
Ska TLV genomföra hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel?

TLV:s slutrapport med anledning av regeringens uppdrag att utreda förutsättningarna att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som används inom slutenvården
(S2009/8642/HS)

Förord

Regeringen beslutade den 12 november 2009 att TLV skulle få i uppdrag att utreda förutsättningarna för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som inte ingår i läkemedelsförmånerna men som rekvireras till slutenvården.

Arbetet har bedrivits i projektform under ledning av en styrgrupp på myndigheten. Ulf-Johan Olson, Utvecklingspartner i Stockholm AB har bistått myndigheten med analysstöd och underlag inför denna rapport. En lägesrapport redovisades till Socialdepartementet den 27 januari 2010, där de mest grundläggande principerna i denna rapport föredrogs. TLV har i enlighet med uppdraget också samrått med berörda aktörer, däribland Sveriges Kommuner och Landsting, enskilda landsting, Läkemedelsverket, Socialstyrelsen, SBU och Läkemedelsindustriföreningen, Lif.

I denna utredning har TLV undersökt möjligheterna och konsekvenserna av att myndigheten genomför hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som används inom slutenvården.

Myndighetens bedömningar och slutsatser redovisas i denna rapport.

Stockholm den 30 april 2010

Gunilla Hulth-Backlund
Generaldirektör
Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket

Innehållsförteckning

SAMMANFATTNING.....	5
1. UPPDRAGET.....	9
2. BAKGRUND TILL UPPDRAGET.....	10
3. GRÄNSEN MELLAN LÄKEMEDEL SOM REKVIRERAS OCH LÄKEMEDEL SOM FÖRSKRIVS PÅ RECEPT	12
3.1. BAS- RESPEKTIVE SPECIALISTLÄKEMEDEL	13
3.2. RECEPT- OCH REKVISITIONSLÄKEMEDEL.....	13
3.3. FOKUS PÅ PATIENTEN	14
3.4. KLINIKLÄKEMEDEL.....	14
3.5. KOPPLINGEN TILL STATS BIDRAGET	16
4. BEHOVSANALYS.....	17
4.1. SNABB KOSTNADSUTVECKLING AV REKVISITIONSLÄKEMEDEL	17
4.2. VARFÖR STIGER KOSTNADERNA SÅ KRAFTIGT FÖR REKVISITIONSLÄKEMEDEL?	18
4.3. BRISTANDE UNDERLAG OCH MEKANISMER FÖR BEDÖMNING AV KOSTNADSEFFektivITET OCH PRIORITERING	20
4.4. OLIKA REGELVERK FÖR RECEPT- RESPEKTIVE REKVISITIONSLÄKEMEDEL OCH LÄKEMEDELNS FÖRFLYTTNINGAR MELLAN DESSA	20
4.5. HUVUDMÄNNENS RESURSER FÖR LÄKEMEDELSARBETET OCH STYRNING AV LÄKEMEDELSANVÄNDNINGEN	21
4.6. VÅRDENS LIKVÄRDIGHET UR ETT PATIENTPERSPEKTIV.....	23
5. NATIONELLA HÄLSOEKONOMISKA BEDÖMNINGAR AV REKVISITIONSLÄKEMEDEL – ANALYS OCH FÖRSLAG.....	25
5.1. DEN HÄLSOEKONOMISKA PLATTFORMEN	25
5.1.1. SYFTET MED HÄLSOEKONOMISKA BEDÖMNINGAR AV REKVISITIONSLÄKEMEDEL	27
5.2. VAD SKA INGÅ I DEN HÄLSOEKONOMISKA BEDÖMNINGEN?	28
5.2.1. KVALITET PÅ DET HÄLSOEKONOMISKA UNDERLAGET OCH UTFORMNINGEN AV TLV:S BEDÖMNINGAR	29
5.2.1.1. UPPFÖLJNING AV LÄKEMEDELSANVÄNDNINGEN I REGISTER.....	30
5.2.2. HUR SKA BEDÖMNINGARNA REDOVISAS?	32
5.2.2.1. SOCIALSTYRELSENS MODELL.....	33
5.2.2.2. BEDÖMNING VID PARVISA JÄMFÖRELSEER	34
5.2.2.3. METODER FÖR TLV:S GENOMGÅNGAR	35
5.2.2.4. HUR SKA BEDÖMNINGARNA UPPDATERAS?.....	36
5.3. VILKA SKA KUNNA ANSÖKA OM HÄLSOEKONOMISKA BEDÖMNINGAR OCH HUR?.....	36
5.3.1. VILKA SKA KUNNA ANSÖKA?.....	37
5.3.2. INTRESSEANMÄLNINGAR ELLER ANSÖKNINGAR?.....	38
5.3.3. SAMORDNING MELLAN OCH MED HUVUDMÄNNEN.....	39
5.4. PRAKTISKA FÖRUTSÄTTNINGAR FÖR TLV:S BEDÖMNINGAR AV REKVISITIONSLÄKEMEDEL.....	40
5.4.1. VILKA LÄKEMEDEL ÄR AKTUELLA FÖR HÄLSOEKONOMISKA BEDÖMNINGAR?.....	40
5.4.2. HUR MÅNGA LÄKEMEDEL OCH VILKA?	41
5.4.3. HUR LÅNG HANDLÄGGNINGSTID BEHÖVS?	42

5.5.	HUR SKA TLV FÅ TILLGÅNG TILL NÖDVÄNDIGA UPPGIFTER?	43
5.5.1.	SVÅRIGHETERNA ATT FÅ TILLGÅNG TILL DATA	43
5.5.2.	PRISUPPGIFTER	44
5.5.3.	HÄLSOEKONOMISKA UNDERLAG	45
5.5.3.1.	LAGREGLERING.....	46
5.5.3.2.	ÅTAGANDE FRÅN LÄKEMEDELSINDUSTRIN.....	46
5.5.3.3.	KRAV VID UPPHANDLINGAR.....	47
5.5.3.4.	TLV:S SAMLADE BEDÖMNING OM MÖJLIGHETEN ATT FÅ TILLGÅNG TILL DATA	47
5.5.4.	SEKRETESS FÖR HÄLSOEKONOMISKA UNDERLAG.....	47
5.6.	SAMVERKAN MED ÖVRIGA MYNDIGHETER	48
6.	ORGANISATION OCH GENOMFÖRANDE	49
6.1.	ORGANISATION OCH KOSTNADER FÖR ETT UTÖKAT UPPDRAG FÖR TLV	49
6.2.	GENOMFÖRANDE.....	50
6.3.	UTVÄRDERING.....	51

Sammanfattning

TLV:s samlade bedömning är att

- TLV bör få i uppdrag att göra nationella hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel
- verksamheten bör ha formen av en försöksverksamhet på två år för att sedan utvärderas
- sjukvårdshuvudmännen, till exempel genom NLT, bör ges möjlighet att ansöka hos TLV om sådana hälsoekonomiska bedömningar
- det är en förutsättning för verksamheten att läkemedelsindustrin åtar sig att lämna ut de uppgifter som TLV behöver för att göra en hälsoekonomisk bedömning av rekvisitionsläkemedel
- de priser TLV ska använda, och hur TLV ska få tillgång till dem, är en helt central fråga och en del av utvecklingsarbetet och av förhandlingarna med de olika intressenterna
- handläggningstiden i normalfallet inte bör överstiga 180 dagar efter det att TLV fått tillgång till ett tillräckligt underlag
- resultatet av TLV:s bedömningar blir kunskapsunderlag kring kostnadseffektiviteten för olika rekvisitionsläkemedel
- det ytterligare uppdraget till TLV kommer att innebära behov av en resursförstärkning.

På regeringens uppdrag har TLV undersökt möjligheterna och konsekvenserna av att myndigheten gör hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel.

TLV utredning visar på flera fördelar med att göra hälsoekonomiska bedömningar av s.k. rekvisitionsläkemedel¹. Eftersom hälso- och sjukvårdens resurser är begränsade är det viktigt att de används på ett ändamålsenligt och kostnadseffektivt sätt. Förutsättningen för detta är att det finns tillförlitliga kunskapsunderlag som kliniska och administrativa beslut kan baseras på. Eftersom dessa i hög grad saknats för rekvisitionsläkemedel förväntas sådana bedömningar innebära värdefulla bidrag för att åstadkomma en effektivare och mer ändamålsenlig läkemedelsanvändning. Sammantaget förväntas TLV:s hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel bidra till

- bättre underlag för kliniska beslut och upphandling av läkemedel
- större transparens kring läkemedels kostnadseffektivitet och priser
- bättre utnyttjande av existerande resurser för kunskapsvärdering genom att bedömningarna görs av en nationell myndighet och inte av alla huvudmännen
- en likvärdig och kunskapsstyrd läkemedelsanvändning i hela landet
- långsiktiga kulturförändringar kring synen på hälsoekonomisk information och samt öppna jämförelser av terapival

¹ Begreppet förklaras under avsnitt 3

En fungerande kunskapsstyrning inom hälso- och sjukvården innebär att bästa tillgängliga kunskap ska ligga till grund för kliniska och administrativa beslut. De förslag som presenteras i rapporten innebär förbättring av kunskapsstyrningen och ställer större krav på alla parter – huvudmännen, företagen och myndigheterna.

Grundläggande struktur för de hälsoekonomiska bedömningarna

TLV anser att huvudmännen har den största nyttan av att hälsoekonomiska bedömningar görs av rekvisitionsläkemedel. Huvudmännen bör därför ges rätten att initiera en hälsoekonomisk bedömning. Sådana initiativ kan lämpligen samordnas och prioriteras av *Nya Läkemedelsterapier* (NLT), en grupp som huvudmännen gett uppgiften att följa och värdera vissa nya läkemedel.

Förfarandet föreslås vara selektivt och de läkemedel som prövas ska vara sådana som är svåra att värdera och som har stor ekonomisk påverkan på huvudmännen samt uppvisar eller förväntas innebära stora skillnader i användning. I en begäran om bedömning kan det anges vilka indikationer som bedömningen bör avse. Detta innebär att både nya och äldre läkemedel kan bli aktuella för TLV:s hälsoekonomiska bedömningar, även om det kan antas att de förstnämnda kommer att dominera.

TLV anser att handläggningstiden i normalfallet inte bör överstiga den handläggningstid som gäller för ansökningar inom läkemedelsförmånerna, högst 180 dagar efter det att myndigheten fått tillgång till relevant underlag. De hälsoekonomiska bedömningarna kräver samverkan med fler aktörer för att få fram nödvändiga underlag och stora insatser av myndigheten med bl. a. analys av de hälsoekonomiska konsekvenserna. Handläggningstiden påverkas givetvis också av de resurser som TLV tilldelas för detta ändamål. Brister i det hälsoekonomiska bedömningsunderlaget kan också leda till att TLV inte kan göra någon bedömning alls. En osäkerhet kring värdet av ett läkemedel kommer givetvis att påverka användningen av det.

Grunden för de hälsoekonomiska bedömningarna förändras inte. Bedömningen av rekvisitionsläkemedel förväntas dock bli mer indikationsbaserad och resultera i fyligare kunskapsunderlag än dagens förmånsbeslut.

TLV bedömer att antalet läkemedel som kan bli aktuella för en hälsoekonomisk bedömning blir mellan 5 och 10 per år. I praktiken blir det väsentligt fler läkemedel som berörs på grund av det större antalet tidigare inte bedömda jämförelsealternativ. Resultatet av TLV:s bedömning blir ett kunskapsunderlag utifrån läkemedels kostnadseffektivitet.

I den kunskapsintensiva miljö som hälso- och sjukvården utgör kommer behov av uppdaterade bedömningar snart att uppkomma. TLV ser två huvudsakliga sätt att hantera detta. För det första kommer de känslighetsanalyser som gjorts vid de ursprungliga bedömningarna att vara detaljerade och baseras på tydliga antaganden. Det innebär att huvudmännen själva bör kunna göra en förnyad bedömning utifrån t ex nya priser och/eller förändrade doser. Om det tillkommer nya läkemedel eller nya studier som mer grundläggande påverkar den hälsoekonomiska analysen bör det vara möjligt för huvudmännen att få en förnyad bedömning. Behovet av en uppdatering av en hälsoekonomisk bedömning får då vägas mot behovet av en bedömning av nya eller äldre hittills inte bedömda läkemedel.

Problem och utmaningar

Det finns flera svårigheter som behöver hanteras. Ett problem är att de hälsoekonomiska kunskapsunderlagen generellt är av sämre kvalitet eller saknas jämfört med vad som gäller för receptläkemedel. Detta beror främst på att företagen inte tidigare behövt ta fram sådana. Dessutom är situationen inom slutenvården mer komplex

med ofta sjukare patienter och en mer experimentell förskrivning på fler indikationer. Arbetet kräver samverkan med företagen och stöd från andra myndigheter samt att TLV utvecklar samarbetet med dessa.

En förutsättning för att analysera kostnadseffektivitet och kunna göra hälsoekonomiska bedömningar är tillgången till pris- och effektuppgifter för aktuella läkemedel. Det finns olika sätt att få reda på en varas pris och det enklaste är att företaget lämnar den uppgiften. Men vilka priser TLV ska använda och hur myndigheten ska få tillgång till dem är en del av utvecklingsarbetet och av förhandlingarna med de olika intressenterna.

Eftersom företagen inte regelmässigt tagit fram hälsoekonomiska modeller för rekvisitionsläkemedel kan initialt stora fördelar uppnås om huvudmännen/NLT i ett tidigt skede offentliggör vilka äldre och vilka nya kommande läkemedel som man avser att ta upp och begära bedömning av. Det ger företagen en möjlighet att ta fram alternativt förbereda hälsoekonomiska underlag. På något års sikt efter beslutet att införa en verksamhet med hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel kommer företagen sannolikt ha anpassat sig till de nya förutsättningarna och mera regelmässigt ha tagit fram hälsoekonomiska underlag/modeller för nya läkemedel.

Eftersom empiriska hälsoekonomiska data oftast saknas för nyare läkemedel behöver TLV få tillgång till företagens hälsoekonomiska modeller där de hälsoekonomiska effekterna av den framtida användningen av läkemedlet simuleras. TLV anser att det är en förutsättning att de forskande läkemedelsföretagen genom den gemensamma branschorganisation, Lif, åtar sig att lämna det nödvändiga underlaget till TLV. För en sådant åtagande har Lif framhållit vikten av förutsebarhet. Läkemedelsföretagen behöver nämligen en viss tid på sig för kunna leva upp till nya kraven och anpassa sina rutiner.

Idag bedriver NLT via fylansgruppen Horizon Scanning. Ett sätt att öka förutsebarheten i behovet av framtida hälsoekonomiska bedömningar är att Läkemedelsverket, TLV, NLT och Lif i högre grad samverkar i sådan framtidsspaningen.

Det är viktigt att slå fast att företagen har en stor betydelse i hälso- och sjukvårdens kunskapsstyrning och att de har ett ansvar för att bidra till och underlätta arbetet med de bedömningar av effekter och kostnadseffektivitet som de statliga myndigheterna gör. Även om förmånsläkemedel och rekvisitionsläkemedel hanteras i olika system på nationell och regional nivå, är det svårt att motivera varför de hälsoekonomiska bedömningarna av receptläkemedel ska bygga på ett bättre kunskapsunderlag än de läkemedel som används och rekvireras på sjukhusen. Transparens och jämförelser är viktiga förutsättningar för att åstadkomma en evidensbaserad och ändamålsenlig läkemedelsanvändning samt för att premiera företagen med de mest innovativa läkemedlen.

Ur ett patientperspektiv är det svårt att förstå att företag kan ansöka om subvention för läkemedel som normalt sett används på en klinik, om denna beviljas, att läkemedlet sedan kan förskrivas på recept. Det är dock för närvarande för tidigt att lämna konkreta förslag kring lämpliga avgränsningar för ansökningar inom läkemedelsförmånerna. Om erfarenheterna från hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel är positiva kan en sådan ordning komma att bli permanent. I samband med det kan det då finnas anledning att också se över regelverket för ansökningar inom läkemedelsförmånerna.

Under arbetet med framtagandet av denna rapport har det blivit tydligt hur beroende myndigheten är av andra myndigheter och av en fungerande uppföljning inom läkemedelsområdet.

Nuvarande läkemedelsregister har stora begränsningar. Det hanterar endast receptläkemedlen och registrerar inte på vilken indikation ett läkemedel ordineras. I rap-

porten den 12 april 2010 till regeringen föreslår TLV att förskrivningsorsak och dos ska anges i det elektroniska receptet och sedan kunna följas i apoteksförsäljningen och läkemedelsregistret. Förbättringar i uppföljningen av rekvisitions- eller kliniskläkemedel kräver i första hand bättre strukturerade datajournaler och kvalitetsregister. TLV ser det som mycket angeläget att regeringen stödjer utvecklingen av denna infrastruktur.

Organisation och kostnader för hälsoekonomiska bedömningar

Det går att utveckla nuvarande system längre än vad som här föreslås. Eftersom det är fråga om komplexa system och omställningar för alla parter föreslår TLV att verksamheten med hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel får formen av en försöksverksamhet under förslagsvis en tvåårsperiod som därefter får utvärderas. Detta ger TLV erfarenheter och ett kunskapskapital, som bör ge förutsättning att vidareutveckla de nationella bedömningarna.

Försöksverksamheten behöver byggas upp successivt under ett halvår innan verksamhetsstarten. Såväl rekryteringar som utvecklingsarbetet måste inledas skyndsamt. Då arbetet är beroende både av formella beslut och resultatet av förhandlingar mellan olika parter kan det vara svårt att i alla delar påbörja verksamheten från och med årsskiftet 2010/2011. Oavsett beslut om startdatum fattas krävs 0,5 + 2 år för att etablera och utveckla verksamheten för att därefter utvärdera den.

TLV beräknar att den ytterligare handläggare- och ledningstid som behövs motsvarar minst sex årsarbetare. Även tiden för externa experter behöver utökas. Totalt beräknar TLV att satsningen, utifrån vad som beskrivits i rapporten, innebär kostnader på ca 7 Mkr på årsbasis och en uppstartskostnad under ett halvår på ca 2,3 Mkr.

Kostnaden ska ställas mot att rekvisitionsläkemedlen har den största kostnadsökningstakten bland läkemedel och de sämsta hälsoekonomiska kunskapsunderlagen. Huvudmännens beslutsfattare, läkemedelskommittéer och läkare behöver bättre underlag för att effektivisera användningen av rekvisitionsläkemedel. Dessutom har huvudmännen högst varierande förutsättningar för att själva ta fram relevanta hälsoekonomiska underlag, varför en nationell lösning är att föredra.

Det grundläggande samspelet mellan TLV och huvudmännen/NLT bör regleras i de årliga överenskommelserna mellan staten och SKL. En förutsättning för verksamheten är dock att läkemedelsindustrin åtar sig att lämna ut de uppgifter som TLV behöver för att göra en hälsoekonomisk bedömning av rekvisitionsläkemedel

Sådant hälsoekonomiskt underlag som TLV får tillgång till i samband med sina bedömningar av rekvisitionsläkemedel kommer att vara av samma slag som TLV får tillgång till vid prövning av ansökningar inom läkemedelsförmånerna. För dessa gäller helt eller delvis sekretess. Detsamma bör gälla vid de bedömningar som görs på begäran av sjukvårdshuvudmännen och TLV föreslår att detta regleras på samma sätt som gäller för ärenden enligt lagen om läkemedelsförmåner m.m. genom ett tillägg görs i bilagan till offentlighets- och sekretessförordningen (2009:641).

1. Uppdraget

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) har fått regeringens uppdrag att utreda förutsättningarna för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som inte ingår i läkemedelsförmånerna, men som rekvideras till slutenvården (Regeringsbeslut S2009/8652/HS, 2009-11-12).

I TLV:s uppdrag ingår att:

- utreda förutsättningarna att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som inte ingår i läkemedelsförmånerna, men som rekvideras av slutenvården,
- utreda rättsläget och föreslå nödvändiga författningsändringar
- analysera vilka tillkommande kostnader ett utökat uppdrag skulle medföra för TLV

Inom ramen för uppdraget ingår att analysera och lämna förslag enligt följande.

