

The logo consists of the letters 'TLV' in a bold, white, sans-serif font. The 'T' and 'L' are connected at the top, and the 'V' is slightly offset to the right. The background of the entire slide is a dark teal color with a pattern of concentric white circles of varying radii, creating a ripple effect.

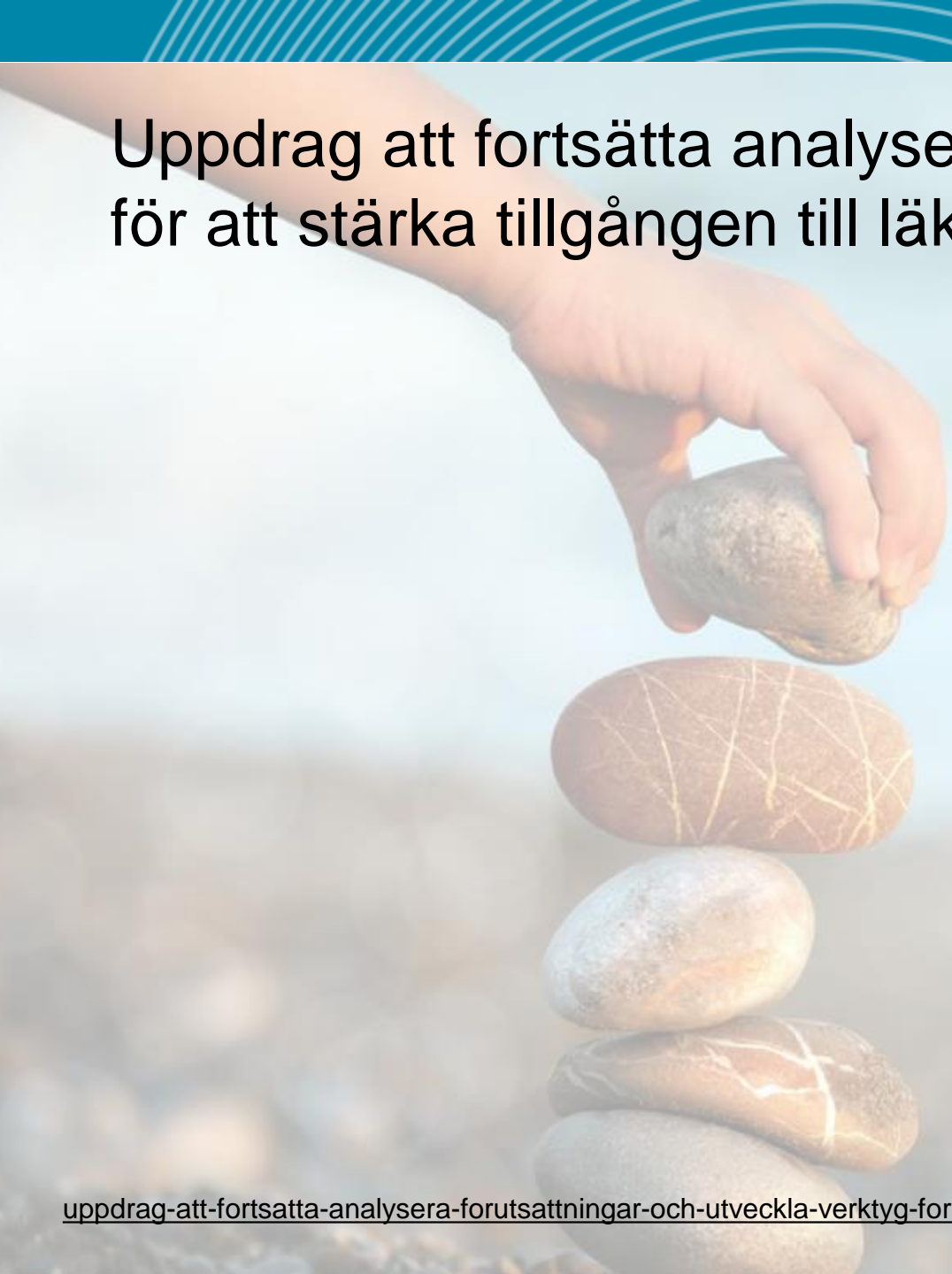
TANDVÅRDS- OCH

LÄKEMEDELSFÖRMÅNSVERKET

Uppdrag att fortsätta analysera förutsättningar och utveckla verktyg för att stärka tillgången till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd

