

Kommittédirektiv 2011:55

Vissa frågor om prissättning, tillgänglighet och marknadsförutsättningar inom läkemedels- och apoteksområdet

Beslut vid regeringssammanträde den 16 juni 2011

Sammanfattning

En särskild utredare ska göra en översyn av vissa frågor som rör prissättning, tillgänglighet och marknadsförutsättningar inom läkemedels- och apoteksområdet. I dessa direktiv beskrivs de delar av uppdraget som rör maskinell dosdispensering, vissa övriga frågor samt handeln med läkemedel för djur. Regeringen avser att i tilläggsdirektiv ta upp frågor om prissättningen av originalläkemedel utan generisk konkurrens samt ett antal andra frågor som rör prissättningen av läkemedel.

Maskinell dosdispensering

Utredaren ska genomföra en översyn av den rättsliga reglering som gäller vid maskinell dosdispensering av läkemedel till patienter i öppen och sluten vård i Sverige. I uppdraget ingår även att analysera om det finns en skyldighet att tillåta aktörer i utlandet att bedriva maskinell dosdispensering av läkemedel till patienter i Sverige och, om så inte skulle vara fallet, detta ändå är lämpligt.

Syftet med översynen är att utforma ett förslag till regelsystem och andra åtgärder som åstadkommer god tillgänglighet till dosdispenserade läkemedel, en säker och ändamålsenlig läkemedelsanvändning och goda förutsättningar för en väl fungerande konkur-

rens på hela apoteksmarknaden. I detta ligger bl.a. att så långt det är möjligt skapa goda förutsättningar för både små och stora aktörer att verka på likvärdiga villkor. Vidare har frågor som rör prissättning av dosdispenseringstjänsterna och de läkemedel som dispenserar stor betydelse. Regelsystemet ska vidare utformas med särskilt beaktande av de uppgifter Apotekens Service AB har att utföra och med tillgodoseende av enskildas integritetsintressen liksom de olika offentliga intressen som gäller för läkemedelshandlingen inom hälso- och sjukvården samt för handel med läkemedel.

Utredaren ska lämna de författningsförslag och andra förslag som behövs för att skapa ett ändamålsenligt regelsystem och en väl fungerande konkurrens.

Utredaren ska också analysera hur Apoteket AB:s ägande av Apoteket Farmaci AB samt de förutsättningar som gäller för sistnämnda bolags verksamhet, bl.a. enligt ägaranvisningar från staten, påverkar konkurrensen på marknaderna för dosdispensering, öppenvårdsapotek och slutenvårdens läkemedelsförsörjning. Om utredaren bedömer att det behövs förändringar på detta område för att skapa bättre förutsättningar för en väl fungerande konkurrens ska utredaren lägga fram förslag till lämpliga åtgärder.

Vissa övriga frågor

Utredaren ska lämna författningsförslag som innebär att öppenvårdsapotekens skyldighet att skriftligen underrätta den som utfärdat ett recept om att ett utbyte av ett läkemedel har skett, kan fullgöras på ett mer ändamålsenligt sätt.

Utredaren ska lämna förslag till ändringar i lagen (1996:1156) om receptregister som dels klargör att receptregistret får innehålla uppgifter om begränsningar i eller indragning av förskrivares förskrivningsrätt, dels säkerställer att Apotekens Service AB har en lagenlig skyldighet att lämna ut de nämnda uppgifterna till öppenvårdsapoteken och att dessa apotek kan behandla uppgifterna med stöd av apoteksdatalagen (2009:367). Utredaren ska vidare lämna de förslag till ändringar av förordningen (2006:196) om register över hälso- och sjukvårdspersonal som mot bakgrund av övriga författningsändringar bedöms lämpliga.

Utredaren ska utreda behovet av nya bestämmelser om tystnadsplikt för och tillsyn över personal som tillverkar läkemedel för visst tillfälle på extemporeapotek och om ett sådant behov föreligger lämna de författningsförslag och andra förslag som behövs.

Utredaren ska genomföra en översyn av gallringsbestämmelsen i 19 § lagen (1991:1156) om receptregister och, med särskilt beaktade av de integritetsskyddsintressen som finns, lämna författningsförslag som löser de problem nuvarande utformning av bestämmelsen leder till.

Utredaren ska analysera vilka ändringar som bör göras i lagen (1992:860) om kontroll av narkotika, avseende undantag från vissa krav på tillstånd, mot bakgrund av att omregleringen av apoteksmarknaden har möjliggjort för andra aktörer än Apoteket AB att bedriva detaljhandel med läkemedel och tillverka extemporeläkemedel.

Handel med läkemedel för djur

Syftet med denna del av utredningen är att skapa en bättre tillgänglighet till läkemedel som administreras till djur och ett ändamålsenligt regelsystem på området.

Utredaren ska analysera om det bör vara möjligt att driva särskilda apotek som endast expedierar läkemedel för administrering till djur. För det fall utredaren föreslår att sådana ska kunna inrättas ska utredaren bl.a. lämna förslag avseende tillståndsgivning, tillsyn och kontroll, ägande av apotek samt vilka krav som ska gälla för verksamheten. Utredaren ska dessutom bedöma vilka konsekvenser en sådan förändring skulle kunna få vad gäller etableringen av öppenvårdsapotek samt vilka ekonomiska konsekvenser förändringen skulle kunna få för apoteksaktörerna.

Utredaren ska vidare analysera om tillgängligheten till läkemedel för administrering till djur kan förbättras genom förändringar på följande områden:

- Begränsningarna vad gäller vilka grupper som får driva öppenvårdsapotek.
- Öppenvårdsapotekens och partihandelns skyldighet att tillhandahålla respektive leverera läkemedel som administreras till djur.

- Veterinära inrättningars möjligheter att köpa läkemedel från partihandeln.
- Veterinärers förskrivning av läkemedel.

I utredarens uppdrag ingår också att se över vissa frågor rörande register, prissättning, statistik och tillsyn vad gäller handel med läkemedel för djur.

Utredaren ska lämna de författningsförslag och andra förslag som behövs för att tillgodose uppdragets syften.

1 Den omreglerade apoteksmarknaden

1.1 Bakgrund

Den 21 december 2006 beslutade regeringen att tillkalla en särskild utredare med uppdrag att lämna förslag som gör det möjligt för andra aktörer än Apoteket AB att bedriva detaljhandel med receptbelagda och receptfria läkemedel (dir. 2006:136).

Utredningen, som antog namnet Apoteksmarknadsutredningen (S 2006:08), överlämnade den 8 januari 2008 huvudbetänkandet Omreglering av apoteksmarknaden (SOU 2008:4). Huvudbetänkandet handlar framför allt om förutsättningarna för att få tillstånd att bedriva detaljhandel med receptfria och receptbelagda läkemedel till konsument på en omreglerad apoteksmarknad.

Utredningen lämnade härefter även betänkandena Apoteksdatalagen (SOU 2008:28), Detaljhandel med receptfria läkemedel (SOU 2008:33) och slutbetänkandet Handel med läkemedel för djur (SOU 2008:46). Slutbetänkandet är särskilt inriktat på djur, men även övriga betänkanden behandlar handel med läkemedel för djur.

Den 1 juli 2009 trädde lagändringar i kraft som innebar att apoteksmarknaden omreglerades. Förslagen till dessa lagändringar lämnades i propositionen 2008/09:145 Omreglering av apoteksmarknaden. Ytterligare lagförslag som hör samman med omregleringen lämnades i propositionen 2009/10:96 Vissa apoteksfrågor.

En övergripande målsättning för den omreglerade apoteksmarknaden är att ge konsumenter ökad tillgänglighet till läkemedel, bättre service och ett bättre tjänsteutbud. Medlet för att uppnå denna målsättning är en väl fungerande konkurrens mellan olika aktörer på apoteksmarknaden. För detta krävs bl.a. att såväl stora som små aktörer har intresse av och möjlighet att etablera sig och verka långsiktigt på den svenska apoteksmarknaden.

Sedan omregleringen har antalet apotek i landet ökat. Den 2 december 2010 hade Läkemedelsverket meddelat 1 143 tillstånd att bedriva öppenvårdsapotek.

1.2 IT-infrastruktur

Apotekens Service AB är ett statligt ägt bolag som bl.a. har till uppdrag att på likvärdiga och icke-diskriminerande villkor erbjuda vissa tjänster till apoteksaktörer. Den verksamhet som bolaget bedriver är nödvändig för att öppenvårdsapotekens, vårdgivares och myndigheters verksamheter ska fungera.

De närmare överväganden som gjorts beträffande bolagets inrättande samt dess uppgifter framgår av proposition 2007/08:87 Bildande av moderbolag för Apoteket AB samt vissa omstruktureringsåtgärder, proposition 2008/09:145 Omreglering av apoteksmarknaden, proposition 2008/09:190 Handel med vissa receptfria läkemedel samt av de ägardirektiv som gäller för bolaget.

En central del av Apotekens Service AB:s verksamhet består av tillhandahållandet av IT-baserade tjänster till bl.a. öppenvårdsapotek. Dessa tjänster innefattar exempelvis åtkomst till det s.k. receptregistret, läkemedelsförteckningen, högkostnadsdatabasen, varuregistret, folkbokföringsregistret, förskrivarkodregistret, arbetsplatskodregistret och expeditiionsställeregistret. Bolaget har även ansvar för att olika uppgifter lämnas till bl.a. personal inom vården, landstingen och olika myndigheter samt för den nationella läkemedelsstatistiken.

Apotekens Service AB:s IT-system omfattar således bl.a. olika databaser. Uppgifterna i databaserna används exempelvis vid beräkning av hur mycket en patient ska betala för läkemedel och vid den registrering av en patients samtliga uttag av receptbelagda läkemedel som genomförs av patientsäkerhetsskäl. Databaserna används även för lagring och sortering av olika uppgifter av betydelse för exempelvis uppföljningsverksamhet hos sjukvårdshuvudmän samt för uppföljning och tillsyn hos myndigheter. Bolagets verksamhet innefattar bl.a. hantering av integritetskänsliga personuppgifter om patienters hälsa eller andra personliga förhållanden.

Mot ovanstående bakgrund har det varit nödvändigt att reglera bl.a. Apotekens Service AB:s verksamhet genom olika författningar och i myndighetsföreskrifter. Till de lagar som har särskild betydelse för bolagets verksamhet hör lagen (1991:1156) om receptregister och lagen (2005:258) om läkemedelsförteckning. Även apoteksdatalagen (2009:367) berör bolagets verksamhet.

2 Maskinell dosdispensering

2.1 Nuvarande dosverksamhet

Med dosdispensering avses enligt 1 kap. 4 § lagen (2009:366) om handel med läkemedel färdigställande av läkemedel för enskilds behov under viss tid genom uttag ur tillverkarens originalförpackning.

Patienter som har behov av dosdispenserade läkemedel finns inom såväl den öppna som den slutna vården. Patienterna rör sig också mellan öppen och sluten vård. Med sluten vård avses hälso- och sjukvård som kräver intagning vid vårdinrättning. Annan hälso- och sjukvård benämns öppen vård. Primärvården utgör en del av den öppna vården.

För närvarande får cirka 187 000 patienter sina läkemedel dosdispenserade. Endast en mycket liten andel, cirka 0,3 procent, av dessa patienter befinner sig inom den slutna vården. Resterande del befinner sig således i öppen vård. Inom den öppna vården finns cirka 54 procent av patienterna i olika former av särskilda boenden, medan cirka 46 procent av patienterna bor i ordinärt boende. En del av de patienter i den öppna vården som får dosdispensering, cirka 2 000 personer, finns intagna på kriminalvårdsanstalt.

Apoteket AB och dess dotterbolag Apoteket Farmaci AB är i princip ensamma om att tillhandahålla maskinella dosdispenseringstjänster till patienter i öppen och sluten vård i Sverige. Maskinell dosdispensering av läkemedel bedrivs visserligen även av Södra Älvsborgs sjukhus i Borås, men denna verksamhet tillgodoser endast dospatienter inom den egna verksamheten i slutenvården. Apoteket AB:s och dess dotterbolags maskinella dosdispensering bedrivs i Sverige på nio öppenvårdsapotek som ägs av Apoteket AB. Det finns dock även andra aktörer som bedöms ha förutsättningar för och intresse av att bedriva maskinell dosdispensering. Vissa aktörer har även uttryckt intresse av att bedriva sådan dispensering från utlandet.

Landstingen och Kriminalvården köper de dosdispenserings-tjänster som Apoteket AB och Apoteket Farmaci AB tillhandahåller. Vid dessa köp torde lagen (2007:1091) om offentlig upphandling vara tillämplig. Även om köpen endast avser själva förpackningstjänsten och inte de läkemedel som förpackas, innebär detta för Apoteket AB och Apoteket Farmaci AB att bolagen även

får sälja de läkemedel som dispensereras till patienter i öppen respektive sluten vård.

Dosdispensering av läkemedel kan ske manuellt eller maskinellt. Maskinell dosdispensering är en högt specialiserad och automatiserad verksamhet och innebär en omfattande hantering av läkemedel. De flesta läkemedel som dispensereras förpackas maskinellt.

För att läkemedel ska kunna dosdispenserars maskinellt måste de tas ut ur sina originalförpackningar och för denna åtgärd krävs s.k. brytningstillstånd. Sådant tillstånd meddelas av Läkemedelsverket efter ansökan av den som ämnar dosdispensera eller av innehavaren av försäljningstillståndet. Brytningstillstånd kan inte beviljas utan medgivande av den som innehar försäljningstillståndet för läkemedlet ifråga.

Vid dosdispensering hanteras många olika sorters läkemedel däribland narkotikaklassade läkemedel. Bestämmelser rörande hantering av narkotika finns i olika lagar och förordningar, exempelvis lagen (1992:860) om kontroll av narkotika och förordningen (1992:1554) om kontroll av narkotika. Vidare finns sådana bestämmelser i myndighetsföreskrifter, exempelvis Läkemedelsverkets föreskrifter (LVFS 1997:11) om kontroll av narkotika.

Läkemedel som inte lämpar sig för dosdispensering, t.ex. läkemedel i flytande form eller läkemedel som enligt ordination ska intas ”vid behov”, tillhandahålls i originalförpackningar.

När ett dosrecept kommit fram till den som ska utföra dispenseringen genomför en farmaceut en författningsmässig och farmakologisk kontroll av samtliga läkemedelsförordnanden på dosreceptet. När kontrollen utförts dispenserars läkemedlen för upp till två veckors förbrukning. För att den som utför dispenseringen ska kunna åtgärda en ändring av en dosföreskrivning till nästa ordinarie dosleverans krävs, utom i akuta situationer, att ändringen görs före en viss angiven tid (s.k. stopptid). De dosförpackningar som framställs vid maskinell dosdispensering måste enligt Läkemedelsverkets föreskrifter (LVFS 2010:9) om maskinell dosverksamhet märkas. Märkningen ska bl.a. omfatta patientens namn och födelse-data, datum och tidpunkt för administreringstillfälle, läkemedlets namn, styrka och dosering. De uppgifter som används vid märkningen hämtas i huvudsak från dosreceptet eller dosrekvisitionen. När läkemedlen dispenserats kontrolleras varje dosförpackning.

Därefter levereras dosförpackningarna på det sätt som patienten anvisat.

Dosdispenseringen till den slutna vården fungerar i huvudsak på samma sätt som dispenseringen till öppen vård. Det finns dock vissa skillnader som bör framhållas. Vid dosdispensering till slutenvården förordnas de läkemedel som ska dispensereras på dosrekvisitioner. Dessa rekvisitioner måste enligt landstingens krav kunna ändras dagligen.

2.2 Förordnande av läkemedel för dosdispensering

Bedömningen av om en viss patient har behov av dosdispenserade läkemedel vilar ytterst på patientens läkare. Som utgångspunkt för denna bedömning finns som regel riktlinjer avseende dosdispensering som landstingen har utfärdat. Grundförutsättningarna för att en patient ska få dosdispensering enligt riktlinjerna kan sägas vara att patienten har en stabil grundmedicinering, att det ur patientsäkerhetssynpunkt bedöms vara mest fördelaktigt med dosdispensering och att patienten lämnar samtycke till sådan dispensering.

De läkemedel som ska dosdispenserars förordnas inom öppen vård på ett dosrecept och inom slutenvård på en dosrekvisition. Föreskrifter om dosrecept och dosrekvisitioner finns i Läkemedelsverkets föreskrifter (LVFS 2009:13) om förordnande och utlämnande av läkemedel och teknisk sprit.

Dosrecept finns tillgängliga i form av tryckta receptblanketter samt i elektronisk form.

Ett dosrecept innehåller inte enbart förordnanden av läkemedel som ska dispenserars, utan även läkemedel som ska tillhandahållas i originalförpackning. Tanken är att samtliga läkemedel som en dospatient behöver ska förskrivas på dosreceptet.

2.3 Gällande rätt

2.3.1 Inledning

För en säker och ändamålsenlig läkemedelshandtering krävs att det finns tydliga regler för att skydda bl.a. människor och miljö. Det

krävs även enhetliga och tydliga regler som tillgodoser enskildas integritetsintressen samt olika offentliga intressen såsom bl.a. kontrollen av läkemedelskostnadernas utveckling.

Framställning, förpackning eller ompackning av läkemedel eller mellanprodukter utgör enligt 15 § första stycket läkemedelslagen (1992:859) tillverkning. I 15 § andra stycket nämnda lag anges att tillverkning ska äga rum i ändamålsenliga lokaler och utföras med hjälp av ändamålsenlig utrustning. En sakkunnig med tillräcklig kompetens och tillräckligt inflytande ska se till att kraven på läkemedlens och mellanprodukternas kvalitet och säkerhet uppfylls.

Yrkesmässig tillverkning av läkemedel får enligt 16 § läkemedelslagen bedrivas endast av den som har Läkemedelsverkets tillstånd.

Maskinell dosdispensering har ansetts innebära yrkesmässig ompackning av läkemedel och utgör därför tillverkning enligt läkemedelslagen. För sådan tillverkning krävs tillstånd enligt 6 kap. 1 § lagen (2009:366) om handel med läkemedel eller 16 § läkemedelslagen. Manuell dosdispensering betraktas dock inte som tillverkning, bl.a. på grund av att den inte sker i någon större omfattning (jfr prop. 1991/92:107, s. 100 om begreppet yrkesmässig).

Enligt 6 kap. 1 § lagen om handel med läkemedel får endast den som har Läkemedelsverkets tillstånd bedriva maskinell dosdispensering på öppenvårdsapotek. Ett tillstånd får beviljas endast den som visar att den har förutsättningar att uppfylla kraven i 15 § andra stycket läkemedelslagen.

Apoteket AB och Apoteket Farmaci AB säljer också som regel de läkemedel som dosförpackas. Lagen (2009:366) om handel med läkemedel innehåller centrala bestämmelser för sådan handel. Det krävs enligt lagen om handel med läkemedel tillstånd för att bedriva handel med läkemedel.

Enligt författningskommentaren till 6 kap. 1 § lagen om handel med läkemedel måste den som vill bedriva maskinell dosdispensering men som inte har eller har för avsikt att ansöka om tillstånd till detaljhandel med läkemedel (dvs. driva öppenvårdsapotek) ansöka om tillverkningstillstånd hos Läkemedelsverket (prop. 2008/09:145, s. 426 ff). Av uttalandet följer således att den som ansöker om tillstånd enligt 6 kap. 1 § lagen om handel med läkemedel även måste ha tillstånd att bedriva detaljhandel med läkemedel till konsument enligt 2 kap. 1 § samma lag.

Den som bedriver maskinell dosdispensering med tillstånd enligt 16 § läkemedelslagen kan enligt bestämmelser i lagen om handel med läkemedel sälja de läkemedel som dosdispenseras till slutenvården, men inte till patienter i den öppna vården eller kriminalvården. Läkemedelsverkets föreskrifter (LVFS 2010:9) om maskinell dosverksamhet innehåller bestämmelser om maskinell dosdispensering och övriga arbetsmoment som ingår i maskinell dosverksamhet. Föreskrifterna innehåller bestämmelser om ansökan om tillstånd till dosverksamhet och om olika krav som gäller för tillståndshavarens verksamhet. Föreskrifterna innebär bl.a. att den som vill bedriva dosverksamhet med annat tillstånd än sådant som anges 6 kap. 1 § lagen om handel med läkemedel, är hänvisad till att förpacka och eventuellt sälja läkemedel för att tillgodose slutenvårdens behov.

Av 2 kap. 6 § 5 lagen om handel med läkemedel följer att den som har tillstånd att bedriva detaljhandel med läkemedel till konsument vid expediering av en förskrivning ska lämna vissa uppgifter till Apotekens Service AB för detta bolags hantering av bl.a. receptregistret och läkemedelsförteckningen. För att uppgiftslämnandet ska kunna ske krävs att det på öppenvårdsapoteken finns datautrustning som möjliggör detta och i 2 kap. 6 § 6 lagen om handel med läkemedel finns krav på att ha ett elektroniskt system som gör det möjligt för öppenvårdsapotek att få direktåtkomst till uppgifter hos Apotekens Service AB. Några motsvarade krav finns inte för den som bedriver maskinell dosdispensering med tillstånd enligt 16 § läkemedelslagen.

I lagen (1996:1156) om receptregister, förkortad receptregisterlagen, finns bl.a. bestämmelser om olika skyldigheter för Apotekens Service AB att lämna uppgifter till bl.a. öppenvårdsapoteken, förskrivare och myndigheter. Uppgiftsskyldigheten gentemot öppenvårdsapoteken omfattar bl.a. underlag för tillämpningen av bestämmelserna om läkemedelsförmåner vid köp av läkemedel och uppgifter om dosrecept. Någon motsvarande skyldighet att lämna uppgifter till en aktör som bedriver maskinell dosdispensering med tillstånd enligt 16 § läkemedelslagen finns inte.

Den som ansöker om eller innehar tillstånd att bedriva maskinell dosdispensering är skyldig att betala avgifter enligt vad som föreskrivs i förordningen (2009:659) om handel med läkemedel eller förordningen (2010:1167) om avgifter för den statliga kontrollen

av läkemedel. De avgifter som sökande och innehavare av tillstånd till maskinell dosdispensering har att betala skiljer sig åt. Det är tveksamt om dessa skillnader är välmotiverade.

Den som bedriver detaljhandel med läkemedel med tillstånd enligt 2 kap. 1 § lagen om handel med läkemedel är enligt förordningen (2009:1031) om producentansvar för läkemedel bl.a. skyldig att utan ersättning ta hand om läkemedelsavfall som uppkommit hos hushåll och lämnats av allmänheten. Den som bedriver maskinell dosdispensering av läkemedel med tillstånd enligt 16 § läkemedelslagen omfattas inte av denna skyldighet.

2.3.2 Skyldighet att tillhandahålla läkemedel respektive dosdispensering

Enligt statens ägaranvisningar för Apoteket AB daterade den 28 april 2011, har bolaget ålagts en skyldighet att tillhandahålla dosdispensering på likvärdiga och icke-diskriminerande villkor i den utsträckning som det efterfrågas.

För att konsumenter ska få god tillgänglighet till läkemedel infördes vid omregleringen av apoteksmarknaden vissa bestämmelser om tillhandahållandeskyldighet. Enligt 2 kap. 6 § 3 lagen om handel med läkemedel är den som har tillstånd att bedriva detaljhandel med läkemedel till konsument skyldig att tillhandahålla samtliga förordnade läkemedel och samtliga förordnade varor som omfattas av lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. Denna skyldighet kan inte anses innefatta något åläggande att tillhandahålla dosdispensering. Inte heller kan den anses innefatta någon skyldighet för ett öppenvårdsapotek att lämna ut läkemedel som dispenserar och säljs av en konkurrent.

För att kunna utföra maskinell dosdispensering krävs tillgång till de läkemedel som ska förpackas. Den som innehar tillstånd till partihandel är enligt 3 kap. 3 § 6 lagen om handel med läkemedel skyldig att till öppenvårdsapoteken leverera de läkemedel som omfattas av tillståndet. Lagen om handel med läkemedel innehåller dock inte någon bestämmelse som medför skyldighet att leverera läkemedel till den som bedriver maskinell dosdispensering med tillstånd enligt 16 § läkemedelslagen.

2.3.3 Lagen om läkemedelsförmåner m.m.

Lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m., som bl.a. tillkommit för att skapa förutsättningar för prispress och offentlig kostnadskontroll, innehåller bestämmelser om bl.a. läkemedelsförmåner och prisreglering av varor som ingår i förmånerna. Fler-talet läkemedel som dosdispenseras för patienter i öppen vård omfattas av läkemedelsförmånen. Prissättningen av de läkemedel som dispenseras är bl.a. en viktig marknadsfaktor för de aktörer som tillhandahåller dosdispensering och för den offentliga kostnadskontrollen.

Lagen innehåller även bestämmelser om utbyte av läkemedel på öppenvårdsapotek. Bestämmelserna om utbyte finns i 21 § och innebär kortfattat att om ett läkemedel som ingår i läkemedelsförmånerna förskrivits och det på det enskilda apoteket finns ett eller flera utbytbara sådana läkemedel, ska läkemedlet som huvudregel bytas ut mot det billigaste tillgängliga läkemedlet. Öppenvårdsapoteket ska upplysa patienten om att utbyte kommer i fråga och om patientens rätt att mot betalning få det förskrivna läkemedlet eller något annat utbytbart läkemedel. När utbyte sker ska öppenvårdsapoteket skriftligen underrätta den som utfärdat receptet. Sistnämnda skyldighet har av apoteksaktörer och landsting beskrivits som svåradministrerad och kostsam.

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) har meddelat föreskrifter och allmänna råd om prissättning av utbytbara läkemedel och utbyte av läkemedel m.m. (TLVFS 2009:4). Enligt dessa föreskrifter beslutar TLV om priserna för en månad i taget, vilket innebär att utbyte kan behöva ske varje månad.

Det har visat sig att det vid maskinell dosdispensering finns vissa svårigheter att genomföra utbyten av läkemedel. Det är oklart vad dessa svårigheter beror på. Om utbyte av läkemedel inte kommer till stånd på det sätt som förutsätts i lagen om läkemedelsförmåner m.m. finns en risk för högre läkemedelskostnader.

2.3.4 Tystnadsplikter

Vid omregleringen av apoteksmarknaden skapades ett regelsystem av bl.a. olika tystnadsplikter för att skydda dels enskilda mot sådana integritetsintrång som hanteringen av uppgifter om bl.a.

deras hälsa kan medföra, dels bl.a. dosaktörer mot att konkurrenter och andra får obehörig insyn i olika affärs- och driftsförhållanden.

För personal verksam inom den allmänna hälso- och sjukvården gäller tystnadsplikt främst enligt bestämmelser i 25 kap. offentlighets- och sekretesslagen (2009:400), förkortad OSL, som bl.a. föreskriver tystnadsplikt för uppgifter om enskilds hälsotillstånd eller andra personliga förhållanden.

Av bestämmelserna i 2 kap. 1–5 §§ OSL följer att lagen endast är tillämplig på myndigheter och vissa andra organ som vid tillämpning av lagen ska jämföras med myndigheter. I 2 kap. 1 § OSL föreskrivs att förbudet att röja eller utnyttja en uppgift gäller för myndigheter. Av bestämmelsen framgår även att ett sådant förbud också gäller för en person som fått kännedom om uppgiften genom att för det allmännas räkning delta i en myndighets verksamhet på grund av anställning eller uppdrag hos myndigheten, på grund av tjänsteplikt, eller på annan liknande grund.

OSL gäller således inte enbart för anställda vid en myndighet, utan även uppdragstagare som är fysiska personer. Dessa kan i sekretesshänseende i vissa fall vara att jämföras med arbetstagare hos en myndighet. Vid uppdrag av affärsmässig karaktär, är dock uppdragstagaren i allmänhet en juridisk person. För sådana uppdragstagare gäller inte bestämmelserna i OSL. Mot denna bakgrund torde OSL inte vara tillämplig på de privata aktörer som kan tänkas få i uppdrag av landstingen eller Kriminalvården att bedriva maskinell dosdispensering.

Med uttrycket hälso- och sjukvård förstås i 25 kap. 1 § OSL främst den öppna och slutna sjukvård för vilken grundläggande bestämmelser finns i hälso- och sjukvårdslagen (1982:763), förkortad HSL. Det är tveksamt om maskinell dosdispensering av läkemedel kan anses utgöra hälso- och sjukvård enligt HSL. Verksamheten bedöms dock utgöra sådan annan medicinsk verksamhet som avses i 25 kap. 1 § OSL och om ett landsting för att tillgodose slutenvårdens behov av dosdispenserade läkemedel till patienter skulle bedriva maskinell dosdispensering med sådant tillstånd som avses i 16 § läkemedelslagen i egen regi, omfattas således den personal som deltar i dosdispenseringen av tystnadsplikt enligt nämnda bestämmelse i OSL.

Verksamhet vid sjukhus och andra liknande inrättningar som drivs av enskilda faller utanför OSL:s tillämpningsområde. För

personal inom den enskilda hälso- och sjukvården finns dock föreskrifter om tystnadsplikt i 6 kap. 12–16 §§ patientsäkerhetslagen (2010:659).

Vid maskinell dosdispensering till öppen och slutna vård som bedrivs på ett öppenvårdsapotek och som innefattar detaljhandel med läkemedel, gäller patientsäkerhetslagens bestämmelser om tystnadsplikt. Bestämmelserna gäller för den personal som har legitimation för yrke inom hälso- och sjukvården, såsom exempelvis legitimerade apotekare och receptarier. De gäller också för den apotekspersonal som tillverkar eller expedierar läkemedel eller lämnar råd och upplysningar.

En privat aktör som endast bedriver maskinell dosdispensering med tillstånd enligt 16 § läkemedelslagen driver inte apotek och således förekommer inte heller någon apotekspersonal i en sådan verksamhet. Om en sådan tillståndshavare bedriver dosdispensering till slutna vård som innefattar försäljning av läkemedel kommer patientsäkerhetslagens bestämmelser om tystnadsplikt endast att gälla för de farmaceuter och annan personal som har legitimation för yrke inom hälso- och sjukvården. Personal som deltar i maskinell dosdispensering som bedrivs med tillstånd enligt 16 § läkemedelslagen och där försäljning av läkemedel inte sker, torde inte omfattas av patientsäkerhetslagens tystnadspliktsbestämmelser.

2.3.5 Behandling av personuppgifter

Vid omregleringen av apoteksmarknaden skapades genom olika författningar och myndighetsföreskrifter ett regelsystem för att skydda enskilda mot att deras personliga integritet kränks genom behandling av personuppgifter.

Patientdatalagen torde inte vara tillämplig på verksamheter som avser detaljhandel med läkemedel (se prop. 2007/08:126, s. 105). Det är också som tidigare sagts tveksamt om maskinell dosdispensering av läkemedel kan anses utgöra en sådan verksamhet som omfattas av HSL. Det är därför osäkert om patientdatalagen är tillämplig i de fall ett landsting i egen regi skulle bedriva maskinell dosdispensering av läkemedel till patienter i slutenvården. Vad som nu sagts gäller även för det fall ett landsting genom avtal skulle uppdra åt någon aktör som bedriver maskinell dosdispensering med

tillstånd enligt 16 § läkemedelslagen att sköta dispensering till patienter inom slutenvården.

Den personuppgiftsbehandling som är nödvändig vid maskinell dosdispensering på öppenvårdsapotek till öppen och sluten vård kan ske med stöd av apoteksdatalagen (2009:367). Apoteksdatalagen är inte tillämplig på den personuppgiftsbehandling som utförs av den som bedriver maskinell dosdispensering med tillstånd enligt 16 § läkemedelslagen. För den som bedriver sådan dosdispensering gäller att personuppgiftsbehandlingen måste vara förenlig med bestämmelserna i personuppgiftslagen (1998:204), förkortad PuL. Det är dock tveksamt om bestämmelserna i PuL medger sådan personuppgiftsbehandling som behöver utföras vid maskinell dosdispensering och även om detta vore möjligt är frågan om det är lämpligt (se prop. 2008/09:145, s. 329 f).

2.3.6 Tillsyn

Läkemedelsverket har tillsyn över efterlevnaden av lagen (2009:366) om handel med läkemedel och av de föreskrifter och villkor som har meddelats i anslutning till lagen.

Hälso- och sjukvården och dess personal står enligt 7 kap. 1 § patientsäkerhetslagen (2010:659) under tillsyn av Socialstyrelsen.

Vid maskinell dosdispensering på öppenvårdsapotek omfattar Socialstyrelsens tillsyn personal som har legitimation för yrke inom hälso- och sjukvården, vilka är verksamma inom detaljhandel med läkemedel enligt lagen om handel med läkemedel samt apotekspersonal inom sådan detaljhandel som tillverkar eller expedierar läkemedel eller lämnar råd och upplysningar. Vid maskinell dosdispensering till patienter i sluten vård som bedrivs med tillstånd enligt 16 § läkemedelslagen och som innefattar försäljning av läkemedel, är Socialstyrelsens tillsynsansvar mer begränsat än vad som gäller sådan dosdispensering som sker på öppenvårdsapotek. Detta eftersom den personal utan legitimation för yrke inom hälso- och sjukvård som deltar i tillverkningen av dos inte är apotekspersonal. Eftersom det är tveksamt om maskinell dosdispensering av läkemedel utgör hälso- och sjukvård enligt HSL, är det oklart om Socialstyrelsen har tillsynsansvar över personal som deltar i sådan

maskinell dosdispensering som inte innefattar försäljning av de dispenserade läkemedlen.

2.3.7 Patientskadelagens tillämpning

Patienter som har skadats av läkemedel har olika möjligheter till ersättning. Rätt till skadestånd kan föreligga enligt både skadeståndslagen (1972:207) och produktansvarslagen (1992:18). Skadeståndets roll vid personskador som orsakats av läkemedel har dock till stor del övertagits av läkemedelsförsäkringen och den skyldighet för vårdgivare att teckna patientförsäkring som följer av patientskadelagen (1996:799).

Den som drabbas av patientskada i samband med hälso- sjuk- och tandvård i Sverige kan i vissa fall få ersättning enligt patientskadelagen. Enligt 5 § patientskadelagen avses med hälso- och sjukvård bl.a. verksamhet inom detaljhandel med läkemedel, under förutsättning att det är fråga om verksamhet som utövas av personal som omfattas av 1 kap. patientsäkerhetslagen (2010:659). Det är tveksamt om sådan dosdispensering av läkemedel till öppenvårdspatienter som enbart sker med tillstånd enligt 16 § läkemedelslagen är att anse som hälso- och sjukvård enligt patientskadelagen.

2.4 Uppdraget

2.4.1 En bättre fungerande marknad

Det finns vissa oklarheter och brister i den rättsliga reglering som gäller vid maskinell dosdispensering, vilket framgår av den föregående redogörelsen. Brister och oklarheter i den rättsliga reglering som gäller för en marknad kan påverka förutsättningarna för effektiv konkurrens negativt, exempelvis genom att aktörer är obenägna att etablera sig på marknaden.

Ur affärssynpunkt torde maskinell dosdispensering till patienter i öppen vård vara av störst intresse. Samtliga läkemedel som förskrivs på dosrecept säljs av öppenvårdsapotek. Det torde inte finnas någon skyldighet för landstingen eller kriminalvården att tillse att läkemedel dosdispenseras. De köp som dessa aktörer gör

av dosförpackningstjänster till patienter i öppen vård innebär att Apoteket AB även får sälja de läkemedel som dispensereras. Vidare kan det förmodas att Apoteket AB:s öppenvårdsapotek har bättre förutsättningar än konkurrerande öppenvårdsapotek att sälja de på dosrecepten förskrivna läkemedel som ska lämnas ut i originalförpackningar samt i viss mån även att öka sin försäljning av andra varor.

Det finns ingen författningsreglerad skyldighet för öppenvårdsapotek att lämna ut läkemedel som dispensereras och säljs av en konkurrent. De läkemedel som dosförskrivits till patienter som bor i ordinärt boende hämtas inte sällan ut på öppenvårdsapotek. För dessa patienter kan nuvarande ordning innebära sämre tillgänglighet till dosläkemedel.

Mot ovanstående bakgrund finns skäl att överväga om gällande reglering och marknadens funktionssätt som helhet skapar de bästa förutsättningarna för den effektiva konkurrens som eftersträvas på dosmarknaden och på marknaden för detaljhandel med läkemedel till konsument.

En särskild utredare ska därför genomföra en översyn av den rättsliga reglering som gäller vid maskinell dosdispensering av läkemedel till patienter i öppen och slutna vård i Sverige. I uppdraget ingår även att analysera om det finns en skyldighet att tillåta aktörer i utlandet att bedriva dosdispensering av läkemedel till patienter i Sverige och, om så inte är fallet, detta ändå är lämpligt. Utredaren ska därvid analysera hur detta påverkar läkemedelsförmånssystemet, särskilt bestämmelserna om utbyte av läkemedel.

Syftet med översynen är att föreslå ett regelsystem och andra åtgärder som åstadkommer god tillgänglighet till dosdispenserade läkemedel, en säker och ändamålsenlig läkemedelsanvändning och goda förutsättningar för en väl fungerande konkurrens på hela apoteksmarknaden. I detta ligger bl.a. att så långt det är möjligt skapa goda förutsättningar för både små och stora aktörer att verka på likvärdiga villkor. Vidare har frågor som rör prissättning av dosdispenseringstjänsterna och de läkemedel som dispensereras stor betydelse. Regelsystemet ska vidare utformas med särskilt beaktande av de uppgifter Apotekens Service AB har att utföra och med tillgodoseende av enskildas integritetsintressen liksom de olika offentliga intressen som gäller för läkemedelsförsörjning och läkemedels-

hantering inom hälso- och sjukvården samt för handel med läkemedel.

Utredaren ska lämna de författningsförslag och andra förslag som behövs för att skapa ett ändamålsenligt regelsystem och en väl fungerande konkurrens.