- Vilka aktörer som bör få möjlighet att ansöka om hälsoekonomiska bedömningar.
- Om alla eller endast utvalda grupper av slutenvårdsläkemedel ska kunna bli föremål för hälsoekonomiska bedömningar.
- Vilken rättslig status de hälsoekonomiska bedömningarna bör få, t ex om de ska gå att överklaga.
- Hur en hälsoekonomisk bedömning kan komma att påverka landstingens upphandling av läkemedel som används i slutenvården
- När, i förhållande till godkännandet av läkemedlet, en hälsoekonomisk bedömning ska kunna påbörjas
- Hur lång tid efter ansökan om en hälsoekonomisk bedömning som resultatet ska redovisas
- Hur samverkan ska ske med andra berörda myndigheter och organisationer, såsom landstinget och Sveriges Kommuner och Landsting
- Vilka bedömningsgrunder som ska ingå i den hälsoekonomiska bedömningen
- Hur en lämplig och flexibel gräns mellan de läkemedel som rekvideras till slutenvården och de som förskrivs inom läkemedelsförmånerna bör vara utformad.

I uppdraget har inte ingått att utvidga kretsen av läkemedel som idag ingår i läkemedelsförmånerna.

2. Bakgrund till uppdraget

Den utveckling som skett efter lag (2002:160) om läkemedelsförmåner och TLV tillkom har lämnat viktiga bidrag till en effektivare läkemedelshantering. Framför allt har kostnadseffektivitetsprincipen etablerats som grund för subventionsbeslut av receptläkemedel. Det har inneburit att läkemedel som inte bedömts som kostnadseffektiva ur ett samhällsperspektiv har nekats subvention och därmed fått en begränsad användning. TLV:s förmånsbeslut är ett viktigt beslutsstöd för huvudmännens läkemedelskommittéer och vårdprogramgrupper. I en rapport som lämnades över till regeringen den 12 april 2010 har TLV föreslagit ytterligare åtgärder som kan åstadkomma en mer kostnadseffektiv användning av originalläkemedel och generika inom läkemedelsförmånerna².

Flera har frågat sig om de effekter som uppkommit för receptläkemedel också kan överföras till de läkemedel som rekvideras inom slutenvården. Eftersom dessa finansieras helt av huvudmännen och inte omfattats av läkemedelsförmånerna är den statliga kunskapsstyrningen inom rekvisitionsläkemedelsområdet relativt outvecklad. Det oberoende kunskapsstöd som finns för rekvisitionsläkemedel är Läkemedelsverkets bedömningar av effekt för uppgivet syfte och säkerhet i produktion/användning, som görs i samband med godkännandet. Läkemedelsverket genomför också workshops där mer specifika rekommendationer ges kring doser, koncentrationer etc. Dessutom ges vägledning kring olika läkemedel i vissa av SBU:s systematiska översikter och Alertrapporter samt av Socialstyrelsen i den mån de används i behandlingen av de sjukdomar som täcks av de nationella riktlinjerna. TLV har även inom ramen för sina förmånsbeslut bedömt vissa läkemedel som är av rekvisitionskaraktär.

Flera instanser har föreslagit att TLV även ska göra hälsoekonomiska bedömningar av de läkemedel som rekvideras inom sjukvården. Ett sådant förslag finns i P16-gruppens rapport *En effektivare läkemedelsanvändning*³ från 2009. I betänkandet *En nationell cancerstrategi* (SOU 2009:11) föreslås att TLV på begäran ska kunna göra hälsoekonomiska bedömningar av cancerläkemedel som rekvideras inom hälso- och sjukvården. Argumentet är att alla sjukvårdshuvudmän bör ha tillgång till en gemensam hälsoekonomisk bedömning av de läkemedel som rekvideras inom cancervården. En första preliminär bedömning bör göras i samband med att ett nytt cancerläkemedel godkänns och ligga till grund för huvudmännens upphandling i avvaktan på att evidensbaserade kunskapsunderlag och riktlinjer har tagits fram av SBU och Socialstyrelsen. Även Lif har i remisshanteringen av ovanstående utredningar betonat vikten av att hälsoekonomiska bedömningar görs för rekvisitionsläkemedel och även för icke-farmakologiska terapier.

I oktober 2009 bildade *Danske regioner* "Rådet for anvendelse af dyr sygehusmedicin". Rådets huvuduppgift blir att fatta beslut om rekommendationslistor och behandlingsvägledningar. Syftet är att säkra en nationell grund för en ändamålsenlig och likvärdig användning av upphandlade läkemedel. Ansatsen är bredare än den som nu är aktuell för TLV. Vilka bedömningsmodeller som kommer att an-

² Utgångspunkten var det regeringsuppdrag som lämnades i december 2008 med anledning av den omreglerade apoteksmarknaden (dnr S2008/10720/HS) och den precisering som regeringen gjorde den 4 juli 2009 kring hur systemet med pris baserat på samhällsnytta kan åstadkomma prispress på läkemedel.

³ Rapporten togs fram av en arbetsgrupp med personer från bl. a Socialdepartementet och SKL som lämnade en rad olika förslag för att effektivisera den långsiktiga läkemedelsanvändningen. Arbetsgruppens uppdrag utgick från 2008 års överenskommelse om statens ersättningar till landstingen för läkemedelsförmånerna.

vändas framgår inte av tillgänglig information, men begreppet konsensus används ofta i de beskrivande texterna.

Enstaka europeiska länder har någon form av mer systematiska utvärderingar av de läkemedel som används inom sjukhusvården. Dessa är dock alltid selektiva och inte kopplade till ersättningsnivåer. Bl. a Nederländerna och delar av Storbritannien (NICE för England och Wales) gör nationella bedömningar utifrån vissa av de aktuella läkemedlens effekt och kostnadseffektivitet.

Parallellt med idéerna om att utvidga TLV:s hälsoekonomiska bedömningar till de läkemedel som rekvideras finns också initiativ för att undersöka möjligheterna till någon form av nationell utvärdering av andra medicinska teknologier än läkemedel. På uppdrag av generaldirektörerna för Socialstyrelsen, Läkemedelsverket, SBU och TLV har CMT gjort en förstudie för att analysera förutsättningarna för detta⁴. Förstudien visar att det inte finns några direkta förlagor och att varje system är nära sammanlänkat med hur respektive lands sjukvårdssystem är organiserat. Det föreslås att länder som England, Nya Zeeland, Kanada och Australien studeras ytterligare samt att olika arbetsmodeller för svenska förhållanden utarbetas i samverkan med huvudmännen.

En hälsoekonomisk bedömning av rekvisitionsläkemedel aktualiserar bedömningar av icke medicinska teknologier, eftersom jämförelsealternativet till bedömda rekvisitionsläkemedel i flera fall kan vara kirurgi, strålning eller andra icke farmakologiska åtgärder.

Oavsett var i vården ett läkemedel används och oavsett hur det finansieras bör ordinerande läkare, läkemedelskommittéer och huvudmännens beslutsfattare basera sin läkemedelsanvändning på bästa tillgängliga kunskap. Det finns ett starkt stöd hos huvudmännen för att hälsoekonomiska bedömningar ska göras av alla läkemedel oavsett hur de ordinerar och administreras.

⁴ Nationellt system för utvärdering, prioritering och införandebeslut av icke-farmakologiska sjukvårdsteknologier – en förstudie. Per Carlsson et al. CMT Rapport 2010:1

3. Gränsen mellan läkemedel som rekvireras och läkemedel som förskrivs på recept

I detta avsnitt ges först en bakgrund till den nuvarande begreppsapparat och de problem som är förknippade med den. Därefter sammanfattas TLV:s bedömningar och förslag.

Begreppen öppen och slutenvård respektive recept- och rekvisitionsläkemedel skär genom hela vårdapparaten och blir allt svårare att tillämpa på grund av kontinuerliga förändringar i sjukvårdsstrukturen och att samma läkemedel kan klassificeras som både ett recept- respektive ett rekvisitionsläkemedel. Det finns inte längre någon tydlig överensstämmelse mellan öppen vård och receptläkemedel respektive slutenvård och rekvisitionsläkemedel.

Hela 1900-talet har präglats av en ökande andel öppen vård. Nya teknologier gör det onödigt att skriva in patienten på sjukhuset, eftersom behandlingen kan ske antingen i primärvården eller på sjukhusens mottagningar eller inom dagvården. En konsekvens av detta är att antalet vårdplatser och medelvårdtiden har minskat och att produktiviteten har ökat i motsvarande grad.

Kostnaden för slutenvårdens läkemedel har av tradition ingått i behandlingen och har inte belastat patienten. När läkemedel började skrivas ut på recept och hämtas ut på apotek bekostades de däremot av patienten. Häri ligger de historiska skälen till att subventionera receptläkemedlen, eftersom enskilda patienter annars skulle fått bära orimligt höga kostnader i takt med att läkemedlen blev allt dyrare.

Idag finns minst tre begreppspår som används för att klassificera användningen av läkemedel i olika delar av vårdverksamheten (Se Tabell 2). Den förstnämnda distinktionen mellan öppen och slutenvård används bl. a i hälso- och sjukvårdsstatistiken, men blir alltmindre användbar i takt med utvecklingen. Den andra, special- respektive basläkemedel, används bl. a då landstingen vill förtydliga vem som ska förskriva läkemedlet och/eller vilka verksamheter som ska stå för kostnaden. Det tredje begreppsparet, recept- respektive rekvisitionsläkemedel, används både för att beskriva hur läkemedel ordinerar och hur de finansieras. Det är framför allt det första och det sista begreppsparen som orsakat problem av olika slag och som står i fokus för TLV:s överväganden.

Begrepp	Princip
Öppen- respektive slutenvårdsläkemedel	Var i vården läkemedlet används
Bas- respektive specialistläkemedel	Vem som förskriver läkemedlet och hur kostnaderna redovisas i på verksamhetsnivå i landstinget
Recept- respektive rekvisitionsläkemedel	Hur läkemedlet ordinerar och vem som betalar för det (förmån eller klinik)

Tabell 2: Begrepp och principer för att karaktärisera läkemedel.

3.1. Bas- respektive specialistläkemedel

Något förenklat ordinerar *basläkemedel* i primärvården och *specialläkemedel* inom *specialistvården*. Distinktionen mellan dessa är viktig när huvudmännen decentraliserar kostnadsansvaret för läkemedelsanvändningen. Vilka läkemedel som hör till vilken grupp kan skilja sig något mellan huvudmännen, eftersom de svarar mot olika behov och förhållanden. De landsting som decentraliserat kostnadsansvaret för läkemedlen använder två modeller för detta. Den första bygger på ett befolkningsansvar och innebär att primärvården har kostnadsansvaret för *alla* basläkemedel oavsett om preparatet skrivs ut av en distriktsläkare eller av en annan specialist. Motsvarande princip gäller för specialistläkemedel. Den andra modellen baseras på var läkemedlet förskrivs. Om det skrivs ut inom primärvården så har vårdcentralen kostnadsansvaret och motsvarande gäller om läkemedlet skrivs på en specialistklinik. Detta gäller oavsett om det är fråga om bas- eller specialistläkemedel.

3.2. Recept- och rekvisitionsläkemedel

Precis som mellan öppen och sluten vård har gränsen mellan rekvisitions- och receptläkemedel en gång varit tydlig. Definitionen av recept- respektive rekvisitionsläkemedel handlade ursprungligen om olika former att administrativt hantera en ordination av ett läkemedel:

- Receptläkemedel ordinerar och receptförskrivs till en enskild patient för att användas i en behandling. Patienten hämtar själv ut läkemedlet på apotek och använder det enligt ordination.
- Rekvisitionsläkemedel ordinerar och rekvideras av kliniken för att användas i behandlingen av enskild patient. Läkemedlet tillhandahålls och administreras av sjukhuset.

Bägge definitioner är deskriptiva och är ömsesidigt uteslutande. Sedan lagen om läkemedelsförmåner har denna ordinationsbaserade definition kombinerats med en finansieringsberoende begreppsbestämning, som knutits till TLV:s subventionsbeslut av receptläkemedel inom läkemedelsförmånerna.

Läkemedel	Subvention	Upphandling (ej subvention)
Recept	X	–
Rekvisition	–	X

Tabell 3: Illustrerar hur ordinations- respektive finansieringsprinciperna griper in i varandra.

Tabell 3 visar den grundläggande ekonomiska skillnaden mellan ett recept- och ett rekvisitionsläkemedel. Pilarna illustrerar hur positionerna för såväl ett recept- som rekvisitionsläkemedel kan förändras. I och med att TLV fastställt priset på ett receptläkemedel så fakturerar apoteket landstinget den förutbestämda kostnaden (med undantag av egenavgiften). Om landstinget bedömer kostnaden som hög, kan det välja att upphandla läkemedlet tillsammans med övriga rekvisitionsläkemedlen⁵. Förfarandet innebär att lägre priser kan uppnås, men även att läkemedlet får rekvisitionsstatus och administreras via sjukhuset. Läkemedlet kan då karaktäriseras som både ett recept- och ett rekvisitionsläkemedel, eftersom det finns inom förmånerna

⁵ Detta gäller inte för renodlade receptläkemedel, utan endast för förmånsbedömda läkemedel av slutenvårdskaraktär.

och samtidigt handlas upp och rekvireras. Detta illustreras av den högra pilen i tabellen ovan.

Om ett receptläkemedel ges en subvention eller inte avgörs av TLV. Om läkemedlet ska prövas för subvention bestäms dock av det enskilda företaget, som kan ansöka eller avstå från att ansöka. Idag är det vanligt att företagen söker subvention även för typiska sjukhusläkemedel. Det senare sker utifrån företagets önskan att få ett så högt pris som möjligt inom ramen för den hälsoekonomiska bedömningen. Förfarandet innebär att läkemedel som bör rekvireras och ges av hälso- och sjukvårdspersonal får status som receptläkemedel (om de beviljas subvention). Detta förfarande motsvarar den vänstra pilen i Tabell 3.

De praktiska effekterna för läkemedelsförmånerna är att kostnaden ökar när företagen ansöker om subvention för läkemedel som bör rekvireras och minskar när landstingen väljer att handla upp ett receptläkemedel. Det blir därför allt svårare att kalkylera de verkliga kostnaderna för de förmånsberättigade läkemedlen, som är de som ska finansieras genom statsbidraget. För patienternas del är landstingens upphandling av receptläkemedel en ekonomisk fördel, eftersom egenavgiften försvinner. Däremot kan det vara besvärligare att hämta ut läkemedlet.

3.3. Fokus på patienten

Varje fråga om en begreppsapparats ändamålsenlighet pekar direkt mot dess mål och syften, dvs här en kostnadseffektiv och säker läkemedelsanvändning. Begrepp synliggör olika dimensioner och bidrar till att skapa en mental ordning och reda. De fungerar som ett par nya glasögon som ökar upplösningen, men för att intrycken ska kunna användas som komponenter i system och processer krävs också att de är rimligt konsistenta. Det som skapar problem i nuvarande beskrivningssystem för läkemedel är de många dimensionerna och den bristande inbördes samordningen, dvs var läkemedlen används, hur de ordinerar och vem som finansierar dem.

En konsekvens av nuvarande system är att patienter kan hämta känsliga injektionsväskor på apoteket för att sedan gå till sjukhuset för att få sin injektion. En annan grupp patienter behöver hämta och i vissa fall inta sina läkemedel på kliniken, eftersom sjukhuset valt att upphandla aktuellt receptläkemedel. Vilka rutiner som används får både ekonomiska och praktiska konsekvenser för patienterna. En konsekvens av nuvarande ordning är att huvudmännen ibland tvingats upprätta listor på läkemedel för att förtydliga vad "som lämpligen hanteras som rekvisitionsläkemedel". Bl. a i Region Skåne tog Läkemedelsrådet fram en sådan lista 2009.

Det måste vara patienternas behov som gör att ett läkemedel ordinerar på recept eller genom rekvisition. Det är patientens tillstånd och åtgärdernas art som ska motivera sättet att ordinera ett läkemedel, inte hur de finansieras och klassificeras. Det ligger i God-vård-konceptet att vården ska vara patientcentrerad. Detta borde reflekteras mer i denna del av vårdens beskrivningssystem och begrepp.

3.4. Klinikläkemedel

De flexibla gränserna mellan recept- och rekvisitionsläkemedel har sin grund i förmånssystemets konstruktion. Såväl företagens som huvudmännens agerande bidrar till detta och gör det även allt svårare att årligen beräkna den kostnadsandel som är hänförlig till läkemedelsförmånerna, som i sin tur är underlag för nivån på det generella statsbidraget till läkemedel.

Gällande lagstiftning när det gäller läkemedelsförmånerna ger dock ingen vägledning i dessa frågor, vilket bidragit till den rörliga kartan och begreppsmässiga oord-

ningen. Det har lett till att myndigheten accepterat läkemedelsföretags ansökningar inom förmånerna för läkemedel som rimligen borde rekvireras och administreras i specialistvården.

Det är framför allt två faktorer som avgör om ett läkemedel är lämpligt att rekvirera och administrera inom vårdenheten eller inom hemsjukvården. Det första är läkemedlets karaktär och den faktor som TLV kan ta hänsyn till i sina bedömningar. Rekvisitionsläkemedel kräver ofta en mer avancerad tillförsel genom infusioner eller injektioner. Läkemedlet kan också ge mer eller mindre kraftiga reaktioner, vilket innebär behov av övervakning. Den andra faktorn är patienten och här är det läkarens bedömning som är central. En kapabel patient kan injicera olika lösningar muskulärt eller under huden, medan andra inte klarar att hantera sina tabletter.

Beteckningen rekvisitionsläkemedel är inte idealisk då den främst tar fasta på hur läkemedlet beställs till kliniken. Klinikläkemedel är ett bättre begrepp då det förmedlar att läkemedlet används på en klinik på ett sjukhus eller inom ramen för en fristående specialistmottagning. *TLV föreslår därför att klinikläkemedel blir standardbeteckningen för de läkemedel som kräver stöd av hälso- och sjukvårdspersonal för administrering och övervakning när det förs in i kroppen.* Termen ersätter inte *rekvisitionsläkemedel* utan förtydligar en särskild klass av dessa. Rekvisitionsläkemedel är fortfarande en adekvat beteckning på de läkemedel som rekvireras från sjukhusens apotek eller läkemedelsförråd.

Om en ny bedömningsprocess för rekvisitionsläkemedel etableras bör även hittillsvarande praxis för att acceptera ansökningar gällande klinikläkemedel inom förmånsprövningen ses över. Bakgrunden är kraven på patientsäkerhet och att undvika att patienter blir transportörer av ibland känsliga läkemedel från apotek till klinik. Genom att de flesta huvudmännen upphandlar receptbelagda klinikläkemedel blir begreppsförvirringen stor. En restriktivare hållning till vilka läkemedel som accepteras för förmånsbedömningen är ett av flera sätt att markera att det är patientens behov och medicinska övervägande som ska stå i fokus.

Om TLV skulle tillämpa en striktare hållning vid företagets subventionsansökningar och avvisa sådana som uppenbarligen gäller klinikläkemedel uppstår även andra konsekvenser. Läkare som ersätts utifrån den nationella taxan kan då inte som idag receptförskriva dessa läkemedel. De måste därför hitta andra vägar att införskaffa dem och få ersättning för kostnaderna. Antingen måste de själva köpa in läkemedlen och komma överens med landstinget om hur detta ska ersättas, eller så måste en överenskommelse träffas med huvudmannen om hur existerande läkemedelsförråd kan användas.

En annan konsekvens av en striktare hållning till nya klinikläkemedel inom förmånerna är att TLV måste ta ställning till hur de läkemedel som redan getts subvention ska behandlas. Ska dessa kunna vara kvar inom förmånerna eller ska de fasas ut? Kravet på likabehandling talar för att TLV då måste ompröva många förmånsbeslut, vilket är ett omfattande arbete.

TLV:s bedömning är att det inte är lämpligt att förskriva avancerade klinikläkemedel på recept och därmed är det inte heller lämpligt att förmånsbedöma ansökningar som uppenbarligen gäller denna typ av läkemedel. Detta gäller i synnerhet om myndigheten får uppdraget att göra hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel. Det ligger inte inom ramen för detta regeringsuppdrag att föreslå förändringar inom förmånssystemet, men TLV vill fästa regeringens uppmärksamhet på problematiken. Om ett system med hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel etableras mer permanent, bör även de läkemedel som kan bli föremål för ansökningar i förmånssystemet definieras. Lagen om läkemedelsförmåner m.m.

avgränsas till läkemedel som i normalfallet inte kräver medverkan av hälso- och sjukvårdspersonal vid tillförsel och för övervakning av patienten.

