

Finansiering, subvention och prissättning av läkemedel – en balansakt

Delbetänkande av Läkemedelsutredningen

Stockholm 2017



STATENS OFFENTLIGA
UTREDNINGAR

SOU 2017:87

SOU och Ds kan köpas från Wolters Kluwers kundservice.
Beställningsadress: Wolters Kluwers kundservice, 106 47 Stockholm
Ordertelefon: 08-598 191 90
E-post: kundservice@wolterskluwer.se
Webbplats: wolterskluwer.se/offentligapublikationer

För remissutsändningar av SOU och Ds svarar Wolters Kluwer Sverige AB
på uppdrag av Regeringskansliets förvaltningsavdelning.

Svara på remiss – hur och varför

Statsrådsberedningen, SB PM 2003:2 (reviderad 2009-05-02).

En kort handledning för dem som ska svara på remiss.

Häftet är gratis och kan laddas ner som pdf från eller beställas på regeringen.se/remisser

Layout: Kommittéservice, Regeringskansliet

Omslag: Elanders Sverige AB

Tryck: Elanders Sverige AB, Stockholm 2017

ISBN 978-91-38-24696-2

ISSN 0375-250X

Till statsrådet

Regeringen beslutade den 17 november 2016 att tillkalla en särskild utredare med uppgift att göra en översyn av nuvarande system för finansiering, subvention och prissättning av läkemedel. Utredaren ska senast den 1 november 2017 lämna en delredovisning av uppdraget som innehåller en övergripande problembeskrivning och en beskrivning av inriktningen för det fortsatta arbetet. Uppdraget ska slutredovisas senast den 1 december 2018.

Som särskild utredare förordnades f.d. landstingsdirektören Toivo Heinsoo. Utredningen har antagit namnet Läkemedelsutredningen (S 2016:07).

Som sakkunniga förordnades, med verkan från den 1 februari 2017, rättssakkunniga Sarah Cagnell, departementssekreteraren Fredrik Friberg, rektorn Anders Hamsten, ämnesrådet Stefan Karlsson och departementssekreteraren Lisa Ståhlberg. Som experter förordnades, med verkan från den 1 februari 2017, avdelningschefen Fredrik Andersson, Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket, konkurrenssakkunniga Ann-Britt Bern, Konkurrensverket, direktören Marie Gårdmark, Läkemedelsverket, överläkaren Maria Palmetun Ekbäck, Örebro läns landsting, utredaren Tobias Renberg, E-hälsomyndigheten, läkaren Emma Spak, Läkarförbundet, läkemedelsstrategen Mikael Svensson, Sveriges Kommuner och Landsting, juristen Lisa van Duin, Socialstyrelsen och farmacie doktorn Bernt Åslund, Prostatacancerförbundet.

Tobias Renberg entledigades den 20 april 2017 och samma dag förordnades farmaceutiska utredaren Örjan Åkerrén. Den 30 juni 2017 entledigades Emma Spak och samma dag förordnades läkaren Elin Karlsson.

Som huvudsekreterare i utredningen anställdes den 6 februari 2017 projektdirektören Joakim Ramsberg. Som sekreterare i utredningen anställdes den 16 januari juristen Sofia Aslamatzidou och

kanslirådet Elin Feldt och den 1 april 2017 utredaren Love Linnér och direktören Fredrik Moen.

Utredningen överlämnar härmed sitt delbetänkande, *Finansiering, subvention och prissättning av läkemedel – en balansakt* (SOU 2017:87).

Stockholm i november 2017

Toivo Heinsoo

/ Joakim Ramsberg
Sofia Aslamatzidou
Elin Feldt
Love Linnér
Fredrik Moen

Innehåll

Sammanfattning	13
1 Inledning.....	25
1.1 Utredningens uppdrag och arbete	25
1.1.1 Utredningens direktiv	25
1.1.2 Avgränsning av uppdraget	28
1.1.3 Redovisning av uppdraget	29
1.1.4 Utredningens tolkning av uppdraget	29
1.1.5 Utredningsarbetet	30
1.2 Betänkandets disposition.....	31
1.3 Uppdelningen i förskrivning och rekvisition är grunden för prissättning och finansiering	32
1.3.1 Begreppen förskrivning och rekvisition samt öppen och sluten vård	32
1.3.2 Om ett läkemedel ska förskrivas eller rekvireras avgör hur läkemedlet ska prissättas och finansieras	32
1.3.3 Valet mellan förskrivning och rekvisition är avsett att göras utifrån en medicinsk bedömning	33
1.3.4 Andra faktorer än bara medicinska påverkar valet	35
1.3.5 Skillnader mellan landsting	36
2 Inriktning på vårt fortsatta arbete	39
2.1 Fördjupade analyser	39
2.2 Mål och målkonflikter	41

2.3	Alternativa finansieringslösningar	42
2.3.1	Staten får hela finansieringsansvaret	42
2.3.2	Finansieringsansvaret flyttas till landstingen fullt ut	43
2.3.3	Staten och landstingen delar på finansieringsansvaret	47
2.4	Alternativa pris- och betalningsmodeller	50
2.4.1	Fem prismodeller	50
2.4.2	Det finns olika sätt att betala för läkemedel	53
2.4.3	Sammantagen bedömning	56
3	Utvecklingen internationellt och i Sverige skapar viktiga förutsättningar	57
3.1	Kärvare tider för landstingen	59
3.1.1	Demografiska förändringar viktig drivkraft	61
3.1.2	Ojämlikhet i inkomst leder till ojämlikhet i hälsa	63
3.1.3	Sjukdomspanoramat och läkemedelsanvändningen.	63
3.1.4	Patienternas förväntningar förändras	65
3.1.5	Vården omstruktureras	67
3.1.6	Innovationer och teknikutveckling	69
3.2	En mer samordnad modell har förespråkats	76
3.3	Internationella trender	78
3.3.1	EU-samarbetet kring läkemedel förändras och fördjupas	79
3.3.2	OECD en allt tyngre aktör inom hälsoområdet	86
3.3.3	WHO tar ett bredare anslag kring läkemedelsfrågor	87
3.3.4	Fördjupat nordiskt samarbete	88
4	Nuvarande system för prissättning	91
4.1	Olika krav för godkännande och prissättning påverkar prissättningen	91

4.2	Prissättning av läkemedel som omfattas av läkemedelsförmånerna	93
4.2.1	Processen för ansökan om subvention och prissättning	93
4.2.2	Prissättningen sker utifrån den etiska plattformen	94
4.2.3	Prissättningens utveckling	96
4.2.4	Trepartsöverläggningar och sidoöverenskommelser	98
4.2.5	Kostnadsbesparingar	104
4.3	Sekretess hos TLV och landsting	106
4.4	Öppenvårdsapotekens förhandlingsrätt	107
4.5	Prissättning av läkemedel utanför läkemedelsförmånerna	109
4.5.1	Särskilt om smittskyddsläkemedel	111
4.6	NT-rekommendationer och andra landstingsprocesser för att ett läkemedel ska nå patienten	113
4.7	Samverkansinitiativ som syftar till att påskynda patienters tillgång till läkemedel	115
5	Dagens ordning för finansiering av läkemedel	119
5.1	Den historiska framväxten av det särskilda statsbidraget för läkemedel	122
5.1.1	Den kommunala finansieringsprincipen	122
5.1.2	Statens läkemedelsbidrag till landstingen hanteras genom överenskommelser	123
5.2	Landstingens finansieringsansvar för läkemedel som inte ingår i förmånen	133
5.2.1	Landstingen subventionerar läkemedel utanför förmånerna för vissa grupper	134
5.2.2	Det kommunalekonomiska utjämningsystemet	134
5.3	Landstingens lokala finansieringslösningar	135
5.3.1	Decentraliserat budgetansvar	136
5.3.2	Introduktionsfinansiering	136

5.4	Patienternas del i finansiering av läkemedel.....	137
5.4.1	Högekostnadsskyddet för läkemedel	137
5.4.2	Patienternas finansiering av läkemedel utanför förmånen.....	138
6	Utmaningar med nuvarande prissättning	141
6.1	Ett komplicerat system för prissättning	142
6.1.1	Företag kan välja mellan olika processer för nationell prioritering.....	144
6.1.2	Vinster och utmaningar avseende sidoöverenskommelser och NT-rådet	145
6.1.3	Sidoöverenskommelsernas praktiska konsekvenser för landstingen.....	146
6.1.4	Ytterligare konsekvenser av att TLV bedömer att sekretess gäller för omfattningen av återbäringen i sidoöverenskommelser	147
6.1.5	Apotekens förhandlingsrätt får konsekvenser för prissättningssystemet.....	148
6.2	Ett positivt utvecklingsarbete.....	149
6.3	Vissa rättsliga utmaningar med trepartsöverläggningar och NT-rådet	150
6.3.1	Finns det en lagreglering som tillåter trepartsöverläggningar, sidoöverenskommelser och NT- rekommendationer?	150
6.3.2	Vilken rättslig status har en sidoöverenskommelse?	152
6.3.3	Vilken rättslig status har en rekommendation från NT-rådet?	153
6.3.4	Behövs det ytterligare lagreglering?	155
6.4	Samhällsekonomiskt effektiv användning av läkemedel	158
6.5	Risk för låg precision vid prioriteringsbeslut.....	159
6.5.1	Kostnadseffektivitet varierar över olika indikationer	160
6.5.2	Begränsad subvention som verktyg för att öka precisionen.....	162

6.6	Den etiska plattformen.....	164
6.7	Extern referensprissättning och värdebaserad prissättning kan påverka pris och introduktion av läkemedel i Sverige	168
6.7.1	Svenska priser skiljer sig mellan mätningar.....	171
6.7.2	Faktiska priser svåra att mäta.....	174
6.7.3	Sortimentsbredd och tid till lansering.....	176
6.7.4	Tillgången till läkemedel är generellt god i Sverige jämfört med andra länder	178
6.8	Viktigt att uppnå ett dynamiskt pris över livscykeln för ett läkemedel	180
6.8.1	Fas ett och två präglas av ökad osäkerhet och avsaknad av konkurrens	181
6.8.2	I den tredje fasen ökar ofta användningen	183
6.8.3	I den fjärde fasen ökar konkurrensen.....	185
6.8.4	I den femte fasen minskar konkurrensen.....	188
6.9	Svårt fastställa läkemedlets värde vid bristfällig information.....	189
6.9.1	Värderingen kan förändras under livscykeln	191
6.9.2	Uppföljning och kunskapsstyrning möter stora utmaningar.....	192
6.10	Antibiotika, särlekemedel, kombinationsbehandlingar och nya typer av läkemedel sätter modellen på prov.....	193
6.10.1	Antibiotika.....	193
6.10.2	Särlekemedel	197
6.10.3	Kombinationsbehandlingar.....	200
6.11	Pris- och finansieringssystem sänder signaler om vilka innovationer samhället värdesätter	201
6.11.1	Kliniska prövningar värdefulla för patienter.....	203
6.11.2	Läkemedelsforskning påverkas av prissättning och upptag.....	204
6.11.3	Värdebaserad prissättning och forskning.....	205
6.11.4	Registerbaserad läkemedelsforskning viktigt för framtiden.....	206

7	Utmaningar med nuvarande finansieringsordning	209
7.1	Analytiskt ramverk och översiktliga slutsatser.....	209
7.2	Kostnadseffektiv användning ur ett samhällsperspektiv....	210
7.2.1	Kostnader i andra sektorer är stora och viktiga ..	212
7.2.2	Kommunalt självstyre och statlig påverkan.....	217
7.3	God tillgång till läkemedel	218
7.4	Jämlik och patientcentrerad vård.....	223
7.5	Långsiktig hållbarhet genom rimliga läkemedelskostnader	230
7.6	Tydlig ansvarsfördelning mellan stat och landsting och förutsägbara processer.....	232
7.6.1	Varierande kostnadsrisk för landstingen	233
7.6.2	Sena förhandlingar ger dåliga planeringsförutsättningar	234
7.7	Goda förutsättningar för forskning och innovation till nytta för patienten.....	234
8	Finansiering av förbrukningsartiklar	237
8.1	Finansieringsansvaret för förbrukningsartiklar	237
8.2	Förbrukningsartiklar inom läkemedelsförmånerna.....	238
8.3	Upphandling av förbrukningsartiklar	241
8.4	Sortimentsbredd	243
	Referenser	245

Bilagor

Bilaga 1	Kommittédirektiv 2016:95	263
Bilaga 2	Pris- och betalningsmodeller	293
Bilaga 3	Dagens läkemedelsutveckling ger utmaningar för betalningsmodellen	325
Bilaga 4	Patienters, medborgares och vårdprofessioners syn på och förtroende för läkemedelsprissättning, läkemedelssubvention och läkemedelsfinansiering inom ramen för offentligt finansierade välfärdssystem – en översikt med kommentarer utifrån den etiska plattformen	339

Sammanfattning

Detta är ett delbetänkande till Läkemedelsutredningen, den första översynen av finansieringsordningen för förmånsläkemedel sedan 1998 då kostnadsansvaret för läkemedelsförmånerna formellt övergick från staten till landstingen. Vi ska även se över systemet för prissättning och subvention som tillkom för drygt 15 år sedan.

Inriktningen på vårt fortsatta arbete

I direktiven presenterar regeringen ett antal mål som ska eftersträvas i de förslag som utredningen lämnar:

1. Användningen av läkemedel ska vara kostnadseffektiv ur ett samhällsperspektiv.
2. Det ska finnas god tillgång till befintliga och nya effektiva läkemedel till en rimlig kostnad.
3. Vården ska vara jämlik och patientcentrerad.
4. Systemet ska vara långsiktig hållbart genom att bidra till att läkemedelskostnaderna hålls på en rimlig nivå.
5. Det ska finnas en tydlig ansvarsfördelning mellan stat och landsting.
6. Processerna ska vara förutsägbara för berörda aktörer.
7. Goda förutsättningar för forskning och innovation till nytta för patienten ska eftersträvas.

Vi kommer att sträva efter att identifiera lösningar som ger så god måluppfyllelse som möjligt. Om en lösning riskerar att ha dålig måluppfyllelse i någon dimension kommer vi eftersträva att det kompenseras med särskilda åtgärder. I vissa fall kan det dock bli nödvändigt att väga olika mål mot varandra.

Alternativa finansieringslösningar

Finansieringsansvaret för läkemedel kan i princip fördelas på tre olika sätt:

Det första alternativet är att *staten tar över* finansieringsansvaret för alla läkemedel oavsett om de förskrivs eller rekvireras. Utredningen har inte för avsikt att undersöka detta alternativ vidare, då det så länge staten inte har huvudansvaret för hälso- och sjukvården inte heller är realistiskt att tänka sig ett helstatligt finansieringsansvar för läkemedel.

Nästa alternativ är att *landstingen får hela ansvaret* för finansieringen av både förskrivnings- och rekvisitionsläkemedel. Skillnaden jämfört med dagens ordning skulle då vara att det särskilda statsbidraget för läkemedelsförmånen avskaffas. Vilka metoder som finns för att ge landstingen det faktiska finansieringsansvaret vill vi återkomma till i slutbetänkandet. Utredningens direktiv anger tydligt att vi ska överväga att det särskilda statsbidraget helt övergår till det generella statsbidraget, men andra möjligheter kommer också att diskuteras.

Den stora fördelen med att ge landstingen hela finansieringsansvaret för läkemedel är att detta kan ge bättre och sammanhållna möjligheter att styra och prioritera, vilket skulle kunna medföra en effektivare resursanvändning. I ljuset av indikationer på ökande läkemedelskostnader är detta viktigt.

Samtidigt blir de enskilda landstingens ekonomiska utveckling en viktig faktor eftersom landstingen nu har vissa garantier för att ökade kostnader för läkemedel inom förmånen helt eller delvis bekostas av staten. En nackdel med att flytta över kostnadsansvaret är då risken för ojämlig tillgång till läkemedel i olika landsting och olika snabbt upptag av nya läkemedel. Slutligen kan små landsting ha ekonomiska eller organisatoriska svårigheter att hantera ett fullt finansieringsansvar. De alltmer avancerade läkemedel som lanseras kommer också att kräva större resurser och kompetens som kan vara svår att etablera och upprätthålla i flera enskilda landsting. Det skulle under alla omständigheter behövas ett väl utvecklat samarbete mellan landstingen och väl utvecklade stödfunktioner från staten.

Det tredje alternativet är att *staten och landstingen delar på finansieringsansvaret*. Det formella finansieringsansvaret ligger i dag hos

landstingen för alla läkemedel, men det särskilda statsbidraget för förmånsläkemedel innebär att staten och landstingen delar på finansieringsansvaret, uppdelat efter förskrivnings- och rekvisitionsläkemedel. Men andra former av delat ansvar för finansieringen är tänkbara. I utredningens direktiv lyfts t.ex. möjligheten att dela finansieringsansvaret så att staten finansierar nya, effektiva läkemedel oavsett om de förskrivs eller rekvireras.

Utgångspunkten för en lösning med ett delat ansvar är att vi har 21 huvudmän för hälso- och sjukvården men samtidigt också starka nationella intressen som kräver att huvudmännen agerar likartat, koordinerat och tar hänsyn till vissa mål som kan ligga utanför landstingens centrala åtaganden. En lösning måste respektera det kommunala självstyret, men skapa ett tydligt system utan onödig fragmentering. Samtidigt behöver det finnas mekanismer som säkerställer att de nationella intressena – exempelvis jämlikhet och goda förutsättningar för forskning och innovation – tillvaratas så långt som möjligt.

Både för- och nackdelar med olika ansvarsfördelning

Vår samlade bedömning hittills är att om mål som kostnadskontroll och ett sammanhållet ansvar för sjukvården prioriteras skulle dessa kunna främjas av en landstingsfinansiering. Andra mål som är mer relaterade till nationella intressen, som jämlikhet, snabbt och brett upptag av innovationer och samhällsekonomisk effektivitet, blir inte lika tydligt främjade. Dessa mål skulle kunna vara så centrala att det finns anledning för staten att även fortsättningsvis ansvara för en del av finansieringen av läkemedel. De olika målen måste alltså balanseras mot varandra och ändamålsenlighet måste i viss mån avgöras av den relativa vikt man fäster vid olika mål. Slutligen kommer vi fortsättningsvis mer fördjupat studera effekter och konsekvenser av en förändring. I den mån det riskerar att uppstå låg måluppfyllelse i några avseenden är det viktigt att undersöka om det går att hitta åtgärder som kompenserar för detta. En viktig pusselbit i det avseendet kan vara i vilken utsträckning nationell kunskapsstyrning kan användas för att säkerställa en mer jämlik vård.