2024-01-08

Uppdrag att fortsätta analysera förutsättningar och utveckla verktyg för att stärka tillgången till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd

- 
- A hand is shown in the upper left, holding a smooth, grey stone and about to place it on top of a stack of four other smooth stones of various colors (brown, white, grey, brown) on a light-colored surface. The background is a soft-focus landscape with a blue sky and a body of water.
- Fortsätta utveckla förutsättningar och verktyg för att stärka tillgängligheten till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd inom nuvarande system
 - Utgångspunkten ska bygga på, men inte vara begränsad till, de förslag TLV lämnat i sin tidigare rapport
 - Särskild vikt ska läggas vid hur förslagen om patientstorlek och volym kan påverka den accepterade kostnaden för ett läkemedel och hur det ska fungera i praktiken
 - Resultatet ska vara utvecklade förhållningssätt, metoder och arbetssätt samt en konsekvensanalys av dessa
 - En förutsättning för uppdraget är att de samlade förslagen inte får ge staten ökade kostnader för läkemedel jämfört med dagens system

Stärkt tillgång till läkemedel för sällsynta hälsotillstånd till långsiktigt hållbara kostnader

Mål

- **Stärkt tillgång** till läkemedel för behandling av sällsynta hälsotillstånd
- En **långsiktigt hållbar prissättning av läkemedel**; god tillgång till läkemedel till rimliga kostnader för såväl vanliga som ovanliga sjukdomar

Åtgärder som kan genomföras inom nuvarande system

Högre kostnad i relation till nyttan accepteras för vissa läkemedel vid tillstånd som är mycket sällsynta och har mycket hög svårighetsgrad

Kostnaden ska vara lägre, om läkemedlet har mycket stort försäljningsvärde

Processen för ärendehandläggning och förhandlingar för förmånsläkemedel utvecklas

Åtgärder som kan genomföras på längre sikt

Övergripande **förändring av systemet för prissättning av och förhandlingar** om avtal för läkemedel

- Vår kartläggning visade att många säräkemedel är tillgängliga idag
 - Men det finns behov av att stärka tillgången ytterligare
- Angeläget att göra effektiva läkemedel tillgängliga för patienter, men utan att andra insatser med lika stor nytta trängs undan
- Vårt fokus i regeringsuppdraget har varit att fördjupa analyser för att kunna börja tillämpa förslagen så snart som möjligt
 - Utgångspunkten är principen att vi kan betala mer för läkemedel för mycket sällsynta hälsotillstånd och samtidigt mindre för läkemedel med stort försäljningsvärde
- Vi kommer från och med nu att successivt börja tillämpa ny praxis

Vad behöver vara på plats för att vi ska kunna börja tillämpa nya principer och arbetssätt?

1

Tydliga förutsättningar för att TLV ska **acceptera en högre kostnad** i relation till nytta

2

Kunna **följa upp** beslut och **sänka priset** så att kostnaden fortsätter att vara rimlig

3

Kostnader för läkemedel med högt försäljningsvärde behöver kunna **dämpas**

4

Stärkta möjligheter till **förhandlingar om avtal** – för tillgång till läkemedel och rimliga kostnader

