

Uppdrag att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av nya läkemedel med fokus på cancer

Delrapport från regeringsuppdrag

2024

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

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, 01, 2024
Kontaktperson: Ida Ahlberg

Diarienummer: 02344/2023

Postadress: Box 22520, 104 22 Stockholm
Besöksadress: Fleminggatan 14, Stockholm
Telefon: 08 568 420 50
www.tlv.se

Förord

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV, är en statlig myndighet som ska verka för en ändamålsenlig och kostnadseffektiv läkemedelsanvändning och tandvård, god tillgänglighet till läkemedel i samhället och en väl fungerande apoteksmarknad. TLV beslutar om pris och subvention av läkemedel och förbrukningsartiklar inom läkemedelsförmånerna, regler för apoteksmarknaden och apotekens handelsmarginal samt högkostnadsskydd och referenspriser för tandvård. Vi tar också fram hälsoekonomiska bedömningar av slutenvårdsläkemedel och medicinteknik. Att utöva tillsyn enligt lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. ingår också i myndighetens uppdrag.

Den omfattande forskningen inom bland annat precisionsmedicin har lett till nya behandlingsprinciper för cancer. Det innebär att många läkemedel som kan få stor betydelse för patienter med cancer kan bli tillgängliga. Samtidigt innebär nya cancerläkemedel också höga kostnader för sjukvården.

TLV fick i juni 2023 i uppdrag av regeringen att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av cancerläkemedel som ska användas vid klinik, på förfrågan från regionerna. Under flera år har regionernas efterfrågan på sådana underlag varit högre än TLV haft kapacitet att leverera.

I januari 2024 förlängdes uppdraget i två år till januari 2026. Inom regeringsuppdraget har TLV under 2023 förberett för en förlängning genom att utveckla effektivare processer för klinikläkemedel, med det långsiktiga målet att kunna genomföra fler hälsoekonomiska bedömningar med kortare handläggningstider. I denna rapport beskrivs också de hälsoekonomiska bedömningar av cancerläkemedel som TLV levererat under 2023 på förfrågan från regionerna.

Agneta Karlsson

Generaldirektör, TLV

Innehåll

Förord	3
Sammanfattning	5
1 Nulägesbeskrivning och syfte	7
1.1 TLV fick i uppdrag av regeringen att göra hälso-ekonomiska bedömningar av cancerläkemedel.....	7
1.1.1 Behovet av TLV:s hälsoekonomiska bedömningar har ökat.....	7
1.1.2 Klinikläkemedelsuppdraget har bidragit till att läkemedel bedöms på liknande sätt, oavsett om de är förmånsläkemedel eller klinikläkemedel....	8
1.1.3 Behovet har överskridit det antal utvärderingar som TLV:s klinikläkemedelsuppdrag varit dimensionerat för	9
1.1.4 Långa handläggningstider har lett till att NT-rådet behövt prioritera hårdare bland läkemedel som behöver hälsoekonomisk bedömning	9
1.1.5 De långa handläggningstiderna får konsekvenser för patienter och företag	10
2 Genomfört arbete	11
2.1 TLV har genomfört nio hälsoekonomiska bedömningar av cancerläkemedel under 2023	11
2.1.1 CAR-T-terapi	11
2.1.2 Målriktade cancerläkemedel	12
2.1.3 TLV påbörjade flera hälsoekonomiska bedömningar för cancerläkemedel under 2023	13
2.2 TLV har utvärderat ytterligare fem klinikläkemedel under året	14
2.3 TLV har utvecklat sin process för klinikläkemedel.....	14
3 Bedömning av fortsatt behov	15
3.1 Utvecklingen går mot allt fler klinikläkemedel som behöver hanteras i en nationell process.....	15
3.1.1 Framsteg inom precisionsmedicin gör att antalet nya cancerläkemedel som behöver hälsoekonomisk bedömning väntas öka .	15
3.1.2 Hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel är viktiga också för andra terapiområden	15
3.1.3 EU-gemensamma utvärderingar av läkemedel kan påverka behovet av hälsoekonomiska bedömningar	16
3.2 TLV behöver långsiktiga förutsättningar att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel.....	16
Referenser	18

Sammanfattning

De hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel TLV genomför på förfrågan från Rådet för nya terapier (NT-rådet) är en grundläggande komponent i ett jämlikt, ordnat och kostnadseffektivt införande av nya klinikläkemedel. De är också en förutsättning för att läkemedel ska värderas på likartade grunder oavsett om de förskrivs på recept eller rekvireras till slutenvården.