Fortsatta analyser

Vi ser ett flertal frågeställningar som bör analyseras djupare för att vi i slutbetänkandet ska kunna lämna förslag som når utredningsdirektivens mål, däribland:

Finansiering

- Diskussionen kring de problem som landsting, patienter och andra aktörer framfört angående uppdelningen av finansieringen i öppen- och slutenvård.
- Frågan, som anges i direktiven, om det finns ett fortsatt behov av uppdelning i öppenvårdsläkemedel respektive slutenvårds-läkemedel vad gäller finansieringen.
- Eventuella behov av någon annan form av uppdelning vad gäller finansieringen.
- Behovet av kostnadsutjämning och förutsättningarna för landstingen, särskilt de mindre, att klara ökade kostnader för läkemedel och i vilken mån utjämningssystemet kan säkerställa jämlik vård och en ändamålsenlig introduktion av nya läkemedel.

Prissättning

- Problem som uppstår genom att ett och samma läkemedel kan ha olika pris beroende av om det förskrivs inom förmånen eller rekvireras och om det är möjligt att införa ett prissättnings-system som inte är beroende av om ett läkemedel förskrivs eller rekvireras.
- Analys av faktiska läkemedelspriser i Sverige jämfört med andra länder.
- Analys av vilka hinder och förutsättningar som finns för att på kort och lång sikt utveckla möjligheterna till uppföljning och utvärdering kopplat till processen för prissättning och finansiering.

I det fortsatta arbetet ingår därmed frågeställningar som vilka problem som kan lösas genom att ta bort uppdelningen mellan förmånsläkemedel och rekvisitionsläkemedel i fråga om finansiering och prissättning, vilka praktiska och juridiska möjligheter respek-

tive hinder som finns för att ta bort gränsdragningen samt vilka konsekvenser det skulle få för landsting, patienter och andra aktörer som exempelvis apoteken.

Utmaningar både nu och i framtiden

Landstingen har redan en utmanande ekonomisk situation och framtida demografiska förändringar kommer att medföra stigande kostnader för vård och omsorg och samtidigt en minskad skattebas. Det kommer att krävas både effektivisering av vården och prioriteringar. Att utnyttja de resurser som finns – inklusive läkemedel – på bästa sätt kommer vara avgörande för hanteringen av kostnadsutveckling och finansiering av vård och omsorg. Vidare förändras patienternas ställning i vården, liksom deras och medborgarnas förväntningar på hälso- och sjukvården. Ojämlikheten i samhället fortsätter att öka och det blir allt viktigare att se till att vården möter detta så att ojämlikheten i ohälsa inte fortsätter att öka.

Kroniska sjukdomar och cancer kommer att öka. Eftersom vården har uttalade brister när det gäller att ta hand om personer med kronisk sjukdom finns ett stort förändringsbehov och därmed en stor effektiviseringspotential. Ändamålsenlig läkemedelsbehandling är en central del i detta.

Ny teknik, inte minst nya läkemedel, är en nödvändig del av lösningen på vårdens framtida problem. Då konkurrensen om arbetskraften växer kommer det krävas arbetsbesparande lösningar, däribland nya läkemedel. Men många av de nya läkemedel som är under utveckling kommer samtidigt ställa pris- och finansieringsystemen inför större och ibland nya krav. Mycket av dagens läkemedelsutveckling gäller målinriktade behandlingar, som ofta kräver utvärdering baserat på små dataunderlag. Vidare kan dessa läkemedel skapa helt nya vårdförlopp, vilket är utmanande om inte pris- och finansieringsbeslut tas i nära samarbete med den vård som måste förändras. Andra utmaningar gäller nödvändigheten att fortsätta följa användning och effekt i klinisk vardag när det finns osäkerhet kring kostnadseffekten och dessutom de finansiella och etiska frågorna runt behandlingar som är mycket kostsamma per patient. Men även när det gäller förbättrade läkemedel för kroniska sjukdomar och botande behandlingar för mer vanliga tillstånd kan

det vara ett problem att vinsterna för individer och samhälle kanske uppstår i framtiden eller i andra delar av samhället än hälso- och sjukvården.

En beskrivning av systemen för prissättning och finansiering och identifierade utmaningar

Läkemedel prissätts på olika sätt

Läkemedel prissätts på olika sätt beroende på flera faktorer, bland andra om de är avsedda att förskrivas och omfattas av läkemedelsförmånerna eller om de är avsedda att rekvireras. För läkemedelsförmånerna ansöker läkemedelsföretag om subvention och pris hos TLV där beslut fattas utifrån en sammanvägning av den etiska plattformens principer om människovärde, behov, solidaritet och kostandseffektivitet. För vissa läkemedel, främst parallellimporterade läkemedel, har apoteken förhandlingsrätt vilket innebär att de får använda andra priser än de som TLV fastställer.

För läkemedel som inte omfattas av läkemedelsförmånerna råder fri prissättning. Fri prissättning gäller även för de läkemedel som inte omfattas av läkemedelsförmånerna men som subventioneras av landstingen, förskrivs enligt smittskyddslagen eller förskrivs till asylsökande.

Medan beslut om subvention och pris av ett läkemedel fattas av TLV, är det landstingen och behörig hälso- och sjukvårdspersonal som bestämmer om läkemedlet ska börja ordineras till patienter. Därför kan situationer uppstå där ett läkemedel används trots att TLV inte beviljat subvention, eller där TLV beviljar subvention men användningen blir låg. För vissa läkemedel utfärdar det av hälso- och sjukvårdsdirektörerna utsedda rådet för Nya terapier (NT-rådet) en rekommendation om användning. Efter NT-rådets rekommendation, alternativt TLV:s beslut, hanteras läkemedlet vidare i landstingen. I varje landsting ska det finnas en eller flera läkemedelskommittéer som ska verka för en tillförlitlig och rationell läkemedelsanvändning.

Prissättningen möter utmaningar

Systemen för att prissätta och betala för läkemedel har utvecklats för att möta nya utmaningar med bland annat mer målinriktade behandlingar och ett behov av mer dynamisk prissättning. Arbetet har varit nödvändigt och gett positiva resultat men har med utvecklingens gång lett till allt mer komplexa system, inte minst genom den ibland oklara uppdelningen mellan olika processer för nationell prioritering och användningen av sekretessbelagda sidoöverenskommelser.

Komplexiteten har i vissa avseenden nått en grad där såväl finansieringen som prissättningen i vissa delar förefaller oförutsägbar, vilket hotar systemens legitimitet. En bidragande orsak till oförutsägbarheten (och andra svårigheter) är att pris- och finansieringssystemets nuvarande uppdelning efter rekvisition och recept inte är fullt ändamålsenlig för att möta patienternas och sjukvårdens behov.

Utredningen har identifierat ett flertal omständigheter som tyder på att det kan behövas ett tydligare regelverk för att processen för prissättning ska bli rättssäker. Det handlar bl.a. om brister i förutsägbarhet och tydlighet. Behov av rättsligt stöd finns särskilt vad gäller sidoöverenskommelser och NT-rekommendationer eftersom de har ett så stort inflytande i om ett läkemedel ska omfattas av läkemedelsförmånerna, till vilket pris- både i förhållande till konsument men även i förhållande till aktuellt företag – och hur läkemedlet ska prioriteras.

Tillämpningen i delar svår

Utredningen identifierar några utmaningar med tillämpningen av modellen för prissättning. Den första är att *uppdelningen av prissättningen i förskrivnings- och rekvisitionsläkemedel* medför att läkemedel prissätts efter olika principer och att samma läkemedel kan ha olika pris. Den andra utmaningen är möjligheten att tillämpa ett *samhällsperspektiv*.

Den tredje är risken för *låg precision i beslut* om pris och subvention och, i förlängningen, i användningen av läkemedel. Det finns flera orsaker. En är att kostnadseffektiviteten för ett läkemedel kan variera markant mellan och inom indikationer. Problemet hanteras i huvudsak genom begränsade subventionsbeslut och kunskapsstyrning, till exempel via NT-rådets rekommendationer, men dessa instrument är förhållandevis trubbiga.

*Svenska priser på patentskyddande läkemedel
förefaller varken höga eller låga*

I utredningens direktiv uttrycks en farhåga att den svenska modellen för prissättning i kombination med extern referensprissättning leder till onödigt höga priser i Sverige. Enligt TLV:s senaste analys ligger svenska officiella priser (listpriser) i nivå med andra jämförbara länder. Sekretessbelagda avtal om faktiska priser är vanliga, vilket kan göra listpriser missvisande. De begränsade studier som finns om faktiska priser tyder på att priserna varierar betydligt både inom och mellan länder. Generikapriserna i Sverige tillhör de lägsta i Europa, men inte för biosimilarer. Mycket av den oro som finns om höga priser handlar om cancerläkemedel – i Sverige ökade kostnaderna med 80 procent mellan 2005 och 2014. Kostnaden per vunnen hälsoeffekt har ökat markant vilket i sin tur ökar osäkerheten om kostnadseffektiviteten.

Priset bör naturligtvis ställas mot klinisk effekt, men också sortimentsbredd och tid till lansering. Sverige utmärker sig inte när det gäller tid till lansering men sortimentsbredden är generellt god jämfört med andra länder.

För att optimera tillgång och pris är det viktigt att uppnå ett dynamiskt pris över läkemedlets livscykel. Mycket av utvecklingsarbetet i Sverige har gått åt det hållet men arbetet kräver mycket resurser, både från TLV och från landstingen. Resursbegränsningar hos centrala aktörer kan innebära att det inte finns möjlighet att följa och omvärdera så många läkemedel som egentligen är motiverat.

Information om faktisk tillgång till *särläkemedel* och kostnader för dessa är i dag bristfällig. Det finns en bild bland industriföreträdare och patienter att hanteringen i landstingen är det som främst bromsar introduktionen av särläkemedel.

Lärande och innovation viktiga områden

Behovet av att kunna följa upp utfallet och kvaliteten i vården ökar. Dagens datastruktur är inte skapad utifrån dessa behov. Det är svårt för berörda myndigheter att följa läkemedelsanvändningen. Det finns behov av att klargöra vem som kan få tillgång till data

från olika nationella register, hur det kan ske och beslutsprocessen kring vilka data som ska samlas in när behoven förändras.

En värdebaserad prismodell skickar en signal om vilka kliniska framsteg som anses värdefulla. Tillgång till kvalitets- och utfallsdata är viktigt för Sveriges framtid som forskningsnation, även om många andra faktorer påverkan möjligheterna att dra nytta av dessa.

Finansiering

Läkemedel finansieras av staten, landstingen och patienterna i ett komplext system med många undantag från huvudregeln. Läkemedel som används i sluten vård finansieras huvudsakligen av landstingen genom landstingsskatten. Receptbelagda läkemedel som inte ingår i förmånen finansieras vanligtvis av patienterna fullt ut. Läkemedel som förskrivs på recept och som ingår i förmånen finansieras som huvudregel av patienten upp till nivån för högstkostnadsskydd, därefter av landstingen. Samtidigt får landstingen ett bidrag från staten för dessa kostnader. Till detta finns ett antal undantag.

År 1998 beslutades att flytta kostnadsansvaret för läkemedelsförmånen från sjukförsäkringen till sjukvårdshuvudmännen i syfte att ge huvudmännen bättre möjligheter att styra och prioritera, vilket skulle innebära en effektivare resursanvändning. Sedan 1998 har landstingen därför erhållit ett särskilt statsbidrag för kostnaderna för läkemedelsförmånen, samtidigt som de haft det formella kostnadsansvaret. Formerna för bidraget har reglerats genom särskilda överenskommelser mellan staten och Sveriges Kommuner och Landsting.

Den rådande komplexiteten kring hur läkemedel finansieras är till stor del en följd av den förhandlingsordning som har pågått sedan 1998.

Finansieringsordningen har varierande måluppfyllelse

Beträffande måluppfyllelse utifrån direktivets mål har vi funnit att dagens system inte skapar någon särskilt tydlig ansvarsfördelning. När det gäller de övriga målen verkar det som om det regionala inslaget bidrar till kontroll och hållbarhet.

Det går inte att säkert säga om landstingen anlägger ett samhällsperspektiv eller inte vid prioriteringsbeslut gällande läkemedel. Lokala/regionala budgetprocesser kan vara viktigare, men där sätter balanskrav troligen vissa restriktioner.

En följd av nuvarande ordning, där innehållet i överenskommelserna varierar mellan åren, är sämre förutsägbarhet och transparens för både stat och landsting beträffande bidragets storlek och innehåll. Överenskommelserna har de senaste åren också blivit klara först en bit in på det år som de avser, vilket har medfört sämre förutsägbarhet och sämre planeringsförutsättningar för landstingen.

Med avseende på jämlik tillgång är bilden komplex. Vi anser att det är tydligt att det förekommer både geografisk och socioekonomisk ojämlikhet i tillgången på läkemedel. Sammantaget är en individs läkemedelsanvändning resultatet av en komplex kedja av händelser och vilken roll finansieringen spelar för den ojämlika tillgången på läkemedel varierar mellan olika situationer. För mer kostsamma läkemedel eller nyintroducerade läkemedel har sannolikt lokala budgetprocesser, processen för prissättning samt den kunskapsstyrning som sker i samband med prissättning och prioritering stor påverkan på hur snabbt en jämlik läkemedelsanvändning uppnås. Dagens system medger att kostnaderna ökar vid behov och det kan också minska risken för ojämlikhet.

Utformningen av landstingens lokala budgetar påverkar sannolikt prioriteringsbesluten mer än ett särskilt statsbidrag, men det går inte att avgöra säkert om skillnaderna skulle varit ännu större med en annan finansieringsordning.

Utredningen bedömer vidare att finansieringsordningen med sin uppdelning i öppen och sluten vård kan påverka möjligheterna att ge en ändamålsenlig och patientcentrerad vård. Vi saknar viktig information för att avgöra hur stort problemet är för patienterna och avser att återkomma med ytterligare analyser i den frågan.

Vi bedömer att det kan finnas ett samband mellan finansieringsordningen och upptaget av innovativa produkter i vården. I förlängningen kan detta påverka förutsättningarna för forskning och innovation, men det går inte att säga hur starkt det sambandet med forskning är eftersom det finns flera andra faktorer som är av kritisk betydelse för starka forskningsmiljöer.

Förbrukningsartiklar

Landstingen har kostnadsansvaret för förbrukningsartiklar som ingår i läkemedelsförmånerna, men får ett särskilt statsbidrag för dessa kostnader. Kostnader för förbrukningsartiklar som upphandlas av landstingen betalas genom landstingsskatten. För de delar av kostnaderna för förbrukningsartiklar som flyttats från läkemedelsförmånerna till direkt inköp av landstingen får landstingen dock en viss ersättning från staten.

Inom läkemedelsförmånerna finns i regel ett flertal olika varianter av en viss förbrukningsartikel tillgängliga, med något varierande funktioner och egenskaper. Vad gäller upphandling av förbrukningsartiklar har patientorganisationer framhållit att det är problematiskt att sortimentsbredd och tillgänglighet minskar. Vid utredningens diskussioner har dock också framkommit att eventuella negativa konsekvenser av en upphandling av förbrukningsartiklar kan minskas genom en väl utformad process, där upphandlingsunderlag tas fram i nära samarbete med vårdpersonal som känner till patienternas behov av till exempel sortimentsbredd.

När förbrukningsartiklar upphandlas och därmed hanteras utanför läkemedelsförmånerna finns inget krav på att distributionen måste ske via ett apotek. I de fall landstingen väljer att distribuera förbrukningsartiklar på annat sätt än via apotek kan försäljningen inte registreras av E-hälsomyndigheten. Då försäljningsdata för förbrukningsartiklar som upphandlats inte finns tillgängliga i en samlad datakälla försvåras analyser av hur mycket upphandling påverkar sortimentsbredd och vilka effekter det får på övrig vårdkonsumtion.

Stor aktivitet internationellt

Mycket av de senaste årens internationella debatt kring läkemedel har färgats av en ny generation läkemedel med mycket höga priser. Framför allt läkemedel mot hepatit C och nya cancerläkemedel har fört frågan om pris och tillgänglighet högt på den internationella dagordningen.

Intresset för internationellt samarbete ökar. EU-samarbetet förändras och fördjupas. Informationsutbytet kring priser fortsätter att utvecklas. Flera multilaterala samarbeten är på gång kring samordnade prisförhandlingar och gemensam upphandling utanför den

formella EU-strukturen. EU-kommissionen arbetar på ett lagförslag om gemensam utvärdering av det kliniska värdet av nya läkemedel och medicinska terapier. Det går hand i hand med trenden mot ett livscykelperspektiv och en samordnad modell för regulatorisk och ekonomisk utvärdering av läkemedel.

OECD tar ett allt större ledarskap kring läkemedelsfrågorna. Även WHO breddar sitt anslag. Helt nya modeller för incitament för forskning och utveckling diskuteras, vilket kopplar till EU-kommissionens utvärdering av incitamentstrukturer på läkemedelsområdet. Även det nordiska samarbetet fortsätter att utvecklas. Det pågår försök till gemensam utvärdering av medicinsk teknik och upphandling.

Ökat samarbete kring utvärdering av ny medicinsk teknologi och möjligheten att samla och analysera data från olika källor både inom och utanför Sveriges gränser, baserat på gemensamma standarder och modeller för datahantering, kommer troligen kunna bidra att minska osäkerheten kring värdet av ny teknologi. Vinsten av en eventuell ökad europeisk samordning av utvärderingen av medicinsk teknologi måste dock vägas mot risken för en mer byråkratisk och tungarbetad process.

1 Inledning

1.1 Utredningens uppdrag och arbete

Detta är ett delbetänkande till utredningen om finansiering, subvention och prissättning av läkemedel. Utredningen utgör den första genomgripande översynen av finansieringsordningen för förmåns-läkemedel som görs sedan 1998 då kostnadsansvaret för läkemedels-förmånerna formellt övergick från staten till landstingen. Utredningen ska även se över systemet för prissättning och subvention. Sedan systemets tillkomst har förutsättningarna gradvis ändrats vad gäller både sjukvårdens organisation och vilka typer av läkemedel som når marknaden. Systemet har utvecklats för att möta förändringarna men uppfattas nu av många som komplext och svåröverskådligt. Dessutom kvarstår flera utmaningar för möjligheterna att bedriva en modern och jämlik hälso- och sjukvård. I delbetänkandet presenterar vi en övergripande beskrivning av nuvarande system för finansiering, subvention och prissättning, en analys av identifierade utmaningar och en beskrivning av det fortsatta arbetet.

1.1.1 Utredningens direktiv

Regeringen beslutade den 17 november 2016 om direktiv till utredningen (dir. 2016:95). Enligt dessa ska utredningen göra en översyn av nuvarande system för finansiering, subvention och prissättning av läkemedel. Översynens övergripande mål är ett långsiktigt hållbart system som möjliggör en samhällsekonomiskt effektiv användning av läkemedel och följer den etiska plattform som gäller inom hälso- och sjukvården samtidigt som läkemedelskostnaderna kan hållas på en rimlig nivå.

