

Uppdrag att analysera och föreslå hur patienternas tillgång till läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar kan stärkas

Delredovisning av regeringsuppdrag

Mars 2023

Citera gärna Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets rapporter, men glöm inte att uppge källa: Rapportens namn, år och Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket.

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, mars 2023
Kontaktperson: Sofie Alverlind
Diarienummer: 02039/2023

Postadress: Box 22520, 104 22 Stockholm
Besöksadress: Fleminggatan 14, Stockholm
Telefon: 08 568 420 50
www.tlv.se

Förord

Det sker en positiv utveckling där allt fler läkemedel vid svåra sjukdomar utvecklas och blir tillgängliga på marknaden. Det kan innebära viktiga behandlingsmöjligheter för patienter som saknar behandling eller där behandling inte fungerar tillfredsställande.

TLV fick i juni 2022 ett regeringsuppdrag att föreslå och analysera hur patienters tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd kan stärkas.

Denna delrapport beskriver TLV:s tolkning av uppdraget. Rapporten beskriver även en kartläggning av myndighetens tidigare utredningar och bedömningar av läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd. Kartläggningen ger en fördjupad bild av tillgängligheten till dessa läkemedel.

Uppdraget slutrapporteras i september 2023.

Agneta Karlsson
Generaldirektör, TLV

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV, är en statlig myndighet som ska verka för en ändamålsenlig och kostnadseffektiv läkemedelsanvändning och tandvård, god tillgänglighet till läkemedel i samhället och en väl fungerande apoteksmarknad. TLV beslutar om pris och subvention av läkemedel och förbrukningsartiklar inom läkemedelsförmånerna, regler för apoteksmarknaden och apotekens handelsmarginal samt högkostnadsskydd och referenspriser för tandvård. Vi tar också fram hälsoekonomiska bedömningar av slutenvårdsläkemedel och medicinteknik. Att utöva tillsyn enligt lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. ingår även i myndighetens uppdrag.

Innehåll

Förord	3
Sammanfattning	6
Termer och begrepp	8
1 Inledning	11
1.1 TLV:s uppdrag om läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar	11
1.1.1 TLV har i uppdrag att analysera och föreslå hur tillgång till läkemedel vid sällsynta sjukdomar kan stärkas	11
1.1.2 TLV:s tolkning av och målsättning med uppdraget.....	12
1.1.3 Angränsande regeringsuppdrag till TLV.....	12
1.1.4 Vad är ett läkemedel vid ett sällsynt hälsotillstånd?	13
1.2 Olika aktörer i dagens system för värdering av läkemedel	14
1.2.1 TLV beslutar om vilka läkemedel och förbrukningsartiklar som ska ingå i läkemedelsförmånerna.	14
1.2.2 NT-rådet ger rekommendationer till regionerna om nya läkemedel som rekvireras till sjukvården	15
2 TLV:s metod för genomförande av uppdraget	16
2.1 Uppdraget genomförs genom en strukturerad metod i flera steg	16
2.1.1 Kartläggningen är vägledande för behovet av utveckling	16
2.1.2 Bred inventering av möjliga åtgärder	17
2.1.3 Fördjupad analys av de mest relevanta verktygen för att säkra genomförbarhet	17
2.1.4 Utveckling av handlingsvägar och strategi framåt.....	17
3 Kartläggning av läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd i Sverige	18
3.1 Sammanfattning av resultaten från kartläggningen	18
3.2 Bakgrund om utvecklingen av sär läkemedelsmarknaden i Sverige.....	19
3.2.1 Antalet läkemedel för behandling av sällsynta hälsotillstånd har ökat i Sverige	19
3.2.2 Omkring två tredjedelar av de sär läkemedelsklassade läkemedel som var godkända för försäljning i EU 2022 har utvärderats av TLV	21
3.3 Kartläggning av TLV:s sär läkemedelsärenden.....	22
3.3.1 TLV:s metod och vägval för kartläggningen.....	22
3.3.2 Huvuddelen av nya sär läkemedel har bifall till förmån eller positiv rekommendation.....	23
3.3.3 Vissa läkemedel som inte omfattas av förmånerna används ändå.....	24
3.3.4 I vissa fall har företag ansökt om förmån flera gånger för samma läkemedel	25
3.3.5 En mindre andel sär läkemedel för riktigt små patientgrupper har fått ett positivt beslut jämfört med sär läkemedel riktade till större grupper	26
3.3.6 Många sär läkemedel är högt prissatta, även med hänsyn till patientnytta	26
3.3.7 TLV har beviljat förmån för många sär läkemedel med potentiellt stor patientnytta vid tillstånd med hög svårighetsgrad	29
3.3.8 Vissa läkemedel har en låg eller osäker patientnytta	29

3.3.9 Förhandlingar är ett viktigt verktyg för att kunna tillgängliggöra angelägna läkemedel.....	30
4 Nästa steg i uppdraget	33
Bilaga.....	35

Sammanfattning

Nya läkemedel kan innebära viktiga behandlingsmöjligheter för patienter med svåra sällsynta hälsotillstånd som tidigare saknat behandling. Allt fler läkemedel för behandling av sällsynta hälsotillstånd blir tillgängliga för svenska patienter – den senaste tioårsperioden har antalet sådana läkemedel som haft försäljning på den svenska marknaden fördubblats.

TLV har ett regeringsuppdrag att analysera olika handlingsvägar som utvecklar tillgången till läkemedel för behandling av sällsynta hälsotillstånd. Läkemedel mot sällsynta hälsotillstånd kan vara en utmaning för samhället då de ofta har ett mycket högt pris och effekten inte alltid är tydlig. Det finns idag även en bild av att läkemedel mot sällsynta hälsotillstånd inte blir tillgängliga för svenska patienter i tillräcklig utsträckning eller jämfört med andra länder.

TLV tolkar uppdraget som att det finns skäl att göra större skillnader än idag mellan olika typer av situationer och läkemedel i utredning och beslut om pris och subvention. TLV:s bedömning är att tillgången till vissa – men inte alla – läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd behöver utvecklas, eftersom det finns variationer vad gäller behov, behandlingsnytta och tillgång till behandlingsalternativ. Fullständig eller omedelbar tillgång till godkända läkemedel för sällsynta hälsotillstånd är inte en rimlig förväntan och inte nödvändigt ur ett patientperspektiv. Det blir därför viktigt att hitta sätt att identifiera läkemedel som har hög angelägenhetsgrad och stor patientnytta. I uppdragsdirektivet framgår att de förslag TLV lämnar inte får innebära högre totala läkemedelskostnader för staten. Eftersom en ökad tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd kan innebära högre läkemedelskostnader, behöver TLV också analysera hur kostnader kan dämpas.

För en fördjupad förståelse av tillgängligheten till läkemedel mot sällsynta hälsotillstånd har TLV kartlagt de sär-läkemedelsärenden som myndigheten handlagt mellan 2015 och 2022. Det gäller både förmånsansökningar hos TLV och klinikläkemedel som TLV analyserat på uppdrag av NT-rådet. Kartläggningen visar att en stor andel nya sär-läkemedel omfattas av förmånerna eller av nationella rekommendationer för användning i slutenvården: omkring två tredjedelar av utredda sär-läkemedel fick bifall till subvention från TLV eller positiv rekommendation från NT-rådet. Bland de sär-läkemedel som TLV avslagit förmånsansökan för, har det för en betydande andel förekommit viss försäljning, till följd av att enskilda regioner har valt att använda läkemedlen.

TLV och NT-rådet tillåter en högre kostnad om tillståndet har en högre svårighetsgrad, och dessutom under vissa förutsättningar en ännu högre kostnad vid ett sällsynt tillstånd. Trots det har många sär-läkemedel, utifrån det pris (AUP) som företaget har valt att ansöka om, en betydligt högre kostnad per vunnen QALY än vad TLV och NT-rådet normalt accepterar. I många fall har detta hanterats genom förhandling mellan regioner och företag, där ett avtal om återbäring

tecknats. Sådana avtal kan innebära att den faktiska kostnaden för behandlingen hamnar på en rimlig nivå och att TLV därmed kan bifalla förmånsansökan.

Bland de sär läkemedel som TLV har kartlagt förekommer stora variationer i såväl kostnad, patientnytta och svårighetsgrad för tillståndet som läkemedlet är avsett att behandla, som storleken på patientgruppen som är aktuell för behandling. Det förefaller som att läkemedel för riktigt små patientgrupper i lägre utsträckning får ett bifallsbeslut vid förmånsansökan.

Kartläggningen visar att även om dagens system i många delar fungerar väl, finns områden som behöver utvecklas. Under den återstående uppdragstiden kommer TLV utreda åtgärder som skulle kunna antingen stärka tillgången till angelägna läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd eller användas för ökad kostnadskontroll. Förslagen baserar sig på lärdomar från kartläggningen, dialog med berörda aktörer såsom regioner, företag och patientföreträdare, liksom erfarenheter och arbetssätt i andra länder. TLV kommer analysera de mest relevanta förslagen mer ingående, exempelvis när det gäller genomförbarhet och effekt på tillgänglighet i relation till bland annat juridiska och etiska aspekter och konsekvenser för olika aktörer. Därefter kommer TLV utveckla förslag till handlingsvägar genom att kombinera de olika åtgärderna.

Termer och begrepp

Alternativkostnad – den alternativa användning av en resurs som man går miste om genom att välja ett visst handlingsalternativ.

ATC (Anatomical Therapeutic Chemical Classification) - ett system som används för klassificering av läkemedel. ATC-systemet består av 14 huvudgrupper, där läkemedlet placeras utifrån dess huvudindikation.

A Matsmältningsorgan och ämnesomsättning

B Blod och blodbildande organ

C Hjärta och kretslopp

D Hudpreparat

G Urin- och könsorgan samt könshormoner

H Systemiska hormonpreparat, exkl. könshormoner och insuliner

J Antiinfektiva medel för systemiskt bruk

L Tumörer och rubbningar i immunsystemet

- L01 Medel som hämmar tumörväxt

M Rörelseapparaten

N Nervsystemet

P Antiparasitära, insektsdödande och repellerande medel

R Andningsorganen

S Ögon och öron

V Varia

ATMP – avancerade terapier eller avancerade terapiläkemedel/terapiprodukter (engelska: "advanced therapy medicinal products") innefattar genterapier, somatiska cellterapier och vävnadstekniska produkter.

AUP – apotekens utförsäljningspris. AUP återspeglar generellt kostnaden för ett läkemedel utan den kostnadsminskning som återbäring från eventuellt avtal ger.

Begränsad subvention – subvention för endast ett visst användningsområde eller en viss patientgrupp.

EMA (European Medicines Agency) – Europeiska läkemedelsmyndigheten, vars uppgift är att godkänna och övervaka läkemedel i EU.

Generell subvention – läkemedel som är subventionerat för hela dess användningsområde.

Grundscenario – utfallet av en hälsoekonomisk värdering (vunna QALYs, kostnader, kostnad per QALY) baserat på de parametervärden som anses som troligast

ICER (Incremental cost effectiveness ratio) – se Kostnad per vunnen QALY

Incidens – antal personer som insjuknar i en sjukdom under en tidsperiod, exempelvis ett år.

Indikation – med godkänd indikation menas det sjukdomstillstånd som får behandlas med ett läkemedel enligt godkännande av Läkemedelsverket eller den europeiska motsvarigheten, EMA.

