

Att genomföra hälsoekonomiska bedömningar under särskilda omständigheter

Om TLV:s hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som används vid covid-19 samt vid andra särskilda omständigheter

Citera gärna Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets rapporter, men glöm inte att uppge källa: Rapportens namn, år och Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket.

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, januari 2023

Kontaktperson: Johanna Ringkvist

Diarienummer: 0920/2022

Postadress: Box 22520, 104 22 Stockholm

Besöksadress: Fleminggatan 14, Stockholm

Telefon: 08 568 420 50

www.tlv.se

Förord

I mars 2022 fick TLV i uppdrag av regeringen att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som används vid covid-19. I uppdraget har även ingått att skapa en process för att kunna genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter, till exempel vid spridning av samhällsfarliga sjukdomar, pandemier eller andra krissituationer.

I den här rapporten redovisas de hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel för användning av covid-19 som TLV har genomfört. I arbetet med dessa har flera av de utmaningar som ofta finns vid hälsoekonomiska utvärderingar av nya läkemedel, som till exempel osäkerheter kring om den studerade effekten kan uppnås i klinisk vardag, ställts på sin spets givet hur sjukdomen covid-19 ständigt har förändrats.

Lärdomar från de hälsoekonomiska utvärderingar som TLV har genomfört av läkemedel som används vid covid-19 har beaktats i framtagandet av den nya processen. Detta för att TLV även i framtiden på bästa sätt ska kunna stötta aktörer med ansvar för prioritering och inköp av viktiga läkemedel under framtida särskilda omständigheter.

Arbetet med uppdraget har visat på vikten av en god och tydlig samverkan mellan aktörer som på olika sätt kan vara i behov av eller bidra till de hälsoekonomiska utvärderingarna, som till exempel regioner, Rådet för nya terapier (NT-rådet), läkemedelsföretag, kliniska experter och andra myndigheter. TLV ser fram emot att fortsätta denna samverkan - både under särskilda och ordinära omständigheter.



Agneta Karlsson
Generaldirektör, TLV

31 januari, 2023

Innehåll

Förord	3
Innehåll	4
Sammanfattning	6
Termer och begrepp	8
1 Bakgrund och tillvägagångsätt	9
1.1 Regeringens uppdrag till TLV	9
1.2 Läkemedel som används vid covid-19 har delvis hanterats utanför ordinarie inköpsprocesser	9
1.3 TLV:s målsättning med uppdraget	10
1.4 TLV:s tolkningar och utgångspunkter för uppdraget	10
1.5 Erfarenheter från hälsoekonomiska bedömningar som grund för en framtida process	11
1.5.1 Dialog har skett med andra aktörer	11
1.6 Rapportens disposition	12
2 Olika metoder för hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel	13
2.1 TLV:s hälsoekonomiska bedömningar syftar till att bedöma kostnadseffektivitet	13
2.1.1 För att bedöma kostnadseffektivitet behövs information om relativ effekt	14
2.1.2 Att värdera osäkerheter är en central del av hälsoekonomiska utvärderingar	14
3 TLV har genomfört hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel vid covid- 19	16
3.1 Genomförda hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel vid covid-19	16
3.2 Lärdomar från avslutade hälsoekonomiska bedömningar tas med till process för framtida utvärderingar under särskilda omständigheter	19
3.2.1 Snabbt föränderligt område försvårar hälsoekonomiska bedömningar	19
3.2.2 Förutsättningar finns att väga in andra tillgängliga data än det underlag som läkemedelsföretagen har tillhandahållit	21
3.2.3 Att företagen bidrar till de hälsoekonomiska bedömningarna möjliggör en effektiv process och en robust utvärdering	22
3.2.4 Viktigt med tydlighet kring processen och den hälsoekonomiska bedömningen	22
3.3 Liknande lärdomar från HTA-myndigheter i andra länder	23
4 Förutsättningar för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid vid särskilda omständigheter	25
4.1 Stöd för att kunna hantera utvärderingar på ett annat sätt än enligt ordinarie processer	26

4.1.1	Det behöver finnas en tydlighet kring när en utvärdering på kort tid kan aktualiseras och vem som avgör det.....	26
4.2	Den hälsoekonomiska bedömningen behöver anpassas efter tid och tillgång till underlag.....	27
4.2.1	Tillgång till data och underlag styr förutsättningarna för utvärdering	28
4.2.2	Det finns en avvägning mellan skyndsamhet och kvalitet	29
4.2.3	Tidig dialog och tydlighet kring samverkan med inblandande aktörer är avgörande för en effektiv och skyndsam process	29
4.3	Sekretessbestämmelser behöver anpassas	30
5	Process för hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter	34
6	Avslutande reflektioner.....	38
	Referenser	40
	Appendix	41
	Hur TLV kan anpassa den hälsoekonomiska bedömningen efter tillgänglig tid och tillgång till evidens.....	41

Sammanfattning

TLV har fått i uppdrag av regeringen att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som används vid covid-19, samt att skapa en process för att kunna genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter, till exempel en ny pandemi. TLV ser positivt på att hälsoekonomiska bedömningar utförs av myndigheten och utgör en del av ett beslutsunderlag inför prioritering och inköp av viktiga läkemedel även vid särskilda omständigheter.

Rådet för nya terapier (NT-rådet), och Socialstyrelsen har valt ut vilka av de läkemedel som används vid covid-19 som TLV ska utvärdera. TLV har genomfört hälsoekonomiska bedömningar av fyra olika läkemedel. Ett av dessa läkemedel har TLV därefter även utvärderat inom ramen för en förmånsansökan och tagit beslut om att läkemedlet ska subventioneras. Utöver detta har NT-rådet valt ut ytterligare ett läkemedel samt en ytterligare användning för ett läkemedel där det senare framkommit att läkemedlen inte haft effekt för nuvarande tillgängliga virusvarianter, varför behovet av utvärdering har upphört. De genomförda hälsoekonomiska bedömningarna finns publicerade i sin helhet på TLV:s webbplats.

I arbetet med att ta fram en process för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter, har TLV utgått från erfarenheter och lärdomar från arbetet med de hälsoekonomiska bedömningarna som myndigheten gjort av läkemedel som används vid covid-19 och de omständigheter som påverkat dessa. Några av lärdomarna är:

- Det snabba och föränderliga landskap som covid-19 har varit och fortfarande är innebär utmaningar vid utvärderingar och bidrar till stora osäkerheter i de hälsoekonomiska bedömningarna.
- Det är möjligt att basera hälsoekonomiska bedömningar på annat tillgängligt underlag än det som läkemedelsföretagen tillhandahåller.
- Det är samtidigt en fördel om företagen kan bidra med underlag och komma in med det skyndsamt för att skapa goda förutsättningar för en effektiv process och en robust utvärdering.
- Givet de utmaningar som har funnits med att genomföra utvärderingarna av läkemedel som används vid covid-19, ser TLV att det i framtida liknande situationer finns ett större behov av att stämma av förutsättningar och förväntningar med inblandade aktörer, jämfört med TLV:s ordinarie process för hälsoekonomiska bedömningar av kliniskläkemedel.

En process för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter behöver i högre grad kunna anpassas efter den rådande situationen, jämfört med myndighetens ordinarie process för hälsoekonomiska bedömningar av kliniskläkemedel. Samtidigt är det viktigt att TLV även under

särskilda omständigheter kan säkerställa en tydlighet kring processen för samtliga inblandade aktörer.

TLV anser att det bör vara regeringen som i det enskilda fallet avgör när det råder en särskild omständighet och därmed i vilka situationer den särskilda processen som TLV beskriver i denna rapport ska tillämpas. Ett sådant ställningstagande kan lämpligen ske i form av ett regeringsuppdrag till TLV. Det finns också skäl att i myndighetens instruktion ange att hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter är en arbetsuppgift som myndigheten har fortlöpande och kan behöva förbereda sig för, förslagsvis genom följande tillägg i 2 § förordning (2007:1206) med instruktion för Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket:

[Myndigheten ska] på regeringens uppdrag utföra särskilt brådskande hälsoekonomiska bedömningar i fråga om läkemedel som inte ingår i läkemedelsförmånerna vid spridning av samhällsfarliga sjukdomar, pandemier eller andra situationer där det förekommer särskilda omständigheter.

Regleringen föreslås mot bakgrund av att en hälsoekonomisk bedömning som ska göras på kort tid och därmed snabbare än andra i övrigt likvärdiga utvärderingar innebär en särbehandling.

Den process som TLV har tagit fram avser inte utvärderingar av läkemedel som är föremål för en förmånsansökan. På samma sätt som TLV:s nuvarande instruktion förutsätter även lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (förmånslagen) att alla läkemedel som utvärderas i princip ska behandlas på samma sätt. Oavsett vilka förhållanden som ligger till grund för en ansökan om att ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna eller om ansökan görs under särskilda omständigheter saknas det således förutsättningar att göra undantag från de kriterier som i enlighet med 15 § förmånslagen måste vara uppfyllda för att TLV ska kunna fatta beslut om att läkemedlet ska ingå i förmånerna. TLV har tidigare påtalat betydelsen av författningsändringar i detta avseende¹.

Syftet med TLV:s hälsoekonomiska bedömningar är att bidra till kunskap om läkemedlets kostnadseffektivitet. Bedömningarna ska ge mottagaren ett bättre underlag vid upphandling av läkemedlet och bidra till bättre utnyttjande av befintliga och begränsade resurser. För att tillgodose syftet och för att mottagaren ska kunna tillämpa bedömningarna på ett fullgott sätt, bedömer TLV att kunskapsunderlagen även när det gäller brådskande hälsoekonomiska bedömningar vid särskilda omständigheter behöver innehålla resonemang och antaganden om olika scenarier, vilket delvis innehåller sekretessbelagda uppgifter. TLV föreslår därför en författningsreglerad överföring av sekretess.

¹ Se Uppdrag att stärka tillgången till äldre antibiotika – regeringsuppdrag (dnr 2746/2021), Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, 2022.

Termer och begrepp

Aktör– används i rapporten som ett begrepp för organisationer (till exempel myndigheter eller regioner) eller individer (till exempel kliniska experter) som TLV samverkar med och som kan beröras av eller bidra till de hälsoekonomiska bedömningarna.

Hälsoekonomisk bedömning – *se hälsoekonomisk utvärdering.*

Hälsoekonomisk utvärdering – hälsoekonomisk utvärdering är ett verktyg för att bedöma kostnader och hälsoeffekter i samband med resursanvändning inom hälso- och sjukvården. Kan även benämnas *hälsoekonomisk bedömning.*

HTA (*Health Technology Assessment*) – engelskt begrepp för utvärdering av medicinska metoder eller produkter. Kan omfatta en fullständig hälsoekonomisk utvärdering, eller delar av en sådan.

Klinikläkemedel – läkemedel som upphandlas av regionerna och ges till patienten på sjukhus eller annan hälso- och sjukvårdsinrättning.

Kostnad per vunnet QALY – ett mått som ställer skillnaden i kostnad mellan två behandlingsalternativ i relation till skillnaden i hälsa (mätt i termer av kvalitetsjusterade levnadsår, QALY). En engelsk förkortning för detta mått är *ICER, incremental cost effectiveness ratio.*

Kvalitetsjusterade levnadsår (Quality Adjusted Life Year, QALY) – ett mått på hälsa som fångar både livslängd och hälsorelaterad livskvalitet.

Känslighetsanalys – analyser som utförs i syfte för att se hur olika parametrar, eller ändrade scenarier, påverkar resultatet i en hälsoekonomisk beräkning.

Läkemedelsförmåner – ett läkemedel som ingår i läkemedelsförmånerna är subventionerat och ingår i högkostnadsskyddet, vilket begränsar hur mycket en patient behöver betala för sina läkemedel.

NT-rådet (Rådet för nya terapier) – en expertgrupp med representanter för Sveriges regioner. NT-rådet väljer ut vilka klinikläkemedel som TLV ska utvärdera och har mandat att ge rekommendationer till landets regioner om användning av vissa nya läkemedel.

1 Bakgrund och tillvägagångsätt

1.1 Regeringens uppdrag till TLV

Regeringen har gett Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) i uppdrag (S2022/01663) att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som används vid covid-19. Valet av läkemedel för de hälsoekonomiska utvärderingarna ska utgå från bedömningar från aktörer som ska fatta beslut om försörjningen av läkemedlen, exempelvis Socialstyrelsen eller regionerna.

De hälsoekonomiska bedömningarna bör så långt som möjligt utgå från det underlag som läkemedelsföretagen tillhandahåller, antingen direkt eller via upphandlande aktör. I uppdraget ingår dessutom att se över förutsättningarna för att även väga in andra tillgängliga data som kan användas för att bedöma läkemedlets kostnadseffektivitet utifrån det pris som företaget har föreslagit.