Mål för översynen

Utredningen ska i sin översyn eftersträva följande mål som ska nås på det samhällsekonomiskt mest effektiva sättet:

1. Att användningen av läkemedel ska vara kostnadseffektiv ur ett samhällsperspektiv.
2. Det ska finnas god tillgång till befintliga och nya effektiva läkemedel till en rimlig kostnad.
3. Vården ska vara jämlik och patientcentrerad.
4. Systemet ska vara långsiktigt hållbart genom att bidra till att läkemedelskostnaderna hålls på en rimlig nivå.
5. Det ska finnas en tydlig ansvarsfördelning mellan stat och landsting.
6. Processerna ska vara förutsägbara för berörda aktörer.
7. Goda förutsättningar för forskning och innovation till nytta för patienten ska eftersträvas.

Målen kan i vissa fall innebära att målkonflikter uppstår och utredaren ska i de fallen göra bästa möjliga avvägning mellan målen.

Uppdraget

För att nå målen pekar direktiven ut två övergripande uppdrag, dels hur finansieringen av läkemedel ska se ut och dels hur läkemedel ska prissättas.

Vad gäller uppdraget att föreslå en förbättrad finansieringsmodell ska utredningen göra följande:

1. Analysera om nuvarande system med ett särskilt statsbidrag för läkemedel inom förmånen är ändamålsenligt eller om det bör förändras.
2. Överväga om systemet med ett särskilt statsbidrag för läkemedel inom förmånen bör behållas i sin nuvarande form eller om det i sin helhet eller i delar bör inordnas i det generella statsbidraget för kommuner och landsting.

3. Analysera hur finansieringssystemet för läkemedel kan göras långsiktigt hållbart, effektivt, tydligt och mer förutsägbart.
4. Analysera och överväga om det finns ett fortsatt behov av uppdelning av läkemedel i öppenvårdsläkemedel respektive slutenvårdsläkemedel eller någon annan form av uppdelning.
5. Analysera och överväga om det kan behövas en förändrad ansvarsfördelning mellan stat och landsting kring finansieringen av nya effektiva läkemedel. I det fall utredaren bedömer att så är fallet ska även förslag på åtgärder lämnas.
6. Analysera behovet av kostnadsutjämning mellan landstingen vad det gäller läkemedel.
7. Våga för- och nackdelar med de olika alternativen och därefter lämna de förslag till åtgärder som bedöms kunna uppfylla målen på bästa sätt.

Vad gäller finansiering av förbrukningsartiklar ska utredaren göra följande:

1. Analysera om det är ändamålsenligt att föra över den del av det särskilda statsbidraget som gäller förbrukningsartiklar till det generella statsbidraget till kommuner och landsting.
2. Analysera och väga för- och nackdelar med olika möjliga alternativ gällande förbrukningsartiklar och därefter lämna de förslag till åtgärder som utredaren bedömer som mest lämpliga. Förslagen ska i denna del även beakta att tillräcklig sortimentsbredd kan säkerställas samt att det finns utrymme för nya och effektiva produkter.

Vad gäller uppdraget att föreslå ett förbättrat subventions- och prissättningssystem som ger ändamålsenlig tillgång till läkemedel ska utredningen göra följande:

1. Genomföra en noggrann analys av nuvarande subventions- och prissättningssystem och det utvecklingsarbete som har genomförts, för att kunna ta till vara lärdomar om vad som har fungerat väl och vad som har fungerat mindre väl, bl.a. i det utvecklingsarbete som Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) och landstingen gemensamt har bedrivit.

2. Utvärdera tillgång till och faktiska priser på läkemedel i Sverige i förhållande till andra jämförbara länder.
3. Utvärdera de samlade effekterna på priser och tillgång till läkemedel i Sverige av att Sverige används eller inte används som referensprisland i andra länder, och vid behov föreslå åtgärder för att minimera eventuella negativa effekter.
4. Analysera vilka konsekvenser som apotekens förhandlingsrätt har på subventions- och prissättningssystemet och vid behov föreslå åtgärder för att hantera eventuella negativa konsekvenser.
5. Analysera, överväga och eventuellt lämna förslag på någon form av priskontroll för samtliga offentligt finansierade läkemedel.
6. Analysera och överväga olika prissättningsmodeller innan eventuella förslag till åtgärder utformas.
7. Föreslå ett subventions- och prissättningssystem som skapar en god och jämlik tillgång till och användning av effektiva läkemedel i Sverige samtidigt som det inte ger ökade kostnader jämfört med dagens system.
8. Analysera och redogöra för hur berörda myndigheters och landstingens roll påverkas av förslagen.

1.1.2 Avgränsning av uppdraget

Direktiven anger även utredningens avgränsningar. Patienter ska även fortsättningsvis mötas av ett och samma pris på läkemedel inom förmånerna oavsett på vilket apotek i landet som läkemedlet hämtas ut. Det ingår inte i uppdraget att se över nivån på högkostnadsskyddet för läkemedel, utformningen av högkostnadstrappan eller systemet för generiskt utbyte på apotek. Alla förslag ska vara kostnadsneutrala mellan stat och landsting, dvs. i de fall förslagen medför att kostnader överförs mellan parterna så måste förslag lämnas om hur den part som får ökade kostnader ska kompenseras. Förslagen får inte innebära en ökning av de offentliga kostnaderna för läkemedel jämfört med dagens system. Förslagen ska också medföra att de offentliga läkemedelskostnaderna ska hållas på en rimlig nivå. Apotekens expediering av läkemedel ska påverkas i så liten omfattning som möjligt, alternativt ska utredaren lämna förslag om hur apoteken kan kompenseras för minskad expediering.

1.1.3 Redovisning av uppdraget

I delbetänkandet ska utredningen redovisa en övergripande problembeskrivning och en beskrivning av inriktningen för det fortsatta arbetet. I slutbetänkandet ska utredningen lämna förslag som beaktar eventuella förändringar av öppen respektive sluten vård samt innehåller nödvändiga författningsförslag, kostnadsberäkningar och en tidsplan för genomförande. Utredningen ska redovisa förslagens konsekvenser i enlighet med kommittéförordningen (1998:1474) och i det sammanhanget särskilt redogöra för konsekvenserna för berörda aktörer. I synnerhet ska konsekvenserna för patienter och hälso- och sjukvården samt berörda myndigheters roll beskrivas. Även konsekvenserna för en jämlik vård ska beskrivas, både vad gäller jämlik vård mellan olika grupper och jämlik vård över landet. Eventuell miljöpåverkan av nya prissättningssystem bör redovisas.

1.1.4 Utredningens tolkning av uppdraget

Utredningens direktiv är omfattande och i vissa delar finns ett behov av att tydliggöra hur utredningen har tolkat sitt uppdrag.

En av utredningsfrågorna är att analysera och överväga om det finns ett fortsatt behov av uppdelning av läkemedel i öppen- respektive slutenvårdsläkemedel eller någon annan form av uppdelning. Vad gäller frågan om behovet av en uppdelning mellan öppen- respektive slutenvårdsläkemedel är utredningens tolkning att den frågan ska utredas endast utifrån hur en finansieringsmodell och ett system för subvention och prissättning för läkemedel ska se ut. Utredningen ser det alltså inte som sitt uppdrag att utreda frågor som avser de olika systemen och regelverken för distribution av öppen- respektive slutenvårdsläkemedel.

Vad gäller frågorna om finansiering av förbrukningsartiklar anser utredningen att uppdraget inte omfattar att se över definitionen av vad som kan utgöra en förbrukningsartikel och därmed kunna omfattas av läkemedelsförmånerna. I den kontakt som utredningen har haft med olika aktörer har frågor väckt om bl.a. godkännande av läkemedel, s.k. *compassionate use* program, prissättning av livsmedel, definition av medicintekniska produkter och generiskt utbyte utanför förmånen. Utredningen bedömer att dessa frågor faller utanför utredningens uppdrag.

Vad gäller frågan om att utreda och eventuellt föreslå någon form av priskontroll för samtliga offentligt finansierade läkemedel har utredningen behövt ta ställning till vilka läkemedel som direktivet avser. Utredningen har identifierat smittskyddsläkemedel som inte har ett av TLV fastställt förmånspris, samt läkemedel som är utanför läkemedelsförmånerna och som landstingen subventionerar. Avseende smittskyddsläkemedel som har ett förmånspris noterar utredningen att det föreslås lagändringar i promemorian Ds 2017:29 Utökade möjligheter till utbyte av läkemedel. Vad gäller prissättning av licens- och extemporeläkemedel noterar utredningen att lagändringar har trätt i kraft i april 2017.¹

1.1.5 Utredningsarbetet

Till utredningen är en expertgrupp knuten med experter och sakkunniga från myndigheter, organisationer och regeringskansliet. Expertgruppen har bistått utredningen med expertis och kvalitets-säkring.

Utöver expertgruppen har utredningen haft samråd med och inhämtat kunskap från aktörer som representerar olika perspektiv.

Utredningen har haft en dialog med de myndigheter som har uppgifter som direkt berör uppdraget: Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV), Socialstyrelsen, Läkemedelsverket och Myndigheten för vård- och omsorgsanalys (Vårdanalys).

Utredningen har genomfört tre landstingsbesök – Region Norrbotten, Landstinget i Kalmar län och Västra Götalandsregionen – samt haft möten med Sveriges Kommuner och Landsting (SKL). Utredningen har även genomfört en enkätundersökning med samtliga landsting.

Utredningen har därutöver träffat företrädare för patienter, andra landsting, läkemedels- och medicinteknikindustrin, läkemedelsdistributörer och öppenvårdsapotek samt personer med särskilda kunskaper inom ämnen som uppdraget berör. Utredningen har också gjort en studieresa till Danmark och besökt bl.a. Läkemedelsstyrelsen och Amgros.

Utredningen har beaktat tidigare utredningar och kartläggningsarbeten, t.ex. betänkandet Regional indelning – tre nya län

¹ Prop. 2015/16:143 Läkemedel för särskilda behov.

(SOU 2016:48), Vårdanalys rapport *Ordning i leden? Utvärdering av ordnat införande av nya läkemedel* (rapport 2017:5), TLV:s rapport *Uppdrag att redovisa arbetet med att utveckla den värdebaserade prissättningen för läkemedel inom förmånerna* (dnr 1133/2016), Socialstyrelsens redovisning av regeringsuppdrag *Beskrivning och analys av hur regelverket för läkemedelsförsörjningen tillämpas utifrån dagens hälso- och sjukvård samt betänkandet Kunskapsbaserad och jämlik vård – Förutsättningar för en lärande hälso- och sjukvårdkunskapsutredningen* (SOU 2017:48).

Utredningen för även en dialog med pågående utredningar som är av betydelse för uppdraget, t.ex. Nya apoteksmarknadsutredningen (S 2015:6), Utredningen om Översyn av kostnadsutjämningen för kommuner och landsting (Fi 2016:12) och utredningen Samordnad utveckling för god och nära vård (S 2017:01).

1.2 Betänkandets disposition

Betänkandet inleds med en sammanfattning. Därefter följer kapitel 1 med en beskrivning av uppdraget och utredningens arbete samt en redogörelse för uppdelningen i förskrivning och rekvisition som är grunden för dagens prissättningssystem och finansieringsmodell. Kapitel 2 innehåller en redogörelse för inriktningen på det fortsatta arbete samt en presentation av alternativa finansieringslösningar och prismodeller. I kapitel 3 presenteras framtidens utmaningar utifrån ett svenskt och internationellt perspektiv. I kapitel 4 och 5 ges en nulägesbeskrivning av nuvarande ordning för prissättning och finansiering och i kapitel 6 och 7 ges en problembeskrivning av nuvarande ordning för prissättning och finansiering. I kapitel 8 behandlas frågor som avser finansiering av förbrukningsartiklar. Betänkandet avslutas med en referenslista som följs av 4 bilagor. Bilaga 1 är utredningens direktiv (Dir 2016:95), bilaga 2 är en kartläggning av pris- och betalningsmodeller för läkemedel som Institutet för Hälso- och Sjukvårds ekonomi genomfört, bilaga 3 är en analys från Läkemedelsverket om att dagens läkemedelsutveckling ger utmaningar för betalningsmodellen och bilaga 4 är en rapport från Prioriteringscentrum om Patienters, medborgares och vårdprofessioners syn på och förtroende för läkemedelsprissättning, läkemedelssubvention och läkemedelsfinansiering.

1.3 Uppdelningen i förskrivning och rekvisition är grunden för prissättning och finansiering

1.3.1 Begreppen förskrivning och rekvisition samt öppen och sluten vård

Med förskrivning avses utfärdande av recept som möjliggör att läkemedlet kan lämnas ut till patient på ett öppenvårdsapotek.

Med rekvisition avses beställning av läkemedel till hälso- och sjukvårdspersonal, inom den slutna vården genom ett sjukhusapotek (5 kap. 1 § lagen [2009:366] om handel med läkemedel) och inom den öppna vården genom ett öppenvårdsapotek.

Med sluten vård avses hälso- och sjukvård som ges till en patient som är intagen vid en vårdinrättning (2 kap. 4 § hälso- och sjukvårdslagen [2017:30], HSL) och med öppen vård avses annan hälso- och sjukvård än sluten vård (2 kap. 5 § HSL).

Reglerna om förskrivning och rekvisition avser hur ett läkemedel ska tillhandahållas den som slutligen ska använda läkemedlet, dvs. slutkonsumenten. Slutkonsumenten är antingen patienten själv (förskrivning) eller hälso- och sjukvårdspersonal som ska administrera läkemedlet till en patient (rekvisition). Det kan vara fråga om hälso- och sjukvårdspersonal inom sluten vården (slutenvårdsrekvisition), dvs. på ett sjukhus, eller inom öppen vården (öppenvårdsrekvisition), t.ex. på en öppenvårdsmottagning.

Rekvisition är således inte förbehållen endast sluten vården utan kan även avse beställning av läkemedel till öppen vården.

1.3.2 Om ett läkemedel ska förskrivas eller rekvireras avgör hur läkemedlet ska prissättas och finansieras

Frågan om hur ett läkemedel ska prissättas avgörs av om det ska förskrivas eller rekvireras. Läkemedel som förskrivas och omfattas av läkemedelsförmånerna får ett pris fastställt av TLV. För läkemedel utanför förmånerna råder fri prissättning. De läkemedel som rekvireras till hälso- och sjukvården prissätts genom de upphandlingar som landstingen genomför. Eftersom ett läkemedel både kan förskrivas och rekvireras kan det vid prissättning av samma läkemedel bli aktuellt med två olika tillämpliga regelverk, vilket kan leda till olika priser. Även valet av förskrivningsorsak kan påverka

hur läkemedlet prissätts och vilken lagstiftning som blir tillämplig, t.ex. läkemedel som kan förskrivas enligt smittskyddslagen men som även kan förskrivas för andra ändamål än smittskydd. Det är också skillnad om förskrivningen avser asylsökande eller andra personer som inte är förmånsberättigade. (Se vidare kapitel 4).

Om ett läkemedel förskrivs eller rekvireras bestämmer också hur läkemedelskostnaderna ska finansieras. Läkemedel som rekvireras till hälso- och sjukvården finansieras i princip fullt ut av landstingen genom i första hand landstingsskatten. Landstingen har även finansieringsansvar för läkemedel och andra varor som förskrivs inom förmånerna men för kostnaderna för läkemedelsförmånerna får landstingen ett särskilt statsbidrag. Landstingen svarar vidare även för kostnader för läkemedel som förskrivs enligt smittskyddslagen. Via det särskilda statsbidraget har dock landstingen ersatts för delar av de läkemedel som rekvireras och som förskrivs enligt smittskyddslagen. Patienterna ansvarar för hela kostnaden för förskrivna läkemedel som inte ingår i förmånerna och inte omfattas av en landstingssubvention, samt står även för den egenavgift som betalas innan högkostnadstaket nås. Vad gäller kostnader för vissa läkemedel till asylsökande, utgår viss statlig ersättning. (Se vidare kapitel 5).

Valet påverkar även hur läkemedel kan följas upp. Det finns skillnader i möjligheterna till uppföljning av läkemedel beroende på om de har förskrivits eller rekvirerats. Läkemedel på rekvisition går t.ex. i nuläget inte att följa på individnivå på ett nationellt enhetligt och strukturerat sätt. För varje förskrivet läkemedel som expedierats finns däremot individbaserade data i läkemedelsregistret. Individbaserade uppgifter för rekvirerade läkemedel kan i vissa fall hämtas från patientjournaler, men är inte lika omfattande eller strukturerade som de för förskrivna läkemedel.

1.3.3 Valet mellan förskrivning och rekvisition är avsett att göras utifrån en medicinsk bedömning

Ett läkemedel som klassificerats som receptbelagt måste förskrivas eller rekvireras för att nå patienten. Det görs däremot ingen klassificering om att ett läkemedel ska förskrivas eller rekvireras. För läkemedel som har klassificerats som receptfria finns inget krav på förskrivning eller rekvirering, däremot kan receptfria läkemedel både

förskrivas och rekvireras. Förskrivna eller rekvirerade läkemedel ska lämnas ut på öppenvårdsapotek eller genom sjukhusapotek.

Det är en läkare eller annan behörig hälso- och sjukvårdspersonal som avgör om ett läkemedel ska förskrivas eller rekvireras. Regelverket signalerar att valet mellan förskrivning och rekvisition ska göras utifrån den enskilda patientsituationen och utifrån en medicinsk bedömning av om läkemedlet kan administreras av patienten själv (förskrivning) eller med stöd av hälso- och sjukvårdspersonal (rekvisition). En och samma patient kan få samma läkemedel distribuerat på olika sätt beroende på vilket behov som finns i det enskilda vårdtillfället. Ett och samma läkemedel kan således potentiellt vara både ett förskrivningsläkemedel och ett rekvisitions-läkemedel.

Förskrivning ska användas i de fall läkemedlet ska lämnas ut till en patient som då administrerar läkemedlet på egen hand eller med hjälp av annan än hälso- och sjukvårdspersonal.² Det finns även regler om distanshandel som möjliggör distribution av läkemedel till patient i hemmet.³

Rekvisition ska användas då läkemedlet ska hanteras av hälso- och sjukvårdspersonal.⁴ Det är den behandlande yrkesutövaren inom hälso- och sjukvården som ska göra bedömningen av om patienten klarar sin läkemedelsanvändning utan hjälp av hälso- och sjukvårdspersonal⁵. Rekvisition är inte avsedd att användas för beställning av läkemedel till en patient som ska administrera läkemedlet utan hjälp från hälso- och sjukvårdspersonal. Sådant tillhandahållande är avsett att ske genom receptförskrivning och vid behov kan öppenvårdsapotek med stöd av distanshandelsbestämmelserna leverera läkemedel till en patient i hemmet.

² 1 kap. 7 § och 8 kap. 23 § Läkemedelsverkets föreskrifter (HSLF-FS 2016:34) om förordnande och utlämnande av läkemedel och teknisk sprit och Socialstyrelsens föreskrifter (SOSFS 2009:6) Bedömningen av om en hälso- och sjukvårdsåtgärd kan utföras som egenvård.

³ Läkemedelsverkets föreskrifter (LVFS 2009:10) om distanshandel vid öppenvårdsapotek, ändrade och omtryckta genom LVFS 2012:10.