Klinikläkemedel – läkemedel som upphandlas av regionerna och ges till patienten på sjukhus eller annan hälso- och sjukvårdsinrättning.

Klinikläkemedelsuppdraget – på uppdrag av regeringen genomför TLV hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel. Bedömningarna görs av läkemedel som utses av NT-rådet. De hälsoekonomiska bedömningarna är avsedda att användas som stöd till NT-rådets rekommendationer till regionerna rörande användning av läkemedlet.

Kostnad per vunnen QALY – ett mått som ställer skillnaden i kostnad mellan två behandlingsalternativ i relation till skillnaden i hälsa (mätt i termer av kvalitetsjusterade levnadsår, QALY). En engelsk förkortning för detta mått är ICER, incremental cost effectiveness ratio.

Kvalitetsjusterade levnadsår (QALY) – ett mått på hälsa som fångar både livslängd och hälsorelaterad livskvalitet

Läkemedelsförmån – ett läkemedel som ingår i läkemedelsförmånerna är subventionerat och ingår i högkostnadsskyddet vilket begränsar hur mycket en kund behöver betala för sina läkemedel.

Marknadsfunktionen – Regiongemensam funktion inom samverkansmodellen för läkemedel som ansvarar bland annat för koordinering av trepartsöverläggningar, marknadsbevakning och regiongemensam förhandling och upphandling

NT-rådet – Rådet för nya terapier, en expertgrupp med representanter för Sveriges regioner. NT-rådet utser de klinikläkemedel TLV ska utvärdera och har mandat att ge rekommendationer till landets regioner om användning av vissa nya läkemedel.

Prevalens – den andel individer i en population som har en sjukdom eller ett givet tillstånd

Receptläkemedel – läkemedel som förskrivs på recept och hämtas ut av patienten på öppenvårdsapotek

Regionernas samverkansmodell för läkemedel – samarbete mellan regionerna i syfte att åstadkomma samordnad, jämlik och kostnadseffektiv tillgång

till läkemedel. Innefattar bland annat NT-rådet och funktioner för marknadsbevakning och förhandling, horisontspaning och uppföljning.

Subvention – den del av kostnaden för ett läkemedel, en tandvårdsåtgärd eller en förbrukningsartikel som det offentliga betalar

Sällsynt hälsotillstånd - ett tillstånd med låg prevalens - som vägledning kan förekomst hos färre än 5 av 10 000 invånare anses som låg prevalens

Särläkemedel – i denna rapport används begreppet särläkemedel för läkemedel med försäljningsgodkännande i EU som är avsedda för att behandla sällsynta hälsotillstånd och uppfyller kraven i EU:s regelverk för detta (Förordning (EG) nr 141/2000 om särläkemedel)

Särläkemedelsstatus – läkemedel som enligt beslut av EMA uppfyller kraven som anges av särläkemedelsregelverket (Förordning (EG) nr 141/2000 om särläkemedel)

Trepartsöverläggning - en gemensam dialog där regionerna, företag och TLV träffas tillsammans och diskuterar ett ärende. Kan resultera i en sidoöverenskommelse mellan regioner och företag, som kan innebära att kostnaden för behandlingen sänks eller osäkerheten minskar

QALY (Quality adjusted life years) – se kvalitetsjusterade levnadsår

Återbäring – en form av ersättning som betalas ut i efterhand. I Sverige betalar läkemedelsföretagen återbäring till regionerna utifrån vad som anges i sidoöverenskommelserna. Benämns internationellt ofta som rabatt.

1 Inledning

1.1 TLV:s uppdrag om läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar

Denna delrapport syftar till att presentera TLV:s tolkning av regeringsuppdraget att analysera och utveckla förslag på hur tillgången till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd kan stärkas, TLV:s målsättning med arbetet, samt den metod TLV använder för uppdraget.

Rapporten redovisar också resultat från den kartläggning som TLV gjort av tidigare förmånsbeslut och utvärderingar kring läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd. Kartläggningen ger en bild av hur läkemedel för behandling av sällsynta hälsotillstånd hanterats tidigare och är därmed en viktig grund för det fortsatta arbetet med att föreslå handlingsvägar för en utvecklad tillgång. Slutligen syftar delrapporten till att beskriva nästa steg i arbetet inom regeringsuppdraget.

1.1.1 TLV har i uppdrag att analysera och föreslå hur tillgång till läkemedel vid sällsynta sjukdomar kan stärkas

Regeringen har gett TLV i uppdrag att analysera olika handlingsvägar som utvecklar tillgången till läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar, samt utreda och identifiera eventuella områden inom vilka det finns behov av författningsändringar¹. Utgångspunkten för arbetet ska bygga på en analys av patienternas tillgång till läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar.

TLV ska:

- systematiskt kartlägga och följa upp subventionsbesluten för läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar under de senaste åren för att få en heltäckande kartläggning av hur dessa läkemedel hanteras,
- analysera förutsättningarna och konsekvenserna av ett delvis förändrat förhållningssätt i subventionsbeslut om läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar i syfte att utveckla tillgången,
- se över nuvarande regelverk för beslutsfattande kring läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar,
- utreda hur kriterier såsom försäljningsvolym eller patientantal generellt bör påverka vilket pris, vilken osäkerhet och vilken behandlingsskostnad som accepteras för ett läkemedel, samt
- se över hur förutsättningarna för användning av betalningsmodeller kan utvecklas.

TLV ska, i likhet med övrigt arbete på området, bland annat beakta patienternas tillgång till behandling och jämlik vård över hela landet och den etiska plattformen för prioriteringar som gäller inom hälso- och sjukvården, det vill säga

¹Socialdepartementet: Uppdrag att analysera och föreslå hur patienternas tillgång till läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar kan stärkas. Diarienummer S2022/03077

människovärdesprincipen, behovs- och solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen. En förutsättning för uppdraget är att TLV:s samlade förslag till handlingsvägar inte ska ge staten ökade kostnader för läkemedel jämfört med dagens system.

1.1.2 TLV:s tolkning av uppdraget

TLV tolkar uppdraget som att det kan finnas skäl att göra skillnad mellan olika situationer eller läkemedel i utredning av och beslut om pris och subvention. Detta kräver en noggrann analys av konsekvenserna av sådana skillnader, bland annat med avseende på etiska och juridiska aspekter.

”Tillgång till läkemedel” tolkar TLV som att läkemedel bekostas av det offentliga, vilket är en viktig förutsättning för jämlik tillgång för patienter. Utredningen fokuserar på läkemedel som hanteras genom förmånsansökan och de åtgärder som TLV förfogar över. Läkemedel som rekvideras till sjukvården kommer dock att ingå i kartläggning och konsekvensanalys, eftersom dessa utgör en stor andel av alla läkemedel för sällsynta hälsotillstånd. TLV:s utredning inkluderar inte någon analys av förutsättningar för försäljningsgodkännande av läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd, och inte heller hur dessa läkemedel har använts i hälso- och sjukvården.

TLV menar att utveckling av tillgången inte betyder att tillgängligheten till *alla* läkemedel för behandling av sällsynta hälsotillstånd bör stärkas eller utvecklas, eftersom det finns variationer gällande behov, behandlingsnytta och tillgång till behandlingsalternativ. Därför blir en viktig del i TLV:s utredning att så tydligt som möjligt identifiera och beskriva för vilka läkemedel eller vid vilka situationer tillgängligheten bör utvecklas.

Ökad tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd kan komma att leda till högre läkemedelskostnader. Enligt förutsättningarna för uppdraget behöver TLV då analysera och föreslå åtgärder för att minska läkemedelskostnaderna inom andra områden.

Den målsättning som TLV formulerat för uppdraget är att arbetet ska bidra till en jämlik tillgång till läkemedel med stor patientnytta som används vid svåra sällsynta hälsotillstånd där behovet av nya behandlingsalternativ är stort, och att tillgången till sådana läkemedel ska stärkas utan att statens totala kostnader för läkemedel ökar.

1.1.3 Angränsande regeringsuppdrag till TLV

Inom TLV:s pågående regeringsuppdrag Långsiktigt hållbar finansiering av läkemedel², ska TLV genomföra kostnadsdämpande åtgärder på läkemedel som ingår i läkemedelsförmånerna och samtidigt säkerställa prisdynamik och fortsatt god tillgång till läkemedel i Sverige. Regeringsuppdraget, som löper under fyra år, ska slutredovisas 2024. Utredning av åtgärder som kan kompensera för eventuellt

² Socialdepartementet: Regleringsbrev för budgetåret 2022 avseende Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. Diarienummer S2021/08111

ökade kostnader för en stärkt tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd, överlappar i stor utsträckning arbetet inom regeringsuppdraget om långsiktigt hållbar finansiering.

TLV har också ett pågående regeringsuppdrag om att fortsätta utveckla metoder för hälsoekonomiska utvärderingar av precisionsmedicin och betalningsmodeller för avancerade terapiläkemedel (ATMP)³. Detta uppdrag är fortsättning på arbete som TLV har gjort inom två tidigare uppdrag om precisionsmedicin och ATMP. Många behandlingar inom precisionsmedicin och ATMP är riktade mot sällsynta hälsotillstånd. TLV har gjort en avgränsning inom regeringsuppdraget om läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd, som innebär att detta inte omfattar de frågeställningar och utmaningar som är specifikt förknippade med potentiellt botande engångsbehandlingar såsom ATMP. Detta eftersom dessa har redovisats i tidigare regeringsuppdrag eller hanteras inom det pågående angränsande uppdraget.

1.1.4 Vad är ett läkemedel vid ett sällsynt hälsotillstånd?

Enligt Socialstyrelsens termbank⁴ är ett sällsynt hälsotillstånd ett tillstånd med låg prevalens. I termbanken framgår att "Sällsynta hälsotillstånd medför vanligen varaktiga konsekvenser för livsvillkoren och särskilda problem som betingas av sällsyntheten. De kräver speciell kompetens och ofta samordnade insatser från hälso- och sjukvården och övriga samhället. Som vägledning kan förekomst hos färre än 5 av 10 000 invånare anses som låg prevalens."

EU:s regelverk kring säräkemedel bygger på Europaparlamentets och rådets förordning (EG) nr 141/2000 om säräkemedel⁵, som syftar till att stimulera utvecklingen av läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd, genom att minska kostnaderna för läkemedelsutvecklingen och att öka intäkterna för företagen. Ett säräkemedel, enligt denna förordning, är ett läkemedel som uppfyller vissa villkor och därmed omfattas av särskilda stimulansåtgärder⁶. Det är EU-kommissionen som fattar beslut om att ett läkemedel ska få status som säräkemedel efter att företaget har ansökt till en särskild kommitté vid EMA.

För att ett läkemedel ska uppnå säräkemedelsstatus enligt EU-lagstiftningen krävs att läkemedlet är avsett för att diagnostisera, förebygga eller behandla livshotande tillstånd eller tillstånd med allvarlig funktionsnedsättning och som förekommer hos högst 5 av 10 000 personer inom EU. Det ska inte finnas någon annan godkänd metod för att diagnostisera, förebygga eller behandla det aktuella tillståndet som ger likvärdig nytta. Företagen ansöker om säräkemedelsklassning i ett tidigt skede av läkemedelsutvecklingen. Om detta beviljas, får det företag som utvecklar substansen bland annat tillgång till rådgivning i samband med utformning av

³ Socialdepartementet: Uppdrag att fortsätta utveckla metoder för hälsoekonomiska utvärderingar av precisionsmedicin och betalningsmodeller för avancerade terapiläkemedel. Diarienummer: S2022/ 03078

⁴ Socialstyrelsen 2020, Socialstyrelsens termbank, <https://termbank.socialstyrelsen.se/?TermId=826&SrcLang=sv> 2023-03-01

⁵ Europaparlamentets och rådets förordning (EG) nr 141/2000 av den 16 december 1999 om säräkemedel

⁶ EMA, Orphan designation: Overview <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation-overview> (2023-03-01)

kliniska prövningar och sänkta avgifter hos EMA för vetenskaplig rådgivning och ansökan om godkännande för försäljning.

