

Socialdepartementet
103 33 Stockholm

Yttrande avseende SOU 2014:87 Läkemedel för djur, maskinell dos och sällsynta tillstånd – hantering och prissättning (S2014/9003/FS)

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) har tagit del av SOU 2014:87 *Läkemedel för djur, maskinell dos och sällsynta tillstånd - hantering och prissättning* och har följande synpunkter. Förslagen kommenteras under respektive kapitel i betänkandet.

Sammanfattning

Läkemedel för djur

TLV delar utredningens bedömning att det inte bör göras möjligt för öppenvårdsapotek att endast expediera läkemedel för djur eftersom specialisering visat sig möjligt inom ramen för dagens reglering av öppenvårdsapoteken. TLV instämmer vidare i utredningens bedömning att bestämmelserna om vilka grupper som inte får beviljas tillstånd att driva öppenvårdsapotek inte bör förändras och att det fortsatt bör vara fritt för öppenvårdsapoteken att avgöra var de vill etablera sig.

Maskinell dos

TLV delar utredningens bedömning att förmånssystemet fortsatt ska gälla för maskinellt dosdispenserade läkemedel, men att regelverket för utbyte bör anpassas. TLV förordar ett enkelt och transparent system som skapar en tydlighet mellan de parter som finns på marknaden. TLV avstyrker därför utredningens huvudförslag som medför en förhandlingsrätt för dosapoteken. TLV förordar istället en variant av utredningens alternativa förslag, 2 och 3, ett bättre anpassat regelverk för det generiska utbytet med hänsyn till dosapotekens särskilda förutsättningar.

Sällsynta tillstånd

TLV delar utredningens ambition att förbättra förutsättningarna för god och jämlik tillgång till effektiv läkemedelsbehandling även för patientgrupper med sällsynta tillstånd. Det är rimligt att det finns utrymme för att få avkastning på forskning även för läkemedel riktade mot små patientgrupper, vilket kan motivera en högre läkemedelskostnad per patient. TLV ställer sig bakom utredningens analys om riskerna med särlösningar för vissa läkemedel, främst områdets heterogenitet.

En central utgångspunkt är att läkemedel för sällsynta tillstånd lämpligast hanteras inom ramen för ordinarie förmånssystem. Därmed riskeras inte tröskeeffekter och undanträngningseffekter eller att olika (små) patientgrupper ställs mot varandra där det är svårt att utforma tydliga kriterier så att de blir långsiktigt hållbara med önskad effekt. TLV ser även att en särlösning kan ge företag, som har läkemedel som skulle kunna omfattas av ett särskilt förfarande, incitament att agera strategiskt och sätta så höga priser alternativt höja priserna så mycket att man omfattas av det särskilda förfarandet. TLV avstyrker därför utredningens förslag om att, genom en ny 15 a §, införa en särskild ordning för att subventionera vissa läkemedel som inte kan bli subventionerade enligt den vanliga proceduren via 15 § lagen (2002:16) om läkemedelsförmåner m.m.

TLV bedömer att utvecklingen av pris- och subventionssystemets tillämpning går i en riktning mot en mer dynamisk prissättning. Viktiga komponenter i detta är en mer träffsäker hantering av osäkerheter kring läkemedels effekter, och därmed läkemedels värde, förstärkt uppföljning och differentierad betalningsvilja. Denna utveckling bedöms skapa förutsättningar för att inom ramen för ordinarie förmånssystem lösa de utmaningar som uppkommer vid prissättning av de fåtal läkemedel som har en betydande effekt, är avsedda till små patientgrupper, men som trots en sjukdom med hög svårighetsgrad och avsaknad av andra behandlingsalternativ med tidigare tillämpning inte har bedömts uppfylla kriterierna för att ingå i läkemedelsförmånerna. TLV föreslår mot denna bakgrund att det pågående utvecklingsarbetet förstärks med särskilt fokus på sär läkemedel. En viktig förutsättning för att nå en tillräcklig omfattning på utvecklingsarbetet är att resurserna för uppföljning och återkoppling till vården och företagen förstärks.

1 Överväganden och förslag om handel med läkemedel för djur

I TLV:s uppdrag ingår att verka för god tillgänglighet till läkemedel och en väl fungerande apoteksmarknad. TLV delar utredningens bedömning att det inte finns behov som motiverar en särskild reglering som medger särskilda djurapotek eftersom specialisering redan visat sig möjlig inom ramen för nuvarande reglering av öppenvårdsapoteken. Särskilda djurapotek skulle kunna minska övriga apoteks intresse att tillhandahålla läkemedel för djur vilket skulle kunna försämra den geografiska tillgängligheten till dessa läkemedel.