⁴ 1 kap. 7 § och 6 kap. 1 § 8 kap. 23 § HSLF-FS 2016:34 och 5 kap. Läkemedelsverkets föreskrifter (LVFS 2012:8) om sjukhusens läkemedelsförsörjning.

⁵ 4 kap. 1 § SOSFS 2009:6.

1.3.4 Andra faktorer än bara medicinska påverkar valet

I den praktiska tillämpningen har det emellertid visats att det finns andra faktorer än bara medicinska som påverkar valet mellan receptförskrivning och rekvisition. Faktorer som påverkar är demografi, hälsoläge, läkemedelsstrategi och prioriteringar i olika landsting.⁶ Vissa landsting tar hänsyn till om läkemedlet ifråga omfattas av läkemedelsförmånerna och i de fall det inte gör det kan rekvisition väljas för att undvika att patienten ska stå för läkemedelskostnaden.⁷ Valet kan påverkas av budget-, logistik- eller administrativa skäl eller av hur organisationen och ansvarsfördelningen inom vården ser ut. Vissa landsting upplever att det är svårt att hitta en faktureringslösning för läkemedel som förskrivs utanför förmånen och som enskilda landsting vill subventionera. I vissa fall kan även besparingsskäl ligga bakom valet att rekvirera i stället för att förskriva, t.ex. då det upphandlade priset understiger det av TLV fastställda priset, även om statens bidrag för läkemedelsförmånerna då minskar.

Att valet i vissa fall görs utifrån andra faktorer än medicinska kan leda till ojämlik vård, praktiska svårigheter för patienter och kanske även patientsäkerhetsrisker i hanteringen av läkemedel. Ojämligheten kan exempelvis bestå i att patienter i vissa landsting får ett visst läkemedel genom rekvisition och därmed inte behöver betala något utöver vårdavgiften, medan patienter i andra landsting får läkemedlet förskrivet och därmed får betala en egenavgift om läkemedlet ingår i förmånerna och patienten inte har frikort eller hela läkemedelspriset om läkemedlet inte ingår i förmånerna. Praktiska svårigheter för patienter kan uppstå i de fall läkemedel som rätteligen borde ha förskrivits för uthämtning på öppenvårdsapotek i stället rekquireras och ska hämtas av patient på hälso- och sjukvårdsmottagningen som kan vara belägen på långt avstånd från patientens hem. Patientsäkerhetsrisker kan uppstå i hanteringen av läkemedel, t.ex. i de fall ett läkemedel som är avsett att administreras av hälso- och sjukvårdspersonal (och som därmed borde rekquireras) i stället förskrivs och hämtas ut på öppenvårdsapotek av patienten, som därefter måste ta med sig läkemedlet till en hälso- och sjukvårdsmottagning.

⁶ Konkurrensverket, Olika pris för samma läkemedel, 2016:5, s. 18.

⁷ Region Norrbotten, Anvisning om receptförskrivning eller rekvisition av läkemedel i öppenvård, 2016-07-20.

1.3.5 Skillnader mellan landsting

Eftersom valet mellan förskrivning och rekvisition görs i de enskilda patientsituationerna kan det uppstå skillnader mellan de olika landstingen i hur stor andel av samma läkemedel som förskrivs respektive rekvireras.

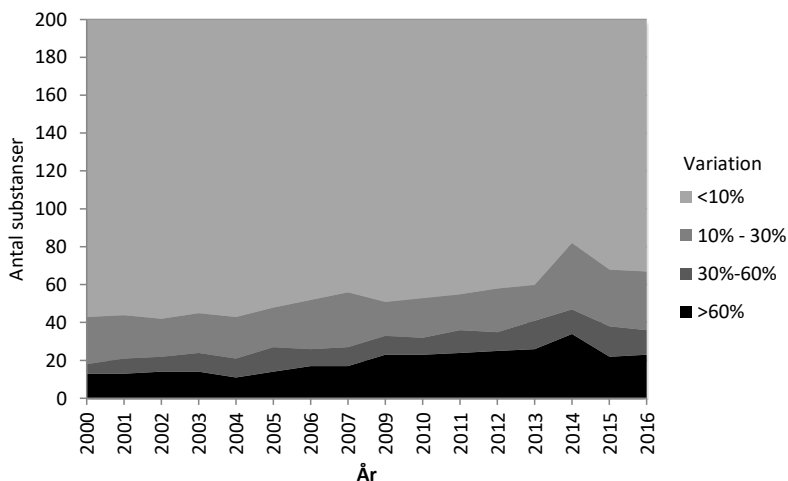
Det kan inledningsvis konstateras att för de flesta läkemedel gör landstingen en liknande bedömning i valet mellan rekvisition och förskrivning. För de 200 mest sålda substanserna under 2016 ser man att variationen mellan landstingen inte är så stor, för cirka 60 substanser är variationen inte större än 10 procent (se figur 1.1).

Vid en jämförelse mellan åren 2000 och 2016 kan man dock konstatera att variationen i hur stor andel av de 200 mest sålda läkemedel som rekvirerats respektive förskrivits har ökat. En orsak till detta kan vara den förflyttning som har skett från sluten- till öppenvården. Antalet totala vårdtillfällen i förhållande till befolkningen har i stort sett legat stilla mellan åren 1998–2014 men när det gäller sluten vården finns en trend mot minskat antal vårdtillfällen. Det finns även tydliga trender mot kortare vårdtider i sluten vård och ett minskat antal patienter.⁸ Den utveckling som har skett inom hälso- och sjukvården de senaste två decennierna har inneburit att mycket av den avancerade vården som tidigare endast kunde utföras på ett sjukhus (sluten vård) numera sker i den specialiserade öppna vården, hemsjukvården, primärvården och i den kommunala hälso- och sjukvården (öppen vård).⁹ I sluten vården bör det inte uppstå situationer då man ställs inför valet mellan rekvisition och förskrivning eftersom läkemedelsordinationer till en inläggande patient ska ske genom rekvisition. Inom öppenvården uppstår emellertid situationer då behandlade läkare måste välja om ett läkemedel ska rekvireras till hälso- och sjukvården eller förskrivas till en patient. Efterhand som det sker en förflyttning från sluten till öppen vård ökar också de situationer då behandlande läkare ställs inför ett val mellan förskrivning och rekvisition.

⁸ SOU 2016:2 Effektiv vård, s. 90–94.

⁹ Socialstyrelsen, Beskrivning och analys av hur regelverket för läkemedelsförsörjningen tillämpas utifrån dagens hälso- och sjukvård, odaterad, s. 12.

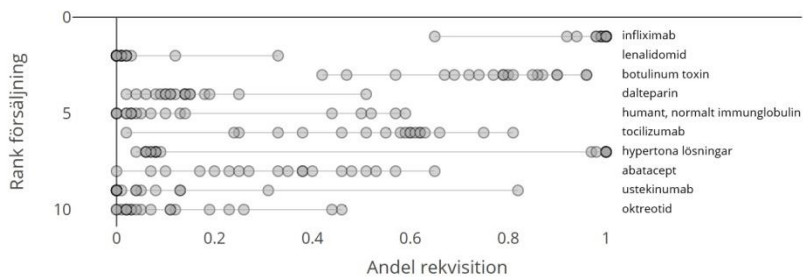
Figur 1.1 Variation i andel rekvisition mellan landsting för de 200 mest sålda substanserna, från 2000 till 2016



Källa: Concise, E-hälsomyndigheten.

Avseende vissa läkemedel finns emellertid stora skillnader mellan landstingen i hur stor andel som rekvideras respektive förskrivs. Dessa skillnader kan bero på både medicinska faktorer men även andra faktorer som beskrivs i avsnitten 1.3.3–1.3.4. Det är svårt att klargöra vilka faktorer som bidrar mest till de skillnader som finns mellan landstingen. De tio mest sålda substanserna där variationen mellan landstingen i valet mellan rekvisition och förskrivning är störst visas i figur 1.2. Avseende läkemedel med substansen botulinum toxin som injiceras för behandling av bl.a. vissa fokala spasticiteter ser vi att det finns landsting där rekvisitionssandelen är under 50 procent och landsting där rekvisitionsandelen är nära 100 procent. En tydlig variation finns också för antikroppar som används vid vanliga autoimmuna sjukdomar (infliximab, tocilizumab och ustekinumab). Variationen är störst för hypertona lösningar (s.k. dialysvätskor) som används mot kronisk njursvikt där vissa landsting har en rekvisitionsandel på knappt 10 procent medan andra landsting har en rekvisitionsandel på 100 procent.

Figur 1.2 De 10 mest sålda substanserna där variationen mellan landstingen i andel rekvisition överstiger 30 procent*



*Markörer representerar enskilda landsting.

Källa: Concise, E-hälsomyndigheten.

2 Inriktning på vårt fortsatta arbete

I detta kapitel presenterar vi inriktningen på vårt fortsatta arbete. Det kommer att vara inriktat på att dels identifiera och analysera alternativa lösningsförslag och dels fördjupa analyserna inom vissa problemområden. De förslag vi kommer att lämna i slutbetänkandet kommer att vara konkretiserade och konsekvensbedömda.

De analyser som ligger till grund för våra resonemang i detta delbetänkande presenteras i kommande kapitel och upprepas inte här.

2.1 Fördjupade analyser

Flera viktiga frågor har inte varit möjliga att analysera fullt ut till det här delbetänkandet och vi bedömer att ytterligare analys kommer att behövas inför slutbetänkandet. Vi ser ett flertal frågeställningar som är angelägna att analysera djupare i syfte att i slutbetänkandet kunna lämna förslag som når utredningsdirektivens mål:

Finansiering

- Utredningen kommer att fördjupa diskussionen kring vilka problem som landsting, patienter och andra aktörer anför vad gäller uppdelningen av finansieringen i öppen- och slutenvård.
- Utredningen kommer därefter svara på frågan, som anges i direktiven, om det finns ett fortsatt behov av uppdelning i öppen- vårdsläkemedel respektive slutvårdsläkemedel för finansieringen.
- Utredningen kommer i detta sammanhang även att analysera och överväga om det finns ett behov av någon annan form av uppdelning vad gäller finansieringen. I dessa frågor kommer utredningen att ha ett fortsatt samråd med kommittén Samordnad utveckling för en god och nära vård (S 2017:01 med direktiv 2017:24 respektive 2017:97).

- Behovet av kostnadsutjämning och förutsättningarna för landstingen, särskilt de mindre, att klara ökade kostnader för läkemedel och i vilken mån utjämningsystemet kan säkerställa jämlik vård och en ändamålsenlig introduktion av nya läkemedel.
- Djupare analys av konsekvenserna för patienterna av att landsting upphandlar förbrukningsartiklar, med särskilt fokus på ändamålsenlig sortimentsbredd och innovation.

Prissättning

- Utredningen kommer vidare att undersöka de problem som uppstår genom att ett och samma läkemedel kan ha olika pris beroende av om det förskrivs inom förmånen eller rekvireras.
- I samband med det kommer diskussion föras kring om det är möjligt att införa ett prissättningssystem som inte är beroende av om ett läkemedel förskrivs eller rekvireras.
- En analys av faktiska läkemedelspriser i Sverige jämfört med andra länder.
- Analys av vilka hinder och förutsättningar som finns för att på kort och lång sikt utveckla möjligheterna till uppföljning och utvärdering kopplat till processen för prissättning och finansiering.
- Ytterligare analys av behovet av och förutsättningar för en anpassad prissättning och/eller betalningsmodell för läkemedel för sällsynta sjukdomar.

Både finansiering och prissättning

- I det fortsatta arbetet ingår därmed frågeställningar som:
 - vilka problem som eventuellt kan lösas genom att ta bort gränsdragningen mellan förmånsläkemedel och rekvisitions-läkemedel vad gäller finansiering och prissättning,
 - vilka praktiska och juridiska möjligheter respektive hinder som finns för att ta bort gränsdragningen och vilka konsekvenser det skulle få för landsting, patienter och andra aktörer som exempelvis apoteken,

- hur förändringar skulle påverka tillgång till läkemedel och vilka marknadskonsekvenser som kan förutses.
- Vi har inte beskrivit och analyserat andra länders läkemedelssystem i delbetänkandet. Det är komplexa system och det skulle krävas ett omfattande arbete för att kunna dra tydliga slutsatser. Vi avser i stället att studera hur andra länder löst specifika problem i samband med utarbetandet av våra förslag till slutbetänkandet.

2.2 Mål och målkonflikter

I direktiven presenterar regeringen ett antal mål som ska eftersträvas i de förslag som utredningen lämnar:

1. Användningen av läkemedel ska vara kostnadseffektiv ur ett samhällsperspektiv.
2. Det ska finnas god tillgång till befintliga och nya effektiva läkemedel till en rimlig kostnad.
3. Vården ska vara jämlik och patientcentrerad.
4. Systemet ska vara långsiktig hållbart genom att bidra till att läkemedelskostnaderna hålls på en rimlig nivå.
5. Det ska finnas en tydlig ansvarsfördelning mellan stat och landsting.
6. Processerna ska vara förutsägbara för berörda aktörer.
7. Goda förutsättningar för forskning och innovation till nytta för patienten ska eftersträvas.

Vi kommer i vårt arbete sträva efter att identifiera lösningar som ger så god måluppfyllelse som möjligt. Om en lösning riskerar att ha dålig måluppfyllelse i någon dimension kan det ofta gå att kompensera för detta genom särskilda åtgärder. Det kommer dock att i vissa fall bli nödvändigt att väga olika mål mot varandra. Vi kommer sträva efter att så tydligt som möjligt redovisa dessa strategiska överväganden, och i de förslag vi lämnar ska vi redovisa hur en god balans mellan målen kan nås.

De lösningar som vi identifierar kommer att variera i grad av måluppfyllelse och de slutliga valen gällande vilka förslag som ska presenteras i slutbetänkandet kommer delvis att vägledas av detta. Vi vill redan här lyfta några av de målkonflikter som finns.

Vi bedömer att målen om långsiktig hållbarhet och tydlig ansvarsfördelning generellt skulle kunna främjas av ett mer sammanhållet system, exempelvis där huvudmännen för sjukvård även blir ansvariga för läkemedelsfinansieringen. Men graden av förutsägbarhet skulle bli avhängig av hur väl de 21 huvudmännen lyckas koordinera sig. Likaså skulle prissättningen kunna fokusera mer på prispress och enkla processer om dessa mål väger tyngst. Detta kan behöva balanseras mot målen om samhällsekonomiskt effektiv användning, god och jämlik tillgång och goda förutsättningar för forskning och innovation. Dessa mål betonas oftare av nationella intressen och vi anser att det kan finnas en grundläggande målkonflikt i vilken utsträckning hänsyn kan och ska tas till nationella intressen respektive regionala behov med utgångspunkt från den kommunala självstyrelsens principer.

Vi kommer i resten av detta kapitel diskutera alternativa modeller för fördelningen av finansieringsansvaret och prissättning.

2.3 Alternativa finansieringslösningar

Finansieringsansvaret för läkemedel kan i princip fördelas på tre olika sätt. Det första är att staten tar hela finansieringsansvaret, det andra att landstingen tar hela ansvaret och det tredje att ansvaret delas enligt nuvarande eller någon annan modell. De olika alternativen har olika för- och nackdelar. I detta avsnitt ges en översiktlig redogörelse för hur ansvarsfördelningen skulle kunna se ut samt, på en övergripande nivå, vissa för- och nackdelar med de olika principerna för ansvarsfördelning.

2.3.1 Staten får hela finansieringsansvaret

Det första alternativet är alltså att staten tar över finansieringsansvaret för alla läkemedel oavsett om de förskrivs eller rekquireras. Ett helstatligt finansieringsansvar skulle kunna skapa förutsättning för en mer jämlik läkemedelsanvändning över landet. Läkemedels-

användningen skulle inte vara beroende av de olika landstingens ekonomiska förutsättningar vilket skulle eliminera risken att dessa förutsättningar skulle påverka tillgången till läkemedel i olika delar av landet. Därmed skulle sannolikheten minska för situationer där landstingen p.g.a. ekonomiska skäl väntar med att införa nya läkemedel. Det skulle kunna innebära ett snabbare upptag av nya läkemedel i vården. Vidare kan en helstatlig finansiering göra det enklare att tillämpa ett samhällsekonomiskt perspektiv.

Ojämlik tillgång till läkemedel beror emellertid också på många andra faktorer än finansiella och dessa riskerar att kvarstå även vid ett helstatligt finansieringsansvar.

Alternativet med ett statligt finansieringsansvar innebär vidare att kopplingen mellan användare och finansiär tas bort. Det kommer därmed vara svårare att skapa incitament för landstingen att arbeta med att hålla kostnaderna för läkemedel på en rimlig nivå. Läkemedel skulle inte heller ingå som en del i landstingens prioriteringsbeslut för hälso- och sjukvården. Ett helt statligt ansvar för finansieringen av läkemedel skulle därmed riskera att få en starkt kostnadsdrivande effekt och att läkemedel inte prioriteras på rätt sätt mot andra insatser.

Utredningens slutsats vilar även på logiken om att så länge som hälso- och sjukvårdens finansiering och organisering i huvudsak är landstingens ansvarsområde är det inte heller realistiskt att tänka sig ett helstatligt finansieringsansvar för läkemedel. Utredningen har därför inte för avsikt att undersöka detta alternativ vidare.

2.3.2 Finansieringsansvaret flyttas till landstingen fullt ut

Nästa alternativ är att landstingen får hela ansvaret för finansieringen av både förskrivnings- och rekvisitionsläkemedel. Landstingen har redan i dag det formella finansieringsansvaret för förmånsläkemedel, rekvisitionsläkemedel och läkemedel som förskrivs enligt smittskyddslagen. Skillnaden jämfört med dagens ordning skulle då vara att det särskilda statsbidraget för läkemedelsförmånen avskaffas och att landstingen också får det faktiska finansieringsansvaret. Vilka metoder som finns för att ge landstingen det faktiska finansieringsansvaret avser utredningen att återkomma till i slutbetänkandet. Ett sätt som utredningens direktiv tydligt pekar

ut att vi ska överväga är att det särskilda statsbidraget i sin helhet övergår till det generella statsbidaget. Flera andra möjligheter kommer att diskuteras.

Fördelar

En fördel med att ge landstingen hela finansieringsansvaret för läkemedel är att ansvaret för hela hälso- och sjukvården, inklusive läkemedel, då samlas hos landstingen. Det innebär att läkemedel fullt ut kommer att prioriteras inom ramen för den samlade hälso- och sjukvården. Detta ligger också i linje med regeringens intentioner i 1998 års reform om att huvudmännen skulle ges bättre möjligheter att styra och prioritera, vilket skulle kunna medföra en effektivare resursanvändning och därmed bättre vård för befolkningen. Kostnadskontrollen skulle falla naturligt på användaren eftersom användare och finansiär är samma aktör, vilket kan skapa drivkrafter för att använda läkemedel på ett effektivt sätt utifrån den samlade hälso- och sjukvårdens behov. Möjligheten att lokalt kunna prioritera bland olika behandlingsalternativ skulle även kunna leda till en mer patientcentrerad vård.

