

Tillgänglighet till nya läkemedel för patienter i Sverige – utgångspunkter från svensk hälso- och sjukvård

Sveriges regioner verkar för att invånarna i Sverige ska ha bästa möjliga förutsättningar till ett liv i god hälsa, idag och i framtiden. Tillgången på effektiva, säkra och kostnadseffektiva läkemedel är en nyckel för detta. Som ett resultat av framgångsrik forskning, vetenskapliga framsteg och ständig utveckling inom vården skapas nya behandlingsmöjligheter. Precisionsmedicin, avancerade terapier och innovativa läkemedel – framförallt för patienter som lever med sällsynta och svåra sjukdomar – innebär i förlängningen ett skifte i hur hälso- och sjukvården bedrivs.

Svensk hälso- och sjukvård har goda förutsättningar för att möta detta skifte, samtidigt som det innebär utmaningar vad gäller tillgängliggörande av nya behandlingsmetoder – hela vägen från forskning till patient. Utmaningar som behöver adresseras på ett proaktivt och långsiktigt hållbart sätt.

Huvudbudskap

- 1. Tillgänglighet till läkemedel är ett flerdimensionellt begrepp.** Tillgängliggörande av läkemedel till patienter i Sverige, utifrån behov, kan ske på många olika sätt. Alla läkemedel som erhåller marknads-godkännande är inte per automatik relevanta behandlingsalternativ i svensk hälso- och sjukvård.
- 2.** Europeiska branschföreningen för läkemedelsföretagen (EFPIA) och dess svenska motsvarighet LIF sammanställer årligen statistik över tillgängligheten till läkemedel i Europa och i Sverige, utifrån ett företagsperspektiv. Dessa sammanställningar missar många dimensioner av tillgänglighet från den svenska hälso- och sjukvårdskontexten. Framförallt det regionala perspektivet och regionernas olika möjligheter att tillgängliggöra läkemedel till patienter.
Jämförelser mellan länder är problematisk då underliggande data skiljer sig åt mellan olika länder. Statistiken behöver dessutom ses i ljuset av varje lands unika förutsättningar och olikheter inom hälso- och sjukvårdssystem. **Ökad förståelse för hur systemet ser ut i Sverige – nationellt och regionalt – är av central betydelse.**
- 3. Hundraprocentigt tillgängliggörande av marknadsgodkända läkemedel är inte en rimlig förväntan** och inte heller alltid nödvändigt ur ett patientperspektiv – framförallt när andra tillgängliga behandlingsalternativ redan tillgodoser patienters behov på ett bra sätt. Kostnadseffektiviteten är också avgörande då den påverkar andra patienters tillgång till behandling, idag och i framtiden.
- 4. Ett läkemedels mervärde definieras inte av dess regulatoriska marknadsgodkännande**, unika egenskaper eller särskilda sär-läkemedelsstatus. Av betydelse är läkemedlets förmåga att adressera behov hos patienter på ett effektivt, säkert och kostnadseffektivt sätt – relativt andra behandlingsalternativ.
- 5.** Nya avancerade terapier och innovativa läkemedel skapar nya möjligheter för Sverige och svensk hälso- och sjukvård. Samtidigt utmanar det rådande system på många olika sätt. **Idag pågår fler initiativ – regionalt och nationellt – för att stärka förutsättningarna för långsiktigt hållbart tillgängliggörande av nya läkemedel i Sverige.** Nya former av samverkan mellan nyckelaktörer och intressenter, inklusive läkemedelsföretagen, kommer vara avgörande i det fortsatta arbetet.

Tillgänglighet till läkemedel i Sverige – flera dimensioner i ett begrepp

Begreppen tillgänglighet och tillgängliggörande

När det kommer till läkemedel är begreppet tillgänglighet flerdimensionellt. OECD beskriver tillgängliggörande av läkemedelsbehandling till patienter som beroende av tre primära aspekter.¹

Tillgänglighet (engelskans "availability")

Att läkemedelsbehandling finns tillgängligt för användning.

Av betydelse för tillgänglighet är framförallt marknadsgodkännande och ibland om ett läkemedel lanseras eller tillhandahålls av företaget. Detta kan bero på flertalet faktorer, däribland företagets lanseringsstrategier, marknadsstorlek, regelverk och processer för introduktion av läkemedel samt förutsättningar för finansiering och ersättning av det aktuella läkemedlet. Även praktiska aspekter kan påverka tillgängligheten, t ex administrativa processer, leveranser och lagerhållning.

Betalningsförmåga (engelskans "affordability")

Att läkemedelsbehandling finns tillgängligt till ett pris och en kostnad som betalaren kan hantera.

Beroende på hur hälso- och sjukvården finansieras i olika länder kan det handla om betalningsförmåga på individnivå – för patienter och anhöriga som behöver bekosta hela eller delar av läkemedelsbehandlingen med egna medel eller genom olika privatfinansierade försäkringssystem eller på samhällsnivå, via olika offentliga finansieringsmekanismer. Betalningsförmågan på samhällsnivå kan också vara relaterad till betalningsförmågan på organisationsnivå, utifrån hur hälso- och sjukvården är organiserad och resurssatt. Oavsett finansieringsformer präglas alla system av resursknapphet och nödvändigheten att göra prioriteringar.

Tillgängliggörande till patient (engelskans "accessibility")

Att läkemedelsbehandling som finns tillgänglig används och når hela vägen till patienter som behöver dem.