När utvecklingsfasen för ett läkemedel med sär läkemedelsstatus är färdig och läkemedlet blir godkänt för försäljning i EU, får läkemedlet marknadsexklusivitet i 10 år efter godkännandedatum, förutsatt att villkoren för att få sär läkemedelsstatus fortfarande är uppfyllda. Det innebär att liknande läkemedel för samma indikation inte får marknadsföras i EU. När de tio åren förflutit, är läkemedlet inte längre klassat som sär läkemedel och därmed inte skyddat från konkurrens från liknande produkter. Sär läkemedelsstatus kan också upphöra tidigare på företagets begäran eller om EMA bedömer att kraven inte längre är uppfyllda.

Det finns många läkemedel som är avsedda för behandling av sällsynta hälsotillstånd, som har egenskaper motsvarande de kriterier som ställs upp av regelverket för sär läkemedel, men som inte har sär läkemedelsstatus⁷.

I TLV:s fortsatta arbete inom detta regeringsuppdrag kommer TLV fokusera på läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd ur ett behovsperspektiv, oavsett om läkemedlet har sär läkemedelsstatus eller inte. Den kartläggning som presenteras i kapitel 2 utgår dock från läkemedel med sär läkemedelsstatus enligt EU:s regelverk.

TLV kommer fortsättningsvis i denna rapport använda begreppet sär läkemedel när vi hänvisar till läkemedel som har sär läkemedelsstatus enligt EU:s regelverk och är godkända för försäljning i EU.

1.2 Olika aktörer i dagens system för värdering av läkemedel

1.2.1 TLV beslutar om vilka läkemedel och förbrukningsartiklar som ska ingå i läkemedelsförmånerna.

De produkter som ingår i förmånerna subventioneras för alla patienter som får läkemedlet utskrivet på recept. Det innebär att förmånsbeslut är en viktig förutsättning för jämlik tillgång till läkemedel för patienter i hela landet.

TLV:s beslut utgår från de tre grundläggande principerna i den etiska plattformen för prioritering i hälso- och sjukvården⁸. Dessa är människovärdesprincipen – att vården ska respektera alla människors lika värde, behovs- och solidaritetsprincipen – att de som har de största medicinska behoven ska ha mer av vårdens resurser än andra patientgrupper och kostnadseffektivitets-principen – att kostnaderna för att använda ett läkemedel ska vara rimliga utifrån medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter.

För att bedöma om kostnaden är rimlig tillämpar TLV en värdebaserad prissättningsmodell. Grunden för den är 15 § i lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (Förmånslagen). Förmånslagen anger att ett receptbelagt

⁷ NEPI-rapport februari 2019: Sär läkemedel i Sverige 2014–2018, Stiftelsen Nätverk för läkemedelsepidemiologi

⁸ Prioritering i hälso- och sjukvården: Proposition 1996/97:60

läkemedel ska omfattas av läkemedelsförmånerna ”under förutsättning att kostnaderna för användning av läkemedlet framstår som rimliga utifrån medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter”. Bedömningar av kostnad per hälsovinst görs relativt den behandling som patienten annars skulle få. Ett samhällsekonomiskt perspektiv, med vissa begränsningar, appliceras, vilket betyder att kostnader och besparingar räknas in oavsett om de uppstår för den enskilda individen, kommunen, regionen eller staten.

Regionerna och läkemedelsföretagen har rätt till överläggningar med TLV i ärenden som gäller nyansökan eller prisändringar. En trepartsöverläggning är en gemensam dialog där regionerna, företag och TLV träffas tillsammans och diskuterar ett ärende. Överläggningen kan resultera i att regionerna och företaget tecknar ett avtal. Avtalet kan exempelvis innebära en återbäring till staten och regionerna av vad läkemedlet kostar, vilket kan sänka de faktiska kostnaderna och på andra sätt minska osäkerheten för om läkemedlet är kostnadseffektivt. En trepartsöverläggning kan efterfrågas av antingen företag eller regionerna och äger rum om dessa båda parter samtidigt är överens om att ingå i en sådan. Alla regioner fattar gemensamt beslut om man ska delta i en trepartsöverläggning. Besluten tas av den så kallade fullmaktgruppen, där varje region är representerad. TLV gör inte något urval beträffande vilka ärenden som är aktuella för en trepartsöverläggning.

1.2.2 NT-rådet ger rekommendationer till regionerna om nya läkemedel som rekvideras till sjukvården

Sveriges regioner samverkar för att uppnå en jämlik, kostnadseffektiv och ändamålsenlig användning av nya läkemedel, inom regionernas samverkansmodell för läkemedel. I samverkansmodellen ingår Rådet för nya terapier, NT-rådet, som är en expertgrupp med representanter för Sveriges regioner. NT-rådet utser vilka läkemedel som ska omfattas av nationell samverkan och ger rekommendationer om huruvida dessa läkemedel ska användas. Precis som TLV utgår NT-rådet i sina bedömningar från den etiska plattformen för prioritering i hälso- och sjukvården. De flesta läkemedel som omfattas av nationell samverkan genom NT-rådet är läkemedel som rekvideras till sjukvården. För dessa läkemedel ansöker företagen normalt inte om subvention hos TLV och de omfattas därmed inte av läkemedelsförmånerna. För de rekvisitionsläkemedel som omfattas av nationell samverkan tar TLV i regel fram hälsoekonomiska underlag på beställning av NT-rådet. Utvärderingarna görs inom ramen för TLV:s så kallade klinikläkemedelsuppdrag.

Vid behov kan NT-rådet initiera förhandlingar med företag. Målsättningen från regionernas sida är då att i ett avtal nå överenskommelser som gör att behandlingen kan bedömas kostnadseffektiv, baserat på den hälsoekonomiska bedömningen från TLV. Förhandlingen kan resultera i en överenskommelse om villkor för ett avtal. Alla regioner får sedan möjlighet att teckna avtal med dessa villkor.

Förmånsbeslut från TLV och rekommendationer från NT-rådet har betydelse för hur läkemedel utvärderas och används i hälso- och sjukvården. Bedömning om vilka patienter som ska få vilka läkemedel, om behandling ska erbjudas och i vilket skede, görs dock i respektive region och alltså inte av TLV eller NT-rådet.

2 TLV:s metod för genomförande av uppdraget

2.1 Uppdraget genomförs genom en strukturerad metod i flera steg

TLV genomför regeringsuppdraget i sex steg som beskrivs nedan.

1. Kartläggning av samtliga sär läkemedel som hanterats av TLV under perioden 2015–2022
2. Identifiering av ”verktyg”, det vill säga åtgärder som kan innebära en möjlighet att stärka tillgången till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd utan att statens läkemedelskostnader ökar
3. Urval av de mest relevanta verktygen utifrån effekt på antingen tillgänglighet till läkemedel för sällsynta hälsotillstånd eller kostnadsdämpning, och genomförbarhet utifrån svenska förhållanden.
4. Fördjupad analys av verktygens tillämpbarhet, risker, erfarenheter från andra länder, konsekvenser för olika aktörer, med mera.
5. Utveckling av handlingsvägar genom att kombinera verktyg som tillsammans ger positiva effekter.
6. Slutligt förslag på handlingsvägar för att öka tillgången till läkemedel vid sällsynta tillstånd utan att statens läkemedelskostnader ökar, som kan genomföras på kort sikt samt på längre sikt.

I denna delrapport redovisas steg 1, medan steg 2–6 kommer att redovisas i slutrapporten för uppdraget.

2.1.1 Kartläggningen är vägledande för behovet av utveckling

Kartläggningen omfattar en analys av alla sär läkemedel som hanterats av TLV och syftar till att ge en förståelse för hur sär läkemedel hanterats och hur dagens system kring hälsoekonomisk värdering, pris och beslut om subvention förmår tillgängliggöra angelägna sär läkemedel. Viktiga frågeställningar att besvara genom kartläggningen är

- Vad är utfallen av TLV:s förmånsbeslut och NT-rådets rekommendationer för sär läkemedel, samt för sär läkemedel som kan ha en potentiellt stor patientnytta vid tillstånd med hög svårighetsgrad?
- Hur vanligt är det att företag ansöker om förmån mer än en gång för samma läkemedel och indikation?
- Vad karaktäriserar de sär läkemedel TLV utrett, med avseende på svårighetsgrad för tillståndet läkemedlet är avsett för, patientgruppens storlek, läkemedlets kostnad och patientnytta?
- I vilken utsträckning sker förhandling mellan regioner och företag för sär läkemedel?

- Hur stor andel av de sär läkemedel som TLV handlagt har haft försäljning och därmed tillgängliggjorts till patienter?
- Hur ser sär läkemedelsmarknaden ut i Sverige och hur har den förändrats över tid?

2.1.2 Bred inventering av möjliga åtgärder

TLV gör en bred inventering av möjliga åtgärder, ”verktyg”, som kan stärka tillgängligheten till läkemedel vid sällsynta sjukdomar och samtidigt säkerställa att statens läkemedelskostnader inte ökar. En bruttolista sammanställs med tänkbara verktyg baserat på myndighetens egna erfarenheter och utifrån förslag från aktörer som NT-rådet, företrädare för företag och patientföreträdare. TLV har också undersökt arbetssätt kring utvärdering och prissättning av sär läkemedel i andra länder och analyserat arbetssätt som är annorlunda än det svenska för att dra lärdomar och identifiera tänkbara nya arbetssätt i Sverige.

2.1.3 Fördjupad analys av de mest relevanta verktygen för att säkra genomförbarhet

I nästa steg gör TLV ett urval av de mest intressanta verktygen utifrån effekt och genomförbarhet. För dessa görs en fördjupad analys av effekt på tillgänglighet till sär läkemedel eller på kostnadskontroll, utifrån genomförbarhet, samhällsekonomisk effektivitet och fördelning av hälsovinster. Patienters tillgång till behandling och jämlik vård över hela landet kommer att beaktas och konsekvenser för regioner, företag och TLV kommer att analyseras. TLV kommer under processen ha dialog med företrädare för regioner, företag och patienter för att inhämta kunskap och perspektiv. För att förstå förslagen i relation till den etiska plattformen för prioritering har TLV inlett ett samarbete med Prioriteringscentrum. Alla verktyg och processer analyseras med avseende på juridiska konsekvenser för att kunna bedöma om det finns behov av förändringar i nuvarande regelverk.

2.1.4 Utveckling av handlingsvägar och strategi framåt

De utvalda verktygen kombineras slutligen till övergripande handlingsvägar. Viktiga frågeställningar är vilka åtgärder som kan genomföras på kort sikt, inom TLV:s nuvarande befogenheter och nuvarande regelverk, samt vilka åtgärder som är mer övergripande, kan kräva lagförändring och som skulle kunna genomföras på längre sikt.