Den uppdelning i förmånsläkemedel respektive rekvisitionsläkemedel som gäller för finansieringen i dag skulle upplösas. De eventuella incitamenten att av finansieringsskäl hantera läkemedel som ett förmåns- respektive rekvisitionsläkemedel skulle försvinna. Valet mellan förskrivning och rekvisition skulle därmed tydligare än i dag kunna göras endast utifrån en medicinsk bedömning. Att upphöra med en uppdelning i ansvaret medför också ett mindre fragmenterat system

Nackdelar

Sett ur landstingens perspektiv skulle en nackdel med att flytta över kostnadsansvaret fullt ut vara att landstingen med nuvarande ordning fortfarande har vissa garantier för att ökade kostnader för läkemedel inom förmånen bekostas av staten, eller fördelas mellan staten och landstingen. Sett i ljuset av att det finns starka indikationer på att vi kan förvänta oss ökande läkemedelskostnader, som drivs bland annat av volymökning och introduktion av nya läkeme-

del, blir de enskilda landstingens ekonomiska utveckling en än mer viktig faktor.

En annan nackdel med ett fullt landstingsansvar är risken att det skulle riskera bli svårare att fullt ut anlägga ett brett samhällsperspektiv på läkemedelsfinansieringen. Att låta kostnadsansvaret för läkemedel ligga helt hos landstingen kan få till följd att värden som ligger utanför hälso- och sjukvården inte beaktas i samma utsträckning som om staten har ett helt eller delat finansieringsansvar. Användning av ett läkemedel genererar kostnader för landstingen men kan ge vinster i andra samhällssektorer. Om vinsterna i andra sektorer inte beaktas i hälso- och sjukvårdens beslutsfattande skulle det medföra en risk för att läkemedel inte används på ett samhälls-ekonomiskt effektivt sätt.

Ett fullt landstingsansvar, fördelat på 21 huvudmän, skulle kunna medföra risker för ojämlik tillgång till läkemedel i olika landsting och olika snabbt upptag av nya läkemedel. En avsaknad av statlig finansiering skulle även kunna medföra en risk för ändrade förutsättningar för forskning och innovation med avvägningar som begränsas av perspektiv från den egna verksamhetens behov. Vinsterna av forskning och innovation är utbredda över hela samhället och det är begripligt om enskilda landsting, vars främsta uppdrag är att producera vård för den egna befolkningen, skulle tveka att anlägga nationella forsknings- eller näringspolitiska perspektiv. Dessutom kan vinsterna komma långt in i framtiden och kräva ett längre tidsperspektiv än vad lagstiftningen medger för landsting i deras budgetarbete.

Med den lösning som särskilt nämns i direktiven, att det riktade statsbidraget övergår till det generella, följer flera omständigheter som måste beaktas. En är att landstingen förefaller vara negativa till en sådan lösning. Det finns flera skäl för den avvaktande hållningen. En är oron för konsekvenserna om läkemedelskostnaderna ökar (eller borde tillåtas öka) i en snabbare takt än det generella statsbidraget. De senaste årens utveckling av riktade statsbidrag visar att staten förefaller ha haft en stor beredskap att skjuta till extra medel om de anser att landstingen behöver kraftsamla på något område. Det är ett förhållande som gynnat patienter, och samtidigt eventuellt till och med skapat intresse för den svenska marknaden från läkemedelsföretagens sida.

Det finns inget som talar för att statens intresse av att påverka och påskynda utvecklingen inom detta inte skulle kunna ske även på läkemedelsområdet. Fortsatta statliga initiativ åtföljda av olika former av kompletterande finansiering skulle kunna medföra oklarheter kring finansieringsansvaret och var det i realiteten ligger. Om landstingen i stället tvingas att finansiera ökade kostnader för läkemedel med höjda skatter så kan det få fördelningspolitiska konsekvenser, bland annat genom eftersom landstingsskatten inte är progressiv, som kan vara oönskade från jämställdhets- och andra nationella perspektiv.

Slutligen är en del landsting små, vilket kan medföra ekonomiska eller organisatoriska svårigheter att hantera ett fullt finansieringsansvar. De alltmer avancerade läkemedel som lanseras kommer också att ställa krav på bland annat finansieringslösningar, prissättning, ändrade vårdförlopp och informationsinfrastruktur som kräver resurser och kompetens som kan vara svår att etablera och att upprätthålla i flera enskilda landsting. Det skulle under alla omständigheter behövas ett väl utvecklat samarbete mellan landstingen och väl utvecklade stödfunktioner från staten.¹

Kan ett statligt subventions- och prissystem finnas kvar?

I det fall landstingen ensamma har ansvaret för finansieringen av läkemedel kan det ifrågasättas om det är befogat med ett statligt subventions- och prissättningssystem. Beslut om subvention och pris har betydande påverkan på kostnaderna för läkemedel och det kan förefalla rimligt att den aktör som har finansieringsansvaret även har kontroll över dessa beslut. Det finns å andra sidan starka effektivitets- och jämlikhetsskäl med att i någon form behålla en nationell process för subventions- och prissättningsbeslut och inte ersätta den med 21 separata landstingsprocesser. Den processen behöver inte nödvändigtvis vara statlig, men det finns skäl att tro att nationella pris- och subventionsbeslut är viktiga för en jämlik tillgång till läkemedel i hela landet.

¹ SOU. 2007. Hållbar samhällsorganisation med utvecklingskraft, Ansvarskommitténs slutbetänkande. SOU 2007:10.

Sammantaget både för- och nackdelar

Vår samlade bedömning hittills är att det finns vissa mål runt tydlighet, ett sammanhållet system och kostnadskonstroll som skulle främjas av en landstingsfinansiering - under förutsättning att landstingen lyckas koordinera sig på nationell nivå. Andra mål som är mer relaterade till nationella intressen som jämlikhet, forskning och innovation och samhällsekonomisk effektivitet, blir inte lika tydligt främjade. Slutligen, även om det vore logiskt att landstingen, som är ansvariga för merparten av all hälso- och sjukvård, också fullt ut tar över ansvaret för läkemedel så kommer vi fortsättningsvis mer fördjupat studera effekter och konsekvenser av en sådan förändring. I den mån det riskerar att uppstå låg måloppfyllelse i några avseenden är det viktigt att undersöka om det går att hitta åtgärder som kompenserar för detta. En viktig pusselbit i det avseendet kan vara i vilken utsträckning nationell kunskapsstyrning kan användas för att säkerställa en mer jämlik vård.

2.3.3 Staten och landstingen delar på finansieringsansvaret

Det tredje alternativet är att staten och landstingen delar på finansieringsansvaret. Även om det formella finansieringsansvaret för alla läkemedel redan i dag ligger hos landstingen innebär dagens ordning med det särskilda statsbidraget för förmånsläkemedel att staten och landstingen delar på finansieringsansvaret utifrån en uppdelning i förskrivnings- och rekvisitionsläkemedel. Men det är tänkbart med andra former av delat ansvar för finansieringen. I utredningens direktiv lyfts exempelvis möjligheten att dela finansieringsansvaret så att staten finansierar nya, effektiva läkemedel oavsett om de förskrivs eller rekvireras, vilket då kan liknas med en sorts introduktionsfinansiering. Också andra uppdelningar är tänkbara där staten skulle kunna finansiera läkemedel som har stora samhällsekonomiska konsekvenser i andra sektorer, eller som av något annat skäl bäst lämpar sig för ett nationellt åtagande. Ett sådant system skulle kunna konstrueras runt tydligt definierade läkemedelskategorier, exempelvis smittskydd, särskilda läkemedel och/eller andra kategorier. Man kan också tänka sig en mer flexibel finansiering, där beslut kan anpassas efter behov, men enligt tydliga kriterier och institutionella former.

För att uppnå långsiktig finansiell hållbarhet kan olika former av delfinansiering från landstingen skapas i flera av dessa lösningar för att skapa incitament för kostnadskontroll.

Fördelar

Utgångspunkten för en lösning med ett delat ansvar är att vi har 21 huvudmän för hälso- och sjukvården men samtidigt också starka nationella intressen som kräver att huvudmännen agerar likartat, koordinerat och tar hänsyn till vissa mål som kan ligga utanför landstingens centrala åtaganden. Det innebär att vi skulle behöva identifiera en lösning som respekterar det kommunala självstyret och skapar ett system som är så tydligt och lite fragmenterat som möjligt. Samtidigt behöver det finnas mekanismer som säkerställer att de nationella intressena – exempelvis jämlikhet och goda förutsättningar för forskning och innovation – tillvaratas så långt som möjligt.

Målet om samhällsekonomiskt effektiv användning av läkemedel skulle kunna motivera att staten även fortsättningsvis har ett visst ansvar för finansieringen av läkemedel. Användning av läkemedel ger vinster i andra samhällssektorer än hälso- och sjukvården och det kan finnas situationer där landstingen inte fullt överblickar eller förmår ta hänsyn till dessa effekter i sitt beslutsfattande. Ett sådant exempel skulle kunna vara läkemedel som förskrivs i enlighet med smittskyddslagen. Värdet av ett effektivt smittskydd är ett samhällsintresse som sträcker sig utöver att ge god vård till det enskilda landstingets medborgare. Samhällets smittskydd ska tillgodose befolkningens behov av skydd mot spridning av smittsamma sjukdomar och det är Folkhälsomyndigheten som har samordningsansvar för smittskyddet på nationell nivå och ska ta de initiativ som krävs för att upprätthålla ett effektivt smittskydd. Mot bakgrund av att smittskydd är ett nationellt samhällsintresse kan det vara motiverat med en statlig finansiering av läkemedel som förskrivs enligt smittskyddslagen. Ett annat exempel skulle kunna vara läkemedel mot demenssjukdomar som kan innebära minskade kostnader för den kommunala hälso- och sjukvården, särskilda bonden och omsorgen.

Nya typer av läkemedel inriktade mot små grupper, liksom ökande behov att följa upp effekt och användning i klinisk vardag för att öka precisionen i prisbeslut och användning, ställer krav på en

ändamålsenlig och koordinerad kunskapsinsamling. Sådana fall där det bara är motiverat att finansiera ett läkemedel om det kan ske en nationellt koordinerad uppföljning/utvärdering skulle kunna motivera ett visst statligt finansieringsstöd. Enskilda landsting har många gånger för litet patientunderlag för att kunna besvara centrala frågor runt användning och effekt i klinisk vardag av läkemedel. Utan regional och nationell samordning finns också risk för dubbelarbete och ineffektivitet. Landstingen själva har starka drivkrafter att delta i kunskapsgenereringen eftersom de ofta har direkt nytta av kunskapen. Men utöver det finns det nationella intressen som inte enskilda landsting kan förväntas tillgodose. Det gäller t.ex. de situationer då värdet av kunskapen är stort nog för att motivera kostnaderna för att skaffa kunskapen, sett till hela landet men inte för ett enskilt landsting.

Sammankopplat med behovet av kunskapsgenerering är målet om att eftersträva goda förutsättningar för forskning och innovation till nytta för patienten, vilket även det kan motivera ett visst statligt ansvar.

Målet om jämlik vård skulle kunna motivera att staten bidrar till finansieringen för de läkemedel där det finns en ökad risk för ojämlik användning. Det skulle kunna vara sådana läkemedel som har en stor påverkan på landstingens budgetar, exempelvis läkemedel för sällsynta sjukdomar eller andra nya och dyra läkemedel där det är ofrånkomligt att de 21 olika sjukvårdshuvudmännen kan komma att fatta olika medicinska prioriteringsbeslut eller har stora skillnader i finansieringsmöjligheter.

Nackdelar

Både för- och nackdelar är beroende av vilken form för statlig finansiering som väljs. Det finns några tydliga risker som måste hanteras, bland annat att systemet riskerar att få en kostnadsdrivande effekt och att det blir fortsatt komplext, oförutsägbart och fragmenterat. Landstingen har dessutom ansvaret för all annan vård och det är ologiskt att lyfta ut en enskild vårdinsats på det sätt som vi gör med läkemedel. Det riskerar att försvåra styrningen av vården liksom möjligheterna att prioritera läkemedel jämsides med andra insatser i vården.

Både för- och nackdelar med blandad modell

Vår samlade bedömning hittills är att mål som jämlikhet, forskning och innovation och samhällsekonomisk effektivitet skulle kunna vara så centrala att det finns anledning för staten att även fortsättningsvis ansvara för en del av finansieringen av läkemedel. Det blir nödvändigt men utmanande att inom ramen för en sådan lösning nå längre än dagens system vad gäller tydlighet, förutsägbarhet, enkelhet, ett sammanhållet system och kostnadskontroll. Slutligen, även om det ur systemperspektiv vore logiskt att landstingen, som är ansvariga för det mesta av all annan sjukvård, också fullt ut tar över ansvaret för läkemedel så krävs en noggrann beskrivning av konsekvenserna. I den mån det riskerar att uppstå låg måluppfyllelse i några avseenden är det viktigt att undersöka om det går att hitta åtgärder som kompenserar för detta.

2.4 Alternativa pris- och betalningsmodeller

Vi ser i första hand att det finns fem olika prismodeller att överväga. Vi kommer nedan kort beskriva alternativa pris- och betalningsmodeller och några av deras för- och nackdelar i relation till utredningens mål.

2.4.1 Fem prismodeller

De huvudsakliga prismodeller som vi identifierat är värdebaserad prissättning (VBP), kostnadsplusmodellen, pris i relation till konkurrenternas priser, extern referensprissättning (ERP) och en flexibel förhandlingsprissättning.

Värdebaserad prissättning

VBP beskrivs i ekonomisk litteratur som en metod för prissättning baserad på kundens värdering av produkter där värdet för kunden definieras som dennes betalningsvilja. Nära kopplat till VBP är möjligheten att segmentera marknaden så att priset differentieras för olika konsumenter eller användningsområden efter deras betalningsvilja, dvs. hur mervärdet av produkten uppfattas av olika seg-

ment av marknaden. VBP är det som används i Sverige i prissättningen av nya produkter med patentskydd, framför allt inom förmanen men också av NT-rådet i diskussioner inför rådets rekommendationer (även om de inte fastställer priser).

VBP på läkemedel är delvis annorlunda än hur termen ”värdebaserat” brukar användas men kan ändå ses som en del av en större diskurs som brett kommit att kallas värdebaserad sjukvård.² Det betyder att vården ska organiseras och styras mot att maximera hälsoutfallet för patienterna och/eller värdet för samhället som helhet. Sjukvård har naturligtvis alltid haft som mål att producera hälsa för patienterna och det nya ligger i att försöka designa incitamentsystem, ersättningsystem och betalning för bland annat läkemedel så att de reflekterar det evidensbaserade värdet för patienter och samhälle.

Inom hälso- och sjukvård är patienternas betalningsvilja oftast irrelevant eftersom läkemedel och annan vård huvudsakligen betalas av en tredje part. Andra definitioner som föreslagits inkluderar att kostnaden för läkemedel ska vägas mot värdet som skapas för sjukvården eller samhället i stort: alltså den värdering som görs i en kostnadseffektivitetsanalys. Varken bland forskare eller utövare finns det emellertid någon allmänt accepterad definition eller konsensus hur värdet ska fastställas i VBP på läkemedel.

VBP kopplar kostnader till värde vilket kan främja en effektiv användning av resurser. Beroende på vilket perspektiv som väljs kan samhällsekonomisk effektivitet uppmuntras. Dessutom ger VBP goda förutsättningar för innovation bland annat genom att ge signaler om vilka innovationer samhället värdesätter. Däremot finns det sannolikt andra metoder som ger lägre priser (fast eventuellt till priset av sämre tillgång). Vi vet emellertid inte, på grund av svårigheter att studera faktiska internationella priser, om och i vilken grad VBP lett till högre priser på grund av att andra länder använder referensprissättning. Slutligen är VBP metodologiskt och resursmässigt krävande och uppfattas ibland som mindre transparent.

² Porter ME 2009. A Strategy for Health Care Reform — Toward a Value-Based System. N Engl J Med 2009; 361:109–112.

Cost-plusprissättning

Cost-plusprissättning utgår från principen att basera priset på kostnaderna för att ta fram läkemedlet och då avses vanligen både kostnaderna för att utveckla läkemedlet och att producera läkemedlet, plus en vinstmarginal. Utvecklingskostnaderna kan vara stora medan produktionskostnaderna, dvs. kostnaderna att producera läkemedlet när det väl utvecklats, vanligen är av mindre betydelse. Det senare är den kostnaden som kan förväntas för att producera läkemedlet när patentet gått ut och generika kommer in på marknaden. Cost-plus prissättning är överlag i första hand en strategi som företag tillämpar på marknader med mer eller mindre perfekt konkurrens. Vi bedömer att den inte skulle gå att införa på något andamålsenligt sätt när det gäller värdering och prissättning av patentskyddade produkter.

Priser som sätts i relation till konkurrenternas priser

Priser som sätts i relation till konkurrenternas priser, exempelvis så kallad *predatory pricing* (underprissättning) i syfte att vinna marknadsandelar, beskriver i huvudsak en strategi som företag kan tillämpa snarare än en modell som en köpare kan införa. Köparna på marknaden kan däremot på olika sätt sträva efter att tillverkarna så långt som möjligt ska priskonkurrera med varandra. Det är sannolikt en viktig strategi för prissättande att eftersträva *predatory pricing* vad gäller generika och biosimilarer, men även för patentskyddade produkter när det finns flera substitut tillgängliga.

Extern referensprissättning

De viktigaste argumenten för att använda *extern referensprissättning* (ERP) är att priset i andra länder säger något om tillverkarens reservationspris (det lägsta pris den är beredd att sälja till) och att det ger köparen ett trovärdigt hot i en förhandling. I övrigt är det en metod som har flera svårigheter, bland annat att den är ”cirkulär” om det blir så att ingen köpare försöker sig på att analysera värdet av produkten – då uppstår till och med en risk att köparna betalar mer än vad de tycker att produkten är värd. Dessutom har

det blivit allt svårare att använda ERP eftersom faktiska priser skiljer sig från de offentligt publicerade priserna, de så kallade listpriserna, genom att det finns olika avtal som närmast kan karaktäriseras som rabatter, och som omfattas av sekretess.

Förhandlingsprissättning

En *flexibel förhandlingsprocess* är inte så strukturerad runt formella beräkningar av värde som VBP baserad på en kostnadseffektivitetsanalys. Den har fördelen att köparen inte avslöjar sin maximala betalningsvilja, vilket är vad kostnadseffektivitetsanalysen i VBP i princip gör. Förhandlingsstyrkan borde därför teoretiskt bli högre. Det är en empirisk fråga om priserna faktiskt är lägre i länder som tillämpar den typen av förhandling. Men på grund av att priserna inte är transparenta och behovet att justera även för andra faktorer, som betalningsförmåga, för att få relevanta jämförelser låter sig inte den analysen så lätt göras.