Detta är dock ett komplext mått att mäta då det är en variabel som inrymmer tillgänglighet och betalningsförmåga enligt ovan, men även risker och osäkerhetsfaktorer, prissättning, finansiering och kostnadstäckning, patienters behov, professionens kompetenser och kunskap om nya läkemedel samt förskrivningsmöjligheter, behandlingsriktlinjer och användning i relation till andra tillgängliga behandlingsalternativ. Försäljningsdata kan ge en indikation om själva användningen men fångar inte den fulla bilden av tillgängliggörande och eventuella hindrande faktorer. Framförallt inte för sällsynta läkemedel för sällsynta/mycket sällsynta sjukdomar där patientpopulationen är eller mycket begränsad men det relativa resursbehovet mycket stort.

OECD poängterar vidare att tillgängliggörande behöver ses i ljuset av varje lands unika kontext och hälso- och sjukvårdssystem. OECD lyfter också att det inte är rimligt att förvänta sig hundra procentigt tillgängliggörande av alla nya läkemedel då det inte alltid är nödvändigt ur ett patientperspektiv – framförallt när andra tillgängliga behandlingar tillgodoser patienters behov på ett tillfredsställande sätt. Vidare finns det många länder, likt Sverige, där tillgängliggörande av läkemedel som inte anses vara kostnadseffektiva på olika sätt måste begränsas mot bakgrund av begränsade resurser och behov av prioritering.²

För att förstå begreppet tillgänglighet och framförallt tillgängliggörande till patient är det därför av central betydelse att förstå hur svensk hälso- och sjukvård fungerar och processerna för hur läkemedelsbehandlingar kan introduceras, finansieras och tillgängliggöras till patienter i Sverige.

Ett företagsperspektiv på tillgänglighet – EFPIA:s WAIT-rapport och LIF:s slutsatser om läget i Sverige

Den europeiska branschföreningen för läkemedelsföretagen, EFPIA, sammanställer årligen den så kallade WAIT-rapporten för att beskriva den aktuella bilden av tillgänglighet – ur ett företagsperspektiv. Nu senast i Patients W.A.I.T. Indicator 2020 Survey med tillhörande underlag som analyserar data från europeiskt marknadsgodkända läkemedel under perioden 2016–2019.³ De lokala branschföreningarna förser EFPIA med statistik och väljer vilka mått som anses relevanta för att beskriva patienters tillgång till läkemedel i respektive land.

EFPIA poängterar i WAIT-rapporten att den valda definitionen av tillgänglighet inte är detsamma som läkemedelsanvändning eller hälso- och sjukvårdens upptag av läkemedel⁴. Dvs. definitionen som används i WAIT säger lite om tillgängliggörande till patienter. EFPIA noterar också att tolkning av resultaten behöver göras utifrån vad som är kontextuellt relevant i olika länder och att jämförelse mellan länder bör göras med försiktighet.

För Sverige har även en kompletterande rapport tagits fram av konsultföretaget Quantify, Tillgänglighet till nya läkemedel med EMA-godkännande 2017–2019, på uppdrag av LIF – branschföreningen för de forskande läkemedelsföretagen.⁵ Utifrån dessa rapporter drar LIF slutsatsen att många nya läkemedel inte är tillgängliga för patienter i Sverige och att Sverige hamnar på efterkälken jämfört med andra länder i Europa.

¹ OECD (2020), Addressing Challenges in Access to Oncology Medicines, Analytical Report, <https://www.oecd.org/health/health-systems/Addressing-Challenges-in-Access-to-Oncology-Medicines-Analytical-Report.pdf>

² Ibid.

³ IQVIA (2021), EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2020 Survey, <https://www.lif.se/globalassets/pdf/rapporter-externa/efpia-patients-w.a.i.t.-indicator-2020-survey.pdf>; EFPIA (2021), The root causes of unavailability and delay to innovative medicines: Reducing the time before patients have access to innovative medicines, <https://www.lif.se/globalassets/pdf/rapporter-externa/root-cause-unavailability-delays-cra-report-may-2021.pdf>

⁴ IQVIA (2021)

⁵ Quantify (2021), Tillgänglighet till nya läkemedel med EMA-godkännande 2017–2019, samt engelska versionen Quantify (2021-ENG), Access to new medicines with EMA approval 2017–2019 in Sweden

Utgångspunkten för denna slutsats är en definition av tillgänglighet som utgår från ett företagsperspektiv, med ett begränsat fokus på centrala processer för beslut om ersättning (subvention) av läkemedel. Denna definition av tillgänglighet har för den svenska kontexten endast tagit hänsyn till följande dimensioner:⁶

Läkemedel som tillhandahålls i Sverige enligt FASS samt...

- Läkemedel som omfattas av smittskyddslagen.
- Läkemedel som har erhållit positivt subventionsbeslut från Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, TLV (förmån, full/begränsad statlig subvention). Detta gäller receptbelagda läkemedel.
- Läkemedel som har erhållit positiv rekommendation från rådet för nya terapier, NT-rådet och som bejakas för intro-

duktion genom nationellt ordnat införande. Detta gäller sjukhusläkemedel.

- Läkemedel som har "relevant försäljning" trots att NT-rådsrekommendation saknas (återkommande försäljning och representativ för mer än enstaka patienter).

Med denna definition i grunden påstås att endast 59 procent av alla EMA-godkända läkemedel är tillgängliga för patienter i Sverige. I en mer generös tolkning av tillgänglighetsgraden över tid bedöms den motsvara cirka 70–80 procent av europeiskt marknadsgodkända läkemedel (sedan 2014).⁷ För att förstå hur tillgänglighet till läkemedel ser ut för patienter i Sverige behöver tillgängliggörande ses bortom företagsperspektivet och från ett bredare perspektiv.