I uppdraget ingår även att skapa en process för att kunna göra hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel på kort tid, för att använda under särskilda omständigheter, till exempel vid spridning av samhällsfarliga sjukdomar, pandemier eller andra krissituationer.

TLV ska löpande redovisa de hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som kan användas vid covid-19, så som myndigheten gör för bedömningar inom klinik-läkemedelsuppdraget. Därutöver ska TLV redovisa arbetet med uppdraget till Regeringskansliet senast den 31 januari 2023.

1.2 Läkemedel som används vid covid-19 har delvis hanterats utanför ordinarie inköpsprocesser

Covid-19-pandemin har visat att läkemedelsindustrin har möjlighet att på väsentligt kortare tid än normalt få fram effektiva vacciner och läkemedel som kan förhindra spridning av en sjukdom. Flera av de nyutvecklade läkemedlen som kan användas vid covid-19 har dock inte tillgängliggjorts via ordinarie inköpsprocesser och kanaler. I korthet innebär de ordinarie processerna att regionerna upphandlar och köper in sådana läkemedel som via en sjukhusapoteksfunktion distribueras till kliniker på sjukhus, medan läkemedel som skrivs ut på recept tillgängliggörs för patienten via öppenvårdsapotek. När det gäller några av de nyutvecklade läkemedlen mot covid-19 har företagen valt att, liksom för vaccinen mot covid-19, endast ingå avtal med stater – antingen via bilaterala förhandlingar eller efter EU-gemensamma upphandlingar. Detta innebär för Sveriges del att regionerna själva inte har haft möjlighet att köpa in dessa läkemedel. Av denna anledning har Socialstyrelsen fått i uppdrag av regeringen att säkra Sveriges tillgång till läkemedel mot covid-19 som kan behövas inom hälso- och sjukvården i de fall regionerna själva inte har möjlighet att säkerställa tillgången till dessa läkemedel.

TLV gör i rapporten ingen utvärdering av hur väl inköpen av läkemedel mot covid-19 har fungerat. TLV kan dock konstatera, vilket utvecklas i senare kapitel, att nya strukturer för inköp av läkemedel kan påverka TLV:s ordinarie process för genomförande av hälsoekonomiska bedömningar för dessa läkemedel – till exempel genom att nya aktörer får behov av att kunna initiera hälsoekonomiska bedömningar.

1.3 TLV:s målsättning med uppdraget

TLV:s målsättning med de genomförda hälsoekonomiska bedömningarna av läkemedel som används vid covid-19 har varit att stötta de inköpande aktörerna (Socialstyrelsen och regionerna). Det gör TLV genom att bidra med kunskap som möjliggör en bedömning av läkemedlens kostnadseffektivitet, det vill säga om kostnaderna är rimliga i förhållande till den nytta som behandlingen ger. Det är samma syfte som för de hälsoekonomiska bedömningar TLV vanligtvis utför. Dessa bedömningar görs av andra utvalda läkemedel som inte ingår i läkemedelsförmånerna och som rekvideras till slutenvården eller upphandlas av regionerna (nedan benämnt klinikläkemedel), inom ramen för processen för nationellt ordnat införande av nya läkemedel.

En av målsättningarna för de hälsoekonomiska bedömningar som utförts inom detta uppdrag har även varit att undersöka förutsättningarna för att, i tillägg till det underlag som berört företaget tillhandahåller, basera analyser på andra offentligt tillgängliga data så som registerdata eller publikationer.

TLV:s målsättning med att skapa en process för hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter, har varit att beskriva en övergripande process som kan vara vägledande i olika situationer som kan komma att anses vara sådana särskilda omständigheter. Genom att utföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid, när det är möjligt, kan TLV stödja aktörer med ansvar för inköp och prioriteringar av läkemedel i situationer när läkemedel behöver köpas in mer skyndsamt än vanligt.

1.4 TLV:s tolkningar och utgångspunkter för uppdraget

Det är TLV:s tolkning att uppdraget att skapa en process för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter *inte* omfattar de läkemedel som hanteras inom ramen för en förmånsansökan.

I uppdragsbeskrivningen nämns en pandemi eller spridning av en samhällsfarlig sjukdom, liksom ”andra krissituationer” som exempel på särskilda omständigheter. TLV gör i uppdraget ingen tolkning av vad som avses med ”andra krissituationer”, och inte heller någon ytterligare tolkning av vad som kan komma att utgöra särskilda omständigheter.

I uppdragsbeskrivningen anges inte närmare vad som avses med begreppet ”kort tid”. En av utgångspunkterna för TLV:s handläggning av ärenden i allmänhet är att

de ska handläggas så enkelt, snabbt och kostnadseffektivt som möjligt utan att rättssäkerheten eftersätts.² I fråga om TLV:s utredningsansvar gäller att myndigheten ska se till att det aktuella ärendet blir utrett i den omfattning som dess beskaffenhet kräver.³ Detta gäller alla ärenden, inklusive hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel, och innebär i praktiken att tiden för att utföra den hälsoekonomiska bedömningen varierar mellan ärenden. I arbetet med att ta fram en process för hälsoekonomiska bedömningar under särskilda omständigheter har TLV inte utgått från någon fast tolkning av begreppet ”kort tid” utan i stället från att det är den särskilda situationen som avgör vilken tid som finns tillgänglig, men att det är rimligt att anta att detta generellt innebär kortare handläggningstid än i normala fall.

1.5 Erfarenheter från hälsoekonomiska bedömningar som grund för en framtida process

De hälsoekonomiska bedömningarna av läkemedel som används vid covid-19 har initierats av NT-rådet och Socialstyrelsen. TLV har utgått från den ordinarie processen för hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel vid genomförandet av dessa.

I arbetet med att ta fram en process för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på *kort tid under särskilda omständigheter* har TLV utgått från de erfarenheter och lärdomar som genomförandet av de hälsoekonomiska bedömningarna av läkemedel mot covid-19 har medfört och de omständigheter som påverkat dessa.

1.5.1 Dialog har skett med andra aktörer

Inom ramen för de enskilda ärendena har TLV haft en dialog med de läkemedelsföretag som marknadsför läkemedlen, de aktörer som initierat bedömningarna (NT-rådet och Socialstyrelsen) och de kliniska experter som anställts i ärendena. TLV har även haft en dialog med Socialstyrelsen vid beställning av registerdata som har använts i några av ärendena.

Vidare har TLV även haft möten med NT-rådet, representanter från regionernas operativa styrgrupp för kritiska läkemedel⁴ samt några av de kliniska experter som knutits till denna grupp, för att delge hur TLV arbetar med uppdraget.

I arbetet med att skapa en process för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter har TLV inhämtat synpunkter på ett rapportutkast från Socialstyrelsen, NT-rådet och regionernas operativa styrgrupp för kritiska läkemedel. Detta i syfte att säkerställa att TLV inte har missat några

² Detta följer av 9 § förvaltningslagen (2017:900), FL.

³ Se 23 § FL.

⁴ Regionerna har gett uppdrag Fyrlän (regionerna Skåne, Stockholm, Östergötland och Västra Götaland) att köpa in de läkemedel som är kritiska i behandling av covid-19-patienter och vid behov fördela dessa läkemedel mellan alla regioner.

<https://skr.se/download/18.45167e4317e2b341b24ae5a1/1642690218331/5521.pdf>

viktiga aspekter i den framtagna processen. De synpunkter som har inkommit har TLV således beaktat i den slutliga processbeskrivningen som redovisas i denna rapport.

1.6 Rapportens disposition

I kapitel 1 beskrivs det aktuella regeringsuppdraget samt TLV:s tolkning av och målsättning med detta. I kapitel 2 följer en övergripande bakgrund till hur och varför TLV genomför hälsoekonomiska bedömningar. I kapitel 3 sammanfattas de hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som används vid covid-19 som TLV har genomfört samt övergripande lärdomar från dessa. Här beskrivs även hur TLV har sett över möjligheter att basera de hälsoekonomiska bedömningarna på annan data än de som läkemedelsföretaget tillhandahåller. I kapitel 4 beskrivs några av de förutsättningar som enligt TLV bör föreligga för att en process för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter ska användas i stället för TLV:s ordinarie process för hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel. I detta kapitel redogörs även för ett antal av de aspekter som påverkar möjlighet och förutsättningar för att genomföra en hälsoekonomisk bedömning på kort tid. I kapitel 5 redovisas den process som TLV har tagit fram och som kan användas vid genomförande av hälsoekonomiska bedömningar på kort tid vid särskilda omständigheter. I det avslutande kapitlet 6 redogör TLV för samlade reflektioner och medskick till regeringen. I appendix exemplifierar TLV hur hälsoekonomiska utvärderingar kan utformas utifrån olika förutsättningar gällande vilken tid och vilket evidensunderlag som finns till myndighetens förfogande.

2 Olika metoder för hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel

I detta kapitel ges en kort introduktion till de hälsoekonomiska bedömningar som TLV utför – varför de genomförs, de vanligaste metoderna samt några viktiga förutsättningar för att kunna utföra dem.

Syftet med detta kapitel är att ge läsaren en bättre förståelse för de efterföljande delarna av rapporten som dels beskriver de hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel vid covid-19 som TLV har genomfört, inklusive de utmaningar och lärdomar dessa har medfört, dels beskriver den process för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid som TLV har tagit fram.

2.1 TLV:s hälsoekonomiska bedömningar syftar till att bedöma kostnadseffektivitet

Hälsoekonomisk utvärdering är ett verktyg för att bedöma kostnader och hälsoeffekter i samband med resursanvändning inom hälso- och sjukvården. Vanligtvis vill man genom hälsoekonomiska utvärderingar få reda på om en medicinsk behandling är kostnadseffektiv eller inte, det vill säga om behandlingen medför en rimlig kostnad för samhället i förhållande till de hälsovinster som den ger.

TLV utför hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel inom två huvudsakliga processer⁵: en process när företag ansöker om att ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna samt en process för utvärdering av utvalda klinikläkemedel.

Det är läkemedelsföretagen som väljer om de vill ansöka om att deras läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna enligt lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (nedan förmånslagen). Genom en hälsoekonomisk utvärdering gör TLV en bedömning av kostnaden i förhållande till den nytta som behandlingen ger, samt tillståndets svårighetsgrad. Utifrån kriterierna i 15 § förmånslagen görs även en sammanvägning av de tre principerna i den etiska plattformen. Exempelvis accepteras i regel en högre kostnad per hälsovinst när svårighetsgraden är hög. Efter utvärdering fattar TLV beslut om läkemedlet ska ingå i förmånerna eller inte och fastställer pris.

Avseende klinikläkemedel fattar TLV inga beslut utan tar i stället fram hälsoekonomiska kunskapsunderlag i form av hälsoekonomiska bedömningar. TLV:s hälsoekonomiska bedömningar är tänkta att användas som stöd för NT-rådets rekommendation avseende läkemedlet och för regionernas ställningstagande angående kostnadseffektivitet när de upphandlar läkemedlet. Kunskapsunderlaget

⁵ TLV granskar även kontinuerligt de läkemedel som ingår i högkostnadsskyddet, för att se om de läkemedel som subventioneras av samhället inom läkemedelsförmånerna är kostnadseffektiva.

används även som underlag för prissförhandling mellan företaget och NT-rådet/regionerna. I en hälsoekonomisk bedömning av ett klinikläkemedel utvärderar TLV inte tillståndets svårighetsgrad och gör heller ingen bedömning av om kostnaden för läkemedlet är rimlig.

Gemensamt för båda processerna är att de hälsoekonomiska bedömningarna huvudsakligen utgår från det underlag som företagen skickar in till TLV och att företagen uppmanas att följa TLV:s allmänna råd om ekonomiska utvärderingar⁶.

2.1.1 För att bedöma kostnadseffektivitet behövs information om relativ effekt. För att kunna uttala sig om huruvida en behandling är kostnadseffektiv – det vill säga hur kostnaden står i förhållande till nyttan som behandlingen ger – behövs kunskap om den relativa effekten. Kostnadseffektivitet är ett relativt begrepp som utgår ifrån att det är minst två alternativ som jämförs. Jämförelsealternativet kan till exempel vara en läkemedelsbehandling, annan behandling eller ingen behandling alls.

Efter att TLV har bedömt vilket som är det mest relevanta jämförelsealternativet görs en bedömning avseende den relativa kliniska effekten. För att en hälsoekonomisk analys ska ge ett meningsfullt svar krävs att kostnaderna för en behandlingsstrategi ställs i relation till den ökade nyttan denna medför. TLV bedömer om den relativa effekten är jämförbar (likvärdig) alternativt har en bättre effekt än jämförelsealternativet.