De förslag utredaren lämnar ska grunda sig på analyser av nuvarande konkurrensförhållanden på den svenska marknaden för maskinell dosdispensering av läkemedel till patienter i öppen och slutenvård. Utredaren ska därvid särskilt beakta hur den maskinella dosdispensering som avser patienter i öppen vård påverkar konkurrensen på marknaden för öppenvårdsapotek samt hur läkemedelsförmånssystemet, särskilt bestämmelserna om utbyte, påverkas.

Utredaren ska särskilt tillse att de som bedriver maskinell dosdispensering kan behandla de uppgifter om bl.a. patienters hälsotillstånd och andra personliga förhållanden som är nödvändiga för verksamheten. Utredaren ska därvid särskilt beakta den IT-infrastruktur som Apotekens Service AB har ansvar för. De förslag som lämnas ska utformas så att denna infrastruktur kan bibehållas.

2.4.2 Frågor som rör Apoteket Farmaci AB

I rapporten Förberedelsearbetet i apoteksreformen (RiR 2010:19) rekommenderar Riksrevisionen bl.a. att regeringen snarast tar ställning till om verksamheten i ApoDos (Apoteket AB:s dosverksamhet) och Apoteket Farmaci AB ska avyttras från Apoteket AB så att företaget och övriga aktörer kan planera för framtida strategiska åtgärder inom verksamhetsområdena. Konkurrensverket har också tagit upp frågan i sin slutredovisning av uppdraget att följa utvecklingen med anledning av omregleringen av apoteksmarknaden. Verket framför att det är angeläget att regeringen skyndsamt tar ställning till och kommunicerar hur den ser på det långsiktiga ägandet av Apoteket Farmaci AB. Det bör enligt Konkurrensverket övervägas om bolaget ska skiljas från Apoteket AB.

Enligt statens ägaranvisningar för Apoteket AB gäller att bolaget ska tillse att Apoteket Farmaci AB:s inriktning inte är direkt mot konsument, dvs. att någon marknadsföring av recept-expediering till hemgående patienter inte sker. Det är oklart vilka

effekter som detta åliggande haft. Mot bakgrund av det som framförs nu och i ovan nämnda rapporter ska utredaren analysera hur Apoteket AB:s ägande av Apoteket Farmaci AB samt de förutsättningar som gäller för Apoteket Farmaci AB:s verksamhet, påverkar konkurrensen på marknaderna för dosdispensering, öppenvårdsapotek och slutenvårdens läkemedelsförsörjning. Vid denna analys ska bl.a. de ägar-anvisningar från staten som gäller för Apoteket AB beaktas. Om utredaren bedömer att det behövs förändringar på detta område för att skapa bättre förutsättningar för konkurrens ska utredaren lägga fram förslag till lämpliga åtgärder.

2.4.3 Vissa övriga frågor

Utbyte av läkemedel

Som framgår av avsnitt 2.3.3 Lagen om läkemedelsförmåner m.m. har öppenvårdsapoteken enligt 21 § nämnda lag en skyldighet att skriftligen underrätta den som utfärdat ett recept om att ett utbyte av ett läkemedel har skett. Denna skyldighet har av apoteksaktörer och landsting beskrivits som svåradministrerad och kostsam.

Utredaren ska lämna författningsförslag som innebär att ovan angivna skyldighet för öppenvårdsapoteket kan fullgöras på ett mer ändamålsenligt sätt.

Uppgifter om förskrivningsrätt

Socialstyrelsen för ett register över hälso- och sjukvårdspersonal. Registret regleras i förordningen (2006:196) om register över hälso- och sjukvårdspersonal och innehåller bl.a. uppgifter som är nödvändiga att ha tillgång till vid den receptexpediering som sker på öppenvårdsapotek. Vid en sådan expediering måste alltid förskrivarens rätt att skriva ut det aktuella läkemedlet kontrolleras. Socialstyrelsen rapporterar därför dagligen in uppgifter från registret över hälso- och sjukvårdspersonal till Apotekens Service AB och till det receptregister som bolaget för med stöd av lagen (1996:1156) om receptregister.

I 12 § lagen om receptregister har Apotekens Service AB ålagts en uttrycklig skyldighet att lämna ut uppgifter från receptregistret

till öppenvårdsapoteken. De uppgifter som ska lämnas ut är underlag för expediering av läkemedel och andra varor som förskrivits, underlag för tillämpningen av bestämmelserna om läkemedelsförmåner samt uppgifter om dosrecept, recept för flera uttag och elektroniska recept. Den uppgiftsskyldighet som följer av 12 § bryter den tystnadsplikt som gäller för personalen vid Apotekens Service AB.

Tillgången till uppgifter om begränsningar i eller indragning av förskrivares förskrivningsrätt är således nödvändig vid recept-expeditioner, men det är tveksamt om nuvarande lydelse av 8 § lagen om receptregister medger att registret innehåller sådana uppgifter.

Utredaren ska lämna förslag till ändringar i lagen om receptregister som dels klargör att receptregistret får innehålla uppgifter om begränsningar i eller indragning av förskrivares förskrivningsrätt, dels säkerställer att Apotekens Service AB har en lagenlig skyldighet att lämna ut de nämnda uppgifterna till öppenvårdsapoteken och att dessa apotek kan behandla uppgifterna med stöd av apoteksdatalagen (2009:367).

Utredaren ska vidare lämna de förslag till ändringar av förordningen om register över hälso- och sjukvårdspersonal som mot bakgrund av övriga författningsändringar bedöms lämpliga.

Tillsyn över och tystnadsplikt för personal på extemporeapotek

Enligt 16 § läkemedelslagen (1992:859) får yrkesmässig tillverkning av läkemedel och mellanprodukter bedrivas endast av den som har Läkemedelsverkets tillstånd. En inrättning som har Läkemedelsverkets tillstånd att tillverka läkemedel för ett visst tillfälle (extemporeapotek) ska vid sådan tillverkning vara bemannad med en eller flera farmaceuter.

Det är tveksamt om den tillverkning av läkemedel som sker på extemporeapotek är att anse som hälso- och sjukvård enligt hälso- och sjukvårdslagen (1982:763). Försäljning av läkemedel från ett extemporeapotek till ett öppenvårdsapotek utgör inte detaljhandel med läkemedel enligt lagen (2009:366) om handel med läkemedel. De öppenvårdsapotek som inte själva tillverkar extemporeläkemedel måste köpa in dessa läkemedel från ett extemporeapotek.

Vad nu sagts innebär att det, på motsvarande sätt som tidigare redogjorts för i avsnitt 2.3.4 Tystnadsplikter och 2.3.6 Tillsyn, är oklart vilken tystnadsplikt som gäller för personal som deltar i tillverkning av extemporeläkemedel. Vidare är det oklart i vilken utsträckning Socialstyrelsen ska utöva tillsyn över denna personal.

Utredaren ska utreda behovet av nya bestämmelser om tystnadsplikt för och tillsyn över personal som tillverkar läkemedel för visst tillfälle på extemporeapotek och om ett sådant behov föreligger lämna de författningsförslag och andra förslag som behövs.

Frågor som rör lagen om receptregister

Gallring

I dag registreras samtycken för att förskrivaren ska ha möjlighet att läsa läkemedelsförteckningen, samtycken avseende fortsatt lagring av elektroniska recept och samtycken avseende lagring av uppgift om läkemedelskostnad med förmån. Dessa samtycken anknyter alla till receptregistret eller läkemedelsförteckningen. Apotekens Service AB har på uppdrag av regeringen utrett förutsättningarna för inrättandet av ett nationellt samtyckesregister (S2009/10159/FS). I sin redovisning av uppdraget anför Apotekens Service AB att det enligt bolagets uppfattning inte finns något behov av ett centralt, nationellt samtyckesregister. Däremot finns det behov av ett gemensamt format och en struktur för hantering av olika former av samtycken, vilket Apotekens Service AB har utarbetat. Detta för att uppbyggnaden av alla samtyckesregister ska kunna ske på standardiserade sätt vilket underlättar för elektronisk anpassning och användares igenkänning.

Enligt 19 § lagen (1991:1156) om receptregister (receptregisterlagen) ska uppgifter som kan hänföras till enskilda personer tas bort ur registret under den tredje månaden efter den under vilken de registrerades. Om uppgifterna bevaras för registerändamålen enligt 6 § första stycket 2 eller 8 ska uppgifterna dock tas bort ur registret först under den femtonde månaden efter den under vilken de registrerades.

Av 6 § första stycket 2 och 8 receptregisterlagen framgår att personuppgifterna i receptregistret får behandlas om det är nödvändigt för registrering av underlaget för tillämpningen av bestäm-

melserna om läkemedelsförmåner vid köp av läkemedel m.m., för registrering av recept och blanketter som används för flera uttag, samt registrering av dosrecept och elektroniska recept. Behandling av personuppgifter för de ändamål som nu redovisats får enligt 6 § andra stycket, med undantag för registrering av elektroniska recept, endast ske i fråga om den som har lämnat sitt samtycke till behandlingen. En uppgift om samtycke till sådan behandling måste enligt den redovisade gallringsbestämmelsen således gallras senast den femtonde månaden efter att uppgiften registrerades. När samtycket gallrats måste även den behandling av uppgifter som samtycket avser upphöra.

Enligt lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. ska den kostnadsreducering som sker beräknas på den sammanlagda kostnaden för varor som den förmånsberättigade köper under ett år räknat från det första inköpstillfället. Ett samtycke som en enskild lämnat till behandling av uppgifter om läkemedelsförmånen, kan således behöva gallras under en pågående kostnadsreduceringsperiod. Den ovan redovisade gallringsbestämmelsen medför inte enbart problem och kostnader vid hanteringen av läkemedelsförmånerna utan även vid hanteringen av elektroniska recept och dosrecept.

Utredaren ska genomföra en översyn av gallringsbestämmelsen i 19 § lagen om receptregister.

Utredaren ska, med särskilt beaktade av de integritetsskyddsintressen som finns, lämna författningsförslag som löser de problem nuvarande utformning av gallringsbestämmelsen leder till.

Fullmakter

Det förekommer sedan lång tid att läkemedel för en patient hämtas ut från apoteket av någon annan än patienten. I dessa fall krävs att ombudet har fullmakt att hämta ut läkemedlen. Före omregleringen av apoteksmarknaden hade Apoteket AB ett fullmaktsregister av vilket det framgick vem som hade rätt att hämta ut läkemedel för någon annans räkning. Eftersom samtliga apotek hade tillgång till uppgifterna i det registret, kunde ett ombud hämta ut läkemedel på elektroniskt lagrade recept på det apotek som passade. Efter omregleringen får öppenvårdsapoteken enligt 7 § 5 apoteksdata-

lagen (2009:367) behandla personuppgifter om det är nödvändigt för administrering av fullmakter att hämta ut läkemedel. Dessa uppgifter är dock inte tillgängliga för samtliga öppenvårdsapotek.

Apotekens Service AB tillhandahåller i dag ett fullmaktsregister för receptexpediering. Lagen om receptregister innehåller inte någon bestämmelse som motsvarar 7 § 5 apoteksdatalagen. Bestämmelsen i 8 § lagen om receptregister, som reglerar vilka uppgifter som får finnas i registret, torde inte medge att registret innehåller uppgifter om fullmaktstagare. Det är således tveksamt om Apotekens Service AB med stöd av lagen om receptregister kan behandla de personuppgifter som finns i fullmakterna. Inte heller finns det bestämmelser i lag eller i förordning som avviker från personuppgiftslagen (1998:204, PuL) som ska tillämpas i stället för PuL vid den personuppgiftsbehandling som fullmaktsregistret kräver.

Utredaren ska analysera om det vore lämpligt att göra ändringar i lagen om receptregister som dels medger att Apotekens Service AB kan behandla nödvändiga uppgifter i sådana fullmakter som ovan nämnts, dels säkerställer att bolaget har en lagenlig skyldighet att lämna ut de nämnda uppgifterna till öppenvårdsapoteken. Bedömer utredaren att det vore lämpligt att göra sådana ändringar, ska utredaren lämna nödvändiga författningsförslag.

Tillstånd för apotek och partihandlare att hantera narkotika

Enligt artiklarna 29.1 och 30.1 i FN:s narkotikakonvention från år 1961 (SÖ 1964:59) ska särskilda tillstånd utfärdas för andra än statliga företag som tillverkar eller bedriver handel med eller distribuerar narkotika. Lagen (1992:860) om kontroll av narkotika undantar apotek från skyldigheten att söka sådana tillstånd (4 § andra stycket och 5 § 2 lagen om kontroll av narkotika).

Omregleringen av apoteksmarknaden har möjliggjort för andra aktörer än Apoteket AB att bedriva detaljhandel med läkemedel och tillverka extemporeläkemedel. Utredaren ska analysera vilka ändringar som med hänsyn till detta bör göras i lagen om kontroll av narkotika avseende undantag från kraven på tillstånd för apotek för att tillverka narkotika och för öppenvårdsapotek och partihandlare för att bedriva handel med narkotika.

Utredaren ska lämna förslag på de författningsändringar som bedöms nödvändiga.

3 Handel med läkemedel för djur

3.1 Bakgrund

I Apoteksmarknadsutredningens slutbetänkande (SOU 2008:46) konstaterade utredaren bl.a. att de lämnade förslagen huvudsakligen fungerar bra även beträffande handel med läkemedel för djur. Utredaren pekade även på områden som borde utredas ytterligare. En sådan fråga var om det borde införas en möjlighet att driva djurapotek, dvs. apotek som bedriver detaljhandel endast med läkemedel för djur. Utredaren kom dock till slutsatsen att man borde avvakta med ett eventuellt införande av djurapotek tills omregleringen genomförts och dess konsekvenser kunde överblickas. När slutbetänkandet remissbehandlades var tretton av de totalt femton remissinstanser som yttrade sig negativa till utredarens bedömning att man borde avvakta med ett eventuellt införande av djurapotek. De ansåg i stället att det borde vara möjligt att driva sådana apotek och menade bl.a. att tillgängligheten till läkemedel för djur skulle öka och att mångfald och konkurrens beträffande priser och service därmed skulle förbättras.

Regeringen gav 2008 Konkurrensverket i uppdrag att göra en bred översyn av konkurrensen i Sverige och lämna konkreta förslag på konkurrensfrämjande åtgärder (regeringsbeslut I:2, regeringsuppdrag N2008/5153/MK). Den 31 mars 2009 redovisade Konkurrensverket ett 60-tal förslag till konkurrensfrämjande åtgärder. Ett av förslagen var att göra det möjligt att driva apotek som enbart säljer läkemedel för djur.

Före omregleringen av apoteksmarknaden drev Apoteket AB 110 apotek som hade ett utökat lager av efterfrågade läkemedel för djur samt personal med fördjupad farmaceutisk kompetens på området. Dessutom drev bolaget 54 s.k. lantbruksapotek som hade ett utökat sortiment för lantbrukets djur i djurtäta områden. Vissa av apoteken hade båda inriktningarna.

Efter omregleringen har Apoteket AB kvar 42 av de 110 apotek som hade inriktning mot sällskapsdjur. Av de 54 lantbruksapoteken finns 21 kvar i bolagets ägo. Bolaget har numer koncentrerat sin

ordermottagning och skickningsverksamhet avseende läkemedel för djur till djurapoteket i Eskilstuna.

Omregleringen av apoteksmarknaden har genomförts och dess konsekvenser kan bättre överblickas. Det finns nu skäl att åter överväga frågan om tillgängligheten till läkemedel för djur och vissa därmed sammanhängande frågor.

3.2 Marknaden för läkemedel för djur

Veterinärer är behöriga att förordna läkemedel för behandling av djur. I den veterinärmedicinska verksamheten används dels veterinärmedicinska läkemedel, dels humanläkemedel. Med läkemedel för djur avses i dessa direktiv läkemedel för administrering till djur, dvs. både veterinärmedicinska läkemedel och sådana humanläkemedel som förskrivs för djur.

Den s.k. kaskadprincipen avgör i vilken utsträckning humanläkemedel får användas vid behandling av djur. För vissa djurslag och många ovanliga indikationer saknas godkända veterinärmedicinska alternativ helt. Enligt kaskadprincipen får veterinär i undantagsfall av djurskyddsskäl förskriva läkemedel godkänt för annan indikation eller annat djurslag än det avsedda samt förskriva humanmedicinska läkemedel och läkemedel godkända i annat land (efter licensansökan) till djur. Kaskadprincipen gäller dock bara när ett godkänt alternativ för indikationen och djurslaget i fråga saknas. Det är därför inte tillåtet för veterinär att förskriva humanmedicinska läkemedel av t.ex. ekonomiska skäl. Bestämmelsen har sitt ursprung i Europaparlamentets och rådets direktiv 2001/82/EG av den 6 november 2001 om upprättande av gemenskapsregler för veterinärmedicinska läkemedel (EGT L 311, 28.11.2001 s. 1, Celex 32001L0082). Statens Jordbruksverk har tagit in bestämmelser härom i sina föreskrifter om läkemedel och läkemedelsanvändning (SJVFS 2009:84).

Handel med läkemedel för djur skiljer sig på flera sätt i förhållande till handel med läkemedel för människor. Det kan konstateras att läkemedel för djur är en förhållandevis liten marknad. Under 2009 motsvarade försäljningen av sådana läkemedel cirka två procent av apotekens totala försäljning.

Vidare är marknaden inte homogen. Den kan delas upp i två delmarknader med olika förutsättningar:

- Lantbruksdjur, som ägs och sköts av professionella djurägare som bedriver näringsverksamhet.
- Sällskapsdjur, där det förekommer att djuret står på stadigvarande medicinering.

När det gäller prissättningen kan det konstateras att priserna inte är reglerade och inte heller subventioneras av det allmänna. I stället sätter öppenvårdsapoteken själva priset på läkemedel för djur och läkemedlen bekostas av kunden, i vissa fall med hjälp av en försäkring. Apotekens inköpspris för veterinärmedicinska läkemedel påverkas av att det främst är fråga om patentskyddade originalläkemedel. Det finns ett fåtal generiska och parallellimporterade produkter.

3.3 Gällande rätt

Lagen (2009:366) om handel med läkemedel skiljer inte på läkemedel för människor och läkemedel för djur. Den i dag gällande regleringen avseende öppenvårdsapotekens handel med läkemedel gäller därmed även för läkemedel för djur. Detta innebär bl.a. att läkemedel för djur som regel endast får säljas på öppenvårdsapotek. Undantag gäller t.ex. för sårsalvor och andra s.k. vissa utvärtes medel (VUM).

Tillstånd att driva apotek får enligt 2 kap. 5 § 1 och 2 inte beviljas den som innehar godkännande för försäljning av läkemedel eller den som är behörig att förordna läkemedel. Bestämmelserna träffar tillverkare av såväl humanläkemedel som djurläkemedel samt såväl läkare som veterinärer.

Som redovisats i avsnitt 2.3.2 har öppenvårdsapoteken och den som har tillstånd att bedriva partihandel med läkemedel ålagts vissa skyldigheter att tillhandahålla respektive leverera läkemedel. Dessa skyldigheter innebär dock inte någon direkt reglering av deras lagerhållning.

Öppenvårdsapoteken ska enligt 2 kap. 6 § 6 ha ett elektroniskt system som gör det möjligt att få direktåtkomst till uppgifter hos Apotekens Service AB. Vid en expediering ska de lämna de upp-

gifter som anges i 8 § lagen (1996:1156) om receptregister. Eftersom läkemedel för djur inte behandlas i lagen om receptregister gäller inte denna uppgiftsskyldighet beträffande läkemedel för djur. Däremot gäller skyldigheten i 2 kap. 6 § 7 lagen om handel med läkemedel att lämna uppgifter som är nödvändiga för att Apotekens Service AB ska kunna föra statistik över detaljhandeln.

Enligt förordningen (2009:1031) om producentansvar för läkemedel är öppenvårdsapoteken skyldiga att ta hand om läkemedelsavfall som uppkommit hos hushåll och lämnas av allmänheten. Läkemedelsavfall från näringsidkare, t.ex. lantbrukare och veterinärer, omfattas inte av skyldigheten.

Läkemedelsförsörjningen till veterinära inrättningar sker via öppenvårdsapotek. Någon motsvarighet till bestämmelsen i 4 kap. 1 § andra stycket lagen om handel med läkemedel, som innebär att sjukvårdshuvudmän och sjukhus kan köpa läkemedel från partihandeln, finns inte för veterinära inrättningar.

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket sätter priset på sådana läkemedel för människor som omfattas av läkemedelsförmånerna. Någon motsvarighet finns, som tidigare nämnts, inte beträffande läkemedel för djur, utan fri prissättning gäller och läkemedlen subventioneras inte av det allmänna.

Sedan den 1 november 2009 gäller lagen (2009:730) om handel med vissa receptfria läkemedel. Lagen gör det möjligt för andra än öppenvårdsapotek att sälja vissa receptfria humanläkemedel. Det är Läkemedelsverket som bedömer vilka läkemedel som får säljas enligt regelverket. Den som vill sälja läkemedlen ska göra en anmälan till Läkemedelsverket. Det finns dock ingen motsvarighet beträffande läkemedel för djur.

4 Uppdraget

4.1 Tillgänglighet till läkemedel för djur

4.1.1 Inledning

Marknaden för läkemedel för djur är förhållandevis liten. Eftersom den dessutom är uppdelad i två delmarknader avseende lantbruksdjur och sällskapsdjur finns det en utmaning i att få ut läkemedlen till de platser där de behövs. Utredaren ska därför analysera

och lämna förslag på hur tillgängligheten till läkemedel för djur kan förbättras.

4.1.2 Djurapotek

Utredaren ska överväga om det bör inrättas särskilda apotek som endast expedierar läkemedel för djur, här kallade djurapotek. I uppdraget ingår att analysera vilka konsekvenser en sådan förändring skulle kunna få vad gäller tillgänglighet, pris och servicegrad när det gäller läkemedel för djur och för etableringen av apotek samt vilka ekonomiska konsekvenser förändringen skulle kunna få för aktörerna.

För det fall utredaren föreslår att det ska kunna inrättas djurapotek ska utredaren analysera och lämna förslag avseende tillståndsgivning, tillsyn och kontroll, ägande av apotek samt vilka krav som ska gälla för verksamheten. Utredaren ska också lämna förslag på hur risken för förväxling mellan öppenvårdsapotek och djurapotek ska kunna minimeras. I sammanhanget bör det beaktas att den s.k. apotekssymbolen är förbehållen öppenvårdsapotek. Uppdraget avseende tillsyn utvecklas under avsnitt 4.2.5.

När det gäller tillståndsgivning ska utredaren analysera om de krav som i dag gäller för att beviljas tillstånd att driva öppenvårdsapotek ska gälla för att få tillstånd att driva djurapotek samt om några ytterligare krav bör uppställas.

Utredaren ska dessutom lämna förslag på vilka krav som ska gälla för verksamheten fortsättningsvis. De krav som gäller för öppenvårdsapoteken bör uppmärksammas, men även om det bör ställas särskilda krav på verksamheten, t.ex. om det bör krävas farmaceuter med specialistkompetens på djurområdet. Även vilka krav som ska ställas på djurapoteken när det gäller elektroniska system för att få tillgång till och lämna uppgifter till Apotekens Service AB ska övervägas. Vidare ska vilka krav som bör ställas på andra tekniska lösningar såsom receptexpeditionssystem analyseras.

Utredaren ska dessutom överväga om djurapotekens verksamhet ska vara begränsad till detaljhandel till konsument eller om även detaljhandel till veterinärer och veterinära inrättningar ska få bedrivas.

En annan fråga som utredaren ska ta ställning till är vem eller vilka som ska få driva djurapotek. Härvid bör uppmärksammas de frågor som behandlas nedan i avsnitt 4.1.3 rörande tillstånd att driva öppenvårdsapotek.

Utredaren ska vidare föreslå hur djurapotekens tillhandahållandeskyldighet avseende veterinärmedicinska läkemedel och läkemedel för människor ska avgränsas. Härvid bör det uppmärksammas att humanläkemedel under vissa förutsättningar kan förskrivas för djur. Även den försäljning av vissa receptfria humanläkemedel som kan bedrivas på andra försäljningsställen än öppenvårdsapotek enligt lagen (2009:730) om handel med vissa receptfria läkemedel behöver uppmärksammas i sammanhanget.

Utredaren ska vidare analysera hur djurapoteken ska bidra till finansieringen av Apotekens Service AB samt hur en avgift ska beräknas och fastställas.

4.1.3 Tillstånd att driva öppenvårdsapotek

Det finns vissa grupper som inte får beviljas tillstånd att driva öppenvårdsapotek. Enligt 2 kap. 5 § 1–3 lagen (2009:366) om handel med läkemedel får tillstånd att driva öppenvårdsapotek inte beviljas den som bedriver yrkesmässig tillverkning av läkemedel, innehar godkännande för försäljning av läkemedel eller är behörig att förordna läkemedel. I sammanhanget kan det konstateras att bl.a. veterinärer träffas av bestämmelsen.

Utredaren ska analysera om tillgängligheten till läkemedel för djur kan förväntas öka om det görs förändringar beträffande vilka grupper som får driva öppenvårdsapotek. Särskilt bör för- och nackdelar med en etablering av öppenvårdsapotek i nära anslutning till veterinära inrättningar analyseras. Läkemedel till djur ska, enligt Jordbruksverkets föreskrifter om läkemedel och läkemedelsanvändning (SJVFS 2009:84), användas med återhållsamhet och bara då det finns behov av det. Användningen av antibiotika till djur är vidare låg i Sverige jämfört med många andra EU-länder där veterinärer har rätt att sälja läkemedel. I sammanhanget bör därför särskilt analyseras om en ändring av regelverket som medger att t.ex. veterinärer ges rätt att driva apotek riskerar att öka förskrivningen av läkemedel och inverka menligt på Sveriges gynnsamma läge vad

gäller antibiotikaresistens inom veterinärmedicinen. Om utredaren bedömer att förändringar bör göras, ska förslag lämnas.

4.1.4 Tillhandahållandeskyldighet

När det gäller bl.a. skyldigheterna att tillhandahålla läkemedel görs det, som tidigare sagts, ingen skillnad mellan läkemedel för människor och läkemedel för djur. Det kan konstateras att läkemedel för djur står för en liten del av öppenvårdsapotekens totala försäljning.

Utredaren ska kartlägga i vilken utsträckning öppenvårdsapoteken har läkemedel för djur i lager och därmed kan leverera dessa till kunden omedelbart.

Utredaren ska vidare analysera huruvida förändringar bör göras beträffande reglering av öppenvårdsapotekens lagerhållning eller tillhandahållandeskyldighet avseende läkemedel för djur och vid behov föreslå sådana förändringar. Motsvarande överväganden och eventuella förslag ska lämnas beträffande partihandlarnas leveransskyldighet gentemot öppenvårdsapoteken.

4.1.5 Läkemedel från partihandeln

Veterinära inrättningar köper läkemedel till sina verksamheter från öppenvårdsapotek. Öppenvårdsapotekens lagerhållning kan därmed få konsekvenser för tillgängligheten till läkemedel som ska användas i veterinär verksamhet.

Utredaren ska analysera om det bör vara möjligt för veterinära inrättningar att förvärva läkemedel som ska användas i verksamheten direkt från partihandeln. Om utredaren finner att detta bör vara möjligt ska förslag lämnas. När sådana förslag utformas är det angeläget att behovet av farmaceutisk kontroll säkerställs.

4.1.6 Vissa receptfria läkemedel

Det är i dag inte möjligt att köpa vissa receptfria läkemedel för djur på andra platser än öppenvårdsapotek.

Utredaren ska analysera om det bör vara möjligt att sälja vissa receptfria läkemedel för djur på andra försäljningsställen än apotek. Häri ingår att analysera vilka läkemedel för djur som skulle kunna vara lämpliga att sälja på andra platser än apotek och i vilken utsträckning detta skulle bidra till att öka tillgängligheten till läkemedel för djur.

Om utredaren finner att en sådan reglering är lämplig ska förslag lämnas. Härvid ska det särskilt beaktas vilka kriterier som bör vara avgörande för att ett läkemedel ska få säljas på andra platser än apotek samt huruvida det bör finnas inskränkningar beträffande vilka försäljningsställen som ska få bedriva sådan handel.

4.1.7 Tillgången till godkända läkemedel för djur

Under år 2009 motsvarade försäljningen av läkemedel för djur cirka två procent av apotekens totala försäljning. Att marknaden är förhållandevis liten kan påverka apotekens lagerhållning av sådana läkemedel och därigenom tillgängligheten till dessa.

Hur många godkända djurläkemedel som finns tillgängliga på den svenska marknaden påverkas av i vilken utsträckning de förskrivs. Av den s.k. kaskadprincipen följer att en veterinär som regel ska förskriva ett läkemedel som är godkänt i Sverige för aktuellt tillstånd hos det djurslag som ska behandlas och att läkemedel för människor och läkemedel som förskrivs på licens ska förskrivas endast under vissa förutsättningar. Det är angeläget att bestämmelserna följs. En sviktande försäljning av djurläkemedel kan föranleda att de dras bort från marknaden, vilket i sin tur medför att veterinärer blir hänvisade till att förskriva andra läkemedel än de som ska väljas i första hand.

Utredaren ska analysera om kaskadprincipen efterlevs på ett korrekt sätt samt hur tillsynen av efterlevnaden av bestämmelserna härom fungerar. Vid behov ska utredaren lämna förslag på hur efterlevnaden kan förbättras och tillsynen förstärkas.

Utredaren ska vidare analysera hur licensansökningarna avseende djurläkemedel fördelar sig på olika aktiva substanser. För det fall läkemedel som innehåller vissa substanser står för en särskilt stor andel av ansökningarna om licens ska utredaren analysera skälen till detta och föreslå hur tillgängligheten till godkända djur-

läkemedel ska kunna öka. Utredaren ska i detta sammanhang överväga om det finns anledning för Sverige att utnyttja möjligheten i artikel 7 i Europaparlamentets och rådets direktiv 2001/82/EG att, när djurhälsoläget så kräver, tillåta försäljning eller administrering till djur av veterinärmedicinska läkemedel som är godkända för försäljning i en annan EU-medlemsstat.

4.2 Övrigt

4.2.1 Registerfrågor

Receptregistret innehåller inga uppgifter om läkemedel för djur. Detta innebär bl.a. att Apotekens Service AB inte har någon lagstadgad skyldighet att föra ett register över elektroniska förskrivningar för djur samt att hantering av recept för djur inte finansieras via den avgift som öppenvårdsapoteken erlägger för bl.a. förandet av receptregistret. Apotekens Service AB har tagit fram ett register över elektroniska recept för djur, som erbjuds till öppenvårdsapoteken mot en avtalad avgift.

Utredaren ska lämna förslag på om det bör inrättas ett nationellt receptregister för läkemedel för djur och vilka krav som i övrigt ska ställas på öppenvårdsapoteken när det gäller receptexpeditions-system för läkemedel för djur.

Utredaren ska också analysera och lämna förslag på hur öppenvårdsapotekens recepthantering avseende läkemedel för djur ska bidra till finansieringen av Apotekens Service AB samt hur en avgift ska beräknas och fastställas.

4.2.2 Registrering av vissa uppgifter

Enligt artikel 66.2 i Europaparlamentets och rådets direktiv 2001/82/EG av den 6 november 2001 ska var och en som innehar tillstånd att sälja veterinärmedicinska läkemedel vara skyldig att föra utförliga register och notera vissa uppgifter för alla in- och utgående transaktioner. Registren ska hållas tillgängliga för granskning under en tid av fem år.

Förslag rörande nämnda direktivs genomförande behandlades i Apoteksmarknadsutredningens slutbetänkande, Handel med läke-

medel för djur (SOU 2008:46). Datainspektionen och Läkemedelsverket framförde vissa synpunkter på förslagen i sina remissvar avseende betänkandet.

Utredaren ska föreslå hur direktivets bestämmelse kan genomföras i svensk rätt avseende samtliga aktörer som har tillstånd att sälja djurläkemedel.

4.2.3 Prissättning av läkemedel för djur

Priserna för läkemedel för djur är inte reglerade, utan fri prissättning gäller. Det finns inte heller något krav på att en aktör ska erbjuda läkemedel till samma pris över hela landet. Det finns inget centralt register där t.ex. en veterinär kan jämföra priser när ett preparat ska skrivas ut, utan veterinären är hänvisad till de olika öppenvårdsapoteken för att jämföra priser. Detta kan få konsekvenser för prispressen på läkemedel för djur.

Utredaren ska lämna förslag på hur ökad prispress kan uppnås beträffande läkemedel för djur. Utredaren ska därvid bl.a. analysera och föreslå hur det ska bli möjligt att göra prisjämförelser på läkemedel för djur.

4.2.4 Statistik över användningen av läkemedel för djur

Regeringen beslutade i april 2003 att Jordbruksverket årligen senast den 30 april ska redovisa användningen av läkemedel till djur under föregående år. Av regeringsbeslutet framgår att verket får begära statistik från Apoteket AB för ändamålet. Enligt tidigare gällande verksamhetsavtal med staten var Apoteket AB skyldigt att på begäran av regeringen, eller av regeringen angiven myndighet, producera och erbjuda analyser av statistik över läkemedelsanvändningens art och omfattning avseende läkemedel för djur. I verksamhetsavtalet hade parterna antecknat att bolagets system, dataprogram, rutiner m.m. skulle medge att statistiken redovisas per djurslag, samt att kostnaden för sådan statistik fick täckas vid prissättning av djurläkemedel.

Apotekens Service AB ska enligt det ägardirektiv som antogs på bolagsstämma den 14 april 2010 framställa och redovisa nationell läkemedelsstatistik. I lagen om receptregister (1996:1156), som

endast omfattar förskrivningar av läkemedel och andra varor för människor, finns bestämmelser om skyldighet för Apotekens Service AB att lämna ut uppgifter ur receptregistret till bl.a. Socialstyrelsen och Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket.

Utredaren ska ta ställning till hur Apotekens Service AB:s ansvar för statistik över läkemedel för djur ska utformas och hur framtagandet och tillhandahållandet av statistiken ska finansieras. Om utredaren bedömer att det behövs författningsändringar ska sådana föreslås.

4.2.5 Tillsyn

Läkemedelsverkets tillsynsansvar innebär bl.a. att verket kontrollerar öppenvårdsapotekens hantering av läkemedel. Detta ansvar omfattar även läkemedel för djur.

Verksamhet inom detaljhandel med läkemedel enligt lagen om handel med läkemedel är att anse som hälso- och sjukvård enligt patientsäkerhetslagen (2010:659). Apotekspersonal som tillverkar eller expedierar läkemedel eller lämnar råd och upplysningar är hälso- och sjukvårdspersonal. Både hälso- och sjukvårdslagen (1982:763) och patientsäkerhetslagen kan tolkas så att de endast gäller vid hälso- och sjukvård av människor. Detta eftersom det i lagarna talas om patienter, avlidna, efterlevande och befolkning. Apoteksmarknadsutredningen kom i sitt slutbetänkande till den slutsatsen att detta innebär att Socialstyrelsens tillsyn över farmaceuterna endast gäller då de expedierar läkemedel som är förskrivna för människor. Farmaceuter som expedierar läkemedel avsedda för djur omfattas inte av de bestämmelser som rör djurhälsopersonal enligt lagen (2009:302) om verksamhet inom djurens hälso- och sjukvård och står därmed inte under tillsyn enligt den lagen.

Utredaren ska föreslå hur tillsynen avseende farmaceuter som expedierar läkemedel för djur ska bedrivas samt vilka åtgärder som ska kunna vidtas om en farmaceut inte fullgör sina skyldigheter på föreskrivet sätt. Det är viktigt att tillsynen kan bedrivas effektivt.

5 EU-rättsliga aspekter

Detaljhandel med läkemedel är inte harmoniserad inom EU-rätten. Medlemsstaterna är därför fria att lagstifta på området, men är skyldiga att beakta de bestämmelser om bl.a. fri rörlighet för varor och tjänster, etableringsfrihet och de särskilda reglerna om förbud mot konkurrenshämmande åtgärder som finns i fördraget om Europeiska unionens funktionssätt (FEUF).

Beträffande de EU-rättsliga aspekter som berör utredningens arbete hänvisas till propositionen Omreglering av apoteksmarknaden 2008/09:145. I denna finns en översiktlig behandling av de allmänna bestämmelser om EU-rätten som beaktades vid utformningen av förslagen till omregleringen, de bedömningar som regeringen gjorde avseende vissa horisontella direktiv liksom de EU-rättsliga aspekter som var av betydelse för de separata förslag som lämnades i propositionen. Utredaren ska uppdatera rättsläget inom området från tiden efter avlämnandet av ovan nämnda proposition.

Utredarens förslag ska vara utformade så att de är förenliga med unionsrätten. Detta innebär bl.a. att bestämmelserna ska utformas så att Sveriges genomförande av sekundärrätt inte kan ifrågasättas.

Utredaren ska beträffande samtliga förslag redovisa motiverade bedömningar av förslagens förenlighet med EU-rätten, särskilt grundläggande rättsprinciper om varors fria rörlighet och etableringsfriheten inom EU.

Utredaren ska vidare redovisa bedömningar av om lämnade förslag utgör tekniska föreskrifter eller föreskrifter om informationssamhällets tjänster i enlighet med direktiv 98/34/EG av den 22 juni 1998 om ett informationsförfarande beträffande tekniska standarder och föreskrifter (EGT L104, 21.07.1998, Celex 31998L0034) och Europaparlamentets och rådets direktiv 98/48/EG av den 20 juli 1998 om ändring av direktiv 98/34/EG om ett informationsförfarande beträffande tekniska standarder och föreskrifter (EGT L217, 05.08.1998, Celex 398L0048). Utredaren ska även redovisa om förslagen omfattas av Europaparlamentets och rådets direktiv 2006/123/EG av den 12 december 2006 om tjänster på den inre marknaden (EUT L 376, 27.12.2006 s. 36, Celex 32006L0123) och i så fall motivera förslagen enligt direktiven.