Läkemedelsindustriföreningen LIF om tillgänglighet på läkemedel till patienter i Sverige

Många nya läkemedel är inte tillgängliga för patienter

” Sex av tio läkemedel (59 procent) som godkänts av den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA de senaste tre åren är tillgängliga för patienter i Sverige. Men endast ett av fyra läkemedel (26 procent) mot sällsynta sjukdomar som inte är cancer var tillgängligt för svenska patienter. I ett europeiskt perspektiv hamnar Sverige under EU-genomsnittet när det gäller patienters tillgång till nya läkemedel mot sällsynta sjukdomar.”

Referens: Quantify (2021), Tillgänglighet till nya läkemedel med EMA-godkännande 2017–2019 i Sverige

Nya medlemmarna i Lif vill ge patienterna snabbare tillgång till ny innovation

” Svenska patienter ska inte behöva ställa sig långt bak i kön, utan måste kunna känna sig säkra på att få tillgång till de läkemedel som de behöver, när de behöver dem. Idag är bara sex av tio läkemedel som godkänts av den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA de senaste tre åren är tillgängliga för patienter i Sverige.”

Referens: <https://www.lif.se/nyheter/2021/6/nya-medlemmarna-i-lif-vill-ga-patienterna-snabbare-tillgang-till-ny-innovation/>, publicerad i Life-time, 23 juni 2021

Fyra av tio läkemedel når aldrig Sverige

” Årets rapport tar särskilt upp tillgängligheten för sällsynta läkemedel. Studien visar att tillgängligheten till sällsynta läkemedel för cancersjukdomar ligger på 60 procent, vilket är i linje med läkemedel i stort, men när det gäller övriga sällsynta läkemedel så är det bara ett av fyra EMA-godkända läkemedel som når svenska patienter.”

Referens: <https://www.life-time.se/vardkvalitet/fyra-av-tio-lakemedel-nar-aldrig-sverige/>, publicerad i Life-time, 22 april 2021

Dags att vision blir verklighet

” Den årliga europeiska så kallade WAIT-undersökningen som läkemedelsbranschen tar fram visar att Sverige hamnat på efterkälken när det gäller patienters tillgång till nya läkemedel. Detta gäller särskilt läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar, som främst står i fokus för precisionsmedicin. En modell måste utvecklas som säkerställer den bärande principen att alla läkemedel som godkänns inom EU ska finnas tillgängliga för svenska patienter, inte minst när det handlar om det första potentiellt effektiva läkemedlet för respektive sjukdom.”

Referens: <https://www.life-time.se/ledare/dags-att-vision-blir-verklighet/>, publicerad i Life-time, 10 juni 2021

Bortom företagsperspektivet – en annan bild av patienters tillgänglighet till läkemedel i Sverige

I Sverige finns en långtgående förskrivningsrätt hos den medicinska professionen, vilket möjliggör snabb och omfattande tillgång till läkemedelsbehandling om det är medicinskt motiverat mot bakgrund av patientens behov och utifrån evidens, vetenskapligt underlag och beprövad erfarenhet. Det är därmed i regionerna som beslut fattas om läkemedel ska an-

vändas eller inte. Såväl marknadsgodkända som icke-godkända läkemedel kan förskrivas, oberoende av om de tillhandahålls i Sverige av företagen. För användning av icke-godkända och/eller icke-kommersiella läkemedelsprodukter krävs tillstånd från Läkemedelsverket.

Regionerna samverkar också inom ramen för nationellt ordnat införande – för en mer jämlik, kostnadseffektiv och ändamålsenlig användning av nya terapier i Sverige. Urvalet av läkeme-

⁶ IQVIA (2021) och Quantify (2021)

⁷ Quantify (2021).

Den alternativa tillgänglighetsgraden 70–80 procent baseras på definitionen av tillgänglighet som använts i WAIT-rapporten och i Quantifys rapport Tillgänglighet till nya läkemedel med EMA-godkännande 2017–2019. Denna alternativa tillgänglighetsgrad tar hänsyn till 1) läkemedel som enligt WAIT anses vara tillgängliga, och 2) läkemedel som enligt WAIT inte är tillgängliga men som bedöms vara ersättningsbara eller utbytbara mot andra framförallt generiska läkemedel.

del som ska hanteras inom ramen för nationellt ordnat införande sker dels genom horisontspaning, Horizon scanning, eller genom nominering av läkemedel från enskilda regioner. Inte alla läkemedel hanteras inom ramen för regional samverkan och nationellt ordnat införande.

Läkemedel som finns tillgängliga för svenska patienter omfattar därmed långt fler läkemedel än de som definieras som tillgängliga i WAIT-rapporten och i LIF:s slutsatser om tillgängligheten till läkemedel i Sverige. Definitionen av tillgängligheten till läkemedel i Sverige som används av läkemedelsindustriförningarna har utlämnat följande viktiga aspekter:

- Läkemedel som tillgängliggörs genom anskaffning och inköp av regionerna enskilt, utifrån patienters behov i respektive region.
- Läkemedel som tillgängliggörs inom ramen för regionernas undantagshantering när nationell subvention saknas eller har upphört men kostnadstäckning – och individuell subvention – sker via regionerna, alternativt läkemedel som förskrivs och tillhandahålls via apoteket där patienten själv får stå för kostnaden.⁸
- Läkemedel som inte tillhandahålls i Sverige av företagen men som kan tillgängliggöras av hälso- och sjukvården om behov finns och behandling anses motiverad. Detta sker då genom import.
- I tillägg kan läkemedel som ännu inte erhållit marknadsgodkännande för Europa och/eller icke-kommersiella läkemedel som inte är aktuella för processer för marknadsgodkännande på olika sätt tillgängliggöras till patienter genom tillstånd från Läkemedelsverket.