En ytterligare fördel med en mindre strukturerad förhandling är att det i praktiken visat sig vara lättare att väga in andra faktorer än pris, som exempelvis volym.³ Ett lägre pris kan i vissa situationer accepteras av företaget så länge försäljningsvolymen garanteras och/eller ökar över tid. Köparen kan därmed acceptera att fler patienter använder läkemedlet så länge det finns evidens för klinisk effekt och priset är lägre.

2.4.2 Det finns olika sätt att betala för läkemedel

Den vanliga betalningsmodellen för läkemedel är att betala per mg eller per konsumerad enhet. Detta innebär att betalningen sker innan behandlingsutfallet är känt. Utvecklingen pekar mot allt fler botande läkemedel, fler läkemedel mot sällsynta sjukdomar, läkemedel med multipla indikationer och läkemedel som ges i kombination. Därför kan det finnas anledning att överväga alternativa betalningsmodeller för att hantera behoven av snabb tillgång till nya läkemedel för patienterna och möjligheter till budgetkontroll

³ Paris, V. and A. Belloni (2013). Value in Pharmaceutical Pricing. OECD Health Working Papers, No. 63.

för betalarna samtidigt som det ska finnas incitament för företagen att utveckla nya läkemedel.

Några alternativa typer av betalningsmodeller som då kan bli aktuella är utfallsbaserade betalningsmodeller. Dessa kan delas upp i icke-hälsoutfallsbaserade och hälsoutfallsbaserade modeller baserat på om betalningen är kopplad till kvalitet eller värde (hälsa).

Icke-hälsoutfallsbaserade modeller

Bland de betalningsmodeller som inte baseras på hälsoutfall finns populationsbaserade pris/volymavtal och amorteringsmodeller där kostnaden för läkemedlet delas upp över en längre tid. Det sistnämnda kan vara en lösning för att hantera läkemedel med mycket höga kostnader under kort tid och med långsiktiga, bestående effekter. Pris/volymavtal kan å sin sida vara ett pragmatiskt sätt att bland annat hantera att kostnadseffektiviteten varierar mellan olika patientpopulationer, och ett sätt att säkerställa ett dynamiskt pris. Fördelen med sådana modeller är att de kan vara administrativt enkla då det inte krävs någon mätning och insamling av data för uppföljning. En annan betalningsmodell som inte heller baseras på hälsoutfall är en variant där man har ett användartak på patientnivå. Detta innebär att betalare och företag kommer överens om en maxgräns för konsumtion av läkemedlet per patient och om konsumtionen överstiger denna nivå så förser företaget betalaren med läkemedlet utan kostnad. Denna modell kräver ingen insamling av hälsoutfallsdata men väl data på patienternas användning.

Hälsoutfallsbaserade modeller

Eftersom värdet av en behandling beror på vilka patienter som behandlas, vilken behandling de annars skulle fått och hur sjukvården är organiserad (exempelvis var i behandlingstrappan och på vilket sätt en behandling introduceras), behandlingstid och patienternas beteenden (följsamhet) så kan värdet i klinisk praxis skilja sig väsentligt från det som mäts upp i randomiserade kliniska prövningar. Då kan kopplingen mellan nyttan med behandlingen och vad sjukvården faktiskt betalar bli svag i en modell med betalning per förpackning eller mg. I hälsoutfallsbaserade betalningsmodeller länkas

betalningen i stället till de hälsoutfall som uppnås med behandlingen och det finns exempel på avtal som slutits mellan betalare i sjukvården och företagen kring sådana modeller. Överlag har utfallsbaserade mått dock hittills visat sig svåra att implementera. Det finnas i praktiken många utmaningar med hälsoutfallsbaserade modeller såsom kostnader och tid för att administrera datainsamling, med att definiera hur och vilket hälsoutfall som ska mätas, med att hantera vissa begränsningar i teknologi och datainfrastruktur, med att förhandla fram faktiska avtal mellan alla berörda parter såsom företag, betalare och sjukvården. Dessutom är kopplingen mellan de intermediära mått som är realistiska att följa upp och de utfall som är relevanta för patienter och sjukvården ofta svag.⁴ Det har visat sig att data som samlas in är ofta i praktiken inte så värdefull.⁵ Den utmaning som kanske är den största för att få till en fungerande betalningsmodell som kopplar betalning till hälsoutfall är att hitta sätt att mäta/följa upp utan alltför stora kostnader för att undvika extrabesök i vården eller merarbete för forskrivare. Patientrapporterade utfallsmätningar kan där vara en möjlig väg framåt.

På grund av dessa skäl är det i första hand finansiella överenskommelser som ökar i Europa, möjligen med undantag för cancerläkemedel i Italien.⁶ I Nederländerna har man upplevt problem med dynamiken på de ofta snabbväxande marknaderna för cancerläkemedel och har åtminstone tillfälligt slutat med utfallsbaserade överenskommelser. Problemet var att överenskommelserna gjorde det svårare att använda nya läkemedel som kommer till marknaden med samma indikation för att dels ge patienterna tillgång till värdefulla alternativ och dels skapa priskonkurrens.⁷

Finansiella avtal löser liksom övriga återbäringsavtal det problem som internationell referensprissättning skapar, men utvecklingen är otillfredsställande på så vis att finansiella avtal har liten potential att hantera osäkerhet och sprida risker vad gäller medicinskt utfall.⁸ Det finns också en stor spridning på utformningen av

⁴ Toumi M, Jarosławski S, Sawada T, Kornfeld Å. 2017. The Use of Surrogate and Patient-Relevant Endpoints in Outcomes-Based Market Access Agreements : Current Debate. *Applied Health Economics and Health Policy*. 15:5-11.

⁵ Pauwels 2017. Managed Entry Agreements for Oncology Drugs: Lessons from the European Experience to Inform the Future. *Frontiers in Pharmacology*. 04 April 2017.

⁶ Ibid.

⁷ Pauwels 2017. Managed Entry Agreements for Oncology Drugs.

⁸ Ibid.

avtal inom och mellan länder och över tid.⁹ Delvis är detta dock en effekt av ett utvecklingsarbete i både Sverige och andra länder.

2.4.3 Sammantagen bedömning

Vi kommer inte i det här delbetänkandet lämna någon slutlig analys av olika modeller för att prissätta och betala för läkemedel. Det behövs djupare analys och ytterligare inventering av tänkbara uppställningar.

Vi kan konstatera VBP förefaller ha fördelar vad gäller måluppfyllelse framför allt runt de mål som vi identifierat som mer nationella, dvs. samhällsekonomisk effektivitet, jämlikhet, god tillgång och goda förutsättningar för forskning och innovation. För målen runt långsiktig hållbarhet och förutsägbara processer kan det finnas andra modeller med högre måluppfyllelse. Men det är viktigt att notera att olika produkter och olika faser i en produkts livscykel eventuellt kan behöva olika modeller för prissättning och betalning. Vi bedömer att utvecklingen som skett i Sverige mot mer flexibla och anpassade modeller, framför allt ett större inslag av förhandling, överlag har tagits emot väl av intressenterna på marknaden.

⁹ Ferrario A, Kanavos P. 2015. Dealing with uncertainty and high prices of new medicines: a comparative analysis of the use of managed entry agreements in Belgium, England, the Netherlands and Sweden. Soc Sci Med. 124:39–47.

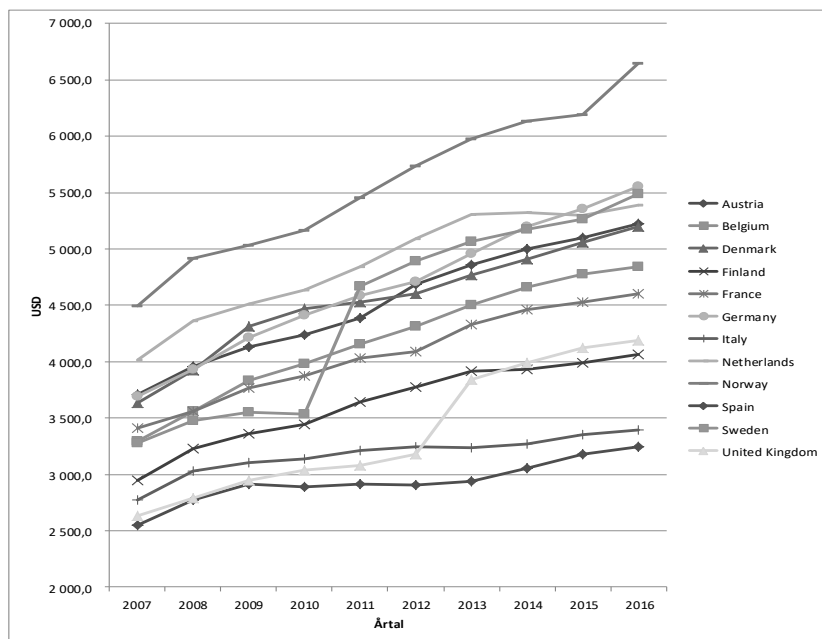
3 Utvecklingen internationellt och i Sverige skapar viktiga förutsättningar

Utmaningar både nu och framöver

Vi presenterar och analyserar dagens situation relativt ingående i det här och kommande kapitel i delbetänkandet. Bilden är inte entydig och det finns viktiga målkonflikter att hantera. Vi kan även konstatera att samtidigt som det finns betydande svårigheter att hantera redan i dag bjuder också utvecklingen av hälso- och sjukvården och samhället i stort på utmaningar. Nedan diskuterar vi några av dessa.

En viktig utgångspunkt är att hälso- och sjukvård är den största posten i den offentliga konsumtionen. Enligt SCB:s hälsoräkenskaper¹ var de totala utgifterna för hälso- och sjukvård 460 miljarder kronor i Sverige år 2015, vilket motsvarade elva procent av BNP. I en internationell kontext innebär det att Sverige lägger mer per capita på hälso- och sjukvård än de flesta andra jämförbara länder (se Figur 3.1). Landstingen stod för den största delen av utgifterna, 57 procent.

¹ www.scb.se/hitta-statistik/statistik-efter-amne/nationalrakenskaper/nationalrakenskaper/halsorakenskaper

Figur 3.1 Hälso- och sjukvårdskostnaderna per capita

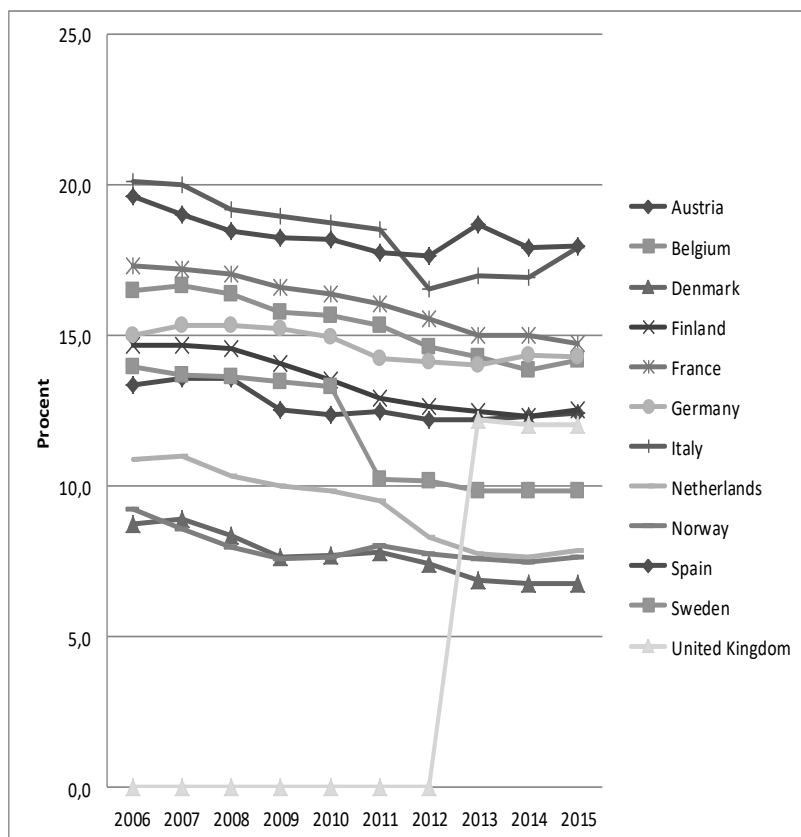
Den stora förändringen för Sverige mellan 2010–2011 beror på ett förändrat sätt att rapportera kostnaderna för sjukvård respektive äldreomsorg och omsorg.

Källa: OECD 2017.

Sverige lägger en mindre del av vårdens resurser på öppenvårdsläkemedel än många andra jämförbara länder (se Figur 3.2). Läkemedel stod i Sverige 2015 för totalt 42 miljarder kronor, dvs. drygt nio procent av de totala utgifterna. Som jämförelse står lönerna för cirka 30 procent av landstingens kostnader. Läkemedel inom förmånen stod för cirka 90 procent av de 97 miljoner läkemedelsförpackningar som såldes i Sverige 2016 och kostnaden för dessa var cirka 26 miljarder kronor.² Rekvisitionsläkemedel kostade åtta miljarder och drygt elva miljarder var kostnader för receptfria läkemedel.

² www.tlv.se/lakemedel/Lakemedelsmarknaden

Figur 3.2 Öppenvårdsläkemedel som andel av hälso- och sjukvårdskostnaderna



Den stora förändringen för Sverige mellan 2010–2011 beror på ett förändrat sätt att rapportera kostnaderna för sjukvård respektive äldreomsorg och omsorg.

Naturläkemedel och homeopatiska preparat ingår. I Sverige beräknas marknaden för sådana läkemedel uppgå till cirka 5 miljarder kronor.

Källa: OECD 2017.

3.1 Kärvare tider för landstingen

Sverige är mitt i en högkonjunktur och skatteunderlaget har växt i snabb takt under flera år, men konjunkturer mattas av och en väsentligt mer dämpad skatteunderlagsutveckling är sannolik från 2019. De demografiska behoven fortsätter däremot att öka, liksom investeringsbehov och pensionsavsättningar. Kostnaderna ökar därför snabbt, även om takten var lägre 2016 än 2014 och 2015. För att

uppnå ett resultat på en procent av skatter och bidrag uppstår ett gap mellan kostnader och intäkter som enligt prognoser från Sveriges Kommuner och Landsting (SKL)³ kommer att uppgå till 15 miljarder i landstingen och 25 miljarder i kommuner år 2020. Det samlade gapet om 40 miljarder kronor minskar dock till 25 miljarder kronor när regeringens aviserade höjningar av de generella statsbidragen med 5 miljarder kronor per år fram till och med 2020 räknas med.⁴ Det återstående gapet som uppstår fram till 2020 i kalkylen förväntas fortsätta att växa under överskådlig tid. De gap på många miljarder som då framträder i intäkts- och kostnadsscenarier är en omöjlighet i praktiken och kan ses som ett mått på spänningen mellan de krav som kommer att ställas på vården och de medel som kommer att finnas tillgängliga för att bekosta den. Gapet kommer att hanteras antingen genom minskad produktion, ökad effektivitet eller genom resurstillskott i form av skattehöjningar, höjda statsbidrag eller avgiftshöjningar. Sannolikt behövs en kombination av dessa med såväl skattehöjningar som tuffa prioriteringar och dessutom betydande effektiviseringar.⁵

De effektiviseringar som kommer att krävas ställer stora krav på styrning och en viktig faktor kommer vara tydliga spelregler och planeringsförutsättningar från statens sida. Statlig detaljstyrning och riktade statsbidrag framstår generellt som problematiska ur det perspektivet eftersom riktade bidrag riskerar att försvåra landstingens egna prioriteringar och effektivitetsarbete.⁶ SKL⁷ liksom Riksrevisionen⁸ förordar generella framför riktade statsbidrag. Tendensen har ändå i ett längre tidsperspektiv varit att de riktade statsbidragen blir fler.⁹ Regeringen har en uttalad ambition mot mindre detaljstyrning och större långsiktighet.¹⁰

³ SKL maj 2017. Ekonomirapporten.

⁴ Se prop. 2017/18:1 UO25; Pressmeddelande. SKL välkomnar välfärdssatsningar. SKL, 28 september 2017.

⁵ SKL 2017. Ekonomirapporten.

⁶ Riksrevisionen 2016. Statens styrning genom riktade statsbidrag inom hälso- och sjukvården RiR 2016:29; Vårdanalys 2013. Statens styrning av vården med prestationsbaserad ersättning. Rapport 2013:8.

⁷ SKL 2016. Färre och mer effektiva riktade statsbidrag till kommuner, landsting och regioner.

⁸ Riksrevisionen 2017. Staten och SKL – en slutrapport om statens styrning på vårdområdet RiR 2017:3.

⁹ Ibid.

¹⁰ Regeringen 2016. Riksrevisionens rapport om statens styrning genom riktade statsbidrag inom hälso- och sjukvården Regeringens skrivelse 2016/17:110.

Vi ser därutöver minst sex makrotrender som måste beaktas vid utformningen av ett system för finansiering och prissättning av läkemedel som ska fungera även på 10–15 års sikt: demografiska förändringar, ökad ojämlikhet, sjukdomspanoramat, framtidens patient, vårdens omstrukturering och innovationer och teknikutveckling.

3.1.1 Demografiska förändringar viktig drivkraft

Allt fler människor lever allt längre i Sverige. Enligt SCB:s befolkningsprognos¹¹ kommer befolkningen i Sverige att fortsätta att öka i alla åldrar, men mest bland de äldre. Procentuellt är ökningen större ju äldre åldersgrupp. Antalet personer över 80 år är i dag cirka en halv miljon, vilket beräknas öka till en miljon år 2040. Antalet personer över 85 år kommer att öka med 90 procent fram till år 2035. Det är en positiv utveckling med flera förklaringar som bättre levnadsförhållanden, preventiva insatser samt att vården blir allt bättre på att diagnostisera och behandla sjukdomar. Landstingens kostnader är emellertid olika stora för olika åldersgrupper. Snittkostnaden för en fyrtioåring är cirka 21 000 kronor och för en nittioåring cirka 76 000 kronor.¹² En ökad andel äldre och barn i befolkningen innebär dessutom att andelen personer i arbetsför ålder minskar: 100 personer i förvärvsverksam ålder kommer att behöva försörja 85 personer i icke förvärvsverksam ålder år 2035. Motsvarande siffra i dag är 75 personer.¹³ (Se Figur 3.3) Det för med sig en ökad konkurrens mellan sektorer om tillgänglig arbetskraft liksom en reducerad skattebas.¹⁴

Vid sidan av det ökande antalet äldre är immigrationen den största demografiska förändringen. Invandringen till Sverige bidrar till att öka befolkningen i arbetsför ålder, men medför samtidigt ökade krav på kommuners och landstings verksamheter varför nettoeffekten väntas bli i stort sett neutral för deras del.¹⁵

¹¹ SCB 2015. Sveriges framtida befolkning 2017–2060.