6 Övriga frågor

Företagens behov av regler som inte ger upphov till onödig administrativ börda ska beaktas av utredningen.

Förslagets konsekvenser ska redovisas enligt vad som anges i 14 och 15 §§ kommittéförordningen (1998:1474). Särskild vikt ska läggas vid att redovisa förslag till finansiering i de delar förslagen innebär ökade kostnader eller minskade intäkter för det allmänna.

Utredaren ska i sitt arbete avseende de uppdrag som lämnas samråda med Konsumentverket, Kommerskollegium, Socialstyrelsen, Läkemedelsverket, Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, Statskontoret, Apotekens Service AB, Jordbruksverket, Statens veterinärmedicinska anstalt, Livsmedelsverket, Konkurrensverket, Sveriges Kommuner och Landsting, Apotekarsocieteten, Läkemedelsindustri-föreningen, Sveriges Apoteksförening, Sveriges Veterinärförbund samt andra berörda myndigheter och organisationer.

Uppdraget ska redovisas senast den 1 september 2012 i de delar som gäller maskinell dosdispensering och de övriga frågor som anges i avsnittet 2.4.3. Den del av uppdraget som avser handel med läkemedel för djur ska redovisas senast den 1 april 2013.

(Socialdepartementet)

Kommittédirektiv 2011:82

Tilläggsdirektiv till utredningen om vissa frågor om prissättning, tillgänglighet och marknadsförutsättningar inom läkemedels- och apoteksområdet (S 2011:07)

Beslut vid regeringssammanträde den 22 september 2011

Utvidgning av uppdraget

Regeringen beslutade den 16 juni 2011 kommittédirektiv om utredningen om vissa frågor om prissättning, tillgänglighet och marknadsförutsättningar inom läkemedels- och apoteksområdet (dir. 2011:55).

Utredaren ska enligt direktiv redovisa sitt uppdrag till regeringen senast den 1 september 2012 i de delar som gäller maskinell dosdispensering och ett antal övriga frågor och senast den 1 april 2013 i den del som avser handel med läkemedel för djur. Regeringen utvidgar nu utredarens uppdrag.

Utredaren ges ett tilläggsuppdrag att göra en översyn av prissättningen av originalläkemedel utan generisk konkurrens och vissa övriga frågor. I utredarens uppdrag ingår inte att se över prissättningen av det generiska sortimentet eller föreskrifterna om utbytet av läkemedel i lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. Utredaren ska lämna förslag till en långsiktigt hållbar prismodell för originalläkemedel utan generisk konkurrens som kan möta de växande utmaningarna på läkemedelsområdet.

Utredaren ska vidare bl.a.

- se över hanteringen och prissättningen av licensläkemedel, extemporeläkemedel och smittskyddsläkemedel,
- se över behovet av att definiera vilka läkemedel som kan ingå i läkemedelsförmånerna,
- överväga om miljöaspekter bör beaktas vid subventionsbeslut,
- komma med förslag på hur en obligatorisk läkemedelsförsäkring ska utformas inom förmånerna samt
- se över leverans- och tillhandahållandeskylldigheten när det gäller förordnade läkemedel och varor.

Uppdraget ska redovisas senast den 1 september 2012.

Bakgrunden till uppdraget

Läkemedel är en del av många människors vardag och tillgången till effektiva läkemedel är en förutsättning för att kunna bedriva modern hälso- och sjukvård och för att hälso- och sjukvårdslagens (1982:763) krav på god vård på lika villkor ska kunna upprätthållas.

Snabb medicinsk utveckling har kontinuerligt ökat nyttan av läkemedel för patienten och sjukvården. Samhällets möjligheter att finansiera läkemedel är dock inte obegränsade, vilket understryker vikten av tydliga prioriteringar och av att åstadkomma största möjliga kostnadseffektivitet.

Det råder fri prissättning på läkemedel i Sverige. Om ett läkemedelsbolag vill att deras läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna och därmed subventioneras av samhället, måste bolaget ansöka om detta hos Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV). Om TLV beslutar att läkemedlet ska ingå i läkemedelsförmånerna fastställer TLV samtidigt inköps- och försäljningspris för läkemedlet. TLV hette tidigare Läkemedelsförmånsnämnden (LFN) och inrättades 2002.

Lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. styr prissättning och subvention av läkemedel. Grunderna för när ett receptbelagt läkemedel ska ingå i förmånen anges i 15 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. Ett receptbelagt läkemedel ska enligt

denna bestämmelse omfattas av läkemedelsförmånerna och inköps- och försäljningspris ska fastställas, under förutsättning att

1. kostnaderna för användning av läkemedlet, med beaktande av bestämmelserna i 2 § hälso- och sjukvårdslagen, framstår som rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter, och
2. det inte finns andra tillgängliga läkemedel eller behandlingsmetoder som enligt en sådan avvägning mellan avsedd effekt och skadeverkningar som avses i 4 § läkemedelslagen är att bedöma som väsentligt mer ändamålsenliga.

Enligt 2 § hälso- och sjukvårdslagen är målet för hälso- och sjukvården en god hälsa och en vård på lika villkor för hela befolkningen. Vården ska ges med respekt för alla människors lika värde och för den enskilda människans värdighet (människovärdesprincipen). Den som har det största behovet av hälso- och sjukvård ska ges företräde till vården (behovs- och solidaritetsprincipen). De beslutskriterier som finns i lagstiftningen om läkemedelsförmånerna har sitt ursprung i de prioriteringsriktlinjer som lades fast 1997 (se prop. 1997/98 Läkemedelsförmåner och läkemedelsförsörjning m.m.).

I förarbetena till den senare lagstiftningen (prop. 2001/02:63) anges att mer detaljerad praxis för när ett läkemedel ska subventioneras får utvecklas efter hand.

TLV fattar således beslut med utgångspunkt från lagen om läkemedelsförmåner samt hälso- och sjukvårdens övergripande mål om en god hälsa och en vård på lika villkor.

Myndigheten tar hänsyn till tre grundläggande principer:

- kostnadseffektivitetsprincipen,
- behovs- och solidaritetsprincipen, och
- människovärdesprincipen.

Kostnaderna för användningen av läkemedlet ska framstå som rimliga utifrån medicinska, humanitära och samhällsekonomiska perspektiv och det ska inte finnas andra tillgängliga läkemedel eller behandlingsmetoder som enligt en avvägning mellan avsedd effekt och skadeverkningar kan bedömas som väsentligt mer ändamålsenliga.

I samband med omregleringen av apoteksmarknaden den 1 juli 2009 fick TLV i uppdrag av regeringen att vidta förberedande åtgärder för att säkra en väl fungerande apoteksmarknad. TLV redovisade den sista delen av uppdraget den 13 april 2010 (S2008/10720/HS). I sin slutrapport identifierade TLV bl.a. utvecklingsmöjligheter för prissättning av originalläkemedel utan generisk konkurrens. Det första godkända läkemedel som innehåller en viss aktiv substans kallas originalläkemedel. När patenttiden gått ut kan kopior tillverkas, så kallade generiska läkemedel. Det generiska läkemedlet innehåller samma aktiva substans i samma mängd som originalläkemedlet men säljs under annat namn.

Att forska fram nya originalläkemedel innebär kostsamma forskningsinsatser. Investeringarna är också riskfyllda eftersom man inte vet om produkterna når marknaden. Som incitament för läkemedelsbolagen att forska fram nya läkemedel kan läkemedel patent-skyddas i syfte att säkra läkemedelsföretagens inkomster för att kunna täcka kostnader för framforskning och utveckling av läkemedel, samt andra utgifter. En tillverkare av generiska läkemedel har inga kostnader för forskning och utveckling utan bara för tillverkning.

En av de åtgärder TLV redovisade var en utvecklad värdebaserad prissättning genom bl.a. effektivare omprövning av subventionsbesluten för de läkemedel som redan ingår i läkemedelsförmånerna. Ytterligare en åtgärd var ökad följsamhet till TLV:s subventionsbegränsningar för vissa läkemedel vid förskrivning. Åtgärderna uppskattades leda till besparingar om cirka 0,9 miljarder kronor över en treårsperiod.

Enligt TLV:s rapport kan även åtgärder som kompletterar den värdebaserade prissättningen, t.ex. internationell referensprissättning som pristak för läkemedel leda till besparingar på mellan 0,5–2 miljarder kronor per år vid full effekt.

Sedan rapporten presenterades har TLV fortsatt sitt arbete med att vidareutveckla den värdebaserade prissättningen, bland annat genom ett effektivare arbete med omprövning av delar av läkemedelssortimentet. Detta i kombination med patentutgångar och ett effektivare läkemedelsarbete i landstingen har lett till att kostnaderna för läkemedelsförmånerna inte ökade under 2010. De totala läkemedelskostnaderna för samhället ökade dock under 2010 vilket framför allt drevs av ökade kostnader för rekvisitions-

läkemedel (läkemedel som beställs från sjukhusapotek till avdelningar och mottagningar).

Regeringen presenterade i juni 2010 Nationell läkemedelsstrategi – en förstudie. I förstudien konstateras att de framtida ökade möjligheterna till individanpassad läkemedelsbehandling är viktiga medicinska framsteg men också kostsamma ur ett läkemedelsperspektiv. Möjligheterna att bota och lindra sjukdomar för vilka det tidigare inte fanns något läkemedel ökar hela tiden. Detta är till ökad nytta för patient och samhälle men driver också på läkemedelskostnaderna.

I läkemedelsstrategin som beslutades av regeringen den 25 augusti 2011 konstaterades att framtida utmaningar med bland annat en åldrande befolkning kommer att kräva en fortsatt utveckling när det gäller kostnadseffektiv läkemedelsanvändning. Det är viktigt att skapa så mycket hälsa hos befolkningen som möjligt med de resurser som avsätts för läkemedel.

Parallellt med TLV:s arbete har utvecklingen av den nationella läkemedelsstrategin föranlett en fördjupad diskussion om hur väl dagens prissättnings- och prioriteringsmodell är anpassad för att de möta växande utmaningar på läkemedelsområdet.

Därutöver finns det även andra frågor som behöver utvecklas närmare. Nedan redovisas i korthet nuvarande reglering, problemställningar och uppdraget för respektive område.

Uppdraget

Vid redovisning av uppdraget ska utredaren lämna nödvändiga författningsförslag. Förslag och bedömningar ska även motiveras utifrån EU-rättsliga aspekter och det ska anges om förslagen behöver anmälas till EU-kommissionen. Utredaren ska även i sina förslag väga in eventuella förändringar av det s.k. transparensdirektivet (se EU-rättsliga aspekter).

Uppdraget består av två delar:

- uppdrag att föreslå en långsiktigt hållbar modell för prissättning av originalläkemedel utan generisk konkurrens som kan möta de växande utmaningarna på läkemedelsområdet, och

- uppdrag att utreda prissättning av vissa grupper av läkemedel, miljöfrågor och försäkringsskydd samt leverans- och tillhandahållandeskyldighet.

I utredarens uppdrag ingår inte att se över prissättningen av det generiska sortimentet eller föreskrifterna om utbyte av läkemedel i lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m.

EU-rättsliga aspekter

Läkemedelsområdet är, bortsett från detaljhandeln i stor utsträckning ett harmoniserat område inom EU, se Europaparlamentets och rådets direktiv 2001/83/EG av den 6 november 2001 om upprättande av gemenskapsregler för humanläkemedel (EGT L 311, 28.11.2001, s. 67, Celex 32001L0083) och Europaparlamentets och rådets direktiv 2001/82/EG av den 6 november 2001 om upprättande av gemenskapsregler för veterinärmedicinska läkemedel (EGT L 311, 28.11.2001 s. 1, Celex 32001L0082). Där finns bl.a. bestämmelser om krav på partihandlare vid leverans av läkemedel (se t.ex. artikel 81 i direktiv 2001/83/EG).

Medlemsstaterna är dock i princip fria att införa olika typer av prisregleringsmodeller för läkemedel. Den enda specifika sekundär rätt som finns på området prissättning av läkemedel är rådets direktiv 89/105/EEG av den 21 december 1988 om insyn i de åtgärder som reglerar prissättningen på humanläkemedel och deras inordnande i de nationella sjukförsäkringssystemen (EGT L040, 11.2.1989, s. 8, Celex 31989L0105), fortsättningsvis benämnt transparensdirektivet. Direktivet reglerar prissättningen på humanläkemedel och dess inordnande i de nationella sjukförsäkringssystemen. Direktivet är genomfört i svensk rätt genom förordningen (2002:687) om läkemedelsförmåner m.m. Direktivet reglerar dock inte vad som ska ingå i de nationella förmånssystemen utan endast de förfaranden som medlemsstaterna använder vid prissättningen. Nuvarande transparensdirektiv är för närvarande föremål för översyn. Kommissionen avser att presentera ett förslag till reviderat direktiv i december 2011.

Även andra direktiv av mer horisontell karaktär måste beaktas vid en översyn av prissättningsmodellen. Häribland kan nämnas det s.k. produktansvarsdirektivet (rådets direktiv 85/374/EEG av den

25 juli 1985 om tillnärmning av medlemsstaternas lagar och andra författningar om skadeståndsansvar för produkter med säkerhetsbrister, EGT L 210, 7.8.1985 s. 29, Celex 31985L0374). Detta direktiv reglerar skadeståndsansvar för produkter som orsakat skada på person eller egendom.

Andra direktiv av horisontell karaktär är det s.k. tjänstedirektivet (Europaparlamentets och rådets direktiv 2006/123/EG av den 12 december 2006 om tjänster på den inre marknaden, EUT L 376, 27.12.2006, s. 36, Celex 32006L0123). Tjänstedirektivet är genomfört i Sverige genom en kombination av en horisontell lag med förordning (lagen (2009:1079) om tjänster på den inre marknaden och förordningen (2009:1078) om tjänster på den inre marknaden), förändringar i sektorslagstiftning samt inrättande av obligatoriska administrativa och tekniska arrangemang. Syftet med direktivet är att fastställa de allmänna bestämmelser som ska underlätta utövan- det av etableringsfriheten för tjänsteleverantörer och den fria rörligheten för tjänster, samtidigt som tjänsternas höga kvalitetsnivå bibehålls. Direktivet innehåller bl.a. bestämmelser om vilka krav medlemsstaterna får ställa på försäkringar. Att märka är emellertid att artikel 1.6 i direktivet anger att tjänstedirektivet inte påverkar medlemsstaternas lagstiftning om social trygghet.

Enligt Europaparlamentets och rådets direktiv 98/34/EG av den 22 juni 1998 om ett informationsförfarande beträffande tekniska standarder och föreskrifter (EGT L 204, 21.7.1998 s. 37, Celex 31998L0034), är medlemsstaterna även skyldiga att anmäla förslag till tekniska föreskrifter till kommissionen. Enligt artikel 1.11 omfattas emellertid inte tekniska specifikationer eller andra krav, eller föreskrifter för tjänster, som hänger samman med de nationella socialförsäkringssystemen.

Utöver relevant sekundärrätt är medlemsstaterna naturligtvis även skyldiga att beakta fördragets allmänna regler om bl.a. de fyra friheterna.

Uppdrag att föreslå en långsiktigt hållbar modell för prissättning av originalläkemedel utan generisk konkurrens

Syftet med detta uppdrag är att värdera olika utvecklingsmöjligheter för prissättning av originalläkemedel utan generisk konkurrens inom läkemedelsförmånerna och föreslå en långsiktigt hållbar

modell för denna grupp av läkemedel. Den föreslagna modellen ska kunna möta de växande utmaningarna på läkemedelsområdet och ska också kunna korrigera höga priser för vissa grupper av originalläkemedel utan generisk konkurrens. En utgångspunkt för en framtida prismodell är att den ska skapa förutsättningar för en god kostnadskontroll och att läkemedelspriserna i Sverige ska ligga under eller i nivå med priserna i andra jämförbara länder t.ex. Norge, Storbritannien och Danmark. En framtida prismodell ska också säkerställa en god tillgång till effektiva läkemedel som skapar förutsättningar för att bedriva en modern hälso- och sjukvård och leva upp till hälso- och sjukvårdslagens 2 § om målen för hälso- och sjukvården. Detta förutsätter att den forskande läkemedelsindustrin även fortsättningsvis kan ha goda förutsättningar att forska fram och utveckla nya läkemedel.

Prissättning av läkemedel för djur är inte föremål för översyn inom ramen för tilläggsdirektiv.

Framtida utmaningar i prissättningen av läkemedel

Den medicinska utvecklingen innebär allt bättre utrednings- och behandlingsmöjligheter för allt fler individer i allt högre åldrar. Samtidigt står det klart att det saknas ekonomiska förutsättningar för att ge befolkningen all den sjukvård som i dag är möjlig. Till följd av de begränsade resurserna behöver samhället prioritera vilka behandlingsmetoder och läkemedel som ska subventioneras. En av de stora utmaningarna framöver på läkemedelsområdet är bl.a. hur det allmänna ska ha råd att finansiera nya dyra läkemedel. För TLV är frågan vilket pris samhället är villigt att betala för att få tillgång till läkemedel i Sverige.

Läkemedelskostnaderna inom läkemedelsförmånerna påverkas dels av de priser TLV fastställer på central nivå, dels av patienternas behov och hur landstingen och läkarna väljer att förskriva läkemedel för att tillgodose patienternas behov. Det är i landstingen och hos läkarna som volymerna genereras medan det är på central nivå hos TLV som priserna fastställs. Dessa aktörer definierar gemensamt kostnaderna för läkemedel. Därutöver påverkas TLV och landstingen av beslut hos andra myndigheter både på nationell och internationell nivå.

Läkemedelsmarknaden kan delas in i två delar:

1. en med s.k. generiska läkemedel, och
2. en med originalläkemedel.

När det gäller läkemedel med generisk konkurrens har en stark prispress skapats genom att förskrivna läkemedel med generisk konkurrens byts ut mot det billigaste på apoteken. Eftersom volymerna blir stora för det preparat som ligger lägst i pris innebär det även en fördel för de tillverkare som kan sätta de lägsta priserna. Det faktum att läkemedlen byts på apoteken underlättar för landstingen och förskrivarna då de inte behöver styra mot eller känna till priserna för olika leverantörer.

När det gäller originalläkemedel ser situationen annorlunda ut. Även om det finns flera liknande original inom en läkemedelsgrupp är dessa inte utbytbara mot varandra. Inget byte på apotek kan därför ske och därmed uppstår, med dagens sätt att prissätta originalläkemedel, svag priskonkurrens inom läkemedelsförmånerna.

Det sätt att prissätta läkemedel som TLV för närvarande tillämpar, värdebaserad prissättning, kan bidra till effektivitet i val av olika behandlingar eftersom syftet är att priset ska spegla hur kostnadseffektivt läkemedlet är. Tillämpat på läkemedel innebär värdebaserad prissättning att prissättningen sker genom att hänsyn tas till förväntade framtida positiva effekter av läkemedelsbehandlingen. Detta förväntas leda till att priset på läkemedlen avspeglar det kliniska värdet av behandlingen för både patienter och sjukvården. Prissättningen ger också information till företagen om vilken typ av innovation det allmänna är villig att betala för. Ett pris som sätts utan att man tar hänsyn till samhällets betalningsvilja eller värdet av läkemedlet kan leda till att behandlingar accepteras som egentligen inte är kostnadseffektiva.

Ett nytt läkemedel som är förknippat med högre kostnader än befintlig terapi ska med andra ord tas in i förmånerna om den högre kostnaden kan motiveras av bevisade hälsovinster.

I TLV:s slutrapport från april 2010 (S2008/10720/HS) redovisades en sammanställning av olika publicerade prisjämförelser. En slutsats av den sammanställningen var att läkemedelsföretagens försäljningspriser på originalläkemedel är relativt höga i Sverige. Samtidigt verkar prisnivån ha sjunkit på läkemedel introducerade

de senaste åren för de läkemedel där TLV genomfört omprövningar av subventionen.

I TLV:s rapport nämns olika alternativ där värdebaserad prissättning och internationell referensprissättning används i kombination. Med internationell referensprissättning avses förenklat att om priset i Sverige överstiger priset i de länder man väljer att jämföra med så kan beslut om att läkemedlet inte ska ingå i förmånerna fattas av TLV.

Frågan är om höga priser för vissa grupper av originalläkemedel utan generisk konkurrens som ingår i läkemedelsförmånerna kan sänkas med internationell referensprissättning och hur detta i så fall ska kombineras med värdebaserad prissättning. Hur robust kan en sådan prismodell bli för att möta de framtida behoven jämfört med en mer renodlad värdebaserad prissättning eller en mer renodlad referensprissättning?

Internationell referensprissättning är ett alternativ som behöver utvärderas. Det är många överväganden som måste göras när en internationell referensprissättning utformas, bl.a. hur snabb tillgång till effektiva läkemedel ska kunna säkras.

Utvecklingen av läkemedelskostnaderna påverkas av landstingens arbete med att verka för effektiv läkemedelsförskrivning. Landstingen har sedan 1998 ersatts för läkemedelsförmånernas kostnader med ett specialdestinerat statsbidrag som har förhandlats fram mellan staten och Sveriges Kommuner och Landsting. TLV har i dag ett samhällsekonomiskt perspektiv när beslut om pris och subvention fattas. Ingen hänsyn tas till hur ökade kostnader av nya läkemedel påverkar olika delar av ekonomin och inte heller landstingens ekonomi. Det är landstingen som får göra avvägningen mellan användning av läkemedel relativt andra terapier. Med nuvarande finansiering har landstingen i princip täckning för läkemedelskostnaderna inom förmånen via statsbidraget. Diskussioner har länge förts om att ändra ersättningsformen, exempelvis genom en överföring av statsbidraget till det kommunalekonomiska anslaget. Om det sker förändringar i den framtida finansieringen av läkemedelsförmånerna behöver den föreslagna modellen vara robust när det gäller hur läkemedel finansieras. I arbetet med att se över prissättningen av läkemedel utan generisk konkurrens måste man också väga in hur finansieringen av läkemedelsförmånerna sker.

Utredaren ska därför

- lämna förslag till en långsiktigt hållbar prissättningsmodell för läkemedel utan generisk konkurrens och jämföra denna med nuvarande modell,
- särskilt analysera och överväga en vidareutveckling av den värdebaserade prissättningen respektive internationell referensprissättning eller kombinationer av dessa,
- i samband med analysen av internationell referensprissättning i detalj redovisa hur olika faktorer ska beaktas, t.ex. hur stor likhet mellan två läkemedel som krävs, hur läkemedelspriserna ska viktas, på vilken nivå priserna ska jämföras, hur valutakursvägningar ska hanteras och om priserna ska köpkraftskorrigeras,
- redovisa hur tillgången till nya effektiva läkemedel påverkas vid en förändrad prissättning av läkemedel,
- vid behov analysera och pröva andra alternativa prissättningsmodeller,
- utvärdera hur den svenska prisnivån är i jämförelse med andra jämförbara länder som t.ex. Norge, Storbritannien och Danmark,
- lämna förslag på hur höga priser på vissa grupper av originalläkemedel utan generisk konkurrens som ingår i läkemedelsförmånerna kan korrigeras,
- lämna förslag på hur prissättningsmodellen kan skapa konkurrens mellan likvärdiga patentskyddade läkemedel,
- beskriva hur robust den föreslagna prismodellen är vid olika utformningar av finansieringen av läkemedel till landstingen, särskilt med hänsyn tagen till att läkemedel värderas utifrån ett samhällsekonomiskt perspektiv,
- analysera och belysa prismodellens roll i kombination med landstingens och förskrivarnas roll i att säkerställa en kostnadseffektiv läkemedelsanvändning,
- särskilt belysa vilka praktiska förutsättningar i bl.a. landstingen som måste vara uppfyllda för att de olika förslagen som utredaren presenterar ska bli effektiva, och

- analysera och beskriva vilka konsekvenser en förändrad prissättningsmodell har för patienter, staten, hälso- och sjukvården, läkemedelsindustrin, andra aktörer på läkemedels- och apoteksmarknaden och samspelet dem emellan i det s.k. innovationssystemet.

Läkemedelsgrupper som kräver särskilda överväganden

Ytterligare överväganden behöver göras när det gäller s.k. biologiska läkemedel. Biologiska läkemedel är den grupp av läkemedel som har den största volymtillväxten för tillfället. I framtiden kommer också en växande andel av de nya preparat som blir godkända att vara biologiska. Dessa preparat är ofta potenta med god effekt samtidigt som behandlingen är kostsam. Molekylerna i biologiska läkemedel är stora, komplexa och instabila. Därför är det svårt att vid tillverkningen säkerställa att en kopia blir exakt och har samma egenskaper. Biologiska originalläkemedel kan dock få konkurrens av s.k. biosimilarer. En biosimilar är ett biologiskt läkemedel som är likvärdigt men inte identiskt med en existerande produkt vars patent har gått ut. I dag bedöms inte biosimilarer vara utbytbara bl.a. av säkerhetsskäl. Det kan alltså inte ske något utbyte av dessa läkemedel på apotek även om patentskyddet för originalet löpt ut. Detta får till följd att den priskonkurrens som uppstår när patentskyddet har upphört är betydligt svagare än för generiska produkter av kemiska läkemedel.

Regeringen beslutade i december 2010 att ge Läkemedelsverket i uppdrag att bl.a. utreda förutsättningarna för utvidgad utbytbart av läkemedel vid nyinsättning av biologiska läkemedel med konkurrens från biosimilarer.

De biologiska kopior, biosimilarer, som finns i dag ligger i genomsnitt 25 procent lägre i pris jämfört med originalet, för vissa grupper av biologiska läkemedel ligger priset för biosimilarer endast fem procent under originalet. Den marginella prisskillnaden kan förklaras dels av en relativt dyr tillverkningsprocess, dels av att lägre priser på biosimilarer inte automatiskt ger en större försäljningsvolym.

Även när det gäller prissättning av säräkemedel finns utmaningar. Ett säräkemedel är avsett för diagnos, prevention eller be-

handling av ett livshotande, allvarligt funktionsnedsättande sjukdomstillstånd som förekommer hos högst 5 av 10 000 individer inom EU.

Antalet sär läkemedel ökar kontinuerligt. Som en konsekvens av detta kommer det totala antalet patienter som behandlas med sär läkemedel också att öka även om det för varje indikation endast kommer att finnas en mindre grupp patienter. Indikation är det symptom, sjukdomstillstånd eller liknande, vid vilket ett specifikt läkemedel används. Ökningen kan därmed bli en stor belastning för den totala läkemedelsbudgeten. Kostnaderna för sär läkemedel växte med 73 procent mellan 2006 och 2008 (från 330 till 570 miljoner kronor).

Även om behandlingskosten för ett sär läkemedel ofta är hög kan det ändå vara kostnadseffektivt. Den höga kostnaden kan i flera fall uppvägas av att patienten annars skulle vara i behov av omfattande vård och omsorg. Detta är grunden för att en majoritet av de sär läkemedel som blivit föremål för prövning om subvention kommit att ingå i läkemedelsförmånerna.

Enligt TLV:s slutrapport från april 2010 kan myndigheten acceptera en sämre kostnadseffektivitet, som oftast beror på en betydligt högre kostnad per patient, för en behandling av en svår sjukdom än den accepterar om det gäller en lindrigare sjukdom. Myndigheten anser dock att det inte är förenligt med 15 § (2002:160) lagen om läkemedelsförmåner m.m. att göra skillnad mellan patienter beroende på om deras sjukdom är vanlig eller ovanlig.

Utredaren ska därför

- särskilt analysera och pröva hur effektivt en ny prismodell kan antas fungera på en läkemedelsmarknad med allt fler
- biologiska läkemedel där det generiska utbytet inte fungerar som på det övriga läkemedelssortimentet,
- lämna förslag på hur ökad priskonkurrens kan skapas för läkemedelssortimentet biologiska läkemedel,
- särskilt belysa hur den framtida prissättningen av sär läkemedel bör utformas och analysera och pröva om det finns behov av en separat prissättningsmodell för sär läkemedel,

- vid behov lämna förslag på hur en prismodell för sär läkemedel bör utformas och vilka kriterier som ska ligga till grund för att värdera ett sär läkemedel, och
- analysera hur den föreslagna prismodellen påverkar tillgången till sär läkemedel.

Verktyg för priskorrigerings m.m.

Inom ramen för den värdebaserade prissättningen har TLV tillgång till ett antal verktyg, t.ex. omprövningar av läkemedels subventionsstatus och begränsningsbeslut, i syfte att säkerställa att priserna är korrekta. Det mest effektiva verktyget hittills är omprövningar av läkemedelssortimentet.

TLV går regelbundet igenom och omprövar subventionen för läkemedel för att se om de ska kvarstå inom högkostnads skyddet eller inte.

TLV har i arbetet med omprövningar av läkemedel fokuserat på grupper av läkemedel inom de områden där myndigheten bedömer att det finns störst anledning att ifrågasätta om användningen är kostnadseffektiv.

En genomgång kan ske när priserna inom en viss läkemedelsgrupp anses vara för höga i relation till värdet av läkemedlet eller när något läkemedel inom en grupp inte längre är patentskyddat och har sjunkit i pris vilket i sin tur påverkar kostnadseffektiviteten för övriga läkemedel i gruppen. Det finns en interaktion mellan originalläkemedel och generikaläkemedel som en följd av den värdebaserade prissättningen. När behandlingskosten för en sjukdom sjunker som en följd av en patentutgång påverkas även kostnadseffektiviteten för andra läkemedel för samma sjukdom, trots att dessa har patentskydd. Detta beror på att den lägre behandlingskosten sänker nivån för när priset för läkemedlet är kostnadseffektivt inom den värdebaserade prissättningen. På så sätt kan TLV antingen utesluta den dyrare behandlingen från subventions systemet eftersom priset är för högt eller så måste läkemedelsbolaget sänka priset till en nivå där läkemedlet blir kostnadseffektivt.

I det fall priserna inte blir lägre när patentskyddet upphör, t.ex. för biologiska läkemedel är omprövningar däremot inget effektivt verktyg.

När TLV prövar en ansökan om subvention av ett nytt läkemedel innebär det en preliminär värdering av läkemedlet grundat på uppgifter från kliniska prövningar som legat till grund för godkännandet. Med klinisk prövning av ett läkemedel avses förenklat en studie på människa (eller djur när det gäller veterinärläkemedel) som görs i syfte att studera vilka effekter läkemedlet har. Det finns således alltid en osäkerhet om läkemedlet ger samma hälsovinster i klinisk vardag som kan beräknas utifrån de kliniska prövningarna. Ett sätt att minska denna osäkerhet är att använda sig av tidsbegränsade beslut. Enligt 11 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. har TLV möjlighet att förena ett subventionsbeslut med villkor om att företaget inom viss tid ska inkomma med underlag för bedömning av frågan. TLV anför i sin rapport från april 2010 att det är ovisst om en sådan begränsning ryms inom 11 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. TLV påpekar vidare att det kan diskuteras om det i så fall omfattas av första eller andra stycket i 11 §. I det ena fallet krävs det nämligen särskilda skäl, varför en tidsbegränsning endast blir aktuell i undantagsfall.

Med nuvarande regelverk finns det också en risk att den nya prövningen sker under tidspress och att patienter som står på behandling själva får bekosta läkemedlet under den tid prövningen sker. TLV påpekar i sin rapport att deras erfarenhet är att företagen inte alltid lämnar in ett fullständigt underlag för bedömning av förnyad subvention i så god tid att TLV hunnit fatta beslut innan det tidsbegränsade beslutet löper ut. Detta drabbar patienter som använder läkemedlet och därmed får bekosta läkemedlet själva.

Även om TLV får en tydlig reglering för att använda sig av tidsbegränsade beslut kvarstår problemet för TLV att få tillgång till uppgifter om läkemedlets effekter i klinisk vardag.

Det nuvarande subventionssystemet är i huvudsak produktinriktat. Det innebär att ett läkemedel antingen beviljas subvention för alla godkända användningsområden eller inte beviljas subvention alls. Det är inte alltid säkert att läkemedlet är kostnadseffektivt för alla användningsområden. TLV kan då besluta om begränsad subvention, dvs. att läkemedlet endast ingår i läkemedelsförmånerna för ett visst användningsområde. Begränsningarna kan även gälla att ett preparat ska användas först i andra eller tredje hand.

En begränsning i subventionen löser dock inte problemet i praktiken eftersom läkemedlet ändå kan förskrivas till andra patientgrupper. Avgörande för om begränsningarna får genomslag i praktiken är bl.a. att förskrivarna har information om dessa genom förskrivarstöd i journalsystemen.

Ett verktyg som eventuellt skulle kunna komplettera prissättningen av läkemedel är s.k. målbaserad ersättning.

Med målbaserad ersättning kopplas den ekonomiska ersättningen samman med kvalitet och måluppfyllelse. Med målbaserad ersättning riktas uppmärksamheten mot graden av måluppfyllelse och det värde som genereras för pengarna. En målbaserad ersättning anknyter även till ambitioner att styra vården utifrån evidensbaserade kunskaper om vilka metoder i vården som är effektiva. Genom att ge extra resurser till de som uppnår definierade mål, alternativt hota med en indragen ersättning om målen inte nås, finns förhoppningar om att ytterligare stimulera till en positiv utveckling med hjälp av ekonomiska incitament.

Ett exempel på målbaserad ersättning är Q-projekten. Dessa projekt är resultatet av diskussion mellan sjukvårdshuvudmän, myndigheter och läkemedelsindustri. Projekten stöds av regeringen och finansieras gemensamt av Näringsdepartementet och läkemedelsindustrin. Projekten syftar till att genom ökad användning av nationella kvalitetsregister som beslutsunderlag ge patienten den bästa vården utifrån nationella riktlinjer och behandlingsstrategier.

Till projekten kopplas ett ekonomiskt incitament som ger den deltagande vårdenheten möjlighet att, utöver befintlig ersättning, få en extra belöning baserad på uppnådda behandlingsmål.

Utredaren ska därför analysera och pröva

- om tidsbegränsade beslut kan vara ett effektivt verktyg i en framtida prismodell,
- om ett indikationsbaserat respektive produktbaserat förmånssystem kan vara ett effektivt verktyg i en framtida prismodell,
- förutsättningarna för att komplettera en ny prismodell med målbaserad ersättning, och
- hur relativpriser mellan olika behandlingar eller läkemedel snabbare än i dag kan avspeglas i nya lägre priser på läkemedel, t.ex. genom fler och mer systematiserade omprövningar.

Uppdrag att utreda hantering och prissättning av vissa grupper av läkemedel, läkemedelsförmånernas innehåll, miljöfrågor, försäkringsskydd och leverans- och tillhandahållandeskyldighet

Ökad effektivitet i prissättning av licensläkemedel

Ett läkemedel måste vara godkänt innan det får sättas på marknaden. Förskrivarna har dock ibland behov av att förskriva ej godkända läkemedel. Ett alternativ som då finns är att förskriva ett s.k. licensläkemedel. Läkemedelsverket beviljar licens för att tillgodose särskilda behov hos enskilda patienter eller patientgrupper. Licensläkemedel kan ingå i läkemedelsförmånerna om de uppfyller kriterierna i 15 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. Enligt 16 § samma lag kan dock licensläkemedel ingå i läkemedelsförmånerna utan att pris fastställs.

När det gäller licensläkemedel saknas ofta hälsoekonomisk dokumentation. Även dokumentationen från de kliniska prövningarna är ofta mycket begränsad. De överväganden som TLV ska göra för godkända läkemedel kan alltså inte göras för licensläkemedel. Grunden för TLV:s beslut vilar på den individuella patientens behov av läkemedlet och behandlingens höga angelägenhetsgrad i det enskilda fallet. I subventionsbeslut för licensläkemedel utgår TLV från att Läkemedelsverket endast beviljar licens i de fall där det är medicinskt motiverat.

TLV fastställer i normalfallet det pris som bolaget har ansökt om för sitt licensläkemedel. Produkten ingår då i läkemedelsförmånerna. Vissa licensläkemedel blir sedan tillräckligt dokumenterade för att kunna godkännas för försäljning på den svenska marknaden. Det pris som TLV fastställde i samband med licensansökan upphör då att gälla och det marknadsförande bolaget måste ansöka på samma sätt som för övriga godkända läkemedel. TLV har då möjlighet att värdera läkemedlet utifrån gällande regelverk. Under den tid TLV prövar om det godkända läkemedlet ska ingå i läkemedelsförmånerna är emellertid inte produkten subventionerad. Detta kan drabba enskilda patienter som använder läkemedlet.

Övergångsbestämmelserna till lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. anger att receptbelagda läkemedel som Riksförsäkringsverket (RFV) fastställt försäljningspris för enligt den äldre lagen ska ingå i läkemedelsförmånerna. Riksförsäkringsverket be-

slutade att licensläkemedel skulle ingå i förmånerna genom ett beslut om att fastställa det pris som leverantören senast, men före den 1 oktober 2002, tagit ut för läkemedlet ökat med Apoteket AB:s handelsmarginal (RFV:s beslut 2002-09-17, dnr. 8496/02). Apoteket AB har funnit att det inte har varit praktiskt möjligt att utreda vilka licensläkemedel som ingick i RFV:s beslut och vilka som inte gjort det. Följden har blivit att endast ett fåtal licensläkemedel har bedömts av TLV enligt lagen om läkemedelsförmåner m.m.

I propositionen Omreglering av apoteksmarknaden (2008/09:145, s. 259) belystes frågan om hanteringen av licensläkemedel inom förmånssystemet. Regeringen angav i propositionen att hanteringen av licensläkemedel bör ses över. Utredaren ska därför

- lämna förslag på hur prissättningen av licensläkemedel ska utformas på en omreglerad apoteksmarknad, och
- lämna förslag som gör att patienten inte behöver betala mer än högkostnadsskyddet för läkemedel under den tid TLV prövar om ett licensläkemedel som godkänts för försäljning ska subventioneras.