De metoder för hälsoekonomisk utvärdering som TLV använder kan förenklat beskrivas som:

1. **Kostnadsjämförelser/kostnadsminimeringsanalys:** I en kostnadsjämförelse förutsätts den relativa effekten vara jämförbar. Alternativen jämförs därför endast med avseende på kostnader för läkemedlet, eventuella administreringskostnader eller andra vårdkostnader.
2. **Kostnadsnyttoanalys:** En kostnadsnyttoanalys utgår från att den relativa effekten för den utvärderade produkten skiljer sig från till exempel är bättre än jämförelsealternativet. Kostnaderna relateras till nyttan, vanligen konstruerat som en sammanvägning av överlevnad och livskvalitet, till exempel antalet vunna kvalitetsjusterade levnadsår (quality-adjusted life years, QALY).

2.1.2 Att värdera osäkerheter är en central del av hälsoekonomiska utvärderingar

Vid utvärderingstillfället har TLV ofta begränsad kunskap om flera av de faktorer som påverkar resultatet av den hälsoekonomiska utvärderingen och antaganden behöver därför göras. Några faktorer som bidrar till osäkerheter kan vara den

⁶ TLVAR 2003:2, tillgänglig på: [Allmänna råd - Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket TLV](https://www.tlv.se/om-tlv/regelverk/allmanna-rad.html) (https://www.tlv.se/om-tlv/regelverk/allmanna-rad.html)

evidens som ligger till grund för bedömningen av relativ effekt, läkemedlets påverkan på patientens livskvalitet, dosering och behandlingslängd.

Den relativa effekten kan exempelvis baseras på ett begränsat evidensunderlag i form av en indirekt jämförelse i stället för de direkt jämförande kliniska studierna som ligger till grund för godkännanden av ett läkemedel. Vidare kan osäkerheter handla om att läkemedlets effekt studerats på en patientgrupp som inte återspeglar den patientgrupp som kommer att behandlas i klinisk praxis.

En stor utmaning för utvärderande myndigheter som TLV är således att kunna genomföra hälsoekonomiska bedömningar baserat på begränsad evidens. TLV genomför därför som regel alltid känslighetsanalyser för att belysa de osäkerheter som förknippas med den hälsoekonomiska bedömningen. TLV:s känslighetsanalyser genomförs för att illustrera vilka parametrar som har stor påverkan på resultatet. Ett begränsat evidensunderlag innebär att en högre grad av osäkerhet behöver hanteras.

I TLV:s utvärderingar av läkemedel som används vid covid-19 har TLV behövt förhålla sig till flera av ovanstående utmaningar kring osäkerheter. Även i framtida situationer där hälsoekonomiska bedömningar behöver genomföras på kort tid, till exempel vid en ny pandemi, är det troligt att underlaget kring evidens och läkemedlets förväntade nytta ofta kommer vara begränsat. Det är viktigt att belysa dessa osäkerheter när den hälsoekonomiska bedömningen ligger till grund för beslut om inköp av ett läkemedel.

I kapitel 4 beskriver TLV närmare några av de förutsättningar och aspekter som behöver beaktas i en process för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid vid särskilda omständigheter.

3 TLV har genomfört hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel vid covid-19

I detta kapitel beskrivs de hälsoekonomiska bedömningar som TLV har genomfört av läkemedel som används vid covid-19, samt några av de lärdomar utvärderingarna har fört med sig. I slutet av kapitlet redogörs även kort för några av de utmaningar och lärdomar som HTA-myndigheter i andra länder har erfarit vid sina utvärderingar av läkemedel mot covid-19.

Enligt uppdraget som TLV har fått ska valet av läkemedel för de hälsoekonomiska bedömningarna av covid-19 läkemedel utgå från bedömningar från aktörer som ska fatta beslut om försörjningen av läkemedlen, exempelvis Socialstyrelsen eller regionerna.

3.1 Genomförda hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel vid covid-19

TLV har utvärderat fyra läkemedel mot covid-19. Veklury (dnr 931/2021), Xevudy (dnr 2910/2021), Paxlovid (dnr 1367/2022) och Evusheld (dnr 1305/2022). Alla fyra läkemedlen är godkända för behandling av patienter som har insjuknat i covid-19. Evusheld är även godkänt för preventiv behandling av covid-19 vilket är den indikation som TLV har utvärderat.

Två hälsoekonomiska bedömningar (Xevudy och Veklury) har initierats av NT-rådet innan det nu aktuella regeringsuppdraget, medan tre hälsoekonomiska bedömningar (Paxlovid och två indikationer för Evusheld - som preventiv behandling samt som behandling av covid-19) initierades av Socialstyrelsen respektive NT-rådet under tiden för regeringsuppdraget. NT-rådet har även initierat en hälsoekonomisk bedömning av Ronapreve (dnr 2909/2021) men där behovet av utvärdering upphörde när det visades att behandlingen inte hade effekt för omikronvarianterna och därmed inte längre var aktuell för användning i hälso- och sjukvården. Likaså har NT-rådets behov av en hälsoekonomisk bedömning av Evusheld vid behandling av covid-19 (dnr 2168/2022) upphört innan dess att TLV avslutade utvärderingen.

TLV har även gjort en hälsoekonomisk utvärdering av Paxlovid efter att företaget ansökte om att Paxlovid ska ingå i läkemedelsförmånerna (dnr 3311/2022). Ansökan gjordes efter att TLV avslutat den hälsoekonomiska bedömningen av samma läkemedel inom ramen för detta regeringsuppdrag.

TLV:s hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som används vid covid-19 har utgått från den ordinarie processen för utvärderingar av klinikläkemedel. För utvärderingen av Paxlovid har TLV behövt förhålla sig till ett antal förutsättningar

som får anses vara undantag från den ordinarie processen. Se nedan under avsnittet om utvärdering av Paxlovid.

Nedan sammanfattas kort de hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som används vid covid-19. De genomförda bedömningarna i sin helhet redovisas i de kunskapsunderlag som finns publicerade på TLV:s webbplats.

Veklury (remdesivir)

NT-rådet initierade en hälsoekonomisk bedömning av Veklury vid behandling av covid-19 den 30 mars 2021. Företaget kom in med underlag till TLV den 13 juli 2021. TLV:s utvärdering expedierades den 14 oktober 2021.

TLV bedömde att Veklury kommer att användas i tillägg till standardbehandling som är relevant jämförelsealternativ. TLV bedömde att Veklury jämfört med inget tillägg till standardbehandling bidrar till en kortare vårdtid för patienter med covid-19 som behöver syrgas men inte behandlas i respirator, samt till att färre patienter behöver vårdas på intensivvårdsavdelning. TLV bedömde vidare att det är osäkert hur mycket vårdtiden förkortas i klinisk praxis, eftersom vårdtiderna för patienter med covid-19 generellt är kortare i svensk klinisk praxis i jämförelse med de patienter som ingick i studien.

För att illustrera osäkerheterna kring hur mycket vårdtiden påverkar resultatet utförde TLV två scenarianalyser, som båda baserades på uppgifter om vårdtider för covid-19-patienter från Socialstyrelsen och Svenska Intensivvårdsregistret. Resultaten från båda scenarianalyserna visade att Veklury är kostnadsbesparande jämfört med inget tillägg till standardbehandling.

Efter TLV:s utredning utfärdade NT-rådet en rekommendation att Veklury kan användas för patienter i enlighet med Nationellt vårdprogram för misstänkt och bekräftad covid-19.

Xevudy (sotrovimab)

NT-rådet initierade en hälsoekonomisk bedömning av Xevudy vid behandling av covid-19 den 28 september 2021. Företaget kom in med material den 3 december 2021. TLV:s utvärdering expedierades den 2 maj 2022.

TLV bedömde att Xevudy kommer att användas i tillägg till bästa understödjande vård. Den kliniska studien COMET-ICE visar att behandling med Xevudy minskar risken för att utveckla svår covid-19-sjukdom. TLV konstaterade att det var andra virusvarianter som spreds vid utredningstillfället jämfört med hur situationen såg ut när studien genomfördes.

I den hälsoekonomiska bedömningen konstaterade TLV att det var osäkert om Xevudy har effekt mot undervarianten av omikron BA.2, som vid utredningen var den virusvariant som spreds mest i Sverige. TLV:s hälsoekonomiska analyser baserades på ett antagande om att Xevudy är lika effektivt mot omikron BA.2 som mot de virusvarianter som var aktuella vid tiden för studiens genomförande. I TLV:s grundscenario skattades kostnaden per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår

(QALY) för Xevudy till cirka 361 000 kronor över ett livstidsperspektiv. I TLV:s analyser var risk för sjukhusinläggning den faktor som främst påverkade resultatet.

Efter TLV:s utredning utfärdade NT-rådet en rekommendation att Xevudy kan användas för patienter i enlighet med Nationellt vårdprogram för misstänkt och bekräftad covid-19.

Paxlovid (nirmatrelvir/ritonavir)

Socialstyrelsen initierade en hälsoekonomisk bedömning av Paxlovid vid behandling av covid-19 den 28 april 2022. Företaget kom in med underlag till TLV den 1 juli 2022. TLV:s utvärdering expedierades den 12 september 2022. I utvärderingen av Paxlovid har TLV behövt förhålla sig till ett antal förutsättningar som får anses vara undantag från den ordinarie processen:

- Socialstyrelsen initierade den hälsoekonomiska bedömningen av Paxlovid, i stället för NT-rådet som vanligtvis är den aktör som initierar hälsoekonomiska bedömningar.
- Den hälsoekonomiska bedömningen av Paxlovid utfördes utan att företaget uppgav ett pris för läkemedlet.
- Paxlovid, som är en tablettbehandling, har utvärderats enligt processen för hälsoekonomiska bedömningar för klinikläkemedel, trots att denna process vanligtvis och enligt gällande regler förutsätts omfatta sådana läkemedel som måste ges till patienten på sjukhus⁷.

TLV bedömde, baserat på de senast uppdaterade behandlingsriktlinjerna vid utredningstillfället, att Paxlovid kommer att användas för patienter som annars hade fått Xevudy eller Veklury och att dessa därför utgjorde de relevanta jämförelsealternativen. Den relativa effekten för Paxlovid bedömdes vara minst lika bra med avseende på antal sjukhusinläggningar jämfört med behandling med Xevudy och Veklury.

En förutsättning för att företaget skulle bidra med underlag till TLV var att företaget inte behövde uppge ett pris för Paxlovid. Detta eftersom det enligt företaget pågick bilaterala och europagemensamma förhandlingar som medförde att uppgiften om pris inte kunde offentliggöras. Baserat på ett antagande om jämförbar effekt mellan Paxlovid och Xevudy och Veklury kunde TLV göra en jämförelse av kostnaderna och därigenom dra slutsatsen att behandling med Paxlovid var kostnadsbesparande om kostnaden för Paxlovid understeg behandlingskostnaderna för Veklury och Xevudy, utifrån den rekommenderade behandlingens längden för läkemedlen.

Paxlovid – förmånsansökan och beslut

Den 14 oktober 2022 ansökte företaget om att Paxlovid skulle ingå i läkemedelsförmånerna. Företagets ansökan baserades i huvudsak på samma underlag som TLV baserade den tidigare hälsoekonomiska bedömningen på. Den 18 november 2022 fattade TLV beslut om att Paxlovid ska ingå i läkemedelsförmånerna.

⁷ 2 § förordning (2007:1206) med instruktion för Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket och 9 § offentlighets- och sekretessförordning (2009:641), p. 138

Evusheld (tixagevimab/cilgavimab) som preexpositions-profylax

NT rådet initierade en hälsoekonomisk bedömning av Evusheld som preexpositions-profylax för covid-19 den 25 april 2022. Företaget kom in med underlag till TLV den 18 maj 2022. TLV:s utvärdering expedierades den 31 oktober 2022.

TLV bedömde att relevant jämförelsealternativ till Evusheld var ingen behandling. Under utredningen informerade företaget TLV om att doseringen skulle justeras till den dubbla dosen, men med ett bibehållet dosintervall om sex månader. TLV vidhöll att ingen behandling var relevant jämförelsealternativ. Vidare ansåg TLV att dubbel dosering av Evusheld, som ges var sjätte månad, ger en minskad risk vid virusvarianterna BA.4 och BA.5, i nivå med den riskminskning som noterades för den patientgrupp som har ökad risk för att inte svara på covid-19 vaccination och som ingått i den kliniska studien PROVENT. I det nationella vårdprogrammet för covid-19 är det också den patientgrupp för vilken Evusheld är rekommenderad att användas.

I TLV:s grundscenario skattades kostnaden per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår (QALY) för Evusheld till cirka 1,1 miljoner kronor utifrån godkänd dosering och 3,1 miljoner kronor utifrån den nya dubblerade doseringen. TLV:s analyser visade även att det fanns osäkerheter i resultaten när det gällde Evushelds effekt mot kommande varianter av covid-19. Baserat på det underlag företaget kom in med ansåg TLV att Evushelds effekt måste utvärderas för ett år i taget. TLV identifierade även att det är svårt att uppskatta infektionsrisken.