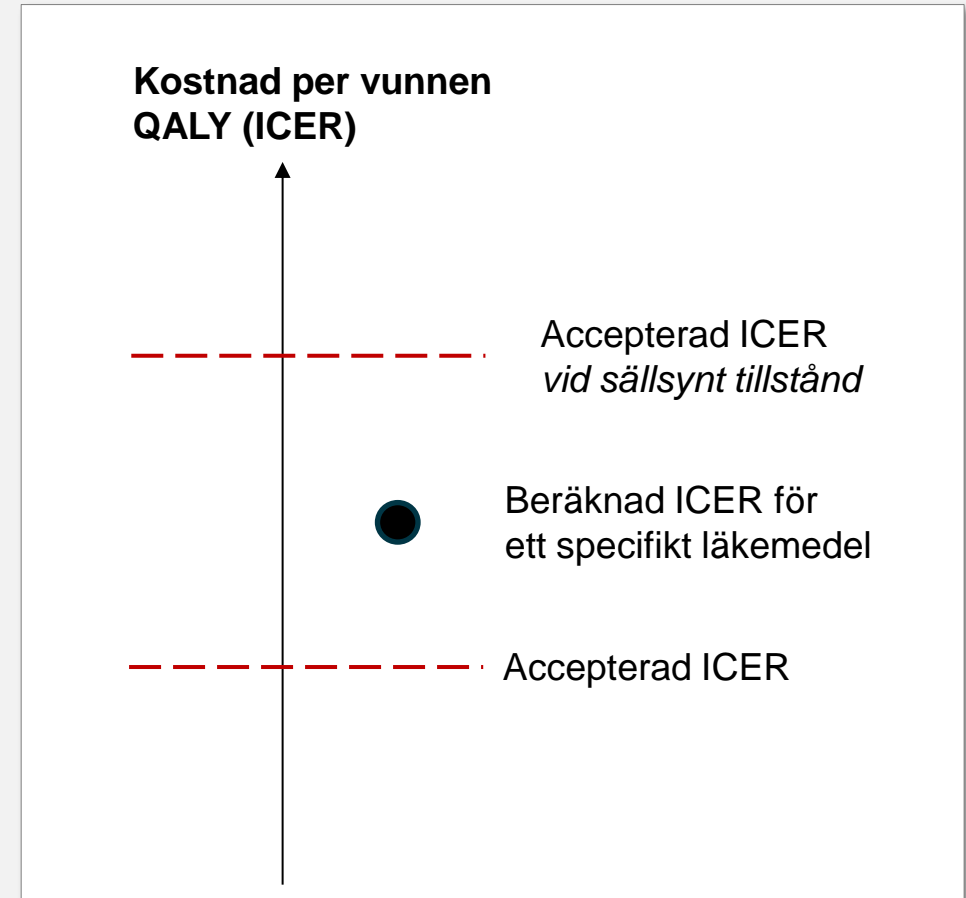
Analyser av **genomförbarhet** och **konsekvenser** av våra åtgärder

TLV fattar beslut om subvention baserat på om kostnaden är rimlig givet storleken på hälsovinsten

Läkemedel ska omfattas av förmånerna om kostnaderna är rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter *

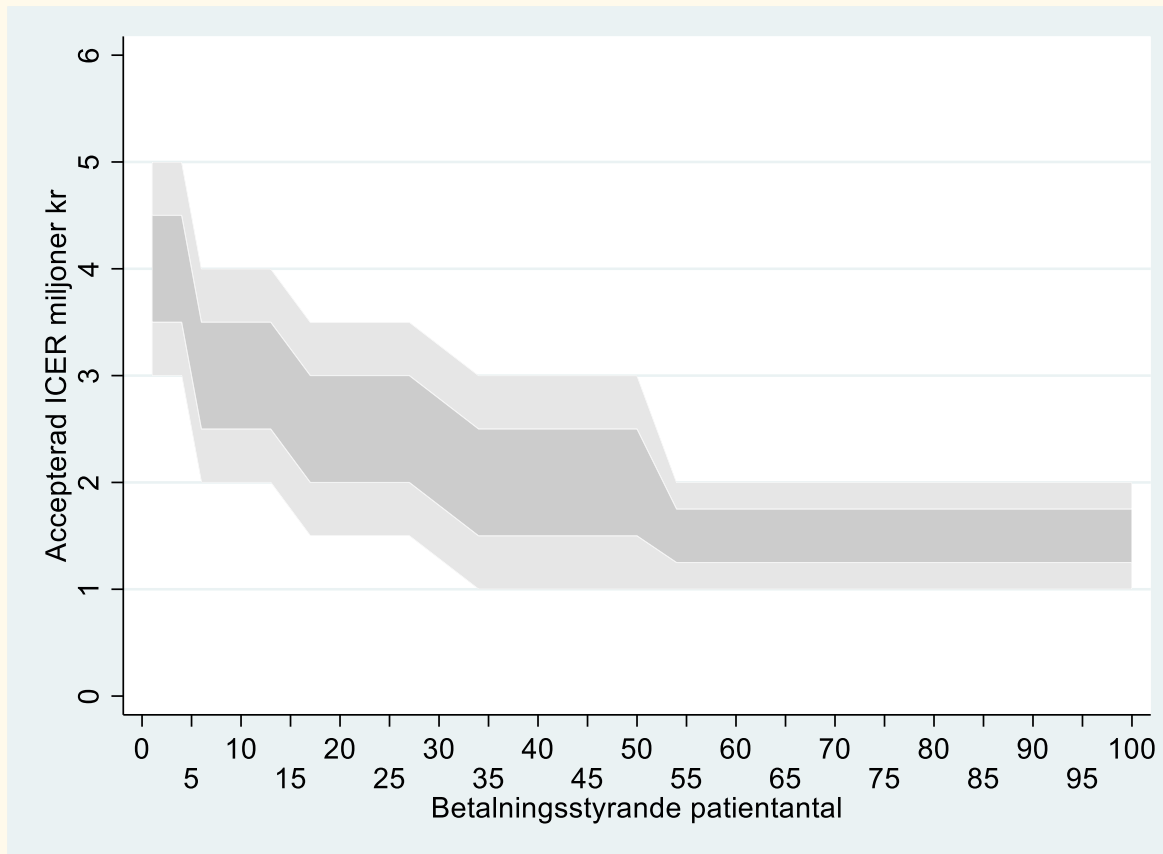
- Hälsovinst mäts i vunna kvalitetsjusterade levnadsår, "Quality Adjusted Life Years, QALY"
- Måttet vi använder är *Kostnad per vunnen QALY*, vilket också benämns ICER