Extemporeläkemedel, lagerberedningar och rikslicenser

Extemporeläkemedel är skraddarsydda läkemedel som ger patienten en individanpassad behandling.

Så länge tillverkningen avser en enda individs eller kliniks behov tillverkas enstaka extemporeberedningar. Ibland blir förskrivningen av en viss beredning mycket omfattande, tillverkningen kan då läggas om till serietillverkning, s.k. lagerberedningar. En lagerberedning är ett standardiserat läkemedel som inte är godkänt för försäljning och som tillverkas av ett apotek. Det krävs ett tillverkningstillstånd från Läkemedelsverket för att få tillverka lagerberedningar. En rikslicens är en licens för en lagerberedning.

Av 3 § Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets föreskrifter om handelsmarginal för läkemedel och andra varor som ingår i läkemedelsförmånerna (TLVFS 2009:3) framgår att apotekens inköpspris för extemporeläkemedel fastställs i särskild ordning efter ansökan av det tillverkande apoteket hos Tandvårds- och läkemedels-

förmånsverket. I avvaktan på en översyn sker prissättningen genom en särskild extemporetaxa.

Lagerberedningar och rikslicenser kan ingå i läkemedelsförmånerna på samma sätt som godkända läkemedel. Enligt 16 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. kan extemporeberedningar, lagerberedningar och rikslicenser ingå i läkemedelsförmånerna utan att pris fastställs.

Den prövning som verket gör blir dock summarisk då hälsoekonomisk dokumentation och studier som visar hur läkemedlet fungerar i klinisk vardag saknas. Grunden för TLV:s beslut i dessa ärenden vilar på den individuella patientens behov av läkemedlet i det enskilda fallet.

Extemporeläkemedel tillverkades före omregleringen av apoteksmarknaden av Apoteket Produktion & Laboratorier som var ett verksamhetsområde inom Apoteket AB. I samband med omregleringen frikopplades verksamheten och är numera ett fristående statligt bolag.

I regeringens proposition Omreglering av apoteksmarknaden (prop. 2008/09:145) var regeringens bedömning att prissättning av extemporeläkemedel och lagerberedningar bör ses över men att hanteringen skulle ske på samma sätt som före omregleringen i avvaktan på den översynen.

I propositionen Vissa apoteksfrågor (prop. 2009/10:96) föreslog regeringen att det skulle bli möjligt att inrätta s.k. extemporeapotek. Den 7 april 2010 beslutade riksdagen att extemporeläkemedel ska få tillverkas på andra platser än på sjukhusapotek och öppenvårdsapotek, nämligen på s.k. extemporeapotek. Lagändringen trädde i kraft den 1 juli 2010.

Utredaren ska lämna förslag på hur prissättningen av extemporeläkemedel, lagerberedningar och rikslicenser ska utformas på en omreglerad apoteksmarknad.

Smittskyddsläkemedel – ökad tillgänglighet och förbättrad kostnadseffektivitet?

Smittskyddsläkemedel är sådana läkemedel som förskrivs till en patient som har en allmänfarlig sjukdom och som behövs för att minska risken för smittspridning. Enligt 7 kap. 1 § smittskyddslagen (2004:168) är läkemedel som har förskrivits av läkare mot en

allmänfarlig sjukdom och som läkaren bedömer minska risken för smittspridning kostnadsfria för patienten. Landstinget svarar enligt 4 § samma lag för kostnader för läkemedel som avses i 1 §.

Läkemedel som är avgiftsfria enligt smittskyddslagen ingår inte i läkemedelsförmånerna eftersom de är avgiftsfria för patienten. Dessa läkemedel prövas således inte mot 15 § i lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m.

Emellanåt uppstår det bristsituationer för läkemedel. Detta är särskilt allvarligt när det gäller läkemedel som förskrivs till patienter med allmänfarlig sjukdom. Till exempel har vissa tuberkulosläkemedel tagit slut i Sverige. Detta har skapat problem för smittskyddet i landstingen då ökningen av antalet tuberkulosfall i närområdet och de ökade migrationsströmmarna gör det nödvändigt att snabbt kunna bryta smittkedjor.

Tillgången till smittskyddsläkemedel är en avgörande faktor i arbetet med att hindra smittspridning. Smittskyddsläkemedel skiljer sig från andra läkemedel då den hantering som finns kring dessa läkemedel inte fokuserar på den enskilda patienten utan syftar till att förhindra att andra personer smittas. De överväganden som görs för andra läkemedel när det gäller kostnadseffektivitet är av dessa skäl inte tillräckligt breda för de ändamål som finns för smittskyddsläkemedel. Samtidigt innebär dagens system att det, till skillnad från det som gäller för de flesta andra läkemedel, saknas ett system för att överhuvudtaget bedöma effektiviteten av dessa läkemedel. En utgångspunkt för detta arbete ska dock vara att smittskyddsläkemedel ska förbli kostnadsfria för den enskilde.

I den statistik som beskriver kostnaderna för läkemedelsförmånerna ingår inte kostnaderna för smittskyddsläkemedel, vilket gör att det är svårt att få en sammanhållen bild av samhällets kostnader för läkemedel som skrivs ut på recept.

Utredaren ska därför analysera och pröva

- om de syften som anges i smittskyddslagen kan kombineras med ökade krav på kostnadseffektivitet och i så fall lämna förslag på en mer samlad hantering av smittskyddsläkemedel,
- hur tillgången på smittskyddsläkemedel kan förbättras,
- om läkemedel som är kostnadsfria för den enskilde ska kunna ingå i förmånen, och

- hur det allmänna kan få en sammanhållen bild av kostnaderna för samhället för läkemedel förskrivna på recept.

Ska läkemedel som patienten inte själv kan administrera ingå i läkemedelsförmånerna?

Utvecklingen av sjukvården har lett till en ökning av den s.k. specialiserade öppenvården. Nya teknologier gör det onödigt att skriva in patienten på sjukhus, eftersom behandlingen kan ske antingen i primärvården eller på sjukhusens mottagningar eller inom dagvården. Det kan t.ex. handla om cancerpatienter som kommer till sjukhuset och under några timmar får sin läkemedelsbehandling och sedan får gå hem. Dessa patienter är inte slutenvårdspatienter, men det läkemedel de ska få innebär att de behöver hjälp av sjukvårdspersonal för att kunna administrera läkemedlet. Dessutom behöver patienten vara under uppsikt av medicinsk personal under behandlingstiden.

Rekvositionsläkemedel kräver ofta en mer avancerad tillförsel genom infusioner eller injektioner. Läkemedlet kan också ge mer eller mindre kraftiga reaktioner, vilket innebär behov av övervakning. För dessa patienter finns det inget tydligt regelverk för om de ska få ett läkemedel förskrivet eller ordinerat.

En ytterligare konsekvens av nuvarande system är att patienter kan hämta t.ex. känsliga injektionsvätskor på apoteket för att sedan gå till sjukhuset för att få sin injektion.

Detta innebär att samma läkemedel kan klassificeras som både ett recept- och rekvisitionsläkemedel. Receptläkemedel förskrivs till en enskild patient för att användas i en behandling. Patienten hämtar själv ut läkemedlet på apotek och använder det enligt ordination. Rekvisitionsläkemedel ordinerar och rekvireras av kliniken för att användas i behandlingen av en enskild patient. Läkemedlet tillhandahålls och administreras av sjukhuset.

Läkemedel som ordinerar i slutenvården ingår i behandlingen och kostnaden för dem belastar inte patienten. När läkemedel skrivs ut på recept och hämtas ut på apotek bekostas de däremot av patienten, upp till maximalt 1 800 kronor under en 12-månaders period. De flesta receptbelagda läkemedel som förskrivs på recept är subventionerade.

Vilka rutiner som används får både ekonomiska och praktiska konsekvenser för patienterna men även för landstingen.

Ett läkemedel kan både upphandlas och ha ett pris fastställt av TLV. När ett läkemedel upphandlas erhålls ofta ett lägre pris än det som fastställts av TLV. Läkemedel som upphandlas kan också användas för flera patienter, vilket inte är fallet med ett läkemedel som är förskrivet på recept för en viss patient. Dessa läkemedel måste alltså kasseras om inte hela förpackningen används.

I sin slutrapport från maj 2010 med anledning av regeringens uppdrag att utreda förutsättningarna att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som ska användas inom slutenvården gjorde TLV följande bedömning. Det är inte lämpligt att förskriva avancerade läkemedel som patienten behöver hjälp att administrera på recept och därmed är det inte heller lämpligt att förmånsbedöma ansökningar som uppenbarligen gäller denna typ av läkemedel. Detta gäller i synnerhet om TLV får i uppdrag att göra hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel.

Regeringen gav i november 2010 TLV i uppdrag att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som inte ingår i läkemedelsförmånerna m.m. men som rekvireras till slutenvården, s.k. rekvisitionsläkemedel.

Om ett system med hälsoekonomiska bedömningar av rekvisitionsläkemedel etableras, menade TLV, bör även de läkemedel som kan bli föremål för ansökningar i förmånssystemet definieras.

Utredaren ska därför

- analysera och pröva behovet av att definiera vilka läkemedel som ska kunna bli föremål för prövning enligt lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. i syfte att öka kostnadseffektiviteten inom läkemedelsområdet, och
- vid behov lämna nödvändiga författningsförslag.

Miljöaspekter vid subventionsbeslut

Miljöpåverkan av läkemedel, både original och generika, kan delas upp i miljöpåverkan genom produktion respektive konsumtion av läkemedel.

Läkemedelsverket påpekade i sin rapport från 16 december 2009 ”Redovisning av regeringsuppdrag gällande möjligheten att skärpa miljökrav vid tillverkning av läkemedel och aktiv substans” att den svenska läkemedelsindustrin sedan många år arbetar med frågan om att minimera sina utsläpp av farliga ämnen till vatten. Utsläpp från produktionsanläggningar av läkemedel i Sverige är mycket begränsade då de ofta har egen avloppsrening för sina utsläpp. Den svenska läkemedelsproduktionen är också noga reglerad och kontrollerad. Sverige har i dag en begränsad produktion av läkemedel varför den huvudsakliga utmaningen för vår närmiljö utgörs av konsekvenser av läkemedelskonsumtion.

Utvecklingen under senare år är dock att läkemedelsföretagen i Sverige lägger ut mer och mer av sin produktion till lågprisländer där miljökraven vid tillverkning antingen är avsevärt lägre än i Sverige eller där myndigheternas möjligheter att övervaka efterlevnaden av de nationella miljökraven är begränsade. Stora delar av produktionen sker i bl.a. Kina och Indien.

TLV har i sin praxis inte vägt in miljöhänsyn vid beslut om ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna. För att TLV ska kunna göra detta behöver det bl.a. finnas tillräckliga kunskaper om läkemedels påverkan på miljön, möjligheter att kvantifiera kostnaderna för de negativa miljöeffekterna samt ett obligatoriskt system för miljöklassificering där läkemedel är bedömda utifrån gemensamma kriterier.

När det gäller miljöpåverkan genom konsumtion visar erfarenheter från apoteken och ett flertal studier att mängden läkemedel som hämtas ut på apoteken men inte konsumeras är betydande. Kunskapen om hur mycket läkemedel som inte används eller kasseras på annat sätt än att återlämnas till apotek är mycket begränsad.

Då patienter inleder behandlingar med ett nytt läkemedel krävs ofta en inställningsperiod för att få en optimal dosering av läkemedlet. Om biverkningar uppträder kan det bli aktuellt att byta preparat. Det är därför en fördel om patienten inledningsvis kan få en mindre förpackning (startförpackning) utskrivna.

När det gäller tillgången till små läkemedelsförpackningar är det läkemedelsbolagen som väljer vilka förpackningar de vill introducera på den svenska marknaden. Vilka förpackningsstorlekar som ett bolag väljer att tillhandahålla kan dock ha ett samband med prissättningen av förpackningarna.

Utredaren ska därför

- analysera och pröva om TLV bör väga in miljöaspekter i förmånsbeslut för samtliga läkemedel,
- redovisa vilka praktiska förutsättningar som måste vara uppfyllda för att TLV ska kunna väga in miljöaspekter vid förmånsbeslut,
- belysa hur ett beaktande av miljöaspekter vid beslut om förmån skulle påverka läkemedelskostnaderna och hur miljön skulle påverkas i tillverkningsländer utanför Europa, och
- särskilt analysera och pröva om tillgången till små läkemedelsförpackningar kan bidra till minskad kassation av läkemedel.

Läkemedelsförsäkring ett viktigt skydd för patienterna

För patienter är det viktigt att läkemedel som omfattas av läkemedelsförmånerna och av det generiska utbytet medför ett godtagbart skydd för skador som kan orsakas av läkemedlen.

Patienter som har skadats av läkemedel kan få ersättning via skadeståndslagen (1972:207), produktansvarslagen (1992:18) eller läkemedelsförsäkringen i den mån läkemedlet omfattas av denna försäkring.

Av 1 kap. 1 § skadeståndslagen (1972:207) framgår att bestämmelserna om skadestånd i lagen tillämpas, om inte annat är särskilt föreskrivet eller föranleds av avtal eller i övrigt följer av regler om skadestånd i avtalsförhållanden. Detta innebär att skadeståndsrättslig speciallagstiftning kan innehålla regler som avviker från skadeståndslagen. Det finns t.ex. avvikande bestämmelser i produktansvarslagen (1992:18) som i sin tur bygger på rådets direktiv 85/374/EEG av den 25 juli 1985 om tillnärmning av medlemsstaternas lagar och andra författningar om skadeståndsansvar för produkter med säkerhetsbrister, (EGT L 210, 7.8.1985, s. 29, Celex 31985L0374).

Eftersom skadeståndslagen är dispositiv kan parter genom avtal komma överens om regler som innebär en utvidgning eller inskränkning i ett eller flera hänseenden av det skadeståndsansvar som följer av lagen.

Det finns ett antal försäkringar i dag som är så kallade obligatoriska försäkringar, t.ex. patientförsäkringen eller trafikförsäkringen. Grunden för det ansvar som följer av dessa försäkringar ligger i patientskadelagen (1996:799) och trafikskadelagen (1975:1410) och dessa lagar föreskriver även en i huvudsak obligatorisk försäkringsplikt. Läkemedelsförsäkringen är däremot en frivillig lösning som tagits fram av industrin. Alla läkemedelsföretag som vill, får vara med i försäkringen. LFF Service AB (tidigare Läkemedelsförsäkringsföreningen) är till för företag och organisationer som arbetar med läkemedel i Sverige. Bakom läkemedelsförsäkringen står forskande läkemedelsbolag (LIF), generikabolag, parallellimportörer, parti-handlare samt forsknings- och utvecklingsbolag. LFF Service AB ansvarar för administrationen av försäkringen, t.ex. finansiering, utredning och den administrativa processen kring anmälda läkemedelsskador.

De företag som ingår i LFF Service AB har undertecknat ett åtagande att ansvara för skador orsakade av läkemedel i större utsträckning än vad som följer av skadeståndslagen och produktansvarslagen. LFF Service AB har för medlemmarnas räkning tecknat försäkrat detta åtagande. Läkemedelsindustrins åtagande att ersätta skador är således ett civilrättsligt åtagande enligt vilket en skadelidande kan påfordra rättigheter.

Att vända sig till Läkemedelsförsäkringen är ett för patienten enkelt och kostnadsfritt sätt att få sin skada reglerad. Alternativet är att vända sig till domstol och åberopa skadeståndslagen eller produktansvarslagen. En process i domstol tar oftast lång tid och kan kräva en omfattande bevisning. För att kunna få ersättning enligt skadeståndslagen måste skadan ha orsakats genom vårdslöshet. För att kunna få ersättning enligt produktansvarslagen måste en säkerhetsbrist hos produkten konstateras. Den skadelidande kan således välja att väcka talan i domstol eller att utnyttja läkemedelsförsäkringen. Den som väljer att inleda eller fullfölja en process i domstol förlorar rätten till eventuell ersättning från försäkringen.

Läkemedelsförsäkringen kan ersätta läkemedelsskador oavsett om det är klarlagt att skadorna har orsakats genom vårdslöshet eller

om produkten haft en säkerhetsrisk. Läkemedelsförsäkringen har dessutom en s.k. bevislättning till följd av åtagandet. Detta innebär att begreppet läkemedelsskada i åtagandet definieras som personskada som med övervägande sannolikhet har orsakats genom ett läkemedel.

Försäkringen ersätter personskada, som omfattar såväl kroppslig skada som psykiatrisk sjukdom, men psykiska besvär måste ha medicinskt påvisbar effekt för att räknas som personskada. En förutsättning för att ersättning ska betalas ut från försäkringen är att det bolag som tillhandahåller läkemedlet som orsakat skadan är aktieägare i LFF Service AB (en organisationsaktie per bolag).

De allra flesta läkemedel som säljs i Sverige omfattas av den frivilliga läkemedelsförsäkringen. Det kan dock konstateras att det trots allt finns vissa läkemedel som inte omfattas av läkemedelsförsäkringen. Detta innebär att läkemedel säljs under olika förutsättningar och med olika skydd för patienterna. En patient som använder ett läkemedel har vanligen inte någon kännedom om vilket ekonomiskt skydd som han eller hon har mot skador orsakade av läkemedel.

Till detta kommer att öppenvårdsapoteken enligt 21 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. ska byta ut det föreskrivna läkemedlet mot det billigaste tillgängliga läkemedlet som är utbytbart. Detta kan innebära att ett förskrivet läkemedel som omfattas av läkemedelsförsäkringen vid apoteket byts ut mot ett läkemedel som är utbytbart och billigare men som inte omfattas av motsvarande försäkringsskydd.

För den enskilda patienten är det av betydelse om han eller hon, om en läkemedelsskada inträffar, är hänvisad till att stämma ett läkemedelsbolag i domstol eller om han eller hon alternativt har möjlighet att anmäla skadan till ett försäkringsbolag som prövar ersättningsanspråket. Dessutom erbjuder en försäkring läkemedelsbolagen ett ekonomiskt skydd mot förluster på grund av oväntade och plötsliga händelser. Detta innebär att patienternas möjligheter att få ersättning ökar.

I promemorian Läkemedelsförsäkringen (Ds 2010:11) behandlas frågan om det är möjligt att kräva att receptbelagda läkemedel som säljs på öppenvårdsapoteken och subventioneras av det allmänna ska omfattas av en försäkring för personskador som kan uppkomma som en följd av användning av läkemedel, eller om det i

stället bör skapas incitament till en frivillig anslutning till en sådan försäkring. Förslag till lagändringar som avser att ge sådana incitament lämnas i promemorian. Enligt förslaget ska ett krav för att ingå i läkemedelsförmånerna vara att läkemedlet omfattas av en försäkring som ger ett godtagbart skydd vid personskador som kan uppkomma som följd av en användning av läkemedlet. Att definiera vad som avses med ett godtagbart skydd kräver emellertid vidare utredning, inte minst mot bakgrund av EU-rättsliga aspekter.

Utredaren ska

- lämna författningsförslag på vad som bör avses med ett godtagbart skydd hos en försäkring som är obligatorisk för att ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna,
- beakta och analysera konsekvenserna av författningsförslagen, bl.a. konsekvenserna av att i en offentlighetsreglering beskriva vad företag ska åta sig för civilrättsligt ansvar utöver det ansvar de redan har i skadestånds- och produktansvarslagen,
- säkerställa att förslagen innebär att nuvarande läkemedelsförsäkring inte urholkas,
- ge författningsförslag på de eventuella följdändringar som bedöms nödvändiga för att kraven på ett godtagbart försäkringsskydd ska vara möjliga att uppfylla,
- bevaka att de krav som uppställs på försäkringsskydd inte kommer i konflikt med produktansvarsdirektivet eller statsstödsreglerna och inte diskriminerar utländska försäkringsgivare i förhållande till svenska,
- analysera om den typ av försäkring som krävs kan meddelas av någon annan än läkemedelsförsäkringen, och om så inte är fallet, konsekvenserna av detta, och
- för det fall utredaren bedömer att det inte är lämpligt att uppställa krav på en läkemedelsförsäkring som en förutsättning för att ett läkemedel ska kunna ingå i läkemedelsförmånerna, även lämna förslag till någon alternativ lösning. En alternativ lösning ska säkerställa ett godtagbart skydd för den enskilde avseende läkemedel som omfattas av läkemedelsförmånerna.

Leverans- och tillhandahållandeskyldighet

Ett av de starkaste motiven till att omreglera apoteksmarknaden var att öka konsumenternas tillgänglighet till läkemedel. Som regeringen framhöll i propositionen Omreglering av apoteksmarknaden (prop. 2008/09:145, s. 191) är det av största betydelse för den enskilde att han eller hon inom en rimlig tid kan få tillgång till förordnade läkemedel och varor på ett öppenvårdsapotek. Kunden ska ha ett öppenvårdsapotek att vända sig till inom ett rimligt avstånd och det enskilda apoteket ska kunna tillhandahålla det efterfrågade läkemedlet.

När apoteksmarknaden omreglerades infördes därför bl.a. vissa bestämmelser i 2 kap. 6 § 3 och 3 kap. 3 § 6 lagen (2009:366) om handel med läkemedel och 9 och 10 §§ förordningen (2009:659) om handel med läkemedel om tillhandahållande- och leveransskyldighet som syftar till att säkerställa tillgängligheten till läkemedel.

Bestämmelserna om tillhandahållande- och leveransskyldighet är en viktig aspekt ur ett tillgänglighetsperspektiv. Vid sidan av dessa bestämmelser finns dock en rad andra faktorer som påverkar läkemedelstillverkarnas, partihandlarnas och öppenvårdsapotekens leveranser och tillhandahållanden av ett läkemedel, exempelvis andra bestämmelser eller överenskommelser som gäller för eller inverkar på den omreglerade apoteksmarknaden.

Före omregleringen hade Apoteket AB under år 2007 som målsättning att drygt 96 procent av alla kunder skulle få alla sina receptförskrivna läkemedel vid första besöket. Utfallet uppnådde enligt bolagets servicenivåmätningar näst intill målet då 95,8 procent av konsumenterna fick sina läkemedel utan att behöva vänta ytterligare en eller flera dagar på att expedition kunnat ske. Det har efter omregleringen av apoteksmarknaden från olika håll kommit signaler om att tillgängligheten till vissa grupper av läkemedel på öppenvårdsapoteken försämrats i förhållande till vad som gällde före omregleringen. Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket konstaterar dock i sin rapport Översyn av 2011 års modell för utbyte av läkemedel på apotek (dnr 2550/2011) att servicegraden i dag är på ungefär samma nivå, för såväl originalläkemedel som generika, som före omregleringen och bedömer att tillgängligheten till läkemedel överlag är god.

Det är för konsumenten av största betydelse att tillgängligheten till läkemedel är god, både genom att läkemedlet är tillgängligt vid första apoteksbesöket och att konsumenten inte behöver vänta alltför länge när de beställer läkemedel. Med hänsyn härtill och till signalerna om försämrad tillgänglighet till läkemedel för konsumenter, bör frågan om leverans- och tillhandahållandeskyldighet utredas ytterligare trots slutsatserna i TLV:s rapport.

Utredaren ska därför

- kartlägga och analysera om och i så fall vilka problem det finns vad gäller leveranser och tillhandahållande av sådana läkemedel och varor som omfattas av nu gällande leverans- och tillhandahållandeskyldigheter, och i detta sammanhang undersöka hela distributionskedjan.
- vid behov lämna de författningsförslag och andra förslag som krävs för att patienter ska få förordnande läkemedel och varor inom rimlig tid, och
- beakta marknadsaktörernas behov av långsiktiga, stabila och tydliga affärsvillkor och möjligheten för såväl stora som små företag att etablera sig och överleva på den omreglerade apoteksmarknaden samt det uppdrag som givits i avsnitt 4.1.4 Tillhandahållandeskyldighet i tidigare utredningsdirektiv (dir. 2011:55).

Övriga frågor

Förslagets konsekvenser ska redovisas i enlighet med vad som anges i 14 och 15 §§ kommittéförordningen (1998:1474). Särskild vikt ska läggas vid att redovisa förslag till finansiering i de delar förslagen innebär ökade kostnader eller minskade intäkter för de allmänna.

Utredaren ska i sitt arbete avseende de uppdrag som lämnas samråda med Finansinspektionen, Kemikalieinspektionen, Naturvårdsverket, Vinnova, Miljömålsberedningen (M 2010:04) samt andra berörda myndigheter och organisationer, utöver de som nämns i dir. 2011:55.

Uppdraget ska redovisas senast den 1 september 2012.

(Socialdepartementet)

Kommittédirektiv 2012:66

Tilläggsdirektiv till Utredningen om vissa frågor om prissättning, tillgänglighet och marknadsförutsättningar inom läkemedels- och apoteksområdet (S 2011:07)

Beslut vid regeringssammanträde den 14 juni 2012

Utvidgning av uppdraget

Regeringen beslutade den 16 juni 2011 om kommittédirektiv för utredningen om vissa frågor om prissättning, tillgänglighet och marknadsförutsättningar inom läkemedels- och apoteksområdet (dir. 2011:55). Utredaren ska enligt direktiven redovisa sitt uppdrag till regeringen senast den 1 september 2012 i de delar som gäller maskinell dosdispensering, skyldigheten att leverera och tillhandahålla samt ett antal övriga frågor och senast den 1 april 2013 i den del som avser handel med läkemedel för djur.

Regeringen beslutade den 22 september 2011 att ge utredningen ett tilläggsuppdrag att göra en översyn av prissättningen av originalläkemedel utan generisk konkurrens och vissa övriga frågor (dir. 2011:81). I utredarens uppdrag ingår inte att se över prissättningen av det generiska sortimentet eller föreskrifterna om utbytet av läkemedel i lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. Utredaren ska lämna förslag till en långsiktigt hållbar prismodell för originalläkemedel utan generisk konkurrens som kan möta de växande utmaningarna på läkemedelsområdet. Regeringen utvidgar nu utredarens uppdrag.

Det nuvarande systemet för utbyte av läkemedel innebär att öppenvårdsapotek med vissa undantag ska byta ut ett föreskrivet

läkemedel mot det tillgängliga läkemedel som har lägst fastställt försäljningspris, om det föreskrivna läkemedlet ingår i läkemedelsförmånerna och det finns läkemedlen som är utbytbara mot det. Detta system medför hög konkurrens och ger stark prispress inom denna grupp av läkemedel. Uppnådda besparingar tillfaller också i dagens modell det offentliga direkt. Med nuvarande system kan alla företag konkurrera på lika villkor vilket, i kombination med korta försäljningsperioder, gör att både stora och små företag kan överleva på marknaden. Systemet utmanas dock av apoteken som anser att dagens modell för utbyte av läkemedel driver onödiga kostnader i apoteksledet. Modellen för utbyte av läkemedel ifrågasätts även av andra skäl. Generiska läkemedel som av Läkemedelsverket anses som icke utbytbara omfattas exempelvis inte av systemet för utbyte av läkemedel. Detta leder till utebliven priskonkurrens inom denna läkemedelsgrupp. Utredningens arbete med att utveckla prissättningen av originalläkemedel erbjuder möjligheter att utveckla prissättningen även av det generiska sortimentet eller föreskrifterna om utbytet av läkemedel i lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m.

Regeringen utvidgar mot denna bakgrund uppdraget så att det står utredningen fritt att även lämna förslag som rör prissättning av generiska läkemedel eller som rör föreskrifterna om utbytet av läkemedel i lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. Eventuella förslag ska medföra minst samma prispress inom det generiska sortimentet som i dag och den uppkomna besparingen ska tillfalla det offentliga.

Förlängning av uppdraget

Utredaren ska enligt direktiven redovisa sitt uppdrag till regeringen senast den 1 september 2012 i de delar som gäller maskinell dosdispensering, skyldigheten att leverera och tillhandahålla läkemedel, prissättningen på läkemedel utan generisk konkurrens, hantering och prissättning av vissa grupper av läkemedel, läkemedelsförmånernas innehåll, miljöfrågor och försäkringsskydd och ett antal övriga frågor och senast den 1 april 2013 i den del som avser handel med läkemedel för djur. Regeringen förlänger nu tiden för utredningens uppdrag.

Uppdraget i de delar som rör prissättningen på läkemedel utan generisk konkurrens, skyldigheten att leverera och tillhandahålla läkemedel och därmed förknippande frågor om generiska läkemedel ska redovisas senast den 1 november 2012. Uppdraget i de delar som avser maskinell dosdispensering, hantering och prissättning av vissa grupper av läkemedel, läkemedelsförmånernas innehåll, miljöfrågor och försäkringskydd ska redovisas senast den 1 april 2013 och i den del som avser handel med läkemedel för djur senast den 1 november 2013.

(Socialdepartementet)

Kommittédirektiv 2013:26

Tilläggsdirektiv till Läkemedels- och apoteksutredningen (S 2011:07)

Beslut vid regeringssammanträde den 7 mars 2013

Förlängning av uppdraget

Regeringen beslutade den 16 juni 2011 om kommittédirektiv för utredningen om vissa frågor om prissättning, tillgänglighet och marknadsförutsättningar inom läkemedels- och apoteksområdet (dir. 2011:55). I dessa direktiv beskrivs utredningens uppdrag i de delar som gäller maskinell dosdispensering, ägandet i Apoteket Farmaci AB, handel med läkemedel för djur samt ett antal övriga frågor. Utredningen har därefter tagit sig namnet Läkemedels- och apoteksutredningen.

Regeringen beslutade den 22 september 2011 att ge utredningen tilläggsuppdrag att göra en översyn av prissättningen av originalläkemedel utan generisk konkurrens och vissa övriga frågor (dir. 2011:81). Bland dessa frågor ingick att se över hanteringen och prissättningen av licensläkemedel, extemporeläkemedel och smittskyddsläkemedel, se över behovet av att definiera vilka läkemedel som kan ingå i läkemedelsförmånerna, överväga om miljöaspekter bör beaktas vid subventionsbeslut, komma med förslag på hur en obligatorisk läkemedelsförsäkring ska utformas inom förmånerna samt se över leverans- och tillhandahållandeskyldigheten när det gäller förordnade läkemedel och varor.

Den 30 oktober 2012 överlämnade utredningen betänkandet Pris, tillgång, service (SOU 2012:75) till regeringen. I detta betänkande redovisade utredningen sitt uppdrag i de delar som rör prissättningen på läkemedel utan generisk konkurrens, vissa frågor som

rör generiska läkemedel, skyldigheten att leverera och tillhandahålla förordnade läkemedel och varor samt vissa övriga frågor.

Utredningen ska enligt tilläggsdirektiv som regeringen beslutade om den 14 juni 2012 (dir. 2012:66) redovisa det kvarvarande uppdraget i de delar som avser maskinell dosdispensering, hantering och prissättning av vissa grupper av läkemedel, läkemedelsförmånernas innehåll, vissa frågor om läkemedel och miljö och försäkringsskydd senast den 1 april 2013 och i den del som avser handel med läkemedel för djur senast den 1 november 2013. Regeringen förlänger nu tiden för utredningens uppdrag.

Utredningen ska i de delar som rör hur en obligatorisk läkemedelsförsäkring ska utformas inom förmånerna, ägandet av Apoteket Farmaci AB och vissa frågor om läkemedel och miljö redovisa uppdraget den senast 1 april 2013. Övriga frågor i uppdraget ska redovisas senast den 1 april 2014.

Utvidgning av uppdraget

Bakgrund

Ett läkemedel måste vara godkänt innan det får sättas på marknaden. Förskrivarna har dock i bland behov av att förskriva icke godkända läkemedel. Ett alternativ som då finns är att förskriva ett s.k. licensläkemedel. Läkemedelsverket kan bevilja ett särskilt tillstånd, en s.k. licens, att sälja ett icke godkänt läkemedel för att tillgodose särskilda behov hos enskilda patienter eller hos patientgrupper.

Ansökan om licens görs hos Läkemedelsverket av ett apotek tillsammans med skriftlig motivering från läkare, veterinär eller tandläkare som styrker behovet av läkemedlet.

En licens kan vara enskild, generell, veterinär licens eller beredskapslicens. En generell licens ger förskrivare vid en viss klinik tillstånd att förskriva läkemedel till de patienter som behandlas på kliniken. Generell licens för humant bruk reserveras för sjukvårdens behov av läkemedelsförsörjning via rekvisition eller motsvarande. En generell licens beviljas om patientens behov av licensläkemedel inte på lämpligt sätt kan tillgodoses genom enskild licens. En licens är giltig under högst ett år.

Läkemedel som kan vara aktuella att förskriva på licens är bland annat läkemedel som väntar på ett godkännande, läkemedel som företaget valt att avregistrera (t.ex. av lönsamhetsskäl) och sådana läkemedel mot ovanliga sjukdomar eller avsedda för udda djurslag som inte kommit att bli godkända för den svenska marknaden.

För att licens ska beviljas krävs bland annat att förskrivande läkare, veterinär eller tandläkare förutom att skriva recept på preparatet lämnar en skriftlig motivering för dess användning. Motiveringen ska innehålla uppgift om diagnos, eventuell tidigare använd terapi och dess resultat samt varför godkända läkemedel inte går att använda. Motiveringen sänds tillsammans med receptet till ett apotek, som sedan faxar motiveringen till Läkemedelsverket samtidigt som det gör en ansökan. Apoteket måste alltid meddelas så att det kan skicka in en ansökan om licens. Apoteken ansöker numera huvudsakligen elektroniskt. Läkemedelsverket meddelar sitt beslut (avslag, komplettering eller beviljande) elektroniskt.

Förskrivaren meddelas endast om licensen avslås, om komplettering begärs, om speciell information ska förmedlas till förskrivaren eller om licensen beviljas med förbehåll. Förskrivaren meddelas per brev.

Det sökande apoteket kan överklaga Läkemedelsverkets beslut inom tre veckor. Om Läkemedelsverket vidhåller sitt beslut skickas ärendet till Förvaltningsrätten i Uppsala.

Ansökan om beredskapslicens ska åtföljas av en motivering från en förskrivare verksam vid Giftinformationscentralen om ansökan avser ormsserum eller antidoter för humant bruk, från Socialstyrelsen om ansökan avser andra humanläkemedel, inklusive antidoter avsedda att användas mot kemiska, biologiska och radionukleära stridsmedel och från Statens veterinärmedicinska anstalt (SVA) om ansökan avser veterinärmedicinska läkemedel.

I undantagsfall sker licensansökan även från SVA. Myndigheten ansöker om, och har under många år, beviljats licenser för vissa vacciner som inte finns registrerade i Sverige. Myndigheten motiverar detta med att den, enligt sin instruktion, är skyldig att upprätthålla en effektiv vaccinberedskap avseende smittsamma djursjukdomar inklusive zoonoser.

Avgiften för en licensansökan betalas till Läkemedelsverket av det apotek som utfärdar ansökan. Av 25 § första stycket läkemedelslagen framgår att den som ansöker om tillstånd enligt 5 §

tredje stycket läkemedelslagen ska betala ansökningsavgift. I 2 kap. 7 § 1 b förordning (2010:1167) om avgifter för den statliga kontrollen av läkemedel återfinns bestämmelsen som anger att Läke-
medelsverket ska ta 220 kr för en ansökan om licens för att tillgodose särskilda behov av läkemedel i en-skilda fall. I 25 § tredje stycket läkemedelslagen anges att årsavgift får tas ut för licensläkemedel. Någon bestämmelse om sådan avgift finns inte i förordningen.

I propositionen Omreglering av apoteksmarknaden (2008/09:145, s. 200) gjorde regeringen bedömningen att det bör vara patienten som, i samband med att förskrivningen sker, väljer vid vilket apotek läkemedlet ska hämtas ut. I propositionen belystes vidare (s. 259) frågan om hanteringen av licensläkemedel inom förmånssystemet. Regeringen angav i propositionen att hanteringen av licensläkemedel bör ses över. Utredningen har därför fått i uppdrag att lämna förslag på hur prissättningen av licensläkemedel ska utformas på en omreglerad apoteksmarknad, och lämna förslag som gör att patienten inte behöver betala mer än högkostnadsskyddet för läkemedel under den tid Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) prövar om ett licensläkemedel som godkänts för försäljning ska subventioneras.

I samband med omregleringen av apoteksmarknaden förändrades förutsättningarna för att hämta ut licensläkemedel. Förändringen innebar att patienter och djurägare endast kan hämta ut sitt licensläkemedel på de apotek som har fått licens beviljad och apotek inom samma kedja med samma ägare. Detsamma gäller generell licens som därför bara är giltig på de apotek som har fått licens beviljad och apotek inom samma kedja med samma ägare.

Den 29 september 2010 redovisade Läke-
medelsverket på regeringens uppdrag en rapport om hanteringen av licensläkemedel. I rapporten föreslås bl.a. en lösning med ett licensregister som tas fram för att driftsättas, supporteras och förvaltas av Apotekens Service AB. I rapporten ingår bl.a. även en redovisning av olika alternativ i fråga om vem som bör utfärda ansökan om licens till Läke-
medelsverket.

Regeringen har därefter uppdragit till Apotekens Service AB och Läke-
medelsverket att utveckla respektive anpassa sina system till elektroniskt system för ansökningar för licensläkemedel (S2010/2842/FS). I övriga frågor som tas upp i Läke-
medelsverkets

rapport behövs enligt regeringens bedömningar ytterligare analys av nuvarande hantering av licensläkemedel och de rättsliga förutsättningarna för olika alternativa lösningar.