3.2 Lärdomar från avslutade hälsoekonomiska bedömningar tas med till process för framtida utvärderingar under särskilda omständigheter

De hälsoekonomiska bedömningarna som utförts av läkemedel som används vid covid-19 har till stor del hanterats i enlighet med TLV:s ordinarie rutin för utvärderingar av klinikläkemedel. Dock har omständigheter kring utvärderingarna, till exempel nya inblandade aktörer och ett föränderligt sjukdoms- och evidensläge, inneburit att TLV dragit ett antal lärdomar som har beaktats vid framtagandet av en process för hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter (processen redovisas i kapitel 5).

3.2.1 Snabbt föränderligt område försvårar hälsoekonomiska bedömningar

Drygt tre år efter utbrottet i Wuhan år 2019 finns det åtta läkemedel godkända för behandling av covid-19 (Paxlovid, Evusheld, Kineret, Xevudy, Regkirona, RoActemra, Ronapreve och Veklury). Den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) har utfört en så kallad löpande granskning av dessa läkemedel. En sådan granskning skyndar på bedömningen av ett vaccin eller ett läkemedel i en kritisk situation och innebär att myndigheten granskar inskickade forskningsdata fortlöpande. Den normala proceduren är annars att all dokumentation om ett läkemedels effektivitet, säkerhet och kvalitet måste lämnas in samtidigt när företaget ansöker om ett regulatoriskt godkännande.

Det snabba och föränderliga landskap som covid-19 har varit och fortfarande är innebär utmaningar vid hälsoekonomiska bedömningarna av läkemedel som används vid covid-19. Bland annat ökar osäkerheterna i bedömningen och relevanta jämförelsealternativ förändras. Några av de faktorer som medför osäkerheter i bedömningarna är: 1) registreringsstudierna bakom godkännandet av läkemedlen har övervägande inkluderat ovaccinerade patienter och varierande andel patienter med riskfaktorer, 2) studierna har utförts för virusvarianter som inte längre var dominerande vid den hälsoekonomiska utvärderingen av läkemedlen, vilket även gäller läkemedel där studier utförts på olika omikronvarianter, såsom BA.1/BA.2 gentemot BA.5, 3) utvecklingen av virusvarianter med behandlingsresistens och med olika effekter på sjuklighet och dödlighet och 4) hur generaliserbara data från studier utförda före tillkomsten av omikronvarianterna⁸ är avseende sjukhusvistelse. Detta har inneburit att de kliniska studier som fanns vid tiden för godkännande snabbt har blivit inaktuella och att relativ effekt har blivit mer svårbedömd. Dessa faktorer har bidragit till stora osäkerheter i de hälsoekonomiska analyserna.

På grund av ny kunskap om sjukdomen och nya varianter av viruset som kan undkomma tidigare immunitet och nya tillgängliga behandlingar har det svenska nationella vårdprogrammet för covid-19 uppdaterats 14 gånger sedan juni 2020⁹. Detta har påverkat vad som har ansetts vara relevant jämförelsealternativ i de olika utvärderingarna som TLV har genomfört. Ett exempel är Veklury som vid utvärderingen år 2021 betraktades som en tilläggsbehandling för svårt sjuka patienter, men som från juni 2022 enligt Nationella Vårdprogrammet rekommenderas att användas för måttligt sjuka patienter som inte behöver sjukhusvård. Uppdateringen medförde att Veklury bedömdes vara relevant jämförelsealternativ till Paxlovid när detta läkemedel senare utvärderades. Ett annat exempel är utvärderingen av Evusheld för preexpositions-profylax där Ronapreve hade samma indikation och därför utgjorde ett relevant jämförelsealternativ. Eftersom Ronapreve inte visade sig vara verksamt mot omikronvarianterna bedömdes i stället att relevant jämförelsealternativ till Evusheld var ingen behandling.

Kunskapen om användningen av dessa läkemedel har även utvecklats under tiden för pågående hälsoekonomisk bedömning. Under TLV:s utvärdering av Evusheld som preexpositions-profylax meddelade företaget att den studerade doseringen inte längre var aktuell utan att en högre dosering i stället skulle gälla; en dosering för vilken det vid utvärderingstillfället saknades data över dess klinisk effekt.

Ett snabbt föränderligt sjukdomsområde innebär att data över klinisk effekt som finns tillgängliga under utredningens gång snabbt blir inaktuella, vilket bidrar till en hög osäkerhet avseende läkemedlens verkliga effekt i klinisk vardag – både på

⁸ De pivotala studierna gjordes med patienter som hade covidvarianten delta, som då var den dominerande virustypen.

⁹ Senaste versionen av nationellt vårdprogram för misstänkt och bekräftad covid-19 (version 4.2 december 2022) finns tillgängligt på: <https://infektion.net/wp-content/uploads/2022/12/nationellt-vardprogram-covid-4-2-221213.pdf>

kort och på längre sikt. Detta innebär i sin tur att även de hälsoekonomiska bedömningarna blir behäftade med osäkerheter och i större utsträckning behöver baseras på antaganden. Förändringar i underlag under pågående utvärdering, till exempel information om ny dosering, kan även påverka tiden för TLV:s utvärdering om det tillkommer ny information som behöver granskas och som påverkar analyserna.

TLV:s erfarenhet är att det på grund av det snabbt föränderliga sjukdomsområdet och ständigt ändrade förutsättningarna har varit mer resursintensivt att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som används vid covid-19 jämfört med de flesta andra hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel.

3.2.2 Förutsättningar finns att väga in andra tillgängliga data än det underlag som läkemedelsföretagen har tillhandahållit

I regeringsuppdraget har ingått att se över förutsättningarna för att även väga in andra tillgängliga data än de som företaget tillhandahåller och som kan användas för att bedöma läkemedlets kostnadseffektivitet utifrån det pris som företaget har föreslagit. Att TLV i ärenden inkluderar annan dokumentation än vad företaget tillhandahåller, till exempel publicerade studier eller uppgifter från nationella hälsodataregister, är något som förekommer även i andra hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel och av läkemedel inom en förmånsansökan. I den hälsoekonomiska bedömningen av Paxlovid har en rapport från amerikanska *Institute for clinical and economic review*, ICER (Yeung K, 2022) utgjort underlag vid bedömningen av relativ effekt mellan Paxlovid och jämförelsealternativet Xevudy.

I utvärderingarna av Veklury, Xevudy och Evusheld (som preexpositions-profylax för covid-19) har TLV använt registerdata från Socialstyrelsen och Svenska Intensivvårdsregistret för att få information om bland annat vårdtid, sjukhusinläggningar och ålder för patienterna som är aktuella för behandling.

I den påbörjade utvärderingen av Evusheld (för behandling av covid-19) undersökte TLV möjligheten att basera den hälsoekonomiska bedömningen *enbart* på publika tillgängliga data innan indikationen godkändes och innan företaget kom in med underlag. En sådan bedömning hade baserats på publika uppgifter om riskreduktionen vid behandling med Evusheld och inneburit en analys kring potentiella kostnadsbesparingar för sjukhusinläggningar givet olika hypotetiska scenarier kring behandlingens effekt och dess kostnad¹⁰. I avsaknad av mer detaljerade uppgifter kring behandlingens effekt och inte heller tillgång till en offentlig utredningsrapport från EMA (EPAR), vilken publiceras först i samband med regulatoriskt godkännande, hade rimligheten i olika scenarier kring behandlingens effekt i hög utsträckning behövt bedömas av kliniska experter.

¹⁰ Detta tillvägagångssätt har TLV använt hälsoekonomisk utvärdering av datoriserat kliniskt beslutsstöd för strokeriskvärdering (dnr 1292/2014), där utvärderingen utgick vilken potential ett beslutsstöd likt Stroke Prevention CDS eller annan åtgärd med liknande effekt och till liknande kostnad har, och inte utifrån vilka faktiska effekter och kostnader produkten medför vid ett införande.

Eftersom företaget kom in med underlag avseende Evusheld för den aktuella användningen bedömde TLV att det var mer rimligt att i huvudsak utgå från företagets underlag i den hälsoekonomiska bedömningen. Som nämnts tidigare har dock NT-rådets behov av denna hälsoekonomiska bedömning upphört då behandlingen inte har visats effektiv mot nuvarande tillgängliga virusmutationer.

TLV drar slutsatsen att det åtminstone i vissa fall är möjligt att basera en hälsoekonomisk bedömning enbart på offentliga uppgifter. I det ovan nämnda fallet hade en sådan analys baserats på hypotetiska scenarier om möjlig klinisk effekt och därmed varit behäftad med hög osäkerhet. TLV bedömer därför att ett tillvägagångssätt där en hälsoekonomisk bedömning baseras enbart på annat underlag än det företaget tillhandahåller kan korta ner utredningstiden, men att detta måste ställas i relation till kvaliteten i den hälsoekonomiska bedömningen.

3.2.3 Att företagen bidrar till de hälsoekonomiska bedömningarna möjliggör en effektiv process och en robust utvärdering

Även om TLV kan genomföra hälsoekonomiska bedömningar helt eller delvis baserat på andra uppgifter än de som tillhandahålls av det marknadsförande företaget är företaget den aktör som förfogar över det underlag som ger bästa möjliga förutsättningar för en mer robust hälsoekonomisk bedömning. Detta givet att det är företaget som har genomfört kliniska studier och därmed har tillgång till de bästa data avseende läkemedlets effekt och säkerhet. Företagen har därmed även oftast bäst förutsättningar att ta fram en hälsoekonomisk analys som TLV kan utvärdera. För en effektiv process är det därför viktigt att företagen är villiga att samarbeta kring den hälsoekonomiska utvärderingen och skyndsamt kan lämna in underlag gällande effekt och hälsoekonomisk analys.

TLV kan konstatera att läkemedelsföretagen har bidragit med underlag för samtliga läkemedel för användning vid covid-19 som TLV har utvärderat.

3.2.4 Viktigt med tydlighet kring processen och den hälsoekonomiska bedömningen

Som tidigare nämnts har TLV i de hälsoekonomiska bedömningarna av läkemedel som används vid covid-19 utgått från den rutin som används inom klinikläkemedelsuppdraget. Denna process är väletablerad och samverkan mellan inblandade aktörer (TLV, företag och NT-rådet) fungerar väl med en tydlighet kring vad som förväntas av respektive aktör.

Att läkemedlen mot covid-19 delvis har behövt köpas in till Sverige utanför de ordinarie inköpsprocesserna för läkemedel har lett till nya former av samverkan mellan olika aktörer. Som nämnts har Socialstyrelsen fått i uppdrag av regeringen att köpa in läkemedel mot covid-19 i de fall regionerna inte har möjlighet att säkra tillgången. Med anledning av detta uppdrag bad Socialstyrelsen TLV att genomföra en hälsoekonomisk bedömning av ett läkemedel för användning vid covid-19. Regionerna har i sin tur skapat en nationell samordning av inköp och fördelning av kritiska läkemedel som har letts av en operativ styrgrupp bestående av representanter från fyra regioner med stöd från Sveriges Kommuner och Regioner, SKR. Denna grupp har haft en central roll i att koordinera fördelningen av de

läkemedel Socialstyrelsen köpt in mellan regionerna. Gruppen har till sin hjälp haft en nationell expertgrupp för covid-19 läkemedel bestående av infektionsläkare och virologer. Samtidigt har NT-rådet initierat hälsoekonomiska bedömningar avseende fyra läkemedel mot covid-19 enligt den ordinarie processen för nationellt ordnat införande av nya läkemedel.

TLV ser att samverkan med de aktörer som har initierat de hälsoekonomiska bedömningarna över lag har fungerat väl. Samtidigt kan TLV konstatera att myndighetens ordinarie process för hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel inte till fullo har tillmötesgått de behov och förväntningar som dessa aktörer har haft.

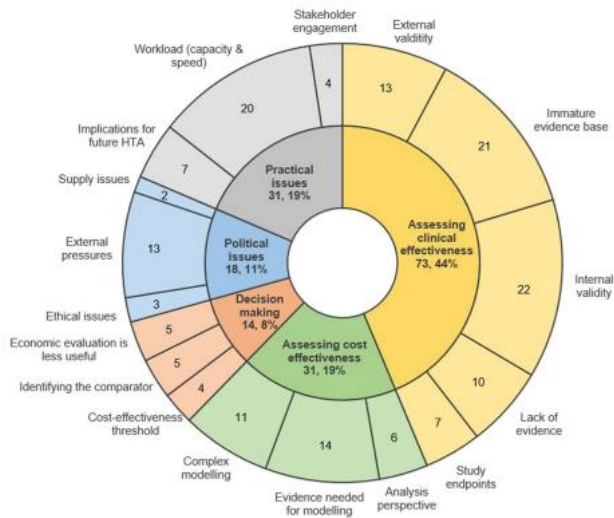
Givet de utmaningar som här har beskrivits vid genomförandet av utvärderingarna ser TLV att det i framtida liknande situationer finns ett större behov av samverkan jämfört med TLV:s ordinarie process för hälsoekonomiska bedömningar. Det behövs också en tydlig dialog med inblandade aktörer gällande vilka förutsättningar TLV har att genomföra bedömningar och även vilka förväntningar som finns på utvärderingar avseende innehåll och tidplan. Detta blir särskilt viktigt när det är nya aktörer, eller nya konstellationer av aktörer, som är i behov av TLV:s hälsoekonomiska bedömningar. För att möjliggöra en god dialog kring en hälsoekonomisk bedömning med den aktör som har initierat denna, behöver det i vissa fall vara möjligt för TLV att dela med sig av uppgifter från företaget som kan omfattas av sekretess.

