspris och ett försäljningspris för läkemedlet efter särskilda överläggningar med landsting och den som marknadsför läkemedlet.*

*Regeringen får meddela föreskrifter om vilka läkemedel som omfattas av första stycket. Regeringen eller den myndighet som regeringen bestämmer får meddela föreskrifter om hur inköpspris och försäljningspris för de läkemedel ska fastställas för de läkemedel som omfattas av första stycket."*

11 a § kan då utgå i avvaktan på kompletterande beredning, se vidare avsnittet om TLV:s uppdrag att utveckla den värdebaserade prissättningen nedan.

En konsekvensändring är att i förslaget till ändring i offentlighets- och sekretesslagen bör hänvisningen göras till 15 a § istället för till 11 a §.

Utredningen förtydligar att genom den föreslagna processen ”införs i begränsad omfattning en form av listprissystem”. LIF välkomnar att utredningen därför föreslår vissa nödvändiga förändringar av sekretesshanteringen.

Utredningen presenterar inte ett detaljerat förslag på vilka kriterier som ska avgränsa den föreslagna ordningen, utan det lämnas till regeringen att avgöra. Frågan är emellertid utredd. Om den föreslagna ordningen ska tillämpas så snävt som utredningen beskriver är kriterierna och hur de fastställs avgörande. LIF anser därför att de inte bör fastställas i förordning utan föregående remisshantering.

De villkor som beskrivs närmare är:

- *Storleken på patientgruppen* – LIF anser att avgränsningen bör ses mer som en storleksordning än en absolut gräns.
- *Väsentlig effekt* – LIF ifrågasätter om inte den svenska prissättningsmodellen riskerar att överpröva EMA:s bedömning av läkemedlets effekt. Vidare kan det vara svårt att bedöma den fulla medicinska effekten tidigt i ett läkemedels livscykel och det finns en risk att gå miste om läkemedel som i ett senare skede kan visa sig vara mycket värdefulla.
- *Brist på jämförbara behandlingsalternativ* – För att stimulera läkemedelsföretagen till att dokumentera läkemedel i syfte att få nya indikationer godkända bör det vara bristen på *godkända* behandlingsalternativ som är ett kriterium. Ett läkemedel ska inte kunna uteslutas från den nya ordningen om patienter i Sverige behandlas med läkemedel som saknar godkännande för aktuell indikation. Eftersom särlekemedelslagstiftningen möjliggör godkännande av flera läkemedel för samma sällsynta sjukdom om det nya läkemedlet innebär ”significant benefit” måste den nya modellen innehålla samma möjlighet. Senare godkända läkemedel för ett tillstånd kan inte ges en negativ särbehandling. Godkännandet och den omfattande process som föregår detta måste respekteras av svenska myndigheter för att Sverige ska kunna behålla och stärka sin ställning som en Life Science-nation.

I situationer där det konstaterats att ett läkemedel för en sällsynt sjukdom inte kan subventioneras enligt 15 § är det positivt att utredningen framhåller vikten av frihet för berörda parter att ha möjlighet att anpassa villkoren efter förhållandena i det enskilda fallet. Det måste dock säkerställas att den *värdebaserade bedömningen* av läkemedlet utifrån 15 § inte påverkas av en eventuell önskan att förhandla villkoren för användningen. Den hälsoekonomiska utvärderingen får inte användas som ett taktiskt verktyg i förhandlingen. Detta för att säkerställa att den svenska prissättningen även fortsatt är värdebaserad.

Även om den praktiska hanteringen kommer att förtydligas i föreskrift önskar LIF redan nu framhålla att det behöver förtydligas på vilka sätt den föreslagna ordningen ska kunna ini-

tieras. Läkemedelsföretagen bör ha möjlighet att begära en prövning enligt denna ordning direkt vid ansökan eller senast när TLV gjort den hälsoekonomiska utvärderingen. Vid sådan av vanlig prissättning per förpackning bör det vara möjligt för landstingen och läkemedelsföretaget att komma överens om betalning för hela den patientpopulation som identifierats. Vidare bör det vara tydligt vad som händer om någon part inte är intresserad av en överläggning eller om överläggningen misslyckas. I en sådan situation måste TLV fatta ett beslut som kan prövas av domstol. Det behöver även förtydligas hur överläggningarna ska kunna hanteras inom de 180 dagar som TLV – enligt Transparensdirektivet - ska fatta beslut om förmån.

### **Förslaget sett utifrån TLV:s uppdrag att utveckla den värdebaserade prissättningen**

Hos TLV pågår ett intensivt utvecklingsarbete som enligt prop. 2013/14:93 ska innefatta att myndigheten undersöker möjligheterna med trepartsöverläggningar inom ramen för gällande lagstiftning. Utredningen gör bedömningen att ”Den nu föreslagna överläggnings- och förhandlingsordningen innebär vidare möjligheter än de trepartsöverläggningar som för närvarande genomförs med stöd av 9 §” samt ”Utredningen går därmed längre än vad som inryms i TLV:s nuvarande arbete med att utveckla den värdebaserade prissättningen”.

