

Vitbok

Tillsammans för tillgängliggörande av avancerade terapier och nya innovativa läkemedelsbehandlingar för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar i Sverige

*Implementerings-
och betalarperspektiv
från svensk hälso-
och sjukvård*



Innehåll

Förord	3
Tillsammans går vi från möjlighet till verklighet.....	3
10 huvudbudskap	4
Bakgrund och syfte.....	6
Region Västerbotten och "Skelleftesjukan"	
Avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar för sällsynta och svåra sjukdomar.....	7
Dagens system för tillgängliggörande av nya terapier i Sverige.....	9
Slutsatser: Möjligheter och utmaningar inom dagens system för tillgängliggörande av nya terapier.....	10
Region Västerbottens förslag för tillgängliggörande av avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar.....	12
Rekommendationsområde 1: Regulatoriska systemet	
Rekommendationsområde 2: Pris-, värdering och ersättning	
Rekommendationsområde 3: Statlig finansieringsmekanism	
Rekommendationsområde 4: Hälso-, vård- och kostnadsdata	
Rekommendationsområde 5: Prioriteringar i hälso- och sjukvården	
Mission för Sverige: REAL WORLD LAB för ökat tillgängliggörande	

Detta är en förkortad version av Region Västerbottens vitbok *Tillsammans för tillgängliggörande av avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar i Sverige*. Full version, med kunskapsunderlag och underliggande resonemang kring slutsatser och rekommendationer, finns att läsa här: <https://bit.ly/3dnZ3hM>

Vitbok

Tillsammans för tillgängliggörande av avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar i Sverige

Upplysningar om innehåll:
Örjan Norberg, Region Västerbotten

Form:
Erik Vennberg, Pondus kommunikation
Leena Hortell, Ord & Co
Bilder: iStockphoto.com

Text:
Elham Pourazar, Region Västerbotten
Örjan Norberg, Region Västerbotten

Datum:
2021-04-15 (förkortad version)
Ursprungligen publicerad 2021-02-28 (full version)

Förord

Som Landshövding i Västerbottens län är jag djupt imponerad över det arbete som Region Västerbotten har gjort för att ta fram denna vitbok om hur Sverige kan ta fram ett system och finansiering för ett ordnat införande av nya terapier för sällsynta och svåra sjukdomar.

Genom förekomsten av den så kallade Skelleftesjukan, en svår genetisk sjukdom som leder till för tidig död, ett framstående universitetssjukhus i NUS, Umeå universitet och en god samverkans- och innovationskultur har man på ett strukturerat sätt analyserat bristerna i dagens system och arbetat fram konkreta förslag på förändringar och förbättringar som behöver göras i alla led. Dagens samhällsutmaningar kräver en ny typ av governance som bygger på ett horisontellt synsätt där flera aktörer och system samverkar för att lösa utmaningen genom ett innovativt förhållningssätt och en gemensam målbild, ofta kallat missionsdriven innovation. Detta skiljer sig mot det gamla sättet att arbeta i stuprör med ett givet slutmål och där alla lösningar skulle vara på plats innan man sätter igång arbetet. Detta tillvägagångssätt är inte längre framgångsrikt eftersom det gör att när nya innovationer och lösningar tas fram, är man mer bunden till sitt eget uppdrag och sin egen interna process än till målet i sig.

Numera måste man arbeta lika målfokuserat, men där man lägger rälsen medan tåget kör. Det vill säga man måste vara beredd att lösa saker längs vägen när man ser var hindren finns. Med denna vitbok har Region Västerbotten visat upp en tydlig mission och målbild och också visat på ett konkret sätt var nya lösningar måste fram för att nå dit. Och man bjuder in till en bred samverkan mellan alla berörda aktörer såväl privata som offentliga. Nu behöver alla goda krafter samlas kring denna mission och påbörja resan. Målet är att vi i framtiden ska kunna erbjuda alla patienter med svåra och sällsynta sjukdomar, oavsett var i landet de bor, rätten till de bästa terapierna och genom det ett längre liv med god livskvalitet. Effekten är att vi får en bättre och mer likvärdig hälso- och sjukvård och befäster Sverige som en ledande Life science-nation. Och med det också skapar jobb och tillväxt som gör det möjligt att fortsätta utveckla vår välfärd. Låt oss nu göra det omöjliga möjligt. Let us put a man on the moon.



Helene Hellmark Knutsson,
Landshövding, Västerbottens län

Tillsammans går vi från möjlighet till verklighet

Sveriges regioner verkar för att invånarna ska ha bästa möjliga förutsättningar till ett liv i god hälsa, idag och i framtiden. För patienter som lever med sällsynta och svåra sjukdomar har det fram tills idag funnits få tillgängliga effektiva behandlingsalternativ.

Det ändras nu. Vi ser nya behandlingsmöjligheter utvecklas som ett resultat av framgångsrik forskning, vetenskapliga framsteg och ständig utveckling inom vården. Samtidigt står Sverige inför stora utmaningar när det gäller tillgängliggörandet av nya behandlingsmetoder - hela vägen från forskning till patient.

Region Västerbotten initierade under 2019 ett långsiktigt arbete om tillgängliggörande av nya läkemedelsbehandlingar i samband med nya terapier för Skelleftesjukan. För att skapa ett långsiktigt hållbart system är det avgörande att vi krockar arm och samverkar med andra regioner, SKR, statliga myndigheter, akademi, företag, patientföreningar och andra relevanta intressenter.

Här presenteras Region Västerbottens idéer och ambitioner att genom tillgängliggörande av den forskning, utveckling och innovation som sker inom läkemedelsområdet kommer Sverige utvecklas till ett föregångsland inom life science.

Tanken med denna vitbok är att den ska ses som ett underlag för framåtsyftande dialog med utgångspunkt i det aktuella kunskapsläget. Vår övertygelse är att de utmaningar som Sverige står inför är gemensamma. Därför behöver de också adresseras gemensamt. Vi tror och hoppas att våra rekommendationer ska kunna leda till konkret handling och förbättringar på kort och lång sikt. Tillsammans för tillgängliggörande av avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar i Sverige.



Anna-Lena Danielsson (S), Ordförande,
Hälso- och sjukvårdsnämnden, Region Västerbotten



Brita Winsa, Hälso- och sjukvårdsdirektör, Region Västerbotten

10 huvudbudskap



Ökat tillgängliggörande av avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar, på ett sätt som bidrar till evidensgenerering och som är långsiktigt hållbart för hälso- och sjukvården.