De senaste åren har regionerna genom NT-rådet haft behov av betydligt fler hälsoekonomiska bedömningar än TLV:s klinikläkemedelsuppdrag är dimensionerat för. Följden har blivit att handläggningstiden för hälsoekonomisk bedömning av klinikläkemedel blivit allt längre. Det innebär att patienter riskerar att försämrans i sitt sjukdomstillstånd i väntan på behandling.

TLV fick i juni 2023 i uppdrag av regeringen att genomföra fler hälsoekonomiska bedömningar av cancerläkemedel, och uppdraget förlängdes i januari 2024 till januari 2026. Givet den korta tiden, sju månader, fram till denna delrapport, har TLV haft begränsade möjligheter att rekrytera den personal som skulle krävas för att öka kapaciteten när det gäller hälsoekonomiska bedömningar för 2023. TLV har inom ramen för uppdraget arbetat med att utveckla myndighetens arbetssätt med det långsiktiga målet att öka antalet utredningar och förkorta handläggningstider.

Under 2023 har TLV genomfört nio hälsoekonomiska bedömningar för cancerläkemedel. Två av dessa var genterapier och övriga olika typer av målsökande cancerbehandlingar, av vilka flera byggde på nya behandlingsprinciper. Utöver detta har fem hälsoekonomiska bedömningar tagits fram för andra klinikläkemedel. För att effektivisera arbetet har TLV uppdaterat sin process för hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel.

Många cancerläkemedel som behöver ges inom slutenvården och som kan innebära stor patientnytta är på väg mot marknaden de närmaste åren. Exempelvis är flera potentiellt botande gen- och cellterapier (ATMP) under utveckling för både cancer och svåra sällsynta sjukdomar.

TLV bedömer därför att behovet av hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel kommer att öka ytterligare jämfört med idag. Det finns också andra faktorer i omvärlden, som genomförandet av den nya EU-förordningen om unionsgemensamma utvärderingar av medicinsk teknik som träder i kraft 2025, som leder till höjda förväntningar på hälsoekonomiska bedömningar utan onödiga dröjsmål.

Regeringen behöver säkerställa att TLV har långsiktiga och tillräckliga resurser för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel. Det är en viktig förutsättning för att svenska patienter på ett jämlikt sätt ska få ta del av forskningsframsteg inom cancer och andra svåra sjukdomar.

1 Nulägesbeskrivning och syfte

1.1 TLV fick i uppdrag av regeringen att göra hälsoekonomiska bedömningar av cancerläkemedel

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) fick den 29 juni 2023 i uppdrag av regeringen att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av nya läkemedel som ska användas på klinik, utifrån förfrågningar från regioner, med fokus på läkemedel som är avsedda att användas för behandling av cancer¹. Uppdraget förlängdes i januari 2024 till att gälla fram till januari 2026.

TLV har inom ramen för regeringsuppdraget arbetat med dels att genomföra fler hälsoekonomiska bedömningar av cancerläkemedel, dels att förbereda för att öka kapaciteten för sådana inför en förlängning av uppdraget.

Givet den korta tiden, sju månader, för regeringsuppdraget innan regeringen fattade beslut om förlängning har TLV haft begränsade möjligheter att genomföra fler hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel under uppdragstiden. Det beror på att det krävs rekrytering av hälsoekonomer och medicinska utredare för att uppnå en ökning av kapaciteten vid myndigheten. Detta har bara i begränsad omfattning varit möjligt.

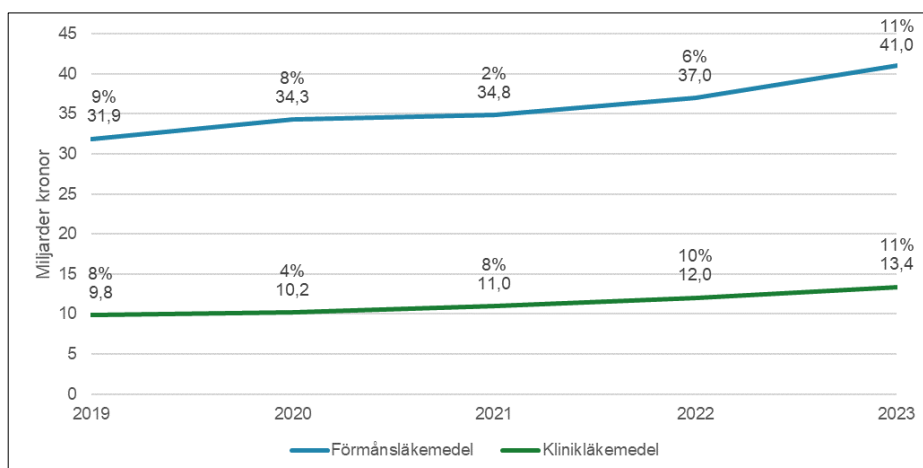
1.1.1 Behovet av TLV:s hälsoekonomiska bedömningar har ökat

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

De hälsoekonomiska bedömningar som TLV gör av klinikläkemedel efter förfrågan från Rådet för nya terapier (NT-rådet), är en viktig förutsättning för att patienter ska få tillgång till nya behandlingar så tidigt som möjligt och på ett jämlikt sätt över landet. Det gäller inte minst inom cancerområdet, där många behandlingar är klinikläkemedel som används inom slutenvården.