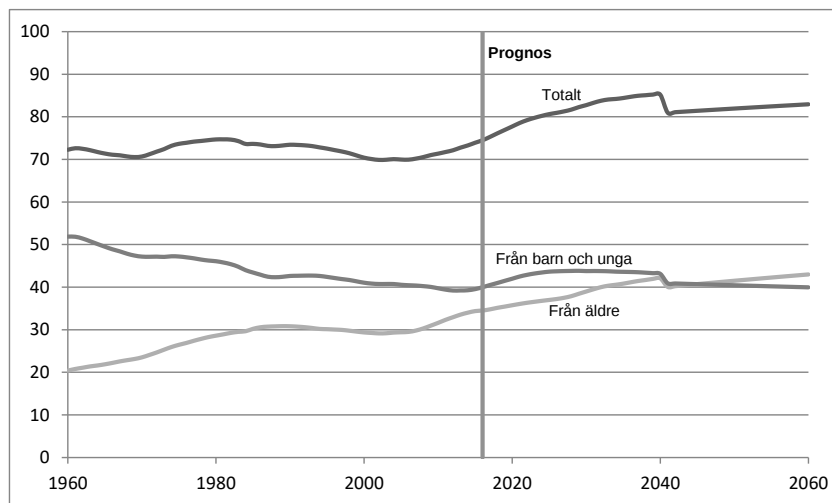
¹² SKL 2017. Ekonomirapporten.

¹³ SCB 2015. Sveriges framtida befolkning 2017–2060.

¹⁴ SKL 2017. Ekonomirapporten.

¹⁵ Ibid.

Figur 3.3. Försörjningskvotens utveckling 1960–2016 och prognos 2017–2060



Försörjningskvot beräknas som summan av antal personer 0–19 år och antal personer 65 år och äldre dividerat med antal personer 20–64 år och därefter multiplicerat med 100.

Källa: SCB.

Enligt Konjunkturinstitutets¹⁶ beräkningar kommer välfärdssystemen att kunna hantera den demografiska utmaningen endast om den nuvarande nivån på välfärden behålls oförändrad. Om kostnadsökningarna fortsätter i samma takt som de gjort de senaste decennierna, med i genomsnitt en procent årlig ökning utöver demografin, kommer skattesatsen för kommuner och landsting att behöva öka med i genomsnitt cirka 13 procentenheter fram till år 2035.¹⁷

Om inte utgifterna tillåts öka riskerar ett gap att uppstå mellan välfärdsstatens omfattning och kvalitet och människors behov och förväntningar. Och om allt fler inte nöjer sig med den offentliga sektorns erbjudande utan i stället väljer att köpa ökad trygghet och bättre tjänster finns risk för en situation där deras vilja att betala skatt minskar och välfärdsstaten hamnar i en negativ spiral av nedskärningar och försämrad välfärd.

¹⁶ Konjunkturinstitutet 2017. Hållbarhetsrapport för de offentliga finanserna. Specialstudier nr 54.

¹⁷ SKL 2010. Framtidens utmaning: välfärdens långsiktiga finansiering; SNS 2014. Konjunkturrådets rapport 2014. Hur får vi råd med välfärden?

3.1.2 Ojämlighet i inkomst leder till ojämlikhet i hälsa

Hälsan är i allmänhet sämre ju lägre den socioekonomiska positionen är och den senaste folkhälsorapporten¹⁸ visar att sambandet har blivit allt starkare i Sverige de senaste tio åren. Sett i det ljuset är det oroväckande att inkomstskillnaderna sedan decennier ökar snabbare i Sverige än i andra utvecklade länder.¹⁹ Även vad gäller utbildning och skolresultat ökar ojämlikheten snabbt.²⁰ Sverige har också stora och välkända problem med segregering. Den ökade ojämlikheten kommer från en internationellt sett mycket låg nivå och vad gäller inkomstojämlikheten handlar det främst om att det kraftigt ökade välståndet inte fördelats lika jämt som tidigare.²¹ Men oavsett detta så är både inkomst och utbildning starkt kopplade till hälsa och en ökad ojämlikhet på dessa områden kommer att medföra ökad ojämlikhet i ohälsa.²²

3.1.3 Sjukdomspanoramat och läkemedelsanvändningen.

Att vi blir äldre gör att fler personer hinner utveckla de sjukdomar som normalt följer av ökad ålder. Livsstilsförändringar som ändrad kost och mer stillasittande liv kommer också att fortsätta att påverka sjukdomspanoramat. Riskfaktorerna för hjärt-kärlsjukdomar har till exempel ändrats över tid så att rökning har minskat i befolkningen, medan högt blodtryck och även övervikt och fetma har ökat den senaste tioårsperioden.²³ Antalet stroke och hjärtinfarkter har sammantaget minskat i ett samspel mellan riskfaktorer och förbättrade behandlingar. Antalet cancerfall ökar däremot varje år vilket till stor del beror på att befolkningen blir allt äldre samt att fler lever längre med sin cancersjukdom. Detta leder till en snabb ökning av besöken i cancervården, som växte med 19 procent mellan 2010 och 2015.²⁴

¹⁸ Folkhälsomyndigheten 2017. Folkhälsans utveckling – årsrapport 2017.

¹⁹ OECD 2017. Economic survey of Sweden.

²⁰ OECD 2015. Results from PISA 2015.

²¹ Höjer H. 2014. Den lilla klicken som får klassklyftan att växa. Forskning och framsteg. 2014-04-30.

²² Marmot M. 2005. Social determinants of health inequalities. Lancet; 365: 1 099–104.

²³ Hjärt-lungfonden 2016. Hjärtrapporten.

²⁴ SKL 2017. Ekonomirapporten.

Olika kroniska sjukdomar kommer att fortsätta öka.²⁵ Redan i dag har cirka 50 procent av befolkningen en eller flera kroniska sjukdomar och dessa patienter konsumerar 80–85 procent av sjukvårdskostnaderna och knappt fyra procent av patienterna står för 50 procent av kostnaderna.²⁶ Läkemedel är en viktig del av behandlingen av många kroniska sjukdomar. De tio läkemedelsgrupper som hade störst försäljning 2012 stod tillsammans för över en fjärdedel av den totala försäljningen och samtliga dessa används framför allt vid behandling av kroniska sjukdomar. Myndigheten för vård- och omsorgsanalys (Vårdanalys)²⁷ uppskattade att ungefär tre fjärdedelar av den totala läkemedelsförsäljningen 2012 (förutom receptfria läkemedel) på 32 miljarder kronor var läkemedel för kronisk sjukdom.

Kostnaderna för cancerläkemedlen utgör cirka 10 procent av de totala läkemedelskostnaderna.²⁸ Många cancerläkemedel är rekvisitionsläkemedel och de utgör cirka 30 procent av de totala rekvisitionskostnaderna.²⁹ Dessa kostnader ökade 2011–2016 och kommer troligtvis fortsätta att öka även framöver allteftersom nya innovativa och effektiva men dyra onkologiläkemedel kommer ut på marknaden. Inom förmånen förväntas cancerläkemedel öka med 1,3 miljarder kronor år 2017–2019.

Socialstyrelsens prognos över kostnadsutvecklingen för läkemedel³⁰ visar också en kraftig kostnadstillväxt för nya orala anti-koagulantia där kostnaden inom förmånen förväntas öka med cirka 1,2 miljarder kronor fram till 2019.

På global nivå räknar analytiker med att cancer om fem år kommer vara det största terapiområdet i termer av läkemedelsförsäljning. Sedan följer läkemedel mot diabetes, reumatiska sjukdomar, infektioner och sedan vaccin.³¹ I Västeuropa beräknas läkemedelsförsäljningen under den kommande femårsperioden öka med i snitt 3,6 procent per år, och allra snabbast i Norge och Sverige. Det kan

²⁵ Modig, Karin, Anders Ahlbom och Tomas Andersson 2010. Sjukdomspanoramat i Stockholm – i dag och i framtiden; Vårdanalys 2014. VIP i vården? – Om utmaningar med vården av personer med kronisk sjukdom. Rapport 2014:2.

²⁶ Vårdanalys 2014. VIP i vården?

²⁷ Ibid.

²⁸ LIF 2016. Läkemedelsmarknaden och hälso- och sjukvården. LIF Fakta.

²⁹ Socialstyrelsen 2017. Läkemedelsförsäljning i Sverige – Analys och prognos 2017–2019.

³⁰ Ibid.

³¹ EvaluatePharma 2017. World Preview 2017.

jämföras med att utgifterna för hälso- och sjukvård väntas öka med i snitt 3,9 procent per år.³²

Den i grunden positiva utvecklingen att vi lever längre medför alltså en utmaning för vården och omsorgen: hur ska de ökade behoven av vård och omsorg för personer med långvarig och kronisk sjukdom tillgodoses? Detta har stor betydelse även för läkemedelsanvändningen. Totalt förväntas kostnaderna för läkemedel inom förmånen öka från 22,1 miljarder kronor år 2016 till 26,8 miljarder kronor år 2019 och av den totala kostnadsökningen på 4,7 miljarder kronor är 1,3 miljarder kopplade till befolkningsförändringar.³³ Dessutom är många av de läkemedel som förlorar sina patent de kommande åren biologiska läkemedel. Det går att pressa priserna även för dessa, men det har hittills visat sig svårt att uppnå samma prispress som för läkemedel som bedömts utbytbara på apotek. Detta kan bidra till att kostnaderna för läkemedel kan komma att öka i högre takt än i dag.

3.1.4 Patienternas förväntningar förändras

Patienters och medborgares förväntningar på vården ändras, kanske snabbare än vad vården gör. En industriell logik präglar ofta dagens vård på så sätt att organisation och flöden ofta är likadana oavsett patientens egenskaper och behov.³⁴ Vården är i dag dessutom till stor del uppbyggd efter en patient med ett tydligt definierat, ofta akut hälsoproblem som vårdas i en avgränsad episod.³⁵ Exempelvis är finansieringssystemen för läkemedel med sin skarpa uppdelning i öppen- och slutenvård konstruerade för detta scenario. I själva verket har patienter olika behov och förutsättningar som varierar mellan individer, diagnoser och faser i sjukdomen.³⁶ En konsekvens av detta är att personer med hög teknisk kompetens och god social situation troligen kommer ha stora möjligheter att dra nytta av digitaliseringen och ny teknik för att exempelvis hantera komplexa

³² The economist intelligence unit 2016. World industry outlook – Healthcare and pharmaceuticals.

³³ Socialstyrelsen 2017. Läkemedelsförsäljning i Sverige – Analys och prognos 2017–2019.

³⁴ SOU 2016:2 Effektiv vård.

³⁵ Vårdanalys 2014. VIP i vården?

³⁶ SKL 2016. Beteenden och behov hos personer i kontakt med vården; SKL 2016. Rapport analysuppdrag: Flippen.

kroniska tillstånd, medan patienter med lägre kompetens sannolikt kommer behöva mycket mer stöd för att göra detta. Det kommer krävas aktiva insatser och stark kunskapsstyrning om inte de ojämlikheter som finns i dag ska bli ännu mer uttalade. Det finns även ekonomiska skäl att stödja en utveckling mot mer involverade patienter eftersom det visats att patienter som klarar sig mer själva kostar i snitt mer än 20 procent mindre än patienter som är mindre självgående.³⁷

Många patienter kommer också att kräva mer egenmakt och delaktighet i vården. En utmaning med detta är att det kan uppstå konfliktsituationer mellan vad som är optimalt för den enskilde patienten och vad som är optimalt ur samhällets perspektiv.

I linje med mer egenmakt kommer patienternas rörlighet sannolikt att öka. Rörligheten gäller även utanför gränser kopplade till prissättning och finansiering. Riksavtalet för utomlänsvård bestämmer vad som gäller när en patient får vård utanför sitt eget hemlandsting, men patienter har sedan många år fritt kunnat söka öppen vård hos andra landsting. Denna vård förefaller dock inte öka.³⁸ Svenska patienter har också sedan länge haft möjlighet att söka vård utomlands efter förhandsbesked från försäkringskassan enligt Europaparlamentets och rådets förordning (EG) nr 883/2004. Sedan 2013 finns dessutom möjlighet för patienter att fritt söka vård inom EU och få kostnaderna ersatta av landstingen.³⁹ 2015 beviljades nästan 10 000 personer ersättning för vård utomlands enligt dessa regler, flest i Spanien, därefter Danmark och Finland. Ersättningen begränsas till sådan vård som tillhandahålls inom den offentliga sjukvården i Sverige, och kan därmed också omfatta läkemedel.⁴⁰ Den totala ersättningen uppgick 2015 till 60 miljoner kronor och är därmed av marginell finansiell betydelse för det svenska sjukvårdssystemet. I takt med att europeiska referensnätverk för högspecialiserad vård byggs upp kan detta eventuellt förändras. Sedan mars 2017 har 24 nätverk bildats och Sverige deltar i en majoritet av dem. Samarbetet är frivilligt och fokuserar på kunskapsutbyte, diagnos

³⁷ Hibbard JH, Greene J. What the evidence shows about patient activation: better health outcomes and care experiences; fewer data on costs. *Health Aff (Millwood)*. 2013 Feb;32(2):207–14.

³⁸ Vårdanalys 2017. Lag utan genomslag. Rapport 2017:2.

³⁹ Lag (2013:513) om ersättning för kostnader till följd av vård i ett annat land inom Europeiska ekonomiska samarbetsområdet.

⁴⁰ SFS 2013:513 § 5.3.

och andrahandsutlåtande men skulle också kunna utvecklas till att patienter skickas till andra länder för avancerad vård i större omfattning än i dag. På kort eller medellång sikt bedöms det dock inte påverka läkemedelskostnaderna i någon större utsträckning.

Det finns oroande tendenser att förtroendet för sjukvården är sjunkande i Sverige bland både sjukvårdspersonal, patienter och medborgare.⁴¹ Vi vet inte i vilken utsträckning detta gäller även läkemedelsområdet, men att befolkningen, patienterna och personalen har ett högt förtroende för välfärdstjänsterna och de myndigheter som utför dem är en förutsättning för den offentliga och solidariskt finansierade hälso- och sjukvården. Bristande förtroende kan också få konsekvenser för systemeffektiviteten i form av exempelvis bristande förståelse och följsamhet med kunskapsstyrningen. Se Bilaga 4 för en kunskapsöversyn om denna och näraliggande frågor.

3.1.5 Vården omstruktureras

Vårdens struktur och styrning är föremål för intensiv debatt och utvecklingsarbete eftersom styrningen av vården anses fragmentiserad med en rad olika aktörer, bitvis oklar rollfördelning samt bristande samordning och samverkan emellan dem.⁴²

På makroplanet har frågan om en regionreform utretts och debatterats under en längre tid. När direktiven till denna utredning skrevs förväntades en reform som skulle innebära att dagens landsting och regioner ersattes av sex storregioner. Det förslaget kunde inte genomföras och bedömningen bland politiker är nu att det inte kommer bli någon regionreform inom överskådlig tid. En regionreform hade på ett genomgripande sätt påverkat förutsättningarna för finansiering och prissättning av läkemedel. Vi får nu i stället utgå från att regionindelningen under minst tio år framöver kommer att se ut som den gör i dag.

Att det inte blev någon regionreform den här gången betyder inte att sjukvården inte förändras organisatoriskt och strukturellt. En stark drivkraft bakom detta är att det svenska systemet i dag är alltför sjukhustungt och att primärvården inte har förutsättningar

⁴¹ Vårdanalys 2016 Vården ur befolkningens perspektiv. PM 2016:5.

⁴² SOU 2016:2 Effektiv vård; SOU 2017. Kunskapsbaserad och jämlik vård – Förutsättningar för en lärande hälso- och sjukvård. SOU 2017:48.

att klara uppdraget som första linjens vård eftersom den är underdimensionerad både i förhållande till förväntningar och till potential.⁴³ Generellt är gränsdragningen mellan öppen- och slutenvård inte längre ändamålsenlig och splittringen gör det svårt för såväl medarbetare som patienter att agera ändamålsenligt i systemet. För att möta den demografiska utvecklingens utmaningar och de medföljande kostnadsökningarna håller vården i Sverige på att omstruktureras och en viktig trend är att den flyttar ut från sjukhusen. Bara de senaste åren kan stora förändringar i vårdutnyttjandet noteras.⁴⁴ En mindre andel invånare vårdades i den slutna somatiska vården 2015 jämfört med 2010 (med undantag för de allra äldsta). En förklaring är att hjärtinfarkter och stroke har minskat betydligt och fortsätter att minska, vilket bidrar till att hålla tillbaka vårdutnyttjandet. Men det beror också på att en stor del av vården flyttar ut från slutenvården. Till exempel ökade antalet besök i den kirurgiska korttidsvården med 10 procent mellan 2010 och 2015 och besöken i den medicinska med nio procent. Eftersom kostnaderna är betydligt lägre i den öppna vården har detta hjälpt till att hålla igen de totala kostnadsökningarna.

Det finns även andra skäl till en utveckling mot vård utanför sjukhusen, som att primärvården bättre svarar mot patienternas behov och preferenser och att sjukhus medicinskt inte är den bästa lösningen i många lägen – särskilt för äldre kan sjukhus vara en riskmiljö. Infektionsrisken är stor, långvarigt sängläge kan medföra förlust av muskelmassa och överbeläggningar minskar ytterligare förutsättningarna att ge en god och säker vård. Därför ska inskrivning på sjukhus undvikas när det går och onödigt långa vårdtider kortas.⁴⁵ Allt mer avancerad sjukvård bedrivs också utanför sjukhusen i form av exempelvis öppen specialistvård, primärvård och hemsjukvård. Även här riskerar uppdelningen av läkemedelsfinansieringen i öppen- och slutenvård att skapa allt större hinder för en ändamålsenlig utveckling av vården.

Även den högspecialiserade vård som bedrivs på sjukhus är under omstöpning strukturellt. En utredning⁴⁶ konstaterade att nivåstruktureringen inte varit ändamålsenlig och att vissa avancerade ingrepp

⁴³ SOU 2016:2 Effektiv vård.

⁴⁴ SKL 2017. Ekonomirapporten.

⁴⁵ SKL 2016, så vässar vi vården.

⁴⁶ SOU 2015. Träning ger färdighet. Koncentrera vården för patientens bästa. SOU 2015:98.

utförts på alltför många enheter. Det arbete som hittills bedrivits inom ramen för det som kallas rikssjukvård har inte varit tillräckligt och utredningen föreslår ökad nationell styrning. När detta skrivs behandlas frågan av Socialdepartementet.