- 1.** Antalet sällsynta diagnoser i världen uppskattas till 6000–8000. Vissa är extremt sällsynta och kan handla om enstaka patienter. **I Sverige bedöms ca 3–5 procent av befolkningen leva med ett sällsynt tillstånd.** Sällsynta sjukdomar kan också vara förknippade med en allvarlig svårighetsgrad som innebär förkortad livslängd och försämrad livskvalitet.
- 2. Avancerade terapier och andra innovativa läkemedelsbehandlingar** för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar skapar nya möjligheter att stoppa, backa och potentiellt bota genetiska sjukdomar. Ca 1000 avancerade terapier bedöms vara under olika stadier av utveckling. Många av dessa terapier utgör engångsbehandlingar. Under kommande fem år förväntas mellan 20–30 ansökningar inkomma för europeiskt marknadsgodkännande. EU har sedan 2000-talet introducerat flertalet stimulansåtgärder – ekonomiskt och regulatoriskt – för att främja denna typ av utveckling. Dessa terapier **innebär på många sätt ett paradigmskifte inom läkemedelsområdet.**
- 3.** Denna typ av nya terapier för sällsynta och svåra sjukdomar, och så kallade ouppfyllda medicinska behov, utvecklas baserat på små kliniska studier och erhåller idag **regulatoriskt godkännande utifrån begränsade data och evidens.** Erfarenheterna från klinisk vardag saknas. Detta innebär stora osäkerheter gällande faktisk effekt, säkerhet och kostnadseffektivitet i den patientpopulation som behandlas i klinisk vardag, över tid.
- 4.** Avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar som adresserar ouppfyllda medicinska behov associeras ofta med **höga priser, baserat på antaganden om terapiernas potentiella långtidseffekter.** Detta skapar stora utmaningar kring totalkostnad, budgetpåverkan och kostnadseffektivitet för hälso- och sjukvården och urholkar den ekonomiska hållbarheten över tid.
- 5.** Avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar värderas enligt hälsoekonomiska bedömningar och teoretiska modeller som baseras på antaganden vad gäller potentiell effekt och effektens varaktighet. Antagen nytta sätts i relation till kostnad och ger ett kostnadseffektivitetsmått. Givet den begränsade data och evidens som genereras före marknadsgodkännande, skapas osäkerheter kring **skillnaden mellan teoretiskt simulerad och antagen kostnadseffektivitet och den faktiska kostnadseffektiviteten** över tid. Samhällets betalningsvilja för potentiell långsiktig effekt av behandling skiljer sig från den faktiska betalningsförmågan hos regionerna, här och nu.



6. Avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar är läkemedel som administreras på sjukhus och finansieras idag framförallt inom ramen för regionernas budget, då **regionerna har det ensamma finansieringsansvaret** för denna typ av behandlingar. Detta – i kombination med höga prisförväntningar från företagen – förstärker skillnaden mellan samhällets betalningsvilja och den faktiska betalningsförmågan och riskerar att begränsa införandet av denna typ av terapier.
7. Givet priserna, det ensamma finansieringsansvaret och de begränsade ekonomiska resurserna hämmas den faktiska betalningsförmågan för denna typ av terapier och **risker för undanträngningseffekter som drabbar andra patientgrupper**, behovsområden och vårdinsatser uppstår. **Horisontella prioriteringar** i den offentligt finansierade hälso- och sjukvården kommer vara av stor betydelse för att möjliggöra implementering i större skala.
8. För att avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar ska nå hela vägen från forskning till patient, behövs ett **ändamålsenligt system** för tillgängliggörande av nya terapier. Detta kräver långsiktigt hållbara förutsättningar för hälso- och sjukvården vad gäller det **regulatoriska systemet** och tillgången på såväl äldre och etablerade läkemedel som nya terapier. **Juridiska och praktiska förutsättningar** för att nyttja tillförlitlig och relevant hälso-, vård- och kostnadsdata för **evidensgenerering och uppföljning** av läkemedelsanvändning avseende effekt, säkerhet och kostnadseffektivitet behöver säkerställas.
9. För att hantera de ekonomiska utmaningarna med de avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar för sällsynta och svåra sjukdomar krävs ett **utökat statligt kostnadsansvar**, inklusive särskilt utmanande situationer med snedvriden kostnadsbelastning för endemiska sjukdomar. I tillägg behövs **stimulansåtgärder för tidig implementering och evidensgenerering** av nya terapier, i form av en statlig finansieringsmekanism med ett delat finansieringsansvar med regionerna och **lägre initiala nettopriser från företagen**. En nyckel för att få till detta är ett mer **adaptivt pris-, värderings- och ersättningsystem** som justerar för osäkerheter.
10. Sverige har ambition och förutsättningar att positionera sig som en ledande life science-nation. I ett koncept för **REAL WORLD LAB för tidig implementering i klinisk vardag** kan Sverige vara i frontlinjen och påverka det paradigmskifte som sker inom läkemedelsområdet. Detta skulle **innebära att patienter får tidigare tillgång till nya behandlingsalternativ** vilket gynnar såväl stat och regioner som företag.



Bakgrund och syfte

Hälso- och sjukvården befinner sig i en tid av förändring, samtidigt som stora vetenskapliga framsteg sker bland annat inom läkemedelsområdet. Avancerade terapier som cell- och generterapi har de senaste åren utvecklats i syfte att skapa effektivare behandlingsmöjligheter som bidrar till bättre vård och hälsa för patienter. Allt fler andra innovativa läkemedelsbehandlingar utvecklas för patientgrupper med ouppfyllda medicinska behov. Detta gäller bland annat patienter med sällsynta och svåra sjukdomar – livshotande, svårt funktionsnedsättande eller allvarliga och kroniska tillstånd. Första kliniska studierna har också startat med den så kallade gensaxtekniken, baserad på 2020 års nobelprisbelönade CRISPR/Cas9 och den upptäckt som gjordes vid Umeå universitet 2012, som ger möjligheter att återskapa normal funktion i muterade genskvenser och därmed potentiellt bota genetiska sjukdomar. Detta är bara början.

Ändå är trösklarna för implementering och tillgängliggörande av dessa behandlingar till patienter i Sverige höga. Sverige är inte ensam. Även andra länder runt om i världen står inför liknande utmaningar. Region Västerbotten har genom nya godkända läkemedel för Skelleftesjukan konfronterats med dessa utmaningar och initierat ett mer systemgenomgripande

arbete med tillgängliggörande av nya terapier på ett sätt som ska vara långsiktigt hållbart för svensk hälso- och sjukvård. Arbetet sträcker sig därför längre än Skelleftesjukan och bortom Västerbottens gränser.

Det är i ljuset av detta som denna vitbok har tagits fram, med ambitionen om att presentera framåtsyftande förslag för hur Sverige kan ta vara på de möjligheter som finns med avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar och göra dessa till verklighet i svensk hälso- och sjukvård, för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar i Sverige.

Vitboken utgår från ett implementerings- och betalarperspektiv på utmaningarna med tillgängliggörande och Region Västerbotten redogör för hur systemet ser ut idag, vilka möjligheter och utmaningar som finns och förslag på hur Sverige kan ta ett kliv framåt vad gäller patienters tillgång på nya effektiva, säkra och kostnadseffektiva behandlingar. Rekommendationerna innehåller förslag på såväl kort sikt, mer direkta åtgärder, som ett mer långsiktigt koncept för tillgängliggörande av nya terapier till patienter i ett "REAL WORLD LAB" för tidig implementering.



Region Västerbotten och "Skelleftesjukan"

Skelleftesjukan, eller ärftlig transtyretinamyloidos med polyneuropati (FAP) är en genetisk sällsynt sjukdom som innebär en mutation i proteinet TTR (transtyretin). Symtomen för sjukdomen debuterar i vuxen ålder, i Sverige är genomsnittsåldern ca 60 år. Hälsotillståndet kan försämrans snabbt och musklerna blir svagare och förtvinar samtidigt som reflexer försvagas. Patienten får svårt att gå och kan bli rullstolsbunden redan några år efter sjukdomsdebuten. Obehandlat orsakar sjukdomen stort lidande för patient och anhöriga och leder till för tidig död. Utan behandling är den genomsnittliga överlevnaden mellan nio och 13 år. Sjukdomen förekommer med ojämn fördelning över hela världen och är vanligare i vissa geografiskt avgränsade områden (endemisk sjukdom). I Sverige finns cirka 400 patienter totalt. Uppskattningsvis 70–80 procent av patienterna finns i Norr- och Västerbotten. Amyloidcentrum vid Norrlands universitetssjukhus ansvarar för behandling av patienter med Skelleftesjukan och har sedan 1980-talet bedrivit såväl preklinisk som klinisk forskning kring sjukdomsmekanismer, diagnostik och behandling av sjukdomen. Amyloidcentrum har till exempel varit delaktiga i att utveckla några av de nya terapier som på senare år beviljats marknads-godkännande i Europa.