I skapandet av den nya process som beskrivs i kapitel 5 har TLV utgått från dessa lärdomar och slutsatser. I kapitel 4 redogör TLV närmare för behovet av stöd för att kunna dela och skydda sekretessbelagda uppgifter.

3.3 Liknande lärdomar från HTA-myndigheter i andra länder

Flera av de utmaningar som TLV har stött på i genomförandet av hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel mot covid-19 är desamma som HTA-myndigheter i andra länder har erfarit. I en studie (Elvidge & Dawoud, *Assessing Technologies for COVID-19: What are the Challenges for Health Technology Assessment Agencies? Findings From a Survey and Roundtable Workshop.*, 2021), utförd inom projektet Next Generation Health Technology Assessment (HTx)¹¹, redovisas resultatet från en enkätstudie där 21 HTA-myndigheter besvarade frågor kring vilka utmaningar de har mött i genomförandet, eller planering av genomförande, av hälsoekonomiska bedömningar av diagnostik eller behandlingar vid covid-19. En stor del av utmaningarna ligger i att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på begränsad tillgång till evidens och underlag, samtidigt som det finns en förväntan om att bedömningen ska genomföras skyndsamt. I Figur 1 från den nämnda studien redovisas resultatet mer detaljerat.

¹¹ HTx är ett Horizon 2020-projekt som stöds av Europeiska Unionen som inleddes i januari 2019 och pågår i fem år.



Figur 1: utmaningar som identifierades (i en enkätstudie) av 21 HTA-myndigheter vid utvärderingar av covid-19 läkemedel. TLV deltog inte i denna studie.

Inom HTx-projektet har även en rapport tagits fram (Elvidge, o.a., 2021) som avser att ge rekommendationer både inför kommande utvärderingar av läkemedel vid covid-19 och vid eventuella framtida pandemier. I rapporten diskuteras bland annat att HTA-myndigheters ordinarie processer i pandemier kan behöva vara mer pragmatiska och anpassas efter situationen (*“responsive approach”*) men att man samtidigt bör eftersträva att utföra hälsoekonomiska bedömningar i form av kostnadsnyttoanalyser om det är sådana man vanligtvis använder. Sådana kan sedan kompletteras med andra typer av kostnadseffektivitetsanalyser eller analyser av ekonomiska konsekvenser av ett införande.

4 Förutsättningar för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid vid särskilda omständigheter

Som nämnts i tidigare kapitel gör TLV ingen egen bedömning av vad som kan utgöra särskilda omständigheter. I uppdraget till TLV omnämns en pandemi eller spridning av en samhällsfarlig sjukdom som exempel på särskilda omständigheter, liksom ”andra krissituationer”.

Att på förhand förutse vilka olika förutsättningar som kan råda vid sådana framtida särskilda omständigheter, och vilka behov och möjligheter dessa medför för en hälsoekonomisk bedömning är inte möjligt. Förutsättningarna för att genomföra en hälsoekonomisk bedömning kommer att se olika ut om de särskilda omständigheterna till exempel är spridning av en samhällsfarlig sjukdom för vilken det finns god kunskap om dess epidemiologi och tillgängliga, välstuderade läkemedel jämfört med om det i stället handlar om en ny sjukdom där det initialt finns lite kunskap om både sjukdom och effekt av läkemedelsbehandlingar och där mutationer gör att kunskapsläget ständigt förändras.

Erfarenheterna från pandemin mot covid-19 har också visat att särskilda omständigheter kan innebära att de ordinarie processerna för inköp och införande av läkemedel i vården inte är möjliga att följa och att nya aktörer, eller konstellationer av aktörer, behöver samverka och gemensamt skapa processer som är anpassade utifrån den situation som råder för att kunna tillgodose Sveriges behov av viktiga läkemedel. Vilka aktörer som är i behov av en hälsoekonomisk bedömning och hur snabbt kan därmed komma att skilja sig åt beroende på hur den övergripande inköpsprocessen och samverkan mellan olika aktörer ser ut. Den specifika särskilda omständigheten kan även tänkas påverka företagets vilja och möjlighet att bidra med underlag till en hälsoekonomisk bedömning i Sverige.

Givet detta ser TLV att en process för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter i högre grad behöver kunna anpassas efter den rådande situationen, jämfört med myndighetens ordinarie process för utvärderingar av klinikläkemedel. Samtidigt är det viktigt att TLV även under särskilda omständigheter kan säkerställa en tydlighet kring processen för samtliga inblandade aktörer. I detta kapitel pekar TLV ut ett antal viktiga förutsättningar som bör föreligga och aspekter som behöver beaktas i de fall TLV ska genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid vid särskilda omständigheter.

4.1 Stöd för att kunna hantera utvärderingar på ett annat sätt än enligt ordinarie processer

4.1.1 Det behöver finnas en tydlighet kring när en utvärdering på kort tid kan aktualiseras och vem som avgör det

Som tidigare nämnts utför TLV i dag hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel inom två huvudsakliga processer: en process när företag ansöker om att ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna, vilket styrs av förmånslagen, samt en process för utvärdering av utvalda klinikläkemedel, vilket styrs av TLV:s instruktion. Vilken process som aktualiseras avgörs inte i huvudsak av läkemedlets beredningsform eller huruvida läkemedlet ska administreras av vården utan av vem som initierar ärendet, antingen ansöker läkemedelsföretaget om att ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna eller så initierar NT-rådet en utvärdering av ett läkemedel.

En process som ska användas för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter kommer till stor del att bestå av samma moment som TLV:s ordinarie process för hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel. Omständigheten att utvärderingen ska göras på kort tid, och därmed snabbare än andra i övrigt likvärdiga utvärderingar, innebär en särbehandling i förhållande till dessa utvärderingar. Såväl förmånslagen som TLV:s nuvarande instruktion förutsätter att alla läkemedel som utvärderas i princip ska behandlas på samma sätt. En myndighet ska enligt 1 kap. 9 § regeringsformen i sin verksamhet beakta allas likhet inför lagen (likhetsprincipen) samt iaktta saklighet och opartiskhet (objektivitetsprincipen). Av bestämmelsen följer att lika fall ska behandlas lika och att en myndighets valda arbetssätt och prioriteringar mellan ärenden av samma ärendeslag måste kunna motiveras med objektivt godtagbara skäl. Justitieombudsmannen har i ett flertal fall pekat på vikten av principerna om likabehandling och objektivitet (se bland annat JO 2015/16 s. 326).

Det finns därför ett behov av riktlinjer och transparenta kriterier för vilka läkemedel som kan väljas ut för sådan snabb utvärdering. Detta för att säkerställa likabehandling och objektivitet, men även tydlighet kring förväntningar mot företag och beställare. Det är angeläget att den process som nu föreslås endast tillämpas när det råder särskilda omständigheter.

När det gäller klinikläkemedelsprocessen har TLV ansett att regionerna genom NT-rådet bör välja vilka läkemedel som ska utvärderas, eftersom det är regionerna som finansierar och fattar beslut om inköp av klinikläkemedel. När det gäller läkemedel som behöver hanteras skyndsamt på grund av särskilda omständigheter kan däremot andra aktörer vara mer lämpade att göra detta urval beroende på vilken slags särskild omständighet som är aktuell.

TLV anser att det bör vara regeringen som i det enskilda fallet avgör när det råder särskilda omständigheter och när den process som beskrivs i kapitel 5 ska tillämpas. Detta sker lämpligen i form av ett regeringsuppdrag till TLV.

Det finns även skäl att i myndighetens instruktion ange att hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter, är en arbetsuppgift som myndigheten har och behöver förbereda sig för. TLV anser därför att denna arbetsuppgift bör regleras i myndighetens instruktion, förslagsvis genom följande tillägg i 2 § förordning (2007:1206) med instruktion för Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket.

[Myndigheten ska] på regeringens uppdrag utföra särskilt brådskande hälsoekonomiska bedömningar i fråga om läkemedel som inte ingår i läkemedelsförmånerna vid spridning av samhällsfarliga sjukdomar, pandemier eller andra situationer där det förekommer särskilda omständigheter.

Prioriteringar av utvärderingar som behöver hanteras skyndsamt under särskilda omständigheter riskerar att tränga undan andra angelägna utvärderingar inom andra sjukdomsområden. Det gäller både utvärderingar av klinikläkemedel och av förmånsansökningar. TLV ska enligt förordning (2002:687) om läkemedelsförmåner m.m. meddela beslut inom 180 dagar från det att en fullständig ansökan om att ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna kom in till TLV. Vidare ska beslut om höjning av ett tidigare fastställt pris meddelas inom 90 dagar från att en ansökan kom in till myndigheten. Om så inte sker har sökanden rätt att verkställa den begärda prishöjningen fullt ut. Sådan ärendehantering kan således inte försenas. Förutsättningarna för myndigheten att inom ramen för sin verksamhet skyndsamt hantera utvärderingar under särskilda omständigheter är begränsad. För att det inte ska uppstå undanträngningseffekter som leder till konsekvenser för TLV:s övriga verksamhet och ärendehantering, och därmed leda till att patienter får vänta längre på tillgång till nya angelägna läkemedel, kan myndigheten i sådana fall behöva tillföras ytterligare medel om regeringen vill att undanträngningseffekterna inte ska bli alltför omfattande.

4.2 Den hälsoekonomiska bedömningen behöver anpassas efter tid och tillgång till underlag

Hälsoekonomiska bedömningar som ska utföras under särskilda omständigheter och på kort tid kommer att behöva anpassas efter den tid och det underlag som finns till TLV:s förfogande. Det är därför viktigt att tidigt kartlägga vilka förutsättningar som finns för genomförande av en hälsoekonomisk bedömning och kommunicera detta med den eller de aktörer som är i behov av en sådan.

Det är även viktigt att betona att det inte finns en given hälsoekonomisk metod som är särskilt lämplig att använda i de fall en hälsoekonomisk bedömning ska genomföras på kort tid. Som tidigare redovisades i kapitel 3 finns det olika metoder för hälsoekonomisk analys. Vilken som är bäst lämpad att använda beror främst på den aktuella beslutssituationen och den dokumentation som finns avseende läkemedlets effekt (se även appendix).

4.2.1 Tillgång till data och underlag styr förutsättningarna för utvärdering

En utmaning för utvärderande myndigheter som TLV är att kunna genomföra hälsoekonomiska bedömningar baserat på begränsad evidens, vilket innebär att en högre grad av osäkerhet behöver hanteras.

I TLV:s ordinarie process för hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel ombeds aktuellt företag bidra med dokumentation om bland annat läkemedlets effekt, vilken patientpopulation som är aktuell för behandling och en hälsoekonomisk analys som följer TLV:s allmänna råd om ekonomiska utvärderingar¹². Företagets underlag är vanligtvis mycket omfattande. Även om det finns osäkerheter i den dokumentation som företaget lämnar in och som kan påverka robustheten i den hälsoekonomiska bedömningen, är företagets underlag det bäst lämpade att utgå från när TLV gör en hälsoekonomisk bedömning. I de fall företaget inte vill bidra med underlag inom klinikläkemedelsuppdraget gör TLV ingen hälsoekonomisk bedömning.

Om TLV ska genomföra en hälsoekonomisk bedömning på kort tid under särskilda omständigheter och företaget inte vill eller har möjlighet att bidra med underlag för en hälsoekonomisk bedömning – alternativt inte kan komma in med underlaget tillräckligt skyndsamt – bör TLV överväga möjligheter att genomföra en hälsoekonomisk bedömning baserad på eventuellt tillgängligt publikt underlag. Vilken typ av underlag och information om läkemedlets effekt som finns tillgänglig kommer att avgöra vilken typ av hälsoekonomisk analys TLV kan utföra. I en situation där det finns begränsat med evidens kring hur väl läkemedlet fungerar kommer den hälsoekonomiska bedömningen att vara behäftad med en högre grad av osäkerhet. I vissa situationer där det helt saknas uppgifter om läkemedlets effekt kan TLV komma till slutsatsen att det inte är möjligt att utföra en hälsoekonomisk bedömning som syftar till att informera om vilket pris som kan anses vara rimligt.