* 15§ Lagen om (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m.



En trappa för högre accepterad ICER vid mycket sällsynta hälsotillstånd

1
Tydliga
förutsättningar för
att TLV ska
**acceptera en
högre kostnad i
relation till nytta**



Kriterier för att "kvala in" till trappan:

- ✓ Tillståndets svårighetsgrad ska vara mycket hög
- ✓ Patientnyttan ska vara kliniskt relevant
- ✓ Färre än 100, enligt ett mått på sällsynthet, som kombinerar *prevalens* och *incidens*

För läkemedel som "kvalar in":

- ✓ Ju mindre osäkerhet desto högre ICER kan TLV acceptera

Tillståndets svårighetsgrad ska vara mycket hög

En kombination av **kvalitativ** och **kvantitativ** bedömning av svårighetsgrad kommer att användas

TLV:s matris för kvalitativ bedömning av hälsotillståndets svårighetsgrad

Hälsorelaterad livskvalitet	Varaktighet/ karaktär av sjukdomen	Frekvens	Livslängds-påverkan

Komponenter i **kompletterande kvantitativ bedömning** av svårighetsgrad

- ✓ Antal förlorade levnadsår
- ✓ Antal år patienten lever med kraftigt nedsatt livskvalitet
- ✓ Antal förlorade QALYs till följd av tillståndet

Patientnyttan ska vara kliniskt relevant

- Det ska inte finnas tveksamhet om läkemedlet ger en klinisk relevant patientnytta
- Handlar inte om hur många QALYs patienten vinner eftersom detta fångas i den ICER som beräknas.
- Utan det handlar om huruvida det är tillräckligt sannolikt att det finns en hälsovinst överhuvudtaget för patienten, i termer av förbättrad livskvalitet eller livslängd.
- Inte samma sak som "betydande effekt" enligt TLV:s nuvarande praxis för förhöjd betalningsvilja

Tillståndet ska vara mycket sällsynt

- Intjäningsförmågan för två olika läkemedel vid olika tillstånd med samma prevalens skiljer sig kraftigt åt om incidensen är olika
- Därför kommer både ett tillstånds *prevalens* och dess *incidens* att beaktas när vi bedömer graden av sällsynthet och nivå för accepterad ICER