Tack vare forskning, utveckling och innovation har behandlingsalternativ för patienter med Skelleftesjukan de senaste åren ökat. Längre var levertransplantation, helst i tidigt stadium, det enda tillgängliga behandlingsalternativet. Även det antiinflammatoriska läkemedlet diflunisal har använts och visat sig ha en stabiliserande effekt. Sedan 2020 har möjligheterna till licensförskrivning av diflunisal kraftigt reducerats, till att nu endast vara tillgängligt för framförallt patienter i sent stadium (rullstolsburna). Detta med hänvisning till att nya marknads-godkända terapier ska användas i första hand. Aktuella behandlingsalternativ utgörs nu av sär-läkemedlen Vyndaquel 20mg (tafamidis), Onpattro (patisiran) och Tegsedi (inotersen). Att tre läkemedel kan er-hålla sär-läkemedelsstatus för en och samma sällsynta sjukdom beror på att indikationerna som sär-läkemedelsstatusen gäller för skiljer sig åt och de olika terapierna bedöms alla tillföra klinisk nytta för patienterna och/eller en fördel för

hälso- och sjukvården. Nya behandlingsmöjligheter är också under utveckling. I november 2020 initierades den första "first-in-human" fas I-studien för potentiellt botande engångsbehandling, baserad på gensaxtekniken Crispr/Cas9.

Kostnaderna för de läkemedel som idag finns tillgängliga och rekommenderas för behandling är – enligt oförhandlade officiellt angivna priser per ar – 1,2 miljoner kronor (Vyndaquel 20mg), 3,1 miljoner kronor (Tegsedi) och 3,7–4,4 miljoner kronor (Onpattro). Priset för Vyndaquel 61mg ar 1,3 miljoner kronor. Detta är priser per patient och år, för behandlingar som ges löpande, livet ut. Även om de verkliga priserna är lägre på grund av rabattavtal – framförhandlat via processen för nationellt ordnat införande – har de ekonomiska konsekvenserna för regionen visat sig vara betydande. Framför allt i frånan av diflunisal på licens som fram tills de nya terapiernas godkändes varit tillgänglig till en årlig kostnad på cirka 15 000 kr per patient. Att, i ett hypotetiskt scenario, behandla 100 patienter med Skelleftesjukan till en årlig genomsnittskostnad mellan en och tre miljon kronor per patient skulle innebära att mellan 13 och 27 procent av Regionens totala läkemedelskostnader (cirka 1,1 MDKR) skulle behöva avsättas till en väldigt liten grupp patienter. Detta skulle innebära en de facto undanträngning, och för-lorad hälsa, hos andra patientgrupper och av andra vårdåtgärder. Detta kan härledas från det faktum att officiellt angivna priser för dessa nya terapier är långt över betalningsviljan som normalt ligger till grund för prioriteringar inom svensk hälso- och sjukvården. De hälsoekonomiska värderingar och bedömningar av betalningsvilja ur samhällsperspektiv skiljer sig markant från faktisk betalningsförmåga hos regionerna som ensam betalare.

Utmaningarna som illustreras genom Skelleftesjukan är därför ett första symptom på ett system för tillgängliggörande av nya läkemedelsbehandlingar som inte fungerar och som inte är hållbart över tid. Nu finns möjligheten att agera. Därför utgör Skelleftesjukan ett viktigt lärande för Sveriges möjligheter att skapa hälso- och sjukvård i världsklass och för ambitionerna om att bli en ledande Life science-nation.



Avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar för sällsynta och svåra sjukdomar

De senaste decennierna har vetenskapliga framsteg gjorts som möjliggjort utvecklingen av nya avancerade terapier ("advanced therapy medicinal products", ATMP) och andra innovativa läkemedelsbehandlingar. Avancerade terapier är innovativa biologiska läkemedel och omfattar gen- och cellterapi samt vävnadstekniska produkter. Dessa terapier antas ofta utgöra engångsbehandlingar. Avancerade terapier kan kombineras med medicinteknik. Eftersom avancerade terapier är nya, komplexa och tekniskt specifika regleras dessa enligt

särskilda bestämmelser inom det europeiska regelverket för läkemedel. Inom området finns endast begränsad evidens och erfarenheterna från klinisk vardag saknas då väldigt få länder ännu lyckats omsätta forskningsframgångarna till faktiskt tillgängliggörande i större skala. Detta gäller även för en rad andra innovativa läkemedelsbehandlingar, inte alltid per definition avancerade terapier, med fokus på sällsynta och svåra sjukdomar (så kallade säräkemedel).



Vad är en innovativ läkemedelsbehandling?

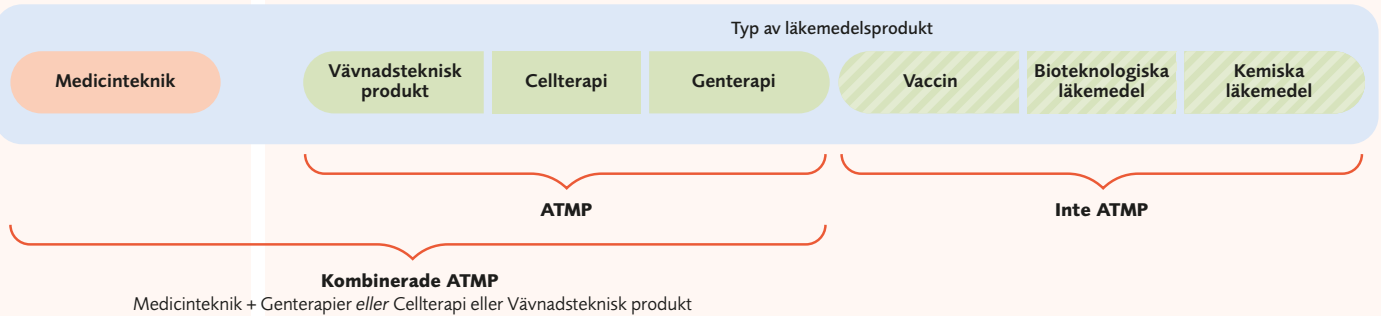
Läkemedel med en ny aktiv substans eller kombinationer av substanser

Vad är en avancerad terapi?

Medicintekniska produkter

Biologiska läkemedel

Läkemedelsprodukter



Vad är ett sär läkemedel?

- Sällsynta och svåra sjukdomar som saknar tillfredställande behandlingsalternativ
- Läkemedel som utan stimulansåtgärder inte skulle kunna utvecklas enligt rådande marknadsmässiga förutsättningar

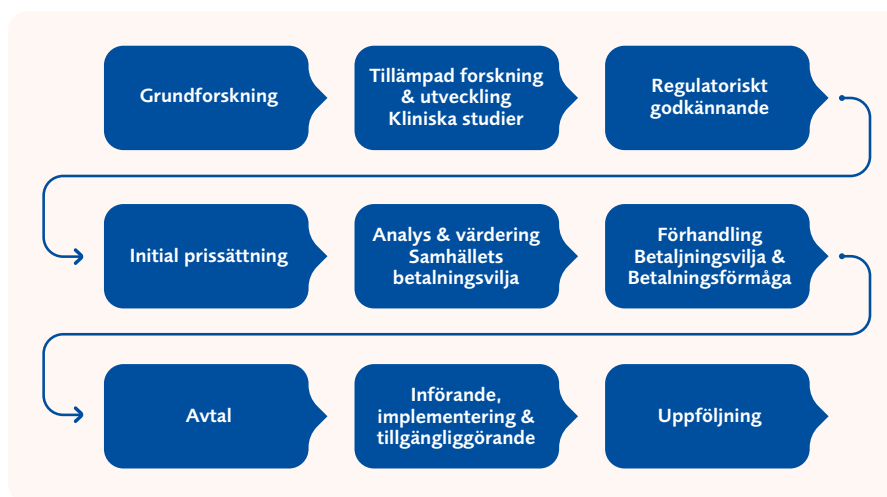
Bearbetad version från Schnitger, A (2014) och O'Meara, S (2012) samt Direktiv 2001/83/EG, Förordning (EG) Nr 1394/2007, Direktiv 2009/120/EG, Förordning (EG) No 726/2004

Utvecklingstakten är hög. Cirka 1000 avancerade terapier bedöms vara under olika stadier av utveckling. Under kommande fem år förväntas mellan 20 och 30 ansökningar inkomma för europeiskt marknadsgodkännande. För USA uppskattas upp emot 60 cell- och genterapier finnas på marknaden år 2030. Idag finns även kliniska prövningar för läkemedelsbehandlingar baserade på den nobelprisbelönade gensaxtekniken, Crispr/Cas9, inom bland annat cancer, nervdegenerativa sjukdomar och vissa blodsjukdomar. Upptäckten av Crispr/Cas9 gjordes så sent som 2012.