Se bilden "Olika sätt att tillgängliggöra läkemedel till patienter i Sverige" på sidan 5 i denna skrift.

Läkemedel i ovan kategorier kan överlappa det som i WAIT-rapporten definieras som "relevant försäljning". Storleken på försäljning – återkommande och representativ för mer än enstaka patienter – kommer dock vara nära förknippat med bland annat patientpopulationens storlek, patienternas behov samt tillgängligheten till andra relevanta behandlingsalternativ. För särlekemedel som godkänts med indikation för sällsynta eller till och med mycket sällsynta sjukdomar – med obefintligt eller mycket begränsat patientunderlag i Sverige – är försäljningarna för relevant försäljning begränsade. Denna typ av läkemedel är inte heller självklara för regional samverkan inom ramen för nationellt ordnat införande. Det betyder dock inte att de inte är tillgängliga för patienter i Sverige om och när det anses vara motiverat. Tillgängliggörandet sker i den region där patienten är hemmahörande, alternativt i annan region inom ramen för överenskommelser om utomlänsvård.

Tid till tillgänglighet

Att redovisa hur tillgängligheten och tillgängliggörandet av läkemedel ser ut kräver en förståelse för såväl vad som tolkas in i respektive begrepp som hur den lokala kontexten ser ut. Definitionen av tillgänglighet påverkar också utfallet vad gäller tiden till tillgänglighet. I WAIT-rapporten är mediantiden för tid till tillgänglighet i Sverige 196 dagar (perioden 2016–2019), i likhet med Quantifys engelska fördjupande rapport, som redovisar mediantiden 194 dagar (motsvarande 6,3 månader). Medianen renser för eventuella extremvärden. Quantify redovisar även den genomsnittliga tiden till tillgänglighet, estimerat till 239 dagar (motsvarande åtta månader).⁹

För den svenska marknaden är ett antal förtydliganden gällande tid till tillgänglighet till läkemedel av central betydelse:

- Alla läkemedel som är regulatoriskt godkända är de facto tillgängliga att förskrivas i svensk hälso- och sjukvård. Tiden till tillgänglighet i termer av hälso- och sjukvårdens möjligheter att använda ett godkänt läkemedel är därmed noll i Sverige.
- För läkemedel som handläggs av TLV meddelas beslut om subvention och pris senast 180 dagar från det att en komplett ansökan med relevanta underlag inkommit från företaget. Många gånger är handläggningstiden kortare än så. Ibland används "stopptider", oftast på begäran av företagen, för att säkerställa att nödvändig dokumentation inkluderas i underlaget.
- För läkemedel som hanteras inom ramen för nationellt ordnat införande tillkommer viss tid då denna process är beroende av 1) att företagen tillhandahåller relevanta underlag för bedömning, 2) den hälsoekonomiska värdering som TLV genomför, och 3) förhandling om pris och villkor mellan regionerna och företagen.¹⁰
- För läkemedel som hanteras inom ramen för regionernas processer för egen anskaffning, undantagshantering eller import varierar tiden från marknadsgodkännande till tillgängliggörande kraftigt då denna beror på när patienternas behov uppstår och vilka volymer som behöver köpas in samt administrativa processer för detta.

Exempel på sådant som påverkar tidsfaktorn är utformningen av de kliniska studierna och det vetenskapliga underlaget, grad av evidens respektive osäkerhet vad gäller effekt, säkerhet och kostnadseffektivitet, företagets prisförväntningar och avkastningskrav, den hälsoekonomiska bedömningen och jämförelsen med andra behandlingsalternativ, bedömd betalningsvilja och faktisk betalningsförmåga, förhandlingen mellan köpare och säljare, samt förmågan för parterna att komma överens om pris och villkor. Detta förklarar också varför tid till tillgänglighet varierar mellan olika läkemedel, inte minst för särlekemedel.

⁸ EFPIA (2021) och Quantify (2021)

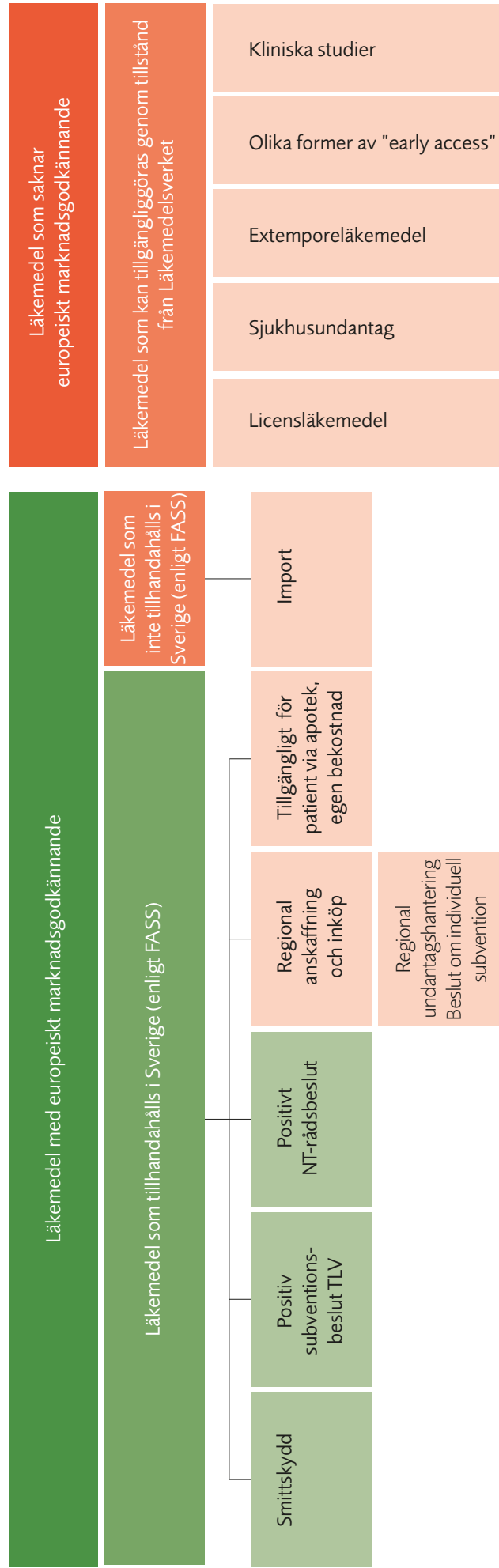
Detta är läkemedel som i EFPIA:s WAIT-rapport, för Sverige faller under benämningen "privately available". I Quantifys rapport utgjorde denna kategori läkemedel 37,5% av de läkemedel som i rapporten bedömdes vara icke tillgängliga (18/48). Av dessa uppvissade åtta läkemedel relevant försäljning. Quantify noterar samtidigt att detta inte nödvändigtvis innebär att patienterna bekostar läkemedelsbehandling själv. För andra länder, t ex för Danmark, har läkemedel som erhållit individuell subvention inkluderats i statistiken för tillgänglighet.