3.5. Kopplingen till statsbidraget

Ur både ett samhälls- och huvudmannaperspektiv är de totala läkemedelskostnaderna de mest intressanta att följa, inte minst mot bakgrund av hur kostnader kan flyttas mellan förmån och rekvisition och vice versa. I överenskommelserna mellan staten och SKL om statsbidragets storlek har kopplingen till läkemedelsförmånerna varit stark. Redan 1998 kom dock parterna överens om att följa hela läkemedelsutvecklingen, men inte förrän i överenskommelsen som gäller för 2009-2010 har rekvisitionsläkemedlen på allvar kommit med i den ekonomiska ekvationen. I överenskommelsen ingår en vinst- och förlustdelningsmodell, som görs beroende av utvecklingen av de totala läkemedelskostnaderna hos huvudmännen.

Kopplingen mellan statsbidraget och receptläkemedlen försvagas för varje år och parterna blir mer och mer öppna för att beakta styrningen av den totala läkemedelsanvändningen. SKL är en påskyndare till det senare, trots organisationens starka bindning till finansieringsprincipen⁶.

Subventionen av receptläkemedel har gått från ett system där staten direkt subventionerat patientens kostnader för läkemedlet, till ett system där landstinget har hela kostnadsansvaret och staten ger ett generellt bidrag till huvudmännens (recept)läkemedelskostnader. Mot den bakgrunden är det begripligt att det finns skillnader i hur olika läkemedel hanteras ur ekonomisk synpunkt, men inte acceptabelt i de fall där det fått negativa konsekvenser för hur läkemedlet administreras till patienten och i vissa fall för patientsäkerheten.

⁶ Finansieringsprincipen innebär att den som beslutar om något också ska betala för det.

4. Behovsanalys

De hinder som finns för en effektivare läkemedelsanvändning har summerats på flera håll, senast i rapporten *En effektivare läkemedelsanvändning*⁷. Av de svårigheter som har relevans för föreliggande uppdrag om hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel, är följande särskilt viktiga:

- Snabb kostnadsutveckling av rekvisitionsläkemedel
- Bristande underlag och mekanismer för bedömning av rekvisitionsläkemedels kostnadseffektivitet och prioritering
- Olika regelverk för recept- respektive rekvisitionsläkemedel och läkemedlens förflyttningar mellan dessa
- Huvudmännens styrning av läkemedelsanvändningen
- Vårdens likvärdighet ur ett patientperspektiv

4.1. Snabb kostnadsutveckling av rekvisitionsläkemedel

Läkemedel är en viktig teknologi i hälso- och sjukvårdens behandlingar och kostnaden för dessa utgör en stor andel av de totala hälso- och sjukvårdskostnaderna. År 2009 var de totala kostnaderna för läkemedel i Sverige 35,5 Mdkr. Av detta utgjorde kostnaderna för rekvisitionsläkemedel 6,7 Mdkr, inkl de som rekvireras inom öppenvården (skolhälsovården, kriminalvården, m.fl.). Se tabell 1.

Typ av läkemedel	Kostnad 2009
Receptläkemedel, landstingens kostnad	18,8 Mdkr
Receptläkemedel, patienternas kostnad	6,6 Mdkr
Rekvisitionsläkemedel slutenvård	6,4 Mdkr
Rekvisitionsläkemedel öppen vård	0,3 Mdkr
Receptfria läkemedel	3,3 Mdkr
Läkemedel totalt	35,5 Mdkr

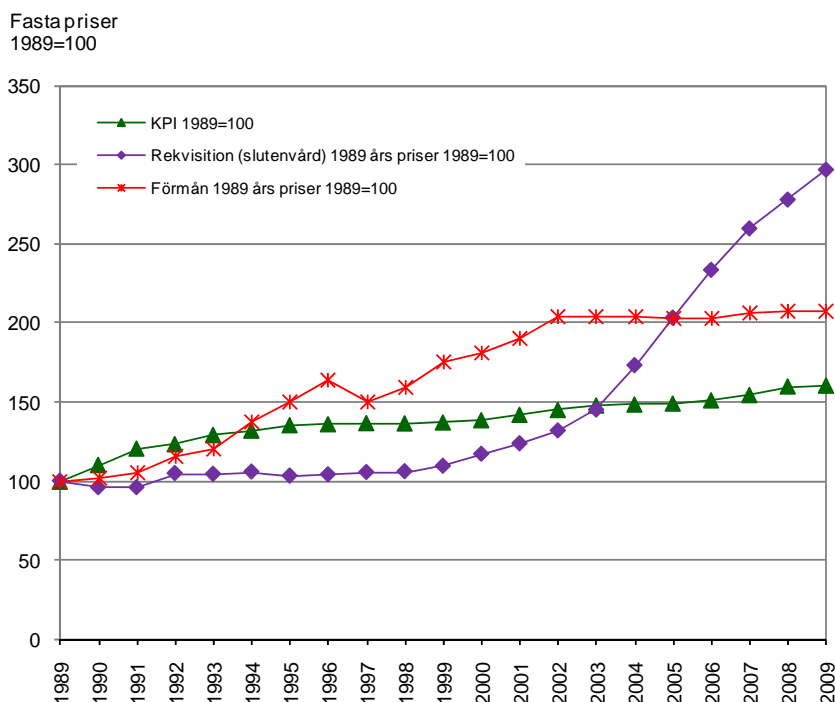
Tabell 1. Källa: Apotekens Service AB (Concise)

Sedan generikareformen 2002 har läkemedelskostnadernas andel av de totala hälso- och sjukvårdskostnaderna hållit sig runt 12 procent. De offentliga utgifterna för läkemedel är, om receptfria läkemedel och patienternas egenavgifter undantas, mellan 8 och 9 procent av hälso- och sjukvårdskostnaderna. Bakom den skenbara stabiliteten på övergripande nivå finns flera underliggande skeenden.

Kostnadsutvecklingen för recept- och rekvisitionsläkemedel ser mycket olika ut. Efter en utplaning efter 2002 har kostnadsökningen för receptläkemedel ökat något. Kostnaderna för rekvisitionsläkemedel fördubblades däremot mellan 2001 och 2007 och under 2004 var ökningstakten som störst med 20 procent. Under 2009 hade den bromsats till 7,9 procent. De rabatter som huvudmännen får när de rekvirerar

⁷ Se not 2.

större mängder läkemedel finns inte med i statistiken, varför den verkliga öknings-takten för rekvisitionsläkemedel är lägre än vad som redovisas. Se figur 1 nedan.



Figur 1. Procentuell kostnadsutveckling för läkemedelsförmånerna och för läkemedel i slutenvården 1989-2009. Fastapriser, index (1989=100) och jämförelser med konsumentprisindex. Källa: Läkemedelsförsäljningen i Sverige – analys och prognos, april 2010. Socialstyrelsen. Data från Apotekens Service AB (2009) och Apoteket AB (perioden före 2009)

I Socialstyrelsens analys och prognoser för läkemedelsförsäljningen i Sverige förut-sågs i april 2009 att kostnadsökningen för receptläkemedel skulle ligga på mellan 2-3 procent de närmaste 3 åren, medan rekvisitionsläkemedel förväntades öka med mellan 8 och 9 procent de närmaste två åren. Mot bakgrund av patentutgångar och andra olika specifika åtgärder kommer dessa siffror att revideras nedåt. Hur mycket beror på graden av framgång i den modell för samverkan med läkemedelsindustrin som beskrivits i TLV:s rapport "TLV:s uppdrag angående omregleringen av apo-tekmarknaden, 2010-04-12".

4.2. Varför stiger kostnaderna så kraftigt för rekvisitionsläkemedel?

Skälen till att kostnaderna stiger kraftigt för rekvisitionsläkemedel är främst att:

- Huvudmännens överföringar från förmånssystemet till rekvisition
- Introduktionen av allt fler nya dyra läkemedel och en omfattande forskning framför allt kring biologiska läkemedel
- Ett ökat antal sällsynta läkemedel med en hög läkemedelskostnad per patient
- Nya och vidgade indikationer
- Effekter av en ökande och åldrande befolkning

Inom den öppna vården finns ytterligare förklaringar till att kostnaderna för recept-läkemedel ökar. En övergripande förändring är synen på vad som är sjukdom och vad som ska behandlas. Allt fler personer behandlas idag i förebyggande syfte – både primär- och sekundärpreventivt. Från att främst handla om sjukdomsbehandling har hälso- och sjukvården i många stycken utvecklats till att begränsa olika riskfak-

torer. Trendmässigt sänks också gränsvärden för behandling av högt blodtryck, blodfetter etc., vilket ökar konsumtionen av läkemedel ytterligare.

Huvudmännens överföringar från förmånssystemet till rekvisition

Huvudmännen väljer i flera fall att handla upp läkemedel som ingår i läkemedelsförmånerna. Det gäller i första hand läkemedel som är lämpliga att administrera på sjukhusen. Statsbidraget uppgick 2009 till 22,4 Mdkr, medan landstingens direkta kostnader för förmånerna var 18,8 Mdkr. Skillnaden består till största delen av uppskattade kostnader för de receptläkemedel som huvudmännen valt att upphandla. Resterande är ersättning för dosdispensering (322 Mkr) och smittskyddsläkemedel mot hiv-infektion och hepatit C i öppenvården⁸.

Från 2003 och framåt kan en stark ökning av kostnaderna för rekvisitionsläkemedel konstateras. I tiden sammanfaller detta med den nya lagen om läkemedelsförmåner, men också med introduktionen av allt fler specialistläkemedel, d v s läkemedel som ordinerar av specialistläkare och som oftast används på sjukhusens kliniker.

Överföringen från förmån till rekvisition och upphandling har skett i olika takt i olika landsting och regioner. Vanligast är att cancerläkemedel (L01) och immunsuppressiva medel (L04) har överförts. Överföringstakten tycks ha stabiliserats under 2006.

Introduktionen av nya dyra läkemedel och en omfattande forskning

I Läkemedelsverkets svar på frågorna från den kommitté som utredde en nationell cancerstrategi förväntas 5-10 nya onkologiska läkemedel per år. Lif förutsåg utifrån samma förfrågan att det handlade om fler än 10 preparat per år. Läkemedel för övriga sjukdomar tillkommer.

EU har utvecklat ett system för läkemedel mot sällsynta sjukdomar, sär läkemedel eller orphan drugs. Sådana läkemedel får ett förenklat ansökningsförfarande hos EMA och om läkemedlet når marknaden får det 10 års marknadsexklusivitet, även om det inte finns ett giltigt patent. Enligt EMA utvecklas en tredjedel av alla läkemedel med status som sär läkemedel mot cancer. Totalt har industrin ansökt om status som sär läkemedel för cirka 500 läkemedel under utveckling och av de 59 som hittills godkänts för försäljning är ett tjugotal cancerläkemedel.

Nya biologiska läkemedel mot inflammatoriska sjukdomar (TNF-alfahämmare) var de mest sålda läkemedlen under 2009. Enbrel, Humira och Remicade såldes för sammanlagt 1 763 Mkr och intog platserna 1, 3 respektive 4 bland de mest sålda läkemedlen. Alla finns inom förmånerna, trots att Remicade är ett läkemedel som kräver medverkan och övervakning av hälso- och sjukvårdspersonal. Antalet biologiska⁹ läkemedel ökar relativt snabbt inom flera terapiområden. Det går att ta fram biologiska läkemedel som liknar varandra, *biosimilars*, men det går inte att garantera att de har exakt samma effekter som originalläkemedlet. De kommer därför inte att utsättas för generisk konkurrens på samma sätt som traditionella läkemedel och de kostnadssänkande effekterna av patentutgångar kommer att bli mindre. Däremot kommer konkurrensen mellan dessa läkemedel sannolikt att öka, eftersom samma eller liknande effekter kan uppnås med en delvis annan molekylstruktur.

Antalet substanser som forskas fram i laboratorier är ständigt ökande. I sitt svar till kommittén som utredde en nationell cancerstrategi uppskattade Lif att antalet substanser som var under utprovning för målinriktade terapier inom cancervården till åtskilliga hundra, vilka inom ett par år kommer att vara något tusental. Alla kommer

⁸ Källor: Överenskommelse om statens ersättning till landstingen för kostnaderna för läkemedelsförmånerna 2009-2010. Socialdepartementet och SKL 2009-03-18. Respektive Apotekets service.

⁹ Biologiska läkemedel är utvecklade från levande organismer. Exempel på sådana är vacciner, TNF-alfahämmare och andra typer av monoklonala antikroppar.

dock inte vidare till klinisk prövning och godkännande, men det ger en fingervisning om potentialen.

Nya och vidgade indikationer

När ett läkemedel är etablerat på marknaden är det vanligt att indikationsgränser utökas och att behandling sätts in i ett tidigare skede eller för andra undergrupper av patienter. Detta ökar läkemedlets användning och följaktligen även kostnaderna. Användning på en förändrad indikation påverkar ofta både effekten och kostnadseffektiviteten varför de ursprungliga bedömningarna behöver uppdateras. Indikationsglidning kan leda till en kostsam överförskrivning, men kan även leda till nya upptäckter och bättre behandling.

Effekter av en åldrande befolkning

En ökad medellivslängd ger fler äldre personer och en ökad prevalens av olika behandlingsbara sjukdomstillstånd inom en rad olika organ. Enligt SCB:s långtidsprognos ökar medellivslängden för män från 79 år 2008 till 85 år 2060, medan motsvarande för kvinnor är 83 år respektive 87 år. Detta ökar hälso- och sjukvårdens insatser och även kostnaderna för läkemedel.

4.3. Bristande underlag och mekanismer för bedömning av kostnadseffektivitet och prioritering

När nya läkemedel godkänns och introduceras finns en viss grundläggande kunskap, som tagits fram vid de kliniska prövningarna. De senare sker under kontrollerade förhållanden, som inte sällan skiljer sig från dem som råder i den kliniska vardagen. Det innebär att användningen av ett läkemedel i klinisk praxis kan avvika både positivt och negativt från de tidiga slutsatserna både när det gäller effekter och kostnadseffektivitet.

När nya läkemedel introduceras saknas nästan alltid empiriska kostnadseffektivitetsdata. Företagen har därför konstruerat hälsoekonomiska modeller för att simulera läkemedlets användning och utifrån dessa kalkylerat kostnadseffektiviteten. I samband med ansökningar inom förmånerna måste företagen bifoga dessa modeller, vars tillförlitlighet därefter bedöms av TLV. När det gäller rekvisitionsläkemedel blir de hälsoekonomiska modellerna, om de existerar, varken föremål för TLV:s eller någon annans bedömningar. I företagets information/marknadsföring presenteras resultaten av gjorda antaganden och simuleringar, utan att mottagaren ges insyn i dessa.

Magra kunskapsunderlag och bristande hälsoekonomisk kompetens gör det svårt för huvudmännen att bedöma nya rekvisitionsläkemedels kostnadseffektivitet. Detta får konsekvenser för prioriteringar inom den kliniska användningen och för huvudmännens möjligheter att bedöma läkemedlets pris.

Det är främst de allra största landstingen/regionerna som har möjlighet att systematiskt göra de bedömningar som krävs för ett ordnat införande. Den hälsoekonomiska kompetensen är dock begränsad överlag och inga huvudmän har tillgång till företagets hälsoekonomiska modeller för aktuella läkemedel.

4.4. Olika regelverk för recept- respektive rekvisitionsläkemedel och läkemedlens förflyttningar mellan dessa

Det viktigaste skälet till att läkemedel som skrivs ut på recept till patienten och de som rekvireras i slutenvården behandlas olika, hänger samman med skillnader i finansiering. De läkemedel som används i slutenvård har alltid betalats av sjukhuset/landstinget medan de receptförskrivna har betalats helt eller delvis av staten.

Detta har numera ersätts med ett statligt bidrag som avser att täcka kostnaderna för receptförskrivna läkemedel inom läkemedelsförmånerna. De snabbt ökande läkemedelskostnaderna för patienterna i början på 1950-talet motiverade de första subventionerna av receptläkemedel. Det ekonomiska stödet till receptläkemedel har funnits i Sverige sedan 1955. Reglerna för detta har ändrats vid flera tillfällen. De tre senaste decennierna har detta reglerats i lag (1981:49) om begränsning av läkemedelskostnader, m.m., lag (1996:1150) om högkostnadsskydd vid köp av läkemedel m.m. och lag (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m.

De successivt förändrade regelverken har handlat om att kontrollera snabbt ökande kostnader för receptläkemedel och olika sätt att hålla nere patientens direkta kostnader. Det senaste regelverket från 2002 där TLV utifrån läkemedlets kostnadseffektivitet bestämmer om preparatet ska subventioneras eller inte samt godkänner tillverkarens pris, har fått flera konsekvenser. De viktigaste är att kostnadseffektivitetsprincipen har etablerats och att den automatiska subventionen försvunnit. Förändringarna har dock inte påverkat hanteringen av rekvisitionsläkemedel. Däremot har företagets och huvudmännens affärsmässiga agerande luckrat upp de tidigare relativt tydliga gränserna mellan rekvisitions- och receptläkemedel.

Landstingen har idag kostnadsansvar för alla läkemedel, även inom öppenvården. Det som tidigare var en direkt statlig ersättning för patientens receptläkemedel är sedan 1998 ett generellt statsbidrag till huvudmännen. Kopplingen till huvudmännens kostnad för receptläkemedel kvarstår, men blir allt svagare för varje år.

4.5. Huvudmännens resurser för läkemedelsarbetet och styrning av läkemedelsanvändningen

Huvudmännens kunskapsstyrning och ekonomiska styrning av läkemedelsanvändningen är olika utvecklad. Resurser i form av personal och kompetens, som ska stödja läkemedelskommittén, göra uppföljningar och planera upphandlingar, varierar kraftigt bland både de större huvudmännen och de medelstora landstingen. Kunskapsstyrningen påverkas också av landstingets storlek och rådande traditioner. De viktigaste komponenterna i denna är:

- Läkemedelskommittén och dess terapigrupper samt specialistresurser inom klinisk farmakologi och klinisk epidemiologi
- Vårdprogramgrupper
- Lokala/regionala läkemedelsråd
- Läkemedelsenheten
- Linjeorganisationen

Gemensamt för alla är de lagstadgade läkemedelskommittéerna [Lag (1996:1157) om läkemedelskommittéer]. Dessa ska genom rekommendationer till hälso- och sjukvårdspersonalen eller på annat lämpligt sätt verka för en tillförlitlig och rationell läkemedelsanvändning inom landstinget. Rekommendationerna ska vara grundade på vetenskap och beprövad erfarenhet. Till öppenvården har rekommendationerna fått formen av ”*Kloka listan*” och motsvarande. För slutenvården har bl. a *Synonym-listor för rekvisitionsläkemedel* tagits fram. De senare anger utbytbarheten mellan olika rekvisitionsläkemedel. Läkemedelskommittéerna har dock huvudsakligen ägnat sig åt öppenvården och receptläkemedlen. Det är först på senare år som engagemanget för rekvisitionsläkemedlen har ökat.

Ansvarskommittén¹⁰ föreslog att obligatoriet för läkemedelskommittéerna skulle upphöra, eftersom farmakologiska terapier inte kan ses isolerat från sjukvårdens

¹⁰ Hållbar samhällsorganisation med utvecklingskraft, SOU 2007:10.

övriga insatser. Detta förslag har inte fått gehör. Däremot visade en nyligen gjord kartläggning av kunskapsstyrningen i landsting och regioner på en ambition hos huvudmännen att sammanföra existerande sakkunnigorganisationer för läkemedel respektive de grupperingar som bildats utifrån organspecialisering eller specialisering utifrån särskilda sjukdomstillstånd¹¹. I Västra Götalandsregionens organisation för ordnat införande prioriteras läkemedel och övriga medicinska teknologier i samma process. Stockholms läns landsting har nyligen bildat ett Medicinsk kunskapscentrum där SPESAK, specialistråden och stödet till kunskapsstyrning har slagits samman med Läksak, Läkemedelscentrum och Läkemedelskommittén. I landstinget Kronoberg gjordes motsvarande, fast i betydligt mindre skala under 2008.

I VGR:s modell för ordnat införande nominerar sjukhus och kliniker läkemedel de vill införa i rutinsjukvården. Efter beredning görs en prioritering i *Program och prioriteringsrådet* och vid ett positivt besked avsätts ekonomiska resurser för finansieringen. I SLL sker arbetet inom Specialläkemedelsprojektet. Här används *Horizon Scanning* för att identifiera vilka läkemedel som behöver bedömas. Förutom att de bägge huvudmännen har olika metoder att identifiera läkemedelskandidater för bedömning och ordnat införande, har VGR en tydligare koppling till finansieringen av det specifika läkemedlet. I SLL görs mer övergripande beräkningar som påverkar storleken av läkemedelsindex, som används för att räkna upp läkemedelskostnaderna i sjukhusens 3-årsavtal med Hälso- och sjukvårdsnämnden.