3 Kartläggning av läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd i Sverige

3.1 Sammanfattning av resultaten från kartläggningen

Antalet läkemedel som klassas som sär läkemedel, eller tidigare haft sär läkemedelsstatus, och som haft försäljning i Sverige har mer än fördubblats de senaste tio åren, från 66 till 140 läkemedel. Samtidigt har försäljningsvärdet för sådana läkemedel ökat mer än fyrfaldigt.

I TLV:s kartläggning, som baseras på alla hälsoekonomiska utredningar och förmånsbeslut TLV genomfört eller inlett för sär läkemedel under perioden 2015–2022, framgår att:

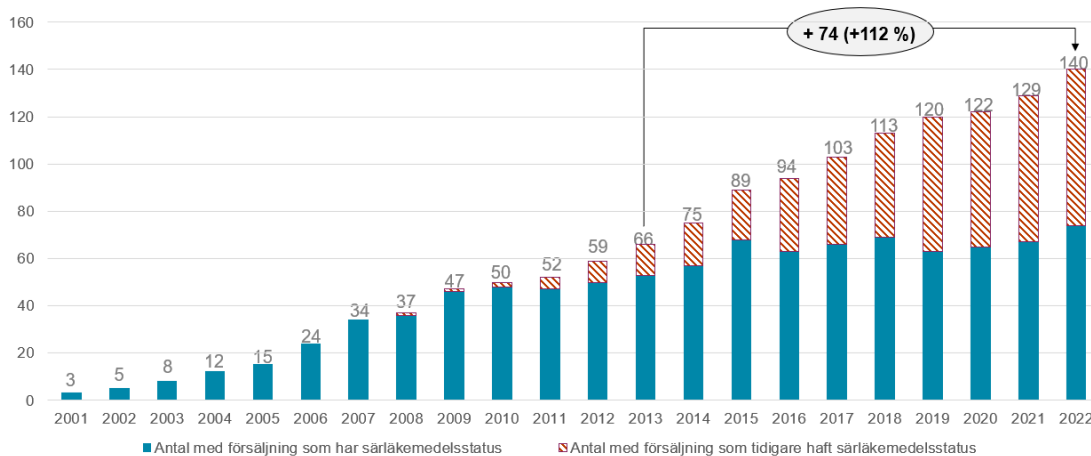
- TLV har handlagt 103 sär läkemedel, av vilka 61 var förmånsansökningar och 42 klinikläkemedel på förfrågan från NT-rådet. Elva av dessa ärenden pågick fortfarande vid tiden för denna analys.
- För omkring två tredjedelar av ärendena (59 av 92 avslutade ärenden) har förmånsansökan bifallits av TLV eller läkemedlet fått positiv rekommendation från NT-rådet.
- För läkemedel vid mycket sällsynta tillstånd, färre än 20 patienter i landet, förefaller en lägre andel ha bifallits jämfört med sär läkemedel för större patientpopulationer.
- Det syns en stor spridning i patientnytta, mätt i antal vunna QALY, samt i kostnad per vunnet QALY bland de sär läkemedel TLV handlagt. Det finns också variationer i den aktuella patientgruppens storlek och i tillståndets svårighetsgrad. Till följd av att företagen prissatt läkemedlen högt, karaktäriseras många sär läkemedel av en betydligt högre kostnad per QALY till företagets ansökta pris, än vad TLV och NT-rådet normalt accepterar.
- TLV har bifallit förmånsansökan för omkring två tredjedelar av de sär läkemedel som är avsedda för tillstånd med hög till mycket hög svårighetsgrad och som bedömts ha stor patientnytta (10 av 15). Avslag till ansökan för sådana läkemedel beror på att priset varit för högt i förhållande till visad nytta – trots hög svårighetsgrad och potentiellt stor patientnytta.
- Förhandlingar mellan regioner och företag är ett viktigt verktyg för att kunna tillgängliggöra sär läkemedel av hög angelägenhetsgrad.
- Under perioden har det förekommit försäljning av en majoritet (15 av 23) av de sär läkemedel för vilka förmånsansökan avslagits eller avskrivits, till följd av att enskilda regioner har valt att använda dessa.

3.2 Bakgrund om utvecklingen av sär läkemedelsmarknaden i Sverige

3.2.1 Antalet läkemedel för behandling av sällsynta hälsotillstånd har ökat i Sverige

Analysen av sär läkemedelsmarknadens utveckling omfattar både läkemedel som förskrivs på recept och som rekvireras till sjukvården. Uppgifter om sär läkemedelsstatus har försäljning har inhämtats från Europeiska kommissionens register Community Register of Orphan Medical Products⁹ och försäljningsdata från E-hälsomyndigheten via statistikverktyget Concise¹⁰

De senaste tio åren har tillgängligheten till läkemedel för behandling av sällsynta hälsotillstånd ökat på den svenska marknaden. Ett sätt att studera detta är genom att analysera utvecklingen av antal och försäljning av sär läkemedelsklassade läkemedel. Vid slutet av år 2022 fanns totalt 140 läkemedel som vid denna tidpunkt eller tidigare hade klassats som sär läkemedel och hade försäljning i Sverige, se Figur 1. Detta är dubbelt så många som vid slutet av år 2012. Av dessa 140 läkemedel hade 74 vid utgången av 2022 fortfarande sär läkemedelsstatus med de marknadsfördelar som följer av detta. Övriga 66 läkemedel hade inte längre sär läkemedelsstatus men kan fortfarande användas för behandling av sällsynta hälsotillstånd.

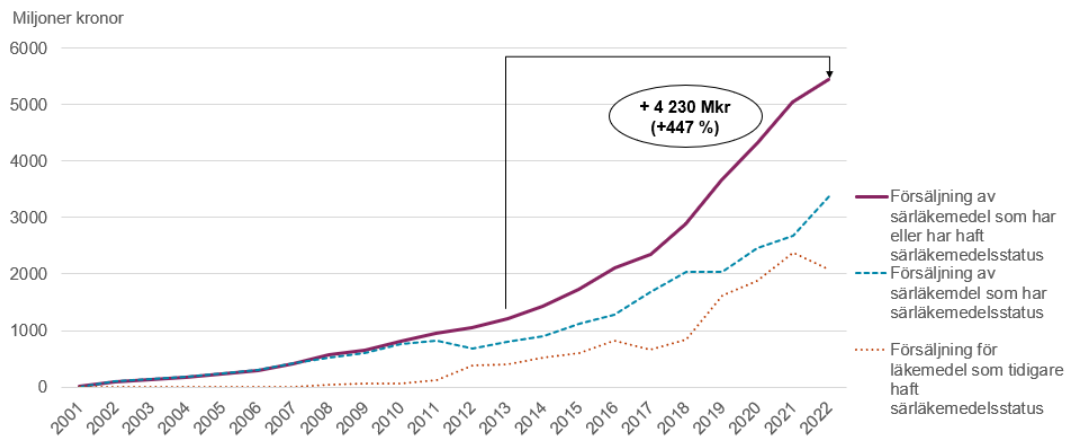


Figur 1. Antal läkemedel som är eller har varit sär läkemedelsklassade med försäljning i Sverige 2001–2022

Under tioårsperioden 2013–2022 ökade försäljningsvärdet för läkemedel som har eller har haft sär läkemedelsstatus mer än fyrfaldigt, se Figur 2. TLV har inte analyserat skälen till ökningen i försäljningsvärde, men tänkbara förklaringar är fler läkemedel, allt högre priser för nya läkemedel och/eller att fler patienter fått tillgång till läkemedlen. Att fler patienter fått tillgång till läkemedel kan bero på att flera indikationer godkänts för samma läkemedel.

⁹ Europeiska kommissionen 2023: Community Register of orphan medicinal products, https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/reg_od_act.htm?sort=n

¹⁰ E-hälsomyndigheten, Statistik och läkemedelsförsäljning (2022) <https://www.ehalsomyndigheten.se/yrkesverksam/statistik-och-lakemedelsforsaljning/>



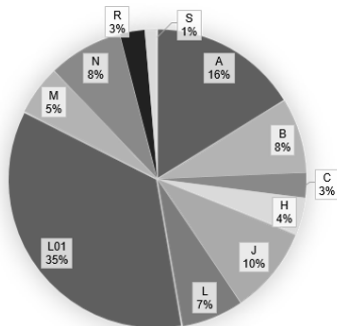
Figur 2. Försäljning i kronor för läkemedel som har eller har haft säräkemedelsstatus.

Kostnaden för de 140 läkemedel som har eller har haft säräkemedelsstatus var år 2022 omkring 5,5 miljarder kr, vilket motsvarar knappt 10 procent av de totala läkemedelskostnaderna i Sverige under detta år. Detta innefattar både läkemedel som förskrivs på recept och som rekvireras direkt till sjukvården.

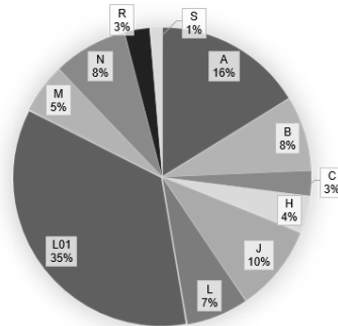
Totalkostnaderna för säräkemedel som har rekvirerats till sjukvården har under de senaste åren varit högre än de som har förskrivits via förmånssystemet. År 2022 utgjorde de läkemedel som rekvirerats ungefär två tredjedelar av försäljningsvärdet. Dessa kostnader finansieras direkt av regionerna och täcks inte av det statliga läkemedelsbidraget. Det är dock viktigt att tydliggöra att ovanstående siffror baseras på apotekens försäljningspris (AUP). Den kostnadsdämpande effekt från avtal mellan regionerna och företagen som finns för vissa säräkemedel, både sådana som ingår i förmånerna och som rekvireras till sjukvården, inkluderas därför inte här.

Som framgår av Figur 3 är omkring en tredjedel av de säräkemedel som har försäljning i Sverige avsedda för behandling av olika cancerformer (ATC-kod L01). Cancerläkemedel stod för omkring hälften av försäljningsvärdet av säräkemedel.

Fördelning av antal sär läkemedel som har försäljning i Sverige uppdelat per ATC-kod



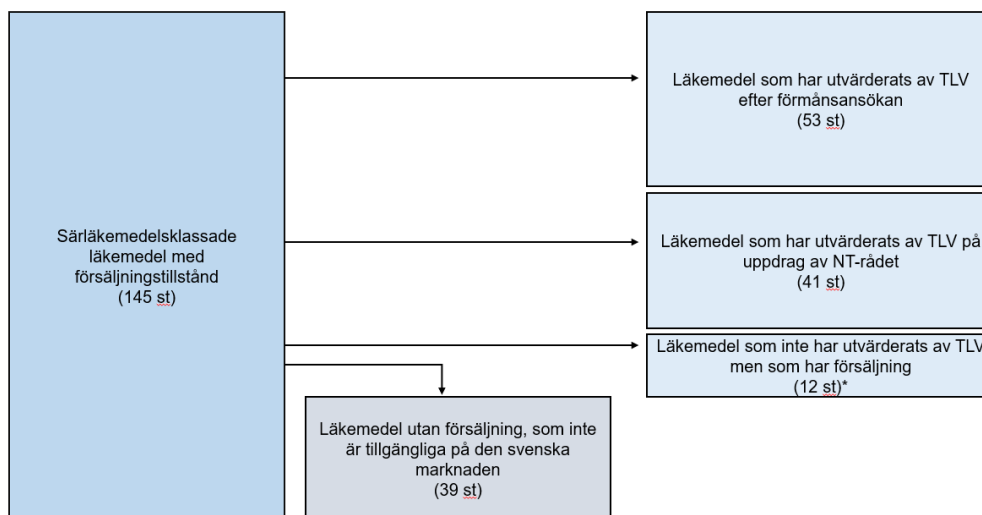
Fördelning av försäljningsvärde baserat på apotekens försäljningspris (AUP) för sär läkemedel, uppdelat per ATC-kod



Figur 3. Fördelning av sär läkemedel (antal och försäljningsvärde) uppdelat per ATC-kod. Båda diagrammen avser status i december 2022 för läkemedel som vid denna tidpunkt klassades som sär läkemedel. Avtal mellan företag och regionerna för några av de största produkterna försäljningsmässigt innebär att den verkliga försäljningsfördelningen är okänd.