Prevalens: Hur många personer som lider av en sjukdomen vid ett givet tillfälle

Incidens: Hur många personer som insjuknar varje år

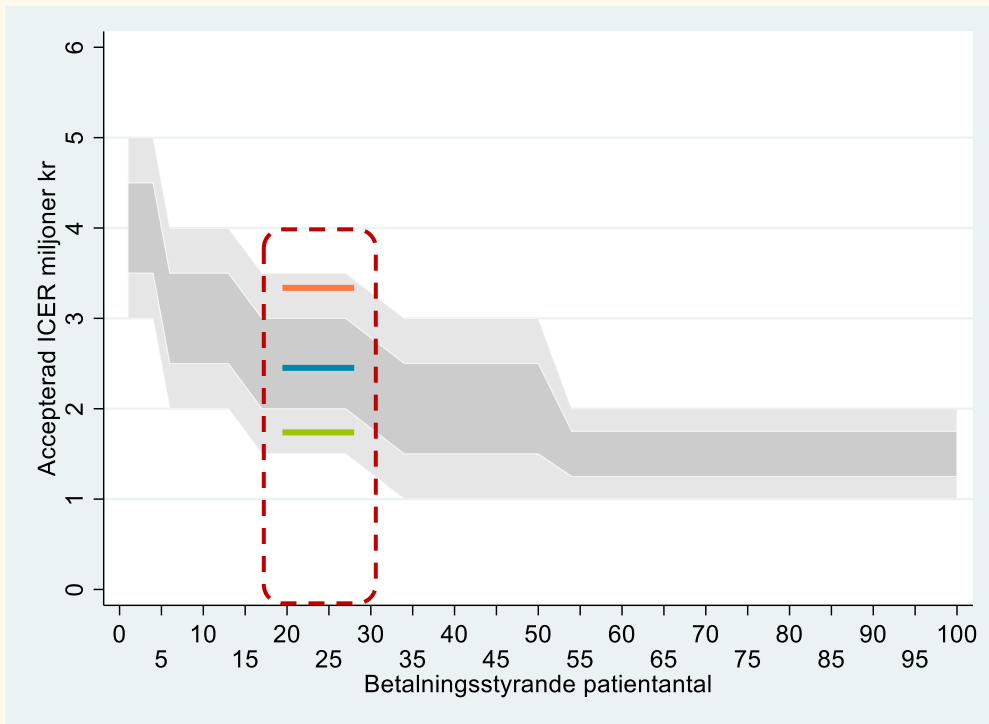
Ett mått som kombinerar prevalens och incidens:

Betalningsstyrande patientantal = Prevalens + Korrigeringsfaktor

Styr hur hög ICER som accepteras

Större ju högre incidensen är

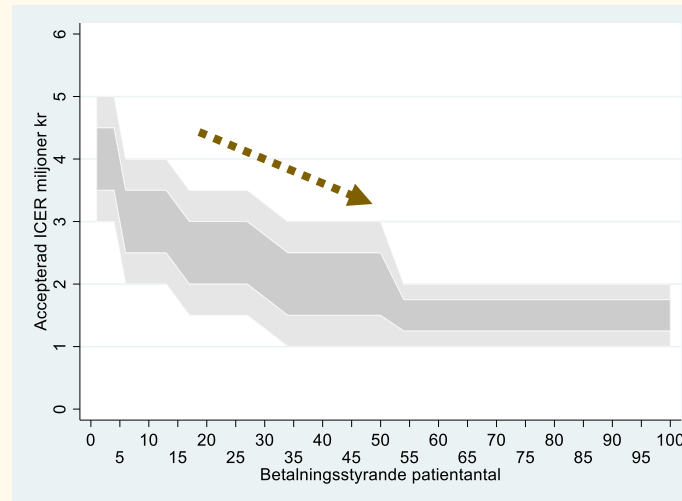
Ju mindre osäkerhet, desto högre ICER kan TLV acceptera



- TLV måste alltid förhålla sig till den osäkerhet som finns i den hälsoekonomiska beräkningen
- Osäkerheten kommer att påverka på ett delvis annat sätt när trappan tillämpas: ju osäkrare, desto mindre höjning av accepterad ICER
- **Varför?** Högre accepterad ICER är bara rimligt om det finns tillräckligt stark evidens för att hälsovinsten verkligen kommer att realiseras

Uppföljning och möjlighet till prissänkningar för att kunna säkerställa fortsatt rimlig kostnad

Om förutsättningarna för den högre kostnaden inte längre är uppfyllda behöver vi kunna sänka priset