Även flera av de medelstora och mindre landstingen har ett ordnat införande av nya läkemedel och teknologier. Ofta är det aktuell klinik som tar fram ett underlag till landstingsledningen där nytto- och kostnadsberäkningar samt konsekvenser för verksamheten framgår. Ärendet bereds av chefsläkare och/eller läkemedelskommitté för att sedan beslutas i landstingsledningen och bli en del av underlaget till kommande detaljbudget.

Övergripande kunskapsunderlag och rekommendationer räcker inte för att åstadkomma en effektiv läkemedelsanvändning. Det måste också finnas lokala system för kunskapsbildning och kunskapsledning som kan omsätta rekommendationerna till klinisk praxis. Det måste finnas en tydlig koppling mellan kunskapsorganisationen och linjeorganisationen för att beredning och prioritering av nya läkemedel ska kunna ske i en process för ordnat införande.

En vanlig strategi bland huvudmännen har varit att decentralisera kostnadsansvaret för läkemedelsbudgeten. I en rapport från CMT beskrivs hur huvudmännens tillämpning av ett decentraliserat kostnadsansvar fortskrider¹². 2008 låg kostnadsansvaret för läkemedel på vårdcentraler och kliniker hos 12 huvudmän, på en mellan nivå i 5 fall och centralt hos 4 huvudmän. Något fler landsting (9) tillämpade en forskrivarbaserad modell än de som använde en befolkningsbaserad (8). Det förstnämnda innebär att den verksamhet i vilken läkemedlet skrivs ut också påförs kostnaden. I den befolkningsbaserade modellen fördelas kostnaderna utifrån läkemedlets karaktär och inte utifrån vem eller vilken enhet som forskriver det. *Specialistläkemedel* kostnadsförs på motsvarande klinik och *basläkemedel* på den vårdcentral där patienten är listad.

Användningen av rekvisitionsläkemedel är direkt beroende av budgetprocessen, eftersom kliniken har ekonomiskt ansvar för alla terapeutiska och diagnostiska åtgärder som utförs och beställs av verksamheten. Undantaget är ett fåtal läkemedel

¹¹ Mot en effektivare kunskapsstyrning - Kartläggning och analys av nationellt och regionalt stöd för en evidensbaserad praktik i hälso- och sjukvården. Socialstyrelsen och SKL. November 2009.

¹² Styrformer för effektiv läkemedelsanvändning. Levin et al. CMT (Centrum för utvärdering av medicinsk teknologi), Linköpings Universitet. 2009.

som finansieras solidariskt inom landstinget eller mellan landstingen. Det är i budgetberedningen som de hälsoekonomiska bedömningarna utifrån ett samhällsperspektiv möter verksamhetens ändliga budget och ytterst är det verksamhetschefen för gör prioriteringarna inom verksamheten.

För huvudmännen är utmaningen att knyta samman linje- och kunskapsorganisation med varandra. De broar som byggts är av varierande utformning och kvalitet. De framgångsfaktorer som beskrivits i diskussionerna med huvudmännen kring en effektivare läkemedelsanvändning på regional nivå kan sammanfattas i nedanstående punkter:

- Ordnat införande med prioritering av läkemedel och andra medicinska teknologier i samma process
- Införande och användning av läkemedel kopplas till finansiering i budgetprocessen
- Tydliga rekommendationer från läkemedelskommittén och från nationella organ.

4.6. Vårdens likvärdighet ur ett patientperspektiv

En likvärdig vård i relevanta aspekter – patienterna inom en sjukdomsgrupp kan skilja sig åt en hel del i både sjukdomsbild och preferenser – tillhör kärnvårderna i den svenska hälso- och sjukvården. Hälso- och sjukvårdens krav att värden ska ges på lika villkor är utgångspunkt för en lång rad undersökningar, som visar på variationer i förskrivningsmönster och läkemedelsanvändning inom och mellan lands- och regioner. Det gäller särskilt vid introduktion av nya läkemedel. Orsakerna till detta är flera:

- Traditioner och de aktuella klinikernas kunskaper och erfarenheter
- Otillräckliga kunskapsunderlag kring olika läkemedels effekter och kostnadseffektivitet
- Marknadsföring från företagen och påverkan från patientföreningar samt opinionsbildare
- Klinikens och landstingets ekonomi, där klinikchefer gör olika prioriteringar inom specialiteten och huvudmän gör olika övergripande prioriteringar mellan specialiteter

Genom att påverka var och en av de redovisade orsakerna kan tillämpningen av en viss teknologi bli mer enhetlig. TLV kan bidra med hälsoekonomiska bedömningar inom områden där sådana tidigare inte har funnits. Men för att de ska göra en skillnad måste även övriga delar fungera. Huvudmännen måste t ex ha en fungerande styrning av läkemedelsanvändningen och klinikerna behöver i erforderlig omfattning ta till sig nya kunskaper.

Kraven på en likvärdig vård används ofta som argument för att öka nyttjandet av vissa läkemedel i landsting/regioner som ligger under den genomsnittliga användningen. Det är dock viktigt att slå fast att likvärdigheten primärt inte kan handla om utskrivna volymer läkemedel, utan att läkemedelsanvändningen bygger på en gemensam och konsekvent tillämpning av bästa tillgängliga kunskap. Kravet på likvärdighet behöver även vägas mot nyttan av skillnader. När jämförelser görs av olika förskrivningsmönster och standardbehandlingar skapas ny kunskap. Detta börjar redan i den kliniska prövningen där olika behandlingar jämförs. Denna process fortsätter efter introduktionen av läkemedlet, då indikationsglidningen kan bidra till nya kunskaper och bedömningar.

Den i vissa fall bristande ojämlikheten i läkemedelsbehandling tycks, enligt de flesta bedömare, till största delen bestå av kunskapskillnader och vilka ställningstagan-

den olika medicinska auktoriteter gör. Den viktigaste strategin för att minska den oönskade variationen i läkemedelsanvändningen är därför bättre kunskapsstyrning och en regional process för ordnat införande där den aktuella terapin prioriteras och finansieras tillsammans med andra nya behandlingar. Initialt finns företagets kliniska studier och Läke-medelsverkets/EMA:s bedömning av effekt- och säkerhetsdata kring nya läkemedel. För rekvisitionsläkemedel görs i dagsläget ingen systematisk hälsoekonomisk värdering på nationell nivå. På huvudmannanivå sker det för enskilda läkemedel i de största landstingen. För etablerade läkemedel finns ofta fler studier gjorda och därmed bättre underlag för olika typer av nationella rekommendationer, främst SBU:s Alertrapporter, Socialstyrelsens nationella riktlinjer samt Läke-medelsverkets monografier och workshops.

5. Nationella hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel – Analys och förslag

TLV:s samlade bedömning är att

- TLV bör få i uppdrag att göra nationella hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel
- verksamheten bör ha formen av en försöksverksamhet på två år för att sedan utvärderas
- sjukvårdshuvudmännen, till exempel genom NLT, bör ges möjlighet att ansöka hos TLV om sådana hälsoekonomiska bedömningar
- det är en förutsättning för verksamheten att läkemedelsindustrin åtar sig att lämna ut de uppgifter som TLV behöver för att göra en hälsoekonomisk bedömning av rekvisitionsläkemedel
- de priser TLV ska använda, och hur TLV ska få tillgång till dem, är en helt central fråga och en del av utvecklingsarbetet och av förhandlingarna med de olika intressenterna
- handläggningstiden i normalfallet inte bör överstiga 180 dagar efter det att TLV fått tillgång till ett tillräckligt underlag
- resultatet av TLV:s bedömningar blir kunskapsunderlag kring kostnadseffektiviteten för olika rekvisitionsläkemedel
- det ytterligare uppdraget till TLV kommer att innebära behov av en resursförstärkning.

5.1. Den hälsoekonomiska plattformen

Målet för hälso- och sjukvården är god hälsa och en vård på lika villkor för hela befolkningen (HSL 2 §). Ledningen av hälso- och sjukvården ska också vara organiserad så att den tillgodoser hög patientsäkerhet och god kvalitet av vården samt främjar kostnadseffektivitet (HSL 28 §). Genom subventionsbesluten inom läkemedelsförmånerna, både genom bedömningen av nya och omprövningen av subvention för äldre läkemedel, och andra aktiviteter bidrar TLV till detta idag. Myndighetens expertprofil ger förutsättningar för att stödja sjukvårdshuvudmännen ytterligare i arbetet med en effektiv läkemedelsanvändning.

Syftet med föreliggande regeringsuppdrag är att pröva om hälsoekonomiska bedömningar, som nu används inom läkemedelsförmånerna, också kan tillämpas för att ge vägledning kring de läkemedel som rekvideras inom den slutna vården. Hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel skulle bl. a ge huvudmännen bättre

- underlag för ordnat införande av nya rekvisitionsläkemedel eller av äldre läkemedel med vidgade indikationer
- underlag för till läkemedelskommittéers, terapigrupper och vårdprogramgrupper rekommendationer till behandlande läkare
- underlag och stöd vid upphandling av rekvisitionsläkemedel

De förslag som lämnas i rapporten innebär en mer utvecklad och integrerad kunskapsstyrning mellan myndigheten och huvudmännen. De innebär också att *hela* läkemedelsanvändningen adresseras och inte bara den del som huvudsakligen berör öppenvården. Ett av huvudsyftena med läkemedelsreformerna 1997 och 2002 var att integrera läkemedelsbehandling i öppen vård i sjukvårdshuvudmännens samlade agerande. För receptläkemedel görs idag prioriteringar av TLV utifrån den etiska plattformen. För läkemedel som enbart rekvideras görs inga motsvarande bedömningar. Oavsett detta måste sjukvårdshuvudmännen ändå göra prioriteringar inom ramen för ändliga hälso- och sjukvårdsbudgetar, men med ett väsentligt mindre stöd. Det är otillfredsställande att åtskilliga läkemedel för ofta mycket sjuka patienter, inte får en kvalificerad hälsoekonomisk bedömning och att detta bestäms av sättet de finansieras och distribueras. Ett viktigt skäl för att göra nationella hälsoekonomiska bedömningar av dessa läkemedel är att det är en resurskrävande process som kräver särskild kompetens. Det finns heller ingen anledning att upprepa proceduren flera gånger i olika delar av landet.

En fungerande kunskapsstyrning inom hälso- och sjukvården innebär att bästa tillgängliga kunskap ligger till grund för kliniska och administrativa beslut. Det innebär också att det finns system för styrning och ledning som gör att detta fungerar i praktiken. Det är t ex ingen mening att statliga myndigheter lägger stora resurser på att ta fram kunskapsunderlag om huvudmännen inte har styr- och ledningssystem som använder dem i den interna styrningen. Det är heller ingen mening att ta fram olika kunskapsunderlag om man inte kan vara säker på att kunna få alla relevanta och tillgängliga data.

De förslag som presenteras innebär en utvidgad kunskapsstyrning och sålunda större krav på både huvudmännen, företagen och myndigheterna. För huvudmännens del handlar det om hur kunskapsstyrningen och ett ordnat införande organiseras. För företagen innebär det att bedömningen av rekvisitionsläkemedel blir mer transparent och att det ställs större krav på företagens uppgiftslämnade för dessa läkemedel. Det är framförallt företagen som kan ta fram det nödvändiga hälsoekonomiska underlaget. Ett utvidgat uppdrag för TLV kring rekvisitionsläkemedel får även konsekvenser för de andra myndigheterna. TLV är experter på hälsoekonomiska bedömningar, men dessa förutsätter tillförlitliga och tillgängliga effektdata. När det gäller nya läkemedel är det LäkeMedelsverket som har centrala uppgifter och den nödvändiga kompetensen. För befintliga terapier är SBU den myndighet som söker, sammanställer och värderar befintlig kunskap. Även Socialstyrelsen gör delar av detta då man tar fram nationella riktlinjer.

Om TLV ska bedöma rekvisitionsläkemedel kräver detta underlag av godtagbar kvalitet. Generellt får det förmodas att tillgången till relevant underlag är sämre för dessa läkemedel än för dem som TLV idag bedömer inom ramen för läkemedelsförmåner. Denna bild styrks även av synpunkter från Lif som dock påpekar att detta beror på att läkemedelsföretagen, som är de huvudsakliga leverantörerna av data, i nuläget inte är ålagda att presentera sådana underlag. I övrigt gäller precis som för alla läkemedel att publicerat material är otillräckligt och att det förekommer en väl dokumenterad publiceringsbias¹³. Denna innebär att kliniska prövningar som inte visar positiva resultat för en viss intervention, publiceras i väsentligt mindre grad än de som visar på positiva samband. Dessutom är systemet med spökskrivare rätt¹⁴, vilket ytterligare förstärker denna tendens. Det finns även exempel på ökad

¹³ Se bl. a Publication bias in clinical trials due to statistical significance or direction of trial results. Hopewell S, Loudon K, Clarke MJ, Oxman AD, Dickersin K. Cochrane review, January 2009. <http://www.cochrane.org/reviews/en/mr000006.html>.

¹⁴ Med spökskrivare menas företagets personal som genomfört studien och skrivit artikeln, medan någon känd forskare har placerats främst bland författarna. Se bl. a översiktsartikeln

öppenhet. De internationella branschföreningarna för den forskande läkemedelsindustrin enades 2009 om att förstärka öppenheten kring kliniska prövningar. Nu ska alla startade kliniska prövningar från fas två och framåt offentliggöras samt resultaten av dessa¹⁵. Om TLV får uppdraget att utvärdera även slutenvårdsläkemedlen kommer myndigheten att mycket konkret kunna utvärdera användbarheten av denna redovisning.

En fungerande kunskapsstyrning kräver ett stort mått av transparens. Detta är värdefullt för alla parter, för både patienter, läkare, huvudmän och företag. Transparens – eller en öppenhet om fakta – kring ett läkemedels egenskaper, effekter och kostnadseffektivitet förbättrar möjligheterna att det används på rätt sätt och till en kostnad som motsvarar dess värde. Från företagets perspektiv innebär detta att innovativa, effektiva och kostnadseffektiva läkemedel lyfts fram och rekommenderas. Även möjligheterna att upptäcka och annonsera biverkningar tidigt i processen ökar.

En förutsättning för de förslag som lämnas i rapporten är att företagen lämnar vissa uppgifter till myndigheten på motsvarande sätt som idag sker inför bedömningen av läkemedel inom läkemedelsförmånerna.

TLV:s bedömningar av rekvisitionsläkemedel kan vara ett första steg att hantera den dubbla rördragningen inom läkemedelsområdet med olika system för recept- respektive rekvisitionsläkemedel. Det är TLV:s uppfattning att kommande förändringar i systemet måste ta sin utgångspunkt i patienternas behov. Ett läkemedel som kräver stöd och övervakning av hälso- och sjukvårdspersonal vid användningen bör inte förskrivas på recept. Huvudmännen måste givetvis kunna agera affärsmässigt oavsett om det gäller recept- eller rekvisitionsläkemedel, men utan att kompromissa med ordinationsformer och patientsäkerhet.

När TLV har utrett alternativa lösningar för bedömningen av rekvisitionsläkemedel har flera scenarier diskuterats och prövats. Det är TLV:s uppfattning att utvecklingen inom området måste ske i flera steg. I rapporten föreslås en på försök utvidgning av myndighetens uppdrag vad gäller rekvisitionsläkemedlen. Detta är ett viktigt steg mot en effektivare kunskapsstyrning, som på sikt förväntas ge en mer ändamålsenlig, kostnadseffektiv och likvärdig vård. Förutom den kortsiktiga nyttan av föreslagna förändringar är de viktiga steg på vägen för att långsiktigt påverka synen på transparens och öppna jämförelser.

5.1.1. *Syftet med hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel*

TLV utredning visar på flera fördelar med att göra hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel. Eftersom hälso- och sjukvårdens resurser är begränsade ska de användas på ett ändamålsenligt och kostnadseffektivt sätt. Förutsättningen för detta är att det finns tillförlitliga kunskapsunderlag som kliniska och administrativa beslut kan baseras på. Eftersom dessa i hög grad saknats för rekvisitionsläkemedel är TLV:s bedömningar viktiga för en effektivare läkemedelsanvändning. Sammantaget förväntas TLV:s hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel att bidra till

- Bättre underlag för kliniska beslut och upphandling av läkemedel
- Större transparens kring läkemedels kostnadseffektivitet och priser

"Kan man lita på kliniska studier?" Hedlund F. Läkartidningen 2008;43(105):2996–8 eller editorial i Plos Medicine "Ghostwriting: The Dirty Little Secret of Medical Publishing That Just Got Bigger". September 2009, Vol 6, Issue 9.

¹⁵ Databasen kan nås via www.fass.nu och sedan Läkemedelsfakta/Framtidens läkemedel.

- Bättre utnyttjande av existerande resurser för kunskapsvärdering genom att bedömningarna görs av en nationell myndighet och inte av alla huvudmännen
- En mer kunskapsstyrd och likvärdig läkemedelsanvändning i hela landet
- Långsiktiga kulturförändringar kring synen på hälsoekonomisk information och samt öppna jämförelser av priser och kostnadseffektivitet

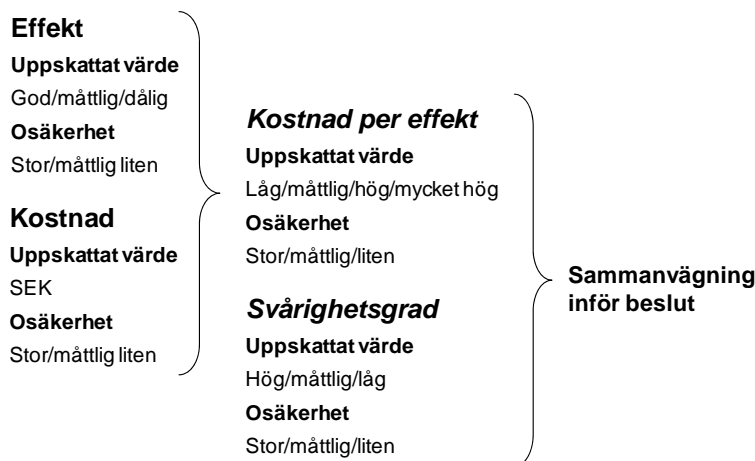
Syftet är att ge huvudmän och ordinerande läkare ett bättre beslutsstöd, inte att utvidga läkemedelsförmånerna.

5.2. Vad ska ingå i den hälsoekonomiska bedömningen?

TLV:s hälsoekonomiska bedömningsgrunder vilar på HSL och riksdagens prioriteringsbeslut¹⁶. Här förtydligas värdegrunden som utgörs av människovärdesprincipen, behovs-solidaritets principen och kostnadseffektivitetsprincipen. Vid förmånsbesluten sker en sammanvägning mellan:

- Sjukdomens svårighetsgrad
- Kostnadseffektivitet

Sjukdomens svårighetsgrad innebär att hänsyn tas till graden av funktionsnedsättning, kvarvarande symtom eller behov av kompenserande insatser. Sammanvägningen av sjukdomens kostnadseffektivitet och svårighetsgrad illustreras av figur 2.



Figur 2: TLV:s modell för sammanvägning inför beslut om subvention av receptläkemedel

När bedömningen av kostnadseffektivitet och evidensen för denna vägs samman med tillståndets svårighetsgrad innebär detta att en större kostnad per QALY¹⁷ kan accepteras för allvarliga sjukdomstillstånd. Motsatsen gäller för mindre komplicerade tillstånd.

I beredningen har inget framkommit som förändrar existerande bedömningsmodell, vilken bygger på hälso- och sjukvårdslagen och riksdagens prioriteringsbeslut. Skillnaden när det gäller rekvisitionsläkemedel ligger i framför allt i hur TLV:s utformar resultatet av sina bedömningar.

¹⁶ Riksdagsbeslutet ledde till förändringar i HSL:s § 2 (Lag (1997:142) utifrån regeringens prop. 1996/97:60.

¹⁷ QALY = Quality Adjusted Life Years, eng., Kvalitetsjusterade levnadsår – anger livskvalitet definierad som ett nyttovärde mellan 0 (död) och 1 (fullt frisk). Beräkningen är baserad på individens egen uppskattning tillsammans med antalet levnadsår och hur man mår under tiden.