3.2.2 Omkring två tredjedelar av de sär läkemedelsklassade läkemedel som var godkända för försäljning i EU 2022 har utvärderats av TLV

I december 2022 hade 145 sär läkemedelsklassade läkemedel försäljningstillstånd i EU. Av dem hade 106 (73 %) i någon mån bedömts intressanta utifrån den svenska marknaden – genom att företaget ansökt om förmån, genom regionernas process för nationellt ordnat införande eller genom att enskilda regioner bedömt att de ska finansieras och användas utan att TLV genomfört hälsoekonomisk utvärdering, se Figur 4.



Figur 4: Status december 2022 för sär läkemedel med försäljningsgodkännande i EU¹¹.

* Åtta av dessa var rekvisionsläkemedel som hanterats enligt rutin i en eller flera regioner, fyra var läkemedel som förskrivits på recept men där företaget inte ansökt om förmån

Källa: Community Register of Orphan Medical Products, E-hälsomyndigheten, TLV och FASS

¹¹ Skillnader mellan Figur 5 och Figur 6 i antal läkemedel som handlagts av TLV beror på att Figur 5 endast omfattar läkemedel med försäljningsgodkännande och sär läkemedelsstatus i december 2022, medan Figur 6 omfattar läkemedel som hade sär läkemedelsstatus vid tidpunkten för TLV:s handläggning.

Region Västerbotten, Region Örebro län och Region Skåne har i en gemensam rapport analyserat tillgängligheten till sär läkemedel under åren 2017–2021¹². I rapporten redovisas en rad förklaringsfaktorer till varför sär läkemedel används eller inte används. Den ger exempel på sär läkemedel som inte har försäljning i Sverige bland annat på grund av att det saknas patienter som behöver behandling, att det finns andra behandlingsalternativ, eller att avvägningar som kliniskt mervärde och evidens vid tidpunkten för godkännande påverkat att man inom sjukvården valt att inte använda läkemedlet. Ytterligare en förklaringsfaktor är att behandlingen inte bedömts kostnadseffektiv av TLV eller NT-rådet. Författarna drar slutsatsen att viktiga förutsättningar för ett snabbt tillgängliggörande till patienter bygger på att hälso- och sjukvården bedömer att läkemedlet är relevant utifrån patientens behov, att behandlingen är i linje med behandlingsriktlinjer och att kostnaden är rimlig i relation till nyttan.

Analys av den faktiska tillgängligheten till läkemedel i ett land är komplext och det är svårt att dra övergripande slutsatser. För att få en god förståelse av skälen till beslut om användning av läkemedel behöver varje fall granskas för sig. TLV:s kartläggning som redovisas i nästa stycke fokuserar på förmånsbeslut eller nationella rekommendationer, som är en viktig faktor för jämlik tillgänglighet till läkemedel.

3.3 Kartläggning av TLV:s sär läkemedelsärenden

3.3.1 TLV:s metod och vägval för kartläggningen

TLV har genomfört en kartläggning av de läkemedel för behandling av sällsynta hälsotillstånd som handlagts av TLV de senaste åren. Med utgångspunkt i kartläggningen kommer TLV analysera om, och i så fall i vilka situationer det finns skäl att stärka tillgången till sådana läkemedel. Utfallet från kartläggningen kommer även att användas i analys av verktyg och handlingsvägar som kan utveckla tillgången till angelägna läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd.

I kartläggningen har TLV gjort följande vägval:

- Kartläggningen baserar sig på läkemedel med godkännande för försäljning som vid tidpunkten för TLV:s ärende hade sär läkemedelsstatus enligt EU:s regelverk för sär läkemedel. Det innebär att vissa av dessa kan ha förlorat sin sär läkemedelsstatus efter att TLV utredde dem. Läkemedlen som omfattas av kartläggningen benämns fortsättningsvis ”sär läkemedel”.
- Både läkemedel som går via förmånssystemet (det vill säga förskrivs på recept) och läkemedel som rekvireras till sjukvården omfattas av kartläggningen, eftersom en stor andel sär läkemedel är rekvisitionsläkemedel. Vissa fördjupade analyser har dock gjorts enbart för sär läkemedel som varit föremål för förmånsansökan.
- Kartläggningen syftar huvudsakligen till att belysa vilka förmånsbeslut TLV fattat och vilka rekommendationer NT-rådet avgivit för sär läkemedel. TLV har därför inte analyserat hur läkemedlen använts efter att TLV eller NT-rådet

¹² Region Västerbotten, Region Örebro Län, Region Skåne 2023: Tillgängliggörande av sär läkemedel i svensk hälso- och sjukvård

fattat sina beslut. Kartläggningen omfattar inte försäljningsvolym eller analyser av jämlik tillgång till läkemedlen.

- I uppdragsdirektivet framgår att TLV ska kartlägga subventionsbeslut för de senaste åren. TLV bedömer att en relevant tidsperiod för detta är 2015–2022, eftersom det omfattar den period som i stor utsträckning avspeglar dagens förutsättningar, med möjlighet till trepartsöverläggningar och regionernas samarbete genom samverkansmodellen för läkemedel.

I redovisningen av kartläggningen avses med bifall till förmånsansökan både beslut om generell subvention och beslut om begränsad subvention. Det förekommer att företag under TLV:s utredning väljer att dra tillbaka sin förmånsansökan. Sådana avskrivna ärenden är också inkluderade i kartläggningen och redovisas här tillsammans med avslag till förmånsansökan, eftersom ansökan inte lett till att läkemedlet inkluderas i förmåner. Kartläggningen innehåller också påbörjade ärenden, det vill säga där TLV eller NT-rådet ännu inte fattat beslut.

Källor till kartläggningen är TLV:s beslut och underlag till beslut, TLV:s egna uppgifter om genomförda trepartsöverläggningar, NT-rådets rekommendationer¹³ samt regionernas uppgift om läkemedel som omfattas av avtal¹⁴. Uppgifter om försäljning är hämtade från E-hälsomyndigheten och uppgifter om vilka läkemedel som haft sär läkemedelsstatus kommer från Community register of orphan medical products¹⁵.

3.3.2 Huvuddelen av nya sär läkemedel har bifall till förmån eller positiv rekommendation

I sina hälsoekonomiska utvärderingar använder TLV en värdebaserad prissättningsmodell, vilket innebär att TLV utreder om kostnaden för användning av läkemedlet står i relation till visad nytta med behandlingen. Denna utredning ligger till grund för TLV:s förmånsbeslut. För rekvisitionsläkemedel värderar NT-rådet kostnaden i relation till nyttan inför beslut om rekommendation till regionerna, utifrån från den hälsoekonomiska bedömning TLV gjort inom klinikläkemedelsuppdraget. Om det pris som företaget ansöker om för läkemedlet är för högt i relation till nyttan avslår TLV företagens förmånsansökan. På motsvarande sätt rekommenderar NT-rådet i en sådan situation regionerna att avstå från att använda läkemedlet.

Sedan 1 januari 2015 och fram till 1 december 2022 har TLV genomfört eller påbörjat hälsoekonomiska utredningar och bedömningar för 103 sär läkemedel, se Figur 5. TLV genomförde 61 hälsoekonomiska bedömningar efter att företaget ansökt om förmån hos TLV (förmåns läkemedel) och biföll omkring 60 procent av dessa. Andelen bifall för läkemedel som inte är sär läkemedelsklassade under samma period var högre, omkring 80 procent.

¹³ NT-rådet: Rekommendationer (2022)

<https://janusinfo.se/nationelltinforandeavlakemedel/rekommendationer.4.728coe316219da813569b2c.html>

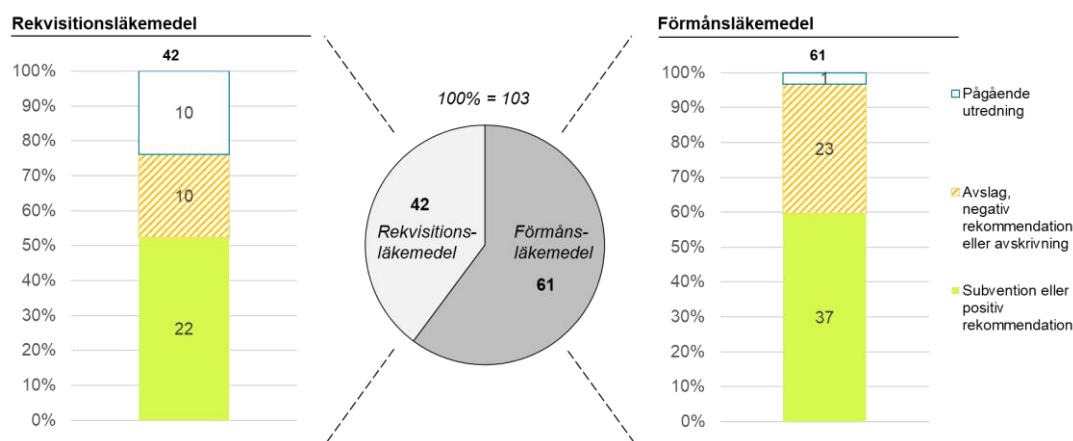
¹⁴ Regionernas samverkansmodell för läkemedel (2022)

<https://janusinfo.se/nationelltinforandeavlakemedel/avtal.4.728coe316219da813569b23.html> (2022-02-20)

¹⁵ Europeiska kommissionen 2023: Community Register of orphan medicinal products,

https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/reg_od_act.htm?sort=n

TLV har genomfört eller påbörjat 42 hälsoekonomiska bedömningar inom ramen för klinikläkemedelsuppdraget efter förfrågan från NT-rådet. Av dessa har 32 hittills utgjort underlag till rekommendationer från NT-rådet. Två tredjedelar var positiva rekommendationer (rekommendation till regionerna att använda läkemedlet) och en tredjedel var negativa rekommendationer (rekommendation att *inte* använda läkemedlet). Vid tidpunkten för kartläggningen var åtta hälsoekonomiska bedömningar inom klinikläkemedelsuppdraget inte avslutade och för två ärenden hade TLV:s bedömning avslutats men NT-rådet hade ännu inte fattat beslut om rekommendation.



Figur 5. Fördelning av TLV:s sär läkemedelsärenden 2015–2022. Beslut och rekommendationer visas som det senaste beslutet för respektive läkemedel. Urval: Sär läkemedelsärenden hos TLV 2015–2022.