Kostnaderna för klinikläkemedel har ökat de senaste åren, se Figur 1. År 2023 var ökningen 11 procent.

¹ Regeringskansliet 2023: Uppdrag att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av nya läkemedel med fokus på cancer



Figur 1: Totala kostnader (AUP) 2018 - 2022 för läkemedel inom förmånerna och för klinikläkemedel som rekvireras till sjukhusen. Den årliga förändringen anges ovanför linjerna.

1.1.2 Klinikläkemedelsuppdraget har bidragit till att läkemedel bedöms på liknande sätt, oavsett om de är förmånsläkemedel eller klinikläkemedel

TLV har sedan 2015 genomfört hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel efter förfrågan från NT-rådet. Regionerna har en gemensam process för nationellt ordnat införande, där NT-rådet bland kommande klinikläkemedel som förväntas få en stor inverkan på hälso- och sjukvården, utser läkemedel som hanteras i den gemensamma processen för att säkerställa ordnat, jämlikt och kostnadseffektivt införande i hela landet. För dessa läkemedel ber NT-rådet TLV att genomföra en hälsoekonomisk bedömning som sedan används som grund för en rekommendation om användning av läkemedlet till regionerna².

NT-rådets rekommendationer bygger på den etiska plattformen för prioritering i hälso- och sjukvården. Processen innebär därför att nya läkemedel hanteras utifrån liknande värdebaserade bedömningsgrunder oavsett om de hanteras genom förmånsansökan hos TLV eller som klinikläkemedel genom NT-rådet.

När processen för nationellt ordnat införande etablerades var en viktig målsättning att tillgången till nya angelägna läkemedel för patienter skulle ske utan onödiga dröjsmål³. Processen bygger på att regionerna genom horisontspaning börjar förbereda införandet i god tid innan läkemedlet finns på marknaden och utser läkemedel för nationell samverkan och att de hälsoekonomiska bedömningarna som ligger till grund för NT-rådets rekommendation, kan inledas så tidigt som möjligt i anslutning till läkemedlets marknadsgodkännande.

² Regionernas samverkansmodell för läkemedel (2023a): Process – ordnat införande

³ SKR (2014): Ordnat införande i samverkan

1.1.3 Behovet har överskridit det antal utvärderingar som TLV:s klinikläkemedelsuppdrag varit dimensionerat för

Efterfrågan på TLV:s hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel har under de senaste åren överstigit kapaciteten att genomföra sådana. Många läkemedel som bygger på nya behandlingsprinciper når marknaden, inte minst inom cancerområdet, och för dessa har regionerna ofta behov av nationell samverkan genom NT-rådet. Utvecklingen avspeglas i antalet förfrågningar om hälsoekonomiska bedömningar från NT-rådet, som har ökat över tid, se Tabell 1. Där framgår att NT-rådet efterfrågat mellan 21 och 26 bedömningar per år mellan 2019 och 2022. Samtidigt har TLV:s klinikläkemedelsuppdrag varit dimensionerat för betydligt färre. Budgetmässigt motsvarar TLV:s resurser för klinikläkemedel omkring 8 bedömningar per år, men genom omfördelningar av resurser inom myndigheten har något fler bedömningar kunnat levereras. Som framgår i Tabell 1, är det levererade antalet ändå mindre än vad som efterfrågats.

Följden har blivit en kö av ärenden, vilket lett till att handläggningstiderna blivit allt längre. Detta fördröjer regionernas efterföljande process med förhandling om pris, rekommendationer och införande av nya behandlingar till patienter.

Tabell 1: Efterfrågade hälsoekonomiska bedömningar från NT-rådet, totalt antal genomförda hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel samt handläggningstid per år. Bedömningarna genomförs löpande och kan avse sådana som efterfrågats tidigare år. Bedömningar och handläggningstid för cancerläkemedel (ATC-kod L01) anges inom parentes.