Det finns heller inga tungt vägande skäl för att TLV:s hälsoekonomiska bedömningar ska ha andra utgångspunkter än dagens samhällsekonomiska perspektiv, där alla relevanta vinster och kostnader av en behandling vägs in. Det är inte rimligt att kunskapsstyrningen på myndighetsnivå baseras på ett sjukvårdsekonomiskt perspektiv, särskilt när huvudmännen har skilda ekonomiska och sjukvårdspolitiska förutsättningar. Huvudmännen måste däremot ta fram budgetmodeller, som baseras på regionala förutsättningar, för att förutsäga hur användningen av olika läkemedel påverkar verksamheternas kostnadsbudgetar. Detta är särskilt viktigt för läkemedelsgrupper med höga kostnader, oavsett om det handlar om recept- eller rekvisitionsläkemedel.

Om huvudmännen har svårt att finansiera behandlingar som bedöms som kostnadseffektiva ur samhällsekonomisk synvinkel kan det ha flera förklaringar. Vinsterna från behandlingen tillfaller en annan samhällssektor eller att den regionala ekonomin helt enkelt inte klarar ständigt ökade åtaganden. En konsekvens av detta är att flera huvudmän uppfattar tröskelvärdet, dvs kostnaden för ytterligare ett vunnet kvalitetsjusterat levnadsår, som hög.

Olika sätt har prövats för att bestämma och legitimera lämpliga tröskelvärden. Bl. a görs flera studier utifrån människors "willingness to pay". Denna typ av studier är dock behäftade med stora problem när det gäller kostnadskrävande tjänster med tredjepartsfinansiering. Oavsett enskilda medborgares uppgivna betalningsvilja finns andra sätt att empiriskt närma sig frågan. Det viktigaste är att utgå från vilka konsekvenser som introduktionen av nya teknologier får på övrig vård. I *TLV:s uppdrag angående omregleringen av apoteksmarknaden*, som lämnades till regeringen 2010-04-12, föreslås att en utredning görs av nivån på kostnader per vunna QALY för andra behandlingsformer än för läkemedel inom hälso- och sjukvården. Om kostnaden per vunnet levnadsår är lägre för icke-farmakologisk behandling, riskerar höga tröskelvärden för läkemedel att tränga ut annan effektiv vård¹⁸. Det är viktigt att den framtida läkemedelsstrategin kan balansera mellan en kostnadseffektiv sjukvård som huvudmännen förmår finansiera och hur företagets innovationer ska belönas.

För att det ska vara meningsfullt att göra nationella hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel, krävs att huvudmännen tar till sig kunskapsunderlagen och implementerar dem. Detta är både en kunskapsfråga och en ekonomisk fråga.

5.2.1. *Kvalitet på det hälsoekonomiska underlaget och utformningen av TLV:s bedömningar*

Hälsoekonomi introducerades på allvar i svensk hälso- och sjukvård på 1980-talet, med det är först i detta sekel som hälsoekonomiska utvärderingar fått betydelse som underlag för prioriteringar av begränsade resurser. I fördelningen av hälso- och sjukvårdens begränsade resurser har stora förhoppningar knutits till hälsoekonomin. Samtidigt finns fortfarande stora brister i de hälsoekonomiska underlagen, inte minst för rekvisitionsläkemedel. När det gäller receptläkemedel har företagen i större grad anpassat sig till ökade kraven på hälsoekonomiska redovisningar.

De hälsoekonomiska underlagen för läkemedel är ofta magra och saknar nästan alltid oberoende finansiering, varför ett kritiskt förhållningssätt är nödvändigt¹⁹. Många av de intervjuade huvudmannaföreträdarna framhöll att kunskapsunderlagen för rekvisitionsläkemedel är sämre än för receptläkemedel i flera avseenden. Svårigheterna att få fram priser på aktuella läkemedel, inklusive jämförelsealternativen är

¹⁸ OFT, VBP: QED? Karl Claxton. Health Economics. 16: 545–558 (2007).

¹⁹ Carlsson, Anell och Eliasson. Hälsoekonomi får en allt större roll för sjukvårdens prioriteringar. Läkartidningen 2006; 103 (46):3617-3623.

också betydande. Marknaden är fri och det finns inga riktpriiser. Redan upphandlade och inköpta läkemedel har fått en prislapp, men denna varierar bland de upphandlande huvudmännen. Då priset har stor betydelse för den hälsoekonomiska bedömningen behöver det klargöras vilka priser som ska användas och robusta rutiner skapas för hur de ska inhämtas.

I den mån det finns framtagna hälsoekonomiska modeller eller utvärderingar för rekvisitionsläkemedel är problemet ofta jämförelsealternativet. Modellens olika variabler är oftast validerade när det gäller insjuknande och förekomst med mera, medan jämförelsealternativet kan vara mer problematiskt. Detta har många orsaker. Inom förmånerna kan det vara lättare att identifiera det mest relevanta jämförelsealternativet, medan det i slutenvården finns ett batteri av läkemedel och kombinationer av läkemedel som kan vara relevanta. Dessutom gäller kombinationsbehandling inte bara läkemedel, utan också läkemedel kombinerat med kirurgi eller en annan icke farmakologisk behandling.

Det finns också skillnader mellan nya och äldre läkemedel. Läkemedelsföretagen tycks oftare ha hälsoekonomiska beräkningar då det gäller nya rekvisitionsläkemedel, även om dessa inte är direkt anpassade till svensk behandlingspraxis, kostnadsläge och bedömningskriterier. För äldre rekvisitionsläkemedel är de hälsoekonomiska uppgifterna väsentligt färre, vilket innebär svårigheter oavsett om det gäller ansökningskandidaten eller jämförelsealternativen.

Ytterligare en bakgrund till den mer komplicerade situationen inom slutenvården är de sjukare patienterna och behovet av att arbeta med flera terapeutiska insatser för att häva eller stabilisera ett sjukdomsförlopp.

De incitament som funnits för företagen att i Sverige presentera data kring kostnadseffektivitet för receptläkemedel, har inte funnits för de läkemedel som rekvideras. Den mer komplicerade terapeutiska situationen med fler jämförelsealternativ och kombinationer av jämförelsealternativ innebär genuina svårigheter för alla parter att värdera de olika läkemedlen. Den ökande svårighetsgraden är dock inget argument för att inte göra hälsoekonomiska bedömningar av det slag som här diskuteras. Tvärtom finns ett stort behov av att få tillgång till bedömningar av en oberoende och auktoritativ källa. Det krävs också att en central myndighet står för bedömningarna om företagen ska vara trygga med att lämna ut uppgifter. Det gäller främst företagens hälsoekonomiska modeller för olika läkemedel. TLV:s tillgång till dessa är nödvändig för att validera modellerna och därefter kunna bedöma tillförlitligheten de uppgifter som företaget presenterat kring läkemedlets kostnadseffektivitet.

En genomlysning av de hälsoekonomiska modellerna för rekvisitionsläkemedel kan få flera långsiktiga effekter. Företagen kan t ex avskräckas från att välja mindre relevanta jämförelsealternativ i syfte att stärka bilden av ett läkemedels kostnadseffektivitet och på så sätt bidra till en mer ändamålsenlig kunskapsstyrning och effektivare läkemedelsanvändning. Även i övrigt torde de generella förväntningarna på en bättre redovisning av rekvisitionsläkemedlets hälsoekonomiska effekter påverka företagets sätt att presentera denna typ av data. TLV:s hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel förväntas därför på lång sikt påverka kulturen inom detta område.

5.2.1.1. Uppföljning av läkemedelsanvändningen i register

Eftersom många läkemedel godkänns i en relativt tidig fas i livscykeln ställer det stora krav på uppföljning och utvärdering, för att se om de förhoppningar som knutits till läkemedlet infrias eller inte. Detta ställer i sin tur stora krav på registrering och ändamålsenliga register. I Socialstyrelsens Läkemedelsregister registreras endast de läkemedel som tas ut på recept. Det framgår dock inte på vilken indikation läkemedlet ordinerar. Andra begränsningar är att läkemedelsregistret, enligt lagen (1998:543) om hälsodataregister, enbart får användas för forskning och framställ-

ning av statistik samt kvalitetssäkring och utvärdering av hälso- och sjukvård. Samkörning av personuppgifter från dessa register får inte göras för några andra ändamål. Det finns också restriktioner kring att presentera data som pekar ut enskilda läkemedelsföretag.

Regeringen överlämnade den 15 mars 2010 propositionen Ökad kvalitet i läkemedelsförskrivning till riksdagen (Prop. 2009/10:138). Den innehåller bland annat förslag om att Apotekens Service AB, ska lämna ut uppgifter på individnivå om uttag av läkemedel och andra varor, till landstingen. Syftet är att landstingen ska få möjlighet att göra bättre medicinsk uppföljning av enskilda patienters uttag av förskrivna läkemedel hos apoteken. I propositionen föreslås också att läkemedelsförteckningen även ska innehålla uppgifter om förskrivarens namn, yrkesspecialitet och plats. Förslagen innebär förbättringar i huvudmännens uppföljning och kliniska arbete.

Föreslagna förbättringar påverkar i begränsad utsträckning uppföljningen av rekvisitionsläkemedel. De enda "register" där användningen av rekvisitionsläkemedel registreras systematiskt är i huvudmännens patientjournaler. Dessa är dock olika utformade och inte i alla delar utformade för detta ändamål. En annan källa till information om hur ett läkemedel används för en viss patientgrupp är om detta registreras i aktuellt kvalitetsregister. Förutsättningen är dock att det finns ett sådant och att registret valt att registrera centrala uppgifter som indikation, dos, effekter etc.

Situationen på registersidan innebär svårigheter att systematiskt följa användningen av ordinerade rekvisitionsläkemedel. Försäljningssiffror tyder på att indikationsglidningen med avseende på ålder inom bl. a. cancervården är stor och att läkemedel som är rekommenderade och kostnadseffektiva för första och andra linjens behandling används i den palliativa vården. Samtidigt finns inte data som visar var detta sker och i vilken utsträckning. Motsvarande svårigheter finns för läkemedel med begränsningar inom förmånerna, där det inte heller går att följa upp om villkoren är tillgodosedda eller inte. Om TLV ges ökade uppgifter utifrån föreliggande regeringsuppdrag är det viktigt att existerande infrastruktur för register rustas upp väsentligt.

Inom Läkemedelsprojektet i Stockholms läns landsting har på försök data från journalsystemet för två läkemedelsgrupper använts för att få individbaserad information om diagnos, ordinationer etc. för patienter som behandlats på Karolinska Universitetssjukhuset²⁰. Erfarenheterna har varit lovande. Det är sannolikt i en bättre strukturerad datajournal som en stor del av underlaget till framtidens uppföljningar och observationsstudier av de medicinska effekterna av läkemedel kommer att finnas. Denna utveckling kommer dock att ta tid och på kort sikt är det snarare kvalitetsregistren som ger de största möjligheterna att följa olika läkemedelsbehandlingar och på längre sikt en bättre strukturerad datajournal.

När allt större krav ställs på nationella kunskapsunderlag och vägledning inom olika delar av hälso- och sjukvården måste kraven på och möjligheterna till uppföljning öka. Nationella myndigheter kan inte leva upp till de ökade förväntningarna om inte behandlingspraxis kan följas bättre inom läkemedelsområdet och andra relevanta områden.

När större krav ställs på bedömningar av kostnadseffektivitet och utvärderingar av läkemedels effekter är det ofrånkomligt att den svaga infrastrukturen för systematisk uppföljning kommer i fokus. I *TLV:s rapport till regeringen i 2010-04-12*, före-

²⁰ Extraktioner av läkemedelsdata från journalsystemet TakeCare. Tomas Cars. Medicinskt kunskapscentrum/SLL. 2009.

slås att förskrivningsorsak och dos ska läggas in på det elektroniska receptet för att sedan kunna följas i apoteksförsäljningen och i läkemedelsregistret. Förbättringar i uppföljningen av rekvisitionsläkemedel kräver i första hand bättre strukturerade datajournaler och kvalitetsregister.

5.2.2. *Hur ska bedömningarna redovisas?*

Vilken typ av bedömningar TLV kan göra beror i hög grad på tillgängligheten till och kvaliteten på de uppgifter som lämnas. På kort sikt måste TLV leva med de begränsningar som utgörs av de hälsoekonomiska underlagens tillgänglighet och kvalitet.

Erfarenheterna från förmånsbesluten är i stora delar användbara även för bedömningar av rekvisitionsläkemedel. Den viktigaste skillnaden är givetvis att inga subventionsbeslut fattas. I övrigt bör TLV:s handläggning resultera i en:

- Bedömning
- Sammanfattning av TLV:s utredning
- Redovisning av läkemedlets hälsovinster och kostnader ur ett samhällsperspektiv i relation till relevant(a) jämförelsealternativ

En annan skillnad mot redovisningen av förmånsbesluten är sannolikt ett större fokus på själva utredningen och inte bara på dess resultat. För huvudmännen blir det intressant att följa resonemang och antaganden om olika scenarier för att förstå och kunna tillämpa bedömningarna. Den typ av hälsoekonomiska bedömningar som förordas är kunskapsunderlag för lokala kunskapsorganisationers och beslutsfattares vidare hantering. Detta kräver en transparent process och en stor öppenhet i TLV:s rapport. Givetvis redovisas inte sekretesskyddade delar som de hälsoekonomiska modellerna, men väl de slutsatser som kan dras på grundval av granskningen av dem. Landstingen skulle kunna få tillgång även till sekretesskyddade uppgifter men detta förutsätter en reglering motsvarande den som gäller vid landtingen rätt till överläggning med TLV i samband med prövningen inom läkemedelsförmånerna. Det är viktigt att TLV klargör hur de slutliga kunskapsdokumenten ska se ut, så att intressenterna bättre kan se vad som förväntas av dem och vad de kan förvänta sig av TLV.

TLV:s bedömning ska tydligt bidra till kunskapsstyrningen av hälso- och sjukvården och sammanfatta om det aktuella läkemedlet är kostnadseffektivt eller inte jämfört med relevant(a) terapier. Bedömningen bygger på använda indikationer och kunskap om effekter på patientgruppen eller olika subgrupper av patienter. Bedömningarna förutsätter att relevanta uppgifter har lämnats eller kunnat inhämtas.

De grundläggande bedömningskategorierna som används vid subventionsbesluten är följande:

- Bedömning kan inte göras då väsentliga uppgifter saknas för läkemedlets (eller jämförelsealternativens) pris, effekt, kostnader eller kostnadseffektivitet
- Läkemedlet bedöms inte vara kostnadseffektivt i jämförelse med relevant behandlingsalternativ
- Läkemedlet bedöms som kostnadseffektivt i jämförelse med relevanta behandlingsalternativ

När ett läkemedel prövas är syftet att avgöra om det ska subventioneras eller inte. Då räcker det med att bedöma om läkemedlet är kostnadseffektivt eller inte i förhållande till jämförelsealternativet. Denna prövning resulterar i skarpa beslut men innebär dock förenklningar, eftersom graden av osäkerhet i bedömningen inte är försumbar. För det första kan läkemedlet vara mer eller mindre kostnadseffektivt på olika indikationer. Detta hanteras inom förmånerna genom begränsningar, eftersom företaget antingen beviljas subvention eller inte. Problemet är att nuvarande system

för uppföljning och registrering inte alltid gör det möjligt för TLV eller huvudmännen att följa upp om restriktionerna tillämpas som avsett eller inte.

När ett nytt receptläkemedel bedöms som kostnadseffektivt innebär det att existerande läkemedels kostnadseffektivitet förändras. För vissa patientgrupper blir ett äldre läkemedel inte längre kostnadseffektivt, medan det fortfarande kan vara det för andra undergrupper av patienter. Om inte dessa lätt kan identifieras, konstrueras ofta behandlingstrappor där patienten börjar med ett läkemedel och, om önskad effekt uteblir, går vidare med nästa.

Ytterligare en svårighet uppkommer då ett nytt läkemedel (A) prövas jämförs med B, som tidigare inte har genomgått en hälsoekonomisk bedömning. Om A visar sig mer kostnadseffektivt än B finns i detta fall en betydande osäkerhet i bedömningen. Skulle B prövas mot andra tillgängliga läkemedel på samma indikation (C och D) kan det å ena sidan utmynna i en bedömning att B är mer kostnadseffektivt jämfört med både C och D. I så fall står den första bedömningen av A. Om B däremot skulle visa sig mindre kostnadseffektivt än både C och D gäller motsatsen. Eftersom hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel inte görs rutinmässigt såsom sker inom förmånssystemet, innebär det att nästan alla jämförelsealternativ tidigare inte varit föremål för hälsoekonomiska bedömningar. Slutsatsen är därför att hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel mer kommer att likna processen vid läkemedelsgenomgångarna än den där företagen ansöker om subvention.

Det tycks inom den specialiserade vården finnas fler urskiljbara undergrupper av patienter än inom primärsjukvården, som kan ha olika nytta av ett visst läkemedel. Den större bredden i den specialiserade vårdens läkemedelsanvändning sammanhänger också med de sjukare patienterna och läkarnas större experimentella förskrivning för att åstadkomma bot och lindring.

5.2.2.1. Socialstyrelsens modell

Frågan är om de mer indikationsbaserade bedömningarna ger anledning till att forma mer fingerad vägledning när det gäller rekvisitionsläkemedels kostnadseffektivitet.

Socialstyrelsen klassificerar sina rekommendationer i de nationella riktlinjerna i tre grupper:

- Icke göra – rekommendationer om åtgärder som inte bör utföras alls eller inte utföras rutinmässigt på grund av att det vetenskapliga stödet är ofullständigt eller motsägande och att det samtidigt finns andra alternativ med gott vetenskapligt stöd
- FoU – rekommendationer om åtgärder som bara bör genomföras inom ramen för kliniska prövningar eller forsknings- och utvecklingsprojekt. Rekommendationen syftar till ett ordnat införande av nya metoder.
- Prioriterade åtgärder (1-10) – rekommendationer om åtgärder som prioriterats utifrån effekt, kostnadseffektivitet och sjukdomens svårighetsgrad

De två första bedömningstyperna görs enbart på det tillgängliga vetenskapliga faktaunderlaget och av de sakkunniga experterna. I åtgärdsprioriteringen involveras fler personer med klinisk erfarenhet i prioriteringsgrupperna, som rangordnar de olika åtgärderna. Socialstyrelsens FoU-klassificering är ett verktyg för att hantera vissa terapier med bristande dokumentation, men som ändå bedöms kan vara värdefulla. TLV har ingen direkt motsvarande kategori, men vissa likheter finns i besluten om begränsad subvention som ofta omfattar krav på företaget att redovisa ytterligare effekt- och hälsoekonomiska data längre fram. De prioriterade åtgärderna är en fingerad version av TLV:s bedömning att ett läkemedel är kostnadseffektivt.

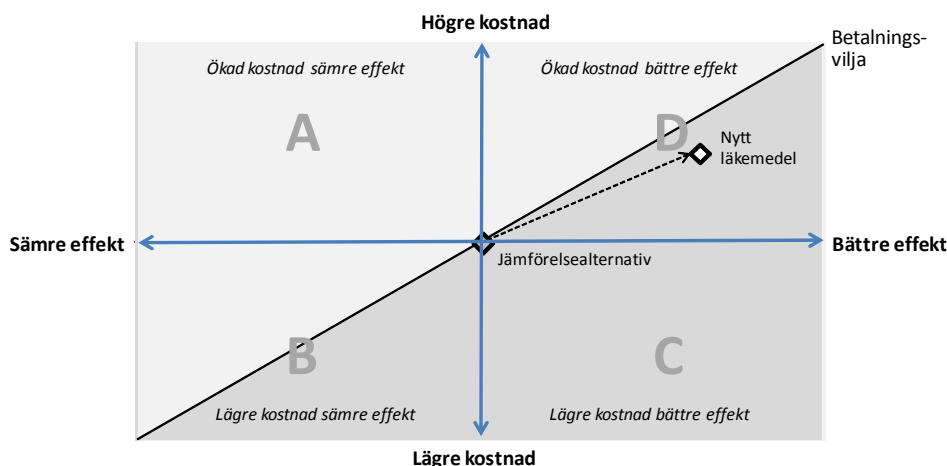
Socialstyrelsens jämförelser av olika terapeutiska åtgärder för att påverka patientens tillstånd begränsas inte till de indikationer som godkänts och fastställts för olika läkemedel av Läkemedelsverket, eftersom dessa inte uppdateras systematiskt. I Socialstyrelsens kunskapsdokument framgår dock om läkemedelsanvändningen på en viss indikation ligger utanför vad som godkänts av Läkemedelsverket.