I kapitel 3 framhölls att även andra länder, i likhet med TLV, har haft stora utmaningar med att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid av läkemedel som används vid covid-19. Detta framför allt på grund av förutsättningar som innebär att det finns knapphändigt underlag kring evidens och att den evidens som finns snabbt har blivit inaktuell. Några länder har därför infört eller diskuterat möjligheter för så kallade *rapid reviews* vilket har inneburit att man har accepterat en lägre grad av kvalitet på evidensunderlag eller att en mindre grundlig utvärdering har genomförts initialt, men med krav på företagen att komma in med mer evidens i ett senare skede (Elvidge & Dawoud, 2021). TLV ser att detta förfarande till stor del är detsamma som här lyfts fram, det vill säga att den hälsoekonomiska bedömningen får anpassas efter tillgång till underlag och den tid som finns till TLV:s förfogande. För det fall att det i ett senare skede finns behov av en ny hälsoekonomisk bedömning av det aktuella läkemedlet bör den aktör som har sådant behov initiera en ny uppdaterad utvärdering hos TLV.

¹² TLVAR 2003:2, tillgänglig på: [Allmänna råd - Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket TLV](https://www.tlv.se/om-tlv/regelverk/allmanna-rad.html) (https://www.tlv.se/om-tlv/regelverk/allmanna-rad.html)

4.2.2 Det finns en avvägning mellan skyndsamhet och kvalitet

TLV:s hälsoekonomiska bedömningar, oavsett om de ska ske under särskilda eller ordinarie omständigheter, syftar till att stödja aktörer som ansvarar för inköp- och prioritering av läkemedel med information om aktuellt läkemedels kostnadseffektivitet. Det är därför viktigt att TLV - även i en situation när en hälsoekonomisk bedömning behöver genomföras skyndsamt - kan säkerställa att bedömningen är av så hög kvalitet som möjligt. Detta innebär bland annat att viktiga antaganden och uppgifter kan valideras, ofta med hjälp av externa kliniska experter, och att TLV har möjlighet att göra en rimlig värdering av vilken grad av osäkerheter som kan föreligga i den hälsoekonomiska bedömningen. Detta blir särskilt viktigt i situationer där det saknas kunskap och evidens kring sjukdomen och den aktuella läkemedelsbehandlingen, som till exempel i början av en ny pandemi. Att validera och kvalitetssäkra antaganden är något som tar tid, särskilt om det innebär att externa kliniska experter ska rekryteras och jävsprövas. Samtidigt är det viktigt att betona att TLV inte är bundet av experternas ställningstaganden, tolkningar eller åsikter.

I situationer där en hälsoekonomisk bedömning ska ske på kort tid under särskilda omständigheter är det därför en fördel för TLV att få stöd med kvalitetssäkring på flera olika sätt, till exempel genom samverkan med andra expertmyndigheter som har kunskap inom området, såsom Läkemedelsverket, Socialstyrelsen, Folkhälsomyndigheten och Statens beredning för medicinsk och social utvärdering (SBU). Myndigheter ska i möjligaste mån biträda och hjälpa varandra inom sitt verksamhetsområde, till exempel genom möjligheten att skicka kunskapsunderlag för synpunkter. TLV ska även enligt sin instruktion och förordning (2015:155) om statlig styrning med kunskap avseende hälso- och sjukvård och socialtjänst arbeta för en samordnad statlig styrning med kunskap avseende hälso- och sjukvård och samverka med andra myndigheter inom området hälso- och sjukvård¹³.

4.2.3 Tidig dialog och tydlighet kring samverkan med inblandande aktörer är avgörande för en effektiv och skyndsam process

Som tidigare nämnts är det önskvärt att en hälsoekonomisk bedömning, även en sådan som ska genomföras på kort tid, kan utgå från det underlag och dokumentation som företaget har avseende läkemedlets effekt och företagens hälsoekonomiska analys. Företagets deltagande är därför i många fall avgörande för att kunna utföra en relevant och robust utvärdering. Enligt TLV:s ordinarie process för hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel kontakter TLV företaget i samband med att NT-rådet initierar en bedömning, med förfrågan om företaget avser att bidra med underlag. Ofta sker denna kontakt flera månader innan läkemedlet förväntas bli godkänt. Om företaget vill delta genom att bidra med underlag skickas detta vanligtvis in i samband med positive opinion eller när läkemedlet godkänns.

För att företagen under särskilda omständigheter ska ha möjlighet och incitament att i så god tid som möjligt förbereda ett underlag för hälsoekonomisk bedömning behöver den aktör som ska köpa in läkemedlet i ett så tidigt skede som möjligt meddela det aktuella företaget att aktören avser att initiera en hälsoekonomisk

¹³ Förordning (2007:1206) med instruktion för Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket

utvärdering inför ett beslut om inköp. TLV kan sedan ta över kontakten med företaget avseende underlag när den hälsoekonomiska bedömningen formellt är initierad.

Som erfarenheter från covid-19-pandemin visar kan särskilda omständigheter innebära att nya aktörer eller konstellationer av aktörer behöver samverka kring inköps- och prioriteringsbeslut av läkemedel. Det innebär samtidigt att det kan vara fler eller andra aktörer än i TLV:s ordinarie processer som är i behov av TLV:s hälsoekonomiska bedömning. I de fall det rör sig om till exempel en ny pandemi där det finns mycket lite kunskap om sjukdomen och behandlingsområdet är det troligt att det till stor del är samma personer som har bäst kunskap på området och på så sätt även kan bidra med kunskap till TLV:s hälsoekonomiska bedömning. Det är därför nödvändigt att TLV i ett tidigt skede i arbetet med den hälsoekonomiska bedömningen får kännedom om hur de olika aktörerna samverkar och vilka förväntningar som finns på TLV:s hälsoekonomiska bedömning. Detta både för att TLV ska ha möjlighet att möta dessa förväntningar, och för att redan i ett tidigt skede identifiera om det är något som TLV bedömer inte faller inom ramen för en hälsoekonomisk bedömning, till exempel en viss analys eller liknande. TLV kan i en sådan situation även få information om eventuella behov av att beskriva till exempel ekonomiska och organisatoriska konsekvenser som ett komplement till de hälsoekonomiska analyserna.

4.3 Sekretessbestämmelser behöver anpassas

TLV behöver stöd för att skydda sekretessbelagda uppgifter

Vid utförande av hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel får TLV som huvudregel tillgång till hälsoekonomiska analyser och annat underlag från företagen. Dessa uppgifter omfattas helt eller delvis av sekretess enligt 30 kap. 23 § offentlighets- och sekretesslagen (2009:400), OSL, och sekretessen gäller enligt punkten 138 i bilagan till offentlighets- och sekretessförordningen (2009:641), OSF, *utredning hos TLV i ärenden om hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som används inom slutenvård*. För att möjliggöra för företagen att bidra med underlag även i den verksamhet som nu föreslås avseende brådskande hälsoekonomiska bedömningar under särskilda omständigheter, krävs att företagen kan garanteras att de inte behöver offentliggöra känsliga affärsmässiga uppgifter. Ett sekretesskydd motsvarande det som gäller för utredning hos TLV i ärenden om hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel, behöver därför säkerställas, förslagsvis genom ett tillägg i punkten 138 i bilagan till OSF (förslag i kursivt):

[Verksamheten består i] utredning hos Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket i ärenden om hälsoekonomiska bedömningar av produkter som omfattas av lagen (2021:600) med kompletterande bestämmelser till EU:s förordning om medicintekniska produkter eller av läkemedel som används inom slutenvård *eller som utförs vid spridning av samhällsfarliga sjukdomar, pandemier eller andra situationer där det förekommer särskilda omständigheter*.

TLV behöver stöd för att dela sekretessbelagda uppgifter

Syftet med TLV:s hälsoekonomiska bedömningar är att bidra till kunskap om läkemedlets kostnadseffektivitet. Bedömningarna ska ge mottagaren ett bättre underlag vid upphandling av läkemedlet i fråga och bidra till bättre utnyttjande av existerande och begränsade resurser. Dagens redovisningar av bedömningarna inom klinikläkemedelsuppdraget görs i form av ett kunskapsunderlag. För att huvudmännen ska kunna ta till sig och tillämpa bedömningarna på ett fullgott sätt behöver kunskapsunderlaget, utöver resultatet, innehålla resonemang och antaganden om olika scenarier, vilket delvis innehåller sekretessbelagda uppgifter. NT-rådet har ofta även behov av att ta del av ett utkast och resultat från kunskapsunderlaget innan underlaget publiceras.

De hälsoekonomiska bedömningarna som ska utföras på kort tid under särskilda omständigheter kan komma att initieras av och redovisas för andra aktörer än NT-rådet, till exempel andra myndigheter. Socialstyrelsen har framfört att de också har behov av att ta del av utkast och resultat innan underlaget publiceras eftersom det annars finns risk för obalans i tillgången till information mellan företagen och den aktör som ska upphandla det aktuella läkemedlet.

För att tillgodose syftet med de hälsoekonomiska bedömningarna och för att mottagaren ska kunna tillämpa bedömningarna på ett fullgott sätt bedömer TLV att kunskapsunderlagen även när det gäller brådskande hälsoekonomiska bedömningar vid särskilda omständigheter behöver innehålla resonemang och antaganden om olika scenarier, vilket som ovan nämnts delvis innehåller sekretessbelagda uppgifter.

Utgångspunkten är att sekretess gäller mellan myndigheter, men det finns ett antal bestämmelser som begränsar denna sekretess vilket motiveras med behovet av samarbete mellan myndigheter. Dessa redogörs för nedan:

- Enligt 10 kap. 2 § OSL kan sekretessbelagd uppgift lämnas till en enskild eller till en annan myndighet, om det är nödvändigt för att den utlämnande myndigheten ska kunna fullgöra sin verksamhet. Bestämmelsen ska tillämpas restriktivt och endast i de fall då det är nödvändigt för fullgörandet av ett visst åliggande som myndigheten har. Bestämmelsen bör inte användas för mer regelmässiga utlämnanden utan undantagsvis och först efter att myndigheten har konstaterat att det inte är möjligt att lösa situationen inom myndigheten. Regeringsrätten har ansett att sådant som behövs för att fullgöra de uppgifter som ålagts en myndighet genom instruktionen får anses utgöra en del av myndighetens verksamhet i enlighet med 10 kap. 2 § OSL (RÅ 1996 ref. 85).
- Enligt 10 kap. 27 § OSL får en sekretessbelagd uppgift lämnas till en myndighet, om det är uppenbart att intresset av att uppgiften lämnas har företräde framför det intresse som sekretessen ska skydda. Bestämmelsen ger en generell möjlighet för en myndighet att lämna sekretessbelagda uppgifter till en annan myndighet. Det krävs inte någon uttrycklig begäran

från den mottagande myndigheten för att ett utlämnande ska kunna ske utan en myndighet kan på eget initiativ lämna uppgifter till en annan myndighet med stöd av generalklausulen. För att bestämmelsen ska vara tillämplig krävs att det är *uppenbart* att intresset av att uppgiften lämnas ut har företräde framför det intresse som sekretessen ska skydda, vilket betyder att paragrafen enbart ska komma till användning i de fall där det står klart att intresset av ett utlämnande har företräde framför det intresse som sekretessen ska skydda. I tveksamma fall bör paragrafen således inte komma till användning. JO har i flera ärenden understrukit vikten av att utlämnanden med stöd av generalklausulen inte sker rutinmässigt utan måste föregås av en sådan verklig intresseavvägning i det enskilda fallet som generalklausulen förutsätter (JO 2013/14 s. 230).

- Enligt 10 kap. 28 § OSL hindrar sekretess inte en myndighets uppgiftsskyldighet som är reglerad i lag eller förordning. För att bestämmelsen ska vara tillämplig krävs att uppgiftsskyldigheten har viss konkretion. Uppgiftsskyldigheten ska antingen ta sikte på utlämnande av uppgifter av ett speciellt slag, gälla en viss myndighets rätt att få del av uppgifter i allmänhet eller avse skyldighet för en viss myndighet att lämna andra myndigheter information.

Ingen av dessa bestämmelser är tillämpliga gentemot NT-rådet som är en privaträttslig organisation och del av SKR. NT-rådet utgör därmed inte en enskild eller myndighet i lagens mening. TLV saknar i övrigt författningsstöd för att lämna ut sekretessbelagda uppgifter till NT-rådet, varför företagen idag behöver häva sekretessen för att TLV ska kunna dela den sekretessbelagda information som bedöms nödvändig med NT-rådet.

