

UTVECKLAD UPPFÖLJNING

Varför det behövs utökade uppföljningsmöjligheter

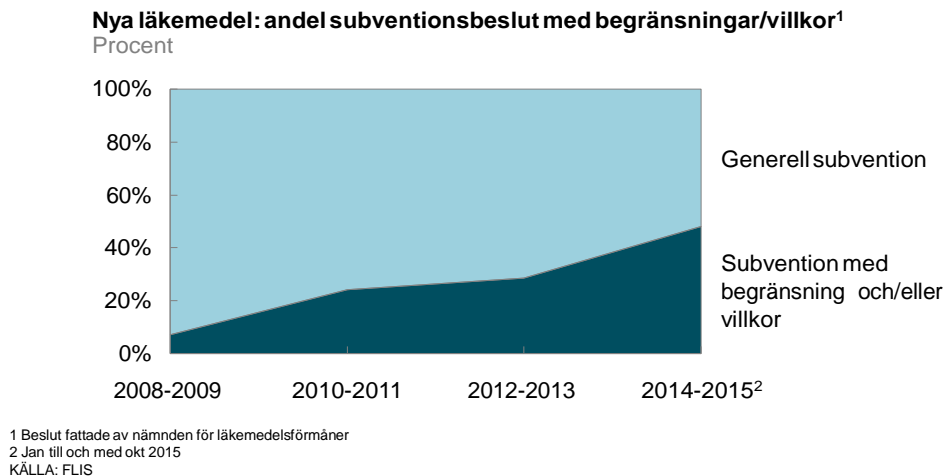
Utveckling av den värdebaserade prissättningen, bland annat genom en mer dynamisk prissättning, kräver en god möjlighet till uppföljning för att minska risken för icke kostnadseffektiv användning enligt 15 § förmånslagen. Det finns också flera konkreta skäl till att uppföljning blir allt viktigare, t ex ökande andel subventionsbeslut med begränsningar där läkemedlet endast har bedömts kostnadseffektivt om det används av vissa patientgrupper. Beslut där sidoöverenskommelser utgör en del av beslutsunderlaget kräver noggrann och snabb uppföljning för att kontrollera att användningen är i linje med beslutet.

Genom god uppföljning kan läkemedel i tidiga faser i större grad beviljas subvention vilket innebär att patienter i Sverige får tidigare tillgång till läkemedel. Samtidigt finns ett stort värde för life-science industrin i Sverige med tidigt kunskapsframtagande och tillgång till data om läkemedels effekter i klinisk praxis. Sammantaget är utvecklad uppföljning ett högt prioriterat område.

Utvecklad uppföljning av subventionsbeslut med begränsningar

För ett flertal läkemedel som ansöker om subvention finns det osäkerheter. Det kan t.ex. handla om osäkerheter i för vilka patientgrupper som läkemedlet är kostnadseffektivt och/eller hur effekten är i klinisk vardag. Detta medför att subventionsbeslut i allt högre grad än tidigare resulterar i avslag alternativt inkluderar begränsningar. För nya läkemedel har andelen subventionsbeslut med begränsningar och/eller villkor fattade av nämnden för läkemedelsförmåner ökat från ca 5-10 procent 2008-2009 till ca 50 procent under 2014-2015, se bild.

BILD 1 – ÖKANDE ANDEL SUBVENTIONSBESLUT MED BEGRÄNSNINGAR



TLV:s erfarenhet är att det varit svårt att få följsamhet till begränsningarna. Det kan sannolikt förklaras av olika saker. En förklaring kan vara att landstingen inte gjort samma värdering av läkemedlets kliniska nytta eller angelägenhetsgrad som TLV. Andra förklaringar kan vara att subventionsbegränsningen utformats på ett sätt som är svår att tillämpa i klinisk vardag eller att

informationen till förskrivarna om begränsningen inte nått ut. TLV:s beslut är också på gruppnivå medan förskrivning sker för enskilda individer.

En ökande andel nya läkemedel med osäkerheter och begränsningar i subventionsbesluten ställer ökade krav på att kunna följas upp vid lämpliga tidsperioder för att utvärdera om besluten kan behövas revideras. Utmaningen är att kunna designa uppföljningen av läkemedel i klinisk vardag innan läkemedlen introduceras och börjar användas. Ofta är framförhållningen mycket kort när man väl får kännedom om ett nytt läkemedel, vilket är en utmaning ur uppföljningshänseende. För de läkemedel som ingår i nivå 1 av det ordnade införandet finns dock förbättrade förutsättningar till uppföljning.