Läkemedelsverket fick i uppdrag den 20 oktober 2011 (S2011/9210/FS) att kartlägga orsakerna bakom den ökade mängden ansökningar om licenser för försäljning av icke godkända läkemedel. Uppdraget redovisades till Regeringskansliet den 31 mars 2012. Av redovisningen framgår att det finns flera skäl till att antalet ansökningar ökar, bl.a. på grund av att en patient kan ha flera ansökningar för samma licensläkemedel och att Läkemedelsverket förändrat sin tillämpning i fråga om generella licenser. Om det finns en faktisk ökning av användandet av licensläkemedel är dock enligt myndigheten inte tillräckligt utrett då antalet ansökningar inte direkt återspeglar antalet patienter.

I regeringsbrevet för 2013 har Läkemedelsverket fått i uppdrag att analysera vilka faktorer som styr sjukvårdens behov av licensläkemedel. Läkemedelsverket ska vidare se över omfattningen av ansökningar om licens i de fall det finns ett godkänt alternativ som inte ingår i läkemedelsförmånerna. Uppdraget ska redovisas till Regeringskansliet senast den 30 juni 2013.

Uppdraget

Regeringen utvidgar mot denna bakgrund utredningens uppdrag så att det även omfattar hanteringen av licensläkemedel. I uppdraget ingår att lämna förslag på en ordning genom vilken apotekskunder kan hämta ut licensläkemedel på vilket apotek som helst oavsett vilket apotek som har beviljats försäljningslicensen. Utredningen ska därvid beakta i vilken mån ett sådant system påverkar den avgift som det ansökande apoteket erlägger vid ansökan samt möjligheten att föra talan mot ett beslut om avslag på ansökan om licens. Vidare ingår i uppdraget att överväga om ett nationellt register över beviljade licenser bör införas och vid behov lämna förslag till författningsreglering, placering och finansiering samt åtkomst till ett sådant register. Utredningen ska i detta arbete överväga vilka eventuella ändringar som behöver göras i offentlighets- och sekretesslagen (2009:400).

Vidare ska utredningen se över om nuvarande principer för vem som utfärdar en ansökan om licens samt vem som betalar avgifter till Läkemedelsverket är ändamålsenliga. I detta ligger att se över vilka för- och nackdelar som det skulle medföra att föra över kostnaden för ansökningsavgiften på den som förskriver läkemedlet. Utredaren ska analysera de rättsliga förutsättningarna för ett sådant alternativ och även andra rättsliga frågor av betydelse för hanteringen av licensläkemedel.

I uppdraget ingår även att se över hantering och användning av licensansökningar från andra än apotek. Utredningen ska analysera olika alternativ för att tillgodose de behov som finns av sådana licenser. I detta ligger att analysera vilka alternativ som är förenliga med gällande regelverk och vilka fördelar och nackdelar sådana alternativ har. Vid behov står det utredaren fritt att även analysera och lämna förslag på förändringar i gällande regelverk. Konsekvenserna av sådana eventuella förslag ska i så fall analyseras.

Det utvidgade uppdraget rörande hanteringen av licensläkemedel ska redovisas senast den 1 april 2014.

(Socialdepartementet)

Kommittédirektiv 2014:21

Tilläggsdirektiv till Läkemedels- och apoteksutredningen (S 2011:07)

Beslut vid regeringssammanträde den 20 februari 2014

Bakgrund

Regeringen beslutade den 16 juni 2011 om kommittédirektiv för utredningen om vissa frågor om prissättning, tillgänglighet och marknadsförutsättningar inom läkemedels- och apoteksområdet (dir. 2011:55). I dessa direktiv beskrivs utredningens uppdrag i de delar som gäller maskinell dosdispensering, ägandet i Apoteket Farmaci AB, handel med läkemedel för djur samt ett antal övriga frågor. Utredningen har därefter tagit sig namnet Läkemedels- och apoteksutredningen.

Regeringen beslutade den 22 september 2011 att ge utredningen tilläggsuppdrag att göra en översyn av prissättningen av originalläkemedel utan generisk konkurrens och vissa övriga frågor (dir. 2011:82). Bland dessa frågor ingick att se över hanteringen och prissättningen av licensläkemedel, extemporeläkemedel och smittskyddsläkemedel, se över behovet av att definiera vilka läkemedel som kan ingå i läkemedelsförmånerna, överväga om miljöaspekter bör beaktas vid subventionsbeslut, komma med förslag på hur en obligatorisk läkemedelsförsäkring ska utformas inom förmånerna samt se över leverans- och tillhandahållandeskyldigheten när det gäller förordnade läkemedel och varor.

Den 30 oktober 2012 överlämnade utredningen betänkandet Pris, tillgång, service (SOU 2012:75) till regeringen. I detta betänkande redovisade utredningen sitt uppdrag i de delar som rör prissättningen på läkemedel utan generisk konkurrens, vissa frågor som

rör generiska läkemedel, skyldigheten att leverera och tillhandahålla förordnade läkemedel och varor samt vissa övriga frågor.

Den 1 april 2013 överlämnade utredningen betänkandet Ersättning vid läkemedelsskador och miljöhänsyn i läkemedelsförmånerna (SOU 2013:23). I betänkandet redovisar utredningen sitt uppdrag i de delar som rör ersättning vid läkemedelsskador och förslag som berör läkemedel och miljö samt sjukhusens läkemedelsförsörjning och ägandet av Apoteket Farmaci-verksamheten.

Utredningen ska enligt tilläggsdirektiven som regeringen beslutade om den 7 mars 2013 (dir. 2013:26) senast den 1 april 2014 redovisa de delar av uppdraget som avser maskinell dosdispensering, hantering och prissättning av vissa grupper av läkemedel, läkemedelsförmånernas innehåll och läkemedel för djur.

Förlängd tid för uppdraget

Utredningstiden förlängs. I de delar som rör dosdispenserade läkemedel, särlekemedel och djurläkemedel ska uppdraget redovisas senast den 30 oktober 2014. Övriga frågor, dvs. de delar av uppdraget som rör smittskyddsläkemedel, extemporeläkemedel och licensläkemedel, ska redovisas senast den 1 april 2014.

(Socialdepartementet)

Kommittédirektiv 2014:124

Tilläggsdirektiv till Läkemedels- och apoteksutredningen (S 2011:07)

Beslut vid regeringssammanträde den 28 augusti 2014

Bakgrund

Den 16 juni 2011 beslutade regeringen att tillsätta en särskild utredare för att göra en översyn av vissa frågor som rör prissättning, tillgänglighet och marknadsförutsättningar inom läkemedels- och apoteksområdet (dir. 2011:55). I direktiven beskrivs utredningens uppdrag i de delar som gäller maskinell dosdispensering, ägandet i Apoteket Farmaci AB, handel med läkemedel för djur samt ett antal övriga frågor. Utredningen har därefter tagit sig namnet Läkemedels- och apoteksutredningen.

Regeringen beslutade den 22 september 2011 att ge utredningen tilläggsuppdrag att göra en översyn av prissättningen av originalläkemedel utan generisk konkurrens och vissa övriga frågor (dir. 2011:82). Bland dessa frågor ingick att se över hanteringen och prissättningen av licensläkemedel, extemporeläkemedel och smittskyddsläkemedel, se över behovet av att definiera vilka läkemedel som kan ingå i läkemedelsförmånerna, överväga om miljöaspekter bör beaktas vid subventionsbeslut, lämna förslag på hur en obligatorisk läkemedelsförsäkring ska utformas inom förmånerna samt se över leverans- och tillhandahållandeskyldigheten när det gäller förordnade läkemedel och varor.

Den 30 oktober 2012 överlämnade utredningen betänkandet Pris, tillgång, service (SOU 2012:75) till regeringen. I detta betänkande redovisade utredningen sitt uppdrag i de delar som rör prissättningen på läkemedel utan generisk konkurrens, vissa frågor som rör gene-

riska läkemedel, skyldigheten att leverera och tillhandahålla förordnade läkemedel och varor samt vissa övriga frågor.

Den 1 april 2013 överlämnade utredningen betänkandet Ersättning vid läkemedelsskador och miljöhänsyn i läkemedelsförmånerna (SOU 2013:23). I betänkandet redovisar utredningen sitt uppdrag i de delar som rör ersättning vid läkemedelsskador och förslag som berör läkemedel och miljö samt sjukhusens läkemedelsförsörjning och ägandet av Apoteket Farmaci-verksamheten.

Enligt tilläggsdirektiv som regeringen beslutade om den 7 mars 2013 (dir. 2013:26) ska utredningen senast den 1 april 2014 redovisa de delar av uppdraget som avser maskinell dosdispensering, hantering och prissättning av vissa grupper av läkemedel, läkemedelsförmånernas innehåll och läkemedel för djur.

Den 20 februari beslutade regeringen om ytterligare tilläggsdirektiv (dir. 2014:21) som innebär att utredningstiden förlängs för de delar som rör dosdispenserade läkemedel, säräkemedel och djurläkemedel. Dessa ska redovisas senast den 30 oktober 2014.

Den 1 april 2014 överlämnade utredningen betänkandet Läke-medel för särskilda behov (SOU 2014:20). I betänkandet redovisar utredningen de delar av uppdraget som rör smittskyddsläkemedel, extemporeläkemedel och licensläkemedel.

Förlängd tid för uppdraget

Utredningstiden förlängs. I de delar som rör dosdispenserade läkemedel, säräkemedel och djurläkemedel ska uppdraget redovisas senast den 31 december 2014.

(Socialdepartementet)

Prioritering av läkemedel för behandling av patienter med sällsynta sjukdomar

Per Carlsson
Mikael Hoffmann
Lars-Åke Levin
Lars Sandman
Johanna Wiss

Sammanfattning

I vilken utsträckning kan särskilda hänsyn tas vid prioritering av sär läkemedel och läkemedel för behandling av sällsynta tillstånd? Bör man i vissa speciella situationer kunna acceptera sämre kostnadseffektivitet och lägre krav på vetenskapligt underlag? Om så, vad är det för villkor/kriterier som då bör vara uppfyllda? Hur stämmer ett sådant undantag med den etiska plattformen för prioriteringar? Finns det andra argument som talar för eller mot en särbehandling av sällsynta tillstånd? Detta är frågor som vi diskuterar i denna rapport som tagits fram på uppdrag av Läkemedels- och apoteksutredningen.

I rapporten konstaterar vi att sär läkemedel är en relativt heterogen grupp av läkemedel och att det finns andra läkemedel med motsvarande egenskaper som inte ansökt eller kunnat ansöka om status som sär läkemedel. Ur prioriteringssynpunkt är det därför mer relevant att fokusera på alla typer av läkemedel, som används för sällsynta tillstånd, när vi diskuterar vilka principer för prioriteringar som bör gälla.

Utifrån litteratur och erfarenheter i andra länder, som formulerat kriterier för en särskild hantering av läkemedel vid sällsynta sjukdomar, drar vi den preliminära slutsatsen att samhället bör kunna betala mer per hälsovinst (kostnad per kvalitetsjusterat levnadsår (QALY)) och acceptera lägre krav på vetenskapligt underlag vid prioritering av läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar om samtliga följande villkor är uppfyllda:

- att behandlingen har en hög kostnad per hälsovinst som en konsekvens av att den omfattar endast få patienter,
- att det rör sig om ett tillstånd med mycket stor svårighetsgrad,
- att det behandlingsalternativ som övervägs på goda grunder ska antas ha en väsentlig effekt,
- att det inte finns någon alternativ behandling med en väsentlig effekt som förväntas förebygga, bota, fördröja försämring eller lindra det aktuella tillståndet.

Om dessa kriterier anses uppfyllda kan läkemedlet bedömas i relation till ett förhöjt tröskelvärde för kostnadseffektivitet. Hur

högt detta värde kan vara för att anses rimligt tar vi inte ställning till i rapporten, men en viktig ståndpunkt är att det måste finnas en övre gräns för hur hög kostnad per QALY samhället kan acceptera. Detta bör gälla även om ovanstående kriterier är uppfyllda, annars riskerar det uppstå oacceptabla undanträngningseffekter av andra prioriterade åtgärder. Även lägre krav på vetenskapligt underlag ska kunna accepteras.

Denna preliminära slutsats prövas sedan mot den svenska etiska plattformen och ur ett samhällsekonomiskt perspektiv.

Våra slutsatser från den etiska analysen är att:

Människovärdesprincipen tillåter att sällsynta tillstånd som ger upphov till höga behandlingskostnader kan särbehandlas och därmed kan vårt första kriterium accepteras utifrån den etiska plattformen. När ett högre tröskelvärde (kostnad per vunnen hälsovinst) för behandling av sällsynta tillstånd accepteras, så ges dessa patienter större likhet i tillgång till hälsa jämfört med andra patienter (under förutsättning att även andra kriterier är uppfyllda). Detta innebär dock inte automatiskt att alla sällsynta tillstånd som ger upphov till höga behandlingskostnader bör särbehandlas.

Enligt *behovs-solidaritetsprincipen* bör samhället sträva efter att alla medborgare i så stor utsträckning som möjligt ges lika möjligheter till vård; men även att de uppnår en så lika nivå av hälsa som möjligt. Det senare förutsätter att vi i första hand prioriterar dem som ligger längst ifrån en sådan lika nivå, dvs. de med störst behov. För att vi ska kunna påverka möjligheter och utfall när det gäller hälsa krävs det att de åtgärder som används faktiskt kan påverka personer till att närma sig ett mer lika utfall, dvs. att dessa åtgärder har en väsentlig effekt på hälsan.

Kostnadseffektivitetsprincipen säger att vid val mellan olika verksamhetsområden eller åtgärder bör en rimlig relation mellan kostnader och effekt eftersträvas. Det framgår att mycket svåra tillstånd ska gå före lindrigare tillstånd, även om åtgärderna gentemot de förra är förknippade med förhållandevis högre kostnader per hälsovinst. När ovanstående kriterier är uppfyllda för behandling av ett sällsynt tillstånd innebär det endast att behandlingen kan bli föremål för en bedömning av om ett höjt tröskelvärde kan accepteras. Det innebär alltså inte automatiskt att behandlingen bör erbjudas eller att ett läkemedel till exempel ska inkluderas i läkemedelsförmånerna. Även med dessa kriterier uppfyllda och att det därmed

finns skäl för särbehandling av behandlingen, bör beslutfattaren även i det läget komma fram till vad som är en rimlig relation mellan kostnader och effekt, dvs. vilket som är ett acceptabelt tröskelvärde i den aktuella beslutssituationen.

Sammanfattningsvis anser vi att dagens etiska plattform tillsammans med den modifiering av kostnadseffektivitetsprincipen, som finns i senare lagstiftning, ger möjlighet att ta särskilda hänsyn vid prioritering av läkemedel riktade till sällsynta och mycket svåra tillstånd. För att en särbehandling av ett läkemedel ska kunna övervägas bör det ha en väsentlig effekt på det aktuella tillståndet. Det är en skillnad mellan behandlingar som har dålig kostnadseffektivitet på grund av liten effekt respektive om de har det på grund av hög kostnad. Skillnaden motiveras utifrån att effektstorleken hos behandlingen påverkar dess möjlighet att bidra till ett utfall som ligger i linje med resten av befolkningens hälsa och livskvalitet, där en större effektstorlek närmar sig detta på ett bättre sätt. Vår tolkning är att om det finns två åtgärder med samma kostnadseffektivitetskvot och samma svårighetsgrad men där den ena har större effekt på tillståndet än den andra, så är den med störst effekt som ska ges företräde.

Vi har även undersökt om det finns några argument utifrån samhällsekonomisk effektivitet som talar för eller emot en särbehandling av sällsynta tillstånd. Detta görs utifrån teoretisk och empirisk litteratur i ämnet och preliminära data från en svensk studie. Enligt vissa studier finns det ett samhällsligt värde. Dels i att vetskapen om att människor blir omhändertagna oavsett situation skapar större trygghet och tillit till samhället utifrån ett egenintresse eftersom alla människor i ett samhälle löper en risk att drabbas av svåra tillstånd. Dels utifrån en mer altruistisk motivering som består i att människor i allmänhet kan påverkas positivt av att bara veta att de lever i ett barmhärtigt samhälle.

Det finns dock inget stöd i renodlade empiriska studier för att människor i allmänhet anser att behandling av sällsynta sjukdomar, allt annat lika, ska särbehandlas. Med andra ord saknas empiriskt stöd för att sällsynthet i sig är ett relevant kriterium vid prioritering. Detta var även slutsatsen av vår tidigare etiska argumentation kring detta (se Carlsson et al. 2012). Preliminära data från en pågående svensk studie kommer delvis fram till samma slutsats. När analysen i samma studie fördjupas och kompletteras

med attitydfrågor och fokusgruppsintervjuer framträder dock en mer nyanserad bild, nämligen att om det rör sig om sällsynta tillstånd med hög svårighetsgrad, och det är den enda behandlingen, så kan stöd finnas för särbehandling.

Efter att ha konstaterat att särskild hänsyn kan övervägas vid prioritering av läkemedel som ska användas vid svåra och sällsynta tillstånd utifrån den etiska plattformen och ur ett välfärdsekonomiskt perspektiv återstår att ta ställning till en rad praktiska överväganden vid utformning av procedurer för prioriteringar, nämligen:

- Utifrån målet att minska olikheter och garantera vård på lika villkor för sällsynta tillstånd är antagligen en modell med ett nationellt beslutsfattande att föredra. Samma principer för prioritering av läkemedel vid sällsynta och svåra tillstånd bör gälla oavsett hur läkemedlet når patienten, dvs. oavsett om detta sker som läkemedel på recept eller rekvisitionsläkemedel. Om prioriteringen görs av en eller flera instanser är en organisatorisk fråga som vi inte tar ställning till i denna rapport.
- Ur prioriteringssynpunkt bör det inte göras åtskillnad mellan sär läkemedel och andra läkemedel som används för sällsynta tillstånd. När det gäller beslut om sär läkemedel i allmänhet ska ingå i förmånssystemet bör de utvärderas och beslutas av Tandvård- och läkemedelsförmånsverket (TLV) på sedvanligt sätt medan vid sådana läkemedel som riktas mot tillstånd som både är mycket sällsynta och mycket svåra kan särskild hänsyn behöva tas och handläggas enligt en modifierad ordning. Detta bör avse såväl kostnaden per hälsovinst som hantering av osäkerhet i det vetenskapliga underlaget och bör gälla oavsett status som sär läkemedel eller ej.
- I vissa situationer när det vetenskapliga underlaget är mycket osäkert uppstår problem vid ställningstagande om generell användning av dyra läkemedel för svår sjukdom på grupp nivå. Det förefaller i det läget rimligt att initialt ge visst avkall på evidensunderlaget för kostnadseffektivitet vid svåra sjukdomar när det av olika skäl inte ter sig möjligt av praktiska skäl att få fram ett sådant. Det kan dock finnas en konflikt i att både acceptera en högre betalningsvilja och dessutom acceptera en större osäkerhet i beslutsunderlaget. I sådana fall är det särskilt

angeläget att sörja för en adekvat uppföljning för att så snart som möjligt försöka minska osäkerheten och eventuellt ompröva beslutet.

- De finns olika principer för hur en patientgrupp med mycket svåra och sällsynta tillstånd kan avgränsas. Gruppen kan dels bestämmas utifrån hur vanligt tillståndet är i befolkningen eller efter antalet patienter med ett visst tillstånd som aktuellt läkemedel ska användas för (med andra ord antalet patienter som är tänkbara för behandling). Det senare beräkningssättet förefaller fördelaktigt då den särskilda problematik vi lyfter här är kopplat till att det är få patienter som är aktuella för behandling, inte hur vanlig/ovanlig tillståndet/sjukdomen är. Vi tar i rapporten inte definitiv ställning till vad som är en lämplig gräns utan detta bör utredas vidare. Vi tror dock att en sådan avgränsning bör sättas betydligt lägre än den vedertagna definitionen av sär läkemedel och för Sveriges del kan en diskussion lämpligen utgå från att den förväntade beräknade storleken på patientgruppen inte bör bli större än 200 patienter (1 på 50 000 invånare) under fem år. Bland annat talar erfarenheter från England för denna avgränsning.
- En väg för att komma fram till vad som är ett rimligt tröskelvärde för kostnadseffektivitet i olika situationer vid sällsynta tillstånd är att någon part åläggs att fatta beslut på ett öppet sätt. Sådana beslut kan sedan diskuteras brett och eventuellt bli föremål för omprövning. Genom att jämföra med andra situationer i vården och samhället där beslut fattas om åtgärder för svåra tillstånd och små patientgrupper kan utvecklingen av en praxis påskyndas. Även jämförelser med beslut i andra länder kan ge en fingervisning om vad som är ett rimligt tröskelvärde i olika situationer.

1 Bakgrund

Den pågående Läkemedels- och apoteksutredningen har i ett tilläggsdirektiv fått i uppdrag att analysera behovet av särskilda lösningar vid beslut om subventionering för sär läkemedel. Orsaken är att dessa läkemedel ofta är förknippade med mycket höga behand-

lingskostnader i kombination med svagt vetenskapligt underlag. Eftersom det rör sig om patientgrupper med svåra tillstånd är det synnerligen problematiskt att inte kunna erbjuda en behandling på grund av den höga kostnaden. Men är det möjligt ur ett rättviseperspektiv att i vissa situationer acceptera en högre kostnad per hälsovinst vid behandling av sällsynta svåra tillstånd jämfört med lika svåra men vanligare tillstånd?

1.1 Vad menas med ett sär läkemedel?

Ett sär läkemedel är ett läkemedel som uppfyller vissa villkor och därmed omfattas av särskilda stimulansåtgärder innan godkännande av läkemedelsmyndighet. Regelverket kring sär läkemedel bygger på den förordning som EU-kommissionen antog år 2000 och Europaparlamentets och rådets förordning (EG) nr 141/2000 om sär läkemedel (Europeiska kommissionen 2000). Beslut om att ett läkemedel ska få status som sär läkemedel fattas av EU-kommissionen efter ansökan från företaget till ”Committee for Orphan Medicinal Products” (COMP) vid den Europeiska läkemedelsmyndigheten (The European Medicines Agency, EMA).

Ett läkemedel skall klassificeras som sär läkemedel om företaget kan påvisa:

- att läkemedlet är avsett för att diagnostisera, förebygga eller behandla livshotande tillstånd eller tillstånd med kronisk funktionsnedsättning och som högst 5 av 10 000 personer i gemenskapen lider av vid ansökningstillfället,
- att det är avsett för att diagnostisera, förebygga eller behandla livshotande, svårt funktionsnedsättande eller allvarliga och kroniska tillstånd inom gemenskapen och att det utan stimulansåtgärder inte är troligt att en försäljning av läkemedlet inom gemenskapen skulle generera tillräcklig avkastning för att motivera den nödvändiga investeringen,
- att det inte finns någon tillfredsställande metod som godkänts inom gemenskapen för att diagnostisera, förebygga eller behandla det aktuella tillståndet eller, om det finns en sådan metod, att läkemedlet kommer att vara till stor nytta för dem som lider av detta tillstånd.

Särläkemedelsstatus innebär vissa förmåner för det företag som tar fram den aktuella produkten:

- ensamrätt för behandling med en viss produkt på en bestämd terapeutisk indikation inom EU under 10 år,
- kostnadsfri eller reducerad avgift för vetenskaplig rådgivning av läkemedelsmyndighet,
- kostnadsfri eller reducerad avgift för godkännande,
- kostnadsfri inspektion innan godkännande,
- företräde till EU:s forskningsprogram.

Status som särläkemedel innebär däremot inte ett ovillkorligt åtagande från medlemsstaterna inom EU att bekosta läkemedlet inom ramen för läkemedelsförmån eller hälso- och sjukvård i övrigt. Beslut om läkemedelsförmån fattas i likhet med finansiering av annan hälso- och sjukvård i enlighet med subsidiaritetsprincipen av respektive land.

1.2 Så handläggs särläkemedel i Sverige

Ansökningar om att inkludera receptbelagda särläkemedel i läkemedelsförmånerna prövas av Tandvård- och läkemedelsförmånsverket (TLV) enligt samma regelverk som övriga läkemedel. Ökningen av antalet särläkemedel som godkänns för marknadsföring varje år i Sverige är stabil (i genomsnitt 6–7 per år sedan år 2000)¹ men eftersom reformen är relativt ny har ännu endast ett fåtal särläkemedel förlorat sin marknadsexklusivitet fram till idag. Det totala antalet särläkemedel tillgängliga för behandling av patienter har således ökat under det senaste decenniet men på sikt förväntas ett jämviktstillstånd infinna sig (Hutchings et al. 2014).

Tandvård- och läkemedelsförmånsverket har bifallit de allra flesta ansökningar som rört särläkemedel. När TLV avslagit en ansökan eller när företaget väljer att inte ansöka om inträde i läkemedelsförmånerna beslutar enskilda landsting om användningen. I ökad utsträckning fattar de enskilda landstingen sina beslut efter en

¹ <http://www.ojrd.com/content/pdf/1750-1172-9-22.pdf>

rekommendation från en gemensam prioriteringsgrupp (Nya läkemedelsterapier, NLT) som organiseras av Sveriges Kommuner och Landsting (SKL). Inom ramen för ett försöksprojekt kan NLT-gruppen avropa hälsoekonomiska utvärderingar från TLV. Detta har bidragit till ett ökat samarbete mellan TLV och NLT-gruppen. De problemställningar som NLT-gruppen möter vid prioriteringar av läkemedel för sällsynta sjukdomar har stora likheter med de TLV:s läkemedelsnämnd möter. Dagens NLT-grupp kommer att från den 1 januari 2015 ersättas av ett så kallat NT-råd (Nya terapier). NT-rådet ska utses av och rapportera till nätverket av hälso- och sjukvårdsdirektörer. NT-rådet ska få i uppgift att rekommendera användning av nya läkemedel och svara för uppföljning av de nya läkemedlen (Sveriges Kommuner och Landsting 2014).

Ett problem är att behandlingskosten för säräkemedel ofta är mycket hög på grund av höga läkemedelspriser. Även om den höga kostnaden för själva läkemedelsbehandlingen i viss utsträckning uppvägs av att andra insatser inom vård och omsorg faller bort, så tenderar även kostnaden per hälsovinst för säräkemedel vara mycket hög. Höga priser motiveras av att antalet patienter som använder ett säräkemedel är få och därmed kommer priset per patient behöva bära en stor del av utvecklingskostnaden. Samtidigt kan det vetenskapliga underlaget när det gäller effekter och totala behandlingsskostnader vara svagt, då det av skilda skäl kan vara svårt att genomföra lika omfattande kliniska prövningar som för betydligt vanligare tillstånd.

Detta bidrar till att TLV och landstingen, när det gäller läkemedel utanför förmånen, ibland har svårigheter att fatta beslut gällande säräkemedel på samma grunder och efter samma principer som gäller för övriga läkemedel som introduceras i vården. Enligt en rapport från TLV (2010) framgår att myndigheten accepterat en relativt låg kostnadseffektivitet, dvs. hög kostnad per kvalitetsjusterat levnadsår (QALY), för vissa säräkemedel på grund av att behandlingen riktas mot en grupp med en svår eller mycket svår sjukdom. Detta grundas i den etiska plattformens behovs-solidaritetsprincip som förskriver att samhället bör betala mer för att vinna hälsa för enskilda patienter och grupper med svåra tillstånd jämfört med de med lindrigare tillstånd. På den punkten har TLV inte skiljt på säräkemedel och andra läkemedel som också riktas till grupper med svåra tillstånd. Myndigheten har hittills inte

ansett att det är förenligt med 15 § (2002:160) i lagen om läkemedelsförmåner m.m. att göra skillnad mellan patienter beroende på om deras sjukdom är vanlig eller ovanlig. Motsvarande diskussioner rörande svårigheter att hantera beslut om subventionering av sär läkemedel som förs i Sverige finns även i andra länder.

1.3 Vad behöver utredas?

Enligt direktivet för den pågående Läkemedels- och apoteksutredningen (Socialdepartementet 2011) ska utredaren:

- särskilt belysa hur den framtida prissättningen av sär läkemedel bör utformas och analysera och pröva om det finns behov av en separat prissättningsmodell för sär läkemedel,
- vid behov lämna förslag på hur en prismodell för sär läkemedel bör utformas och vilka kriterier som ska ligga till grund för att värdera ett sär läkemedel och
- analysera hur den föreslagna prismodellen kan påverka tillgången till sär läkemedel.

Utredningen gav i april 2012 Prioriteringscentrum vid Linköpings universitet i uppdrag att analysera vilka prioriteringskriterier som är relevanta vid beslut om sär läkemedel; den etiska grunden för sådana kriterier; behovet av en särskild prioriteringsprocedur och finansieringsmodell. Prioriteringscentrum redovisade detta uppdrag i en bilaga till Läkemedels- och apoteksutredningens delbetänkande som presenterades den 31 oktober 2012 och i Prioriteringscentrums rapport 2012:1.

Utredningen valde att inte presentera något förslag gällande sär läkemedel i delbetänkandet från 2012. När utredningen 2014 återkommer till denna fråga har Prioriteringscentrum fått i uppdrag att uppdatera och utveckla de delar av rapporten som berör principer för prioritering av läkemedel för behandling av sällsynta tillstånd och formerna för beslut och uppföljning. Detta uppdrag redovisas i denna rapport.

2 Handläggning vid beslut om subvention av läkemedel vid sällsynta tillstånd

I detta avsnitt redovisar vi kortfattat relevanta lagar och direktiv som omfattar patienter med sällsynta tillstånd där det finns möjlighet till behandling med läkemedel (t.ex. sär läkemedel). Till relevanta lagar och direktiv hör Europeiska unionens råds rekommendation av den 8 juni 2009 om en satsning avseende sällsynta tillstånd; den av Sveriges riksdag beslutade etiska plattformen och riktlinjer för prioriteringar från 1997; Lagen för läkemedelsförmåner från 2002; samt Socialstyrelsens arbete med ovanliga diagnoser.

Vår analys är inte avgränsad till sär läkemedel och vi argumenterar för att det är mer relevant att diskutera principer för prioritering av läkemedel i allmänhet vid sällsynta tillstånd än principer avgränsade till sär läkemedel.

2.1 Begrepp, definitioner och avgränsning

Begreppen *sällsynta* respektive *ovanliga sjukdomar/diagnoser* brukar användas som kollektiva termer för sjukdomar med låg förekomst och hög svårighetsgrad. Vi finner att sjukdom/diagnos/tillstånd används överlappande i olika dokument som vi refererar till.

Man uppskattar att det för närvarande finns mellan 5 000 och 8 000 olika sällsynta sjukdomar.² Totalt drabbar sällsynta sjukdomar mellan 6 och 8 procent av befolkningen inom EU under deras livstid. Trots att varje enskild sällsynt sjukdom karakteriseras av en låg prevalens, är det totala antalet personer som drabbas av sällsynta sjukdomar i EU uppskattat till mellan 29 och 36 miljoner. De flesta av dessa personer lider av mycket sällsynta sjukdomar, som drabbar högst 1 person per 100 000 invånare.

I Europaparlamentets och rådets förordning nr 141/2000 om sär läkemedel använder man begreppet sällsynt tillstånd – *rare condition* och avser med det en förekomst på under 5 per 10 000 invånare.

Socialstyrelsen har i ett uppdrag gällande en nationell plan för sällsynta diagnoser, definierat sällsynthet som något som drabbar

² Europeiska rådet 2009.

färre än 1 på 10 000 eller 950 svenskar³. Dessa innefattar framför allt genetiska sjukdomar, sällsynta cancerformer, auto-immuna sjukdomar, kongenitala missbildningar, toxiska sjukdomar eller infektionssjukdomar^{4 5}. Tillstånden är i många fall livshotande eller kroniskt försvagande. Detta innebär att för Sveriges del avses med sällsynta sjukdomar en snävare grupp sjukdomar än de som kan vara aktuella för regelverket kring särläkemedel.

I rapporten gör vi tre förtydliganden. För det första använder vi begreppet *tillstånd* (jfr eng. *condition*) i stället för diagnos/sjukdom⁶. Vi anser att tillstånd är mest korrekt att använda eftersom sjukdom kan vara ett alldeles för vitt begrepp. Det är inte ovanligt att ett läkemedel endast används vid ett visst avgränsad tillstånd vid ett visst skede av sjukdomen. I många fall är det dock inte någon skillnad mellan antalet patienter som har ett visst tillstånd och det antal som har sjukdomen. Vidare förekommer hälsofrämjande insatser riktade till grupper som ännu inte är sjuka men kan ha en ökad risk för sjukdom. Då är det mer passande att använda begreppet tillstånd.

För det andra är läkemedelsbehandling enbart en av flera behandlingsformer och är oftast inte aktuell för samtliga individer med ett visst tillstånd, vare sig den är sällsynt eller ej. Det innebär att en patientgrupp med ett sällsynt tillstånd kan inrymma fler individer aktuella för behandling med ett visst läkemedel än ett mindre ovanligt tillstånd där läkemedelsbehandling kan vara aktuellt för endast en liten del av individerna. Ur ett läkemedels- och prioriteringsperspektiv är det därför ofta mer relevant att diskutera med utgångspunkt från det antal patienter som är tänkbara för behandling utifrån rent medicinska ställningstaganden och inte antalet patienter med ett visst tillstånd/sjukdom utan hänsyn till om det aktuella läkemedlet kan vara en tänkbar behandling för dem eller ej.

³ Socialstyrelsen. Ovanliga diagnoser. Organisationen av resurser för personer med ovanliga diagnoser. Stockholm 2010. ISBN 978-91-86585-41-9.

⁴ Socialstyrelsens kunskapsdatabas om ovanliga diagnoser.

<http://www.socialstyrelsen.se/ovanligadiagnoser>

⁵ Orphanet. Inserm samt EU-kommissionen (20102206).

<http://www.orphanet.se/national/SE-SV/index/om-sallsynta-diagnoser/>

⁶ Eftersom många läsare kan uppfatta ”sällsynta tillstånd” allt för abstrakt har vi på några ställen i rapporten valt att använda begreppet sällsynta sjukdomar i rapporten i syfte att öka läsbarheten.

För det tredje är det viktigt att skilja mellan läkemedelsbehandling i allmänhet vid dessa tillstånd och det särskilda regulatoriska begreppet sär läkemedel. För sällsynta tillstånd är det viktigt att beskriva förekomst (befintliga och nytillkomna fall) för att kunna diskutera organisation av vård för att ge denna patientgrupp tillgång till utredning, behandling, uppföljning och vetenskaplig utvärdering. Det innebär i många fall ett behov av att samla vården av små patientgrupper till centra med specialkunnande.

Särskild uppmärksamhet vid beslut om införande av nya metoder i vården i allmänhet kan vara befogad för grupper med sällsynta och svåra sjukdomar. Sådana beslut om subventionering av vård för sällsynta sjukdomar inbegriper i princip beslut kring alla typer av läkemedel och även andra åtgärder i hälso- och sjukvården och bör inte vara begränsat till enbart läkemedel med sär läkemedelsstatus.

Begreppet sär läkemedel avser en procedur kring marknadsgodkännande samt marknadsexklusivitet och är kopplat till hur ovanligt tillståndet är, inte hur många av individerna som kan vara aktuella för behandling. För prioriteringsöverväganden är det alltså i princip inte intressant om läkemedlet i sig är ett sär läkemedel utan hur många individer som är tänkbara för behandling, annars missgynnas patienter med vanligare tillstånd men där endast en mindre grupp av dessa är aktuella för behandling med ett läkemedel.

I detta sammanhang avgränsar vi oss till läkemedel eftersom andra typer av medicinska teknologier ännu inte är föremål för en rutinmässig nationell granskning och prioritering.

2.2 Övergripande utgångspunkter från lagar och EU-direktiv

2.2.1 Europeiska unionens råds rekommendation till medlemsstaterna

Enligt Europarådets rekommendation är det angeläget att de övergripande värdena allmängiltighet och tillgång till vård av god kvalitet, rättvisa och solidaritet värnas för patienter med sällsynta tillstånd. Rådet menar vidare att på grund av den låga prevalensen för varje enskilt tillstånd, men att gruppen patienter som är drabbade av dessa tillstånd totalt är relativt stor, krävs en övergripande ansats grundad på särskilda och kombinerade insatser för att förhindra

hög sjuklighet eller för tidig död och för att förbättra de drabbade personernas livskvalitet och samhällspotential. En del i en sådan strategi gäller att sörja för tillgång till verksamma läkemedel. Det ska bland annat kunna ske genom ökat samarbete inom EU och gälla t.ex. bedömningsrapporterna om sär läkemedels terapeutiska värde. Därmed ska medlemsländernas prissättning kunna påskyndas och patienterna tidigare få tillgång till sär läkemedel.

I rådets rekommendation framkommer inga ställningstaganden som rör hur sär läkemedel ska prioriteras i förhållande till andra läkemedel eller andra behandlingar riktade till sällsynta eller svåra sjukdomar.

2.2.2 Den svenska etiska plattformen för prioriteringar

Filosofier, etiker, ekonomer och beslutsfattare diskuterar ofta hur en rättvis fördelning av samhällets resurser skulle kunna se ut. Denna etiska argumentation kan ta sig uttryck i formulerandet av olika etiska principer för hur en sådan fördelning bör se ut för att vara etiskt acceptabel. I Sverige har detta resulterat i den etiska plattform för hälso- och sjukvården som formulerades av Prioriteringsutredningen och låg till grund för den lagstiftning som Sveriges riksdag beslutade om år 1997 (Socialdepartementet 1996). De principer som ingår i plattformen ska användas vid all prioritering i hälso- och sjukvården. Den etiska plattformen innehåller tre etiska principer; människovärdesprincipen, behovs-solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen. Vi återkommer med en utförligare presentation av dessa principer i Kapitel 4.

2.2.3 Lag om läkemedelsförmåner

En annan central utgångspunkt vid prioritering av läkemedel för sällsynta tillstånd är den lag som reglerar TLV:s uppdrag rörande beslut om vilka läkemedel som ska omfattas av förmånssystemet, Lag (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. (Socialdepartementet 2002).