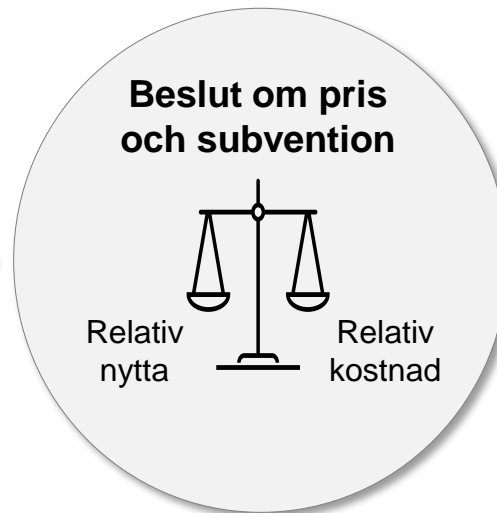


- Ramverk för uppföljning av läkemedlets försäljningsvärde för att uppskatta patientantal.
- Framtida prissänkningar om ett tröskelvärde för försäljning uppnås
- Betalningsmodeller – pris-volym-konstruktion – innebär fördelar när det finns osäkerheter kring den kommande användningen av ett läkemedel

Flera argument för att ta hänsyn till patientantal eller försäljningsvärde vid beslut om rimlig kostnad

Samhällsekonomiska och etiska argument för att ta hänsyn till ett läkemedels volym – patientantal eller försäljningsvärde – vid beslut om rimlig kostnad

- Stora fasta kostnader vid utveckling av läkemedel
- Ju färre patienter, desto större andel av kostnaderna behöver varje patients behandling bära
- Rimligt att "volym" dvs hur stor användningen är påverkar hur högt pris som accepteras



- Etiska plattformen ger vägledning för prioritering
- Rimligt att "omfördela" resurser på det sätt TLV föreslår om det skapar mer jämlik tillgång till läkemedel
- "Kostnaderna ska vara rimliga ur ett samhällsekonomiskt perspektiv"

Hur kan vi nå en långsiktigt hållbar prissättning av läkemedel?

3

Kostnader för läkemedel med högt försäljningsvärde behöver kunna dämpas

Förslag för läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd kommer att innebära en kostnadsökning
→ **Kostnadsökningen** behöver **dämpas**



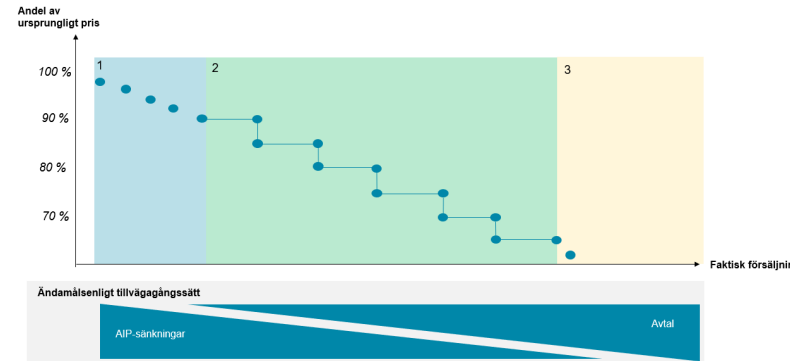
Beakta **försäljningsvärde** i beslut om rimlig kostnad

Etiska argument för **omfördelning av kostnader** för att nå resurseffektivitet

När mycket hög försäljning förväntas:
TLV kan avslå en ansökan om pris och subvention, om inte något sätt att begränsa totalkostnaden för läkemedlet hittas

- ✓ Minskad risk för att enskilda läkemedel får orimligt hög påverkan på totalkostnaderna
- ✓ Kan tillämpas nu