Nya innovativa läkemedel i tidiga faser samt stegvist godkännande

Kunskapen och möjligheten att strukturerat följa upp viktiga parametrar är grunden vid alla beslut och detta gäller särskilt vid introduktion av läkemedel i tidiga faser, t ex inom ramen för villkorat eller stegvist godkännande.

Villkorat godkännande av EMA kan ges när ett läkemedel i tidiga studier har visat sig ha en avsevärd fördel i förhållande till existerande behandlingar (eller vid avsaknad av behandlingar). Det villkorade godkännandet innebär att företaget åläggs återkomma med studier som bekräftar den kliniska nyttan och om så sker kan det villkorade godkännandet konverteras till ett vanligt godkännande. I väntan på nya studier omvärderas läkemedlets status årligen. Stegvis godkännande drivs av EMA, bygger på villkorat godkännande och bedrivs i pilotverksamhet sedan 2014.

De läkemedel som ansökt om förmån hos TLV och där EMA har villkorat godkännandet kommer löpande att behöva följas upp och värderas och i de fall det uppstår ett nytt läge behöver TLV kunna sätta ett nytt pris. Ett nytt läge kan till exempel vara en ny indikation, ny kunskap om läkemedlets effekter, ny godkännandestatus, ny kunskap om läkemedlets kostnader, förändrad konkurrens, ökad försäljning osv.

Tidiga godkännanden förutsätter således löpande data för att snabbt kunna identifiera avvikelser och fördjupade studier så att beslut kan revideras vid behov.

Tillgång till (tidig) data kan stimulera life-science industrin i Sverige

Det finns en tydlig ambition om att stärka attraktiviteten och konkurrenskraften för life science industrin i Sverige. Utvecklade register med hälso- och sjukvårdsdata skulle möjliggöra snabbare uppföljning och introduktion av nya läkemedel vilket skulle öka Sveriges attraktivitet och konkurrenskraft som life-science land.

En ökad samverkan mellan industrin och hälso- och sjukvården med möjlighet att tidigt dela data skulle också kunna öka attraktiviteten att förlägga kliniska prövningar i Sverige. Ett utbyte av tidig real world data kan vara av värde för läkemedelsföretag vilket kan möjliggöra för landsting att träffa avtal med företagen om finansiering i syfte att för det offentliga att skapa utrymme i vården att samla data om läkemedlens effekter i klinisk vardag. Det sistnämnda har en tydlig koppling till TLV:s behov av sådan data i syfte att säkerställa korrekt pris- och subventionsstatus enligt 15 § förmånslagen, och kan uppnås inom ramen för de sidoöverenskommelser som tecknas i samband med trepartsöverläggningar. Då ökat utbyte av data ligger i alla parter intresse tecknades en överenskommelse 2012 mellan läkemedelsindustrin och SKL för samverkan kring kvalitetsregister och andra liknande data.

Uppföljning kritiskt vid trepartsöverläggningar

I de fall trepartsöverläggningar har resulterat i en sidoöverenskommelse som tillförts ärendet är det särskilt viktigt med löpande uppföljning av beslutet. För att kunna följa upp beslutet krävs detaljerad data, ofta på individnivå, som behöver samlas in varje månad.

Det kan också vara aktuellt med uppföljning av att begränsningar i subventionsbeslut efterlevs.

Genom att TLV följer upp följsamheten till subventionsbeslutet ökar möjligheterna för TLV att löpande utvärdera kostnadseffektiviteten.

Ökat behov av uppföljning vid omprövningar

TLV utvärderar löpande att förmånsbeslut håller över tid med målet att säkerställa kostnadseffektiva läkemedel under hela livscykeln i enlighet med §15 förmånslagen.

Vid omprövningar är det viktigt med uppföljning av både volym, kostnader och medicinsk effekt för läkemedelskategorier som utvärderas. Exempelvis kan det vid analys av biologiska läkemedel inför introduktion av biosimilarer vara av stort värde att ha tillgång till relevant uppföljning av medicinsk effekt.