TLV delar utredningens uppfattning att även om finansieringen av läkemedel för djur (både marknaderna för sällskapsdjur och produktions-/ lantbruksdjur) ser annorlunda ut än den för människor *inom* läkemedelsförmånerna bör kostnaderna vara rimliga och konsumenterna bör ha möjlighet att jämföra priser för att kunna göra informerade val om inköp i syfte att få till stånd en priskonkurrens. Läkemedel för djur och läkemedel för människor *utanför* läkemedelsförmånerna står inför liknande utmaningar. Det ställs krav på patient, konsument och förskrivare, vilket försvårar möjligheten att enkelt göra ett informerat val på grund av bristande kunskap om pris.

TLV har nyligen föreslagit¹ ett sätt för att möjliggöra samlad prisinformation om läkemedel från en oberoende webbplats. I rapporten *Receptbelagda läkemedel utanför förmånerna* föreslog TLV att en myndighet bör uppdras att skapa en oberoende webb för prisjämförelser av receptbelagda läkemedel på varunivå som möjliggör för patienter och förskrivare att på ett enkelt sätt jämföra priser på läkemedel på olika apotek. TLV har även beskrivit hur detta kan genomföras i praktiken. TLV föreslog vidare att det bör införas en skyldighet för apoteken att rapportera pris och lagerstatus till pristjänsten. TLV har även föreslagit att det ska beredas åtkomst från en sådan pristjänst till förskrivarsystemen.

TLV:s förslag omfattar samtliga receptbelagda läkemedel som har ett definierat försäljningspris på apotek med försäljning till allmänheten. I denna definition ingår receptbelagda läkemedel, både för människor och för djur. Cirka 90 procent av de godkända veterinärmedicinska läkemedlen är receptbelagda. Förbättrad prisinformation skulle bidra till bättre möjligheter för priskonkurrens. Patienter, konsumenter och förskrivare förväntas med en sådan satsning få ökad kunskap om prisvariation. Informations- och sökkostnader förväntas dessutom minska.

En förutsättning för uppföljning är bra försäljningsstatistik. Därför är utredningens förslag om att E-hälsomyndigheten bör få i uppdrag att dels förtydliga vilka uppgifter myndigheten i dagsläget kan tillhandahålla och dels uppdrag om kartläggning om viktiga statistikuppgifter som bör samlas in, angeläget.

¹ Slutrapport om receptbelagda läkemedel utanför läkemedelsförmånerna, 2015, Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. s. 87-109.

2 Överväganden och förslag om maskinell dosdispensering

TLV delar utredningens uppfattning att dagens modell för generiskt utbyte inte är anpassad för maskinell dosdispensering. Detta eftersom modellen bygger på att en specifik förpackning ska bytas ut mot en annan specifik förpackning som sedan lämnas ut till patient. Vid maskinell dosdispensering lämnas inga hela förpackningar ut och därmed passar inte modellens grundläggande utformning.

Ett byte från en produkt till en annan medför, när den ska dosdispenseras maskinellt, inställning och kalibrering av den utrustning dosapoteket nyttjar. Detta är en större omställning än att lagerhålla en annan produkt, vilket är fallet vid övriga öppenvårdsapotek.

Vid utlämnande från dosapotek får patienten i normalfallet läkemedel för två veckors användning medan utlämnande från övriga öppenvårdsapotek vanligen avser en längre tids användning, ofta tre månader. Detta gör att den patient som får sina läkemedel maskinellt dosdispenserade oftare kan få ett visst läkemedel utbytt. Dosapoteken behöver således uppfylla kravet på information och dialog om behandlingen och utbytet oftare än övriga öppenvårdsapotek.

Utredningens förslag avser maskinell dosdispensering men TLV vill påpeka rimligheten i att regler och andra krav på dosapoteken bör omfatta all dosdispensering, oavsett om den genomförs maskinellt eller manuellt. Det bör också noteras att dosapotekens försäljning av hela förpackningar även fortsatt ska omfattas av de regler för generiskt utbyte, som gäller för alla öppenvårdsapotek.

Utredningens förslag: En ny takprismodell (alternativ 1)

TLV förordar ett enkelt och transparent system som skapar en tydlighet mellan de parter som finns på marknaden. TLV:s bedömning är att utredningens förslag om en anpassad takprismodell, där dosapoteken ska få möjlighet att komma överens om lägre inköpspriser än de som TLV beslutat, inte befrämjar vare sig transparens eller lika konkurrensvillkor och därför inte kan tillstyrkas. Förhandlingsrätt på läkemedel med generisk konkurrens kan leda till minskade incitament för företagen att konkurrera med listpris och därigenom försvaga systemet med periodens vara. Den modell för generiskt utbyte som Sverige tillämpar idag pressar priserna effektivt. De svenska priserna på utbytbara läkemedel med generisk konkurrens är bland de lägsta i Europa. Utredningen anger även (s. 388) att ett syfte med översynen är att så långt möjligt skapa goda förutsättningar för både små och stora aktörer att verka på lika villkor. De mindre aktörerna på dosmarknaden kan med det här förslaget ha svårt att hävda sig i konkurrensen om att teckna avtal med läkemedelsföretag. TLV avstyrker därför utredningens huvudförslag.