I de fall mottagaren av TLV:s kunskapsunderlag är en myndighet skulle TLV, under vissa förutsättningar, kunna dela sekretessbelagda uppgifter med andra myndigheter med stöd av redovisade bestämmelser. Mot en sådan tillämpning talar emellertid att 10 kap. 2 och 27 §§ OSL inte bör användas för mer regel- eller rutinmässiga utlämnanden utan undantagsvis. Det är också svårt att på förhand ange vilka konkreta uppgifter som kan komma att behöva lämnas ut vid ett författningsreglerat uppgiftslämnande. TLV konstaterar även att det finns lite relevant vägledning beträffande när det kan anses "nödvändigt" för att den utlämnande myndigheten ska kunna fullgöra sin verksamhet respektive "uppenbart" att intresset av att lämna ut uppgifter har företräde framför intresset som sekretessen ska skydda. För att ett utlämnande ska vara lämpligt krävs även att det finns stöd hos mottagaren för att skydda de sekretessbelagda uppgifterna, annars blir uppgifterna offentliga.

En enskild kan enligt 12 kap. 2 § OSL helt eller delvis häva sekretess som gäller till skydd för den enskilde. På motsvarande sätt blir uppgifterna vid sådan hantering offentliga om mottagaren lyder under tryckfrihetsförordningen och OSL och saknar stöd för att skydda de sekretessbelagda uppgifterna. Möjligheten att enligt 10 kap. 14 § OSL ställa upp ett förbehåll om att den som får ta del av uppgift efter begäran inte får sprida uppgiften vidare gäller enbart i förhållande till enskilda. Förbehåll

kan därför inte uppställas gentemot det offentliga. En hantering där företagen ombeds häva sekretessen i förhållande till en mottagande myndighet eller region är således inte lämplig.

En annan möjlighet som ger TLV stöd för att dela sekretessbelagda uppgifter är att en särskild bestämmelse om överföring av sekretess införs. TLV har idag möjlighet att dela sekretessbelagd information med regionerna i samband med överläggning enligt 9 och 13 §§ förmånslagen, vilket regleras i 30 kap. 25 § OSL. TLV föreslår därför en författningsreglerad överföring av sekretess för nu föreslagen verksamhet, men även i de fall annan myndighet initierar hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel eller medicintekniska produkter enligt befintligt uppdrag. Regleringen kan utformas på motsvarande sätt som i 30 kap. 25 § OSL, förslagsvis enligt följande lydelse:

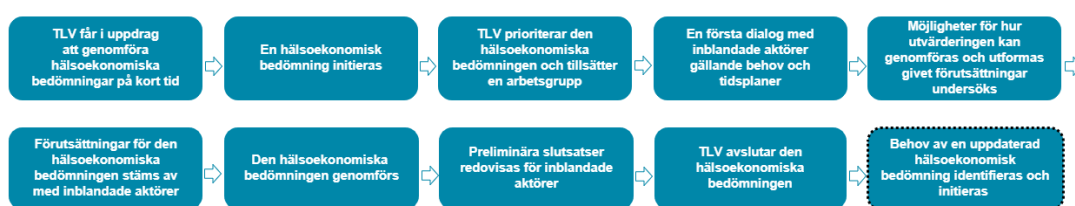
Om en myndighet, en region eller en kommun som inte ingår i en region, får en uppgift från Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket som förekommer i hälsoekonomiska bedömningar i fråga om läkemedel och medicintekniska produkter som inte ingår i läkemedelsförmånerna och som rekvireras till slutenvården eller upphandlas av regionerna eller som utförs vid spridning av samhällsfarliga sjukdomar, pandemier eller andra situationer där det förekommer särskilda omständigheter, som är sekretessreglerad enligt 30 kap. 23 § första stycket 1, blir sekretessbestämmelsen tillämplig på uppgiften även hos myndigheten, eller regionen.

För det fall TLV inte har stöd att lämna ut sekretessbelagda uppgifter till den aktör som har initierat en sådan, kan TLV:s kunskapsunderlag endast innehålla offentlig information.

5 Process för hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter

Som har framhållits i tidigare kapitel är det inte möjligt att på förhand förutse exakt vad eventuella framtida särskilda omständigheter innebär eller hur de påverkar möjligheterna för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid. I detta kapitel beskrivs därför en övergripande process som syftar till att vara vägledande för TLV när det gäller genomförande av hälsoekonomiska bedömningar i sådana situationer. Flera av delarna i denna nya process är desamma som i TLV:s ordinarie process gällande hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel. Den nya processen utgår dock från att det under särskilda omständigheter kan vara nya aktörer (eller konstellationer av aktörer) som initierar eller är i behov av TLV:s hälsoekonomiska bedömning, samt att TLV i stor utsträckning kommer att behöva anpassa utvärderingen efter tillgänglig tid och tillgång till underlag. Detta kan även innebära att TLV genomför andra typer av hälsoekonomiska analyser än de som TLV:s normalt sett genomför – till exempel enklare sammanställningar över tillgänglig evidens eller analys över budgetpåverkan (se appendix). Processen utgår även från att TLV prioriterar den aktuella hälsoekonomiska bedömningen framför andra bedömningar och tillför ärendet tillräckligt med utredarresurser.

I figur 2 illustreras den övergripande processen följt av en kortare beskrivning av respektive moment. I framtagningen av processen har TLV utgått från lärdomar från utvärderingar av läkemedel som används vid covid-19 vilka återges i kapitel 3.



Figur 2 En illustrativ beskrivning av den övergripande processen för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter

I rapportens appendix exemplifierar TLV hur hälsoekonomiska bedömningar kan utformas givet olika förutsättningar.

TLV får i uppdrag att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid

TLV får i uppdrag från regeringen att utföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid givet att det råder särskilda omständigheter, som till exempel en pandemi eller en annan krissituation.

En hälsoekonomisk bedömning initieras

En aktör med ansvar för prioritering eller inköp av viktiga läkemedel initierar en hälsoekonomisk bedömning genom att kontakta TLV. Den som initierar bedömningen ska specificera vilket användningsområde den hälsoekonomiska bedömningen ska avse, vilka omständigheter som gett upphov till behovet av den hälsoekonomiska bedömningen och tydliggöra vilken tidsram som TLV behöver anpassa den hälsoekonomiska bedömningen utifrån.

Den aktör som initierar den hälsoekonomiska bedömningen bör även ha varit i kontakt med aktuellt företag för att meddela att man avser initiera en bedömning samt meddela om en sådan kommer att ligga till grund för ett inköps- eller prioriteringsbeslut. I en sådan kontakt bör den aktör som sedan initierar den hälsoekonomiska bedömningen även uppmana företaget att bidra till denna genom att komma in med underlag till TLV.

TLV prioriterar den hälsoekonomiska bedömningen och tillsätter en arbetsgrupp

TLV konstaterar att det är fråga om ett ärende som ska prioriteras och tillsätter en arbetsgrupp. Sammansättningen av arbetsgruppen anpassas efter de efterfrågande hälsoekonomiska bedömningarnas omfattning.

En första dialog med inblandade aktörer gällande behov och tidsplaner

TLV kontaktar den aktör som har initierat den hälsoekonomiska bedömningen samt andra aktörer som kan komma att beröras av inköps- och prioriteringsbesluten och tillser att nödvändig information gällande behovet bakom den hälsoekonomiska bedömningen samt aktuella tidplaner lämnas på lämpligt sätt.

Vid behov kan ett gemensamt möte övervägas där även aktuellt företag ges möjlighet att delta och delge inblandade aktörer en samlad information kring hur företaget avser tillgängliggöra läkemedlet i Sverige samt på vilket sätt de avser bidra med underlag till en hälsoekonomisk bedömning.

Möjligheter för hur utvärderingen kan genomföras och utformas givet förutsättningar undersöks

Givet det behov och den tidsram som finns för den hälsoekonomiska bedömningen, undersöker TLV hur utvärderingen bäst kan utföras. Detta inkluderar att:

- Kontakta aktuellt företag med förfrågan om att komma in med underlag för en hälsoekonomisk bedömning inom angiven tidsram.
- Undersöka om den hälsoekonomiska bedömningen kan baseras – helt eller delvis – på andra uppgifter än de från företaget: Finns det offentliga data över klinisk effekt? Finns det tillgängliga hälsoekonomiska bedömningar från andra länder eller organisationer? Finns det tillgängliga registerdata som kan användas som underlag för en hälsoekonomisk analys?
- Undersöka om det är möjligt för TLV att ta fram egna hälsoekonomiska modeller som kan användas för bedömningen – särskilt i situationer där TLV kan komma att behöva göra hälsoekonomiska bedömningar för flera läkemedel för samma sjukdom.
- Identifiera behovet av och tillgång till extern klinisk expertis: Finns det till exempel expertgrupper inom regionerna eller myndigheter som kan nyttjas?

Baserat på de identifierade förutsättningarna för en hälsoekonomisk utvärdering gör TLV en bedömning av hur denna kan utformas och vilken typ av hälsoekonomisk metod för utvärdering som är bäst lämpad och möjlig. TLV gör även en uppskattning av den hälsoekonomiska bedömningens relevans givet förutsättningarna, det vill säga om det är möjligt att utifrån bedömningen kunna dra slutsatser kring vilket pris som kan anses vara rimligt.

I det fall det inte finns tillräckligt med underlag tillgängligt för att kunna dra några slutsatser avseende den relativa effekten – till exempel i situationer där TLV har blivit ombett att göra en bedömning av ett läkemedel för en användning utanför den studerade indikation och där det helt saknas uppgifter om klinisk effekt – kan TLV komma till slutsatsen att det inte är möjligt att utföra en relevant bedömning av läkemedlets kostnadseffektivitet. I en sådan situation kan TLV se över möjligheterna att genomföra andra typer av hälsoekonomiska bedömningar, till exempel en sammanställning och analys av publikt tillgängliga kliniska och hälsoekonomiska analyser eller en budgetpåverkansanalys, om det är något som TLV bedömer kan bidra till ett inköps- eller prioriteringsbeslut. I appendix exemplifieras hur TLV kan genomföra olika hälsoekonomiska bedömningar givet vilket underlag och vilken tid som finns tillgängligt.

Förutsättningar för den hälsoekonomiska bedömningen stäms av med inblandade aktörer

När TLV har kartlagt möjligheter och förutsättningar för den hälsoekonomiska bedömningen bjuder TLV in den aktör som har initierat bedömningen samt eventuella andra aktörer som är delaktiga i inköps- eller prioriteringsbeslut av det aktuella läkemedlet till en avstämning. Syftet med mötet är att informera om vad den hälsoekonomiska bedömningen kan svara på givet förutsättningarna – framför allt utifrån tillgång till underlag och data – och den tid som TLV har till förfogande.

I det fall där det är många aktörer inblandade i en process för inköp och prioritering, och särskilt i de fall detta ska ske brådskande och handlar om ett nytt sjukdomsområde, är det viktigt att TLV tydliggör vilka frågor som den hälsoekonomiska bedömningen kan och ska besvara. Mötet kan därmed även syfta till att fånga behov för andra typer av analyser som inte ryms inom TLV:s hälsoekonomiska bedömning, men som kan vara nödvändiga att utföra av annan aktör.

Genom mötet får TLV även möjlighet att fånga upp eventuella aspekter som inte vanligen ingår i TLV:s hälsoekonomiska bedömningar, men där den särskilda omständigheten gör dessa relevanta att antingen inkludera kvantitativt i den hälsoekonomiska analysen eller att föra ett resonemang kring. Det kan exempelvis röra sig om nya typer av kostnader förknippande med behandlingen så som administrering, logistik eller organisatoriska aspekter, eller resonemang kring vilken budgetpåverkan som användning av det nya läkemedlet kan medföra.

Den hälsoekonomiska bedömningen genomförs

TLV genomför den hälsoekonomiska bedömningen utifrån det underlag som finns tillgängligt och den tidplan TLV behöver förhålla sig till. Liksom i samtliga av TLV:s

utvärderingar av klinikläkemedel, bör den innehålla detaljerade känslighetsanalyser som baseras på tydliga antaganden för att möjliggöra för mottagaren av utvärderingen att själva göra en förnyad bedömning i de fall förutsättningarna ändras, som till exempel ändrade priser eller ny dosering.

Preliminära slutsatser redovisas för inblandade aktörer

Innan TLV avslutar den hälsoekonomiska bedömningen redovisar TLV sin utredning och preliminära slutsatser för den aktör som har initierat bedömningen samt eventuella andra aktörer som har varit med tidigare i processen. Syftet är att uppmärksamma eventuella aspekter som kan ha förbisetts under utredningens gång.

TLV avslutar den hälsoekonomiska bedömningen

Resultatet av TLV:s hälsoekonomiska bedömning sammanställs i en rapport. Så långt som möjligt och utifrån tillgänglig tid ges företaget som tillhandahåller det läkemedel som är föremål för den hälsoekonomiska bedömningen tillfälle att komma in med synpunkter på rapporten, oavsett om företaget har bidragit med underlag till utvärderingen eller inte. Om företaget har bidragit med underlag som TLV har använt i bedömningen ges företaget möjlighet att komma in med synpunkter på vilka uppgifter som enligt företaget omfattas av sekretess innan TLV tillgängliggör rapporten på myndighetens webbplats. Hur lång tid företaget får till förfogande för synpunkter kan behöva vara kortare än i TLV:s ordinarie process för utvärderingar av klinikläkemedel.