	2019	2020	2021	2022	2023
Efterfrågade bedömningar	21(12)	26(17)	25(13)	23(15)	17(6)
Levererade bedömningar	12(8)	14(8)	12(6)	12*(8)	14(9)
Genomsnittlig handläggningstid**	151(160)	153(145)	251(286)	285(252)	281(327)

*Källa: TLV och NT-rådet. *I tillägg har TLV genomfört tre utvärderingar för klinikläkemedel vid covid-19 inom ramen för ett regeringsuppdrag⁴. **Från att företagets underlag inkommit till TLV, tills färdig rapport expedierats.*

1.1.4 Långa handläggningstider har lett till att NT-rådet behövt prioritera hårdare bland läkemedel som behöver hälsoekonomisk bedömning

Antalet efterfrågade hälsoekonomiska bedömningar var lägre 2023 än tidigare år, se Tabell 1. Det beror på att NT-rådet i större utsträckning behövt prioritera vilka läkemedel som ska utvärderas genom hälsoekonomisk bedömning av TLV, för att hantera att TLV inte haft möjlighet att genomföra så många bedömningar som efterfrågats. Prioriteringen kan exempelvis innebära att NT-rådet inte ber om hälsoekonomisk bedömning av läkemedel med liknande verkningsmekanism om det sedan tidigare finns en sådan hälsoekonomisk bedömning, eller att NT-rådet inte ber om hälsoekonomisk bedömning för läkemedel för en senare linje i en cancerbehandling, om man har en pågående utredning av en tidigare linje för samma cancerform⁵.

⁴ TLV (2023a): Att genomföra hälsoekonomiska bedömningar under särskilda omständigheter

⁵ NT-rådet (2023)

Den hårdare prioriteringen innebär, enligt NT-rådet, en ökad osäkerhet för regionerna. Exempel på problem som kan uppstå är att om ett utvärderat läkemedel inte visar sig vara kostnadseffektivt har ingen hälsoekonomisk bedömning inletts för nästa alternativ, vilket fördröjer införandet av ny behandling för patienter ytterligare. Prioriteringen kan också innebära att antalet behandlingsalternativ för en sjukdom begränsas. Att nya läkemedel inte hanteras genom nationellt ordnat införande utan av respektive region, kan leda till risk för ojämlig tillgång för patienter⁵.

1.1.5 De långa handläggningstiderna får konsekvenser för patienter och företag

Långa handläggningstider för hälsoekonomiska bedömningar, och därmed fördröjning av NT-rådets efterföljande rekommendation, kan innebära svåra konsekvenser för patienter. Patienter kan riskera att försämras i sin sjukdom i väntan på ett nytt läkemedel, eller, om det exempelvis rör sig om cancersjukdomar med snabbt förlopp, hinna avlida innan ett möjligt behandlingsalternativ blir tillgängligt.

Enligt Branschföreningen för de forskande läkemedelsföretagen, Lif, innebär nuvarande situation svårigheter för företag att planera inträde på den svenska marknaden. Det beror på att det blir oförutsägbart om ett klinikläkemedel kommer att utses av NT-rådet för nationellt ordnat införande och analyseras av TLV med avseende på hälsoekonomi. Skillnader mellan hanteringen av förmånsläkemedel och klinikläkemedel riskerar också att snedvrider konkurrensen mellan läkemedel som används av samma patientgrupp, exempelvis för att det inte finns någon reglerad handläggningstid för klinikläkemedel⁶.

⁶ Lif (2023)

2 Genomfört arbete

2.1 TLV har genomfört nio hälsoekonomiska bedömningar av cancerläkemedel under 2023

Under 2023 har TLV genomfört nio hälsoekonomiska bedömningar av cancerläkemedel, vilket motsvarar cirka två tredjedelar av samtliga hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel som TLV genomfört under året⁷. Två av bedömningarna gällde läkemedel som klassas som ATMP (engelska ”advanced therapy medicinal products”, ATMP), så kallade CAR-T-terapi, se nedan. Övriga sju var olika typer av målriktade cancerläkemedel. Användningsområden för samtliga läkemedel är aggressiva, avancerade, metastaserande eller återkommande tumörsjukdomar med dålig prognos. I stycke 2.1.1 och 2.1.2 beskrivs de olika läkemedlen närmare. Tabell 2 visar tidsförloppet för respektive ärende.

Tabell 2: Tidsförlopp för de nio hälsoekonomiska bedömningar av cancerläkemedel som genomförts under 2023 efter förfrågan från NT-rådet.

Läkemedel	Mottagen förfrågan från NT-rådet	Mottaget hälsoekonomiskt underlag från företaget	Final hälsoekonomisk bedömning av TLV	TLV:s handläggnings-tid*
Carvykti	2021-10-29	2022-07-01	2023-06-12	346
Enhertu	2022-12-16	2023-02-07	2023-10-11	246
Keytruda	2021-06-24	2021-12-09	2023-01-17	404
Kimmtrak	2022-02-01	2022-04-04	2023-02-13	315
Minjuvi	2021-05-24	2021-12-14	2023-04-24	496
Pluvicto	2022-05-16	2023-01-09	2023-06-12	154
Polivy	2022-04-19	2022-05-01	2023-03-21	324
Tecavyli	2022-06-28	2022-11-01	2023-08-28	300
Yescarta	2022-10-10	2022-12-13	2023-12-04	356

Källa: TLV * Från att företagets underlag inkommit till TLV, tills färdig rapport expedierats.