3.3.3 Vissa läkemedel som inte omfattas av förmånerna används ändå TLV har avslagit eller avskrivit förmånsansökan för 23 läkemedel under den utvärderade perioden, se Figur 5. Av dessa har 15 ändå haft försäljning, vilket framgår i Tabell 1. TLV fattar sina beslut på gruppnivå, utifrån hela den patientpopulation som förmånsbeslutet avser. Det finns möjlighet för enskilda regioner att tillämpa undantagshantering för läkemedel som inte ingår i förmånerna. Det innebär att regionen bekostar ett läkemedel för en enskild patient, utifrån en bedömning att läkemedlet uppfyller ett angeläget medicinskt behov, att behandlingsalternativ saknas och läkemedlet bedöms kostnadseffektivt i det enskilda fallet. Bland de 15 läkemedel som haft försäljning trots avslag, var 8 avsedda för behandling av tillstånd som av TLV bedömts ha hög eller mycket hög svårighetsgrad.

Av de tio läkemedel som NT-rådet rekommenderat regionerna att avstå från att använda förekommer försäljning för sex stycken. För tre av dessa beror detta på att NT-rådet medger undantag från sin avrådan utifrån vissa förutsättningar som anges i rekommendationen. Det gäller när NT-rådet bedömer behandlingen som oundgänglig. Användning rekommenderas då ske enligt specifika kriterier i rekommendationen och i vissa fall efter bedömning av ett nationellt behandlingsråd.

Tabell 1: Sär läkemedel som haft försäljning under perioden 2015–2022. Antal och typ av beslut eller rekommendation.

Urval: Sär läkemedelsärenden hos TLV 2015–2022.

Beslutstyp	Antal läkemedel	Antal läkemedel med försäljning
Generell subvention	21	20
Subvention med förmånsbegränsning	16	16
Pågående förmånsansökan	1	1
Avslag/avskrivning	23	15
Klinikläkemedel positiv rekommendation	22	21
Klinikläkemedel negativ rekommendation	10	6
Klinikläkemedel pågående utvärdering	10	2
Totalt	103	81

Att läkemedel som ingår i läkemedelsförmånerna inte har någon försäljning kan förklaras av att TLV fattade beslut om subvention under 2022 och förskrivningen inte hunnit komma i gång vid tidpunkten för denna sammanställning. När det gäller mycket små patientpopulationer, kan det förekomma att det vid tillfället för förmånsbeslut eller rekommendation inte finns några patienter som är aktuella för behandling i landet.

3.3.4 I vissa fall har företag ansökt om förmån flera gånger för samma läkemedel

Rapporten om tillgängliggörande av sär läkemedel från januari 2023¹⁶ visar att det är stora variationer i tid till ett bifallsbeslut eller positiv rekommendation. Författarna har även analyserat vad som påverkar tiden från att ett läkemedel får marknads godkännande i EU tills att det börjar förskrivas och användas och konstaterar att en rad faktorer spelar in. Exempelvis varierar tiden från marknads godkännande till dess att företag väljer att ansöka om förmån eller skickar in ett komplett hälsoekonomiskt underlag till TLV. Andra faktorer är antalet handläggningsdagar för TLV:s utredning¹⁷, om förmånsansökan avslagits och företaget har ansökt på nytt, hur lång tid som regionerna och företaget behöver för förhandling och överenskommelse om avtalsvillkor, samt tiden för regionerna att förbereda och genomföra införande av läkemedlet.

Exempel på när en förmånsansökan som tidigare har fått avslag kan bifallas vid ny ansökan, är när företaget ansöker med lägre pris, att en lägre kostnad kan åstadkommas genom en sidoöverenskommelse mellan regioner och företag, eller att företaget kompletterat sin ansökan med data som stärker evidensen för nyttan av behandlingen och som därmed kan motivera det tidigare ansökta priset.

Att företag ansöker om förmån flera gånger för samma läkemedel får konsekvensen att processen från första ansökan till ett positivt förmånsbeslut tar längre tid än vad det gör om den första ansökan bifalls. TLV:s kartläggning visar att av de 37

¹⁶ Region Västerbotten, Region Örebro Län, Region Skåne 2023: Tillgängliggörande av sär läkemedel i svensk hälso- och sjukvård

¹⁷ Enligt förordningen (2022:687) om läkemedelsförmåner m.m. ska TLV inom 180 dagar från det att en förmånsansökan inkom meddela sitt beslut. För klinikläkemedel finns ingen sådan begränsning, och TLV:s utredningar kan därför ibland ta längre tid.

förmånsansökningar där TLV beslutat om bifall, har drygt hälften (21) bifallits efter första ansökan och åtta bifallits efter två ansökningar. I ett fall ansökte företaget om förmån fem gånger innan kostnaden i relation till nyttan av behandlingen bedömdes som rimlig.

3.3.5 En mindre andel sär läkemedel för riktigt små patientgrupper har fått ett positivt beslut jämfört med sär läkemedel riktade till större grupper

Av de drygt hundra sär läkemedel som TLV handlagt under perioden var 23 avsedda för behandling av en patientgrupp om färre än 20 patienter i landet, se Tabell 2. Av dessa fick 10, det vill säga färre än hälften, bifall till förmånsansökan av TLV eller positiv rekommendation av NT-rådet. Det kan jämföras med hela den analyserade gruppen sär läkemedel, oavsett patientgruppens storlek, för vilka omkring två tredjedelar av besluten bifölls eller fick en positiv rekommendation.

Tabell 2: Antal sär läkemedel som hanterats av TLV i relation till den förväntade patientpopulationens storlek i Sverige.

Antal bifall till subvention (för förmåns läkemedel) eller positiv rekommendation (för klinik läkemedel) anges inom parentes. Urval: Sär läkemedels ärenden hos TLV 2015–2022. Patientpopulationens storlek baseras för förmåns läkemedel på uppgift i TLV:s underlag till beslut och för klinik läkemedel på uppgift i NT-rådets rekommendation.

Patientpopulationens storlek	Förmåns läkemedel, antal (bifall)	Klinik läkemedel, antal (positiv rek.)	Totalt
0 - 20	10 (3)	13 (7)	23 (10)
20 - 50	10 (6)	1	11 (6)
50 - 200	16 (13)	9 (8)	25 (21)
200 - 1000	15 (11)	8 (7)	23(18)
1000 - 5000	5 (4)	1	6 (4)
Uppgift saknas/pågående utredning	5	10	15
Totalt	61(37)	42(22)	103 (59)

3.3.6 Många sär läkemedel är högt prissatta, även med hänsyn till patientnytta

TLV:s hälsoekonomiska utvärderingar grundas i många fall på en kostnadsnyttoanalys, där företaget inkommer med en hälsoekonomisk modell som TLV granskar och justerar vid behov. I vissa fall, när ett behandlingsalternativ med jämförbar medicinsk effekt finns, gör TLV i stället en kostnadsjämförelse mot detta alternativ. Nedanstående analys baseras på de sär läkemedel som utvärderats med en fullständig kostnadsnyttoanalys. Både förmånsansökningar och klinik läkemedel omfattas.

Faktaruta: Hälsoekonomiska begrepp

QALY - kvalitetsjusterat levnadsår (Quality Adjusted Life Year) är ett generiskt mått som kombinerar två dimensioner av hälsa: livslängd och hälsorelaterad livskvalitet. QALY möjliggör jämförelser mellan olika terapiområden eftersom det inte är sjukdomsspecifikt, och, som namnet antyder, justerar måttet återstående livslängd för en patient för den livskvalitet som patienten har under livslängden.

QALY beräknas genom att multiplicera livslängd med livskvalitet (på en skala mellan 0 och 1). Ett år levt med perfekt hälsa motsvarar 1 QALY, medan 0 QALY motsvarar död. Detta innebär att 1 vunnit QALY från ett läkemedel kan uppnås antingen genom att livslängden förlängs när läkemedlet ges eller genom att den livskvaliteten ökar vid behandling, eller bådadera. Nedan visas tre räkneexempel som alla motsvarar 1 vunnit QALY:

Exempel 1: 2 vunna levnadsår*0,5 i livskvalitetsnivå=1 QALY

Exempel 2: 5 vunna levnadsår*0,2 i livskvalitetsnivå=1 QALY

Exempel 3: 10 års livstid*0,1 ökning i livskvalitet=1 QALY

Exemplen illustrerar att 1 vunnit QALY kan uppnås genom väldigt olika effekter på livskvaliteten och livslängd och att patientnyttan i form av ökad livskvalitet och förlängt liv kan variera kraftigt trots att samma QALY-effekt uppnås.

Antal vunna QALY har i TLV:s kartläggning valts som riktmärke för patientnytta, eftersom det är ett mått som kan användas för att göra jämförelser mellan olika behandlingar. Måttet ska dock tolkas med försiktighet. Det finns alltid osäkerheter förknippade med den skattade QALY-vinsten för ett enskilt läkemedel. Det kan bero på olika saker, till exempel hur väl validerat utfallsmåttet i de kliniska studierna är, hur väl man har skattat patienternas livskvalitet i olika stadier av sjukdomen och hur bra överlevnadsvinsten går att förutsäga från resultaten i en kortvarig klinisk studie. Sådana osäkerheter kan vara särskilt stora för sällsynta läkemedel, eftersom det kan vara svårare att genomföra kliniska studier i små patientpopulationer.

Val av jämförelsealternativ

I TLV:s riktlinjer till ansökande företag anges att det mest kostnadseffektiva av de i Sverige tillgängliga och kliniskt relevanta behandlingsalternativen ska utgöra jämförelsealternativ. I det specifika fallet är det många gånger inte givet vad som är den kostnadseffektiva och samtidigt kliniskt relevanta behandlingen, och därför utreder TLV noga vad som ska vara jämförelsealternativ.

ICER – inkrementell kostnadseffektivitetskvot (Incremental Cost-Effectiveness Ratio), är en kvot mellan skillnaden i kostnad för en ny behandling jämfört med jämförelsealternativet och skillnaden i antalet vunna QALY för en ny behandling jämfört med jämförelsealternativet.

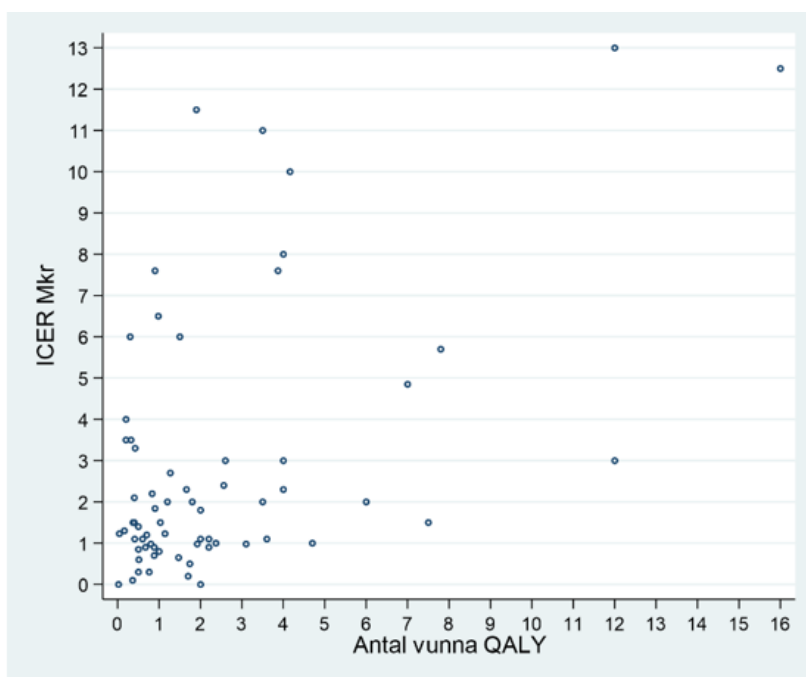
ICER beräknas enligt ekvation 1 nedan. Eftersom kostnaden för det nya läkemedlet eller behandlingen sätts i relation till hur stor patientnytta det ger upphov till, där patientnyttan kan mätas som antalet vunna QALY:s, innebär det att läkemedel som ger upphov till stor patientnytta också tillåts att kosta mer.

$$\text{Ekvation 1: } ICER = \frac{\text{Kostnad}_{\text{nytt}} - \text{Kostnad}_{\text{jämförelse}}}{\text{QALY}_{\text{nytt}} - \text{QALY}_{\text{jämförelse}}}$$

Figur 6 beskriver de utvärderingar av förmånsansökningar eller klinikläkemedel för vilka TLV gjort en kostnadsnyttoanalys. Utvärderingarna är i diagrammet beskrivna som kostnaden per vunnet QALY (ICER) (y-axeln), i relation till antal vunna kvalitetsjusterade levnadsår (QALY) (x-axeln). Antalet vunna QALY används här som ett mått på patientnytta, men ska tolkas med försiktighet, se faktarutan på föregående sida.