Under 2000-talet har en rad regulatoriska och ekonomiska stimulansåtgärder introducerats för denna typ av terapier som adresserar ouppfyllda medicinska behov. Bland annat flexibilitet vad gäller kliniska studier, anpassade evidenskriterier, behovsanpassade utvecklingsvägar ("adaptive pathways") och iterativa processer för godkännande och/eller villkorade godkännande baserade på tidiga data och surrogatvariabler. Europa godkände den första avancerade terapin år 2009. Sedan dess har totalt 15 avancerade terapier erhållit marknadsgodkännande för den europeiska marknaden. Fem av dessa har dragits tillbaka. Av de godkända avancerade terapierna har tio klassificerats som sär läkemedel.

Hälso- och sjukvården står därför inför sin stora pucket av nya godkända avancerade terapier. Denna typ av nya terapier associeras ofta med höga priser. De terapier som godkänns är förenade med osäkerheter vad gäller långtidseffekt, säkerhet och kostnadseffektivitet vid tiden för godkännande. Fler terapier av detta slag väntas godkännas de kommande åren. Den stora utmaningen för Sverige handlar därför mindre om att tillgängliggöra enstaka terapier här och nu, och mer om hur tidig implementering och tillgängliggörande på bredare front kan ske de kommande åren.

Det är därför viktigt att fokus omfattar såväl avancerade terapier som andra innovativa läkemedelsbehandlingar för patienter med ouppfyllda medicinska behov. Det är också viktigt att ta i beaktande den parallella utveckling som sker inom precisionsmedicin, och framförallt precisionsdiagnostik, vilket medför att dagens sjukdomar imorgon kommer kunna delas upp i flertalet undergrupper och nya sällsynta sjukdomar kan komma att upptäckas. Behovet av alltmer skraddarsydd behandling kommer därför med största sannolikhet att öka.



Egen illustration över processflöde för tillgängliggörande av läkemedel i Sverige (Region Västerbotten, 2020)

Dagens system för tillgängliggörande av nya terapier i Sverige

Dagens system för tillgängliggörande av läkemedelsbehandlingar i Sverige består av en hel kedja med ömsesidigt beroende länkar. Hur väl tillgängliggörandet fungerar beror till stor del på hur väl samspelet fungerar. Bilden ovan illustrerar processflödet i grova drag. Beskrivningen nedan handlar framförallt om läkemedel som administreras på sjukhus.

Startpunkten i processen är grundforskning som i sin tur skapar förutsättningar för tillämpad forskning och utveckling. Denna inkluderar kliniska studier när det kommer till nya läkemedelsbehandlingar. Resultatet av studierna leder till en bedömning av behandlingens effekt, säkerhet och kvalitet för patienter. Ett formellt marknadsgodkännande för den europeiska marknaden utfärdas av europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA). Godkännandet bygger på att läkemedlet förväntas ha en positiv nytta/risk-balans, det vill säga nyttan överstiger riskerna. Inför godkännande sker i regel ingen bedömning av nyttan i relation till andra behandlingar för samma sjukdom och inte heller av nyttan i förhållande till kostnaden (nytta/kostnads-balansen). Detta bedöms inom ramen för den hälsoekonomiska analysen, på nationell nivå.

I samband med marknadsgodkännande tar den nationella processen vid. Företagen annonserar ett initialt officiellt angivet pris för läkemedelsbehandlingen. TLV tar sedan fram ett hälsoekonomiskt underlag där kostnaden värderas i förhållande till påvisad nytta. Underlaget bidrar till kostnadseffektivitetsbedömning och den förhandlingsprocess som sedan initieras mellan regionerna och företagen. Målet med förhandlingen är att säkra tillgängliggörande av behandling för patienter inom ramen för ett ordnat införande i Sverige, och samtidigt komma överens om pris, betalning och villkor utifrån vad som bedöms vara kostnadseffektivt. Även här utgår bedömningen från betalningsvilja, med hjälp av den etiska plattformen samt kriterier för svårighetsgrad, sällsynt-

het, effektstorlek och tillförlitlighet i underlaget. Efter avslutad förhandling och givet en positiv rekommendation bereds ett avtal som reglerar överenskommelsen. och signeras av de 21 regionerna var och en för sig.

Införande, användande, tillgängliggörande och faktisk behandling av patienter sker utifrån behov, vilket bedöms av den medicinska professionen. Behandling kan ske i den egna regionen eller utanför regionen, inom ramen för utomlänsvård. Regionernas betalningsförmåga är central för tillgängliggörandet då det är regionerna som – enligt systemet för finansiering av läkemedel – ensamma finansierar läkemedel som administreras på sjukhus. Uppföljning av behandling sker utifrån två aspekter, dels för att klargöra användning "på rätt sätt" enligt rekommendationerna, dels ur ett avtalsrättsligt perspektiv. Effekt och säkerhet följs upp på olika sätt och i olika system. Regionerna dokumenterar bland annat via journalsystem, kvalitetsregister och nationella register. Data som bygger på klinisk vardag snarare än studier skapar förutsättningar för "real world evidence". Den administrativa belastningen, systemens interoperabilitet samt kvaliteten, relevansen och tillförlitligheten på dokumenterade data är några av de faktorer som påverkar hur uppföljningen kan genomföras och vad den innehåller.

De möjligheter och utmaningar som nu presenteras inom läkemedelsområdet synliggör betydelsen av ett väl fungerande system. För att hela kedjan ska kunna verka mot ett och samma mål - tillgängliggörande av säkra, effektiva och kostnadseffektiva behandlingalternativ för patienter i Sverige (rätt behandling, till rätt patient, i rätt tid, till rätt pris, utifrån behov) – krävs ett bredare grepp om frågorna. Detta kan också minimera riskerna för undanträngningseffekter och säkerställa att tillgängliggörande av behandling sträcker sig till alla patientgrupper.



Slutsatser: Möjligheter och utmaningar inom dagens system för tillgängliggörande av nya terapier

I detta avsnitt sammanställs huvuddragen av de möjligheter och utmaningar med som identifierats i dagens system för tillgängliggörande av läkemedel.

Om nya terapier

Det behövs ett bredare fokus kring nya terapier som omfattar såväl avancerade terapier som andra innovativa läkemedelsbehandlingar för patienter med ouppfyllda medicinska behov (inklusive sällsynta och svåra sjukdomar).

Tillämpad forskning & utveckling Kliniska studier

Det behövs stimulansåtgärder och incitament för att generera mer långtgående evidens och ökad kunskap från implementering i klinisk vardag ("real world evidence") – i tillägg till de begränsade kliniska studier som föregår marknads-godkännande för denna typ av kommersiella läkemedelsprodukter.