5.2.2.2. Bedömning vid parvisa jämförelser

När ett specifikt läkemedels kostnadseffektivitet ska bedömas mot *ett* jämförelsealternativ behöver följande ställningstaganden göras:

- Faktaunderlagen är otillräckliga eller saknas
 - Bedömning kan inte göras
- Bedömt läkemedel har sämre, samma eller bättre effekt och lägre, samma eller högre kostnader än jämförelsealternativet (Se figur X nedan)
- När läkemedlet har bättre effekt och högre kostnad
 - Motiverar den bättre effekten den högre kostnaden?
- När läkemedlet har sämre effekt och lägre kostnad
 - Är kostnaden tillräckligt låg?

I figur 3 representerar område C det som alltid är kostnadseffektivt. Om effekten är bättre och kostnaden är lägre är per definition läkemedlet mer kostnadseffektivt. Ett läkemedel kan vara kostnadseffektivt både om det kostar mer och har högre effekt (D) och om det har lägre effekt och är billigare (B). Figuren visar att samhället är berett att betala mer för läkemedel med bättre effekt. Om ett läkemedel har bättre effekt och högre kostnad måste dock en bedömning göras om den högre kostnaden motiveras av de bättre effekterna. Figuren illustrerar att det finns läkemedel med högre effekt där den högre kostnaden inte anses motiverad, eftersom kostnaden per QALY blir alltför hög. Motsvarande sker om läkemedlet har sämre effekt och lägre kostnad. Är den lägre kostnaden tillräckligt låg för att motivera en användning för vissa patienter? Betalningsviljan påverkas även av sjukdomens svårighetsgrad, vilket påverkar linjens höjd/lutning i figuren.



Figur 3: Kostnadseffektiviteten vid olika försättningar - sämre, samma eller bättre effekt och lägre, samma eller högre kostnad än jämförelsealternativet.

Om två läkemedel har samma effekt är bedömningen relativt okomplicerad. Priset är dock inte den enda skiljande faktorn, utan alla kostnader och intäkter som är förknippande med användningen av läkemedlen måste kalkyleras. Inom förmånerna används ibland tekniken med pristolerans, eftersom beredningsformer, biverkningsprofiler mm kan skilja sig åt. Även en pristolerans kan behöva övervägas, då det finns skillnader i hur patienter tolererar olika läkemedel och att det därför ska gå att välja mellan flera subventionerade läkemedel på aktuell indikation. Pristoleransens storlek bestäms efter en samlad bedömning utifrån 1) hur stor nyttan är av att

det finns mer än ett läkemedel tillgängligt inom den aktuella gruppen 2) hur viktiga skillnaderna är i de särskiljande egenskaper som läkemedlen uppvisar 3) hur stor pristolerans som behövs för att upprätthålla en priskonkurrens inom indikationen.

5.2.2.3. Metoder för TLV:s genomgångar

När det gäller genomgångar, och som fallet sannolikt ofta kommer att bli vid bedömningar av rekvisitionsläkemedel, jämförs flera läkemedel (och i vissa fall även andra medicinska teknologier) med varandra. Även här behöver tre grundläggande ställningstaganden göras:

- Faktaunderlagen är otillräckliga eller saknas
 - Bara de läkemedel som är tillräckligt dokumenterade kan bedömas
- Läkemedlen har olika effekter och olika kostnader
 - Rangordningslista tas fram utifrån läkemedlens kostnadseffektivitet för aktuella indikationer
- Vissa läkemedel har bättre effekter och högre kostnad
 - Motiverar de bättre effekterna de högre kostnaderna för respektive indikation? Är kostnaderna för ett läkemedel med sämre effekt tillräckligt låga för att motivera en användning?

När det gäller genomgångar av receptläkemedel har TLV inte gjort regelrätta rangordningar, möjligen med undantag av migrän genomgången. Beslut om begränsningar har varit TLV:s sätt att göra avvägningar utifrån olika indikationer gentemot andra läkemedel. En begränsning kan t ex vara att ett läkemedel för att få subvention, inte får förskrivas innan ett eller flera av de mer kostnadseffektiva alternativen först har prövats. Bakgrunden är att läkemedlet främst är kostnadseffektivt för en viss grupp av patienter och man vill begränsa förskrivningen till de som drar störst nytta av behandlingen. Begränsningsbesluten har sannolikt en vägledande funktion, men eftersom ingen systematisk uppföljning görs kan varken ekonomiska eller hälsoekonomiska konsekvenser av dessa beslut avläsas.

För rekvisitionsläkemedel är styrmiljön annorlunda. Här kan den hälsoekonomiska vägledningen baseras på patienternas tillstånd (indikationen) och inte främst utgå från produkten. Det ger huvudmännen bättre underlag för såväl ordinationer som för upphandlingar. TLV kan inte låta sina bedömningar av rekvisitionsläkemedel begränsas till de av Läkemedelsverket godkända indikationerna, utan måste utgå från dem som används i klinisk praxis²¹. Detta ligger i linje med Socialstyrelsens utgångspunkter för de nationella riktlinjerna.

De hälsoekonomiska bedömningarna av rekvisitionsläkemedel kommer att visa på olika effekter, kostnader och svårighetsgrad beroende på indikation. Det primära läkemedlet kommer också att behöva jämföras med flera andra, eftersom inga föregående hälsoekonomiska bedömningar torde ha gjorts mellan dessa på de givna indikationerna. Det blir sålunda fråga om en ganska komplex jämförelse med flera parvisa jämförelser. Alla aktuella läkemedel har dock inte tillräckliga effekter på varje indikation varför vidare beräkningar inte behöver göras för dessa. Resultatet av de parvisa jämförelserna blir i praktiken en rangordning utifrån respektive läkemedels kostnadseffektivitet för var och en av de aktuella indikationerna.

När TLV redovisar resultatet av sin analys av rekvisitionsläkemedel för huvudmännen finns ett behov av att mer utförligt redovisa vad som påverkar den hälsoekonomiska bedömningen, än vad som sker vid förmånsbesluten. När TLV har bedömt om behandling med ett rekvisitionsläkemedel är kostnadseffektivt eller inte i jämförelse

²¹ I förmånsbedömningen måste det läkemedel ansökan gäller utgå från av Läkemedelsverket/EMA godkända indikationer. Jämförelseobjekten ska vara relevanta i förhållande till klinisk praxis och kan ligga utanför de formellt godkända indikationerna.

med alternativet ska det framgå för vilka indikationer/patientgrupper som bedömningen gäller. Därefter bör det framgå vilka antaganden och variabelvärden som bedömningen bygger på och i vilken utsträckning ändrade förhållanden skulle kunna leda till en ändrad bedömning.

Eftersom effekterna skiljer sig åt är läkemedlen kostnadseffektiva inom olika intervall. Även dessa kan beräknas i utredningen och vara ett stöd för huvudmännens vårdprogram/PM samt för utformningen och utvärderingen av läkemedelsupphandlingarna.

Det kommer utifrån ovanstående att krävas ett utvecklingsarbete inom TLV för att ta fram en arbetsmodell som är anpassad till de förutsättningar som hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel kräver. Det är också tydligt att kraven på effektunderlagen ökar och att detta kräver ett närmare samarbete med både SBU och Läkemedelsverket.

5.2.2.4. Hur ska bedömningarna uppdateras?

TLV:s hälsoekonomiska bedömningar utmynnar i ett ställningstagande till om ett läkemedel, under specificerade förutsättningar, är kostnadseffektivt eller inte i förhållande till använda jämförelsealternativ. Så snart en bedömning eller ett kunskapsunderlag har publicerats inom ett utvecklingsintensivt område blir de snart mindre giltiga och vid innovationer kan de bli helt obsoleta. För hälsoekonomiska bedömningar finns ytterligare en komplikation. Det räcker med att företaget ändrar priset på ett läkemedel för att kostnadseffektiviteten ska påverkas. Till detta kommer förändringar som avser indikation, sjukdomsstadium, dos och tillkomsten av nya terapeutiska alternativ samt diagnostiska metoder som bättre kan urskilja de individer som kan dra nytta av en viss behandling.

Ett sätt för TLV att öka håll- och användbarheten i framtagna kunskapsunderlag och bedömning är göra fördjupade känslighetsanalyser. Sådana visar och påminner om bedömningens inneboende osäkerhet. De visar också vilka variabler och antaganden (t ex pris, effektduration, metod för framtagande av nyttovikter) som i störst utsträckning påverkar resultaten. Med stöd av känslighetsanalyserna kan huvudmännen i viss utsträckning själva uppdatera gjorda bedömningarna när vissa förhållanden förändras.

När omständigheterna förändras på grund av mer grundläggande ny kunskap eller att nya läkemedel introduceras kan en förnyad bedömning behöva göras. Andra förändringar kan vara nya eller utökade indikationer för ett läkemedel eller bättre selektion av de patienter som drar nytta av en viss behandling. En central fråga är vem som ska ta initiativ till en förnyad bedömning. TLV:s ursprungliga hälsoekonomiska bedömning gjordes utifrån en ansökan från huvudmännen. Ansökan prioriterades i en process som NLT ansvarade för. TLV ser det som viktigt att även uppdateringar av tidigare bedömningar prioriteras tillsammans med nya ansökningar. Bedömningsresurserna är begränsade och ska användas där de gör bäst nytta.

I takt med att erfarenheterna ökar och systemet utvecklas kan även TLV:s ansvar och initiativ för uppdateringar diskuteras och nya ställningstaganden göras.

5.3. Vilka ska kunna ansöka om hälsoekonomiska bedömningar och hur?

TLV:s bedömning är

- att sjukvårdshuvudmännen bör ges möjlighet att ansöka hos TLV om nationella hälsoekonomiska bedömningar av vissa rekvisitionsläkemedel

- att ansökningarna bör samordnas och prioriteras av till exempel NLT, som därefter ansvarar för varje ansökan till TLV.

I utredningsarbetet har två huvudscenarior använts för att analysera vilka som ska kunna ansöka om få hälsoekonomiska bedömningar för rekvisitionsläkemedel. Den avgörande frågan har varit om företagen ska kunna ansöka om att få ett läkemedel bedömt, på ett liknande sätt som gäller för receptläkemedlen, eller om andra intressenter ska ges denna rätt.

Frågeställningen har prövats utifrån några viktiga restriktioner eller antaganden. Den första har regeringen angivit i uppdraget, d v s att rekvisitionsläkemedlen inte ska föras in i förmånssystemet. För det andra ser inte TLV att bedömningarna i nuläget kommer att gälla alla rekvisitionsläkemedel och inte heller alla nya rekvisitionsläkemedel. Eftersom läkemedelsföretagen hittills inte har förväntats ta fram sådana för rekvisitionsläkemedel har underlagen för bedömningar av dessa läkemedels kostnadseffektivitet generellt varit sämre än för receptläkemedel. Därför behöver bedömningarna av rekvisitionsläkemedel också få tid att utvecklas. Alla parter behöver växa in i de nya förutsättningarna och det är därför inte realistiskt att införa ett heltäckande system med stora kostnader utifrån dagens förutsättningar. För det tredje ser TLV att det system som väljs behöver tydliga principer och enhetliga incitament. Det utesluter att flera olika intressenter ges möjlighet att ansöka.

5.3.1. *Vilka ska kunna ansöka?*

Teoretiskt skulle följande intressenter kunna begära att en hälsoekonomisk bedömning görs av ett rekvisitionsläkemedel:

- Det tillverkande företaget
- Huvudmännen – enskilt eller tillsammans
- Andra myndigheter, t ex Socialstyrelsen, SBU eller Läkemedelsverket
- Övriga, t ex professionella organisationer som Svenska Läkaresällskapet, Apotekarsocieteten m.fl.

Inom förmånerna ansöker företagen om subvention och pris. Det är också företagen som i första hand förser TLV med effekt- och kostnadseffektivitetsdata. Förfarandet är knutet till bindande beslut från myndighetens sida och möjligheter för företagen att överklaga beslut de anser felaktiga.

Nationella hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel har efterfrågats av alla parter, medan den praktiska nyttan är störst för läkemedelskommittéer, läkemedelsenheter och verksamhetschefer samt andra ledningsfunktioner inom landsting och regioner, dvs. olika funktioner hos huvudmännen.

TLV:s bedömning är att huvudmännen är de viktigaste intressenterna, eftersom dessa har de största drivkrafterna att effektivisera läkemedelsanvändningen. Företagens incitament att ansöka om denna typ av prövningar är svagare, då resultatet är renodlade kunskapsunderlag som både kan gynna och missgynna användningen av företagens produkter. I vissa fall kan enskilda företag tänkas ha ett intresse av att en oberoende expertmyndighet bedömer inom vilket prisintervall som ett rekvisitionsläkemedel är kostnadseffektivt. Detta sker idag när företag ansöker om subvention inom förmånerna för läkemedel som kräver medverkan och övervakning av hälso- och sjukvårdspersonal när det tillförs patienten. Här är syftet lika mycket att få läkemedlet subventionerat som att få en kvalitetsstämpel. Huvudmännen å andra sidan har i dagens system inte samma möjligheter att få hälsoekonomiska bedömningar gjorda.

En annan omständighet som påverkar TLV:s ställningstagande är att bedömningen av rekvisitionsläkemedel inte kommer att vara produktbaserad på samma sätt som inom förmånerna. Inom förmånerna leder ansökan om generell subvention i vissa fall till beslut om begränsningar, eftersom kostnadseffektiviteten för läkemedlet varierar för olika undergrupper av patienter och för olika indikationer. För rekvisitionsläkemedel, där inte generell subvention är aktuell, kan TLV:s vägledning direkt ta sin utgångspunkt i aktuella indikationer. Den mer indikationsbaserade vägledningen är i första hand riktad till huvudmännens verksamheter och beslutsfattare, precis som de kunskapsunderlag och riktlinjer som SBU respektive Socialstyrelsen arbetar fram.

Avnämarna hos huvudmännen är inte bara intresserade mottagare av TLV:s bedömningar, de är också viktiga verksamhetsnära känselspröt som kan bedöma kunskapsbrister och behov av tydligare vägledning. Läkemedelskommittéers och läkemedelsenheter analyserar kontinuerligt nuvarande läkemedelsanvändning. En nyckelgrupp är också sjukhusens verksamhetschefer, som har ett direkt kostnadsansvar för verksamheten, inklusive rekvisitionsläkemedlen. Ytterst är det verksamhetschefen som prioriterar användningen av olika insatsfaktorer på kliniken.

Andra intressenter är övriga myndigheter som kan behöva bedömningar för olika kunskapsunderlag och riktlinjer. Även specialistföreningar och Apotekarsocieteten's önskemål om vilka rekvisitionsläkemedel som behöver hälsoekonomiska bedömningar är värdefulla, men dessa önskemål kan inte hanteras av TLV utan måste riktas till hos huvudmännen.

5.3.2. *Intresseanmälningar eller ansökningar?*

Ett alternativ till ansökningar om hälsoekonomiska bedömningar som övervägts är ett system med intresseanmälningar. En sådan ordning tillåter TLV att fritt prioritera vilka läkemedel som ska bedömas. Detta kan ske i en process som motsvarar SBU:s och Socialstyrelsens sätt att välja vilka kunskapsunderlag respektive vilka nationella riktlinjer som ska tas fram. Förfarandet innebär en öppenhet mot alla intressenter och möjligheter för dessa att meddela sina önskemål och preferenser²².

Även om detta arbetssätt innebär vissa förenklingar och underlättar TLV:s styrning av de interna resurserna, saknas en viktig komponent. Vid ett ansökningsförfarande finns oftast ett engagemang och ett intresse från den sökande parten att ta del av bedömningarna och använda dem. Denna dynamik förloras om endast intresseanmälningar används. Samma sak gäller vid mer formaliserade rutiner som t ex att alla nya läkemedel eller alla läkemedel av en viss sort automatiskt aktualiseras för en bedömning.

TLV:s beredning har visat att huvudmännen och SKL har ett stort intresse av att TLV gör hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel och att de vill kunna påverka TLV:s val av läkemedel. Företagens incitament för att ansöka om denna typ av bedömningar är väsentligt mindre än för receptläkemedlen där subventionen står på spel. Det är läkemedelsenheter, läkemedelskommittéer och beslutsfattare som i första hand efterfrågar TLV:s hälsoekonomiska bedömningar både som stöd i upphandlingar och som ett av underlagen i terapirekommendationer och vårdprogram. Detta, tillsammans med vad som redovisats i övrigt, gör att TLV förespråkar en modell där *huvudmännen ansöker* om hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel.

²² Vissa undantag till dessa principer finns. Bl. a fick Socialstyrelsen uppdrag från regeringen att ta fram nationella riktlinjer för vuxnas allmäntandvård. SBU å sin sida har tagit fram kunskapsunderlag på uppdrag av Socialstyrelsen för aktuella riktlinjearbeten.

5.3.3. Samordning mellan och med huvudmännen

Ett problem är att sjukvårdshuvudmännen – landsting, regioner och Gotlands kommun – är 21 till antalet. För att inte behöva hamna i en situation där TLV antingen behöver prioritera mellan ansökningar eller får flera liknande ansökningar, behöver dessa samordnas.

Huvudmännen har med stöd av SKL etablerat flera nätverk och funktioner för att hantera läkemedelsfrågorna. Uppdragsgivare till dessa är landstings- och hälso- och sjukvårdsdirektörsnätverken. Inom läkemedelsområdet och angränsande funktioner finns NLT (*Nya LäkemedelsTerapier*), LFG (*Landstingens Förmånsgrupp*, som framför allt hanterar frågor kring receptläkemedel) och NSK (*Nationella Samordningsgruppen för Kunskapsstyrning*).

I samråd med SKL och efter att ha hört flera landsting och regioner, bedöms den lämpligaste grupperingen för att samordna huvudmännens ansökningar vara NLT. Denna konstellation har representanter från alla sjukvårdsregioner. Gruppen samordnar olika initiativ inom läkemedelsområdet och är, en för sjukvårdshuvudmännen, gemensam beställarorganisation²³ inom SKL. Bl. a köper man Horizon scanning²⁴ av den s.k. Fyrlänsgruppen²⁵. Syftet med NLT är att:

- tidigt systematiskt värdera vissa nya läkemedelsterapier
- ta fram rekommendationer för införande och uppföljning

NLT:s arbetsuppgifter är framtidsspaning, prognostisering, ta fram underlag för värdering och prioritering samt strukturerat införande och uppföljning av nya läkemedel. NLT har funnits i drygt ett år och har redan idag ett samarbete med TLV. Om NLT ges ett samordningsuppdrag för huvudmännens ansökningar, skulle detta bidra till bättre möjligheter till en planerad samverkan och arbetsfördelning mellan staten och huvudmännen.

Mot bakgrund av tidigare resonemang kring bedömningarnas karaktär räcker det inte med att huvudmännen/NLT anger vilket läkemedel de vill ha bedömt, det behöver även framgå på vilka indikationer som prövningen bör ske. Om läkemedlet används utanför godkänd indikation bör ansökan innehålla använda behandlingsstrategier och vilken plats läkemedlet har i behandlingstrappan.

Betänkandet *En nationell cancerstrategi för framtiden* föreslår att

- sjukvårdshuvudmännen samordnar införandet av nya läkemedel,
- TLV ska kunna göra hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel

Kommittén menar också att för flera nya läkemedel är användningen i experimentell, varför det är viktigt att en nationellt samordnad uppföljning kommer till stånd. Ovanstående ligger väl i linje med TLV:s förslag och ambitioner.

När det gäller vem som ska ansöka om hälsoekonomiska bedömningar gör dock TLV en annan bedömning än kommittén. I betänkandet föreslås att företagen blir sökande part. Ansökningsförfarandet är selektivt och det är upp till företagen att lämna in en ansökan eller inte. Med ansökan som grund menar kommittén att TLV tidigt ska göra "preliminära nationella hälsoekonomiska bedömningar" i samband med att ett

²³ Samma konstruktion finns för IT inom SKL. Där gör sjukvårdshuvudmännen, inom ramen för *Beställarfunktionen för gemensamma informations- och IT-tjänster utifrån den Nationella IT-strategin för Vård och Omsorg*, gemensamma prioriteringar av angelägna IT-utvecklingsprojekt inom vården och finansierar dessa tillsammans.