Med utvecklad förmåga att följa upp läkemedel kan mer välunderbyggda omprövningsbeslut fattas och sannolikheten öka för beslut som stödjer en kostnadseffektiv användning.

Pågående utvecklingsarbete av uppföljning

Mot bakgrund av det ökade behovet av uppföljning intensifieras utvecklingen av uppföljning, både hos TLV och hos landstingen. Det pågår konkret uppföljning av beslut där sidoöverenskommelser utgör en del av beslutsunderlaget samtidigt som ett mer framåtblickande arbete pågår kring förmåga att hantera mer komplex uppföljning på individnivå.

Uppföljning av trepartsöverläggningar

En grundförutsättning för trepartsöverläggningar, särskilt då de leder till sidoöverenskommelser som tillförs ärendet, är möjligheten till ändamålsenlig uppföljning. Det finns två huvudsakliga värden med uppföljning i dessa situationer. Det första värdet av en ändamålsenlig uppföljning är att det möjliggör ett positivt subventionsbeslut. Det andra värdet är att uppföljning på sikt bygger upp kunskap som kan minska risken för en icke kostnadseffektiv användning eller en användning som inte är förenlig med 15 § läkemedelsförmånslagen.

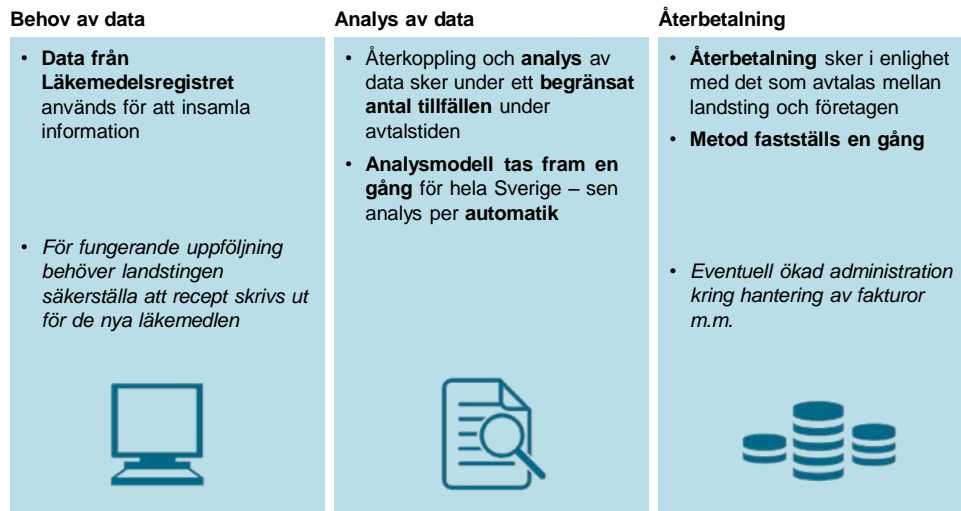
För att följa upp beslut där sidoöverenskommelser utgör en del av beslutsunderlaget krävs detaljerad data som samlas in varje månad för kvartalsvisa avstämningar. Hittills har uppföljningen baserat sig på data från Socialstyrelsens Läkemedelsregister. Uppföljning har skett av:

- Antal patienter
- Behandlingstid
- Behandlingsresultat

Eftersom det är TLV som fattar förmånsbeslut är det nödvändigt att myndigheten är delaktig i uppföljningen. Eftersom det är landstingen som har avtalsrelation med företagen är det nödvändigt för dem att delta i uppföljningen. Således sker arbetet i praktiken gemensamt mellan TLV och landstingen (genom landstingsgemensamma resurser).

En modell för uppföljning utarbetas initialt för respektive läkemedelskategori, därefter sker uppföljningen mer automatiserat. En viktig utgångspunkt vid utformande av avtal och begränsningar är att uppföljning ska vara effektiv, särskilt för enskilda kliniker. Registren som används måste därför vara nationella och aktuella, med månadsvis uppdatering – detta är ett av skälen till att Socialstyrelsens Läkemedelsregister har använts hittills snarare än kvalitetsregister

BILD 2 – UPPFÖLJNING



Återbetalning till landsting sker enligt avtal mellan företagen och landstingen. Läkare förskriver läkemedlet och patienter hämtar ut sina mediciner på apotek till det förmånsgrundande priset och kopplat till det högkostnadsskydd som finns för läkemedel som förskrivs på recept och som ingår i förmånerna. Därefter beräknas vilken återbetalning företagen ska göra till landstingen utifrån vad som anges i avtalet. Beräkningen sker på landstingsnivå varpå respektive landsting själva fakturerar läkemedelsföretaget.