Utredningens förslag: Två listor för periodens vara (alternativ 2)

Utredningens förslag om två listor för periodens vara kan införas utan att påverka förutsättningarna för ett transparent system, där flera olika företag kan verka på lika villkor. Förslaget tar vara på den transparenta konkurrens som finns mellan olika tillverkare på marknaden, vilken skapar en prispress som gagnar patient och samhälle. Förslaget kräver att TLV tar fram en ny lista för maskinellt dosdispenserade läkemedel och utövar tillsyn över att utbyte sker enligt regelverket.

Utredningen bedömer att TLV bör kunna komplettera begreppet tillgänglighet för maskinellt dosdispenserade läkemedel med krav på brytningstillstånd (s. 416). TLV delar utredningens

uppfattning om att brytningstillstånd bör vara ett av de krav som ställs på förpackningar som ska tas med på en doslista. Det förefaller rimligt att tro att det finns ytterligare krav beträffande läkemedel och förpackningars beskaffenhet som har betydelse för om de är kvalificerade för att vara tillgängliga på en doslista. Exempel på sådana krav kan vara dokumenterad stabilitet för att kunna hanteras i dosmaskiner samt viss förpackningstyp, som lämpar sig för överföring till och användning i dosmaskiner. Det måste även förtydligas vid vilken tidpunkt en förpackning ska uppfylla dessa krav för att kunna tas med på en lista för en viss period. Krav av den här typen förutsätter insatser från läkemedelsföretagen för att tillräckliga volymer av kvalificerade förpackningar ska kunna tillhandahållas. TLV kommer att behöva detaljera sådana krav närmare. Dessa förpackningar måste även kunna skiljas ut från övriga förpackningar på ett enkelt och sökbart sätt i Nationellt produktregister för läkemedel (NPL) och/eller Leverantörernas information i VARA (LiV).

En skillnad som bör övervägas mellan den lista över periodens varor som riktar sig till dosapotek jämfört med lista riktad mot övriga öppenvårdsapotek gäller förpackningsstorlekgrupper. När läkemedel lämnas ut i hela förpackningar till patient är det rimligt att prisjämförelser görs mellan hela förpackningar, med utgångspunkt från vad som är förordnat på receptet. Storleksgrupperingen har inte samma betydelse när innehållet packas om till dosförpackningar. I utredningens beräkningar av potentiell besparing med ett fungerande utbyte på dosapoteken har man också beaktat det lägsta priset per tablett, oavsett förpackningsstorlek (s. 330).

Utredningens förslag: Längre prisperioder för periodens vara (alternativ 3)

Alternativ 3 innebär att TLV får i uppdrag att genom ändrade föreskrifter införa förlängda försäljningsperioder för periodens vara för dosapoteken. Alternativet ska enligt utredningen enbart gälla för läkemedel med brytningstillstånd som är utbytbara mot periodens vara. Det avser alltså ett relativt begränsat segment av läkemedelssortimentet (s. 417).

Som utredningen beskriver är dagens regelverk för generiskt utbyte inte anpassat till de särskilda förutsättningar som gäller för dosdispensering. I dosverksamheten finns krav på ett läkemedels egenskaper i fråga om till exempel hållbarhet, vilket gör att alla generiskt utbytbara läkemedel inte kan användas. Byten av läkemedel i dosmaskiner medför vissa kostnader för dosapoteken, när maskiner ska kalibreras för nya tabletter och ju frekventare byten desto högre kostnader. Det kan inte sägas vara helt klarlagt hur stora dessa kostnader är och exakt vad som förorsakar dem samt om det alltid medför kostnader att göra ett utbyte i dosmaskinerna. Utredningen har inte redovisat någon närmare beskrivning av omfattningen av det merarbete ett utbyte medför eller hur till exempel kostnader för kalibrering skulle kunna tjänas in alternativt ersättas. En åtgärd som rimligen borde minska arbetet och kostnaderna för omställning av dosmaskinerna vid utbyten vore om försäljningsperiodernas längd för utbytbara läkemedel (periodens vara) förlängdes.