Analysen visar att det finns en stor variation i både behandlingsnytta och ICER. Eftersom läkemedlen ofta är högt prissatta blir många gånger kostnaden per vunnen hälsovinna betydligt högre än vad TLV kan acceptera, även i de fall där behandlingsnyttan är stor.

Det är viktigt att notera att de värden på ICER som redovisas i TLV:s kartläggning är uteslutande baserade på apotekens försäljningspris (AUP), det vill säga priset på läkemedlet utan en eventuellt förhandlad återbäring mellan företag och regioner.



Figur 6. ICER baserat på ansökt pris (AUP) i relation till antal vunna QALY enligt TLV:s grundscenario för 68 förmåns- och klinikläkemedel som utvärderats genom kostnadsnyttoanalys. Urval: Särskilda läkemedelsärenden hos TLV 2015–2022. När TLV i sin utvärdering presenterat flera grundscenarier eller endast gjort en känslighetsanalys, har medelvärde för ICER använts. Ett läkemedel med ICER över 20 Mkr har uteslutits ur diagrammet

Enligt förmånslagen ska ett läkemedel inkluderas i förmåner om kostnaderna för användning av läkemedlet framstår som rimliga från medicinska, humanitära, och samhällsekonomiska synpunkter. TLV:s och NT-rådets beslutsprinciper innebär att för ett sjukdomstillstånd med högre svårighetsgrad, accepteras en högre ICER. Av de 68 läkemedlen i Figur 6, var 37 avsedda för tillstånd som TLV eller NT-rådet bedömde ha mycket hög svårighetsgrad och 22 för tillstånd som bedömdes ha hög svårighetsgrad.

En genomgång av beslut från TLV visar att TLV vanligen accepterar en ICER på omkring en miljon kronor för läkemedel som är avsedda för att behandla tillstånd av mycket hög svårighetsgrad. NT-rådet tillämpar en liknande högsta nivå¹⁸. Under vissa förutsättningar, vid ett mycket sällsynt tillstånd, kan TLV och NT-rådet överväga att acceptera en högre kostnad. Den högsta ICER som TLV hittills accepterat i ett förmånsbeslut för ett läkemedel vid ett mycket sällsynt tillstånd är 2 miljoner kronor per vunnet QALY¹⁹. I Figur 6 framgår att en andel av sär läkemedlen, trots en hög QALY-vinst, hade ICER som i stor utsträckning överskred gräsen för vad TLV och NT-rådet normalt accepterar. Det beror på att det pris som företaget har satt för läkemedlet också är mycket högt. Av de 68 läkemedel som visas i figuren, hade 70 procent en ICER över 1 miljon kronor baserat på priset utan eventuell förhandlad återbäring.

3.3.7 TLV har beviljat förmån för många sär läkemedel med potentiellt stor patientnytta vid tillstånd med hög svårighetsgrad

TLV har analyserat utfallet av de förmånsansökningar för sär läkemedel som utretts med kostnadsnyttoanalys och är avsedda för tillstånd med hög eller mycket hög svårighetsgrad samt ger mer än ett (1) vunnet QALY. Detta är inte en avgränsning TLV använder i praktiken men har valts för den här analysen för att få ett urval av läkemedel som skulle kunna innebära en betydande patientnytta och en hög angelägenhetsgrad.

Av dessa läkemedel beslutade TLV om bifall för två tredjedelar (10 av 15). Detta är omkring samma andel som bifallits för hela gruppen sär läkemedel. Bland de 5 som inte bifallits, hade alla utom ett (1) en ICER beräknad till över 2 miljoner kronor, varav 2 hade en ICER över 5 miljoner kronor, det vill säga långt över de nivåer som TLV accepterar för att kostnaden ska vara rimlig i relation till nyttan.

3.3.8 Vissa läkemedel har en låg eller osäker patientnytta

Utifrån systemet med värdebaserad prissättning måste kostnaden för en behandling stå i relation till hälsovinsten. Även om det utifrån sjukdomens svårighetsgrad kan verka angeläget att bifalla ett nytt läkemedel, har vissa läkemedel som TLV utvärderat haft en låg eller osäker patientnytta i relation till relevant jämförelsealternativ, vilket kan ha lett till avslag på förmånsansökan om priset inte står i relation till nyttan.

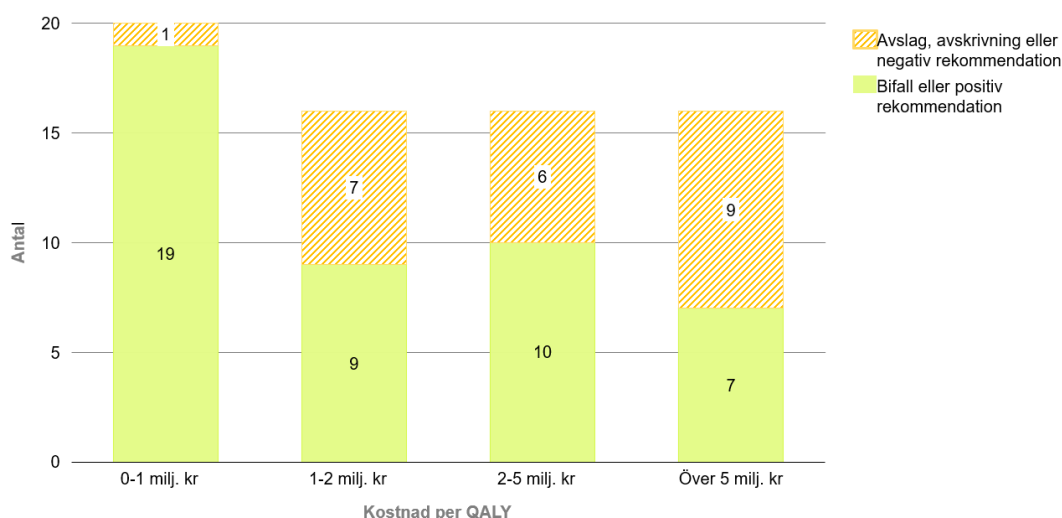
I TLV:s kartläggning finns fall då TLV har gjort bedömningen att det inte går att styrka att det utvärderade läkemedlet är bättre än jämförelsealternativet eller har en effektfördel för den ansökta patientpopulationen. I några av dessa situationer har läkemedlen varit avsedda för tillstånd med hög till mycket hög svårighetsgrad. Exempel på situationer med hög osäkerhet är att behandlingseffekten utvärderats i oblindade kliniska studier utan kontrollgrupp, eller att det saknas kliniska studiedata för långtidseffekten av behandlingen.

¹⁸ Uppgift från NT-rådets ordförande Gerd Lärfars, 2023-03-09.

¹⁹ Omprövning av beslut inom förmånssystemet, Cerezyme TLV dnr 1967/2015 samt Omprövning av beslut inom förmånssystemet, Vpriv, TLV dnr 1970/2015

3.3.9 Förhandlingar är ett viktigt verktyg för att kunna tillgängliggöra angelägna läkemedel

Figur 7 visar att i vissa fall har TLV bifallit förmånsansökan eller NT-rådet rekommenderat användning av läkemedel som till företagets ansökta pris har en betydligt högre ICER än TLV och NT-rådet accepterar. I samtliga dessa fall har företag och regioner förhandlat om ett avtal som innebär att kostnaden för användningen av läkemedlet minskat och som gjort att TLV eller NT-rådet bedömt att kostnaden står i rimlig relation till visad nytta. Förhandling har alltså varit ett viktigt verktyg som möjliggjort tillgängliggörande av dessa läkemedel.



Figur 7. Fördelning av kostnad per QALY (ICER) för 68 sär läkemedel som utvärderats av TLV genom kostnadsnyttoanalys. Beräkningen av ICER är baserad på TLV:s grundscenari och företagets ansökta pris (AUP), det vill säga priset utan eventuellt avtalad återbäring. Bifall till förmånsansökan eller positiva rekommendationer har åstadkommit genom förhandling till ett sekretessbelagt pris som resulterat i att ICER minskat till en lägre nivå än den som syns i diagrammet och som av TLV/NT bedömts vara rimlig, givet tillståndets svårighetsgrad. Urval: Sär läkemedelsärenden hos TLV 2015–2022. När TLV i sin utvärdering beräknat ICER som flera grundscenarier eller endast gjort en känslighetsanalys, har medelvärde för ICER använts

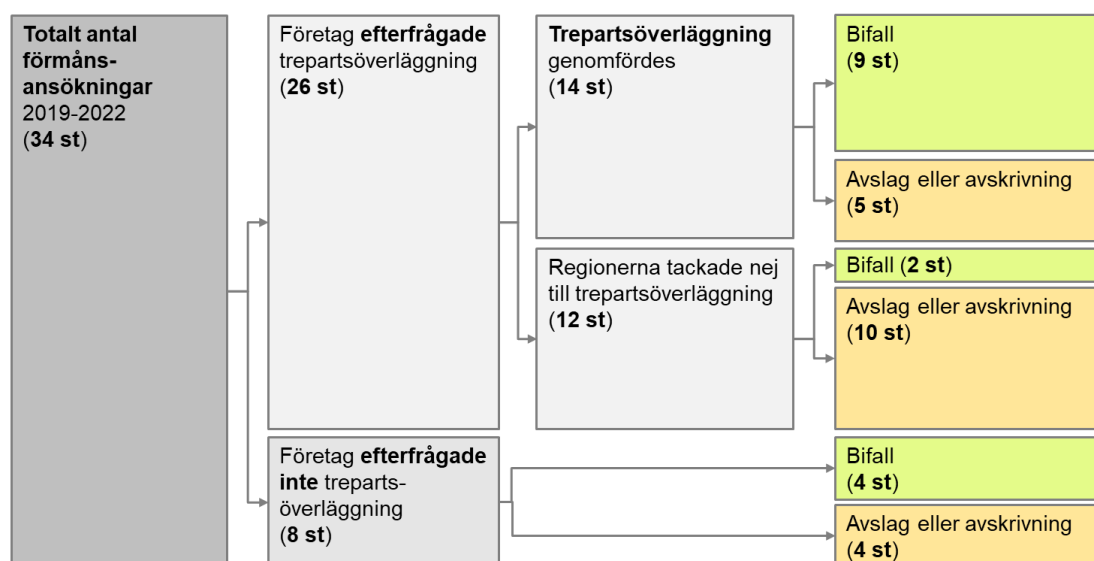
Figur 7 visar att förhandling är ett viktigt verktyg när läkemedel prissätts så högt att kostnaden inte står i relation till nyttan. Det finns skillnader mellan förmåns- och klinisk läkemedel i processerna för att åstadkomma förhandlingar, som sannolikt påverkar förutsättningarna att åstadkomma avtal som kan leda till att TLV eller NT-rådet bedömer kostnaden för läkemedelsbehandlingen som rimlig i relation till nyttan. Nedan beskrivs några av dessa skillnader.