⁹ IQVIA (2021) och Quantify (2021-ENG)

Tid till tillgänglighet i dessa rapporter anges baserat på tiden som löper från marknadsgodkännande till beslut om ersättning enligt de centrala processerna eller uppnådd relevant försäljning.

¹⁰ Om förhandlingen inte når i mål i en första omgång finns möjlighet att initiera en nya förhandling om förutsättningar för överenskommelse förändrats, t ex genom tillkommande evidens om läkemedlets effekt och säkerhet och/eller översyn av pris och villkor.

Olika sätt att tillgängliggöra läkemedel till patienter i Sverige



Egen illustration, Region Västerbotten © 2021.

Godkända och icke-godkända läkemedel som kan förskrivas och användas av hälso- och sjukvården och tillgängliggörs till patienter i Sverige.

Gröna rutor är de delar som omfattas i EFPIA:s WAIT-rapport och den definition av tillgänglighet som använts för Sverige (exklusive kriteriet relevant försäljning). Övriga rutor omfattar kompletterande sätt att tillgängliggöra läkemedelsbehandling till patienter i Sverige. I EFPIA:s rapport har t ex motsvarande regionernas decentraliserade processer för tillgängliggörande, tillgängliggörande till enstaka patienter och beslut om individuell subvention inkluderats i statistiken för länder som bl a Danmark, Finland, England.

Jämförelsen mellan länder

– Vilka slutsatser kan dras om tillgängligheten till läkemedel i Sverige relativt andra länder i Europa?

Är tillgången till läkemedel i Sverige, framförallt läkemedel mot sällsynta sjukdomar, sämre än i övriga Europa? Baserat på statistiken från WAIT-rapporten är svaret ja¹¹. Enligt LIF:s analys och slutsatser är svaret också ja. LIF menar att "patienter i nio EU-länder, som exempelvis Danmark, Finland och Tyskland, har tillgång till fler godkända läkemedel än patienter i Sverige"¹².

Både EFPIA och OECD menar dock att kontexten och de lokala förutsättningarna är av betydelse för att det ska vara möjligt att dra slutsatser om skillnader mellan olika länder.

Det är därför viktigt att komma ihåg att utfallet från olika länder behöver tolkas utifrån val av variabler för att mäta tillgänglighet samt skillnader i olika länders kontexter, organisering och finansiering av hälso- och sjukvårdssystem samt utformning av ersättningsystem. Detta är grundläggande metodologiska förutsättningar för en relevant jämförelse. EFPIA uppmanar också till diskussioner om eventuella skillnader på lokal nivå för att tolkningen av data ska bli korrekt.¹³

För jämförelsen mellan Sverige och andra länder såsom Danmark, Finland och Tyskland ger skillnader i valet av variabler i de olika länderna en delförklaring till att skillnader i statistiken uppstår. För Sverige har t ex utgångspunkten för tillgänglighet baserats på data över läkemedel med full eller begränsad ersättning inom ramen för centrala processer (TLV, NT-rådet, smittskydd) eller motsvarande relevant försäljning. Decentraliserade processer för anskaffning och inköp av läkemedel samt tillgängliggörande till enstaka patienter har utgått från statistiken i Sveriges fall. För t ex Danmark, Finland, England, och Österrike har däremot läkemedel med individuell subvention för enstaka patienter inkluderats i statistiken för tillgänglighet. Även vad gäller tid till tillgänglighet baseras på varierande underliggande mått. Utan en djupare förståelse för hur respektive lands processer för ersättning ser ut är det dock svårt att värdera vad jämförelsen mellan de olika länderna faktiskt innebär.¹⁴

I Tyskland är t ex alla marknadsgodkända läkemedel automatiskt godkända för ersättning och användning enligt fri prissättning första tolv månaderna efter marknadsgodkännande, utan att tilläggsnyttan behöver bevisas, vanligtvis med en uppföljande process för bedömning och eventuell justering av värdering och ersättning.¹⁵ Detta gäller även sär-läkemedel. Om och när den totala försäljningen överstiger 50 miljoner euro underkastas dock dessa läkemedel en mer noggrann analys av nytta och kostnad. Det kan bidra till att introduktionstider kan vara något kortare i början, men där begränsningar i användandet och justering i pris kan komma senare. Denna typ av kontextuella aspekter fångas inte i WAIT-rapporterna.