2.1.1 CAR-T-terapi

CAR-T-terapi är en form av genterapi som går ut på att modifiera patientens egna immunceller, T-celler. De genmodifierade T-cellerna utrustas med särskilda mottagare (receptorer) som gör att de lättare känner igen, binder upp, och bekämpar cancercellerna. Att framställa färdiga genmodifierade T-celler för att återföra till patienten tar ofta några veckor. I dagsläget används CAR-T enbart för olika former av blodcancer men det pågår kliniska studier för att kunna använda metoden även för vissa solida tumörer. CAR-T är högt prissatta engångsbehandlingar men med en potentiellt långvarig effekt för en andel patienter. En utmaning vid de hälsoekonomiska bedömningarna av dessa läkemedel

⁷ TLV (2023b) Hälsoekonomiska bedömningar och rapporter klinikläkemedel

är uppskattning av varaktigheten av effekten på längre sikt. Det är också vanligt att kliniska studier med CAR-T, särskilt i senare sjukdomsstadier, pågår under relativt kort tid och saknar kontrollgrupp vilket kan skapa osäkerhet vid bedömning av effekten av dessa terapier jämfört med dagens standardbehandling.

Carvykti (ciltakabtagen-autoleuvel) utvärderades för blodcancerformen multipelt myelom, som är en elakartad tumörsjukdom i benmärgen och drabbar cirka 600 individer årligen i Sverige. Medelåldern vid diagnos är 72 år. Aktuella för behandling med Carvykti är patienter med flera tidigare misslyckade behandlingsförsök med andra tillgängliga läkemedel.

Yescarta (axikabtagen-ciloleuvel) är indicerat vid en aggressiv form av lymfkörtelcancer som kallas diffus storcelligt B-cellslymfom (DLBCL). I Sverige diagnostiseras mellan 500 och 600 individer med DLBCL varje år och medelåldern för insjuknande är cirka 70 år. TLV:s hälsoekonomiska bedömning avsåg behandling av patienter som fått återfall i sjukdomen efter en tidigare behandlingslinje.

2.1.2 Målriktade cancerläkemedel

Gemensamt för majoriteten av läkemedlen i denna grupp är att de har en målsökande antikropp i sin struktur. För två av dessa (*Tecvayli* och *Kimmtrak*) gäller det att antikroppen är bispecifik vilket möjliggör att den samtidigt kan binda till två olika målstrukturer. I två fall (*Polivy* och *Enhertu*) kopplas ett cellgift till antikroppen och i ett fall (*Pluvicto*) kopplas ett radioaktivt ämne till en liten molekyllär enhet. Övriga två läkemedel (*Minjuvi* och *Keytruda*) består enbart av målsökande antikroppar.

Tecvayli (teclistamab) utvärderades för indikationen andra linjens behandling av DLBCL, det vill säga för samma patientpopulation som Carvykti. Tecvayli är en bispecifik antikropp där ena sidan söker upp cancercellerna och den andra sidan binder upp immunförsvarets T-celler. Denna mekanism underlättar för immuncellerna att komma närmare cancercellerna och inleda en attack mot dem.

Kimmtrak (tebentafusp) är godkänd vid den sällsynta tumörsjukdomen ögonmelanom som drabbar cirka 100 individer årligen i Sverige. Patienter aktuella för behandling med Kimmtrak ska ha både spridd sjukdom samt uttrycka en särskild struktur på sina tumörceller. Kimmtrak är ett så kallat fusionsprotein där den ena sidan binder till denna struktur på ytan av cancercellerna och den andra sidan till immunförsvarets T-celler. På så sätt förs cellerna närmare varandra och T-cellerna får då möjlighet att inleda en attack mot tumörcellerna.

Polivy (polatuzumab vedotin) utvärderades för användning i kombination med vissa cellgifter och annan immunterapi för behandling av patienter med DLBCL som tidigare inte erhållit någon behandling för sin sjukdom (första linjens behandling). Medlet består av en antikropp till vilken ett cellgift bundits. Sådana strukturer benämns ofta ADC (engelska "Antibody-Drug Conjugate", ADC) och används allt oftare vid behandling av både blodcancersjukdomar och solida tumörer.

Enhertu (trastuzumab deruxtekan) är en annan ADC där antikroppen riktas mot en proteinstruktur (HER2) som ibland överuttrycks på ytan av bröstcancer celler. TLV:s hälsoekonomiska bedömning omfattade indikationen patienter med lågt uttryck av HER2 på tumörceller. Drygt 10 000 patienter diagnosticeras med bröstcancer varje år varav cirka hälften uppskattas ha lågt uttryck av HER2.