TLV har tidigare i remissvar (2013-02-22, dnr 3811/2012) över SOU 2012:75, pekat på svårigheterna att förena längre prisperioder för periodens vara med transparensdirektivet. Utredningen har samtidigt redovisat svårigheter med täta förändringar av periodens vara vid maskinell dosdispensering (s. 410). Utredningen föreslår (s. 413 och 417) som alternativ 3 att TLV ska få i uppdrag att genom ändrade föreskrifter införa längre försäljningsperioder för periodens vara för dos. Beträffande periodensvara-systemet som helhet är frågan, även bortsett från transparensdirektivet, mer komplex. Inom dos anser TLV dock att fördelarna med längre

perioder framstår tydligare. Trots de svårigheter kring transparensdirektivet som TLV redovisat tidigare är TLV därför berett att noga pröva om syftet med längre försäljningsperioder inom dos skulle kunna tillgodoses inom ramen för gällande EU-rätt.

Vid utlämnande från dosapotek får patienten i normalfallet läkemedel för två veckors användning medan utlämnande från övriga öppenvårdsapotek ofta avser en längre tidsanvändning, vanligen tre månader. Detta gör att den patient som får sina läkemedel dosdispenserade oftare kan få sina läkemedel utbytta. Dosapoteken behöver således uppfylla kravet på information och dialog om behandlingen och utbytet oftare än övriga öppenvårdsapotek. Förlängda försäljningsperioder för dosapoteken skulle därmed också kunna skapa en situation som mer liknar den för patienter i öppenvård, som får sina läkemedel i originalförpackningar.

När det gäller att närmare bestämma vilken längd en försäljningsperiod bör ha måste även en ökad risk för uppkomst av bristsituationer beaktas. Införande av längre försäljningsperioder förutsätter ett samtidigt införande av en särskild lista över periodens varor för dosapoteken, som beskrivits ovan.

Tillsyn

Utredningen skriver att förslaget om takpris och förhandlingsrätt för dosapoteken inte kräver någon tillsyn av utbytet av TLV, men att tillsyn av att rätt priser tas ut givetvis måste ske (s. 416). Förslaget om en separat periodens vara-lista för maskinellt dosdispenserade läkemedel kräver däremot att TLV utövar tillsyn över att utbyte sker enligt den nya listan (s. 417). Oavsett modell för utbyte vill TLV här särskilt framhålla vikten av att myndigheten har tillgång till rätt uppgifter för att utbytet ska kunna följas upp. Idag särredovisas inte den andel av dosapotekens försäljning som avser dosdispenserade läkemedel från den andel som lämnas ut i hela förpackningar från dosapoteken. En sådan särredovisning är en förutsättning för att TLV ska kunna utöva adekvat tillsyn, som således dels skulle omfatta tillsyn av dosdispenserade läkemedel enligt ett eventuellt nytt regelverk, dels tillsyn av försäljningen av hela förpackningar enligt nu gällande regler.

Apotekens handelsmarginal

TLV instämmer i att dagens utformning av handelsmarginalen för dosdispenserade läkemedel kan te sig ologisk (s. 409) då den beräknas utifrån antalet använda ursprungsförpackningar, trots att försäljning sker av ompackade läkemedel från brutna förpackningar. Det kan finnas anledning för TLV att framöver särskilt se över förutsättningarna för dosapoteken.

Utformningen av en särskild handelsmarginal för läkemedel som dosdispenserar kan vara beroende av vilken lösning man väljer för generiskt utbyte av dosdispenserade läkemedel, varför detta bör beslutas först.

Information och rådgivning till patienter

Läkemedelsgenomgångar kan vara ett bra verktyg för en ändamålsenlig läkemedelsanvändning. TLV anser dock inte att utredningen på ett uttömmande sätt beskrivit hur dospatienters behov av rådgivning och information om sina läkemedel, inklusive generiskt utbyte, skulle uppnås med ett krav på att en läkemedelsgenomgång alltid ska göras i samband med att patienten får sina läkemedel (s. 405).

Apotekens informationsansvar i samband med varje läkemedelsexpedition kan rimligen inte upphöra, även om krav på läkemedelsgenomgångar införs. Expedierande farmaceuts ansvar att

genom individuellt anpassad information förvissa sig om att patienten kan använda läkemedlet på rätt sätt uppfylls, enligt beskrivning av utredningen (s. 404), genom att dosaktörerna har telefonkundtjänster dit patienter och andra på eget initiativ kan höra av sig vid frågor. Det finns ingen beskrivning alls av hur patienten får information om generiskt utbyte och möjligheten att motsätta sig detta.

Utveckling av tekniskt stöd

Oavsett vilka förändringar som kan komma att genomföras med anledning av utredningens förslag rörande dosdispenserade läkemedel, föreligger behov av teknisk utveckling av befintliga IT-stöd. Behov finns redan idag, men blir större vid eventuella förändringar av krav på verksamheter och myndigheter. Detta måste tas i beaktande när tidpunkt för ikraftträdande av eventuella nya regler ska bestämmas.