Vad gäller den svenska kontexten är det av central betydelse att påminna om att Sverige har en offentligt finansierad hälso- och sjukvård som omfattar hela befolkningen i Sverige. Rätten till hälso- och sjukvård och möjligheten att få tillgång till t ex läkemedelsbehandling baseras inte på patienters ekonomiska förutsättningar utan utgår från medicinska behov och finansieras solidariskt genom offentliga resurser. Detta innebär att ett läkemedel som introduceras på den svenska marknaden per automatik omfattar hela befolkningen. Detta är positivt utifrån ett tillgängliggörandeperspektiv för patienter. I många andra länder i Europa ser det annorlunda ut.

Att den svenska marknaden omfattar hela befolkningen bör också anses vara positivt ur ett företagsperspektiv. Quantify rapport visar t ex att läkemedel som fått positivt subventionsbeslut, positiv NT-rådsrekommendation, läkemedel vars användning faller under smittskyddslagen när försäljning (91 procent av tillgängliga läkemedel).¹⁶ Detta bör rimligen stärka Sverige som ett attraktivt land för läkemedelsföretag med relevanta och effektiva, säkra och kostnadseffektiva läkemedel.

Begreppet ersättningsbar

– Vad definierar egentligen ett läkemedels mervärde?

Av de läkemedel som i den svenska rapporten från Quantify bedöms vara icke tillgängliga i Sverige, anses ca 80 procent vara "icke ersättningsbara". Kriterier som använts för att definiera icke ersättningsbar är följande:

- Begränsade behandlingsalternativ¹⁷
- Unik verkningsmekanism
- Unik indikation
- Unik administrationsform
- Effektivare eller säkrare för patienten

Endast tre procent av de läkemedel som ansågs vara icke ersättningsbara uppfyllde kriteriet effektivare eller säkrare för patienten.¹⁸

Att ett läkemedel har unika egenskaper kan möjligen anses vara innovativt ur ett företagsperspektiv men om mervärdet för patienten är obefintlig eller marginell är det svårt att motivera att detta skulle vara ett relevant behandlingsalternativ i svensk hälso- och sjukvård. Framförallt om pris och totalkostnad för behandlingen bedöms vara omotiverat höga.

Med en vidare definition av vad som är icke ersättningsbara läkemedel skulle statistiken se annorlunda ut. Av de läkemedel som erhöll europeiskt marknadsgodkännande under perioden 2017–2019 men som inte tillhandahålls i Sverige enligt FASS kan ca ¼ anses vara icke ersättningsbara sär-läkemedel, baserat

¹¹ IQVIA (2021)

¹² Se "Många nya läkemedel inte tillgängliga för patienter", <https://www.lif.se/fokusomraden/patienters-tillgang-till-nya-lakemedel/> (hämtat 2021-06-29)

¹³ IQVIA (2021) och EFPIA (2021)

¹⁴ EFPIA (2021). Se särskilt bilaga som redovisar metod och underliggande mått från respektive land.

¹⁵ OECD (2018), Pharmaceutical Reimbursement and Pricing in Germany, <https://www.oecd.org/health/health-systems/Pharmaceutical-Reimbursement-and-Pricing-in-Germany.pdf>

¹⁶ Quantify (2021), Tillgänglighet till nya läkemedel med EMA-godkännande 2017–2019

¹⁷ I den engelska versionen av rapporten refereras även till ouppfyllda medicinska behov ("unmet medical need").

¹⁸ Quantify (2021)

på att där alternativ behandling inte tillhandahålls i Sverige. T ex Chenodeoxycholic acid Lediant, Lamzede, Mepsevii, Myalepta¹⁹. Detta handlar då om läkemedel som är godkända för mycket sällsynta sjukdomar där det saknas patientunderlag i Sverige och/eller Norden eller där endast enstaka patienter finns i Sverige. Det är alltså logiskt att företag då inte tillhandahåller dessa läkemedel i Sverige. Vid behov kan dessa läkemedel tillgängliggöras via import eller genom regionala processer för inköp.

Ca ¼ av de för perioden godkända läkemedel som inte tillhandahålls av företagen kan anses vara ersättningsbara läkemedel, med utgångspunkten att det finns andra behandlingsalternativ tillgängliga för patienterna. Många av dessa läkemedel kommer dessutom med begränsad evidens för att effekt och säkerhet skulle vara bättre för patienten. Beroende på pris och kostnad klarar de inte heller vanliga kriterier för kostnadseffektivitet och betalningsvilja. Några av dessa läkemedel har fått negativa subventionsbeslut från TLV (t ex Cystadrops, Intrarosa, Namuscla, Symkevi). Andra har erhållit negativ rekommendation från NT-rådet (t ex Zynteglo, Waylivra, Alofisel). Vissa läkemedel tillhandahålls inte då företagen dragit tillbaka sina ansökningar för subvention (t ex Zynquista, Besremi, Ilumetri). Majoriteten av läkemedel som inte tillhandahålls i Sverige tillhör företag utan närvaro i Sverige. Få är medlemmar av den svenska läkemedelsindustriföreningen.²⁰