Pluvicto (lutetium(Lu-177) vipotid tetratexan) är avsett för patienter med metastaserande prostatacancer som slutat svara på kastrationsbehandling. Patienterna ska ha fått minst en tidigare behandlingslinje med moderna antihormonella läkemedel samt kemoterapi. Årligen diagnosticeras cirka 11 000 individer i Sverige med prostatacancer och patienterna är i genomsnitt 70 år vid diagnos. Pluvicto består av en liten molekyllär enhet som kopplas till ett radioaktivt ämne. Den molekyllära enheten är målriktad för att söka upp och binda till en särskild struktur som förekommer rikligt på ytan av prostatacancer celler. Vid bindning till cancer cellerna avges strålning som orsakar celledöd.

Minjuvi (tafasitamab) är avsett för patienter med DLBCL som fått återfall i sin sjukdom efter en tidigare behandlingslinje och som inte bedöms vara lämpliga för att genomgå stamcellstransplantation. Det ges i kombination med läkemedlet Revlimid (lenalidomid) under 12 månader, följt av enbart Minjuvi. Minjuvi är en antikropp som specifikt binder till en struktur på ytan av tumörcellerna vid DLBCL och utlöser aktivering av immunförsvaret som då går i attack mot cancer cellerna.

Keytruda (pembrolizumab) utvärderades för indikationen avancerad, återkommande livmoderkroppscancer hos patienter som genomgått kemoterapi och som inte är kandidater för botande kirurgi eller strålning, i kombination med Lenvima (lenvatinib). Livmoderkroppscancer drabbar cirka 1 400 individer i Sverige årligen och patienterna är i genomsnitt 71 år gamla vid insjuknande. Keytruda är en antikropp som specifikt binder till en viss struktur på ytan av immunförsvarets T-celler varvid dessa aktiveras och kan känna igen och attackera tumörcellerna.

2.1.3 TLV påbörjade flera hälsoekonomiska bedömningar för cancerläkemedel under 2023

I januari 2024 hade TLV 14 ärenden som gällde klinikläkemedel vid cancer, som företag skickat in hälsoekonomiskt underlag för. När företagets underlag kommit in till myndigheten, kan TLV påbörja den hälsoekonomiska bedömningen. Två underlag togs emot redan 2022 medan övriga kom under 2023. För de flesta av dessa ärenden har TLV inlett den hälsoekonomiska bedömningen.

Handläggningstiderna för klinikläkemedelsärenden 2024 förväntas hamna på samma nivå som tidigare år eftersom TLV inte haft förutsättningar att rekrytera hälsoekonomer och medicinska utredare i den utsträckning som behövs.

2.2 TLV har utvärderat ytterligare fem klinikläkemedel under året

Under 2023 har TLV, utöver ovan beskrivna cancerläkemedel, tagit fram fem hälsoekonomiska bedömningar som efterfrågats av NT-rådet. Dessa gäller två läkemedel för behandling av Pompes sjukdom samt läkemedel för spinal muskelatrofi, hemofili B och prevention av sjukdom i nedre luftvägarna orsakad av respiratoriskt syncytialvirus (RSV) hos nyfödda och spädbarn.

2.3 TLV har utvecklat sin process för klinikläkemedel

TLV arbetar med ett långsiktigt mål att genomföra fler utredningar för klinikläkemedel och förkorta handläggningstiderna. Inom ramen för regeringsuppdraget har TLV därför utvecklat myndighetens process för klinikläkemedel för att göra den mer effektiv. TLV har uppdaterat och beslutat om en ny rutin för arbetet med hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel där ett flertal steg i processen har tydliggjorts.

I den nya rutinen har det tydliggjorts att riktmärket är att TLV:s handläggningstid inte bör överstiga 180 dagar. Handläggningstiden definieras som tiden från att underlag har kommit in till TLV tills TLV fattar beslut om att expediera den hälsoekonomiska bedömningen. Denna handläggningstid är samma som gäller vid handläggning av förmåsansökningar⁸. I den nya rutinen har även processen för rapportframtagande, granskning och kvalitetssäkring tydliggjorts.

För att uppdateringarna av rutinen ska kunna få effekt på handläggningstiderna behöver TLV kunna bemanna ärenden så snart företagets underlag kommer in till myndigheten. Detta är inte möjligt med dagens resurstilldelning och bemanning.

⁸ Jfr 9 § förordningen (2002:687) om läkemedelsförmåner m.m. Bestämmelsen är dock inte tillämplig i ärenden om klinikläkemedel.