²⁴ Horizon scanning är en systematisk omvärldsspaning i syfte att identifiera och kvantifiera nya läkemedel som ännu inte har godkänts och lanserats.

²⁵ Fyrlänsgruppen består av Stockholms läns landsting, Västra Götalandsregionen, Region Skåne och landstinget Östergötland.

nytt cancerläkemedel introduceras. Detta sker ”i avvaktan på evidensbaserat kunskapsunderlag och riktlinjer från SBU och Socialstyrelsen”. TLV vill betona att hälsoekonomiska bedömningar ställer bestämda krav på aktuella underlags tillgänglighet och kvalitet. Om inte dessa är tillgodosedda riskerar tidiga bedömningar att bli kvalificerade gissningar. Sådana bedömningar har risker oavsett var de görs i hälso- och sjukvårdssystemet och de minskar inte om de görs på nationell nivå. Tvärtom torde nationella felbedömningar utgöra en större risk än varierande regionala ställningstaganden. TLV kommer därför att försäkra sig om att underlagen för myndighetens bedömningar håller en godtagbar standard. En mer ingående beskrivning av kvalitén på de underlag TLV behöver för att göra hälsoekonomiska bedömningar görs längre fram i rapporten.

5.4. Praktiska förutsättningar för TLV:s bedömningar av rekvisitionsläkemedel

TLV:s bedömning är att

- resultatet av TLV:s bedömningar blir kunskapsunderlag kring kostnadseffektiviteten för olika rekvisitionsläkemedel
- ansökningarna om hälsoekonomisk bedömning framförallt bör omfatta rekvisitionsläkemedel som är svåra att värdera, som har stor ekonomisk påverkan på huvudmännen och som förevisar eller förväntas få stora praxisvariationer
- kapaciteten för hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel kommer att motsvara 5 till 10 rekvisitionsläkemedel per år under de två första åren
- handläggningstiden i normalfallet inte bör överstiga 180 dagar efter det att TLV fått tillgång till ett tillräckligt underlag
- det bör vara TLV som har det slutliga avgörandet om vilka läkemedel som verkligen ska bedömas

De ställningstaganden som gjorts i ansökningsfrågan är avgörande för TLV:s hantering av inkomna ansökningar och deras juridiska status. Resultatet av TLV:s bedömningar blir kunskapsunderlag kring olika rekvisitionsläkemedel och deras kostnadseffektivitet. Sådana har, precis som SBU:s rapporter och Socialstyrelsens nationella riktlinjer, ingen bindande verkan. Dessa ska användas av specialistläkare, verksamhetschefer och läkemedelskommittéer för att åstadkomma en kostnadseffektiv läkemedelsanvändning samt av läkemedelsenheter vid planering av upphandlingar. Kunskapsunderlagen är delar av ett system för kunskapsstyrning, där kliniska och administrativa beslut ska bygga på bästa tillgängliga kunskap. På samma sätt förhåller det sig med Läkemedelsverkets behandlingsrekommendationer, SBU:s rapporter och Socialstyrelsens nationella riktlinjer.

Inom ramen för utredningsprocessen kommunicerar TLV med företagen, huvudmännen och övriga myndigheter samt de experter som engagerats i arbetet, och ser till att få bredast möjliga underlag för de hälsoekonomiska analyserna. Det som kan förändra TLV:s bedömning är nya fakta, d v s nya studier och/eller förändrade priser.

5.4.1. *Vilka läkemedel är aktuella för hälsoekonomiska bedömningar?*

En del fråga i regeringsuppdraget är vilka rekvisitionsläkemedel som en ansökan ska kunna gälla. Detta är väsentligt för den som har rätt att ansöka och har även betydelse för vilka personella och andra resurser arbetet kräver inom TLV.

De läkemedel som ska bedömas kan teoretiskt avgränsas på olika sätt:

- Alla rekvisitionsläkemedel
- Alla nya rekvisitionsläkemedel
- Vissa grupper av nya och/eller äldre rekvisitionsläkemedel utifrån t ex terapiområde, kostnad, evidensläge eller annat

TLV menar att det varken är realistiskt eller ändamålsenligt att alla rekvisitionsläkemedel bedöms av myndigheten. Det gäller även om bedömningen avgränsas till att gälla alla *nya* läkemedel för slutenvården. Bakgrunden till föreliggande regeringsuppdrag är främst att implementeringen av nya läkemedelsterapier visat på stora variationer inom landstingen och att huvudmännens kunskapsunderlag varit bristfälligt *för vissa preparat*. För många läkemedel har varken introduktion eller upphandling varit något problem. Med de generella förutsättningar som råder för rekvisitionsläkemedel menar TLV att de preparat som bedöms i första hand bör vara sådana där kunskapsläget är oklart och där en hälsoekonomisk bedömning kan bidra till en effektivare läkemedelsanvändning.

Mot bakgrund av ovanstående är TLV:s bedömning att övergripande kriterier – inte rekvisitionsläkemedlets ålder, produkt- eller terapigrupp, etc. – bör vägleda ansökningar och urval. På den mest övergripande nivån bör ansökningarna handla om rekvisitionsläkemedel

- som är svåra att värdera,
- som har stor ekonomisk påverkan på huvudmännen och
- som förevisar eller förväntas få stora praxisvariationer

Ovanstående prioritering innebär att *kostnadsineffektiva* läkemedel med måttliga kostnader kan förbli ogranskade. Vissa av dessa borde kunna hanteras genom huvudmännens egna bedömningar, medan andra först på sikt blir föremål för TLV:s bedömningar. Motsvarande problem och överväganden finns på receptläkemedelsidan när genomgångar ska göras av de läkemedel som fick automatisk subvention vid övergången till det nya systemet 2002.

De slutliga kriterierna bör fastställas av ansvarsparterna i *Överenskommelsen om statens ersättning till landstingen för kostnaderna för läkemedelsförmånerna* mellan staten och SKL. Behandlingen av flera av regeringsuppdragets övriga delfrågor berör i hög grad på vilka ansökningsprinciper som förordas och vilka läkemedel som ska kunna vara aktuella för hälsoekonomiska bedömningar.

5.4.2. Hur många läkemedel och vilka?

Den största kostnadsökningen under 2009 finns i ATC-grupp L, d v s den grupp där läkemedel för behandling av cancer, ledgångsreumatism och transplantation ingår. Försäljningen inom gruppen ökade med 8 procent till totalt 6,1 miljarder kronor under 2009. Vissa av dessa läkemedel finns inom förmånerna, men här finns också många av de rekvisitionsläkemedel som kan bli föremål för TLV:s nya bedömningar.

Ett problem, som inte bara påverkar antalet läkemedel som ska bedömas, är deras karaktär av ”rörligt mål”. I Läkemedelsverkets promemoria till betänkandet *En nationell cancerstrategi för framtiden* påpekades att kostnadseffektiviteten varierar beroende på indikation, sjukdomsstadium, dos och tillkomsten av nya terapeutiska alternativ. Även utvecklingen av diagnostiska metoder kan förbättra kostnadseffektiviteten avsevärt, då de patienter som har nytta av en viss behandling kan selekteras bättre. En viktig faktor för TLV är läkemedlets pris, som till skillnad från övriga faktorer kan förändras mycket snabbt, flera gånger och både uppåt och nedåt. För originalläkemedel ändras visserligen listpriset sällan så länge patentskyddet består men i det förslag som TLV lämnar i denna rapport kommer upphandlingspriser och kon-

kurrenternas upphandlingspriser att få mycket stor betydelse och dessa kan ändras mycket drastiskt vid varje ny upphandling.

När företrädare för sex huvudmän och SKL tillfrågades om hur många läkemedel som skulle kunna bli aktuella för TLV att bedöma varje år varierade svaren mellan 10 och 20 läkemedel, med tyngdpunkten på uppskattningar i de lägre numerärerna. Bland dessa finns läkemedel för behandling av cancer främst Avastin, Erbitux, Vectibix och Glivec till olika grupper av cancerpatienter. Biologiska läkemedel är generellt en viktig grupp. TNF-alfahämmarna Remicade, Enbrel och Humira har alla fått förmånsstatus, men handlas upp i olika utsträckning. De ingår i TLV:s pågående genomgång av RA-läkemedel. Andra läkemedel som nämns är immunglobuliner, antitrombotiska läkemedel, antibiotika för infusion, anestesiläkemedel etc. De uppskattningar som gjordes av Läkemedelsverket och Lif i samband med arbetet om den nationella cancerstrategin pekade på att bara de onkologiska läkemedlen kan utgöra en stor del av de rekvisitionsläkemedlen (mellan 5 och 10+ per år).

De kriterier som redovisades i avsnittet ovan för vilka läkemedel som kan komma ifråga för huvudmännens ansökningar är breda. Oavsett hur många läkemedel som kan bli aktuella för hälsoekonomiska bedömningar behöver TLV dimensionerna sin personal utifrån den uppskattade volymen.

TLV:s bedömning är att kapaciteten för hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel initialt bör motsvara 5 till 10 rekvisitionsläkemedel per år under de två första åren. Ett skäl till det flytande antalet är både att antalet jämförelseläkemedel förväntas bli större och att fler indikationer kan bli aktuella än vid förmånsbedömningarna. Det förstnämnda bottnar i att jämförelsealternativen sällan är bedömda tidigare och det andra sammanhänger med slutenvårdens särskilda förutsättningar med bl. a sjukare patienter och den större experimentella förskrivningen. I syfte att fånga väsentlig användning föreslås att huvudmännen i ansökan anger på vilka indikationer de vill ha läkemedlet bedömt.

Ett särskilt problem uppstår dock om landstingen begär att TLV ska bedöma indikationer som inte godkänts av LV eller EMA. För dessa indikationer saknas i allmänhet dokumentation och det är inte sannolikt att läkemedelsföretagen kommer att kunna lämna ett underlag till TLV. Det ligger inte heller inom ramen för TLV:s uppdrag att uttala rekommendationer för användning som strider mot Läkemedelsverkets beslut eller rekommendationer. I praktiken torde det dock vara sällsynt med sådana ansökningar.

Skulle huvudmännens ansökningar överstiga avsatta resurser ligger det på NLT att tillsammans med huvudmännen prioritera de som ska gå till TLV och på TLV att tillsammans med NLT göra nödvändiga prioriteringar. Dessa kan innefatta vad som måste hanteras av huvudmännen/NLT själva eller vad TLV kan ta sig an vid en senare tidpunkt. Samarbetet mellan TLV och NLT bör präglas av dialog och gemensamma prioriteringar. Det bör dock vara uttalat att det är TLV som i sådana fall har det slutliga avgörandet om vilka läkemedel som verkligen ska bedömas.

5.4.3. *Hur lång handläggningstid behövs?*

För ansökningar inom förmånerna ska ansökningar kunna behandlas inom 180 dagar. Samma regler gäller inom hela EU. När det tar längre tid handlar det om att företagets ansökningar inte varit kompletta och att dessa uppgifter måste inväntas. När det gäller rekvisitionsläkemedel finns inga särskilda EU-regleringar. En viktig skillnad för de planerade bedömningarna för rekvisitionsläkemedel är att det i dessa fall inte finns en angelägen sökande part som har tillgång till och har förberett alla nödvändiga uppgifter. När det gäller rekvisitionsläkemedel, där någon subvention inte är aktuell, har företagen idag inga rutiner för att ta fram motsvarande uppgifter.

Mot bakgrund av bl. a ovanstående kan de hälsoekonomiska bedömningarna av rekvisitionsläkemedel ta längre tid än förmånsbesluten. Handläggningstiden beror såväl på tillgänglig kapacitet och kompetens inom myndigheten som på vilka interna och externa underlag som behöver arbetas fram för bedömningarna.

Handläggningstiden avgörs också av vilka krav som TLV ställer på underlagen och på uppgiftslämnarna. Om företagen i god tid får veta vilka krav som ställs på den hälsoekonomiska informationen som TLV kommer att begära i samband med sina nya bedömningar, finns förutsättningar för att underlagen blir fler och av bättre kvalitet för rekvisitionsläkemedlen. Om även övriga data är magra får TLV konstatera att underlag saknas och/eller är otillfredsställande och meddela att en bedömning inte kan göras. Det finns också andra uppgifter, främst kring läkemedlets effekter, där TLV behöver stöd från i första hand landstingen, LäkeMedelsverket, men även SBU och/eller Socialstyrelsen. Även dessa myndigheter har handläggningstider. Sammantaget kräver de nya bedömningarna större samverkan med fler aktörer för att i slutändan kunna säkerställa ett tillfredsställande faktaunderlag.

Med ovanstående reservationer anser TLV att handläggningstiden i normalfallet inte bör överstiga den maximala handläggningstiden inom förmånerna, d v s 180 dagar efter det att TLV fått tillgång till ett tillräckligt underlag. TLV menar dock att det är bättre att handläggningstiden överstiger 180 dagar snarare än att myndigheten tvingas konstatera att bedömningen inte kan göras på grund av att vissa uppgifter är otillräckliga eller saknas.

5.5. Hur ska TLV få tillgång till nödvändiga uppgifter?

TLV:s bedömning är att

- de priser TLV ska använda, och hur myndigheten ska få tillgång till dem, är en helt central fråga och en del av utvecklingsarbetet och av förhandlingarna med de olika intressenterna
- bedömningarna i normalfallet kommer att vara beroende av att TLV får tillgång till läkemedelsföretagens information om läkemedlens kostnadseffektivitet och i förekommande fall hälsoekonomiska modeller
- det inte är en framkomlig väg att författningsreglera företagens uppgiftslämnande
- det är en förutsättning för att TLV ska kunna göra hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel att läkemedelsindustrin åtar sig att lämna ut de uppgifter som TLV behöver
- det inte är en framkomlig väg att uppställa ett krav på hälsoekonomiska bedömningar från TLV för att komma ifråga för sjukvårdens upphandlingar av läkemedel
- det behövs ett tillägg i punkt 16 i bilagan till offentlighets- och sekretessförordningen för den här föreslagna verksamheten

5.5.1. Svårigheterna att få tillgång till data

Oavsett vem som ansöker om hälsoekonomiska bedömningar och vilken typ av rekvisitionsläkemedel det gäller, finns det svårigheter av olika slag som behöver lösas. Ett av de största är hur TLV ska få tillgång till relevanta underlag och tillförlitliga uppgifter kring aktuella läkemedel. En annan är kvalitén på det hälsoekonomiska underlaget, som oftast kommer att vara sämre än det för receptläkemedel.

Hälsoekonomiska bedömningar bygger på möjligheten att beräkna kostnaderna för att uppnå aktuella hälsoeffekter med olika åtgärder samt att jämföra dessa. För att

TLV ska kunna genomföra efterfrågade hälsoekonomiska bedömningar krävs flera olika typer av underlag:

- Uppgifter kring läkemedlets effekter
- Hälsoekonomiska underlag/modeller
- Prisuppgift på aktuellt läkemedel
- Motsvarande uppgifter som ovan för jämförelsealternativen

Det räcker med att uppgifter saknas inom något område för att de hälsoekonomiska bedömningarna ska omöjliggöras eller försvåras. Om uppgifter om läkemedlets effekter på aktuella indikationer är otillräckliga kan ingen hälsoekonomisk bedömning göras alls. Det ligger inte inom TLV:s kompetensområde att bedöma effekterna av olika läkemedelsterapier, utan här är myndigheten helt beroende av gjorda kliniska studier, klinisk forskning eller annan systematisk uppföljning. Denna kunskap finns främst hos läkemedelsföretagen och Läkemedelsverket, den kan också, för äldre läkemedel, tas fram av SBU genom avgränsade översikter. Socialstyrelsens nationella riktlinjer innehåller ofta relevanta uppgifter för läkemedel inom de områden där riktlinjer tagits fram.

När det gäller nya läkemedel finns sällan empiriska hälsoekonomiska data, utan de hälsoekonomiska effekterna måste skattas utifrån en hälsoekonomisk modell som simulerar användningen av läkemedlet och kalkylerar storleken på hälsovinster och kostnader. I ansökningar inom läkemedelsförmånerna finns krav på att företagen redovisar det nya läkemedlets kostnadseffektivitet. Det innebär oftast att företaget bifogar den hälsoekonomiska modell de tagit fram för läkemedlet. Detta ger TLV möjlighet att bedöma modellens antaganden och valda jämförelsealternativ.

TLV:s möjligheter att ta fram hälsoekonomiska modeller för varje aktuellt läkemedel med egen personal är mycket begränsade och kräver såväl ökad kapacitet som större epidemiologisk, biostatistisk och medicinsk kompetens. Att lägga ut denna del av arbetet till konsulter, som ofta är de som hjälper läkemedelsföretagen att ta fram denna typ av modeller, är heller inget reellt alternativ. Av publicerade artiklar framgår sällan alla gjorda antaganden kring läkemedlets framtida användning i vården och jämförelsealternativens. Det innebär att TLV regelmässigt behöver tillgång till företagens hälsoekonomiska modeller för att kunna göra sina bedömningar. I vissa fall, åtminstone under överskådlig tid framöver, kan det dock hända att hälsoekonomiska värderingar helt enkelt saknas.

5.5.2. *Prisuppgifter*

Inte heller prisuppgifterna är enkla att fastställa. Rekvisitionsläkemedel upphandlas av huvudmännen, vilket gör att ett och samma läkemedel kan ha olika priser i olika landsting. Även användningen av olika prismodeller i avtalen försvårar prisjämförelser. Volymrabatter används i flera avtal och i dessa fall går det inte att fastställa priset förrän i anslutning till årsskiftet. Hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel innefattar ofta flera jämförelsealternativ, vilket gör prisproblematiken mer omfattande. Ytterligare en faktor som komplicerar bilden är att ett av jämförelsealternativen kan vara andra medicinska interventioner, t ex en operation, strålning, sjukgymnastik eller diet.

Det finns olika sätt att få reda på en varas pris oavsett om det gäller brutto eller netto. Det enklaste är att fråga företaget om begärt pris, d v s det som idag betecknas som AIP (Apotekets inköpspris). Framöver kommer huvudmännen att ha avtal med flera grossister och då är det FPTG (företagets pris till grossist) som gäller. Flera huvudmän är oroliga för att det ska bli svårare att få fram aktuella priser då nuvarande avtal med Apoteket Farmaci upphör. Prissättningen av rekvisitionsläkemedel är fri och priserna fluktuerar. Vilka priser TLV ska använda och hur myndigheten

ska få tillgång till dem är en del av utvecklingsarbetet och av förhandlingarna med de olika intressenterna.

5.5.3. *Hälsoekonomiska underlag*

Eftersom relevanta hälsoekonomiska underlag inte finns i PAR/EPAR²⁶, i Läkemedelsverkets monografier och sällan i vetenskapliga tidskrifter, behöver TLV få tillgång till relevanta underlag från företagen. Då det finns uppgifter som både kan gynna och missgynna marknadsföringen av produkterna finns det skäl att tydliggöra företagens uppgiftslämnande till TLV. Det finns olika tänkbara sätt att närma sig detta:

- Lagreglerad rätt för TLV att kräva in de uppgifter som behövs för en hälsoekonomisk bedömning av ett läkemedel och en skyldighet för företagen att lämna ut dem
- Ett åtagande från läkemedelsindustrin att ta fram och lämna ut framtagna hälsoekonomiska modeller för aktuella läkemedel
- Krav från huvudmännen på bedömning av TLV inför köp/upphandling av vissa rekvisitionsläkemedel

Det är viktigt att slå fast att företagen inte kan stå utanför hälso- och sjukvårdens kunskapsstyrning och att de har ett ansvar att bidra med uppgifter till de olika typer av bedömningar som de statliga myndigheterna gör. Det är viktigt att bedömningarna av de läkemedel som används inom slutenvården bygger på ett lika bra kunskapsunderlag som för receptläkemedlen. Den värdebaserade prissättningen inom förmånssystemet syftar bl. a till en kostnadseffektiv förskrivning och att premiera innovativa läkemedel. Även för rekvisitionsläkemedlen bör en sådan princip tillämpas, men detta kan inte ske utan tillgång till relevanta uppgifter.

Utan ett relevant underlag kommer TLV att behöva meddela att läkemedlet i fråga inte kan värderas med avseende på kostnadseffektiviteten. Detta torde inte vara till fördel för det marknadsförande företaget som därför kan förväntas anstränga sig för att bidra till att undvika ett sådant utfall.