Det är alltså svårt att dra några slutsatser om vad det innebär att läkemedel inte tillhandahålls i Sverige och vad som gör ett läkemedel ersättningsbart, eller utbytligt, på riktigt. Detta är också beroende av vilka behandlingsalternativ som finns tillgängliga i olika länder samt hur etablerade behandlingsalternativ kan tillgodose patienters behov och till vilket pris och kostnad. Huvudprincipen är att effektiva, säkra och kostnadseffektiva läkemedel premieras i svensk hälso- och sjukvård. Inte alla marknadsgodkända läkemedel kommer tillhandahållas av företagen och inte heller tillgängliggöras till patienter av hälso- och sjukvården. Detta är i linje med ståndpunkten hos OECD som poängterar att det inte är rimligt att förvänta sig hundraprocentigt tillgängliggörande av läkemedel då det inte alltid är nödvändigt ur ett patientperspektiv. Detta inkluderar även läkemedel som erhåller särlekemedelsstatus och läkemedel som anses vara innovativa mot bakgrund av någon form av unik egenskap.²¹

Kostnadseffektivitet

– Varför det spelar roll i svensk hälso- och sjukvård

Läkemedelskostnaderna har ökat stadigt och snabbare än skatteintäkterna senaste åren. Socialstyrelsens analys och prognos över läkemedelsförsäljningen 2020–2023 vittnar om

en ökning på mellan sju och nio procent per år för förmåns- och rekvisitionsläkemedel (sjukhusläkemedel) under perioden 2017–2019.²² Prognosen framåt beräknas till mellan fyra och tio procent, exklusive en djupare prognos av de avancerade terapiernas och precisionsmedicins påverkan på läkemedelskostnaderna. Trots att det ibland framhävs att läkemedelskostnadens andel av BNP inte ökat nämnvärt genom åren är den reella kostnadsökningen för läkemedel i svensk hälso- och sjukvård ett faktum.

För den svenska läkemedelsmarknaden är därför värdebaserad prissättning och kriteriet om kostnadseffektivitet av central betydelse för tillgängliggörandet, för att säkerställa långsiktigt hållbar läkemedelsanvändning i svensk hälso- och sjukvård och värna om alla patienters rätt och möjlighet till behandling – även i framtiden.

Såväl subventionsbeslut från TLV som NT-rådsrekommendation vilar på den etiska plattformens principer om människovärde, behov- och solidaritet samt kostnadseffektivitet. Central lagstiftning såsom hälso- och sjukvårdslagen (2017:30), kommunallagen (2017:725) och patientlagen (2014:821) belyser vikten av kostnadseffektivitet och god ekonomisk hushållning samt att kostnader för olika former av behandling behöver framstå som befogade.²³ Detta är en grundläggande förutsättning för att alla invånare och patienter i Sverige ska ha tillgång till en god, effektiv och jämlik hälso- och sjukvård. Här är också frågan om betalningsförmåga av central relevans då det är en utmaning som blir alltmer påtaglig. Betalningsförmågan är begränsad i alla regioner, men konsekvenserna av begränsningen varierar mellan regioner. Med utvecklingen på läkemedelsområdet, framförallt för de nya läkemedlen som kan innebära effektivare behandlingsmöjligheter för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar – behöver dessa delar adresseras.

Huruvida kravet om kostnadseffektivitet begränsar tillgängliggörande eller inte framställs ibland som ett ensidigt ansvar som vilar på den offentligt finansierade hälso- och sjukvården. Detta trots att kostnadseffektivitet är beroende av flera olika faktorer där läkemedlets effekt och säkerhet tillsammans med företagets prissättning, relativt andra behandlingsalternativ, är de mest centrala aspekterna. För många av de nya läkemedlen som godkänns idag finns endast begränsad evidens vad gäller effekt och säkerhet. Samtidigt är företagens prisförväntningar på dessa läkemedel ofta höga. När pris- och avkastningskrav från företagen inte harmoniseras med behovet av att säkerställa kostnadseffektivt resursnyttjande i den offentligt finansierade hälso- och sjukvården kommer vissa av de godkända läkemedlen behöva väljas bort. Alla marknadsgodkända läkemedel kommer inte oavkortat nå hela vägen till patient. Detta är inte heller eftersträvanvärt ur ett bredare patientperspektiv.

¹⁹ Information tillgänglig via bland annat FASS, Socialstyrelsen, europeiska läkemedelsmyndigheten EMA, TLV, Janusinfo (nationellt ordnat införande), läkemedelsindustriföreningen LIF. Region Västerbottens genomgång av europeiskt marknadsgodkända läkemedel (2017–2019) som inte tillhandahålls i Sverige enligt FASS.

Luxturna, genterapi för behandling av en sällsynt ögonsjukdom, inkluderades fram till juni 2021 bland dessa läkemedel, men erhöi en positiv rekommendation från NT-rådet sedan evidensen stärkts och ny förhandling om pris och villkor genomförts. Luxturna bedöms nu vara effektivt, säkert och kostnadseffektivt och tillhandahålls av företaget i Sverige.

²⁰ Ibid.

²¹ OECD (2019) och EFPIA (2021)

²² Socialstyrelsen (2020), Läkemedelsförsäljning i Sverige - analys och prognos 2020 – 2023.

Notera att prognos för rekvisitionsläkemedel innehåller endast en schablonuppräknning för ATMP med 200 respektive 300 miljoner kronor för 2020 och 2021. Prognos över nya innovativa receptbelagda särlekemedel som faller utanför förmånen men som kostnadstäckts av regionerna genom undantagshantering är inte inkluderat.