”8 § Den som marknadsför ett läkemedel eller en vara som avses i 18 § får ansöka om att läkemedlet eller varan ska ingå i läkemedelsförmånerna enligt denna lag. Sökanden ska visa att villkoren enligt

15 § är uppfyllda och lägga fram den utredning som behövs för att fastställa inköpspris och försäljningspris. Lag (2009:373).

...

15 § Ett receptbelagt läkemedel ska omfattas av läkemedelsförmånerna och inköpspris och försäljningspris ska fastställas för läkemedlet under förutsättning

- 1. att kostnaderna för användning av läkemedlet, med beaktande av bestämmelserna i 2 § hälso- och sjukvårdslagen (1982:763), framstår som rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter, och*
- 2. att det inte finns andra tillgängliga läkemedel eller behandlingsmetoder som enligt en sådan avvägning mellan avsedd effekt och skadeverkningar som avses i 4 § läkemedelslagen (1992:859) är att bedöma som väsentligt mer ändamålsenliga. Lag (2009:373)”*

Själva lagen ger ingen vägledning om hur sällsynta och svåra tillstånd ska hanteras förutom att den hänvisar till 2 § i hälso- och sjukvårdslagen. Tolkningen av denna har ålagts TLV och andra myndigheter genom utarbetande av en praxis som prövats i domstol vid ett flertal tillfällen.

2.2.4 Exempel på två beslutsärenden

Nedan ges två exempel på beslut av TLV rörande läkemedel för behandling av svåra sällsynta tillstånd. I det första fallet saknas fullgott underlag. Myndigheten har ändå på grund av tillståndets stora svårighetsgrad valt att bifalla ansökan. I det andra fallet finns ett underlag som även omfattar en hälsoekonomisk utvärdering. Trots stor svårighetsgrad har TLV avslagit ansökan med hänvisning till en mycket hög kostnad per hälsovinst.

Ventavis

TLV fattade år 2004 beslut om sär läkemedlet iloprost (Ventavis) vid behandling av primär pulmonell arteriell hypertention (PAH) i funktionsklass III (högt tryck i lungkretsloppet⁷). PAH karaktäriseras av tilltagande tilltäppning av lungkärlsbädden, vilket på sikt leder till progressiv högerhjärtkammarsvikt och död. Prognosen vid PAH är allvarlig med en medianöverlevnad på omkring tre år. Dödsorsaken har i de flesta fall ett samband med ökning av trycket i lungartären, trycket i högra hjärthalvan och en minskning i hjärtats förmåga att pumpa ut blodet.

Ventavis ansågs vara lämpligt som behandlingsalternativ vid en livshotande sjukdom av hög angelägenhetsgrad. TLV konstaterade i sitt beslut om förmån för Ventavis att det saknades hälsoekonomiskt underlag i detta ärende⁸. Vidare framgår: *”Det begränsade antalet patienter innebär att det kan bli svårt att redan vid registreringen av ett sär läkemedel som Ventavis få fram fullgod dokumentation. För ett sär läkemedel får man godta lägre standard på dokumentationen, vilket gör det svårt att värdera läkemedlet.”* (Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket 2004)

I detta fall begärde TLV att företaget skulle komma in med ytterligare information vad gäller kliniska aspekter.

Cerezyme

I ett omprövningsbeslut om ett läkemedel, imiglukeras (Cerezyme), riktat till patienter med en sällsynt och svår sjukdom (Gauchers sjukdom) har TLV tagit sin utgångspunkt i prioriteringspropositionen från 1997⁹. Cerezyme har funnits på marknaden sedan 1997, dvs. inom förmånen genom beslut av dåvarande Riksförsäkringsverket innan sär läkemedelsföreskriften började gälla och har därmed aldrig fått sär läkemedelstatus. Frågan om Cerezymes förmånsstatus lyftes i en av de genomgångar av det befintliga läkemedelsortimentet som TLV initierat.

⁷ Ekmechag B. Primär arteriell hypertention. *Läkartidningen* 2009;34:2057-61.

http://www.lakartidningen.se/store/articlepdf/1/12438/LKT0934s2057_2061.pdf

⁸ http://www.tlv.se/Upload/Beslut/BES_041110_Ventavis.pdf

⁹ <http://www.tlv.se/beslut/beslut-lakemedel/avslag-uteslutningar/vi-beslutar-att-cerezyme-inte-ska-inga-i-hogkostnadsskyddet/>

TLV resonerar i sitt beslut kring människovärdesprincipen och konstaterar att den föreskriver vad man inte får ta hänsyn till vid prioriteringar. Dit hör om en sjukdom är vanlig eller sällsynt i befolkningen eller om den förekommer i större utsträckning hos män eller kvinnor. Förekomsten i sig kan inte vara grund för prioritering, däremot ska människor ges likvärdiga förutsättningar och kvalitet på vården. Var man bor eller om en sjukdom är sällsynt eller vanlig ska inte styra tillgängligheten.

TLV framhåller att Hälso- och sjukvårdslagens förarbeten trycker på att vårdens resurser i första hand ska gå till de med de svåraste sjukdomarna och sämsta livskvaliteten. Vidare att behoven hos de svagaste ska beaktas:

”Innebörden av behovs- och solidaritetsprincipen är att om prioriteringar måste ske bland effektiva åtgärder ska mer av vårdens resurser ges till de mest behövande med de svåraste sjukdomarna och de med den sämsta livskvaliteten. Solidaritet innebär också att särskilt beakta behoven hos de svagaste. Hit hör exempelvis barn, åldersdementa, medvetlösa och andra som har svårt att kommunicera med sin omgivning. Det sagda gäller även om konsekvenserna då kan bli att alla inte får sina behov tillgodosedda.” (Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket 2012a)

”Kostnadseffektivitetsprincipen innebär att man vid valet mellan olika verksamhetsområden eller åtgärder eftersträvar en rimlig relation mellan kostnaderna i form av insatta resurser av olika slag och effekt mätt i förbättrad hälsa och förhöjd livskvalitet.” (Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket 2012a)

Här kan det finnas en diskrepans mellan prioriteringspropositionen och lagen om läkemedelsförmåner. Det handlar om hur den lexikala ordningen mellan principerna i propositionen ska tolkas när det gäller att balansera kostnadseffektivitet mot svårighetsgrad (behov) och ta hänsyn till resursfördelningen mellan olika verksamhetsområden. Förarbetet till Lagen om läkemedelsförmåner är tydlig på den punkten:

”Grundtankarna i förmånssystemet är att samhällets kostnader för läkemedel ska stå i rimlig proportion till den nytta de tillför och att läkemedelskostnaderna inte får medföra att utrymmet för annan angelägen sjukvård minskar. Det innebär att tillgängliga resurser skall användas där de gör bäst samlad nytta och att kostnaden för en viss insats får vägas mot nyttan av insatsen jämfört med kostnad och nytta

om resurserna används på annat sätt. Det innebär att man vid begränsade resurser kan tvingas göra prioriteringar. Kravet på kostnadseffektivitet bör generellt ställas högre vid mindre angelägna sjukdomstillstånd än vid mer angelägna.” (Socialdepartementet 2001)

I läkemedelsförmånslagen fastslås ”att kostnaderna för användning av läkemedlet, med beaktande av bestämmelserna i 2 § hälso- och sjukvårdslagen (1982:763), framstår som rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter” vilket öppnar för att läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar även bör värderas ur ett samhällsekonomiskt perspektiv.

Trots att förarbetena till lagen ger TLV möjlighet att beakta sjukdomens svårighetsgrad i sitt beslut, och att myndigheten också vägt in det i sitt ställningstagande, beslutade TLV att avslå ansökan på grund av att kostnaden per hälsovinst är alltför hög med hänvisning till att resurserna kan användas mer ändamålsenligt i andra delar av hälso- och sjukvården:

”TLV bedömer att kostnaden per vunnen QALY för behandling med Cerezyme av en vuxen patient vid dosering enligt produktresumén, jämfört med symptomlindrande behandling utan enzymsättnings- eller substratreduceringsterapi, är minst 10 miljoner kronor. Beräkningar som TLV gjort med halv dosering (30 E/kg) ger en kostnad på minst 4 miljoner kronor per vunnen QALY. Företaget har inte haft några invändningar mot dessa beräkningar.

TLV kan konstatera att till det pris Cerezyme har idag inom läkemedelsförmånerna blir kostnaden per QALY flera gånger högre än den kostnad TLV tidigare accepterat.” (Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket 2012a)

TLV finner alltså vid en samlad bedömning att Cerezyme inte uppfyller förutsättningarna i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. för att få ingå i läkemedelsförmåner. I detta fall har TLV trots att patientgruppen är liten ändå haft ett underlag som möjliggjort en uppskattning av behandlingens patientnytta och beräkning av kostnadseffektivitet. Företaget har inte heller haft några invändningar mot denna beräkning. Däremot finner TLV att kostnaden per hälsovinst vida överstiger den gräns TLV tidigare tagit ställning för är rimlig även med hänsyn till att det rör sig om en svår sjukdom. När behandlingen aktualiseras är patienterna relativt opåverkade men sjukdomen kan om den förblir obehandlad på sikt leda till svåra tillstånd.

Företaget Genzyme överklagade TLV:s beslut att utesluta läkemedlet Cerezyme ur förmånssystemet till Kammarrätten i Stockholm och i samband med överklagandet begärde företaget även inhibition, dvs. att ikraftträdandet av TLV:s beslut skulle skjutas upp tills domstolen slutligen beslutat i ärendet. Kammarrätten accepterade företagets överklagande och från den 25 maj 2012 inhiberades TLV:s beslut.

Kammarrätten meddelade sedermera sitt slutliga beslut i ärendet den 10 oktober 2014 (Kammarrätten i Stockholm 2014). Frågan i målet är om TLV har haft grund för att utesluta Cerezyme ur läkemedelsförmånerna med hänvisning till att läkemedlet inte kan anses kostnadseffektivt till det nuvarande priset. Domstolen tog inte ställning till frågan om kostnadseffektivitet men avslog TLV:s överklagande med hänvisning till att myndigheten skulle kunna handlagt ärendet på ett annat sätt.

I domslutet framgår dock att med hänsyn till sjukdomens svårighetsgrad och att det inte finns något reellt behandlingsalternativ inom förmånssystemet är det angeläget att Cerezyme även fortsättningsvis omfattas av förmånssystemet. Vidare skriver domstolen att Cerezyme inte kan anses kostnadseffektivt till vilket pris som helst. TLV har valt att inte överklaga domen.

3 Principer för prioritering av behandlingar vid sällsynta tillstånd i andra länder – exempel från England, Wales och Skottland

Frågan om och hur nya läkemedel för sällsynta tillstånd ska hanteras är aktuell i flera andra europeiska länder, men i få länder har man öppet diskuterat och bestämt principer för hur de ska prioriteras. Genom etableringen av The National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) i slutet på 1990-talet håller England och Wales på att bygga upp ett relativt transparent system för utvärdering och prioritering av nya metoder inklusive läkemedel. Där har även debatten om prioritering av särskilda läkemedel varit livlig. Skottland, som har ett eget system för prioritering av nya läkemedel, är det andra exemplet vi tar upp.

3.1 NICE och hantering av sälläkemedel i England och Wales

När NICE för några år sedan fick i uppdrag att föreslå en rutin för sälläkemedel, framkom att de flesta ärenden som inkommit för granskning, kunnat hanteras inom ramen för NICE:s ordinarie utvärderingsmetodik. Flertalet av de sälläkemedel som NICE ansåg varit möjliga att utvärdera används för patientgrupper med sjukdomar som inte är extremt sällsynta. NICE drog därför slutsatsen att det inte finns behov av förändringar vid handläggning av läkemedel med en prevalens högre än 1 per 50 000 invånare vilket motsvarar en gräns på drygt 1 000 patienter i England och Wales. Motsvarande gräns i Sverige skulle vara cirka 200 patienter. Däremot konstaterade NICE att det finns speciella problem förknippade med att utvärdera de läkemedel som används för behandling av mycket sällsynta tillstånd, så kallade "ultra orphan drugs". Bristen på solida vetenskapliga underlag är en aspekt som togs upp, en annan är behovet av andra kriterier vid godkännande av läkemedel för sällsynta tillstånd. Bland annat i ett PM från NICE (DRAFT v3 Appraising Orphan Drugs¹⁰) föreslog institutet 2006 en särskild procedur för granskning och beslut för sälläkemedel.

Institutet konstaterade även att med ett betydligt högre kostnadstak för vad som ska betraktas som kostnadseffektivt så kommer vissa produkter att ha ett allt för högt pris för att uppfattas som rimligt. NICE föreslog att Hälsodepartementet ska ges möjlighet att förhandla med det sökande företaget med syfte att undersöka förutsättningarna att uppnå ett acceptabelt pris i linje med ett fastställt övre kostnadstak (pund per QALY). När så är fallet skulle produkten återremitteras till NICE för fortsatt handläggning enligt en särskild procedur.

I PM:et ges förslag på kriterier som bör gälla för en särskild handläggning:

- tillståndet ska ha en prevalens under 1 per 50 000 invånare,
- produkten kan användas endast för *ett* sällsynt tillstånd. Om den kan användas för flera tillstånd ska den sammanlagda prevalensen underskrida 1 per 50 000,

¹⁰ Appraising Orphan Drugs, Draft v3 (2006), National Institute for Health and Clinical Excellence. <http://www.nice.org.uk/niceMedia/pdf/smt/120705item4.pdf>.

- tillståndet ska vara kroniskt, medföra svår funktionsnedsättning eller vara livshotande,
- produkten ska potentiellt användas för långtidsbruk,

Den rådgivande kommittén ska ägna särskild uppmärksamhet åt:

- om produkten ger, eller skulle rimligen kan förväntas ge, betydande hälsofördelar (betydande minskning av funktionshinder, eller ökad livslängd) för patienter som erhåller behandling,
- om endast undergrupper av patienter troligen gynnas och i så fall vilka,
- vilka kontrollsystem och uppföljningssystem som bör rekommenderas,
- de omständigheter som bör föreligga när behandlingen ska avbrytas på grund av bristande effekt (eller av säkerhetsskäl),
- kostnadseffektivitet.

I juli 2012 beslutade Englands hälsominister att ge NICE uppdraget att utveckla en särskild process för att utvärdera och ta fram riktlinjer för läkemedel till sällsynta tillstånd.¹¹ *”Giving this role to NICE, from April 2013, will create an impartial and robust mechanism for providing independent recommendations on which drugs the NHS Commissioning Board should commission as part of its new role of national commissioner for specialised services.”*

I maj 2013 publicerade NICE ett PM med titeln ”Interim Process and Methods of the Highly Specialised Technologies Programme”, vilket redovisar hur teknologier för behandling av mycket sällsynta tillstånd kommer att handläggas. I detta konstateras att:

“Given the very small numbers of patients living with these very rare conditions a simple utilitarian approach, in which the greatest gain for the greatest number is valued highly, is unlikely to produce guidance which would recognise the particular circumstances of these very rare conditions. These circumstances include the vulnerability of very small patient groups with limited treatment options, the nature and extent of

¹¹ <https://www.nice.org.uk/news/article/nice-to-assess-high-cost-drugs-for-rare-conditions>

the evidence, and the challenge for manufacturers in making a reasonable return on their research and development investment because of the very small populations treated.” (NICE 2013)

Det första exemplet på utvärdering i England avser läkemedlet eculizumab (Soliris) och publicerades för en så kallad konsultation i mars 2014. Läkemedlet används för behandling av paroxysmal nattlig hemoglobinuri (PNH), som är en livshotande genetisk sjukdom som kännetecknas av ett ständigt sönderfall av de röda blodkropparna (hemolys). Sjukdomen drabbar främst unga människor i arbetsför ålder och har en stark negativ påverkan på hälsorelaterad livskvalitet. I september 2014 fattade NICE ett interimistiskt beslut att rekommendera användning. NICE anför att tillgängliga bevis och vittnesmål från läkare och patienter, familjer och vårdare, gör det tydligt att Soliris är ett betydande genombrott i behandlingen. Läkemedlet ger patienter med sjukdomen möjlighet att undvika njursvikt med påföljande behov av dialys och njurtransplantation. Cirka 200 patienter förväntas bli aktuella för behandling.

De totala kostnaderna för läkemedlet är beräknat till 58 miljoner pund (668 miljoner kronor) under det första året. Efter fem år förväntas kostnaden uppgå till 82 miljoner pund (945 miljoner kronor). På grund av läkemedlets höga totala kostnader innehåller utkastet till riktlinjer villkor som ska vara uppfyllda för att finansiering ska bli aktuell. Dessa inkluderar bland annat krav på att samordna användningen av Soliris via utsedda expertcentrum och att införa system för övervakning av hur många som diagnostiseras med sjukdomen, hur många som får läkemedlet, vid vilken dos och hur länge behandlingen pågått. Utan att det definitiva beslutet från NICE är annonserat kan det preliminära beslutet tyda på att institutet accepterar en betydligt högre kostnad per QALY för detta läkemedel än vad som tidigare varit fallet i England. Detta med tanke på den höga kostnaden på omkring 5 miljoner kronor per QALY som TLV har beräknat kommer att gälla i Sverige (se nedan). Den kända beräknade genomsnittliga årskostnaden per patient vid underhållsbehandling i England är för närvarande 3,8 miljoner kronor dvs. något högre än beräknad årskostnad i Sverige.

Frågan om användning av Soliris är även aktuell i Sverige. NLT gruppen rekommenderade landstingen år 2010 att som regel inte använda Soliris för behandling av PNH vid den prisnivå som gällde

då. Om behandling ändå bedöms oundgänglig, rekommenderas landstingen följa de nationella riktlinjer för diagnostik, behandling och uppföljning som finns. På uppdrag av NLT utarbetade TLV år 2012 fram ett hälsoekonomiskt underlag rörande Soliris. Enligt TLV:s utvärdering är nettokostnaden 3,4 miljoner kronor per patient och år. TLV bedömer att den mest troliga kostnaden per QALY för behandling är omkring 5 miljoner kronor (Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket 2012b).

3.2 Scottish Medicines Consortium

Scottish Medicines Consortium (SMC) utvärderar sär läkemedel i stort sett på samma sätt som alla andra läkemedel. Det finns dock vissa undantag. När det gäller sär läkemedel kan SMC utöver klinisk effekt och kostnadseffektivitet väga in ytterligare faktorer (*modifiers*) i beslutet. Särskilda villkor gäller för att acceptera större osäkerhet i den hälsoekonomiska beräkningen respektive en högre kostnad per hälsovinst (QALY).

Större osäkerhet i den ekonomiska analysen

SMC kräver att alla inlagor i ansökan är heltäckande och att alla delar av produktutvärderingen är kompletta. Detta krav finns även för sär läkemedel, för vilka ett meningsfullt försök att presentera robusta kliniska och ekonomiska data måste framgå. SMC medger att sär läkemedel, å ena sidan kan ha mindre omfattande kliniska prövningsprogram och därför mindre information än vanligt om t.ex. effekt och säkerhet. Å andra sidan kan kraven ställas högre på andra delar av ansökan t.ex. kan en mer detaljerad beskrivning av relevansen av surrogatmarkörer och den teoretiska grunden för deras val, relaterat till livskvalitetsdata efterfrågas.

Villkor för att acceptera en högre kostnad per QALY

SMC redovisar inget uttalat tröskelvärde för kostnad per QALY under vilket kostnadseffektiviteten anses visad, och över vilket kostnadseffektivitet inte anses ha visats. Kostnaden per QALY

utgör endast en del av en mer omfattande bedömning av värdet av ett nytt läkemedel. Om kostnaden per QALY är relativt hög, kan andra faktorer också spela roll i SMC:s bedömning och ändra det slutliga beslutet. Dessa faktorer eller modifierare inkluderar (men är inte begränsat till):

- Bevis på en väsentlig förbättring av förväntad livslängd (med tillräcklig livskvalitet att göra extra överlevnad önskvärd). Som en väsentlig förbättring av den förväntade livslängden anges vanligen en medianvinst på tre månader men SMC tar hänsyn till sammanhanget i sitt beslut;
- Bevis på en avsevärd förbättring av livskvalitet (med eller utan överlevnad);
- Bevis för att en undergrupp av patienter kan erhålla särskild eller extra nytta och att läkemedlet i fråga i praktiken kan inriktas på denna undergrupp;
- Avsaknad av andra terapeutiska alternativ med bevisad nytta för tillståndet i fråga som tillhandahålls av Skottlands hälso- och sjukvård;
- Behandlingen kan förväntas utgöra en brygga till en annan verksam terapi (t.ex. benmärgstransplantation eller kirurgi) för en definierad andel av patientgruppen;
- Framtagning av ett registrerat läkemedel som ersättning för en oregistrerad behandling som är etablerad i klinisk praxis och som är det enda terapeutiska alternativet för en specifik indikation.

Dessa särskilda faktorer tillämpas endast för en relativt hög kostnad per QALY när kommittén är övertygad om att den kliniska och ekonomiska utvärderingen av läkemedlet är robust. SMC har även infört en särskild handläggningsordning för *ultra-orphan medicine* med särskilda kriterier.¹²

Vi konstaterar att England, Wales och Skottland, som har ett väl utvecklat system för granskning och beslutsfattande kring nya medicinska metoder, har valt en ordning där fler aspekter vägs in på

¹² https://www.scottishmedicines.org.uk/files/PACE/PACE_Overview_Document_FINAL.pdf

ett explicit sätt vid prioritering av läkemedel för behandling av sällsynta tillstånd jämfört med läkemedel i allmänhet. Om vissa egenskaper hos patientgruppen och behandlingen är uppfyllda kan en högre kostnad per QALY accepteras. Vi vet ännu inte i detalj hur dessa länder kommer att tillämpa sina kriterier i praktiken, men utifrån tidigare förslag kan vi notera att både England, Wales och Skottland förutom sällsynthet lyfter fram att behandlingen ska ge betydande hälsofördelar, det vill säga leda till en väsentlig hälsoförbättring. Vidare hänvisar SMC i Skottland till avsaknad av en alternativ behandling. Avsaknad av ett reellt behandlingsalternativ i kombination med hög svårighetsgrad är något som även kammarrätten i Stockholm tar upp i sitt beslut avseende läkemedlet Cerezyme.

4 Den etiska grunden för särbehandling av läkemedel vid subventionsbeslut

Utifrån de redovisade exemplen från England, Wales och Skottland kommer vi fram till följande stegvisa gång för att avgöra när ett högre tröskelvärde för kostnadseffektivitet (eller enklare uttryckt en hög kostnad per QALY), än vad som gäller i normalfallet, ska kunna accepteras. Det förutsätter att ett antal kriterier är uppfyllda. Dessa kriterier är:

- att behandlingen har en hög kostnad per hälsovinst som en konsekvens av att den omfattar endast få patienter,
- att det rör sig om ett tillstånd med mycket hög svårighetsgrad,
- att det behandlingsalternativ som övervägs på goda grunder antas ha en väsentlig effekt,
- att det inte finns någon alternativ behandling med en väsentlig effekt som förväntas förebygga, bota, fördröja försämring eller lindra det aktuella tillståndet.

När dessa kriterier är uppfyllda kan läkemedlet *bedömas* i relation till ett förhöjt tröskelvärde för kostnadseffektivitet. I detta kapitel analyserar vi om dessa föreslagna kriterier för särbehandling av läkemedel vid sällsynta sjukdomar har stöd i den etiska plattformen för prioriteringar, den grund som riksdagen har fastslagit ska gälla

för alla prioriteringar inom svensk hälso- och sjukvård. Om vi inte finner ett sådant stöd måste det övervägas om dessa kriterier ska modifieras eller om det snarare är den etiska plattformen som behöver utvecklas eller modifieras. Kapitlet inleds med en fördjupad presentation av den etiska plattformen.

4.1 Den etiska plattformen för prioriteringar

Den etiska plattformen för prioriteringar föregicks av prioriteringsutredningen (Socialdepartementet 1995) vars slutsatser omarbetades något i den proposition som låg till grund för förändringar i hälso- och sjukvårdslagen 1997. Den presentation och tolkning som ges av plattformen i detta sammanhang utgår huvudsakligen från propositionen (Socialdepartementet 1996).

4.1.1 Människovärdesprincipen

Som en överordnad princip i den etiska plattformen finner vi människovärdesprincipen som formuleras på följande sätt: *”Alla människor har lika värde och samma rätt oberoende av personliga egenskaper och funktioner i samhället”*. (Socialdepartementet 1996)

Principen i sig säger inget mer om vad som avses med personliga egenskaper och funktioner i samhällen, men i propositionen görs följande tolkning: *”Att respektera någons människovärde innebär att man alltid och under alla förhållanden betraktar och behandlar människan som den hon är i sig och inte i egenskap av det hon har eller gör. Människovärdet innebär att alla människor har vissa fundamentala rättigheter (rätt till liv, frihet, personlig säkerhet och ett värdigt liv) som skall respekteras och att i dessa avseenden är ingen förmer än någon annan.”* (Socialdepartementet 1996)

Vidare sägs att: *”Det är viktigt att slå fast att begåvning, social ställning, inkomst, ålder etc. inte får avgöra vem som skall få vård eller kvaliteten på vården.”* (Socialdepartementet 1996)

I en vidare tolkning av människovärdesprincipen sägs att: *”Det är en form av diskriminering och oförenligt med de etiska principerna att generellt låta behoven stå tillbaka på grund av ålder, födelsevikt, livsstil eller ekonomiska och sociala förhållanden. Däremot är det förenligt med de etiska principerna att i det enskilda fallet ta hänsyn*

till omständigheter som begränsar nyttan av medicinska åtgärder.”
(Socialdepartementet 1996)

I propositionen görs bedömningen att det är oförenligt med människovärdesprincipen att prioritera på basis av social status, ekonomisk ställning, kronologisk ålder, om behoven uppkommit genom en negativ livsstil eller kan anses vara självförvållade.

Prioriteringsutredningen diskuterade dessa frågor utförligare än vad som görs i propositionen och gjorde en distinktion mellan kronologisk och biologisk ålder, där kronologisk ålder är den ålder som är kopplad till födelsedatum, medan biologisk ålder avgörs av organens och kroppen funktion. Människovärdesprincipen tillåter inte att man tar hänsyn till kronologisk ålder hos patienten eller att man tillämpar generella kronologiska åldersgränser vid prioriteringar, om inte den kronologiska åldern på ett systematiskt sätt är förknippad med en viss svårighetsgrad hos tillståndet eller omständigheter som begränsar eller påverkar effekten av en behandling.

En patients biologiska ålder i form av nedsatta fysiologiska resurser – som påverkar möjligheten att tillgodogöra sig åtgärder, eller som leder till att riskerna överväger nyttan eller leder till risk för mycket svåra komplikationer – kan dock vägas in. Likaså betonas i Prioriteringsutredningen att till exempel låg födelsevikt *i sig* inte får utgöra grund för prioritering (eller ransonering) utan att det måste göras en individuell bedömning av patientens förutsättningar att tillgodogöra sig de åtgärder som övervägs (Socialdepartementet 1995).

Att självförvållade skador och sjukdomar eller en skadlig livsstil skulle kunna ligga till grund för prioritering avvisas på grundval av skäl som att kunskapen om orsakssambanden mellan val/livsstil och sjukdom/skada saknades när patienten gjorde de val som kan ha orsakat sjukdomen/skadan eller att ärftliga faktorer kan påverka huruvida sjukdomen/skadan uppkommer. I Prioriteringsutredningen nämns ytterligare skäl som att det kan finnas sociala förhållanden som påverkar våra val och vår livsstil på ett sätt som vi inte kan ses som ansvariga för och att det är svårt att avgränsa vad som är en skadlig livsstil från icke-skadliga livsstilar (Socialdepartementet 1995).

Däremot kan livsstilen vägas in i det enskilda fallet när det bedöms om patienten kommer att ha nytta av åtgärden ifråga, givet patientens fortsatta livsstil. I propositionen slås det fast att i vissa

fall kan det vara motiverat att ställa krav på motprestationer när det gäller livsstil i relation till om en åtgärd ska erbjudas eller inte.

Propositionen avvisar att patientens ekonomiska ställning ska få spela roll för huruvida patienten kommer i åtnjutande av vård och omsorg eller inte. Man menar att patientens förmåga att kunna betala för sin vård inte får ha något inflytande på väntetidens längd eller vården medicinska kvalitet. Detsamma gäller patientens sociala ställning i samhället eller om patienten har vissa ansvarsförhållanden.

4.1.2 Behovs-solidaritetsprincipen

Behovs-solidaritetsprincipen säger att: *”resurserna bör fördelas efter behov”*. (Socialdepartementet 1996).

Enligt propositionen innebär principen att mer av hälso- och sjukvårdens resurser bör fördelas till dem som har de största behoven, i bemärkelsen de svåraste sjukdomarna och den sämsta livskvaliteten. Detta gäller även om inte alla får sina behov tillgodosedda. Det sägs att behovets storlek beror av sjukdomens svårighetsgrad men även av dess varaktighet. Samtidigt påpekas att man inte kan ha behov av det som man inte har nytta av, vilket kan ses som ett krav på att de åtgärder som används åtminstone ska ha någon form av minimieffekt.

I Prioriteringsutredningen kopplas behovs-solidaritetsprincipen till Hälso- och sjukvårdslagens portalparagraf där det sägs att målet för hälso- och sjukvården är en god hälsa och vård på lika villkor för hela befolkningen. Detta menar man är ett uttryck för solidaritet och syftar till att utjämna skillnader i tillgänglighet när det gäller vård, men även i utfall när det gäller hälsa och livskvalitet. Patienters olika förutsättningar när det gäller utgångsläge och möjlighet att tillgodogöra sig behandling omöjliggör dock en fullständig utjämning. I propositionen uttrycks detta som att solidaritetsaspekten av principen innebär en strävan efter så lika möjligheter till vård och ett så lika utfall när det gäller hälsa och livskvalitet som möjligt i samhället vilket uttrycks på följande sätt:

”Solidaritet innebär inte bara lika möjligheter till vård utan också en strävan att utfallet av vården skall bli så lika som möjligt, dvs. att alla skall nå bästa möjliga hälsa och livskvalitet.” (Socialdepartementet 1996)

Detta innebär att hälso- och sjukvården bör prioritera grupper som ligger längre från en god hälsa eller livskvalitet före grupper som redan har relativt god hälsa eller livskvalitet. Det är dock viktigt att betona att hälso- och sjukvården inte har ett ansvar för att utjämna allmänna livskvalitetsskillnader i samhället eller kompensera grupper för skillnader på andra områden (exempelvis socioekonomiska skillnader), utan att det handlar om att utjämna skillnader kopplat till den form av hälsa och livskvalitet som kan påverkas med vårdåtgärder. Ett sådant tänkande ligger väl i linje med principens behovsaspekt dvs. att prioritera det största behovet eftersom grupper med större behov ligger längre från ett jämlikt hälso- och livskvalitetsutfall.

Solidaritetsaspekten är även kopplad till att det är väsentligt att särskilt beakta behoven hos de svagaste grupperna som inte själva kan göra sin röst hörd. Det innebär dock inte automatiskt att dessa grupper ska få en högre prioritering utan endast att deras behov ska bedömas på samma sätt som för andra starkare grupper.

4.1.3 Kostnadseffektivitetsprincipen

Den tredje principen är kostnadseffektivitetsprincipen som säger: *”Vid val mellan olika verksamhetsområden eller åtgärder bör en rimlig relation mellan kostnader och effekt, mätt i förbättrad hälsa och höjd livskvalitet eftersträvas.”* (Socialdepartementet 1996)

I propositionen framgår att mycket svåra tillstånd ska gå före lindrigare tillstånd även om åtgärderna gentemot de förra är förknippade med förhållandevis högre kostnader. Propositionen lyfter vidare fram att man i bedömningen av kostnadseffektivitet även måste väga in negativa sidoeffekter av de åtgärder som bedöms. I propositionen betonas dock:

”Att verksamheten bedrivs kostnadseffektivt får däremot aldrig innebära att man underlåter att ge vård till eller försämrar kvaliteten av vården av döende, svårt och långvarigt sjuka, gamla, dementa,

utvecklingsstörda, gravt funktionshindrade eller andra som är i liknande situation.” (Socialdepartementet 1996)

Det sägs att principen endast bör tillämpas vid val av åtgärder i förhållande till samma sjukdom. Detta ställningstagande har modifierats i lagstiftningen som ligger till grund för beslut om att nya läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånen, där kostnadseffektiviteten använts för jämförelser mellan sjukdomar och ur ett samhällsligt perspektiv (Socialdepartementet 2001).

”Grundtankarna i förmånssystemet är att samhällets kostnader för läkemedel skall stå i rimlig proportion till den nytta de tillför och att läkemedelskostnaderna inte får medföra att utrymmet för annan angelägen sjukvård minskar. Det innebär att tillgängliga resurser skall användas där de gör bäst samlad nytta och att kostnaden för en viss insats får vägas mot nyttan av insatsen jämfört med kostnad och nytta om resurserna används på annat sätt. Det innebär att man vid begränsade resurser kan tvingas göra prioriteringar. Kravet på kostnadseffektivitet bör generellt ställas högre vid mindre angelägna sjukdomstillstånd än vid mer angelägna.” (Socialdepartementet 2001)

4.2 De föreslagna kriterierna i relation till den etiska plattformen

Eftersom riksdagen fattat beslut att den ovan redovisade etiska plattformen ska vara vägledande för hur prioriteringar görs inom svensk hälso- och sjukvård bör de kriterier som vi formulerat ovan kunna motiveras utifrån plattformen.

4.2.1 Människovärdesprincipen och särbehandling av sällsynta tillstånd

Det första kriteriet implicerar att en specifik patientgrupp, nämligen de patienter som lider av sällsynta tillstånd där behandlingen av det skälet blir förhållandevis dyrare, ska kunna särbehandlas inom det svenska läkemedelsförmånssystemet. Som människovärdesprincipen har formulerats kan den ses som uttryck för en likabehandlingsprincip (Statens Medicinsk-Etiska Råd 2013). Kan principen trots detta ge stöd för en sådan särbehandling?

Här måste vi ställa oss frågan, med avseende på *vad* kräver människovärdesprincipen likabehandling? Principen reglerar fördelningen av hälso- och sjukvårdsresurser (och inte fördelningen av andra resurser i samhället) och följaktligen är det sådant som dessa resurser kan påverka som personer bör behandlas lika med avseende på. Även om det inte sägs uttryckligen i människovärdesprincipen så är en rimlig tolkning att det som personer ska behandlas lika med avseende på är framförallt *fördelningen av hälsa och livskvalitet*. Detta stöds av behovs-solidaritetsprincipens innebörd om att vi bör eftersträva ett lika utfall när det gäller hälsa och livskvalitet. Människovärdesprincipen säger alltså att vi inte får särbehandla personer på ett sätt som kan påverka deras lika utfall av hälsa och livskvalitet inom hälso- och sjukvården. Dock, en följd av att se till att människor uppnår ett så lika utfall som möjligt och därmed inte diskrimineras med avseende på detta mål är att viss form av särbehandling accepteras även enligt människovärdesprincipen. Om exempelvis en viss ålder är förknippat med ett större behov eller med andra möjligheter att tillgodogöra sig behandling så kan det vägas in.

Skulle vi tillämpa samma tröskelvärden för kostnadseffektivitet, dvs. vad vi maximalt vill betala per hälsovinst (kronor/QALY), för grupper med sällsynta tillstånd där det (av det skälet) endast finns förhållandevis dyrare behandling, så innebär det att vi behandlar den gruppen på ett sätt som leder till att de inte kan närma sig ett lika utfall av hälsa och livskvalitet jämfört med andra motsvarande grupper. Om vi däremot accepterar högre tröskelvärden för denna grupp, så kan de uppnå ett mer lika utfall av hälsa och livskvalitet (under förutsättning att även andra kriterier är uppfyllda som vi ska se nedan). Följaktligen förefaller människovärdesprincipen tillåta att vi särbehandlar den grupp som lider av sällsynta tillstånd eftersom det möjliggör likabehandling av den gruppen jämfört med andra grupper som har mer vanliga tillstånd med avseende på det som likabehandlingen är väsentlig för, dvs. fördelningen av hälsa och livskvalitet.

Vår första slutsats är att människovärdesprincipen kan tillåta att sällsynta tillstånd som ger upphov till höga behandlingskostnader kan särbehandlas och därmed kan vårt första kriterium accepteras i enlighet med den etiska plattformen. Detta innebär dock inte auto-

matiskt att alla sällsynta tillstånd som ger upphov till höga behandlingskostnader bör särbehandlas.

Låt oss nu övergå och se vad de övriga principerna skulle kunna leda till för slutsatser huruvida de andra kriterier som vi föreslagit ovan kan accepteras.

4.2.2 Behovs-solidaritetsprincipen och kriterierna för särbehandling

Om människovärdesprincipen ses som en likabehandlingsprincip och framförallt säger något om vad vi inte får ta hänsyn till så ger behovs-solidaritetsprincipen vägledning kring vad vi bör ta hänsyn till och vad det är som ska fördelas så lika som möjligt – nämligen hälsa och livskvalitet. Vad behovs-solidaritetsprincipen säger är att:

- Vi (dvs. samhället) bör eftersträva att alla ges så lika möjligheter till vård som möjligt;
- Vi bör även eftersträva att alla ska uppnå ett så lika utfall av hälsa och livskvalitet som möjligt (vilket förutsätter att vi i första hand fokuserar på dem som ligger längst ifrån ett lika utfall – de med störst behov);
- För att vi ska kunna påverka utfallet när det gäller hälsa och livskvalitet krävs det att de åtgärder som används faktiskt kan påverka personer till att närma sig ett mer lika utfall, dvs. att dessa åtgärder har åtminstone någon minimieffekt på hälsa och livskvalitet. Detta uttrycktes ovan som att vi inte kan ha behov av det som vi inte har nytta av. Nedan diskuterar vi om plattformen även kan ge utrymme för att ställa krav på en *väsentlig* effekt.

