

Datum

2008-01-21

Vår beteckning

2208/2007

Socialdepartementet
103 33 Stockholm

Remiss av EU:s konsultation avseende europeiska åtgärder inom området sällsynta sjukdomar

(S2007/10815/HS)

Läkemedelsförhållningsnämnden (LFN) stöder de tankar om utökat samarbete när det gäller forskning och samordning av infrastrukturen som uttrycks i konsultationen. Vi vill också framhålla vikten av att sträva efter ett internationellt samarbete på området. Det finns all anledning att intensifiera samarbetet med forskning, information och uppföljning såväl på Europeanivå som internationellt

Vi anser dock att det inte är lämpligt att hantera tillgången till och finansiering av medicinsk behandling för dessa sjukdomar på EU-nivå.

LFN kan mot bakgrund av de erfarenheter myndigheten har av säräkemedel (läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar) lämna följande synpunkter på innehållet i konsultationen och de frågor som ställs där.

Läkemedelsföretagen verkar i stor utsträckning globalt och därför är det den globala efterfrågan på säräkemedel som kommer att styra företagens vilja att utveckla sådana. Det är uppenbart att sällsynta sjukdomar länge i stort sett saknat intresse för läkemedelsföretagen. LFN konstaterar att gemenskapens åtgärdsprogram för detta område varit framgångsrikt såtillvida att det nu utvecklas många fler läkemedel än tidigare. Det bör dock nämnas att USA har haft en särskild lagstiftning för säräkemedel under mycket längre tid (sedan 1983) än Europa. Detta har förmodligen haft en ännu större betydelse för utvecklingen av sådana läkemedel. USA är, räknat i försäljningsvolym, en mycket större marknad än EU. Det skulle därför vara intressant med en diskussion om en mer internationellt samordnad syn på, och bedömning av, säräkemedel.

Prissättningen av säräkemedel diskuteras inte alls i konsultationen, vilket är en brist. Den huvudsakliga orsaken till den begränsade tillgången på säräkemedel var, innan åtgärdsprogrammen genomfördes, att de ofta stora fasta kostnaderna för läkemedelsutveckling måste slås ut på de få patienter som berördes. Detta ledde till orimligt höga kostnader för dessa läkemedel. Ett syfte med de åtgärdsprogram som finns måste då rimligtvis vara att de

särläkemedel, som utvecklas inte ska vara orimligt dyra. Det finns då åtminstone två aspekter som behöver diskuteras.

De priser som tillverkarna begär för särläkemedel påverkas av de regler som gäller, dvs. man kan inte betrakta priset som ett separat problem, skiljt från t.ex. subventionsbeslut. Om köparna förbinder sig att förse hela den population som har en viss sällsynt sjukdom med ett läkemedel oavsett priset, signalerar detta att köparen inte är priskänslig, vilket sannolikt kommer leda till mycket höga priser.

Frågan är då hur man avgör vad som är orimligt dyrt. Inom hälso- och sjukvården används mer och mer någon form av kostnadseffektivitetsresonemang för att svara på den frågan. Ibland används formella kostnadseffektivitetsanalyser, men ibland bara ett resonemang kring principen. Det är vår uppfattning att det kategoriska påståendet i konsultationen (sid. 15) att de metoder för att bedöma kostnadseffektivitet som används för "vanliga" läkemedel inte går att använda för särläkemedel är felaktigt.

Det finns tvärtom goda skäl för att göra dessa analyser och dessutom flera exempel där det har gjorts. Eftersom det handlar om få patienter och oftast liten förväntad försäljning kan man dock anföra skäl för att precisionen i beslutsfattandet inte ska behöva vara lika stor som om det handlade om fler patienter och/eller en större förväntad försäljning (givet sjukdomens svårighetsgrad etc.). Det kostar vanligen pengar och resurser att öka precisionen i beslut. Fler eller större studier kan exempelvis öka precisionen, men detta sker till en viss kostnad. Men det bör, enligt ett sätt att se det, vara kostnaden för att fatta fel beslut som styr graden av precision.

Vidare sägs det i konsultationen (sid. 15) att "ett etiskt förhållningssätt i denna fråga inte heller kan grundas enbart på ekonomiska kriterier". Det är visserligen sant, men gäller väl alla områden, även vanligt förekommande sjukdomar. Vi vill tvärtom påstå att det är oetiskt att *inte* ta hänsyn till den alternativa användningen av begränsade, gemensamma resurser. Med LFN:s tillämpning av kostnadseffektivitetsprincipen, där sjukdomens svårighetsgrad avgör hur mycket det får kosta att köpa hälsa och där man tar ett övergripande samhällsekonomiskt perspektiv, kommer många (troligen de flesta) särläkemedel att bedömas som kostnadseffektiva.

I det här sammanhanget vill vi också framhålla att formuleringen "rätt till behandling" som används på flera ställen i dokumentet är olyckligt vald. Enligt vår mening innebär det en rätt att behandlas oavsett effekt av behandlingen och oavsett vilka resurser som måste läggas på behandlingen, resurser som alltid kan användas för att t.ex. bota eller lindra andra sjukdomstillstånd. Att lägga resurser på en behandling medför alltid en kostnad som kan uttryckas i termer av förlorad hälsa eller liv för någon annan.

Kravet på att högst 5/10 000 får ha sjukdomen för att den ska betecknas som sällsynt framstår som godtycklig. Varför gränsen dras där är oklart. Det är rimligt att ställa sig frågan hur en sådan gräns påverkar t.ex. patienter som lider av sjukdomar som drabbar 6/10 000? Nu gällande definitionen av sällsynta sjukdomar bör därför utredas vidare, särskilt som en stor mängd läkemedel får särläkemedelstatus och ytterligare en stor mängd särläkemedel för närvarande finns i företagens "pipeline". (Fråga 1)

Eventuella problem med att få tillgång till särläkemedel bör lämpligen lösas på nationell nivå. (Fråga 8) Olika länder har olika betalningsvilja och framförallt betalningsförmåga för

läkemedel. Därför är det en fråga som bäst hanteras på nationell nivå. Detta hindrar dock inte man inom EU strävar efter att undanröja hinder av administrativt och tekniskt art.

Beslut om detta yttrande har generaldirektören Ann-Christin Tauberman fattat. Hälsoekonomen Joakim Ramsberg har varit föredragande. Vid den slutliga handläggningen har också chefsjuristen Anna Märta Stenberg deltagit.

Ann-Christin Tauberman

Joakim Ramsberg