Det behövs en brygga mellan patienters tillgång på läkemedel inom ramen för kliniska studier och tidig implementering i klinisk vardag.

Regulatoriskt godkännande

Det behövs ökad samsyn mellan aktörer och pragmatism i tolkningen av centrala begrepp i det regulatoriska systemet, exempelvis "ouppfyllda medicinska behov", "särskilda skäl" och "icke-rutinmässigt". Detta för att möjliggöra för hälso- och sjukvården att ha tillgång till olika relevanta behandlingsalternativ, utöver europeiskt marknads-godkända och kommersiella läkemedelsprodukter.

Det behövs ett skifte från ett regulatoriskt system som primärt främjar kommersiella och marknads-godkända läkemedelsprodukter, till regelverk som säkerställer tillgången på alla typer av säkra, effektiva och kostnadseffektiva behandlingsalternativ i klinisk vardag.

Det behövs ett ökat deltagande från hälso- och sjukvården för att påverka policyutvecklingen inom läkemedelsområdet på EU-nivå och integrera implementerings- och betalarperspektivet i det regulatoriska systemet för läkemedel.

Finansiering	<p>Det behövs statliga finansieringsmekanismer för att stimulera tidig implementering och evidensgenerering vad gäller nya terapier för patienter med ouppfyllda medicinska behov – för delat kostnadsansvar mellan stat och region.</p> <p>Det behövs ett tydliggörande av statens centrala roll och ansvar – även bortom finansiering – i de mer systemgenomgripande förändringarna som krävs i det paradigmskifte som sker inom läkemedelsområdet.</p>
Initial prissättning	<p>Det behövs rimliga priser från företagen och en flexibilitet att tillämpa lägre initial nettoprissättning vid tidig implementering, samt villkor om evidensgenerering när nya terapier introduceras med begränsad evidens och erfarenheter. Möjligheter till adaptiv prissättning och prisjusteringar baserad på nya evidens bör inkluderas.</p>
Analys & värdering Samhällets betalningsvilja	<p>Det behövs hälsoekonomiska värderingar som kan absorbera en del av osäkerheterna med kostnadseffektiviteten för nya terapier samt flexibilitet att tillämpa villkor om evidensgenerering vid tidig implementering. Möjlighet till adaptiv värdering och regelbunden bedömning av nytta/kostnads-balans bör inkluderas.</p> <p>Det behövs en diskussion och samsyn på politisk nivå kring tröskelvärden för betalningsvilja för olika typer av behov samt olika nivåer av osäkerhet.</p>
Förhandling Betalningsvilja & Betalningsförmåga	<p>Det behövs ett skifte från antagen betalningsvilja till faktisk betalningsförmåga hos den/de aktörer som har kostnadsansvar. Detta behöver ske utifrån långsiktig hållbarhet.</p> <p>Det behövs betalningsmodeller som kan absorbera en del av osäkerheterna med budgetpåverkan och kostnadseffektivitet och en flexibilitet att tillämpa villkor om evidensgenerering vid tidig implementering. Möjlighet till adaptiv ersättning baserad på nya evidens bör finnas.</p>
Avtal	<p>Det behövs avtal som kan hantera osäkerheter på kort och lång sikt, och en flexibilitet att tillämpa villkor om evidensgenerering vid avtal för nya terapier med begränsad evidens.</p> <p>Det behövs lägre administrativ belastning och en högre grad av automation i avtals-hantering och uppföljning för läkemedelsavtalen.</p>
Införande, implementering & tillgängliggörande	<p>Det behövs regionala åtaganden för tidig implementering och tillgängliggörande av nya terapier för patientgrupper med ouppfyllda medicinska behov som prioriteras.</p> <p>Det behövs åtagande från hälso- och sjukvården, vid tidig implementering av nya terapier, att bidra till evidensgenerering, kunskapsbyggande och uppföljning av de patienter som behandlas samt vilka konsekvenser det får för hälso- och sjukvården.</p>
Uppföljning	<p>Det behövs tillgängliga, relevanta och tillförlitliga hälso-, vård- och kostnadsdata av god kvalitet för att främja forskning, utveckling och innovation samt verksamhetsutveckling av hälso- och sjukvården.</p> <p>Det behövs tydligare juridiska förutsättningar att samla in, lagra, hantera, använda och dela data mellan stat, region, kommun, akademi, företag och patienter på ett informations- och integritetssäkert sätt.</p>
Prioritering	<p>Det behövs fortsatta vertikala prioriteringar och ett ökat horisontellt prioriteringsarbete i regionerna, samtidigt som prioriteringar behöver utgå från behov, mål och nytta som kan bidra till en långsiktigt hållbar hälso- och sjukvård.</p> <p>Det behövs ett gemensamt nationellt horisontellt prioriteringsarbete för vilka behov, mål, och nyttor som - i ljuset av begränsade resurser - ska ges företräde i den offentligt finansierade hälso- och sjukvården i Sverige.</p>
Systemet som helhet	<p>Det behövs samhandling och partnerskap när komplexa utmaningar ska lösas, detta gäller såväl inom som mellan aktörer och nyckelintressenter. Systemgenomgripande förändring kräver ett nationellt ledarskap.</p> <p>Det behövs ett skifte från suboptimering i delarna till ett större fokus på systemet som helhet och vad det är till för.</p>





Region Västerbottens förslag för tillgängliggörande av avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar

Region Västerbottens förslag innehåller fem rekommendationsområden under en mission för Sverige:

Ökat tillgängliggörande av avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar, på ett sätt som bidrar till evidensgenerering och som är långsiktigt hållbart för hälso- och sjukvården.

Missionsförklaringen manar till ett skifte från den nuvarande suboptimeringen i den svenska förvaltningen, till ett större fokus på systemet som helhet.

I tillägg till de fem rekommendationsområdena har Västerbotten – inom ramen för samma mission –

även tagit fram ett förslag till koncept för Sverige som REAL WORLD LAB för tidig implementering av nya terapier i klinisk vardag, som kan sätta Sverige på kartan som "early adopter" för nya terapier och samtidigt bidra till evidensgenerering inom ett framväxande område inom life science.

Huvuddragen i rekommendationerna presenteras på följande sidor





Rekommendationsområde 1:

Ett regulatoriskt system som säkerställer tillgången på – såväl äldre och etablerade som nya – effektiva, säkra och kostnadseffektiva behandlingsalternativ.

Rekommendationsområde 1 berör det regulatoriska systemet och innehåller ett fokusskifte från primärt marknadsgodkända kommersiella läkemedelsprodukter till en ökad mångfald bland effektiva, säkra och kostnadseffektiva behandlingsalternativ för hälso- och sjukvården. Det inkluderar även tillgången på äldre beprövade läkemedelsbehandlingar som inte innehar försäljningstillstånd och terapier som inte är utvecklade i kommersiellt syfte, jämte regleringen av nya terapier. Rätt behandling bör finnas tillgänglig, till rätt patient, i rätt tid, till rätt pris, utifrån behov. Det är det regulatoriska systemet som sätter ramarna för dessa förutsättningar.

Specifika förslag som presenteras i vitboken är:

Förslag på kort tid:

- Att verka för ökad samsyn och en mer **pragmatisk tolkning av centrala regulatoriska begrepp** – såsom "ouppfyllda medicinska behov", "särskilda skäl", "icke-rutinmässig" – som kan hjälpa hälso- och sjukvården med långsiktigt hållbar läkemedelsanvändning.
- Att **vidga praxis** i Läkemedelsverkets tolkningar om grunderna **för beslut om licensläkemedel**, för att även innefatta möjligheten att åberopa ekonomiska skäl för licensgodkännanden, och samtidigt motverka inlåsning i regulatoriskt marknadsgodkända kommersiella produkter när andra behandlingsalternativ finns tillgängliga och bedöms vara relevanta av den medicinska professionen.
- Att **underlätta för tillgängliggörande av avancerade terapier under det så kallade sjukhusundantaget**, och därmed också vidga Läkemedelsverkets ansvar och roll att främja innovationskraft och beprövade metoder från klinisk praxis inifrån hälso- och sjukvården.
- Att se över flexibiliteten i de **regulatoriska processerna för off label-användning** på ett sätt som understödjer effektiv, säker och kostnadseffektiv läkemedelsanvändning utanför indikation, baserad på den medicinska professionens bedömning och beprövad erfarenhet från klinisk vardag.