Företag ansöker om förmån hos TLV, medan NT-rådet utser de läkemedel som omfattas av nationell samverkan och utreds inom klinisk läkemedelsuppdraget. Läkemedel för nationell samverkan utses mot bakgrund av flera kriterier, bland annat att jämlik användning av det nya läkemedlet bedöms viktig²⁰. Redan i detta skede sker alltså ett urval. TLV måste utreda alla förmånsansökningar som inkommer till myndigheten, oavsett hur relevant läkemedlet är för sjukvården.

²⁰ Regionernas samverkansmodell för läkemedel: Urval (2021-03-18)
<https://janusinfo.se/nationelltinforandeavlakemedel/saarbetarvi/arkiv/beslutomsamverkan.5.4771ab7716298ed82ba97add.html>

Enligt förordningen om läkemedelsförmåner m.m.²¹ måste TLV:s beslut fattas inom 180 dagar från det att en fullständig förmånsansökan inkommit. En eventuell trepartsöverläggning och förhandling om avtal behöver ske parallellt med utredningen och slutföras inom dessa 180 dagar. För klinikläkemedel som hanteras av NT-rådet finns ingen begränsning i hur länge en förhandling eller utredning kan pågå. För förmånsläkemedel fattar dessutom regionerna beslut om medverkande i trepartsöverläggning i ett tidigt skede av TLV:s utredning, medan NT-rådet beslutar om att starta en förhandling först när man mottagit en fullständig hälsoekonomisk värdering från TLV och baserat på denna har gjort en bedömning av vilken den acceptabla prisnivån för läkemedlet är. NT-rådet har alltså mer information inför beslutet att inleda en förhandling än vad regionerna har när beslut om medverkan i trepartsöverläggning ska fattas²².

För att ytterligare förstå förutsättningarna för förhandlingar för förmånsläkemedel har TLV kartlagt förekomst av trepartsöverläggningar för säräkemedel, se Figur 8. Denna del av kartläggningen baseras på säräkemedel för vilka företagen ansökt om förmån under åren 2019–2022. För de förmånsansökningar där trepartsöverläggningar genomfördes, fick en högre andel positivt förmånsbeslut, jämfört med de ärenden där förhandling inte genomfördes. Av de 14 säräkemedel för vilka förhandling genomfördes bifölls förmånsansökan för omkring två tredjedelar, jämfört med omkring en tredjedel av de 20 ansökningar där förhandlingar inte genomfördes.



Figur 8. Översikt över alla säräkemedel som hanterats 2019–2022, med avseende på genomförd trepartsöverläggning med förhandling. Urval: Förmånsansökningar för alla säräkemedel som utretts 2019–2022. För några läkemedel har flera ansökningar utretts under perioden. Bilden visar endast utfallet av TLV:s senaste utredning och beslut för respektive läkemedel

²¹ Förordning (2022:687) om läkemedelsförmåner m.m.

²² Regionernas samverkansmodell för läkemedel, Förhandling och upphandling (2022-10-27), <https://janusinfo.se/nationellinforandeavlakemedel/saarbetarvi/arkiv/forhandlingochupphandling.5.4771ab7716298ed82ba97d4d.html>

Regionerna värderar hur angeläget det är att medverka i trepartsöverläggningar från fall till fall. Faktorer som värderas är exempelvis ICER i företagets grundscenario, eftersom det ger en vägledning om det är realistiskt att åstadkomma en tillräcklig återbäring i en förhandling, liksom TLV:s preliminära hälsoekonomiska bedömning²³. Enligt uppgift från regionernas gemensamma marknadsfunktion inom samverkansmodellen för läkemedel²⁴, bedömer regionerna dessutom att det ibland kan vara utmanande att hinna genomföra en förhandling inom de 180 dagar som en förmånsansökan behöver hanteras. Ställningstagande till beslut att ingå i förhandling påverkas också av hur stort behovet av läkemedlet bedöms vara, exempelvis om det finns behandlingsalternativ.

Av de 10 läkemedel som regionerna tackade nej till trepartsöverläggning för och som därefter avskrevs eller avslogs, se Figur 8, fanns fem där TLV bedömt svårighetsgraden som mycket hög. För tre läkemedel uppskattade TLV att QALY-vinsten var större än 1, vilket indikerar en stor patientnytta. Inom denna grupp fanns således läkemedel som skulle kunna innebära ett viktigt behandlingsalternativ för patienter, men det kan också ha funnits läkemedel som regionerna kan ha bedömt som mindre relevanta och därför inte prioriterat att medverka i trepartsöverläggning kring.

²³ Regionernas samverkansmodell för läkemedel, Förhandling och upphandling (2022-10-27), <https://janusinfo.se/nationelltinforandeavlakemedel/saarbetarvi/arkiv/forhandlingochupphandling.5.4771ab7716298ed82ba97d4d.html>

²⁴ Information från Marknadskoordinator Lena Gustafsson, Regionernas samverkansmodell, 2023-02-17.

4 Nästa steg i uppdraget

Utifrån TLV:s kartläggning som presenteras i denna delrapport kan TLV konstatera att dagens system i många delar fungerar väl. Omkring två tredjedelar av de läkemedel TLV utrett ingår i förmånerna eller har positiv rekommendation från NT-rådet. Bland dessa läkemedel återfinns sådana med god patientnytta och för tillstånd av hög svårighetsgrad.

TLV bedömer samtidigt att det finns möjlighet att förbättra tillgängligheten till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd. Det finns situationer där det inte funnits förutsättningar att bifalla förmånsbeslut eller rekommendera sär läkemedel för behandling av tillstånd med hög eller mycket hög svårighetsgrad och med potentiellt stor patientnytta. En konsekvens av detta kan bli att tillgång till viktiga behandlingsmöjligheter hindras.

Utmaningarna förknippade med högt prissatta läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd är inte unika för Sverige. Genom intervjuer med representanter från myndigheter i andra länder har TLV fått ta del av kunskaper och erfarenheter. Detta utgör en viktig del i analysen av tänkbara åtgärder och handlingsvägar.

I dagens svenska system för prissättning och subvention av läkemedel finns förutsättningar och många verktyg som kan användas för att tillgängliggöra angelägna sär läkemedel. Läkemedel som har god effekt och som används för behandling av svåra hälsotillstånd får kosta mer. TLV kan också överväga att acceptera en högre kostnad under vissa förutsättningar när läkemedlet är avsett till små patientpopulationer. Det finns även etablerade arbetssätt där företaget och regionerna kan förhandla om avtal som gör att kostnaden för användning av läkemedlet hamnar på en rimlig nivå. Inom regeringsuppdraget kommer TLV att analysera hur dessa verktyg kan utvecklas vidare och användas mer effektivt, och tydliggöra i vilka situationer de behövs.

För att kunna stärka tillgängligheten till angelägna behandlingar behöver det finnas en förståelse för vad som kännetecknar sådana. Ett viktigt steg är att utarbeta kriterier och metoder för att identifiera läkemedel som kan behöva en annan hantering. TLV kommer bland annat utreda om patientgruppens storlek i högre utsträckning än idag ska få ha betydelse i bedömningen av ett nytt läkemedel.

Resultaten i kartläggningen pekar på att avtalsförhandlingar mellan regioner och företag kan vara avgörande för att kostnaden för läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd ska bedömas som rimlig och därmed kunna tillgängliggöras till patienter. För förmåns läkemedel sker idag förhandlingar mellan regioner och företag inom ramen för trepartsöverläggningar. Hur kan arbetet med förhandlingar utvecklas i syfte att förbättra tillgången till angelägna läkemedel och minska kostnaderna inom andra områden?

Det faktum att företag ansöker om förmån flera gånger innan TLV beslutar om bifall innebär att det ibland kan ta tid för angelägna behandlingar att nå patienter. TLV ser därför skäl att utreda hur förutsättningarna för en effektiv process fram till förmånsbeslut för läkemedel vid tillstånd där behoven är stora kan stärkas. Här behöver också ansvarsområden för olika aktörer tydliggöras. På vilket sätt kan företagen bidra till ett effektivt ansökningsförfarande och redan vid första ansökan tillhandahålla underlag som ger bättre förutsättningar för bifall eller positiv rekommendation?

En förutsättning för TLV:s uppdrag är att de förslag som lämnas inte får leda till högre läkemedelskostnader för staten. Detta betyder sannolikt att TLV:s förslag också behöver innehålla kostnadsdämpande åtgärder för läkemedel. TLV ser att graden av priskonkurrens och försäljningsvolym bör kunna få spela en större roll än vad det gör idag.

TLV kommer i slutet av september att redovisa förslag till handlingsvägar för hur tillgången till angelägna läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd kan stärkas utan att statens totala kostnader för läkemedel ökar. Avsikten är att redovisa förslag till en handlingsväg som ska kunna genomföras på kort sikt, genom verktyg som TLV förfogar över idag. TLV kommer även att ge förslag på förändringar som kommer att behöva utvecklas på längre sikt och som kräver involvering och beslut från andra aktörer.

Bilaga

Bilaga 1: Sär läkemedel som ingår i TLV:s kartläggning

Tabell 1. Sär läkemedel som handlagts av TLV 2015–2022

Förmåns läkemedel	Klinik läkemedel
Adempas	Abecma
Alprolix	Adakveo
Arikayce liposomal	Alofisel
Arzerra	Besponsa
Aspaveli	Blenrep
Ayvakyt	Blincyto
Bronchitol	Cablivi
Bylvay	Carvykti
Cerdelga	Crysvita
Cresemba	Darzalex
Cystadrops	Evrysdi
Enspryng	Gazyvaro
Epidyolex	Idefirix
Esbriet	Kimmtrak
Farydak	Kymriah ²⁵
Firdapse	Kyprolis
Galafold	Lartruvo
Givlaari	Libmeldy
Hepcludex	Lutathera
Iclusig	Luxturna
Idelvion	Minjuvi
Imbruvica	Mylotarg
Imcivree	Onivyde
Inrebic	Onpattro
Jorveza	Oxlumo
Kaftrio	Polivy
Kalydeco	Poteligeo
Ketoconazole HRA	Qarziba
Koselugo	Reblozyl
Kuvan	Roctavian
Ledaga	Soliris
Lenvima	Spinraza
Lynparza	Strensiq
Namuscla	Tecartus
Ngenla	Tegsedi
NInlaro	Upstaza
Ocaliva	Vimizim
Ofev	Voxzogo
	Waylivra

²⁵ Avser indikationen akut lymfatisk leukemi

Förmånsläkemedel

Palyzinq
Pemazyre
Plenadren
Prevymis
Procysbi
Ravicti
Raxone
Revestive
Rydapt
Scemblix
Signifor
Siklos
Symkevi
Takhzyro
Tavneos
Translarna
Venclyxto
Vpriv
Vyndaqel
Wakix
Xermelo
Xospata
Zejula

Klinikläkemedel

Yescarta
Zolgensma
Zynteglo