Behov av en uppdaterad hälsoekonomisk bedömning identifieras och initieras

Ett uppföljningsmöte mellan beställare och TLV bör genomföras för att dra lärdomar och utreda om utvärdering motsvarat beställarens behov. Om det på grund av nya omständigheter finns behov av en uppdaterad utvärdering behöver en ny beställning initieras. Beroende på vad det är för ändrad omständighet som föranleder behovet för uppdateringen kan det antingen innebära en mindre justering av tidigare analyser (till exempel vid förändrade priser), eller att bedömningen behöver göras om helt (till exempel om nya behandlingsalternativ som utgör nytt jämförelsealternativ eller nya effektdata tillkommit). Det är viktigt att den som initierar en uppdaterad hälsoekonomisk bedömning väger behovet av en sådan mot eventuella bedömningar av nya läkemedel som behöver utföras skyndsamt.

6 Avslutande reflektioner

Inom detta uppdrag har TLV genomfört hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som används vid covid-19, undersökt förutsättningarna för att i bedömningarna väga in andra tillgängliga data än de läkemedelsföretaget tillhandahåller samt skapat en process för att utföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid under särskilda omständigheter.

TLV ser positivt på att hälsoekonomiska bedömningar utförs av myndigheten och utgör en del av ett beslutsunderlag inför prioritering och inköp av viktiga läkemedel under särskilda omständigheter, som till exempel en pandemi. Erfarenheterna från covid-19-pandemin har visat att kriser kan leda till att ordinarie processer och strukturer, för till exempel inköp av läkemedel, sätts ur spel och att nya former för samverkan mellan olika aktörer måste skapas. Detta behöver TLV förhålla sig till i framtida situationer när myndigheten ska bistå andra aktörer genom att utföra hälsoekonomiska bedömningar vid särskilda omständigheter. Samtidigt är det viktigt att det i en sådan samverkan tydliggörs vilket ansvar som ligger på de olika aktörerna samt att rätt förväntningar finns på vad TLV:s hälsoekonomiska bedömning kan svara på, givet de förutsättningar som finns avseende bland annat tillgång till underlag som krävs för att kunna genomföra en sådan. I en framtida kris där det är viktigt att skyndsamt säkra tillgång till kritiska läkemedel ser TLV att myndigheten gärna involveras tidigt i samverkan och dialog med andra aktörer, för att på bästa sätt bidra med expertis kring hälsoekonomi och prissättning av läkemedel. TLV vill även lyfta vikten av att regeringsuppdrag till olika myndigheter som utifrån sina expertområden ska bidra till att säkra tillgång till kritiska läkemedel koordineras, för att säkra en effektiv process och samverkan.

Processen för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid som TLV har tagit fram och beskriver i denna rapport, karaktäriseras av en högre grad av anpassning efter rådande situation jämfört med TLV:s ordinarie och väletablerade process för hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel. Likväl behöver det finnas en tydlighet för inblandade aktörer kring när TLV ska utgå från denna process i stället för den ordinarie processen för hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel. TLV föreslår därför att det är regeringen som bör avgöra när det råder särskilda omständigheter och när det finns behov av att TLV ska stötta aktörer inom hälso- och sjukvården inför inköp av läkemedel genom att genomföra hälsoekonomiska bedömningar på kort tid. Beroende på omfattningen av denna verksamhet kan regeringen då behöva tillföra myndigheten nödvändiga medel för att arbetet med dessa hälsoekonomiska bedömningar inte ska tränga undan annan angelägen verksamhet inom myndigheten.

Även om en hälsoekonomisk bedömning i sig inte påverkas i så stor utsträckning av hur ett läkemedel köps in till Sverige eller hur det tillhandahålls för patienten, vill TLV ändå betona att även under särskilda omständigheter bör läkemedelsföretagen, i så hög utsträckning som möjligt, förhålla sig till de ordinarie processer som finns

för inköp och tillhandahållande av läkemedel. Detta innebär till exempel att för läkemedel som är avsedda att skrivas ut på recept, bör företaget ansöka om att detta ska ingå i läkemedelsförmånerna så att patienten själv kan hämta ut läkemedlet på apotek i stället för att regioner eller staten ska köpa in sådana läkemedel och ge till patienter som inte vårdas ineliggande på klinik. Samtidigt vill TLV påpeka att förmånslagstiftningen förutsätter att alla läkemedel i princip ska behandlas på samma sätt och myndigheten har således inte stöd för någon särskild hantering av läkemedel som är angelägna på grund av en krissituation, till exempel spridning av en samhällsfarlig sjukdom. Även om myndigheten i vissa fall kan ge förtur åt ett ärende på grund av dess brådskande natur saknas idag förutsättningar att göra undantag när det gäller de kriterier som i enlighet med 15 § förmånslagen måste vara uppfyllda för att TLV ska kunna fatta beslut om att läkemedlet ska ingå i förmånerna, oavsett vilka förhållanden som ligger till grund för ansökan. TLV har tidigare påtalat betydelsen av författningsändringar i detta avseende¹⁴.

Vidare vill TLV lyfta fram att det i en framtida liknande situation som den vid covid-19-pandemin kan vara en fördel att det utförs EU-gemensamma HTA-utvärderingar som kan användas både i eventuella EU-gemensamma och bilaterala inköpsprocesser.

Slutligen, TLV ser fram emot att fortsätta stötta regioner och eventuella andra aktörer med hälsoekonomiska bedömningar – under såväl ordinarie som särskilda omständigheter – och genom dessa bidra till en jämlik tillgång till kostnadseffektiva läkemedel i hela landet.

¹⁴ Se Uppdrag att stärka tillgången till äldre antibiotika – regeringsuppdrag (dnr 2746/2021), Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, 2022.

Referenser

- Elvidge , J., & Dawoud, D. (2021). Assessing Technologies for COVID-19: What are the Challenges for Health Technology Assessment Agencies? Findings From a Survey and Roundtable Workshop. *PharmacoEconomics* 39, 1455-1463.
- Elvidge, J., Summerfield, A., Knies, S., Németh, B., Kaló, Z., Goettsch, W., & Dawoud, D. (2021). *On behalf of the COVID-19 HTA best-practice guidance development group. Best-practice guidance for the health technology assessment of diagnostics and treatments for COVID-19.*
- Yeung K, W. M. (2022). *Special Assessment of Outpatient Treatments for COVID-19. Evidence report.* Institute for Clinical and Economic Review (ICER).

Appendix

Hur TLV kan anpassa den hälsoekonomiska bedömningen efter tillgänglig tid och tillgång till evidens

Som TLV har lyft fram tidigare i denna rapport behöver en hälsoekonomisk bedömning som ska genomföras på kort tid under särskilda omständigheter i stor utsträckning anpassas efter den tid och det evidensunderlag som finns till förfogande. Detta appendix syftar till att tydliggöra hur hälsoekonomiska bedömningar kan utformas givet olika förutsättningar.

TLV har uppdrag att utföra hälsoekonomiska bedömningar som bidrar till en mer kostnadseffektiv användning av läkemedel. TLV levererar vanligtvis hälsoekonomiska bedömningar baserat på företagets underlag. Att genomföra en hälsoekonomisk bedömning och utreda ett läkemedels kostnadseffektivitet i enlighet med TLV:s ordinarie process, förutsätter att det finns tillgång till ett evidensunderlag avseende den relativa effekten. En utmaning för utvärderande myndigheter som TLV är att kunna genomföra hälsoekonomiska bedömningar baserat på begränsad evidens, vilket innebär att en högre grad av osäkerhet behöver hanteras.

I tabell 1 nedan presenteras en schematisk tabell som övergripande summerar hur TLV:s hälsoekonomiska bedömningar kan genomföras under olika förutsättningar avseende tid till förfogande och tillgängligt evidensunderlag.

Den nedre högra kvadranten representerar en hälsoekonomisk bedömning i enlighet med TLV:s ordinarie process. Den övre högra kvadranten representerar en situation där TLV har tillgång till företagets underlag men begränsat med tid. I en sådan situation kan TLV redovisa en förenklad hälsoekonomisk bedömning med utgångspunkt från företagets underlag. TLV kan exempelvis redovisa vilka parametrar som har störst påverkan på resultatet genom att utföra känslighetsanalyser. Den nedre vänstra kvadranten representerar en situation där TLV inte har tillgång till företagets underlag och tid att genomföra en hälsoekonomisk bedömning utan begränsning i tid. I en sådan situation kan TLV genomföra en förenklad hälsoekonomisk bedömning exempelvis baserat på offentliga uppgifter. Den övre högra kvadranten representerar en situation där TLV inte har tillgång till företagets underlag och begränsat med tid. I en sådan situation kan TLV anpassa den hälsoekonomiska bedömningen genom att redovisa en sammanställning av tillgänglig evidens samt beskriva ekonomiska och organisatoriska konsekvenser.

Tabell 3: Schematisk beskrivning av exempel på hälsoekonomiska bedömningar som TLV kan genomföra under olika förutsättningar.

	Evidens (mindre**)	Evidens (mer**)
Tid (mindre än 3 månader)	<p>TLV kan: Sammanställa tillgänglig evidens kring effekt och säkerhet Beskriva ekonomiska och logistiska/organisatoriska konsekvenser</p>	<p>TLV kan: Göra en förenklad hälsoekonomisk bedömning med utgångspunkt från/ baserad på företagets inlämnade uppgifter/underlag där drivande* variabler illustreras/presenteras i TLV:s känslighets- och/eller scenarioanalyser</p>
Tid (mer än 3 månader)	<p>TLV kan: Göra en förenklad hälsoekonomisk bedömning kring förväntade kostnadsbesparingar på annan sjukvård (till exempel. sjukvårdsinläggningar) givet visad effekt och jämfört med att inte använda läkemedlet TLV kan ta fram egen hälsoekonomisk modell för enklare kostnadseffektivitetsberäkningar</p>	<p>TLV kan: Göra en hälsoekonomisk bedömning (i enlighet med ordinarie process)</p>

*TLV identifierar drivande variabler i företagets hälsoekonomiska modell dvs de parametrar som har störst påverkan på resultatet.

**Mindre; Inte tillgång från sammanställt underlag kring klinisk effekt och hälsoekonomisk analys. Tillgång till enstaka publikt tillgängliga artiklar eller data. Mer; Tillgång till underlag över effekt och hälsoekonomisk analys som företaget har sammanställt.

I tabell 2 exemplifieras ytterligare vad TLV:s hälsoekonomiska bedömningar potentiellt kan svara på under ett scenario där en sådan behöver genomföras på kort tid och där det finns begränsat med kunskap kring sjukdomen och det aktuella läkemedlets effekt. Det är värt att betona att det som presenteras i tabellen ska ses som just exempel på hur TLV:s hälsoekonomiska bedömning kan utformas givet det hypotetiska scenario som presenteras.

Tabell 2: Exempel på scenario och beskrivning av vad TLV:s hälsoekonomiska bedömningar kan svara på

<p>Hypotetiskt scenario:</p> <ul style="list-style-type: none"> • En pandemi råder som innebär spridning av en ny samhällsfarlig virussjukdom • Ett nytt läkemedel mot den aktuella sjukdomen är under utveckling har ännu ej fått regulatoriskt godkännande • Företaget har redovisat vissa resultat om läkemedlets effekt från pågående klinisk studie företagets kliniska studie • Resultatet från studier visar minskad risk för sjukhusinläggning och död jämfört med placebo • TLV har inte tillhandahållit något underlag från företaget • TLV har blivit ombedd av inköpande aktör att genomföra en hälsoekonomisk bedömning inför en kommande upphandling • TLV har tre veckor till förfogande för att genomföra en hälsoekonomisk bedömning • TLV har inget pris på det aktuella läkemedlet
<p>TLV kan:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Sammanställa tillgänglig evidens kring effekt och säkerhet • Göra en förenklad hälsoekonomisk analys kring kostnadsbesparingar på annan sjukvård (t.ex. sjukvårdsinläggningar) givet visad effekt och jämfört med att inte använda det nya läkemedlet • Om data över infektionsrisk finns: skatta förväntad total besparing på annan sjukvård. Om data över risk för död: skatta hur många förlorade QALY som kan undvikas vid behandling med läkemedlet.
<p>TLV:s hälsoekonomiska bedömning kan inte svara på:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Vad den relativa effekten är jämfört med andra eventuella behandlingar • Hur kostnadseffektiviteten ser ut för olika patientgrupper • Vilka som har störst behov av behandling

- Hur behandlingen påverkar patienters livskvalitet

TLV behöver:

- Information om aktuella behandlingsstrategier och kostnader för dessa
- Information om infektionsrisk eller risk för död
- Stöd från kliniska experter kring bedömning huruvida studieresultat är relevanta utifrån svensk klinisk praxis och sjukdomens utveckling