3 Bedömning av fortsatt behov

3.1 Utvecklingen går mot allt fler klinikläkemedel som behöver hanteras i en nationell process

3.1.1 Framsteg inom precisionsmedicin gör att antalet nya cancerläkemedel som behöver hälsoekonomisk bedömning väntas öka

Enligt en rapport från IQVIA⁹, är många cancerläkemedel som innebär nya behandlingsprinciper under utveckling. I företagens pipeline med läkemedelskandidater i klinisk utvecklingsfas under 2022, var 38 procent inom terapiområdet onkologi. IQVIA konstaterar i rapporten att en ökande andel läkemedel utvecklas som målstyrd behandling som använder immunsystemet för att angripa cancer. Bland dessa kan nämnas ATMP som CAR-T-terapi som idag finns för olika former av blodcancer men är under utveckling för behandling av solida tumörer. Andra exempel är bispecifika antikroppar och så kallade cervacciner. Regionernas horisontspaning bekräftar att flera läkemedel av ovanstående kategorier förväntas bli godkända i EU de närmaste tre åren¹⁰. Gemensamt för dessa läkemedelskandidater är att de behöver ges inom slutenvården och att de sannolikt innebär höga kostnader.

För många kommande cancerläkemedel kommer det sannolikt behövas flera hälsoekonomiska bedömningar och rekommendationer för varje läkemedel. Det beror på att målstyrda cancerläkemedel som antingen verkar på en specifik mutation i tumören eller genom att aktivera immunsystemet, har möjlighet att användas för många olika cancerformer. De tidiga immunterapierna mot cancer, så kallade checkpointhämmare, har idag över 10 olika godkända indikationer vardera och utgör idag en viktig behandlingsprincip för olika cancerformer. Bland de CAR-T-terapi som har marknadsgodkännande i EU har flera redan mer än en indikation, och ytterligare är under utveckling. Många cancerläkemedel med höga priser ges också i olika kombinationer som kräver utvärdering av kostnadseffektiviteten.

3.1.2 Hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel är viktiga också för andra terapiområden

Inom TLV:s regeringsuppdrag om stärkt tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd, gjordes en kartläggning av myndighetens tidigare ärenden gällande sär läkemedel, som visade att omkring 40 procent av dessa var klinikläkemedel¹¹. Många läkemedel för sällsynta hälsotillstånd är avsedda för tillstånd med hög svårighetsgrad och ges inom slutenvården. Därför ber NT-rådet ofta om hälsoekonomiska bedömningar av sådana. Regionerna har också behov av nationell

⁹ IQVIA (2023) Global Trends in R&D 2023

¹⁰ NT-rådet (2023)

¹¹ TLV (2023c) Stärkt tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd till långsiktigt hållbara kostnader

samverkan för nya klinikläkemedel vid mycket vanliga hälsotillstånd, vilket framgår av de bedömningar som NT-rådet efterfrågat från TLV. Läkemedel mot Alzheimers sjukdom är ett sådant exempel¹².

Potentiellt botande engångsbehandlingar, ATMP, är under utveckling inom olika cancersjukdomar men också andra områden, som sällsynta hälsotillstånd. TLV har i tidigare regeringsuppdrag beskrivit att myndigheten behöver ha kapacitet för de ofta komplexa hälsoekonomiska bedömningarna av sådana, men också kapacitet att bistå i regionerna i avtalsförhandlingar kring uppföljningsbaserade avtal och i analys av möjligheter till uppföljningar av ATMP¹³.

3.1.3 EU-gemensamma utvärderingar av läkemedel kan påverka behovet av hälsoekonomiska bedömningar

Utöver nya läkemedel som väntas nå marknaden, finns andra faktorer som också kan öka behovet av hälsoekonomiska värderingar av klinikläkemedel framöver.

År 2025 sker första steget i genomförandet av EU:s förordning om utvärdering av medicinsk teknik, vilket innebär att nya läkemedel ska genomgå unionsgemensamma kliniska granskningar av relativ effekt och säkerhet. I ett första steg kommer nya cancerläkemedel och ATMP att omfattas. Granskningarna kommer att följa en reglerad tidplan och ska genomföras både för läkemedel som expedieras via apotek och används inom slutenvården. Resultaten från granskningen kommer att ligga till grund för TLV:s hälsoekonomiska bedömningar. TLV bedömer att införandet av förordningen kan komma att medföra en ökad förväntan på att den hälsoekonomiska bedömningen och värderingen av läkemedlets kostnadseffektivitet i Sverige sker utan onödiga dröjsmål.