Förslag på kort och/eller medellång sikt

- Att stärka **implementerings- och betalarperspektiv** samt ökat deltagande från hälso- och sjukvården i **det regulatoriska systemet** på såväl europeisk som nationell nivå. Detta som ett sätt att säkerställa ett bättre helhetsperspektiv i stimulansåtgärder, incitament och regulatoriska processer avsedda för att främja tillgängliggörande av nya terapier.

Rekommendationsområde 2:

Ett adaptivt pris- och ersättningsystem för läkemedel som sänker trösklarna för implementering av nya terapier i klinisk vardag och tillgängliggörande till patienter med sällsynta och svåra sjukdomar.

Rekommendationsområde 2 innefattar ett fokusskifte från antagen betalningsvilja till faktisk betalningsförmåga och pris-, värderings- och betalnings- och avtalsmodeller som justerar för osäkerhet som kommer med begränsade evidens och avsaknad av erfarenheter från läkemedelsanvändning i klinisk vardag. Det inkluderar ett mer iterativt perspektiv på pris- och ersättning och är utformat i syfte att underlätta tidig implementering och stimulera evidensgenerering genom ekonomiska incitamentsstrukturer. Nya terapier behöver kunna användas på ett sätt som säkerställer långsiktig hållbarhet vad gäller totala kostnader, budgetpåverkan och kostnadseffektivt nyttjande av de offentliga resurserna. Prissättning, värdering och ersättning är en nyckel för detta. För denna typ av nya terapier behöver systemet även kunna hantera osäkerheter och fördela risker.

Specifika förslag som presenteras i vitboken är:

Förslag på kort sikt

- Att introducera ett **adaptivt pris- och ersättningsssystem** som kan hantera osäkerheten med tidiga godkännanden och samtidigt premiera evidensgenerering från klinisk vardag.
 - Inbegripet i detta är att företagen accepterar en mer adaptiv prissättning där tidiga godkännanden och begränsad evidens också medför **lägre initial netto-prissättning**.
 - På samma sätt behöver hälsoekonomiska värderingar och **kostnadseffektivitetsbedömningar absorbera osäkerheter** och justera värdering framförallt i de fall där underlaget bygger på begränsade data från kortsiktiga kliniska studier.
 - Detta går hand-i-hand med en mer **adaptiv ersättning i betalningsmodeller som kan hantera osäkerheter** i termer av bland annat pris, utbetalningsår, riskdelning baserad på faktisk effekt. Möjlighet till omvärdering i dessa delar behöver kunna accepteras utifrån ny evidens.
 - **Gemensamma åtaganden för evidensgenerering, kunskapsbyggande och uppföljning** av de patienter som behandlas med nya terapier bör integreras i ett adaptivt pris- och ersättningsystem för att minimera osäkerheter över tid.

Förslag på kort och/eller medellång sikt

- Att introducera förslagen om adaptiv prissättning och ersättning i sin helhet i en **iterativ process för ordnat införande – en inestegsmodell – och tidig implementering av nya terapier**. Detta i likhet med det regulatoriska systemets behovsanpassade utvecklingsvägar ("adaptive pathways"). En iterativ process kan främja evidensgenerering från klinisk vardag och säkerställa att implementering utgår från en faktisk positiv nytta/kostnads-balans över tid.



Rekommendationsområde 3:

En statlig finansieringsmekanism för nya terapier för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar som stimulerar tidig implementering och evidensgenerering från läkemedelsanvändning i klinisk vardag.

Rekommendationsområde 3 innebär ett fokusskifte från forskning, utveckling och innovation som genererar produkter och tjänster till nyttiggörande av forskning, utveckling och innovation i klinisk vardag och som kommer patienter tillgodo i praktiken. Det adresserar statens ansvar och roll som möjliggörare för tillgängliggörande av nya terapier. Rekommendationsområdet inkluderar dels förslag om utökat (del)kostnadsansvar inom läkemedelsområdet, dels förslag som handlar om statens ansvar och behovet av nationellt ledarskapet för mer systemgenomgripande förändringar.

Specifika förslag som presenteras i vitboken är:

Förslag på kort sikt

- Att åtgärda identifierade gap i systemet för finansiering av nya terapier och ett **delat kostnadsansvar** mellan stat och regioner, för att förekomma potentiellt negativa konsekvenser på möjligheten att implementera och tillgängliggöra det växande antalet nya terapier som förväntas godkännas de kommande åren. Detta inkluderar utmaningarna med:
 - **Snedvriden kostnadsbelastning för endemiska sjukdomar**, när patienterna är geografiskt koncentrerade till en eller ett fåtal enskilda regioner med ensamt kostnadsansvar.
 - **Förlorad prioriteringsmöjlighet och kostnads-kontroll för regionerna** vid finansiering av receptbelagda (sär)läkemedel för ouppfyllda medicinska behov som ej beviljas statlig subvention, men som introduceras enligt fri prissättning via apoteken och förskrivs inom ramen för utomlänsvård.
 - **Missmatchen mellan samhällets betalningsvilja och regionernas betalningsförmåga** för avancerade terapier som administreras på sjukhus och där regionerna idag står som ensamma betalare.



Förslag på kort och/eller medellång sikt

- Att etablera en statlig finansieringsmekanism för tidig implementering och evidensgenerering, för tillgängliggörande av avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar. I denna typ av mekanism bör inkluderas ett delat kostnadsansvar mellan stat och regioner samt företag, genom lägre initiala nettopriser.
- Att stärka **statens ansvar och roll i systemgenomgripande förändringar** som krävs för att läkemedels-systemet ska vara ändamålsenligt för nya terapier. Detta berör såväl regering som statliga myndigheter.

Rekommendationsområde 4:

Ett nationellt grepp om förutsättningarna för att samla in, lagra, hantera, använda och dela tillförlitlig och relevant hälso-, vård- och kostnadsdata från läkemedelsanvändningen i Sverige.

Rekommendationsområde 4 handlar om ett fokusskifte från datainsamling för datainsamlingens skull till data som kan användas för forskning, utveckling, innovation och verksamhetsutveckling som gör hälso- och sjukvården bättre. Det handlar dels om att förbättra kvalitet och tillgång på relevanta och tillförlitliga data, dels om nationell samstämmighet om när, var, hur olika typer av data kan användas och av vem – på ett juridiskt hållbart sätt.

Specifika förslag som presenteras i vitboken är:

Förslag på kort sikt

- Att med omedelbar verkan ta fram en **nationell juridisk vägledning för dataanvändning** i syfte att säkerställa en **ändamålsenlig läkemedelsuppföljning**. Detta innebär också att konkreta frågeställningar kring uppföljning behöver definieras som underlag för denna vägledning.

Förslag på kort och/eller medellång sikt

- Att se över **kvalitet och tillgång på relevanta och tillförlitliga data** som på ett ändamålsenligt vis kan bidra till uppföljning samt mer långtgående evidens och ökad kunskap från läkemedelsanvändning i klinisk vardag.
- Att **anpassa och tillskapa juridiska förutsättningar** för att stat, regioner, kommuner, akademi, företag och patienter ska kunna samla in, lagra, hantera, använda och dela **data över organisatoriska gränser**.