Det finns läkemedelsförpackningar som inte kan säljas direkt till patient utan enbart får användas för dosdispensering eller hanteras av personal inom hälso- och sjukvården. Anledningen är att de saknar fullständig märkning, till exempel kan bipacksedel saknas. Problemet uppstår då dessa läkemedel når de "vanliga" öppenvårdsapoteken. NPL/Liiv behöver därför kompletteras med sökbara uppgifter om vilka läkemedel som enbart är avsedda för dosdispensering, så att det blir möjligt att sälla bort dessa förpackningar från den vanliga listan över periodens varor. Uppgifter i fritext om att läkemedlet är avsett att dosdispenseras är, som utredningen skriver, inte tillräckligt för att TLV ska kunna sortera bort dessa läkemedel från det vanliga periodens vara-systemet (s. 410). Denna åtgärd är mycket angelägen att vidta, även om inga andra ändringar görs beträffande regler eller teknisk utveckling, med anledning av föreliggande förslag.

Med utgångspunkt från ovanstående skrivningar om krav som kan ställas på läkemedel och förpackningar som ska kunna bli föremål för placering på en särskild periodens vara-lista för dosdispensering, anser TLV att det är nödvändigt att utöka läkemedelsföretagens möjlighet att informera om sina varors egenskaper i befintliga register. För att TLV effektivt ska kunna iordningställa och administrera två olika listor över periodens varor krävs att läkemedelsföretagen i NPL och/eller Liiv kan "tagga" de förpackningar som ska tas med på den särskilda doslistan.

Som angivits ovan är det även viktigt att det blir tekniskt möjligt för E-hälsomyndigheten att ta emot uppgifter från dosapoteken angående vilka förpackningar som dosdispenserats respektive vilka som lämnas ut i hela förpackningar.

Sammanfattning av TLV:s förslag

TLV avstyrker utredningens förslag 1 och förordar en alternativ modell för dosdispenserade läkemedel, som har sin grund i utredningens förslag 2 och 3. TLV:s förslag är en särskild lista över periodens varor avsedda för dosdispensering av läkemedel. Dosapoteken säljer både dosdispenserade läkemedel och hela förpackningar av läkemedel, vilket medför att de kommer att behöva följa två olika regelverk för generiskt utbyte.

Förutsättningar som behöver vara uppfyllda för att en särskild doslista ska fungera:

- Läkemedel måste uppfylla vissa krav för att vara kvalificerade för en doslista (till exempel måste förpackningen ha brytningstillstånd).
- Längre försäljningsperioder för läkemedel på doslistan.

- Teknisk utveckling; särredovisning av försäljningen av hela förpackningar från försäljningen av läkemedel som har dosdispenserats, möjlighet för läkemedelsföretag att i register "tagga" förpackningar som uppfyller kraven för att finnas med på doslistan respektive förpackningar som enbart kan användas i dosdispensering.
- Det måste säkerställas att patienter som får dosdispenserade läkemedel får information om användning och generiskt utbyte.

Det kan även finnas anledning för TLV att framöver särskilt se över de ekonomiska förutsättningarna för dosapoteken.

3 Överväganden och förslag om sär läkemedel

Bakgrunden till utredningens uppdrag om läkemedel vid sällsynta tillstånd (nedan kallat sär läkemedel) är att man med den tidigare tillämpningen av 15 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. inte inkluderat läkemedel med mycket höga kostnader/kvalitetsjusterat levnadsår i förmånssystemet. Som utredningen konstaterar kan de flesta sär läkemedel hanteras inom förmånssystemet på samma sätt som övriga läkemedel. Det finns dock ett fåtal läkemedel med betydande effekt, till små patientgrupper, som trots en sjukdom med hög svårighetsgrad och avsaknad av andra behandlingsalternativ inte har bedömts uppfylla kriterierna för att ingå i läkemedelsförmånerna. Även om patienterna inte blir utan behandling i dessa fall faller kostnaden för dessa läkemedel direkt på landstingen, vilket riskerar leda till ojämlig vård. I dagens system är prismodellen otydlig och det saknas även bra förutsättningar för att föra prisdiskussioner med företagen.

TLV delar utredningens bedömning att sär läkemedel så långt det är möjligt bör hanteras på samma sätt som övriga läkemedel och att sär lösningar riskerar skapa en gränsdragningsproblematik som är komplicerad att hantera. Sär lösningar riskerar medföra stuprörs- och tröskelproblem som kan förvärra den bristande jämlikheten i vården, leda till försenad introduktion av nya läkemedel och nya avgränsningsproblem. Skapas sär lösningar för en patient- eller läkemedelsgrupp kan nya sär lösningar komma att krävas för andra grupper. Kriterierna för TLV:s beslut om pris och subvention ger ett visst tolkningsutrymme, vilket gör det möjligt med en dynamisk tillämpning för att möta framtida läkemedelsutveckling (jfr. prop. 2001/02:63 s. 47). En statisk tillämpning av kriterier och definitioner skulle däremot kunna leda till ojämligheter och undanträngningseffekter. Nedan utvecklar vi varför vi bedömer att det är olyckligt att skapa en särskild reglering för sär läkemedel.