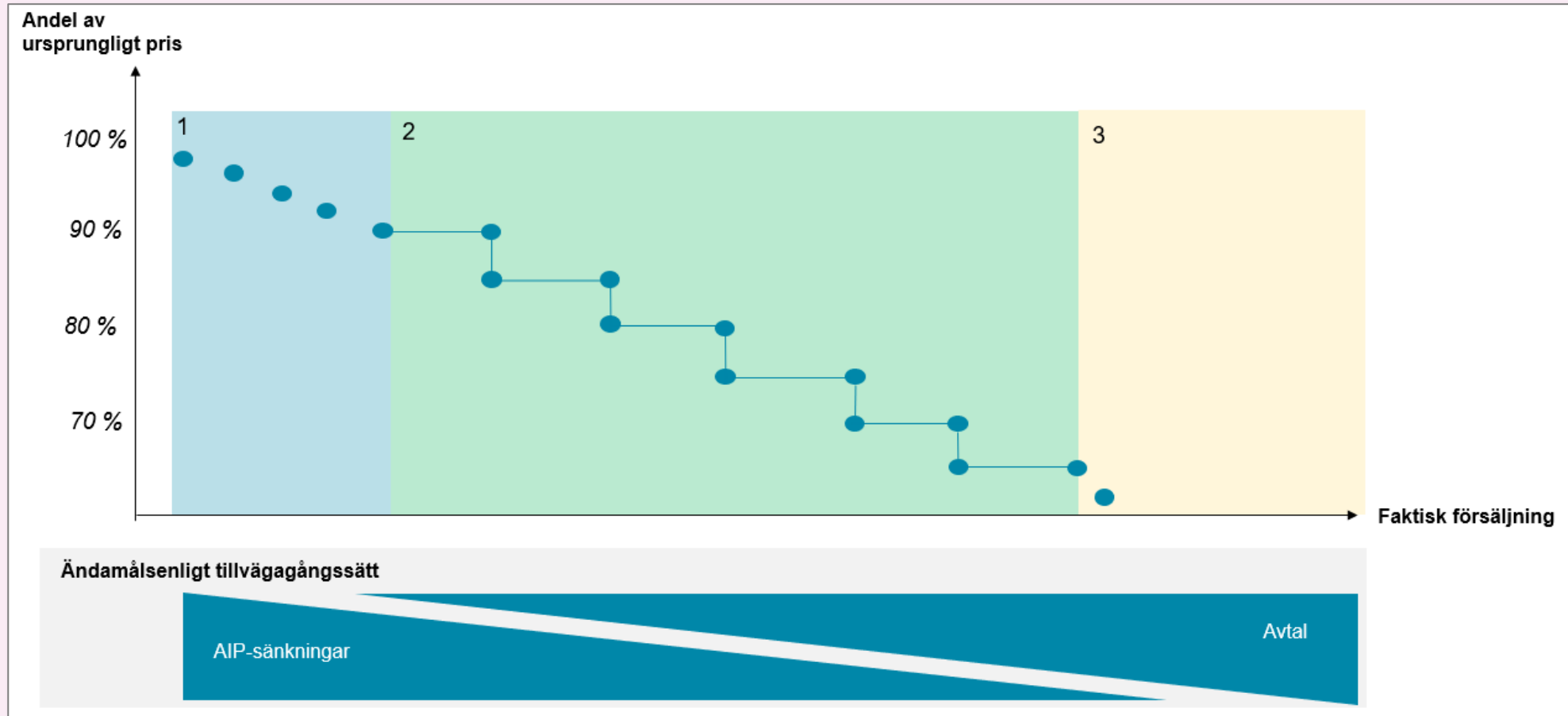
När faktisk försäljning är hög:
Stegvisa prissänkningar



- ✓ Ger en kontinuerlig kostnadsdämpning (på längre sikt)
- ✓ Kräver mer utredning innan den kan tillämpas

Metoder under utveckling

Vissa sänkningar kan göras på officiella priser; omfattande sänkningar riskerar påverka tillgång



Att väga in volymaspekten i beslutsfattande om pris och subvention – hur gör andra länder?



Belgien



Danmark



Frankrike



Kanada



Nederländerna



Norge



Spanien



Storbritannien



Tyskland

Utblicken syftade till att samla kunskap om hur andra länder arbetar för att åstadkomma hållbara läkemedelskostnader genom att ta hänsyn till försäljningsvolym



Av utblicken framgår bland annat att...

- Flera länder låter ett läkemedels totala försäljningsvärde ha betydelse för priset
- Oftast påverkas inte de officiella priserna utan pris efter (sekretessbelagda) rabatter. Ibland används pris-volymavtal

Gemensam utmaning

Hur kan vi hitta sätt där bra läkemedel blir tillgängliga för patienter och resulterar i rimliga intäkter för företagen, samtidigt som systemet blir långsiktigt ekonomiskt hållbart?