Sällsynta tillstånd med mycket stor svårighetsgrad

Behovs-solidaritetsprincipen säger alltså att det är mer angeläget att ge vård till de som har stora behov än de som har små behov, eller uttryckt på ett annat sätt: Det är mer angeläget att se till att åtgärder till de med tillstånd med stor svårighetsgrad prioriteras i första hand för att de ska närma sig ett mer lika utfall än de som har tillstånd med mindre svårighetsgrad (eftersom dessa redan ligger

närmare detta lika utfall av hälsa och livskvalitet). På detta sätt kan vi alltså motivera det andra kriteriet om att det ska röra sig om tillstånd med mycket stor svårighetsgrad. Förutsättningen är att eftersom det finns begränsat med resurser, men också begränsningar i behandlingsalternativ, så kan inte alla hjälpas till lika utfall av hälsa och livskvalitet, alltså är det mer angeläget att i första hand hjälpa de som ligger längre ifrån en sådan nivå av hälsa och livskvalitet i befolkningen.

I regel rör det sig om svåra tillstånd när vi har att göra med särskilda läkemedel men det finns en betydande skillnad i svårighetsgrad mellan olika tillstånd och svårighetsgraden inom ett och samma tillstånd tenderar att variera under sjukdomsperioden som kan sträcka sig över ett helt liv. Här är det angeläget att värdera det aktuella tillståndet och prognos för framtida hälsa vid interventionstillfället dvs. när ett visst läkemedel är tänkt att sättas in.

Behandlingsalternativ med väsentlig effekt på det sällsynta tillståndet

Om vi har ett sällsynt tillstånd med stor svårighetsgrad och som därmed ligger långt från en normalnivå av hälsa och livskvalitet i samhället (dvs. från det lika utfall som enligt behovs-solidaritetsprincipen ska eftersträvas) kommer varje åtgärd som förbättrar detta tillstånd i riktning mot en sådan nivå rekommenderas utifrån den etiska plattformen så länge kostnaden inte bedöms vara för hög. Samtidigt ingår det i förutsättningarna för diskussionen i detta sammanhang att kostnaden för denna effekt kommer att vara mycket hög, vilket även innebär att alternativkostnaden är hög. Det finns alltså alternativa användningar av dessa resurser inom hälso- och sjukvården.

Eftersom vi tolkar den etiska plattformen så att det ska ske en avvägning mellan behovs-solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen så drar vi inte slutsatsen att ett mycket stort behov ska åtgärdas till vilket pris som helst. Hur ska då de åtgärder som bör erbjudas avgränsas från de åtgärder vi inte bör erbjuda? Vi kan dels betrakta kostnadseffektivitetskvoten och sätta en övre gräns för när denna inte längre är rimlig i relation till tillståndets svårighetsgrad och de omständigheter som fördyrar läkemedlet. Vi

kan även differentiera mellan olika åtgärder på basis av den effekt åtgärden har.

Genom att ställa krav på att läkemedel ska ha en väsentlig effekt för att kvalificera sig för en annan bedömning av kostnads-effektivitetens gränsvärde kan vi lyfta fram att effekten är en oberoende faktor att överväga.

Om vi accepterar mycket högre kostnadseffektivitetskvoter för sällsynta tillstånd innebär det att vi accepterar att den gruppen får en förhållandevis större andel av våra gemensamma resurser för att kunna uppnå ett lika utfall av hälsa och livskvalitet. Eftersom vi lägger vikt vid att utfallet för det sällsynta tillståndet ska ligga i linje med utfallet i normalbefolkningen, kan vi i viss mån acceptera en sådan ojämn resursfördelning mellan olika grupper. Om det är så att en åtgärd gör liten skillnad för att närma sig ett lika utfall, men trots det kräver förhållandevis stora resurser så är argumentet för att acceptera denna större relativa resursanvändning betydligt svagare. Följaktligen ställer vi krav på en väsentlig effekt i detta sammanhang.

Vår slutsats är alltså att det bör krävas en väsentlig effekt (i form av patientnytta t.ex. vunna QALYs) hos de behandlingsalternativ som övervägs för särbehandling när det gäller vilket tröskelvärde som accepteras för kostnadseffektiviteten hos behandlingen. Detta dels för att behandlingen reellt ska påverka patientgruppen att nå ett lika utfall av hälsa och livskvalitet som normalbefolkningen, dels eftersom alternativkostnaden för dessa behandlingar är hög och hälso- och sjukvården därmed kan tvingas välja bort andra behandlingar med stor effekt.

Sällsynta sjukdomar utan behandlingsalternativ med väsentlig effekt

Det fjärde kriteriet handlar om att det ska saknas behandlingsalternativ för att ett visst läkemedel med höga kostnader per hälsovinst ska kunna särbehandlas. Frågan är om även detta kriterium kan motiveras utan att komma i konflikt med den etiska plattformen? Innan vi granskar detta kriterium måste vi förtydliga vad vi menar med bristande behandlingsalternativ. Det måste tolkas som att det saknas alternativ som påverkar själva grundsjukdomen och dess konsekvenser. I relation till alla sjukdomstillstånd finns det alltid

alternativet att ge en god omvårdnad eller rent symtomlindrande (palliativ) behandling – men vid en fortskridande sjukdomsutveckling (vilket det ofta rör sig om i detta sammanhang) är palliativ behandling normalt endast verksam under en kortare period och påverkar inte i någon större utsträckning patientens livslängd. Effekten av denna symtomlindrande behandling kan påverkas negativt av vetenskapen om att det finns en aktivt syftande behandling av tillståndet. När vi bedömer huruvida det finns brist på alternativ måste det därför alltid övervägas om en symtomlindrande behandling kan ses som ett rimligt alternativ (McCabe et al. 2006; Largent och Pearson 2012). Kriteriet om alternativ behandling rör alltså om det finns behandling utöver den symtomlindrande behandlingen som påverkar det aktuella tillståndet.

Det är även väsentligt huruvida denna alternativa behandling har mer än marginell effekt på tillståndet ifråga, eller huruvida effekten tas ut av svåra biverkningar. Så kriteriet om alternativ behandling ska (förtydligt) tolkas som att det handlar om huruvida det finns en alternativ behandling som förväntas förebygga, bota, fördröja försämring eller lindra det aktuella tillståndet med en väsentlig effekt (och utan svåra biverkningar som tar ut denna effekt). Annars hamnar vi i den etiskt problematiska situationen att vi inte kan överväga ett behandlingsalternativ med god effekt för att det finns ett tidigare behandlingsalternativ med dålig effekt för tillståndet ifråga.

Ytterligare ett krav på en alternativ behandling är att den riktar sig till samma patientgrupp med det aktuella tillståndet och följaktligen är ett *alternativ* till den behandling som övervägs. Som vi sagt tidigare så kan det inom ett visst sjukdomspanorama finnas en mängd sällsynta tillstånd och bara för att det finns behandling för en sådan undergrupp så innebär det inte att en alternativ behandling existerar.

Skälet till att vi ställer krav på att det inte ska finnas andra behandlingsalternativ med väsentlig effekt är återigen den särbehandling som är aktualiserad och den alternativkostnad som är förknippad med en sådan särbehandling. Om gruppen med det sällsynta tillståndet redan har tillgång till alternativ behandling har de ju också möjlighet att närma sig ett liknande utfall som normalbefolkningen. I ett sådant fall är det mindre motiverat att acceptera

en hög alternativkostnad för att gruppen ska få ytterligare alternativ.

Vår slutsats är att i de fall det inte finns några (effektiva) behandlingsalternativ sedan tidigare kan ett nytt behandlingsalternativ alltså ge patientgruppen en mer jämlik möjlighet att uppnå hälsa och livskvalitet.

4.2.3 Kostnadseffektivitetsprincipen och särbehandling av sällsynta tillstånd

Vilken vikt som ska läggas vid kostnadseffektivitetsprincipen i relation till övriga principer har ju enligt ovan modifierats i lagen om läkemedelsförmåner och en rimlig tolkning förefaller vara att kostnadseffektivitetsprincipen ska balanseras mot de övriga två principerna. Detta uttrycks i att vi accepterar en högre betalningsvilja (högre kostnad per QALY) för åtgärder som riktar sig till svåra tillstånd. Det innebär dock inte att kostnadseffektiviteten kan överspelas på grund av överväganden utifrån de övriga principerna. Om vår ambition vore att ge alla patientgrupper ett så lika utfall av hälsa och livskvalitet som möjlighet skulle det innebära att vi inte drar någon gräns för vilka resurser som vi kan lägga på enskilda behandlingsalternativ. Detta skulle leda till att andra patientgruppers situation försämras (vilket resulterar i större jämlikhet med avseende på hälsa och livskvalitet men på en lägre nivå, en nivellering som den etiska plattformen inte tycks förespråka). Varje avsteg från kostnadseffektivitetsprincipen kommer också att innebära en mindre effektiv användning av sjukvårdsresurserna med avseende på folkhälsan. Att särbehandla sällsynta tillstånd och för dem acceptera högre tröskelvärden (högre kostnad per QALY) strider generellt mot accepterade beslutsregler hos t.ex. TLV där tillstånd med samma svårighetsgrad ska ges samma gränsvärden för vad som kan anses acceptabelt att betala för att vinna en QALY. Vi har dock visat att den etiska plattformen kan ge visst utrymme för olika gränsvärden även om det rör sig om tillstånd med lika stor svårighetsgrad om det krävs för att ge olika patientgrupper möjlighet att uppnå ett mer likvärdigt utfall av hälsa och livskvalitet jämfört med andra sjukdomsgrupper och normalbefolkningen.

Även om ovanstående kriterier för särbehandling är uppfyllda innebär det endast att behandlingen kan bli föremål för en *bedöm-*

ning av om ett höjt tröskelvärde kan accepteras. Det innebär alltså inte automatiskt att behandlingen bör erbjudas eller att läkemedlet ska inkluderas i t.ex. läkemedelsförmånerna. Även med dessa kriterier uppfyllda och att det därmed finns skäl för särbehandling av behandlingen så bör beslutfattaren även i det läget komma fram till vad som är en rimlig relation mellan kostnader och effekt, dvs. vilket som är ett acceptabelt tröskelvärde i den specifika besluts-situationen.

4.3 Andra kriterier och principer som diskuterats i litteraturen

Det finns ytterligare förslag till kriterier och argument för och emot en särbehandling av sällsynta sjukdomar som vi diskuterar i vår tidigare rapport (Carlsson et al. 2012). Vi finner bland annat att de intuitioner som uttrycks i den så kallade ”*Rule of Rescue*” inte bidrar med några moraliskt relevanta aspekter som bör vägas in när det gäller sär-läkemedel eller behandling av sällsynta tillstånd. När vi betraktar vissa aspekter av ”*Rule of Rescue*” såsom hänsyn till identifierbarhet och ett mer absolut krav på insatser oavsett effekter eller kostnader så är båda dessa aspekter problematiska utifrån de rättvisöverbägganden som uttrycks i den etiska plattformen.

I relation till den etiska plattformen finns det heller inget explicit utrymme att väga in mer långsiktiga samhälleliga eller kunskapsmässiga effekter av investeringar i forskning och utveckling i relation till beslut om fördelning av resurser till enskilda läkemedel eller behandlingar. För en utförligare genomgång av dessa och andra aspekter hänvisar vi till vår tidigare rapport.

5 Betalningsvilja per QALY för patienter med sällsynta tillstånd – i ett välfärdsekonomiskt perspektiv

Frågan om särbehandling av sällsynta tillstånd vid subventionsbeslut är levande i många länder och beslutfattare resonerar lite olika utifrån etiska rättviseteorier. Det finns även en argumentation för särbehandling som utgår från att inte bara beslutfattare utan även personer i allmänhet anser att betalningsvilligheten bör vara

högre för sällsynta tillstånd. En förklaring till det kan vara att människor i allmänhet uppfattar ett egenvärde i att leva i ett samhälle där människor som har det svårt får hjälp av samhället. Om detta förhållande råder kan en ökad betalningsvillighet för sällsynta tillstånd motiveras även utifrån ett välfärdsekonomiskt perspektiv. I Kapitel 5 undersöker vi om det finns stöd i den hälsoekonomiska teoribildningen och om de överväganden som redovisas i Kapitel 4 kan integreras i kostnadseffektivitetsanalyser. Likaså presenterar och diskuterar vi tillgänglig empiri för att acceptera högre tröskelvärden för sällsynta tillstånd utifrån de föreslagna kriterierna:

- att behandlingen har en hög kostnad per hälsovinna som en möjlig konsekvens av den omfattar endast få patienter,
- att det rör sig om ett tillstånd med mycket hög svårighetsgrad,
- att det behandlingsalternativ som övervägs ska på goda grunder antas ha en väsentlig effekt,
- att det inte finns någon alternativ behandling med en väsentlig effekt som förväntas förebygga, bota, fördröja försämring eller lindra det aktuella tillståndet.

5.1 Finns hela värdet av hälsoförbättringen vid behandling av sällsynta sjukdomar med i hälsoekonomiska analyser?

I detta avsnitt använder vi oss av begreppet ”samhälleliga preferenser” för att beskriva allmänhetens värdering av olika frågeställningar om rättvisa och rättvis fördelning inom hälso- och sjukvården. Är det så att traditionella tröskelvärden för kostnadseffektivitet inte alltid överensstämmer med de samhälleliga preferenserna som finns för behandling av sällsynta tillstånd med en hög svårighetsgrad (Drummond et al. 2007; Stolk et al. 2006)? Legitimiteten hos dem som ska fatta beslut kring läkemedel vid sällsynta tillstånd, vilar på att standardmetoderna för hälsoekonomiska utvärderingar väger in samhällets preferenser på ett adekvat sätt (Drummond et al. 2007).

För att kunna bedöma kostnadseffektiviteten av en hälsointervention jämförs kostnaden av interventionen med hälsoutfallet. Det vanligaste utfallsmåttet är kvalitetsjusterade levnadsår (QALY), ett mått som kombinerar patientens resterande levnadsår

med livskvalitet. Beslutsfattare måste utifrån denna information göra en värdering av huruvida effekten av en intervention är värd den kostnad som den medför. Överstiger kostnaden vad samhället maximalt är villigt att betala för en QALY (det s.k. tröskelvärdet) så kommer interventionen inte anses värd att satsa på. Vilken nivå som tröskelvärdet ligger på påverkar vilka läkemedel som t.ex. inkluderas i läkemedelsförmånerna. Är gränsen för tröskelvärdet satt för lågt så kommer de tillgängliga resurserna inte användas på ett effektivt sätt då flera samhällsligt önskvärda interventioner inte kommer att komma befolkningen till godo, och vice versa.

Beräkningar av kostnadseffektivitet vilar på antagandet att alla vunna QALYs oavsett vem de tillförs har samma vikt i hälsoekonomiska utvärderingar. Ändå är det troligt att allmänheten skulle värdera en intervention som ger en vunnen QALY till en patientgrupp i ett svårare tillstånd högre jämfört med en grupp med ett mindre svårt tillstånd. Det är också detta synsätt som kommer till uttryck i den etiska plattformens behovs-solidaritetsprincip och som TLV har som utgångspunkt vid beslut om vilka läkemedel som ska ingå i läkemedelsförmånerna.

Men hur ser värderingen av behandling till patienter med sällsynta tillstånd ut? Finns det skäl att tro att allmänheten anser att det ska vara en högre betalningsvilja per QALY för denna patientgrupp jämfört med vanliga tillstånd givet samma svårighetsgrad?

McKie och Richardson (2003) diskuterar hur den form av intuitioner, som kommer till uttryck i vårt tidigare resonemang, dvs. en villighet att särbehandla patienter med svåra sällsynta tillstånd i princip skulle kunna infogas i en kostnadseffektivitetsanalys. Centralt i deras analys är att livräddande eller andra interventioner som upplevs särskilt väsentliga kommer att öka nyttan i samhället genom att stärka medborgarnas tro på att de lever i ett rättvist samhälle. De menar att nyttan av en hälsointervention kan skapas på fyra olika sätt: (1) Den nytta som individen upplever i och med förbättrad hälsa, (2) Den nytta som individen upplever genom vetskapen av att något gjorts för att hjälpa honom/henne, (3) Nyttan för samhället av hälsoförbättringen, (4) Nyttan för samhället av att veta att något har gjorts för att hjälpa någon som har det särskilt svårt. Nyttan från (2) och (4) inkluderas ofta inte i traditionella kostnadseffektivitetsanalyser och det är främst livräddande eller interventioner med väsentlig effekt som antas gene-

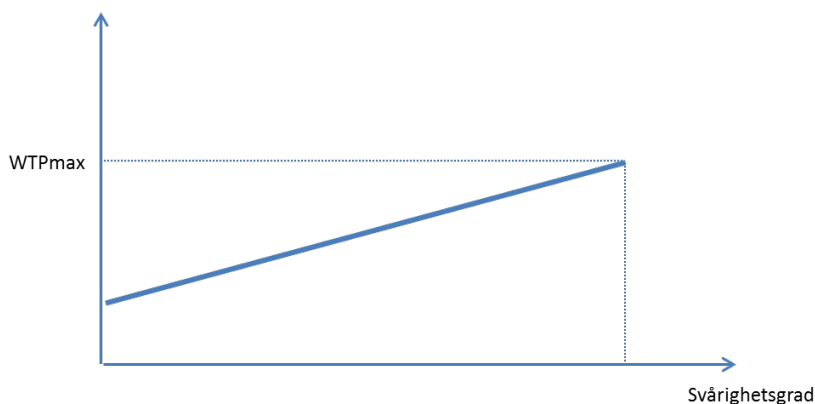
rera denna typ av nytta. Då punkt (4) slår samman nyttoökningen för alla medborgare kan den totalt ha en potentiellt signifikant effekt på analysen. Resonemanget kan även tillämpas på behandlingar med säräkemedel som uppfyller de föreslagna kriterierna och är en möjlig argumentation för att motivera högre kostnad per QALY för svåra och mycket sällsynta tillstånd. I avsnitt 5.2 förs ett teoretiskt resonemang om betalningsviljan för interventioner riktade till patienter med sällsynta sjukdomar där nyttan från punkt (4) vägts in i analysen. Samtidigt varnar McKie och Richardson att det finns en risk för att man väger in diskriminerande preferenser i samhället om man tar hänsyn till punkt (4).

5.2 Betalningsviljan för hälsovinster vid sällsynta tillstånd i en svensk kontext med prioriteringslagstiftning

En av grundtankarna i förmånssystemet är att samhällets kostnader för läkemedel ska stå i rimlig proportion till den nytta de tillför och att läkemedelskostnaderna inte får medföra att utrymmet för annan angelägen sjukvård minskar. Detta innebär dock att kostnad och nytta för en viss insats behöver vägas mot den kostnad och nytta som uppstår om resurserna används på annat sätt och balanseras av övriga överväganden i den etiska plattformen.

Som vi sett i föregående avsnitt kan det även utifrån en välfärdsekonomisk utgångspunkt finnas skäl att frångå de implicita gränsvärden för vad som anses en rimlig kostnad per hälsovinst och som vanligtvis används vid t.ex. TLV:s bedömningar av läkemedels kostnadseffektivitet och istället acceptera en högre kostnad per vunnet kvalitetsjusterat levnadsår (QALY) för läkemedel riktade till mycket sällsynta tillstånd. Därmed inte sagt att betalningsviljan kan vara oändligt stor. När taknivån för vad som är acceptabelt nås är oklart och får tas fram genom myndighetstillämpning och med stöd av forskning. Principiellt kan resonemanget från avsnitt 5.1 beskrivas i figurerna 1-3.

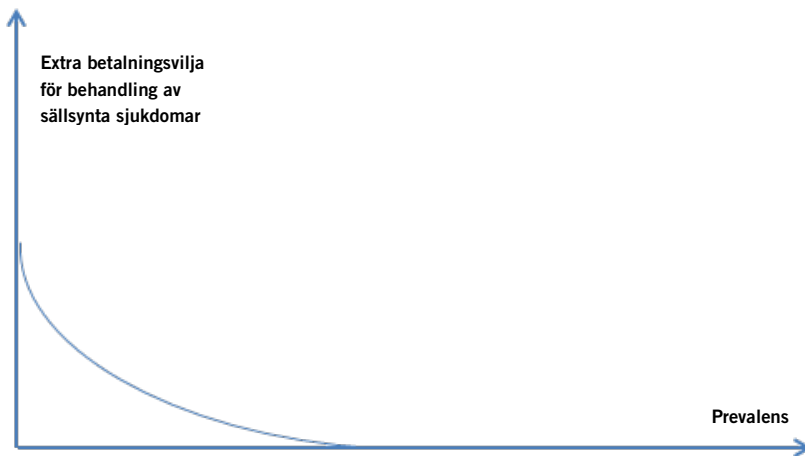
Figur 1 Samhällets betalningsvilja för ett kvalitetsjusterat levnadsår varierar på grund av behovets storlek. Ju större behov (svårighetsgrad) desto högre betalningsvilja (WTP¹³) upp till WTPmax



Denna figur är ett uttryck för vad vi tidigare redovisat i rapporten och vad som präglar TLV:s beslutsfattande idag vilket i sin tur baseras på förarbeten till Lag (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. nämligen att; *”Kravet på kostnadseffektivitet bör generellt ställas högre vid mindre angelägna sjukdomstillstånd än vid mer angelägna”* (Socialdepartementet 2001). WTPmax är den maximala betalningsviljan för en QALY för en behandling av ett sjukdomstillstånd med maximalt stor svårighetsgrad som samhället genom TLV:s beslut ger uttryck för, allt annat lika. Det är viktigt att påpeka att osäkerheten rörande olika tillståndsvårighetsgrad ibland är stor och inte heller kvantifierad på ett tydligt sätt. Det får till följd att WTPmax är svårt att utröna ur TLV:s beslut eftersom den maximala svårighetsgraden inte är definierad samtidigt som lutningen och formen på kurvan dvs. hur mycket betalningsviljan för en QALY förändras med svårighetsgraden är okänd.

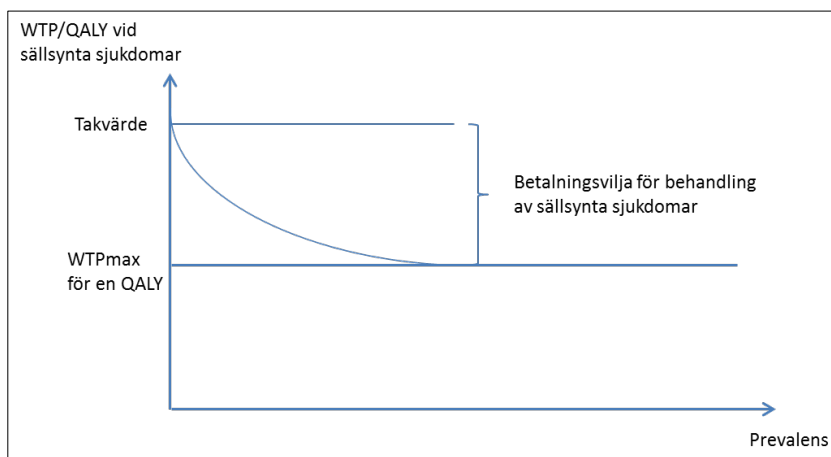
¹³WTP står för willingness to pay, dvs. betalningsvilja.

Figur 2 Den extra betalningsviljan för en QALY vid sällsynta svåra tillstånd är beroende av hur sällsynt tillståndet är. Ju högre prevalens desto lägre betalningsvilja



Figur 2 illustrerar den extra samhälleliga betalningsviljan för behandling av sällsynta och svåra tillstånd som kan härledas ur rättviseargumentet att det ska finnas tillgång till ett behandlingsalternativ givet omständigheten att prisnivån för läkemedel riktade till små grupper tenderar att vara högre än den gängse och under förutsättning att inget annat effektivt behandlingsalternativ finns till buds. Att figuren visar en avtagande betalningsvilja när prevalensen i sjukdomar ökar förklaras av att läkemedlets pris och därför behandlingens relativa kostnad avtar med patientvolymen.

Figur 3 Den sammanvägda WTP/QALY (takvärde) för behandlingar vid sällsynta sjukdomar består av kombinationen WTPmax för en QALY och WTP för att det ska finnas tillgång till en verksam behandling



I figur 3 illustreras den sammanvägda nyttan WTP/QALY för behandlingar vid sällsynta tillstånd. I detta exempel har den maximala betalningsviljan (takvärdet) för mycket svåra tillstånd antagits vara dubbelt så högt för behandlingar vid sällsynta tillstånd som WTPmax vid vanliga tillstånd.

Även i situationer när särskilda hänsyn tas som leder till att vi kan acceptera en sämre kostnadseffektivitet måste det finnas någon gräns då den högre kostnaden per hälsovinster är för hög för samhället att acceptera. Var gränsen går för vad som menas med oproportionerligt hög kostnad per hälsovinster är ännu en obesvarad fråga. I detta avsnitt har vi hitintills utgått från att det finns en extra betalningsvilja för svåra och sällsynta tillstånd. Frågan är om det finns något empiriskt stöd för att behandlingar av sällsynta tillstånd har ett extra värde?

I avsnitt 5.3 presenteras och diskuteras resultaten av de empiriska undersökningar som studerat betalningsviljan för behandling av patienter med sällsynta tillstånd.

5.3 Empiriska studier av betalningsvilja för behandling av patienter med sällsynta tillstånd

Det finns i dagsläget få studier om samhälleliga preferenserna för prioriteringar gällande svåra sällsynta tillstånd och fler efterlyses (Drummond et al. 2007; McCabe 2010). Från de studier som gjorts är resultaten tvetydiga. I kvalitativa intervjustudier framkommer det att det finns en högre betalningsvilja för behandling av patienter med svåra sällsynta tillstånd (NICE 2004; 2008), medan detta resultat inte återfinnes i de mer experimentella, kvantitativa studierna (Mentzakis et al. 2011; Desser et al. 2010, 2013; Desser 2013).

När National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) i Storbritannien samlade ett medborgarråd för att diskutera sällsynta tillstånd 2004 ansåg 20 av 27 rådsmedlemmar att det är rättfärdigat att NICE accepterar en lägre kostnadseffektivitet för läkemedel till patienter med mycket sällsynta tillstånd (s.k. ultra orphan drugs). Av dessa 20 ansåg 4 rådsmedlemmar att personer med sällsynta tillstånd alltid ska behandlas av principiella skäl, medan 16 stycken ansåg att National Health Service (NHS) ska överväga att acceptera högre kostnader för patienter med vissa sällsynta tillstånd dock beroende på hur svårt tillståndet är, huruvida behandlingen ger en signifikant hälsoförbättring samt om situationen är livshotande (NICE 2004). Vid ett annat tillfälle samlade NICE ett medborgarråd för att diskutera när NICE ska rekommendera interventioner där kostnaden/QALY överstiger gränsvärdet på £20 000–30 000 (motsvarande 233 000–350 000 kronor) (NICE 2008). Denna gång diskuterades inte enbart sällsynthet, utan även om interventionen är livräddande, om den behandlar extremt svåra tillstånd, m.m. Av 29 rådsmedlemmar ansåg 20 stycken att tillståndets sällsynthet är en anledning att tillåta ett högre gränsvärde.

Ett flertal kvantitativa studier har dock inte funnit stöd för att sällsynthet ska värderas annorlunda. Desser och medarbetare (2010, 2013; Desser 2013) har genomfört flera tvärsnittsundersökningar med syfte att undersöka om det finns samhälleliga preferenser för behandling av sällsynta tillstånd framför mer vanliga tillstånd. I tre olika datainsamlingar har norsk allmänhet mellan 40–67 år samt norska läkare fått fylla i en webbaserad enkät. Respondenterna ställdes inför olika valsituationer där de fick välja

mellan att finansiera behandling för ett sällsynt tillstånd eller ett vanligt tillstånd. Till exempel så varierades behandlingskostnaden för den sällsynta gruppen: initialt var behandlingskostnaderna lika stora för båda grupperna för att sedan vara högre för det sällsynta tillståndet. Ingen av studierna fann bevis för att det skulle finnas speciella samhälleliga preferenser för behandling av sällsynta tillstånd, allt annat lika. Avsaknaden av särskilda preferenser gällde dock enbart i de tydligt definierade valsituationerna. När respondenterna fick rangordna fem olika påståenden som rörde attityder gällande rättvisa på en femgradig skala fanns det dock starka preferenser för en jämlik vård och rättvis tillgång till vård även för patienter med sällsynta tillstånd (Desser et al. 2010).

Linley och Hughes (2012) genomförde även de en webbaserad enkät med 4 118 slumpmässigt utvalda vuxna boende i Storbritannien. Deltagarna fick fördela resurser mellan två olika patientgrupper genom att välja ett av elva olika fördelningsalternativ. Scenarierna varierades så att deltagarna fick ta ställning till nio olika prioriteringskriterier, där sällsynthet var ett av kriterierna. Inte heller Linley och Hughes finner några särskilda samhälleliga preferenser för att sällsynta tillstånd skulle värderas annorlunda i prioriteringssammanhang.

Inte heller en explorativ discrete choice-studie genomförd av Mentzakis och medarbetare (2011) visade på några särskilda preferenser för behandling av sällsynta tillstånd jämfört med vanligt tillstånd, allt annat lika. Totalt 213 stycken respondenter deltog i undersökningen, varav majoriteten var studenter. Respondenterna vägde de olika relevanta attributen för beslutsfattande på ett liknande sätt både för vanliga och sällsynta tillstånd. De relevanta attributen var i detta fall kostnader för behandling, tillståndets svårighetsgrad samt behandlingens effektivitet.

I en ännu opublicerad svensk studie (Wiss och Levin. 2014) har både kvalitativa och kvantitativa data använts för att öka kunskapen om hur allmänheten ser på prioriteringar av patienter med sällsynta tillstånd. Två olika datainsamlingar har genomförts: en fokusgruppsundersökning och en postenkätinsamling. Fokusgrupperna bestod av fyra grupper med 4–7 deltagare per grupp där deltagarna fick diskutera ett hypotetiskt patientfall samt två fall med verklighetsbakgrund. I den andra datainsamlingen skickades 3 000 enkäter ut till slumpmässigt utvalda individer boende i Östergötland (svars-

frekvens 42 %). Respondenterna fick ta ställning till att behandla sällsynta eller vanligt förekommande patientfall i åtta hypotetiska valsituationer samt fick svara på ett antal attitydfrågor. Resultaten från de åtta hypotetiska valsituationerna följer den ovan redovisade forskningen och visar inga särskilda preferenser för sällsynthet i sig. De olika variationerna av scenarierna visar dock att preferenser för att behandla den sällsynta eller den vanliga gruppen verkar vara känsliga för olika faktorer, till exempel huruvida besluten tas på grupp- eller individnivå samt om antalet patienter som får behandling uttrycks i absoluta eller relativa siffror. Om dessa skillnader beror på respondenternas verkliga preferenser eller om det är konsekvensen av psykologiska effekter kan diskuteras.

Från attitydfrågorna i enkäten och fokusgrupperna framträder också en mer nyanserad bild av betalningsvilja per QALY för patienter med sällsynta tillstånd. Preliminära slutsatser är att sällsynthet i sig inte är ett enskilt argument för särbehandling men att sällsynthet i kombination med till exempel hög svårighetsgrad och om det är den enda behandlingen kan vara argument för särbehandling, vilket är i linje med resultaten från NICE medborgarpanel (NICE 2004).

Slutsatsen av den hälsoekonomiska analysen är att man kan finna visst stöd för att särbehandla ett läkemedel riktade mot sällsynta tillstånd om det också uppfyller de tilläggs-kriterier som föreslagits. Empiriska studier visar att sällsynthet i sig inte är ett argument för särbehandling, men att det finns preferenser för en jämlik tillgång till vård vilket ändå skulle kunna motivera att acceptera en lägre kostnadseffektivitet för dessa läkemedel.

6 Konsekvenser för övrig hälso- och sjukvård av att särbehandla sällsynta tillstånd

Om ovanstående kriterier accepteras för att särbehandla sällsynta tillstånd genom att bland annat acceptera ett högre tröskelvärde för kostnadseffektivitet, så behöver vi förhålla oss till vad det kan få för konsekvenser för övrig hälso- och sjukvård. I detta sammanhang tar vi upp tre sådana konsekvenser eller aspekter som vi diskuterar.

För det första brukar det ibland hävdas att eftersom patientgrupper med sällsynta sjukdomar är små så får det inga större

effekter på hälso- och sjukvårdsbudgeten att man accepterar att betala extra höga kostnader per hälsovinst. För det andra, om detta nu inte stämmer utan det skulle leda till ransonering av annan hälso- och sjukvård, hur ska man i så fall hantera den situationen? För det tredje, innebär höjda tröskelvärden för sällsynta svåra tillstånd att vi även måste acceptera höjda tröskelvärden för andra svåra tillstånd och att vi därmed har öppnat Pandoras ask?

6.1.1 Budgetpåverkan

I argumentationen kring prioriteringar avseende sällsynta tillstånd anges ofta att eftersom det rör sig om en ringa budgetpåverkan så är det inget större problem att särbehandla behandlingar av sällsynta tillstånd. Argumentet går ut på att i relation till den totala hälso- och sjukvårdsbudgeten handlar det om små totala kostnader för läkemedel till dessa grupper och det borde därmed inte vara något större problem att finansiera eller subventionera dessa läkemedel (NICE 2004; Hughes et al. 2005; Rosenberg-Yunger et al. 2011).

Först är det viktigt att klargöra att vid beräkningar av kostnads-effektivitet i Sverige och andra länder spelar inte patientgruppens storlek någon roll utan det är den genomsnittliga patientens kostnadseffektivitet som beräknas. Samma gäller även vid bedömning av svårighetsgrad i samband med prioriteringsbeslut. Storleken på patientgruppen är endast aktuell att ta hänsyn till vid en konsekvensanalys av prioriteringen. Detta tillvägagångssätt är helt i linje med den etiska plattformen som anger att det inte är acceptabelt att ta hänsyn till den aggregerade nyttan av en viss åtgärd i samhället. Det innebär explicit att om man kan göra lite nytta för stora grupper och den totala nyttan därmed blir stor så kan det inte användas för att prioritera en sådan grupp framför en mindre grupp där man per individ kan göra större nytta men där den totala nytta blir mindre. Här ges återigen ett implicit argument för varför gruppstorleken inte ska ges vikt vid prioriteringar och en större grupp ska gynnas framför en mindre grupp trots att nyttan per individ är lägre i den större gruppen. Samtidigt, om vi har svåra tillstånd där vi kan göra en mindre nytta (än det krav på väsentlig effekt som vi ställer här) bör ju inte den alternativkostnad som

satsningen på läkemedel till sällsynta svåra tillstånd ger upphov till i första hand drabba andra grupper med svåra tillstånd utan i första hand mer lindriga tillstånd (se nedan under Ransonering). En sådan hänsyn bör dock göras oberoende av gruppstorleken hos gruppen med det svåra tillståndet (om det inte rör sig om sällsynta tillstånd och faller under föreliggande kriterier).

Vår slutsats är att budgetpåverkan inte är ett övervägande som bör styra huruvida sällsynta tillstånd särbehandlas eller inte. Samtidigt, eftersom resurserna är begränsade så innebär varje beslut alltid en alternativkostnad och att någon annan patientgrupp trängs undan och blir utan behandling om inte motsvarande extra resurser tillförs. Framförallt kan det innebära att patienter med mer vanligt förekommande tillstånd nekas en kostnadseffektiv behandling (enligt de gränser som tillämpas för detta) (NICE 2004; Hughes et al. 2005; McCabe et al. 2006). Några författare pekar även på att den totala budgetpåverkan av ett stort antal läkemedel mot sällsynta tillstånd tillsammans kan bli betydande och att förutsättningen i argumentet därmed inte stämmer (McCabe 2010; Largent och Pearson 2012). Även kostnaden för enskilda mycket sällsynta läkemedel kan bli hög som det tidigare exemplet med läkemedlet Soliris visade.

6.1.2 Ransonering

Om särbehandling av sällsynta tillstånd enligt ovanstående kriterier leder till att resurserna därmed inte räcker till allt som tidigare gjorts inom hälso- och sjukvården kan det tvinga fram en ransonering (en alternativ möjlighet är resurstillskott). Om det krävs ransonering för att kunna uppfylla den etiska plattformens krav utifrån den begränsade budgeten bör det i första hand drabba grupper med mindre svåra tillstånd, eller där åtgärderna har liten effekt, eller dålig kostnadseffektivitet beroende på dålig effekt (se Sandman och Tinghög 2011).

6.1.3 Pandoras ask?

Kommer en särbehandling av sällsynta tillstånd leda till ett öppnande av Pandoras ask och att det inte blir möjligt att på ett öppet sätt dra några gränser alls för vilka kostnadseffektivitetsnivåer vi accepterar i vårt samhälle? För det första är det naturligtvis så att de kriterier vi ställer upp för att särbehandla sällsynta tillstånd¹⁴ skulle kunna tillämpas på mindre sällsynta tillstånd. Exempelvis om de fortfarande är tillräckligt sällsynta för att påverka behandlingskosten, har stor svårighetsgrad och där det saknas effektiva behandlingsalternativ. Det vill säga, det finns gränstillstånd mellan sällsynta och mer vanliga tillstånd som detta skulle kunna påverka. Är vi konsistenta i hur vi resonerar i relation till den etiska plattformen kommer det att vara svårt att dra en skarp gräns mellan sällsynta och något mindre sällsynta men i övrigt liknande tillstånd. Alltså kan det ske en viss glidning utöver den avgränsning vi argumenterar för här. Innebär det också att vi måste acceptera all behandling som har motsvarande kostnadseffektivitetsgränser även för vanliga tillstånd med motsvarande svårighetsgrad?