Det kan också vara aktuellt med uppföljning av att begränsningar i subventionsbeslut efterlevs. Genom att TLV följer upp följsamheten till subventionsbeslutet ökar möjligheterna för TLV att löpande utvärdera kostnadseffektiviteten.

Tillgång till uppföljningsdata inom ramen för trepartsöverläggningar kan också vara av värde för läkemedelsföretag vilket potentiellt kan möjliggöra för landsting att träffa avtal med företagen om finansiering så att det offentliga får bättre resurser för att samla data om läkemedlens effekter i klinisk vardag.

Ambitionen är att framöver bättre än idag kunna använda kvalitetsregister och andra datakällor för att följa upp ett förmånsbeslut då dessa register innehåller värdefull klinisk data som inte finns i Socialstyrelsens läkemedelsregister. Kvalitetsregister och andra datakällor behöver förmodligen köras tillsammans mot Socialstyrelsens mer heltäckande register.

Landstingens utvecklade uppföljning inom ordnat införande

En strukturerad introduktion och uppföljning ökar chanserna att nya läkemedelsåtgärder skapar stort mervärde; både för patient, samhälle och industri. Med detta som utgångspunkt följer landstingen upp introduktion och användning i klinisk vardag genom ordnat införande, och rapporterar detta framför allt gentemot NT-rådet. Om uppföljningen av läkemedlen avser så kallad nivå 1, dvs stor påverkan på vården och eventuellt aktuella för trepartsöverläggningar, kan denna uppföljning bland annat inkludera

- Försäljning i volym/kostnad per landsting
- Indikationer för patienter som behandlas
- Jämlik vård avseende landsting, ålder, kön m.m.
- Behandlingstid, effekt (t ex mortalitet) och säkerhet

Då detta har tydliga kopplingar till TLVs förmånsbeslut, med eller utan trepartsöverläggningar, har samverkansformerna intensifierats mellan landsting och TLV avseende uppföljning för att säkerställa nationell enhetlighet och harmonisering i arbetet.

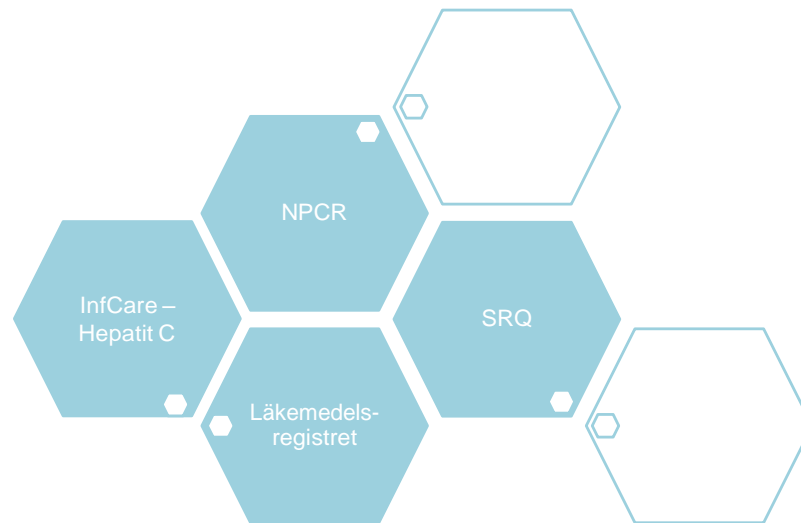
TLV utökar arbetet med olika register

För att snabbt kunna ta del av kunskap kring faktiska effekter av läkemedelsbehandling krävs att andra aktörer, som forskare, har bra tillgång till relevant data för sina studier. Relevant information kan många gånger ta lång tid att ta fram, delvis för att data inte på ett enkelt och ordnat sätt finns tillgänglig. Registerbaserade studier på stora datamängder från sjukvården börjar växa fram som ett potentiellt snabbare alternativ och därmed ett angeläget komplement till traditionella lösningar. Kvalitetsregister spelar en viktig roll i detta arbete, dessa innehåller i många fall omfattande data som är av stort värde vid uppföljning.