Rekommendationsområde 5:

Ett gemensamt prioriteringsarbete mellan stat och region, för horisontella prioriteringar i hälso- och sjukvården – inklusive betydelsen av tidig implementering av nya terapier för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar.

Rekommendationsområde 5 inbegriper ett fokusskifte från vertikala prioriteringar här och nu till horisontella prioriteringar utifrån behov, mål och nytta som bidrar till en långsiktigt hållbar hälso- och sjukvård, idag och i framtiden. Det lyfter betydelsen av tydlighet och transparens kring vad som ska ges företräde i den offentligt finansierade vården, när resurser är begränsade och risken för undanträngning en verklighet.

Förslag på kort sikt

- Att **systematisera det regionala prioriteringsarbetet utifrån behov, mål och nytta**. Detta behöver dels ske inom läkemedelsområdet men behöver även genomsyra hur resurser nyttjas i övrigt när andra kostnader och investeringar prioriteras för till exempel andra vårdåtgärder och insatser i hälso- och sjukvården, fastigheter, medicinteknisk utrustning och digitalisering.

Förslag på kort och/eller medellång sikt

- Att initiera ett **gemensamt nationellt prioriteringsarbete** som innefattar staten, regioner och kommuner. Detta utgår från **horisontella prioriteringar** och inkluderar även samsyn i hur offentliga resurser ska användas för att tillgodose behov hos befolkningen samt tydliga roller och ansvarsfördelning över huvudmannagränser.



De presenterade rekommendationerna är viktiga ur ett patientperspektiv då det skapar möjligheter till tidigare tillgång på nya terapier, och ett liv i god hälsa, när andra tillfredsställande behandlingsalternativ i värsta fall helt saknas.

Föreslaget koncept för REAL WORLD LAB

För att Sverige ska lyckas med missionen föreslår Västerbotten även ett koncept för

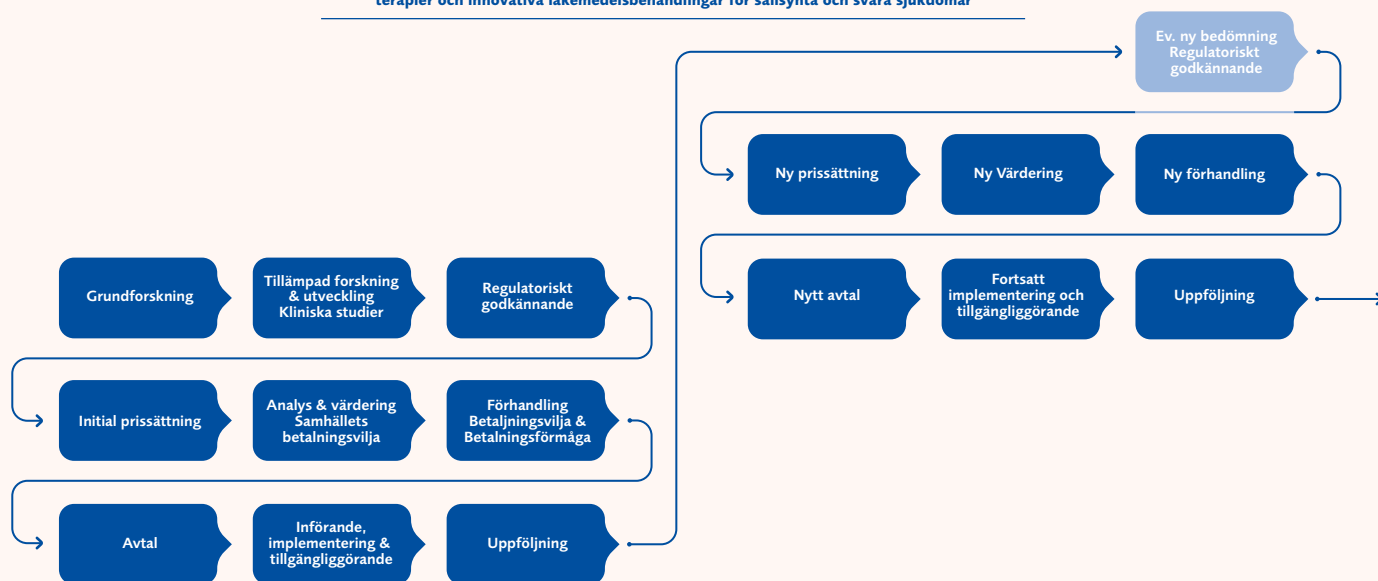
Sverige som REAL WORLD LAB för tidig implementering av nya terapier i klinisk vardag.

Utgångspunkten i REAL WORLD LAB är att staten, regionerna, företagen samt akademi och patienter tillsammans kan sänka trösklarna och röja hinder för tillgängliggörande i klinisk vardag och samtidigt bidra till kunskap, kompetens och evidensgenerering som möjliggör en skalbar implementering av nya effektiva, säkra och kostnadseffektiva behandlingsalternativ. Som en tidig användare ("early adopter") av nya terapier för sällsynta och svåra sjukdomar kan Sverige vara i frontlinjen och påverka det paradigmskifte som sker inom läkemedelsområdet. Region Västerbotten menar att Sverige har unika förutsättningar att genomföra en gemensam nationell satsning för Sverige som ett REAL WORLD LAB och skifta från möjlighet till verklighet på läkemedelsområdet. Sveriges styrkor inom innovation och samverkan skapar förutsättningar för att positionera Sverige som ledande life science-nation internationellt. Detta skulle också attrahera investeringar i forskning och utveckling, stimulera tillväxt och konkurrenskraft och bidra till en långsiktigt hållbar välfärd.

I ett REAL WORLD LAB används och utvärderas nya behandlingsalternativ för prioriterade behovsområden och patientgrupper med ouppfyllda medicinska behov – direkt i klinisk vardag, i svensk hälso- och sjukvård. Införandet av dessa terapier sker enligt ordinarie processer för nationellt ordnat införande, med viss flexibilitet, men genom en stegvis implementering och iterativa processer för införandet av nya terapier. Ett adaptivt förfarande för prissättning, värdering, ersättning inrymmer även villkor om evidensgenerering som ett sätt att reducera osäkerheter över tid och samtidigt säkra att relationen mellan nytta och kostnader förblir positiv – likt principerna i de behovsanpassade utvecklingsvägar ("adaptive pathways") som finns inom det regulatoriska systemet. Adaptiv pris-, värdering och ersättning anpassar betalningsvilja utifrån nivån på osäkerhet. Hänsyn behöver tas till faktisk betalningsförmåga hos betalaren. Ansatsen kräver ett större helhetsgrepp och ett antal nya arbetssätt, metoder och processer inom ramen för systemet – från alla inblandade aktörer och nyckelintressenter som direkt eller indirekt påverkar eller påverkas av systemet för läkemedel.

Region Västerbotten föreslår därför, som en del av konceptet REAL WORLD LAB, att införandet sker med hjälp av en instegsmodell som innefattar delad risk och delat ansvar mellan staten, regioner och företag.

Utkast instegsmodell för tillgängliggörande
Sverige som "REAL WORLD LAB" för tidig implementering och tillgängliggörande av avancerade
terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar för sällsynta och svåra sjukdomar



Konceptet för REAL WORLD LAB kan integrera den föreslagna instegsmodell och adaptiv pris-, värdering- och ersättning av nya terapier som presenteras under rekommendationsområde 2.