I vårt ovanstående resonemang har vi ställt krav på att den behandling som vi överväger för särbehandling ska ha en väsentlig effekt. Det innebär att vi drar slutsatsen att en viktig aspekt av behandlingen är hur stor effektstorleken är. Om en behandling har dålig kostnadseffektivitet, inte i första hand för att den har en hög kostnad på grund av litet patientunderlag, utan snarare på grund av dess marginella effekt – bör en sådan behandling inte behandlas som likvärdig med en behandling med väsentlig effekt med dålig kostnadseffektivitet på grund av höga kostnader. Detta baseras på att skillnad i effektstorlek påverkar hur mycket man påverkar en patientgrupps möjligheter att nå ett lika utfall när det gäller hälsa och livskvalitet.

När det gäller behandlingsalternativ riktade mot vanliga tillstånd kan man inte hänvisa till att patientunderlaget är litet och därför måste bära en högre del av utvecklingskostnaden (och läkemedels-

¹⁴ Vi skriver för enkelhetens skull sällsynta tillstånd trots att vi i själva verket anser att det är antalet patienter som har en förväntad nytta av behandlingen, oavsett om de utgör en del av liten eller stor patientgrupp, som är intressant. Med andra ord är det kombinationer av specifika tillstånd och åtgärd (läkemedel) som ska vara sällsynta för att komma i fråga för en särbehandling.

industrins förväntade vinst) per individ än vad som normalt är fallet. När det gäller vanliga tillstånd är det snarare så att dålig kostnadseffektivitet i första hand får tillskrivas en relativt blygsam effekt eller en direkt felaktig prissättning.

7 Praktiska aspekter att ta ställning till vid prioritering av läkemedel för mycket sällsynta tillstånd

Vår etiska och hälsoekonomiska analys pekar på att det finns visst stöd i etiska principer respektive bland medborgare för högre betalningsvillighet per hälsovinst för åtgärder riktade till patienter med sällsynta tillstånd om vissa villkor är uppfyllda. Vi har också gett exempel på de villkor som vi anser viktiga. Det återstår dock många frågor att reda ut när det gäller den praktiska tillämpningen inom en myndighet eller annat beslutsorgan. Svåra prioriteringsbeslut behöver bland annat vara transparenta och tåla granskning för att kunna vara långsiktigt hållbara. Besluten behöver också bli föremål för en bred diskussion för att samhället ska kunna utvärdera vad som är rimliga gränser och balanspunkter mellan olika värden och intressen.

7.1 Särskild handläggningsordning eller inte?

Läkemedel för behandling av sällsynta och mycket svåra tillstånd kräver antagligen en modifierad handläggning. Utformningen av den organisatoriska lösningen för detta är avhängig vilken part som får ansvaret för dessa beslut i Sverige. För närvarande diskuteras många förändringar när det gäller hur och vem som ska göra prioriteringar av läkemedel. En ny organisation för samordning av landstingen rörande prioritering av nya läkemedel kommer att börja gälla från den 1 januari 2015. Nya samverkansformer mellan TLV och landstingen håller på att utarbetas både avseende recept-läkemedel och klinikläkemedel.

Alla former av prioriteringar som innebär någon typ av ransonering medför besvärliga avvägningar och utmaningar för beslutsfattaren. Detta gäller i allra högsta grad när besluten omfattar tillstånd med hög svårighetsgrad och patienter undandras behand-

ling på grund av orimligt höga kostnader. För att möjliggöra en acceptans för denna typ av beslut krävs det antagligen en betydligt större samsyn och konsistens i beslutsfattandet mellan olika beslutsorgan och mellan olika delar av hälso- och sjukvården än vad som varit fallet hittills. En modifierad handläggning av ärenden som rör receptförskrivna läkemedel för sällsynta tillstånd bör kunna ske inom ramen för existerande beslutsorgan t.ex. TLV för receptläkemedel när företaget ansöker om förmån. Det kommer dock troligen att krävas att mer resurser avsätts per ärende för konsultationer vid framtagning av beslutsunderlaget och uppföljning av beslut med tillhörande villkor.

7.2 Avgränsning av gruppen mycket sällsynta tillstånd

En central fråga är hur patientgruppen med mycket sällsynta svåra tillstånd ska avgränsas. Om målgruppen görs stor är risken större för att särbehandlingen medverkar till snedvridande effekter i förhållande till andra läkemedel medan särbehandling av mycket små grupper löser en mindre del av problemet.

De finns olika utgångspunkter för en sådan avgränsning. Gruppen kan dels bestämmas utifrån en prevalens av sjukdomen/tillståndet eller antalet patienter i målgruppen med ett visst tillstånd (indikation och kontraindikationer) som ett läkemedel ska användas för. Det senare beräknings sättet förefaller mest korrekt vid prioriteringsbeslut kring läkemedel då det är antalet tänkbara patienter som kan behandlas – inte antalet individer med en viss diagnos – som är avgörande för läkemedelsföretagens prissättning.

Förbättrade diagnosmetoder, framför allt inom radiologi och genetik, har inneburit nya möjligheter att beskriva och utveckla effektivare behandlingar specifika för undergrupper av patienter med samma sjukdom/diagnos. Detta är särskilt uttalat inom cancerbehandling och innebär att cancerformer kan karakteriseras bättre utifrån bland annat genetiska förändringar och därmed delas upp i subgrupper med olika förväntad nytta.

Largent och Pearson (2012) ger exempel på hur utvecklingen mot individualiserad behandling, dvs. mer av skraddarsydd läkemedelsbehandling för enskilda individer eller små grupper, liksom att behandling alltmer kan anpassas till undergrupper inom en stor

diagnosgrupp (t.ex. icke-småcellig lungcancer som en delmängd av lungcancer med egna behandlingsmodaliteter) – leder t.ex. till utveckling mot allt fler läkemedel riktade mot sällsynta tillstånd.

En brittisk medborgarpanel som diskuterat sär läkemedel uttryckte en farhåga kring att höga subventioner till sär läkemedel kan driva på denna utveckling genom att läkemedelsföretagen försöker identifiera undergrupper till större diagnosgrupper (NICE 2004). Detta är dock troligen en överdriven farhåga eftersom läkemedelsföretagen i så fall måste ha stark tilltro till att de kan utveckla ett läkemedel med god effekt gentemot denna undergrupp och/eller kan göra troligt att en sådan indelning är relevant ur behandlingssynpunkt.

Eftersom sär läkemedel är en relativt heterogen grupp av läkemedel och det finns andra läkemedel med motsvarande egenskaper som inte ansökt eller kunnat ansöka om status som sär läkemedel har vi tidigare i rapporten dragit slutsatsen att det ur prioriteringssynpunkt är mer relevant att fokusera på alla typer läkemedel som används för sällsynta tillstånd. Vi tar i rapporten inte definitiv ställning till vad som är en lämplig gräns utan detta behöver utredas vidare. Vi tror dock att en sådan avgränsning bör vara betydligt lägre än definitionen av sär läkemedel och snarare ligga i intervallet 100–200 patienter i Sverige (högst 1 på 100 000 till 1 på 50 000 invånare). Den lägre gränsen motsvarar definitionen för mycket sällsynta tillstånd som bland annat används inom Europeiska Unionen och den övre gränsen är den avgränsning som används av NICE vid godkännande av behandlingar för sällsynta tillstånd (Highly Specialised Technologies Programme).

7.3 Bestämna betalningsviljan för hälsovinster

En väg för att komma fram till vad som kan vara en rimlig gränsdragning för betalningsviljan för åtgärder vid sällsynta tillstånd är att någon part åläggs att fatta beslut på ett öppet sätt. Beslut som sedan kan diskuteras brett och eventuellt blir föremål för omprövning. Formerna för en sådan process styrs antagligen av vilken enhet som beslutar om subvention. Ett sätt att avslöja vad som är ett rimligt maximalt tröskelvärde för sällsynta och svåra tillstånd kan vara att jämföra kostnadseffektivitet för läkemedel med

situationer i vården där andra kostsamma typer av behandlingar av mycket svåra tillstånd används vid sällsynta tillstånd t.ex. inom intensivvård. På sikt kan man också förvänta sig en anpassning till hur andra länder inom EU agerar när det gäller tillgången till läkemedel. Antagligen kommer inte allt för stora skillnader i utbudet av läkemedel till grupper med sällsynta tillstånd att accepteras av medborgarna i Sverige.

7.4 Bedömning av evidens

Läkemedel riktade till svåra och mycket sällsynta tillstånd, där det inte förefaller möjligt eller rimligt av ekonomiska skäl att ta fram ett acceptabelt underlag är motiverade att handläggas i särskild ordning av rättviseskäl. För att göra det möjligt att trots svagt beslutsunderlag inkludera läkemedel för mycket sällsynta tillstånd måste större grad av osäkerhet i underlaget accepteras än när t.ex. TLV annars beslutar om nya läkemedel. Detta förfarande förutsätter betydligt mer utvecklade former för uppföljning av nya läkemedel i praktisk användning. För läkemedel riktade till sällsynta tillstånd kommer det antagligen att krävas särskilda arrangemang för uppföljning och rapportering på grund av att det är ett litet antal patienter som blir föremål för behandling.

7.5 Krav på system för uppföljning

När det vetenskapliga underlaget på gruppnivå är mycket osäkert vid beslutstillfället är behovet av uppföljning stort. För att säkerställa att resurserna används på ett ändamålsenligt sätt är det av särskild stor vikt att en noggrann uppföljning av kostnader och effekter sker. Beslut bör t.ex. förenas med uppföljningsvillkor för att säkerställa kostnadseffektivitet på gruppnivå. Ökade möjligheter att ta hänsyn till fler aspekter än idag vid beslut om godkännande och subventionering, inklusive tidig rådgivning, kan öka effektiviteten i läkemedelsutvecklingen. Till detta hör olika modeller för att koppla ersättning till utfall och omprövning av subventionering (Walker et al. 2012).

När kostnadseffektivitet hos läkemedel för behandling av mycket sällsynta och svåra tillstånd trots särskilda överväganden

bedöms för låg (kostnaden per QALY för hög) innebär detta att läkemedlet inte kan omfattas av det offentliga åtagandet vad gäller hälso- och sjukvård. En kvarstående möjlighet för att trots detta kunna erbjuda behandling utanför klinisk prövning är i dessa fall en särskild förhandling med berört företag. De juridiska förutsättningarna för en sådan nationell förhandling bör klargöras om detta inte sker inom ramen för utredning om vissa frågor om prissättning, tillgänglighet och marknadsförutsättningar inom läkemedels- och apoteksområdet (Socialdepartementet 2011).

8 Slutsatser

- Ett högre tröskelvärde för kostnadseffektivitet vid prioritering av läkemedel kan accepteras när samtliga av följande villkor är uppfyllda:
 - att behandlingen har en hög kostnad per hälsovinst som en möjlig konsekvens av att den omfattar endast få patienter,
 - att det rör sig om tillstånd med mycket stor svårighetsgrad,
 - att det behandlingsalternativ som övervägs ska på goda grunder antas ha en väsentlig effekt,
 - att det inte finns någon alternativ behandling med en väsentlig effekt som förväntas förebygga, bota, fördröja försämring eller lindra det aktuella tillståndet.
- *Människovärdesprincipen* tillåter att sällsynta tillstånd, som ger upphov till höga behandlingskostnader, kan särbehandlas för att patienter som lider av dessa tillstånd ska kunna likabehandlas när det gäller att ges så likvärdiga möjligheter till lika utfall i hälsa och livskvalitet. Därmed är vårt första kriterium förenligt med den etiska plattformen. Detta innebär dock inte automatiskt att alla sällsynta tillstånd som ger upphov till höga behandlingskostnader bör särbehandlas.
- Behovs-solidaritetsprincipen innebär att samhället bör sträva efter att alla medborgare ges så lika möjligheter till vård och uppnå ett så lika utfall av hälsa och livskvalitet som möjligt (vilket förutsätter att vi i första hand fokuserar på dem som ligger längst ifrån ett lika utfall – dvs. de med störst behov). För

att vi ska kunna påverka utfall när det gäller hälsa krävs det att de åtgärder som används faktiskt kan påverka personer till att närma sig ett mer lika utfall, dvs. att dessa åtgärder har en väsentlig effekt på hälsan.

- Kostnadseffektivitetsprincipen säger att vid val mellan olika verksamhetsområden eller åtgärder bör en rimlig relation mellan kostnader och effekt eftersträvas. Det framgår att mycket svåra tillstånd och väsentliga hälso- och livskvalitetsskillnader ska gå före lindrigare tillstånd även om åtgärderna gentemot de förra är förknippade med förhållandevis högre kostnader. Kostnaderna per hälsovinst måste ändå bedömas vara rimliga. ’
- Det finns inget stöd i internationell forskning att människor i allmänhet anser att behandling av sällsynta tillstånd bör särbehandlas. Med andra ord anser man inte att sällsynthet i sig är ett relevant kriterium. Däremot finns det preferenser för en jämlik vård och lika rätt till vård och att det ska gälla även för patienter med sällsynta tillstånd. Preliminära data från en pågående svensk studie visar i likhet med tidigare forskning att det inte finns några särskilda preferenser i befolkningen för sällsynthet i sig. Från attitydfrågor i en enkät och fokusgruppsintervjuer framträder en mer nyanserad bild, nämligen att behandling av sällsynta tillstånd med hög svårighetsgrad och om det är den enda möjligheten kan bli föremål för särbehandling.
- När ovanstående kriterier är uppfyllda för behandling av ett sällsynt tillstånd så innebär det endast att behandlingen kan bli föremål för en bedömning av om ett höjt tröskelvärde kan accepteras. Det innebär alltså inte automatiskt att behandlingen bör erbjudas eller att läkemedlet ska inkluderas i läkemedelsförmånerna. Även med dessa kriterier uppfyllda och att det därmed finns skäl för särbehandling av behandlingen så bör beslutfattaren även i det läget komma fram till vad som är en rimlig relation mellan kostnader och effekt, dvs. vilket som är ett acceptabelt tröskelvärde.
- Utifrån målet att minska olikheter och garantera vård på lika villkor för sällsynta tillstånd är antagligen en modell med ett nationellt beslutsfattande att föredra. Samma principer för prioritering av läkemedel vid sällsynta och svåra tillstånd bör gälla

oavsett hur läkemedlet når patienten dvs. gälla lika för både läkemedel på recept och rekvisitionsläkemedel. Om prioriteringen görs av en eller flera instanser är en organisatorisk fråga som vi inte tar ställning till i denna rapport.

- Det finns olika utgångspunkter för en avgränsning av gruppen svåra och mycket sällsynta tillstånd. Gruppen kan dels bestämmas utifrån en sjukdoms prevalens eller förekomsten av det sjukdomstillstånd som aktuellt läkemedel ska användas för. Det senare beräkningssättet förefaller mest korrekt vid ställningstagande kring prioritering av läkemedelsbehandling i förhållande till andra åtgärder. Vi tar i rapporten inte definitiv ställning till vad som är en lämplig gräns utan detta bör utredas vidare. Vi tror dock att en sådan avgränsning bör vara betydligt lägre än definitionen av säräkemedel och snarare ligga i intervallet 100–200 patienter med det aktuella tillståndet.
- En väg för att komma fram till vad som kan vara en rimlig gränsdragning är att någon part åläggs att fatta beslut på ett öppet sätt. Beslut som sedan kan diskuteras brett och eventuellt blir föremål för omprövning. Genom att jämföra med andra situationer i vården och samhället där beslut fattas om åtgärder för svåra och sällsynta tillstånd kan utveckling av en praxis påskyndas.

Referenser

- Carlsson P, Hoffmann M, Levin L-Å, Sandman L, Wiss J. 2012. Prioritering och finansiering av läkemedel för behandling av patienter med sällsynta sjukdomar. Rapport 2012:1. Prioriteringscentrum, Linköping.
- Desser A S, Gyrd-Hansen D, Olsen J A, Grepperud S, Kristiansen I S. 2010. Societal views on orphan drugs: cross sectional survey of Norwegians aged 40 to 67. *BMJ* 341:c4715.
- Desser A S, Abel Olsen J, Grepperud S. 2013. Eliciting preferences for prioritizing treatment of rare diseases: the role of opportunity costs and framing effects. *PharmacoEconomics* 31: 1051-1061.
- Desser A S. 2013. Prioritizing treatment of rare diseases: A survey of preferences of Norwegian doctors. *Social Science & Medicine* 94: 56-62.
- Drummond MF, Wilson DA, Kanavos P, Ubel P, Rovira J. 2007. Assessing the economic challenges posed by orphan drugs. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 23(1): 36-42.
- Ekmehag B. 2009. Primär arteriell hypertension. *Läkartidningen* 34: 2057-61.
- Europeiska rådet. 2009. Recommendation of 8 June 2009 on European action in the field of rare diseases. *Official Journal C151*: 7-10.
- Europeiska kommissionen. Regulation No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. URL: http://ec.europa.eu/health/files/eudralex/vol-1/reg_2000_141/reg_2000_141_en.pdf (Senast besökt 2014-10-15).
- Hughes D A, Tunnage B, Yeo S T. 2005. Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding? *QJM* 98: 829-836.
- Hutchings A, Schey C, Dutton R, Achana F, Antonov K. 2014. Estimating the budget impact of orphan drugs in Sweden and France 2013-2020. *Orphanet Journal of Rare Diseases* 9: 22.
- Kammarrätten i Stockholm. 2014. Mål nr 4058-13.

- Largent E A, Pearson S D. 2012. Which Orphans Will Find a Home? The Rule of Rescue in Resource Allocation for Rare Diseases. *Hastings Center Report* 42, no. 1: 27-34.
- Linley W, Hughes D A. 2012. Societal views on NICE, cancer drugs fund and value-based pricing criteria for prioritizing medicines: a cross-sectional survey of 4118 adults in Great Britain. *Health Economics*. Publicerad online på Wiley Online Library (wileyonlinelibrary.com). DOI: 2012; 10.1002/hec.2872.
- McCabe C, Tsuchiya A, Claxton K, Raftery J. 2006. Orphan drugs revisited. *QJM* 99:341-345.
- McCabe C. 2010 Balancing economic, ethical and equity concerns in orphan drugs and rare diseases. *EJHP Practice* 16:22-25.
- McKie J, Richardson J. 2003. The Rule of Rescue. *Social Science & Medicine* 56: 2407-2419.
- Mentzakis E, Stefanowska P, Hurley J. 2011. A discrete choice experiment investigating preferences for funding drugs used to treat orphan diseases: an exploratory study. *Health Economics, Policy and Law* 6:405-433.
- NICE. 2006. Appraising Orphan Drugs. DRAFT 3. URL: <http://www.nice.org.uk/niceMedia/pdf/smt/120705item4.pdf> (Senast besökt: 2012-10-03).
- NICE. 2004. Citizen Council Report: Ultra Orphan Drugs. London, NICE.
- NICE. 2008. Report on NICE Citizen Council Meeting: Departing from the Threshold, NICE.
- NICE. 2013. Interim Process and Methods of the Highly Specialised Technologies Programme. URL: <http://www.nice.org.uk/Media/Default/About/what-we-do/NICE-guidance/NICE-highly-specialised-technologies-guidance/Highly-Specialised-Technologies-Interim-methods-and-process-statements.pdf> (Senast besökt: 2014-09-09).
- Orphanet. Om sällsynta diagnoser. URL: <http://www.orphanet.se/national/SE-SV/index/om-sallsynta-diagnoser/> (senast besökt 2014-10-15).
- Rosenberg-Yunger Z R S, Daar A S, Thorsteinsdóttir H, Martin D K. 2011. Priority setting for orphan drugs: an international comparison. *Health Policy* 100: 25-34.

- Sandman L. Tinghög G. 2011. Att tillämpa den etiska plattformen vid ransonering. Fördjupad vägledning och konsekvensanalys. Rapport 2011:7. Prioriteringscentrum, Linköping.
- Socialdepartementet. 1995. Prioriteringsutredningens slutbetänkande. Vårdens svåra val. Statens offentliga utredningar (SOU 1995:5).
- Socialdepartementet. 1996. Regeringens proposition Prioriteringar inom hälso- och sjukvården. (Prop. 1996/97:60).
- Socialdepartementet. 2001. De nya läkemedelsförmånerna. (Prop. 2001/02:63).
- Socialdepartementet. 2002. Lag om läkemedelsförmåner m.m. (SFS 2002:160).
- Socialdepartementet. 2011. Läkemedels- och apoteksutredningen. (S 2011:07).
- Socialstyrelsen. 2010. Sällsynta diagnoser: organisering av resurser för personer med sällsynta diagnoser. Stockholm 2010. ISBN 978-91-86585-41-9.
- Socialstyrelsen. Kunskapsdatabas om ovanliga diagnoser. URL: <http://www.socialstyrelsen.se/ovanligadiagnoser/> (senast besökt 2014-10-15).
- Statens Medicinsk-Etiska Råd. 2013. Assisterad befruktning – etiska aspekter. Stockholm: SMER.
- Stolk P, Willemsen M, Leufkens H G. 2005. Rare essentials? Drugs for rare diseases on the essential medicines list. Utrecht (NL): WHO Expert Committee on the Selection and Use of Essential Medicines, UISP.
- Sveriges Kommuner och Landsting. 2014. Ordnat införande i samverkan- Slutrapport från nationella läkemedelsstrategin, delprojekt 6.1. Sveriges Kommuner och Landsting.
- Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. 2004. Beslut 2004-11-09. URL: http://www.tlv.se/Upload/Beslut/BES_041110_Ventavis.pdf (Senast besökt: 2014-10-15).

- Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. 2010. TLV:s uppdrag angående omregleringen av apoteksmarknaden. Slutrapport den 13 april 2010 med anledning av regeringens uppdrag i samband med omregleringen av apoteksmarknaden (S2008/10720/HS).
- Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. 2012a. Omprovning av läkemedel för Gauchers sjukdom avslutad. URL: <http://www.tlv.se/lakemedel/omprovning-av-lakemedel/avslutade-omprovningar/omprovning-av-lakemedel-for-gauchers-sjukdom-avslutad/> (Senast besökt 2014-10-06).
- Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. 2012b. Soliris (eculizumab) Hälsoekonomiskt underlag. URL: http://www.tlv.se/Upload/Halsoekonomiska_bedomningar/hal-soekonomiskt-kunskapsunderlag-soliris.pdf (senast besökt: 2014-10-15).
- Walker S, Sculpher M, Claxton K, Palmer S. 2012. Coverage with evidence development, only in research, risk sharing, or patient access scheme? A framework for coverage decisions. *Value Health* 15(3): 570-9. Epub 2012 Mar 30.
- Wiss J, Levin L-Å. Preferences for Prioritizing Patients with Rare Diseases a Survey of the General Population in Sweden. 2014. *Value in Health* 7:A325-A326 (Abstrakt)

Författarna

Per Carlsson, professor, Avdelningen för hälso- och sjukvårdsanalys, Institutionen för medicin och hälsa vid Linköpings universitet. per.carlsson@liu.se

Mikael Hoffman, med.dr. och chef, Nätverk för läkemedels-epidemiologi (NEPI).

Lars-Åke Levin, professor, Avdelningen för hälso- och sjukvårdsanalys, Institutionen för medicin och hälsa vid Linköpings universitet. lars-ake.levin@liu.se

Lars Sandman, professor, Avdelningen för hälso- och sjukvårdsanalys, Institutionen för medicin och hälsa vid Linköpings universitet. lars.sandman@hb.se

Johanna Wiss, doktorand, Avdelningen för hälso- och sjukvårdsanalys, Institutionen för medicin och hälsa vid Linköpings universitet. johanna.wiss@liu.se

Statens offentliga utredningar 2014

Kronologisk förteckning

1. Vissa bostadsbeskattningsfrågor. Fi.
2. Framtidens valfrihetssystem
– inom socialtjänsten. S.
3. Boende utanför det egna hemmet
– placeringsformer för barn och unga.
S.
4. Det måste gå att lita på konsument-
skyddet. Ju.
5. Staten får inte abdikera
– om kommunaliseringen av den
svenska skolan. U.
6. Män och jämställdhet. U.
7. Skärpta straff för vapenbrott. Ju.
8. Översyn av statsskuldspolitiken. Fi.
9. Förändrad assistansersättning
– en översyn av ersättningssystemet. S.
10. Ett steg vidare – nya regler och åtgärder
för att främja vidareutnyttjande av
handlingar. S.
11. Kunskapsläget på kärnavfallsområdet
2014. Forskningsdebatt, alternativ och
beslutsfattande. M.
12. Utvärdera för utveckling – om utvärde-
ring av skolpolitiska reformer. U.
13. En digital agenda i människans tjänst
– en ljusnande framtid kan bli vår. N.
14. Effektiv och rättssäker PBL-över-
prövning. S.
15. Investeringsplanering för försvars-
materiel
En ny planerings-, besluts- och
uppföljningsprocess. Fö.
16. Det ska vara lätt att göra rätt
Åtgärder mot felaktiga utbetalningar
inom den arbetsmarknadspolitiska
verksamheten. A.
17. Genomförande av Seveso III-
direktivet. Fö.
18. Straffskalorna för allvarliga våldsbrott.
Ju.
19. Yrkeskvalifikationsdirektivet – ett
samlat genomförande. U.
20. Läkemedel för särskilda behov. S.
21. Bredband för Sverige in i framtiden. N.
22. Genomförande av EU:s nya redovis-
ningsdirektiv. Ju.
23. Rätt information på rätt plats i rätt tid.
Del 1, 2 och 3. S.
24. Olycksregister och djupstudier på
transportområdet. N.
25. Internationella rättsförhållanden
rörande arv. Ju.
26. Tillträde till COTIF 1999. Ju.
27. Svensk veteranpolitik. Ett ansvar för
hela samhället. + Bilagor. Fö.
28. Lönsamt arbete – familjeansvarets
fördelning och konsekvenser. A.
29. Assisterad befruktning för ensam-
stående kvinnor. Ju.
30. Jämställt arbete? Organisatoriska
ramar och villkor i arbetslivet. A.
31. Visselblåsare
Stärkt skydd för arbetstagare som slår
larm om allvarliga missförhållanden. A.
32. Jordbruks- och bostadsarrende
– några frågor om arrendeavgift och
besittningsskydd. Ju.
33. Från hyresrätt till äganderätt. Ju.
34. Inte bara jämställdhet
Intersektionella perspektiv på hinder
och möjligheter i arbetslivet. A.
35. I vått och torrt – förslag till ändrade
vattenrättsliga regler. M.
36. Frågor om följerrätt och om museernas
kopiering. Ju.
37. De svenska energimarknaderna
– en samhällsekonomisk analys. Fi.
38. Tillväxt och värdeskapande
Konkurrenskraft i svenskt jordbruk
och trädgårdsnäring. L.
39. Så enkelt som möjligt för så många
som möjligt
Bättre juridiska förutsättningar för
samverkan och service. N.
40. Neutral bolagsskatt – för ökad
effektivitet och stabilitet. Fi.

41. Nya regler om aktiva åtgärder mot diskriminering. A.
42. Kärnavfallsrådets yttrande över SKB:s Fud-program 2013. M.
43. Synnerligen grova narkotikabrott. Ju.
44. F-skuldsanering – en möjlighet till nystart för seriösa företagare. Ju.
45. Unik kunskap genom registerforskning. U.
46. Marknadsmisbruk II. Fi.
47. Förbättrad tvistlösning på konsumentområdet – ny EU-lagstiftning och en översyn av det svenska systemet. Ju.
48. Registerutdrag i arbetslivet. A.
49. Våld i nära relationer – en folkhälsofråga. Förslag för ett effektivare arbete. + Bilaga. Ju.
50. Med miljömålen i fokus – hållbar användning av mark och vatten. M.
51. Nya regler om upphandling. S.
52. Resolution. En ny metod för att hantera banker i kris. Vol 1 + 2. Fi.
53. Material i kontakt med dricksvatten – myndighetsroller och ansvarsfrågor. L.
54. Vildsvin och viltskador – om utfodring, kameraövervakning och arrendatorers jakträtt. L.
55. Inhyrning och företrädesrätt till återanställning. A.
56. Genomförande av Omnibus II-direktivet. Fi.
57. En ny reglering för tjänstepensionsföretag. Del 1 + 2. Fi.
58. Privat införsel av alkoholdrycker. Tydligare regler i konsekvens med svensk alkoholpolitik. S.
59. Bostadsförsörjning och riksintressen. M.
60. Tillförlitligare kreditupplysningar – ett förbättrat integritetsskydd vid offentligrättsliga krav. Ju.
61. Svensk kontanthantering. Fi.
62. Förbättrat förhandsbeskedsinstitut. Fi.
63. Organiserad brottslighet – förfälts- och underlåtenhetsansvar, kvalifikationsgrunder m.m. Ju.
64. En ny modell för åldersklassificering av film för barn och unga. Ku.
65. Försvarsmaktens behov av flygtrafiktjänst Civil och militär samverkan. N.
66. Myndigheter och organisationer under Miljödepartementet – en kartläggning. M.
67. Inbyggd integritet inom Inspektionen för socialförsäkringen. S.
68. Förenklade skatteregler för enskilda näringsidkare och fysiska personer som är delägare i handelsbolag. Fi.
69. En lag om upphandling av koncessioner. S.
70. Ändrade informationskrav på värdepappersmarknaden. Fi.
71. Ett jämställt samhälle fritt från våld – Utvärdering av regeringens satsningar 2010–2014. U.
72. Handel med begagnade varor och med skrot – vissa kontrollfrågor. N.
73. Försvarsmakten i samhället – en långsiktigt hållbar militär personalförsörjning och en modern folkförankring av försvaret. Fö.
74. Jämställdhet i socialförsäkringen? A.
75. Automatiserade beslut – färre regler ger tydligare reglering. N.
76. Fortsatt utveckling av förvaltningsprocessen och specialisering för skattemål. Ju.
77. Från analog till digital marksänd radio – en plan från Digitalradiosamordningen. Ku.
78. Ersättning för s.k. dold mervärdesskatt vid upphandling av luftburen ambulanssjukvård. Fi.
79. Internationella säkerheter i flygplan m.m. – Kapstadskonventionen och luftfartsprotokollet. Ju.
80. Ökad medvetenhet men långsam förändring – om kvinnor och män på ledande positioner i svenskt näringsliv. A.
81. Yrke, karriär och lön – kvinnors och mäns olika villkor på den svenska arbetsmarknaden. A.
82. Nya bestämmelser om säkerhetsutredning av olyckor. N.
83. Sanktionsväxling – effektivare sanktioner på exportkontrollområdet. UD.

84. Planera för effekt! N.
85. Telefonsäljning av finansiella tjänster och produkter. Fi.
86. Rättvisans pris. Ju.
87. Läkemedel för djur, maskinell dos och sällsynta tillstånd – hantering och prissättning. S.

Statens offentliga utredningar 2014

Systematisk förteckning

Arbetsmarknadsdepartementet

- Det ska vara lätt att göra rätt
Åtgärder mot felaktiga utbetalningar inom den arbetsmarknadspolitiska verksamheten. [16]
- Lösamt arbete
– familjeansvarets fördelning och konsekvenser. [28]
- Jämställt arbete? Organisatoriska ramar och villkor i arbetslivet. [30]
- Visselblåsare
Stärkt skydd för arbetstagare som slår larm om allvarliga missförhållanden. [31]
- Inte bara jämställdhet
Intersektionella perspektiv på hinder och möjligheter i arbetslivet. [34]
- Nya regler om aktiva åtgärder mot diskriminering. [41]
- Registerutdrag i arbetslivet. [48]
- Inhyrning och företrädesrätt till återanställning. [55]
- Jämställdhet i socialförsäkringen? [74]
- Ökad medvetenhet men långsam förändring – om kvinnor och män på ledande positioner i svenskt näringsliv. [80]
- Yrke, karriär och lön – kvinnors och mäns olika villkor på den svenska arbetsmarknaden. [81]

Finansdepartementet

- Vissa bostadsbeskattningsfrågor. [1]
- Översyn av statsskuldpolitiken. [8]
- De svenska energimarknaderna
– en samhällsekonomisk analys. [37]
- Neutral bolagsskatt – för ökad effektivitet och stabilitet. [40]
- Marknadsmissbruk II. [46]
- Resolution. En ny metod för att hantera banker i kris. Vol 1 + 2. [52]
- Genomförande av Omnibus II-direktivet. [56]

- En ny reglering för tjänstepensionsföretag. Del 1 + 2. [57]
- Svensk kontanthantering. [61]
- Förbättrat förhandsbeskedsinstitut. [62]
- Förenklade skatteregler för enskilda näringsidkare och fysiska personer som är delägare i handelsbolag. [68]
- Ändrade informationskrav på värdepappersmarknaden. [70]
- Ersättning för s.k. dold mervärdesskatt vid upphandling av luftburen ambulanssjukvård. [78]
- Telefonförsäljning av finansiella tjänster och produkter. [85]

Försvarsdepartementet

- Investeringsplanering för försvarsmateriel
En ny planerings-, besluts- och uppföljningsprocess. [15]
- Genomförande av Seveso III-direktivet. [17]
- Svensk veteranpolitik. Ett ansvar för hela samhället. + Bilagor. [27]
- Försvarsmakten i samhället
– en långsiktigt hållbar militär personalförsörjning och en modern folkförankring av försvaret. [73]

Justitiedepartementet

- Det måste gå att lita på konsumentskyddet. [4]
- Skärpta straff för vapenbrott. [7]
- Straffskalorna för allvarliga våldsbrott. [18]
- Genomförande av EU:s nya redovisningsdirektiv. [22]
- Internationella rättsförhållanden rörande arv. [25]
- Tillträde till COTIF 1999. [26]
- Assisterad befruktning för ensamstående kvinnor. [29]
- Jordbruks- och bostadsarrende
– några frågor om arrendeavgift och besittningsskydd. [32]

Från hyresrätt till äganderätt. [33]
Frågor om följerätt och om museernas kopiering. [36]
Synnerligen grova narkotikabrott. [43]
F-skuldsanering – en möjlighet till nystart för seriösa företagare. [44]
Förbättrad tvistlösning på konsumentområdet – ny EU-lagstiftning och en översyn av det svenska systemet. [47]
Våld i nära relationer – en folkhälsofråga. Förslag för ett effektivare arbete. + Bilaga. [49]
Tillförlitligare kreditupplysningar – ett förbättrat integritetsskydd vid offentligt rättsliga krav. [60]
Organiserad brottslighet – förfälts- och underlåtenhetsansvar, kvalifikationsgrunder m.m. [63]
Fortsatt utveckling av förvaltningsprocessen och specialisering för skattemål. [76]
Internationella säkerheter i flygplan m.m. – Kapstadskonventionen och luftfartsprotokollet. [79]
Rättvisans pris. [86]

Kulturdepartementet

En ny modell för åldersklassificering av film för barn och unga. [64]
Från analog till digital marksänd radio – en plan från Digitalradiosamordningen. [77]

Landsbygdsdepartementet

Tillväxt och värdeskapande
Konkurrenskraft i svenskt jordbruk och trädgårdsnäring. [38]
Material i kontakt med dricksvatten – myndighetsroller och ansvarfrågor. [53]
Vildsvin och viltskador – om utfodring, kameraövervakning och arrendatorers jakträtt. [54]

Miljödepartementet

Kunskapsläget på kärnavfallsområdet 2014. Forskningsdebatt, alternativ och beslutsfattande. [11]
I vått och torrt – förslag till ändrade vattenrättsliga regler. [35]

Kärnavfallsrådets yttrande över SKB:s Fud-program 2013. [42]
Med miljömålen i fokus – hållbar användning av mark och vatten. [50]
Bostadsförsörjning och riksintressen. [59]
Myndigheter och organisationer under Miljödepartementet – en kartläggning. [66]

Näringsdepartementet

En digital agenda i människans tjänst – en ljusnande framtid kan bli vår. [13]
Bredband för Sverige in i framtiden. [21]
Olycksregister och djupstudier på transportområdet. [24]
Så enkelt som möjligt för så många som möjligt
Bättre juridiska förutsättningar för samverkan och service. [39]
Försvarsmaktens behov av flygtrafiktjänst Civil och militär samverkan. [65]
Handel med begagnade varor och med skrot – vissa kontrollfrågor. [72]
Automatiserade beslut – färre regler ger tydligare reglering. [75]
Nya bestämmelser om säkerhetsutredning av olyckor. [82]
Planera för effekt! [84]

Socialdepartementet

Framtidens valfrihetssystem – inom socialtjänsten. [2]
Boende utanför det egna hemmet – placeringsformer för barn och unga. [3]
Förändrad assistansersättning – en översyn av ersättningssystemet. [9]
Ett steg vidare – nya regler och åtgärder för att främja vidareutnyttjande av handlingar. [10]
Effektiv och rättssäker PBL-överprövning. [14]
Läkemedel för särskilda behov. [20]
Rätt information på rätt plats i rätt tid. Del 1, 2 och 3. [23]
Nya regler om upphandling. [51]

Privat införsel av alkoholdrycker.

Tydligare regler i konsekvens med svensk alkoholpolitik. [58]

Inbyggd integritet inom Inspektionen för socialförsäkringen. [67]

En lag om upphandling av koncessioner. [69]

Läkemedel för djur, maskinell dos och sällsynta tillstånd – hantering och prissättning. [87]

Utbildningsdepartementet

Staten får inte abdikera

– om kommunaliseringen av den svenska skolan. [5]

Män och jämställdhet. [6]

Utvärdera för utveckling – om utvärdering av skolpolitiska reformer. [12]

Yrkeskvalifikationsdirektivet – ett samlat genomförande. [19]

Unik kunskap genom registerforskning. [45]

Ett jämställt samhälle fritt från våld –

Utvärdering av regeringens satsningar 2010–2014. [71]

Utrikesdepartementet

Sanktionsväxling – effektivare sanktioner på exportkontrollområdet. [83]