TLV:s utvecklingsarbete kring överläggningar har fokuserat på vikten av att kostnaderna ska framstå som rimliga från medicinska, humanitära och *samhällsekonomiska* synpunkter. Utredningens förslag i 15 a § tar sikte på läkemedel för mycket små patientgrupper där läkemedlen enligt nuvarande bedömningskriterier inte är kostnadseffektiva. Myndighetens arbete har redan visat att även då läkemedel är dokumenterat kostnadseffektiva kan det finnas skäl eller önskemål om att använda överläggningar för att säkerställa att läkemedlet kommer till användning genom en lägre kostnad. TLV:s användning av trepartsöverläggningar har hittills tagit sikte på läkemedel med betydligt större patientantal än de läkemedel med mycket små patientgrupper som behandlas i betänkandet. Trepartsöverläggningar har använts beträffande nya smittskyddsläkemedel (hepatit C) samt läkemedel för behandling av prostatacancer och avses användas i ett pågående ärende kring TNF-hämmare (reumatoid artrit m.fl. sjukdomstillstånd). LIF har under TLV:s hittillsvarande utvecklingsarbete påtalat behovet av att säkerställa att de nya processer och arbetssätt som nu prövas har en stabil legal grund så att läkemedelsföretagens legitima behov av förutsägbarhet och likabehandling tillgodoses. Även om myndigheten nu utvecklar sätt att inkludera effekten av avtal mellan läkemedelsföretagen och landstingen i förmånsbesluten enligt 15§ ser LIF att en anpassning av lagstiftningen och övrig författningsreglering är nödvändig för att det ska finnas möjlighet att utforma avtalen på det sätt som parterna önskar.

LIF ser däremot inte att det är möjligt att utvidga det presenterade lagförslaget till bredare grupper av läkemedel än de som utretts utan en förnyad och grundlig analys av vilka konsekvenser det får för den värdebaserade prissättningen, patienters tillgång till de mest avancerade behandlingarna och klimatet för Life Science i Sverige. Detta eftersom det helt saknas beredning av ärendet i fråga om överläggningar i förmånsärenden som avser andra grupper av läkemedel – något som inte innefattades i utredningens direktiv. I betänkandet sägs (s. 523) att det under utredningen framkommit synpunkter på att andra läkemedel än säräkemedel kan behöva omfattas av den ordning som avses i den föreslagna 11 a § och detta föreslås hanteras genom att regeringen ska sätta kriterierna för den föreslagna ordningen. Ramarna för vilka läkemedel som ska kunna inkluderas i den nya modellen, trots

att de – till skillnad från vad som omfattas av 15 a § - är dokumenterat kostnadseffektiva, bör framgå av lag. LIF vill här än en gång understryka att införande av den föreslagna 11 a § förutsätter kompletterande beredning.

Läkemedelsbranschen har behov av en heltäckande beskrivning och konsekvensanalys av vilka möjligheter till överläggningar och förhandlingar som 15 § läkemedelsförmånslagen ger samt ramar och förutsättningar för att utvidga de möjligheter till överläggning som utredningen föreslår genom 11 a §. En sådan beskrivning är nödvändig för att kunna ta slutgiltig ställning till utredningens förslag. Innan ett sådant underlag och konsekvensanalys finns kan LIF inte stödja införandet av 11 a §. LIF eftersträvar att ett väl underbyggt beslut kan fattas beträffande den föreslagna, men långtifrån beredda, möjligheten att utvidga tillämpningen av överläggningar till andra läkemedel än de som utretts i betänkandet. Som redan framförts är det väsentligt att ramarna kring regeringens föreskriftsrätt liksom dess rätt till delegation framgår av lag.

TLV utlovade i rapporten *Utvecklad värdebaserad prissättning – regeringsuppdrag (dnr S2014/8964/FS)* att ”För att säkerställa erfarenhetsåterföring och ge grund för fortsatt utveckling av arbetssätt och processer kommer TLV att bjuda in berörda företag, landstingen samt SKL och LIF till ett erfarenhetsseminarium”. Något sådant seminarium har myndigheten ännu inte bjudit in till. Med hänsyn till den snabba takten i TLV:s pågående utvecklingsarbete med trepartsöverläggningar är det av stor vikt att erfarenheterna snabbt samlas och analyseras både av myndigheten och av extern part. En sådan analys kan ge en utgångspunkt för att komplettera utredningen. Vi är övertygade om att samverkan behövs för att svenska patienter ska få snabb och jämlik tillgång till behandling. Det vi anser behövas är att en parallell process inleds för att säkerställa en väl anpassad och noggrant beredd lagstiftning utifrån samtliga parter behov – och som bygger på de erfarenheter som hittills nåtts i utvecklingsarbetet. LIF bidrar gärna i en dialog om de behov som finns och vilka lösningar som är möjliga.

Med vänlig hälsning



Anders Blanck  
Generalsekreterare