Instegsmodellen bygger på fem utgångspunkter:

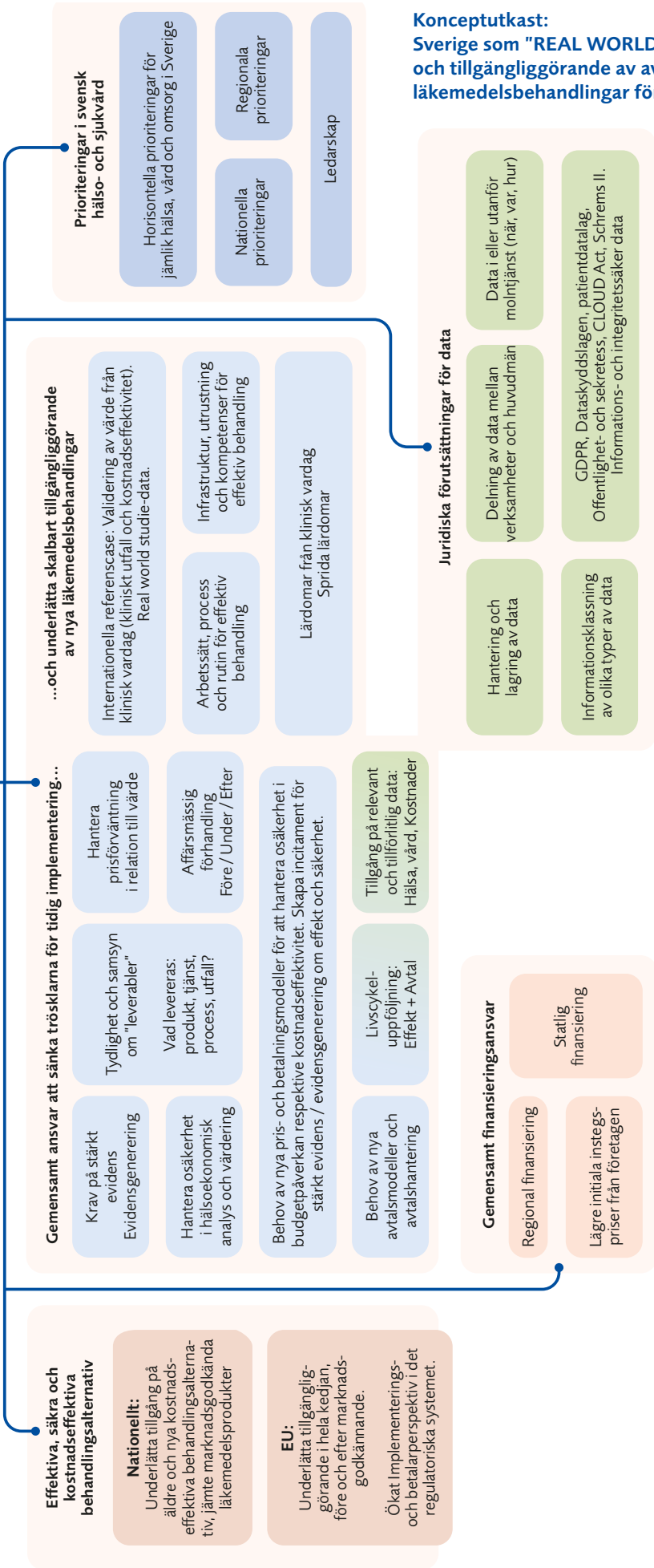
- Begränsad evidens och tidiga godkännanden ger högre osäkerhet och lägre värdering. **Företagens delfinansiering sker genom lägre initiala nettopriser** och acceptans för lägre ersättningsnivåer i implementeringens första steg.
- Forskning, utveckling och innovation sker i form av praktisk tillämpning. **Statlig delfinansiering ska stimulera nyttiggörande** och underlätta implementering och evidensgenerering i klinisk vardag. Statlig delfinansiering baseras på villkoret att även företagen antar ett delat ansvar.
- Nya behandlingsmöjligheter testas och utvärderas i hälso- och sjukvården som en sorts "proof of concept". **Regional delfinansiering** sker genom delat kostnadsansvar och ett åtagande att introducera behandling enligt prioriteringar om behov, mål och nytta. Detta sker i linje med klinisk praxis för beslut om behandling. Regional delfinansiering baseras på villkoret att även staten och företagen antar ett delat ansvar.
- **Gemensamt åtagande** att bidra till **evidensgenerering och kunskap om implementering i klinisk vardag**. Uppföljning sker med ett bredare fokus på kvalitet, effekt och säkerhet samt kostnadseffektivitet i klinisk vardag. Detta bidrar till framtida prioriteringar inom läkemedelsområdet.
- **Framtidens etablerade behandlingsalternativ skapas utifrån faktiskt värde** och vad som är långsiktigt hållbart för hälso- och sjukvården. Detta utgår från genererad kunskap och beprövad erfarenhet över tid, vad gäller effektiva, säkra och kostnadseffektiva behandlingsalternativ.

Konceptet REAL WORLD LAB utgår från missionen om **ökad tillgängliggörande av avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar, på ett sätt som bidrar till evidensgenerering och som är långsiktigt hållbart för hälso- och sjukvården**. En gemensam mission med gemensamma mål inom läkemedelsområdet gynnar såväl stat, regioner och företag. Inte minst skapas stora värden för patienterna. En gemensam mission är också avgörande för svensk life science.

Konceptet REAL WORLD LAB i sin helhet, inklusive dess delkomponenter, är illustrerat på nästa sida.



Ökat tillgängliggörande av avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar, på ett sätt som bidrar till evidensgenerering och som är långsiktigt hållbart för patienter med hälso- och sjukvården



Konceptutkast: Sverige som "REAL WORLD LAB" för tidig implementering och tillgängliggörande av avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar för sällsynta och svåra sjukdomar

Avslutning

Denna vitbok har presenterat de möjligheter och utmaningar som idag identifierats för tillgängliggörande av nya avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar inom svensk hälso- och sjukvård. Intentionen har varit att ta ett så brett helhetsgrepp som möjligt – utifrån hur systemet ser ut idag – men samtidigt framföra ett implementerings- och betalarperspektiv från svensk hälso- och sjukvård. Att skapa utrymme för tillgängliggörande av de nya terapierna i alla delar av systemet, utifrån patienters behov och på ett sätt som är långsiktigt hållbart för såväl hälso- och sjukvården som för läkemedelsföretag och samhälle må låta både omöjligt och utopiskt. Men dagens komplexa samhällsutmaningar kräver inget mindre. Att lösa komplexa utmaningar kan därför inte förenklas.

För att Sverige ska lyckas skifta möjligheterna inom läkemedelsområdet till verklighet behöver alla bidra och se hur varje enskild del i systemet, som i sin tur utgör helheten, har en viktig roll och ett ansvar att bidra till målet: Att patienter som lever med sällsynta och svåra sjukdomar i Sverige får tillgång till effektiva, säkra och kostnadseffektiva behandlingar. Det står i sin tur i linje med det övergripande målet med den offentligt finansierade hälso- och sjukvården som handlar om att alla invånare och patienter, idag och i framtiden, ska ha tillgång till bästa möjliga förutsättningar till ett liv i god hälsa.

Det perspektiv som presenterats i denna vitbok behöver sannolikt kompletteras med andra perspektiv och målkonflikter behöver synliggöras. Frågeställningar som berör medicin, ekonomi, politik, etik och även ett visst mått av filosofiska resonemang behöver kunna ta plats sida vid sida.

Den här vitboken är därför bara början på en resa som Sverige behöver göra. Det kommer kräva ett tydligt nationellt ledarskap och mod från alla inblandade. Region Västerbotten avser därför fortsätta verka för att systemet förbättras, till allas vinning, och främst för patienternas. Många goda initiativ finns och mycket står på spel. Det finns goda förutsättningar att kanalisera kraften i innovation och partnerskap på ett sätt som främjar Sverige som life science-nation och positionerar Sverige som ett land där ord blir till handling.

Tillsammans.