Fortsatt arbete för att stärka förutsättningar för förhandling om avtal

Förhandlingar om avtal är en viktig pusselbit för stärkt tillgänglighet till rimliga kostnader

För läkemedel för sällsynta hälsotillstånd

Tillgängliggöra läkemedel som är högt prissatta

- när trappan används
- och/eller när pris-volym-avtal är aktuella

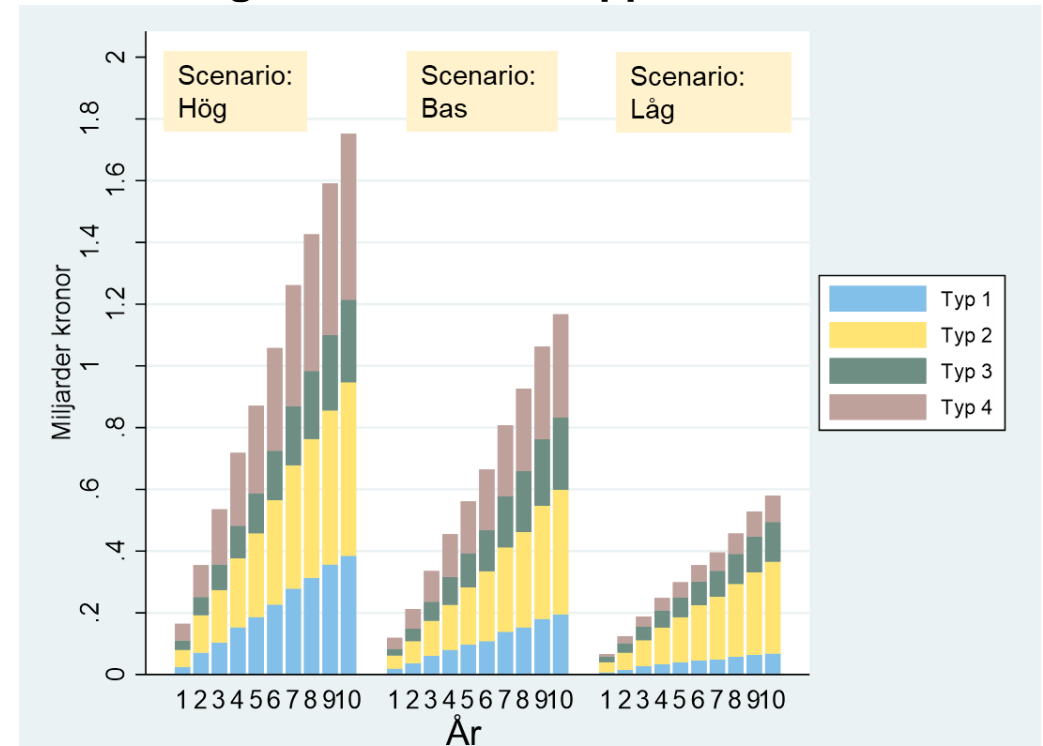
För läkemedel med höga försäljningsvärden

- Möjliggöra subvention av läkemedel med ett förväntat mycket högt försäljningsvärde
- Uppnå kostnadsdämpning för läkemedel med ett faktiskt högt försäljningsvärde

Konsekvenserna väntas bli stärkt tillgång och ökade kostnader för läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd

- Konsekvenserna beror på hur läkemedelsmarknaden utvecklas
 - Fler läkemedel vid mycket svåra och sällsynta hälsotillstånd blir tillgängliga
 - Ökade kostnader – en stor andel kan hamna på regionerna
- De åtgärder vi föreslår för läkemedel med stort försäljningsvärde kommer att dämpa kostnaderna

Kostnadsökning av att vi inför trappan



Total kostnads-
ökning första tio
åren, mdr kr

9,7

6,3

3,2

Nästa steg

Vi kommer från och med nu att successivt börja tillämpa nya arbetssätt

- Vi tar fram allmänna riktlinjer för hur TLV bedömer vad som är en rimlig kostnad i relation till nyttan för ett läkemedel
- Vi uppdaterar företagshandboken
- Vi fortsätter utveckla våra processer, verktyg och arbetssätt