Det nya förslag till läkemedelslagstiftning som presenterades av Europeiska kommissionen 2023 innehåller incitament att lansera ett läkemedel i alla länder i unionen inom en viss tid. Samtidigt har den europeiska branschorganisationen för läkemedelsföretag, EFPIA, infört ett åtagande hos sina medlemmar att ansöka om pris och subvention inom två år efter att ett läkemedel fått marknadsgodkännande i EU¹⁴. Detta skulle också kunna innebära ett ökat behov av hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel.

3.2 TLV behöver långsiktiga förutsättningar att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel

TLV behöver tillräckliga permanenta resurser för att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel. I dagsläget är kapaciteten för låg för att möta

¹² Regionernas samverkansmodell för läkemedel (2023b) Läkemedel som ska samverkas via NT-rådet.

¹³ TLV (2023d): Betalningsmodeller för avancerade läkemedelsbehandlingar

¹⁴ EFPIA (2022): Addressing Patient Access Inequalities in Europe

såväl dagens behov av hälsoekonomiska bedömningar som kommande behov som väntas öka till följd av utvecklingen på den europeiska läkemedelsmarknaden.

TLV menar att det är viktigt med liknande förutsättningar för att införa behandlingar oavsett om de förskrivs på recept eller rekvireras till sjukvården. För att åstadkomma jämlik tillgång till nya läkemedel över landet utan onödiga dröjsmål behöver det finnas kapacitet att förbereda införandet av nya behandlingar på nationell nivå, både hos myndigheten och regionerna.

De hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel som TLV gör är en nödvändig förutsättning för att patienter ska få tillgång till nya, effektiva läkemedel på ett jämlikt sätt över landet. Det gäller inom cancerområdet men också för andra svåra sjukdomar.

Referenser

- EFPIA (2022-03): Addressing Patient Access Inequalities in Europe
<https://www.lif.se/contentassets/536db1b3456f410d9f9598b80df43a6c/efpia-addressing-patient-access-inequalities-in-europe.pdf> 2023-12-05
- 9 § Förordningen (2002:687) om läkemedelsförmåner m.m.
- IQVIA (2023): Global Trends in R&D 2023 <https://www.iqvia.com/insights/the-iqvia-institute/reports-and-publications/reports/global-trends-in-r-and-d-2023> (2023-12-05)
- Lif (2023): Uppgift från Karolina Antonov, analyschef Lif, 2023-12-05
- NT-rådet (2023): uppgift från Kristina Aggefors, NT-rådets koordinatör , 2023-12-18
- Regeringskansliet (2023)
<https://www.regeringen.se/contentassets/851b615b3cc04ffeb63cdb88747cadfc/uppdrag-att-genomfora-halsoekonomiska-bedomningar-av-nya-lakemedel-s2023-02174-delvis.pdf>
Diarienummer S2023/02174
- Regionernas samverkansmodell för läkemedel (2023a): Process – ordnat införande
<https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartside/processordnatinforande.4.23fc08ed187eae25858da83c.html> 2023-12-14
- Regionernas samverkansmodell för läkemedel (2023b) Läkemedel som ska samverkas via NT-rådet.
<https://janusinfo.se/ntradet/samverkanlakemedelstartside/lakemedelordnatinforande/lakemedelsomskasamverkasnationelltunderberedning.4.5aca7268188422488c1216ce.html>
2023-12-05
- SKR (2014): Ordnat införande i samverkan. Rapport 2014-03-31
<https://skr.se/download/18.7c1c4ddb17e3d28cf9b9aa48/1643096326545/7585-059-7.pdf>
- TLV (2023a): Att genomföra hälsoekonomiska bedömningar under särskilda omständigheter. Slutrapport januari 2022 (0920/2023)
https://www.tlv.se/download/18.4a17f577185e546ef2c8df3f/1675237230914/rapport_genomfora_halsoekonomiska_bedomningar_under_sarskilda_omstandigheter_920-2022.pdf
- TLV (2023b) Hälsoekonomiska rapporter och bedömningar klinikläkemedel
<https://www.tlv.se/regioner/lakemedel/kliniklakemedel/halsoekonomiska-bedomningar-och-rapporter-kliniklakemedel.html> (2023-12-21)
- TLV (2023c): Stärkt tillgång till läkemedel för sällsynta hälsotillstånd. Slutrapport september 2023 (02039/2022) [Stärkt tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd – till långsiktigt hållbara läkemedelskostnader \(tlv.se\)](https://www.tlv.se/publikationer/publikationer/2023-09-29-betalningsmodeller-for-avancerade-lakemedelsbehandlingar.html?query=betalningsmodeller)
- TLV (2023d): Betalningsmodeller för avancerade läkemedelsbehandlingar
<https://www.tlv.se/publikationer/publikationer/2023-09-29-betalningsmodeller-for-avancerade-lakemedelsbehandlingar.html?query=betalningsmodeller>