Även om inget definitivt antal patienter presenteras i utredningen diskuteras om definitionen av ett "ultra orphan" läkemedel, vilket skulle omfatta ungefär 200 patienter i Sverige, skulle kunna vara ett alternativt kriterium för en sär lösning. Enligt utredningen fanns år 2013 totalt 53 sär läkemedel på den svenska marknaden. De flesta sär läkemedel fanns för patientgruppen 1000-5000 patienter (25 sär läkemedel). Endast två sär läkemedel fanns för patientgrupper med mindre än 20 patienter. Vidare fanns två sär läkemedel för gruppen 20-50 patienter och fem sär läkemedel för gruppen 50-100 patienter.

Att definiera patientgruppens storlek ger en gränsdragningsproblematik som kan vara svår att motivera. Patientgrupper som är marginellt större än den maximala riskerar att exkluderas från tillgång till behandling. Varför ska en patientgrupp om 200 personer ges behandling, men inte en grupp om 210 personer? Därmed kan en sär lösning leda till en situation där det kvarstår patientgrupper som står utan behandling eftersom dessa läkemedel inte kan omfattas av en sär lösning. Detta riskerar att leda till krav på att skapa ytterligare sär lösningar för specifika grupper.

Många läkemedel med sär läkemedelsstatus ingår redan idag i förmånssystemet med befintligt regelverk, till exempel Iclusig, Lynparza och Cometriq. Det finns också exempel på läkemedel i förmånssystemet som inte har en sär läkemedelsstatus men som är avsedda till små

patientgrupper. Ett exempel som nyligen inkluderades i förmånerna är Metopirone som används vid Cushings syndrom. Det visar att patientgruppens storlek i sig inte behöver vara avgörande för prissättningen.

Det är rimligt att det finns utrymme för att få avkastning på forskning även för läkemedel riktade mot små patientgrupper, vilket kan motivera en högre läkemedelskostnad per patient. Däremot kan en särlösning ge företagen incitament att agera strategiskt. Företag med produkter som uppfyller kraven att omfattas av särlösningen får incitament att agera så att priset bestäms inom ramen för särskilt förfarande. Det innebär att läkemedel som utan särlösning skulle ha omfattats av förmånen istället kan komma att hanteras genom särskilt förfarande med högre priser som följd. TLV bedömer sålunda att en särlösning kan ge företag, som har läkemedel som skulle kunna omfattas av ett särskilt förfarande, incitament att sätta så höga priser att det inte blir aktuellt att inkludera läkemedlen i förmånerna den vanliga vägen. Det skapas också incitament för företag med sär läkemedel som redan har ett acceptabelt pris, och därför ingår i förmånerna, att höja priserna när det införs en separat reglering som tillåter högre priser.

Förutom att särlösningen ger företagen drivkrafter att anpassa sin prissättning uppåt, så skapas också drivkrafter att se till så att produkten uppfyller villkoren för att hanteras enligt de särskilda reglerna. Ett sätt som kan användas är att dela upp läkemedlets användningsområde i många smala indikationer så att vissa av dessa uppfyller villkoren. Då kan läkemedel som inte är avsedda att omfattas av särlösningen ändå komma att omfattas av den. Det här är ett beteende som en särlösning i ett enskilt land sannolikt inte påverkar i särskilt stor utsträckning, men ju fler länder som inför särlösningar desto starkare incitament ges företagen att agera så.

Det är också ett välkänt fenomen från andra branscher att företagen ändrar sitt beteende för att utnyttja reglering till sin fördel, något som är uppmärksammat i ekonomisk forskning. Fenomenet har på senare år fått stor uppmärksamhet inom finansbranschen. En uppenbar slutsats är att staten måste, när regleringar utformas, ta hänsyn till det strategiska beteende som företagen ges incitament till när regleringen väl är på plats. Gör man inte det riskerar regleringen leda till effekter tvärt emot intentionerna. En önskad effekt av den av utredningen föreslagna särlösningen kan alltså bli att hälso- och sjukvården totalt sett skapar mindre hälsa för resurserna som finns tillgängliga, på grund av att priserna på läkemedel för sällsynta tillstånd drivs upp.

De skäl som utredningen själv har anfört mot särlösningar för vissa läkemedel till exempel områdets heterogenitet, bedömer TLV talar mot att skapa särskilda lagrum för dessa läkemedel. Heterogeniteten gör det svårt att ta fram riktlinjer och kriterier som är heltäckande och långsiktigt hållbara, utan att behovet av nya särlösningar uppkommer. Enligt TLV:s bedömning skulle det ta längre tid än till juli 2016 att definiera alla kriterier som krävs för att hantera en ny särlösning.