Ovanstående alternativ ger TLV respektive huvudmännen olika verktyg för att påverka företagens uppgiftslämnande i samband med hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel. Första och andra punkten utesluter varandra. Den sista är förenlig med båda alternativen. Oavsett vägval löses inte alla problem. Att uppgiftslämnandet regleras är ingen hjälp när uppgifter faktiskt saknas eller om samsyn saknas kring läkemedlets effekter. Det är också svårt att veta om *alla* relevanta uppgifter lämnas ut vid en formell förfrågan. Kravet på det marknadsförande företaget att visa att produkten uppfyller förutsättningarna för att få ingå i förmånerna har gjort att företagens hälsoekonomiska modeller successivt har förbättrats och i det närmaste blivit standard vid dessa bedömningar.

Även NLT och huvudmännen behöver bidra med relevanta uppgifter. Det gäller framför allt uppgifter om vid vilka indikationer läkemedlet används i klinisk praxis och vilka av dessa som ska bedömas. De relativt tidiga introduktionerna av nya läkemedel innebär svårigheter att bedöma hur den faktiska kliniska tillämpningen kommer att bli och hur denna skiljer sig från de förhållanden som rådde under de kliniska prövningarna. TLV måste därför kunna få in uppgifter om hur läkemedlet används i klinisk praxis.

²⁶ EPAR står för European Public Assessment Report. Rapporten innehåller de vetenskapliga slutsatserna som Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) kommit fram till efter den centraliserade utvärderingsprocessen av ett nytt läkemedels effekter och säkerhet. PAR kallas rapporten när den tagits fram i Sverige.

5.5.3.1. Lagreglering

Den alltmer systematiska kunskapsstyrning, som utgår från statliga myndigheter och huvudmännen, förutsätter en hög grad av transparens. Om en myndighet utfärdar riktlinjer, rekommendationer eller tar fram kunskapsunderlag, måste mottagaren ha kunskap om och kunna förlita sig på utformningen och genomförandet av den process som skapar rekommendationerna. De måste veta att bedömningen tagits fram på basis av bästa tillgängliga kunskap.

Om företagens uppgiftslämnande regleras måste författningstexten definiera de typer av uppgifter/underlag det är fråga om, även om detaljföreskrifter kan överlämnas till myndigheten.

Att författningsreglera en uppgiftsskyldighet där den enskildes nytta framstår som oklar och där det saknas sanktionsmöjligheter är problematiskt. Företaget saknar ju möjlighet att påverka om provningen kommer tillstånd. Eftersom det är svårt att bedöma om uppgifter faktiskt saknas eller om företaget inte vill lämna ut dem, kan inte heller sanktioner tillämpas. För företag med kostnadseffektiva produkter innebär dock bedömningarna en kvalitetsstämpel och därmed en god marknadsföring. För läkemedel som inte bedöms som kostnadseffektiva är det annorlunda. När det gäller receptläkemedel finns inbyggda incitament och sanktioner att förse TLV med begärda uppgifter.

En rätt för TLV att ta del av företagens hälsoekonomiska modeller för ett rekvisitionsläkemedel syftar till att öka kunskapen om den totala nyttan av ett läkemedel. Såväl huvudmän som forskrivare befinner sig ofta i ett informationsunderläge, vilket gör att administrativa och kliniska beslut och prioriteringar inte alltid grundas på bästa tillgängliga kunskap. Uppgiften för HTA-organisationer som SBU och TLV är att råda bot på detta. SBU utgår endast från publicerade och referensgranskade artiklar/studier, medan TLV för att kunna fullgöra sitt uppdrag är beroende av företagens uppgifter.

Scottish Medicines Consortium (SMC) har sedan 2001 bedömt alla nya läkemedel tre till fyra månader efter introduktionen. Den snabba processen resulterar i tre typer av bedömningar – grönt, gult eller rött ljus. Antingen ges en rekommendation till NHS att använda läkemedlet, att använda det med en eller flera restriktioner eller att inte använda det. En av bevekelsegrunderna för att inte rekommendera ett läkemedel är att allför knapphändiga uppgifter lämnats från företagets sida. TLV skulle kunna använda en liknande strategi och hänvisa till att läkemedlets kostnadseffektivitet är så pass dåligt dokumenterad att någon hälsoekonomisk bedömning inte kan göras. I övrigt är det svårt att se vilka sanktioner från myndighetens sida som skulle vara effektiva.

TLV bedömer att det inte är en framkomlig väg att författningsreglera företagens uppgiftslämnande.

5.5.3.2. Åtagande från läkemedelsindustrin

Ett enklare och sannolikt bättre alternativ till lagstiftning är att läkemedelsindustrin åtar sig att lämna ut de uppgifter som TLV behöver för att göra en hälsoekonomisk bedömning av rekvisitionsläkemedel

De uppgifter som TLV behöver för att göra en hälsoekonomisk bedömning av aktuella rekvisitionsläkemedel är hälsoekonomiska modeller eller annat hälsoekonomiskt underlag och priset till grossist (idag AIP) eller ett genomsnitt av gällande nettopriser. I ett första steg bör uppgifterna gälla det som ett företag redan har tagit fram och som görs tillgängliga på TLV:s begäran. Därutöver bör industrin vinnlägga sig om att ta fram hälsoekonomiska modeller för alla nya originalläkemedel, även för de som rekvireras. Från Lifs sida har farmhållits att det är viktigt att förväntningarna på företagen är tydliga och att systemet är förutsebart, så att företagen har en chans

att utveckla nuvarande rutiner och regelmässigt ta fram de uppgifter som krävs för TLV:s hälsoekonomiska bedömningar.

Ett sådant åtagande kräver att Lif förmår samla alla medlemsföretag bakom åtagandet. Varje företag har sina förutsättningar och de är dessutom konkurrenter. Att enstaka mindre företag står utanför Lif torde ha mindre betydelse.

5.5.3.3. **Krav vid upphandlingar**

Huvudmännen kan undvika upphandling eller köp av läkemedel där kostnadseffektiviteten är dåligt dokumenterad eller inte bedömd. Denna strategi kan dock vara svår att tillämpa i alla fall. För det första brukar inte läkemedel upphandlas om förbrukningen inte är tillräckligt hög. För det andra kan alternativ till läkemedlet saknas vilket gör att användningen påverkas mindre av en hälsoekonomisk bedömning. För det tredje har möjligheten till sådana bedömningar inte funnits.

Det står huvudmännen fritt att använda vilka skall-krav de vill i sina upphandlingar förutsatt att kraven inte är diskriminerande. Ovanstående skall-krav skulle kunna vara viktiga signalfunktioner och samordnas via NLT. De implementeras dock i olika takt, eftersom huvudmännens upphandlingar sker rullande och gäller oftast i två år samt ofta med förlängning i ytterligare ett. Upphandlingarna genomförs i samarbete mellan huvudmännen i mellan fem och sex konstellationer. Det ger skalfördelar och möjligheter till regional synkronisering. Det kan dock ta upp till två år innan ett nytt läkemedel integrerats i upphandlingen hos de huvudmän som ligger sist i fas. De rullande upphandlingarna har också fördelar. Flera huvudmän beskriver hur man kan lära sig av både misstag och goda lösningar från föregående upphandlingar.

Huvudmännen har valt delvis olika strategier när det gäller volymrabatter. En del har kortare avtal för att kunna tillgodogöra sig effekter av patentutgångar och att snabbare få in nya läkemedel i upphandlingen. Denna strategi innebär oftast lägre rabatter, men ger större flexibilitet.

Att uppställa ett krav på hälsoekonomiska bedömningar från TLV för att komma ifråga för upphandling torde dock innebära att alla producenter måste få tillgång till en hälsoekonomisk bedömning. TLV bedömer därför att sådana krav för upphandling inte är en framkomlig väg att få tillgång till hälsoekonomiskt underlag.

5.5.3.4. **TLV:s samlade bedömning om möjligheten att få tillgång till data**

TLV:s bedömning är att ett åtagande från branschen är att föredra framför att lagstifta om företagens uppgiftsskyldighet. Myndighetens ansträngningar bör i första hand riktas mot att förtydliga kraven på vilka uppgifter som behövs för aktuella bedömningar och vilka kvalitetskrav som ställs samt säkerställa att företagen kommer att tillförsäkras sekretesskydd för de hälsoekonomiska modeller som TLV kommer att efterfråga för aktuella rekvisitionsläkemedel. Det finns ett gemensamt intresse av att bedömningen av olika läkemedel vilar på tillförlitliga och relevanta uppgifter. Det gynnar både allmänintresset och de mest medicinskt innovativa läkemedelsföretagen.

På sikt ser TLV att öppenheten kring de hälsoekonomiska modellerna kommer att öka. Så har skett med de kliniska prövningarna och prövningsprotokollen och det finns ingen anledning att tro att det skulle vara annorlunda med de hälsoekonomiska uppgifterna. TLV förutser också en ökad standardisering av de hälsoekonomiska modellerna för olika patientgruppers behandlingar.

5.5.4. ***Sekretess för hälsoekonomiska underlag***

Vid prövning av ansökningar inom förmånsystemet får TLV tillgång till hälsoekonomiska modeller och annan dokumentation från företagen. Sådana uppgifter omfattas helt eller delvis av sekretess enligt offentlighets- och sekretesslagen (2009:400) Företagen har investerat en hel del resurser i de hälsoekonomiska mo-

dellerna och även konsulterna som bidragit till att ta fram dem ser helst att de inte blir allmän egendom. Det underlag som TLV behöver för att kunna göra hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel är av motsvarande slag. Motsvarande sekretessregler som gäller förmånsansökningarna bör kunna införas när det gäller de hälsoekonomiska bedömningarna av rekvisitionsläkemedel.

Av bilagan till offentlighets- och sekretessförordningen (2009:641), punkt 16, framgår att viss sekretess gäller för uppgifter i TLV:s verksamhet med utredning, prisreglering och tillsyn enligt lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner mm.

För att göra det möjligt för företagen bidra med bästa möjliga underlag krävs att dessa kan garanteras att inte behöva offentliggöra uppgifter av affärsmässig och konkurrenskänslig natur. TLV föreslår att även uppgifter som ingår i annan liknande verksamhet hos TLV ges samma sekretesskydd som gäller för handläggning av ärenden enligt lagen om läkemedelsförmåner m.m. Detta innebär att det behövs ett tillägg i punkt 16 i bilagan till offentlighets- och sekretessförordningen för även den här föreslagna verksamheten.

5.6. Samverkan med övriga myndigheter

TLV:s bedömning är

- att samarbetet med Läkemedelsverket och SBU bör utökas för att bättre kunna få grepp om olika läkemedels effekter, som underlag för de hälsoekonomiska bedömningarna

TLV samverkar med övriga myndigheter i flera olika sammanhang. Det första rör Socialstyrelsen nationella riktlinjer, där TLV i något fall står för den hälsoekonomiska bedömningen av aktuella läkemedel. I riktlinjearbetet bidrar även SBU med olika kunskapsunderlag och Läkemedelsverket som genomför workshops kring aktuella läkemedels användning och dosering. Det andra rör TLV:s genomgångar av receptläkemedel där SBU tar fram kunskapsunderlaget kring effekter.

TLV deltar också i en organiserad myndighetssamverkan på generaldirektörsnivå. De berörda myndigheterna har ett tydligt uppdrag från regeringen att agera samordnat när det gäller den statliga kunskapsstyrningen när det gäller läkemedel. Även för samverkan med huvudmännen finns nätverk och andra samarbetsformer. TLV, liksom Socialstyrelsen, SBU och Läkemedelsverket, deltar i NSK (Nationell samordningsgrupp för kunskapsstyrning) där alla sjukvårdsregionerna är representerade.

Om TLV:s uppdrag skulle utökas med hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel får det även konsekvenser för den totala statliga kunskapsstyrningen. Framför allt bör samarbetet med Läkemedelsverket och SBU utökas för att bättre kunna få grepp om olika läkemedels effekter, som underlag för de hälsoekonomiska bedömningarna.

6. Organisation och genomförande

6.1. Organisation och kostnader för ett utökat uppdrag för TLV

TLV:s bedömning är att

- verksamheten bör ha formen av en försöksverksamhet under två år för att sedan utvärderas
- arbetet organiseras utifrån en projektorganisationsmodell
- den ytterligare handläggare- och ledningstid som behövs motsvarar minst sex årsarbetare
- en satsning för att göra hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel beräknas uppgå till ca 7 Mkr årligen med en uppstartskostnad under ett förberedande halvår på ca 2.3 Mkr

Om TLV får uppdraget att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel innebär det att myndigheten kommer att driva två processer för handläggning och hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel. Arbetet har delvis olika syften. Bedömningsgrunder och grundläggande metodik har dock stora likheter. Då arbetet föreslås genomföras på 0,5 + 2 år för att sedan utvärderas föreslås att arbetet organiseras utifrån en projektorganisationsmodell.

Ett utvidgat uppdrag för hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel innebär att myndighetens kapacitet och i vissa delar även kompetens behöver förstärkas. Uppskattningarna bygger på att mellan 5 – 10 bedömningar görs per år. Utredningarna förväntas vara mer omfattande än motsvarande granskning av ansökningar inom förmånerna. Skälen till detta är att underlagen måste samlas från flera håll och att varje ärende kräver fler samarbetskontakter. Dessutom förväntas underlagen till TLV ofta vara av sämre kvalitet och mindre bearbetade. Det senare gäller inte minst företagens hälsoekonomiska modeller, varför myndigheten måste göra fler egna modelleringar än man hittills behövt göra.

TLV beräknar att den ytterligare handläggare- och ledningstid som behövs motsvarar minst sex årsarbetare. Dessa utgörs huvudsakligen av medicinska utredare och hälsoekonomer. TLV behöver också utveckla den biostatistiska kompetensen, som bl. a är viktigt när de hälsoekonomiska effekterna ska simuleras varför minst en av de nya medicinska handläggarna bör ha särskild epidemiologisk kompetens.

De hälsoekonomiska bedömningarna av rekvisitionsläkemedel kräver också externt expertstöd. En del av detta kan fås genom övriga myndigheter, men precis som utredningarna inom förmånerna krävs ofta stöd av kliniska farmakologer eller annan klinisk kompetens. För genomgångarna låg kostnaden på 0,34 Mkr för 2009. För innevarande år då takten ökar i dessa bedömningar är den budgeterade kostnaden 0,566 Mkr. De expertkostnader som kan hänföras till nya läkemedel inom förmånerna har på grund av nämndens sammansättning varit väsentligt lägre. Dessa kan dock förväntas öka avsevärt när nämndens sammansättning nu förändrats. Om hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel ska göras krävs relativt stora insatser av medicinska experter, men även hälsoekonomiska konsulter de första åren. Den totala kostnaden för dessa beräknas till 0,8 Mkr per år. Därutöver kan tillkomma kostnader för eventuella systematiska översikter från SBU.

En satsning för att göra hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel beräknas uppgå till ca 7 Mkr för år 1 och, med indexuppräknning, något mer år 2 samt en uppstartskostnad under ett förberedande halvår på ca 2.3 Mkr.

Denna kostnad ska ställas mot att rekvisitionsläkemedlen har den största kostnadsökningstakten bland läkemedel och de sämsta hälsoekonomiska kunskapsunderlagen. Hittills har nästan alla satsningar fokuserat på läkemedel som ordinerats på recept inom den öppna vården. Dessutom har huvudmännen högst varierande förutsättningar att själva ta fram relevanta underlag och göra erforderliga bedömningar, varför en nationell lösning är att föredra.

6.2. Genomförande

TLV:s bedömning är att

- verksamheten bör ha formen av en försöksverksamhet på två år för att sedan utvärderas
- det grundläggande samspelet mellan TLV och huvudmännen/NLT bör regleras i de årliga överenskommelserna mellan staten och SKL
- det är en förutsättning för verksamheten att läkemedelsindustrin åtar sig att lämna ut de uppgifter som TLV behöver för att göra en hälsoekonomisk bedömning av rekvisitionsläkemedel

De förslag som lämnas kring hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel är inte konkretiserade i alla delar. För att alla bitar ska falla på plats behövs ett internt utvecklingsarbete kring arbetsmodellen och att konkreta överenskommelser träffas med de olika intressenterna.

Hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel är en ny uppgift för TLV och även för de flesta andra. Det innebär att verksamheten bör betraktas som en försöksverksamhet. TLV ser därför att de förändringar som föreslås i det korta perspektivet bör prövas under två år för att sedan utvärderas. Under förutsättning att nödvändiga beslut fattats snabbt skulle förändringarna teoretiskt sett kunna träda i kraft 1 januari 2011. Återstående delar i arbetsmodellen utvecklas då under hösten 2010, liksom de överenskommelser som behöver träffas med de olika intressenterna. Om beslut eller övriga förberedelser tar längre tid behöver en implementering beakta behovet av cirka ett halvårs utvecklings- och förberedelsetid innan ansökningar kan börja tas emot.

Det grundläggande samspelet mellan TLV och huvudmännen/NLT bör regleras i de årliga överenskommelserna mellan staten och SKL. Det innebär att förslaget bör inkluderas i höstens förhandlingar mellan staten och SKL.

TLV:s tillgång till uppgifter och/eller kompetens kräver medverkan av såväl läkemedelsindustrin genom Lif som Läkemedelsverket, SBU och Socialstyrelsen. I övrigt bör TLV:s verksamhetsuppdrag justeras utifrån de tillkommande hälsoekonomiska bedömningarna av rekvisitionsläkemedel.

Hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel är i flera delar ett samarbetsprojekt. För att det ska lyckas krävs att alla intressenter bidrar utifrån sina förutsättningar. TLV har ambitionen att skapa en transparent process och i ett första steg bjuda in de olika intressenterna till en workshop. Därefter kommer TLV att sträva efter att involvera dem i olika delar av det framtida arbetet.

Eftersom företagen inte regelmässigt tagit fram hälsoekonomiska modeller för rekvisitionsläkemedel kan initialt stora fördelar uppnås om huvudmännen/NLT kan annonsera vilka äldre och vilka nya kommande läkemedel som man avser att ansöka om bedömningar för. Det ger företagen en chans att ta fram respektive förbereda aktuella underlag. På något års sikt efter beslut om genomförande av hälsoekonomiska

miska bedömningar kommer företagen sannolikt ha anpassat sig till de nya förutsättningarna och regelmässigt ta fram hälsoekonomiska modeller för nya läkemedel.

Idag bedriver NLT via fylänsgruppen Horizon Scanning. Ett sätt att öka förutsägbarheten i behovet av framtida hälsoekonomiska bedömningar är att i större grad samverka i framtidsspaningen mellan LäkeMedelsverket, TLV, NLT och Lif.

6.3. Utvärdering

TLV:s bedömning är

- att det är av stor vikt att verksamheten utvärderas grundligt efter tvärsperioden särskilt när det gäller den nytta de hälsoekonomiska bedömningarna har inneburit för de olika intressenterna.

Förutsättningarna för hälsoekonomiska bedömningar inom förmånerna respektive för rekvisitionsläkemedel skiljer sig på flera sätt och det är därför viktigt att verksamheten utvärderas efter provotiden. Viktiga områden för utvärderingen är

- vilken nytta de hälsoekonomiska bedömningarna har inneburit för de olika intressenterna
- vilka extra kostnader de hälsoekonomiska bedömningarna har inneburit för de olika intressenterna
- om TLV:s interna processer för bedömning av rekvisitionsläkemedel är effektiva när det gäller
 - ansökningsförfarandet
 - informationsinsamlingen/uppgiftslämnandet och om underlagen är tillräckliga och har den kvalitet som behövs för aktuella bedömningar
 - beräkningen av kostnadseffektiviteten
 - den sammanvägda bedömningen
 - kunskapsunderlagets och rekommendationernas tillförlitlighet och träffsäkerhet
 - kommunikationen av kunskapsunderlag och rekommendationer
 - de första kunskapsunderlagens/bedömningarnas livslängd (behov av uppdateringar)
- kunskapsunderlagets/bedömningarnas kvalitet och tydlighet och
 - vilka slutsatser framtagna underlag och metoder tillåter samt
 - vilken osäkerhet som finns i bedömningarna
- hur huvudmännen använder kunskapsunderlagen
 - vid ordnat införande
 - hos läkemedelskommittéerna
 - vid upphandling av läkemedel
- hur huvudmännen ser på kunskapsunderlagen
- hur övriga intressenter ser på kunskapsunderlagen/bedömningarna
- vilka förändringar/förbättringar som bör genomföras

Arbetet kommer även att följas upp och förbättras kontinuerligt under tvåårsperioden.