²³ Hälso- och sjukvårdslag (2017:30), Kommunallag (2017:725), Patientlag (2014:821)

Avslutande kommentarer:

Tillit och samverkan viktigt för att säkra långsiktigt hållbart tillgängliggörande av läkemedel i Sverige

Nya effektiva, säkra och kostnadseffektiva läkemedel har en plats i svensk hälso- och sjukvård. Dessa ska prioriteras och tillgängliggöras hela vägen till patienter med behov av behandling i Sverige. Som denna skrift har poängterat är begrepp som tillgänglighet och tillgängliggörande flerdimensionellt och kräver en djupare förståelse för sammanhanget och vad som är relevant i svenska kontexten. Det är därför viktigt att kännedomen ökar om det svenska systemet för läkemedel – på nationell och regional nivå - hos nyckelaktörer och intressenter, läkemedelsföretagen inkluderat. Företag som tillhandahåller dessa läkemedelsprodukter ska fortsatt kunna se Sverige som ett attraktivt land för att forska, producera och sälja effektiva, säkra och kostnadseffektiva läkemedel. Det är därför av central vikt att den bild som målas upp av Sverige och svensk hälso- och sjukvård är korrekt och nyanserad, inte förskönande men inte heller missvisande, så att systemet kan stärkas där det idag finns verkliga brister. I detta arbete behöver perspektiv från alla nyckelaktörer och intressenter inkluderas.

Nya avancerade terapier och innovativa läkemedel skapar nya möjligheter för Sverige och svensk hälso- och sjukvård. Samtidigt uppstår det utmaningar inom det rådande systemet. Idag pågår därför flera initiativ för att stärka förutsättningarna för långsiktigt hållbart tillgängliggörande av nya läkemedel i Sverige. Exempel på denna typ av initiativ är följande:

- SKR antog i mars 2021 ett positionspapper för läkemedel som visar på en inriktning från regionernas perspektiv och sätter fokus på hur systemet för läkemedel kan stärkas och bli mer ändamålsenligt.²⁴
- Utvecklingsarbete pågår vad gäller betalningsmodeller och avtalskonstruktioner för nya avancerade och innovativa terapier, inom ramen för nationellt ordnat införande och på uppdrag av SKR:s kongress.²⁵ En översyn av regionernas

samverkansmodell pågår för att se hur denna kan stärkas ytterligare. Stärkt samverkan har också initierats med bland annat TLV.

- Stärkt samverkan och erfarenhetsutbyte har initierats med motsvarande aktörer i de nordiska länderna (Nordiskt läkemedelsforum) med en första gemensam nordisk förhandling genomförd under hösten 2020. Ett utökat samarbete med Beneluxa-initiativet (Belgien, Nederländerna, Luxemburg, Österrike och Irland) formaliserades under våren 2021.
- Statliga utredningar och regeringsuppdrag har lyft förslag på hur förutsättningarna för betalning, implementering och tillgängliggörande av nya avancerade och innovativa terapier kan stärkas. Bland annat Läkemedelsutredningen (SOU 2018:89), TLV:s regeringsuppdrag om hälsoekonomiska bedömningar för avancerade terapier och precisionsmedicin, Myndigheten för vård- och omsorgsanalys regeringsuppdrag om precisionsmedicins påverkan på hälso- och sjukvården.²⁶
- Enskilda regioner tar initiativ för att flytta fram positionerna och stärka förutsättningarna för tillgängliggörande av läkemedel till patienter i Sverige. Bland annat har centrum för avancerade terapier och precisionsmedicin etablerats i regionerna Stockholm, Västra Götaland och Skåne. Fler regioner ser över möjligheterna att göra liknande satsningar. Under våren 2021 lanserade också Region Västerbotten en vitbok med förslag på hur tillgängliggörande av avancerade terapier och innovativa läkemedel kan stärkas.²⁷

Resan har bara börjat. Nya former av samverkan med läkemedelsföretagen har länge efterfrågats och är avgörande för nästkommande steg på vägen. En ökad grad av tillit kommer behövas när nyckelaktörer och intressenter sluter upp bakom gemensamma mål: Att stärka förutsättningarna för tillgängliggörande av nya effektiva, säkra och kostnadseffektiva läkemedelsbehandlingar för patienter i Sverige. För det krävs en samsyn kring hur tillgängligheten till läkemedel verkligen ser ut i Sverige och hur vi tillsammans kan förbättra systemet.

²⁴ SKR (2021), Sverige behöver ett modernt regelverk för läkemedel.

²⁵ SKR (2020), Det framgångsrika arbetet skapas tillsammans – Inriktningen för Sveriges Kommuner och Regioner 2020–2023

²⁶ SOU 2018:89, Tydligare ansvar och regler för läkemedel; TLV (2021), Hur ska vi utvärdera och hur ska vi betala? Hälsoekonomiska bedömningar och betalningsmodeller för precisionsmedicin och ATMP; Myndigheten för vård- och omsorgsanalys, Genvägen till ökad precision – En framåtblickande analys av precisionsmedicin i svensk hälso- och sjukvård.

²⁷ Se bland annat Region Västerbotten (2021), Tillsammans för tillgängliggörande av avancerade terapier och nya innovativa läkemedelsbehandlingar för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar i Sverige.

Vill du veta mer?

Jörn Schneede

Chef, Läkemedelscentrum
Region Västerbotten

jorn.schneede@regionvasterbotten.se

Örjan Norberg

Chef, Innovation och forskningsanslag
Region Västerbotten

orjan.norberg@regionvasterbotten.se

Maria Palmetun-Ekback

Chef, Läkemedelscentrum
Region Örebro län

maria.palmetun-ekback@regionorebrolan.se

Mikael Svensson

Förhandlingskoordinator
Sveriges Kommuner och Regioner
mikael.svensson@skr.se

Niklas Hedberg

Chefsfarmaceut
Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket
niklas.hedberg@tlv.se