TLV delar utredningens bedömning att sär läkemedel bör hanteras på nationell nivå för att uppnå en jämlik vård över landet. Idag är det ett problem att om TLV inte anser att ett läkemedel kan inkluderas i förmånerna blir det landstingen som övertar ansvaret för att patienten får läkemedel finansierade av det offentliga. Bedömningarna av vilka läkemedel som ska ges till patienterna

kostnadsfritt kan då variera mellan landstingen vilket i praktiken medför risk för en ojämlik vård över landet.

Enligt utredningens förslag bör en förutsättning för att läkemedel ska kunna omfattas av den särskilda regleringen vara att det finns en vårdplan eller program för den aktuella patientgruppen, där det ingår uppföljning och utvärdering av behandlingen. Ett alternativ skulle istället vara att samordna och inkludera detta i processen för ordnat införande eller fastställa krav på vårdplaner eller vårdprogram i samband med en uppföljning. Enligt utredningen villkoras alltid godkännandet för säräkemedel av EMA med krav på uppföljning och en utvärdering görs av läkemedlet efter 5 år för att bedöma om kriterierna fortfarande är uppfyllda för att klassificeras som ett säräkemedel. Tidpunkten och delar av det material som lämnas till de regulatoriska myndigheterna för uppföljning skulle även kunna användas hos TLV.

Mot denna bakgrund avstyrker TLV utredningens förslag om att införa en särskild ordning för att subventionera vissa läkemedel som inte kan bli subventionerade enligt den vanliga proceduren enligt 15 § lagen (2002:16) om läkemedelsförmåner m.m.

TLV:s bedömning

TLV har regeringens uppdrag att vidareutveckla den värdebaserade prissättningen på läkemedel. Syftet är att åstadkomma en mer dynamisk prissättning, och en mer kostnadseffektiv användning under ett läkemedels hela livscykel. Utvecklingen ska säkerställa en prissättning som dels stimulerar tidig och jämlik tillgång och användning av nya läkemedel, dels förmår skapa prisdynamik så att inte onödigt höga priser betalas.

TLV gör bedömningen att även läkemedel med en betydande effekt avsedda för sällsynta sjukdomar med en hög svårighetsgrad och utan behandlingsalternativ i många fall borde kunna rymmas inom nuvarande lagstiftning och inkluderas i det utvecklingsarbete som nu genomförs inom ramen för utvecklad värdebaserad prissättning.

Denna utveckling bedöms med tiden att kunna leda till en mer differentierad betalningsvilja, vilket också kan göra det möjligt att under vissa förutsättningar subventionera vissa dyrare läkemedel. Parallellt med att en högre betalningsvilja skulle kunna accepteras för vissa svåra tillstånd ser TLV även en lägre betalningsvilja för lindrigare tillstånd med en låg angelägenhetsgrad som en möjlig utveckling. TLV initierade 2013 en översyn av den etiska plattformen. Syftet med ändringarna är att säkerställa att beslut och beslutsunderlag inte riskerar att komma i konflikt med den etiska plattformen för prioriteringsbeslut i hälso- och sjukvården.

Landstingen genomför i dag ett omfattande arbete för att åstadkomma en tydligare nationell samordning. Vid årsskiftet trädde en ny landstingsgemensam samverkansmodell i kraft. NLT-gruppen ombildades till det så kallade NT-rådet och flera gemensamma funktioner för förhandling, införande, bevakning och uppföljning av läkemedel inrättades inom ramen för ordnat införande. TLV och SKL har löpande dialog kring detta i syfte att säkerställa att nya läkemedel så snabbt som möjligt kan nå patienterna. Genom att utveckla detta samarbete gör

TLV bedömningen att man på nationell nivå kommer att åstadkomma en mer jämlik vård även för sär läkemedel.

TLV har tidigare bedömt att sär läkemedlet Cerezyme, för behandling av Gauchers sjukdom, på grund av sitt höga pris inte kunde anses vara kostnadseffektivt och därför inte kunde kvarstå i läkemedelsförmånerna. TLV:s beslut överklagades och Kammarrätten i Stockholm upphävde TLV:s beslut. Kammarrättens motivering var att läkemedlet visserligen hade ett mycket högt pris och inte kunde anses vara kostnadseffektivt till vilken pris som helst, men eftersom det saknades behandlingsalternativ inom förmånerna borde TLV, om det inte bedömdes kostnadseffektivt, ha prissänkt läkemedlet istället för att utesluta det.