Svenska kvalitetsregister ligger också långt fram internationellt, både vad avser antal register (över 80 register) och täckningsgrad vilket också kan bidra till en attraktiv miljö för life-science industrin i Sverige.

Uppföljningen i trepartssammanhang behöver i normalfallet ske på anonymiserad nivå. Detta kan oftast göras med hjälp av olika register på Socialstyrelsen men TLV har initierat kontakter med olika registerhållare i syfte att möjliggöra uppföljning framöver även utifrån olika kvalitetsregister. Se bild för register som TLV använder/har använt under senare tid, både inom ramen för trepartsöverläggningar (t ex register för hepatit C och prostatacancerregister) och i löpande kunskapsuppbyggnad.

BILD 3 – ALLT MER KONTAKT MED REGISTER FÖR ATT KUNNA FÖLJA UPP MEDICINSK EFFEKT



Ambition att öka förmågan till hantering av komplex uppföljning

Den löpande snabba återkopplingen som det utvecklade arbetssättet förutsätter är inte ett ansvar som går att lägga på industrin och akademien. För att få en sammanhållen bild av läkemedelsanvändningen behöver det offentliga ofta följa upp användningen av flera läkemedel parallellt, det är inget ansvar TLV kan ålägga enskilda läkemedelsföretag. Att följa upp och utvärdera den egna verksamheten är inte forskning och därför inte akademins ansvar. Där har TLV sannolikt en potentiell roll att fylla, särskilt med beaktande av att sådan information är kritisk för att TLV ska kunna besluta om pris och subvention i enlighet med förmånslagstiftningen. Tillgång till data skapar i sig ökad kunskap i vad som bör följas upp och hur detta kan ske eller möjligheter att tidigt se brister i den uppföljning och värdering som är möjlig.

Uppföljning av begränsningar av förmånsbeslut har vanligtvis skett med viss eftersläpning, det kan röra sig om flera år. Genom uppföljning av beslut där sidoöverenskommelse utgör en del av beslutsunderlaget, ökar behovet av uppföljning löpande, varje månad. Detta ställer större krav på möjligheter att löpande hantera komplex data. Detta för att kunna följa upp användningen i relation till de risker eller osäkerheter som har identifierats. Snabb återkoppling gör det också möjligt att revidera de prisbeslut som har fattats eller så kan TLV i ett tidigt skede ålägga företagen att komma in med kompletterande studier när man märker att utvecklingen avviker från det förväntade.

Den här typen av kunskap och infrastruktur är ”kapital” som endast kan skapas i samverkan med nyckelaktörer som myndigheter, landsting, kvalitetsregister och läkemedelsindustrin. Utvecklad samverkan behöver ske mellan alla parter. Sjukvården måste bättre kunna förändra sina system för att generera ny data som kan användas för egen kvalitetsuppföljning och som i sin tur kan ligga till underlag för andra aktörer. Detta kan exempelvis ske via utvecklade kvalitetsregister och/eller via utvecklade patientadministrativa system. Delvis är detta kopplat till frågor som utretts av E-hälsokommittén samt den satsning som sker på kvalitetsregister.



För att kunna nå full potential i denna utveckling kommer det alltså att krävas en detaljerad och komplex uppföljning löpande. I nuläget har TLV begränsade möjligheter att hantera anonymiserad data från exempelvis Socialstyrelsens hälsodataregister. TLV har lyft fram behovet av regleringsförändringar till regeringen för att bättre kunna hantera data framöver.

Som framgår av ovan måste emellertid datakällorna utvecklas för att bättre svara upp mot de behov av nya data som föreligger. De nationella hälsoregistren på Socialstyrelsen är heltäckande men brister i detaljeringsgrad och innehåller sällan resultatmått. Kvalitetsregister har ofta resultatmått och går på djupet inom ett mycket smalt definierat område, men i flera fall är dessa inte heltäckande nationellt. För att kunna svara upp mot behoven att snabbt kunna följa upp ett nytt läkemedel behöver kvalitetsregistren snabbt kunna breddas och omfatta fler variabler, alternativt behöver de nationella hälsodataregistren på Socialstyrelsen kompletteras med ännu mer detaljerade data. Sannolikt behöver detta ske i en kombination.