Av detta följer att TLV behöver identifiera ett acceptabelt pris som ligger högre än den nivå som TLV tidigare bedömt vara den högsta acceptabla betalningsviljan, men lägre än nuvarande Cerezyme-nivå. Kammarrättens dom har föranlett att TLV nu ser över och utvecklar hanteringen av läkemedel i förmånerna som har exceptionellt höga priser. Kammarrättens avgörande i Cerezyme-målet innebär ytterligare en anledning för TLV att utveckla den värdebaserade prissättningen och en differentierad betalningsvilja inom befintlig lagstiftning.

Sammanfattning och TLV:s förslag

En central utgångspunkt är att sär läkemedel lämpligast hanteras inom ramen för ordinarie förmånssystem. Därmed riskeras inte tröskeeffekter och undanträngningseffekter eller att olika (små) patientgrupper ställs mot varandra där det är svårt att utforma tydliga kriterier så att de blir långsiktigt hållbara med önskad effekt. TLV ser även att en sär lösning kan ge företag som har läkemedel, som skulle kunna omfattas av ett särskilt förfarande, incitament att agera strategiskt och sätta så höga priser alternativt höja priserna så mycket att man omfattas av det särskilda förfarandet.

Vidare anser TLV att differentierad betalningsvilja är ett alternativ som ryms inom dagens lagstiftning. En differentierad betalningsvilja skulle även ge en bättre möjlighet att kontrollera för eventuella undanträngningseffekter. En förutsättning för detta är dock att den värdebaserade prissättningen fortsätter att utvecklas och att ett läkemedels subvention omprövas om nya indikationer/patientgrupper tillkommer vilket troligen även ger en ökad försäljningsvolym, varför priset borde kunna sänkas. Ett exempel på detta är introduktionen av de nya direktverkande antivirala hepatit C-läkemedlen, där budgetpåverkan på hälso- och sjukvården hade varit oacceptabelt stor om de fått en generell subvention. Det höga priset och den stora patientgruppen gjorde att användandet av de första läkemedlen begränsades till de svårast sjuka baserat på behovs- och solidaritetsprincipen för att undvika oacceptabla undanträngningseffekter i vården, det vill säga att mindre svårt sjuka patienter tränger undan vård för patienter med större behov, både inom gruppen hepatit C och inom andra sjukdomsområden. Efter nya trepartsöverläggningar där riskdelning mellan läkemedelsföretag och landsting specificerats ytterligare och därmed reducerar risken för undanträngningseffekter kunde TLV i juni 2015 subventionera alla läkemedel och utöka begränsningarna till att även omfatta patienter med en måttlig svårighetsgrad på sin sjukdom.

Domstolsprövningen av säräkemedlet Cerezyme ställer nya krav på TLV att definiera en acceptabel kostnadsnivå som ligger högre än tidigare betalningsvilja. Det betyder att TLV som regel inte kan använda uteslutning från förmånerna av ett alltför kostsamt säräkemedel med god effekt och där behandlingsalternativ för ett allvarligt tillstånd saknas. I stället väntas TLV differentiera betalningsviljan och säkerställa i övrigt att kostnaden för att använda läkemedlet är rimlig.

TLV bedömer sammanfattningsvis att utvecklingen av pris- och subventionssystemets tillämpning går i en riktning mot en mer dynamisk prissättning. Viktiga komponenter i detta är en mer träffsäker hantering av osäkerheter kring läkemedels effekter, och därmed läkemedels värde, förstärkt uppföljning och differentierad betalningsvilja. Denna utveckling bedöms skapa förutsättningar för att inom ramen för ordinarie förmånssystem lösa de utmaningar som uppkommer vid prissättning av de fåtal läkemedel som har en betydande effekt, är avsedda till små patientgrupper, men som trots en sjukdom med hög svårighetsgrad och avsaknad av andra behandlingsalternativ med tidigare tillämpning inte har bedömts uppfylla kriterierna för att ingå i läkemedelsförmånerna.

Dessa nya förutsättningar, i kombination med de risker för tröskel- och undanträngningseffekter som den av utredningen föreslagna särlösningen medför, gör att TLV föreslår att det pågående utvecklingsarbetet förstärks med särskilt fokus på säräkemedel. En viktig förutsättning för att nå en tillräcklig omfattning på utvecklingsarbetet är att resurserna för uppföljning och återkoppling till vården och företagen förstärks.

Beslut om detta yttrande har beslutats av generaldirektören Sofia Wallström. Föredragande har varit medicinska utredaren Laila Straubergs, utredaren Camilla Ledin och analytikern Gunilla Rönnholm. I den slutliga handläggningen har seniorekonomen Pontus Johansson, juristen Ulrika Ternby, seniore medicinske rådgivaren Rune Dahlqvist, juristen Marianne Aufrecht-Gustafsson, chefsekonomen Douglas Lundin, chefsjuristen Leif Lundquist samt avdelningschefen Fredrik Andersson och enhetschefen Inger Erlandsson deltagit.

Sofia Wallström

Laila Straubergs