För personer med kronisk sjukdom har svensk vård genomgående relativt svaga resultat jämfört med andra länder, vilket blir särskilt problematiskt då kronisk sjukdom ökar. En bidragande orsak till detta är att dessa patienter saknar en diskussion med vården kring målsättningar och hur de själva kan ta hand om sin sjukdom.⁴⁷ En stor del av kroniska sjukdomar som diabetes, KOL, långvarig smärta, ledsjukdomar och depression kan minska i förekomst med förändrade levnadsvanor. Prevention, förebyggande och hälsofrämjande arbete kommer därför behöva spela en mer central roll i framtiden.⁴⁸

3.1.6 Innovationer och teknikutveckling

Vi har redan nämnt hur den demografiska utvecklingen under kommande år riskerar att urholka skattebasen och höja kostnaderna genom att allt fler lever allt längre och att det kommer behövas en kombination av skattehöjningar, prioriteringar och betydande effektiviseringar. Att effektivisera och höja produktiviteten i vården är emellertid lättare sagt än gjort. En viktig dimension av problemet är det som kallas Baumols sjuka.⁴⁹ Många tjänster inom vård och omsorg går inte att automatisera och standardisera eftersom de bygger på mänsklig interaktion (i vissa fall är tjänsten att just tillbringa en viss tid med omsorgstagaren – det går inte att korta den tiden utan att sänka effektiviteten). Produktiviteten i sådana tjänster kan inte öka i samma takt som produktivitetsutvecklingen i den varuproducerande delen av ekonomin. Däremot måste lönerna öka i ungefär samma takt som i den varuproducerande delen av ekonomin eftersom det annars inte kommer gå att få tag på arbetskraft. Kostnaderna i dessa sektorer måste sannolikt få öka snabbare än i andra

⁴⁷ Vårdanalys 2014. VIP i vården?; Vårdanalys 2016 Vården ur befolkningens perspektiv.

⁴⁸ SKL Positionspapper 2013 Hälsofrämjande hälso- och sjukvård; Harlid R & Bjerkestam M. 2017. Att styra och leda mot en hälsofrämjande hälso- och sjukvård. Socialmedicinsk tidskrift 94: 255–263.

⁴⁹ Baumol W. 1993. Health care, education and the cost disease: A looming crisis for public choice. I: Charles K. Rowley, Friedrich Schneider, Robert D. Tollison (red). The Next Twenty-five Years of Public Choice, s. 17–28.

sektorer av samhället, men detta är ofta politiskt svårt att genomföra (svensk sjukvårds kompetensförsörjningsproblem kan eventuellt vara ett exempel på detta). Under alla omständigheter är det viktigt att åtgärda ineffektivitet och slöseri och genomföra effektivitetshöjande innovationer där det är möjligt. Tidigare utredningar och rapporter⁵⁰ har pekat på att det finns stora effektivitetsvinster att hämta i vårdens organisation, styrning och arbetssätt. Andra, exempelvis SKL⁵¹ menar att effektiviseringar i den storleksordning som krävs endast kan uppstå när ny teknik tas i bruk. Vi kommer här ta upp två typer av ny teknik: nya läkemedel och digitaliseringen.

Nya läkemedel medför stora möjligheter

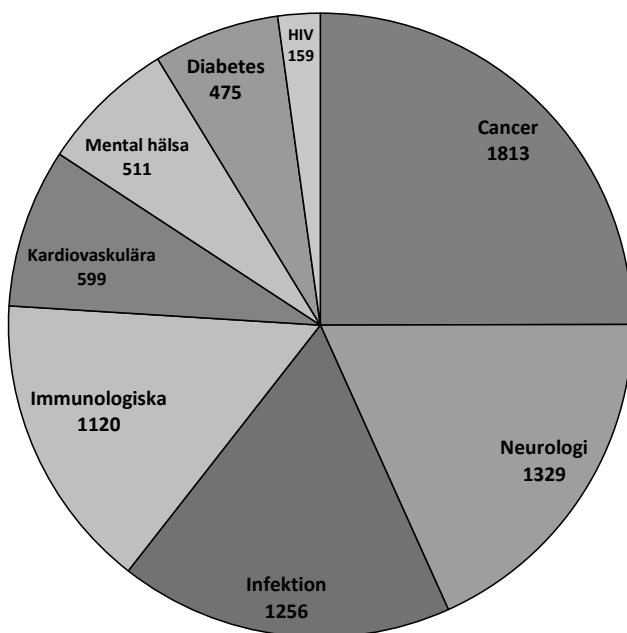
De forskande läkemedelsföretagen fortsätter att lansera nya produkter: år 2016 registrerades t.ex. 27 nya aktiva substanser hos den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA. Se Bilaga 3 för Läkemedelsverkets analys av nya produkter och Figur 3.4 som visar produkter som finns i läkemedelsföretagens pipeline uppdelat på sjukdomsområden. Det finns en stor potential att förbättra människors hälsa och livskvalitet vid en rad olika sjukdomstillstånd i denna utveckling. Till exempel att cancer i många fall kan bli en kronisk i stället för dödlig sjukdom eller att medfödda genetiska sjukdomar kan botas. Dessutom finns en stor potential att höja effektiviteten i vården. Det finns bland annat skäl att tro att ändamålsenlig läkemedelsbehandling av kroniska sjukdomar kan bidra till att minska andra sjukvårdskostnader.⁵²

⁵⁰ SOU 2016:2 Effektiv vård; Vårdanalys 2013. Vårdanalys ur led är tiden. Rapport 2013:9.

⁵¹ SKL 2017. Ekonomirapporten.

⁵² Se exempelvis Jha AK, Aubert RE, Yao J, Teagarden JR, Epstein RS. Greater adherence to diabetes drugs is linked to less hospital use and could save nearly \$5 billion annually. *Health Aff.* 2012;31(8):1 836–1 846; Cutler DM, Long G, Berndt ER, *et al.* The value of antihypertensive drugs: a perspective on medical innovation. *Health Aff.* 2007;26(1):97–110.

Figur 3.4 Fördelningen av totalt 7 000 läkemedel under utveckling på terapiområden



Källa: EFPIA/IMS.

Ett stort problem med läkemedelsbehandling i dag är att precisionen är så låg. De tio mest säljande läkemedlen i USA rapporteras fungera endast för mellan 4 och 25 procent av patienterna som använder dem.⁵³ Ett nytt paradig inom medicin som bygger på en mycket djupare förståelse av biologiska system är dock på väg. Det baseras på bland annat kartläggningar av det mänskliga genomet och tillgång till ny teknik, inte minst för diagnostik. Målinriktade behandlingar förutsätter tester som kan vara dyra i dag, men kostnaderna kommer att sjunka över tid.⁵⁴ Mycket av dagens läkemedelsutveckling gäller så kallade målinriktade behandlingar, gen- och cell-

⁵³ Schork NJ 2015. Time for one-person trials. *Nature*. 520: 609– 611.

⁵⁴ Namslauer A. och Gómez de la Torre J. 2017. Where is life-science heading in the future? Stockholm science city foundation.

terapi och läkemedel mot cancer och andra svåra sjukdomstillstånd liksom många läkemedel för små patientpopulationer.⁵⁵

Nya läkemedel kräver nya lösningar

I samband med utvecklingen av olika nya typer av läkemedel finns potentiellt några svårigheter kring finansiering och prissättning. I Figur 3.5 illustrerar vi med några exempel detta beroende på om läkemedlen vänder sig till många eller få patienter (horisontell axel) och om det rör sig om kronisk eller botande behandling (vertikal axel).

I fältet *kroniska behandlingar för många patienter* kommer det finnas läkemedel för kroniska sjukdomar som exempelvis diabetes, hjärtsvikt eller reumatism. Potentiella utmaningar för subvention och prissättning kan handla om att gränserna mellan medicinteknik och läkemedel flyttas när digital teknik börjar användas för att optimera läkemedelsanvändning, eller att den nya tekniken medför stora individuella variationer i väntad effekt. Vad gäller finansiering kan en utmaning bli att de stora vinsterna av behandlingarna kommer i framtiden, medan kostnaderna börjar stiga direkt. Det sistnämnda är inte någon ny utmaning, men kan accentueras om priserna blir högre. En ytterligare utmaning kan bli att det måste finnas system för tidig diagnosticering av exempelvis demenssjukdomar för att kunna initiera bromsbehandling i tid. För att det ska fungera krävs en tät samverkan med vården. Dessa läkemedel har potential att bli en central del i lösningen av vårdens effektivitetsproblem och konsekvenserna av att inte lyckas få till en ändamålsenlig användning är stora.

I fältet *botande behandling – många patienter* kan svårigheter uppstå runt finansieringen. Vinsterna av exempelvis en botande behandling för Alzheimers kan bli mycket stora för samhället som helhet och över lång tid, men priset, och därmed de direkta kostnaderna, kommer troligen också att bli mycket högt. Budgetkonsekvenserna kan bli stora och eventuellt kommer nya betalningsmodeller att behöva utvecklas.

⁵⁵ FDA. 2015. Targeted Drug Development: Why Are Many Diseases Lagging Behind?

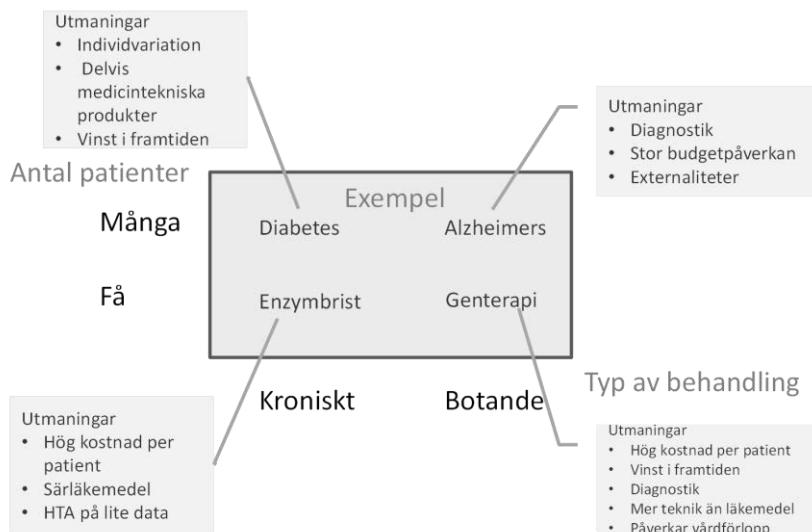
Beträffande läkemedel i fältet *kronisk behandling – få patienter* tror vi att många av de utmaningar som redan i dag är förknippade med sällsynta och allvarliga tillstånd, som exempelvis enzymbrist-sjukdomar och vissa cancersjukdomar kommer att finnas kvar och förstärkas. Det gäller bland annat möjligheterna att utvärdera baserat på små dataunderlag, liksom nödvändigheten att fortsätta följa användning och effekt i klinisk vardag och dessutom de finansiella och etiska frågorna runt behandlingar som kan vara mycket kostsamma per patient.

Fältet *botande behandling – få patienter*, slutligen, omfattar många av de nya läkemedel som får mest uppmärksamhet, till exempel gen- och cellterapi. Flera av dessa förefaller vara mer teknik än läkemedel, även om de regulatoriskt behandlas som läkemedel. Av naturliga skäl kommer data att vara begränsad. Vidare har dessa läkemedel sannolikt stor påverkan på vårdförlopp vilket är utmanande om inte pris- och finansieringsbeslut tas nära vården. De kommer sannolikt också ofta ha en mycket hög kostnad per patient med vinster som uppstår i framtiden och i andra delar av samhället.⁵⁶

⁵⁶ Gellad WF & Kesselheim A. 2017. Accelerated Approval and Expensive Drugs – A Challenging Combination. N Engl J Med 376;21.

Figur 3.5. Nya typer av läkemedel kan klassificeras efter om de är för kronisk eller botande behandling, för få eller många patienter

Olika typer av läkemedel skapar olika utmaningar



Källa: egen analys.

Digitalisering transformerar vården

Det andra innovationsområdet vi vill nämna är digitaliseringen som förväntas ha stor potential att effektivisera och transformera sjukvården. Vi tar upp tre spår som är särskilt relevanta för vår utredning: patientnära tillämpningar för att hantera kronisk sjukdom, verksamhetsstöd och kunskapsproduktion. Det första spåret berör teknik, både befintlig och under utveckling, som kommer kunna hjälpa patienter med kroniska sjukdomar att bättre hantera sin hälsa. Det kan till exempel handla om appar som stödjer patienter att äta rätt och röra på sig. En annan teknisk utveckling är sensorer som tillsammans med maskinlärningsalgoritmer optimerar en patients läkemedelsanvändning. Till exempel finns det ett sådant system som hjälper patienter med kronisk obstruktiv lungsjukdom att ta sin medicin i tid för att förhindra anfall.⁵⁷ De tekniska systemen har

⁵⁷ Shah SA, Velardo C, Farmer A, Tarassenko L. Exacerbations in Chronic Obstructive Pulmonary Disease: Identification and Prediction Using a Digital Health System J Med Internet Res 2017;19(3):e69.

potential att bryta den utveckling som ses för personer med kronisk sjukdom där riskfaktorer i alltför hög utsträckning tillåts gå över i dålig hälsa. En viktig fråga för oss är om digitaliseringen kommer innebära att den gränsdragning mellan medicinteknik och läkemedel som finns i dagens subventionssystem kan komma att stå i vägen för en ändamålsenlig utveckling.

Det är också viktigt att bromsa den successiva försämring som är typisk för kroniska sjukdomar. Det kan ske om alla patienter systematiskt får del av de insatser som har bäst förutsättningar att bromsa försämringen.⁵⁸ Det andra spåret i e-hälsoutvecklingen handlar därför om att med teknikens hjälp förbättra de olika verksamhetsstöd som personalen i vården har. Ett utvecklingsområde är förbättrade journalsystem som kan integrera kunskapsstöd och beslutsstöd, eftersom dessa i dag är otillräckliga.⁵⁹

Det tredje spåret handlar om digitaliseringen av vårdens data och möjligheterna att samla information och skapa kunskap i vården. Det finns fortfarande många obesvarade frågor runt bland annat det betungande arbete som det innebär för vårdpersonal att registrera data och regelverket för hur data kan användas samtidigt som individuella patienters integritet skyddas.⁶⁰ Likaså finns många tekniska och organisatoriska frågor runt interoperabilitet, möjligheterna att använda natural language processing kontra strukturerad data, kvalitetsregistrens roll och generellt hur hela "informationsekosystemet" ska se ut. Icke desto mindre är det troligen enbart en tidsfråga innan digitaliseringen möjliggör ett skifte i förutsättningarna att skapa en sjukvård som både använder och skapar kunskap, det som kallas ett lärande hälso- och sjukvårdssystem.⁶¹ Detta kan i grunden förändra även hur läkemedel värderas och hanteras.

⁵⁸ Vårdanalys 2014. VIP i vården?

⁵⁹ SOU 2017. Kunskapsbaserad och jämlik vård – Förutsättningar för en lärande hälso- och sjukvård. SOU 2017:48.

⁶⁰ Vårdanalys 2016, Vad står på spel? Om nyttan med digitala hälsouppgifter och risker ur ett integritetsperspektiv. Rapport 2016:3; Vårdanalys 2017. Lapptäcke med otillräcklig täckning. Slututvärdering av satsningen på nationella kvalitetsregister. Rapport 2017: 4.

⁶¹ Institute of Medicine (US) Roundtable on Value & Science-Driven Health Care. Redesigning the Clinical Effectiveness Research Paradigm: Innovation and Practice-Based Approaches: Workshop Summary. Olsen LA, McGinnis JM, eds. Washington, DC: The National Academies Press; 2010.

3.2 En mer samordnad modell har förespråkats

Den regulatoriska processen utvecklas och blir alltmer iterativ allteftersom vetenskap, kliniska prövningar och läkemedelsforskningen utvecklats.⁶² För särskilt angelägna sjukdomsområden där det saknas behandlingsalternativ finns det till exempel processer för tidigt godkännande. En viktig drivkraft i utvecklingen är det som kallas precisionsmedicin, som börjat resultera i produkter som kommit till marknaden och blottlagt svårigheter med dagens modell. Användning av dessa läkemedel är sammankopplad med diagnostik och testmetoder så att individuella patienters förväntade behandlingseffekt kan förutsägas med hög precision (därav namnet).⁶³

Ingen tvivlar på att precisionsmedicin är en oerhört positiv utveckling. Men det finns samtidigt en debatt om det kan ha blivit så att läkemedel i processerna för tidigt godkännande framför allt inom cancerområdet godkänns för tidigt för att kunna säkerställa klinisk nytta och säkerhet.⁶⁴ Läkemedelsverket belyser denna diskussion i Bilaga 3 och betonar där att de grundläggande principerna för godkännande inte har ändrats utan att det är produkterna som ändrats. TLV har till utredningen framfört att tidigt godkännande för framför allt cancerläkemedel, ibland baserat på studier utan kontrollarm, är en faktor som gjort att osäkerheten i kostnadseffektivitetsbedömningarna ökat under senare år. Andra viktiga faktorer som TLV lyft är ökningen av särkläkemedel och att det kommer in allt fler indirekta jämförelser.

Ett generellt problem som blivit mer påtagligt är att processerna för godkännande och pris/subvention är dåligt synkroniserade. Processerna har olika utgångspunkter för sitt beslutsfattande och behöver därför olika typer av information, men pris- och subvention beslutas som regel baserat på den information som tas fram för det

⁶² Se exempelvis Eichler m.fl. 2015. From Adaptive Licensing to Adaptive Pathways: Delivering a Flexible Life-Span Approach to Bring New Drugs to Patients. *Clin Pharmacol Ther.*, Vol. 97(3): 234–46.

⁶³ Breckenridge A, Eichler HG, Jarow JP. Precision medicine and the changing role of regulatory agencies. *Nat Rev Drug Discov.* 2016 Dec;15(12):805–806.

⁶⁴ Davis Courtney, Naci Huseyin, Gulpinar Evrim, Poplavska Elita, Pinto Ashlyn, Aggarwal Ajay et al. Availability of evidence of benefits on overall survival and quality of life of cancer drugs approved by European Medicines Agency: retrospective cohort study of drug approvals 2009–13 *BMJ* 2017; 359 :j4530.

Kim C, Prasad V. Cancer Drugs Approved on the Basis of a Surrogate End Point and Subsequent Overall Survival. An Analysis of 5 Years of US Food and Drug Administration Approvals. *JAMA Intern Med.* 2015;175(12):1992–1994.

regulatoriska godkännandet. Läkemedelsverket påpekar också i Bilaga 3 att det är ineffektivt och dyrt för samhället om regulatoriska myndigheter och HTA myndigheter agerar isolerat och även om regulatoriska beslutsfattare och HTA-myndigheter redan i dag samverkar så behöver samarbetet utvecklas ytterligare. Utvecklingen mot mer strömlinjeformade och flexibla regulatoriska program blir mindre meningsfull om patienternas tillgång till läkemedlen riskerar att stoppas av de som betalar för behandlingarna.⁶⁵ Det pågår ett utvecklingsarbete inom olika internationella fora för att möjliggöra djupare samarbete inom HTA. Ökat samarbete kring utvärdering av ny medicinsk teknologi och möjligheten att samla och analysera data från olika källor både inom och utanför Sveriges gränser, baserat på gemensamma standarder och modeller för datahantering, kommer troligen kunna bidra att minska osäkerheten kring värdet av ny teknologi. Vinsten av en eventuell ökad europeisk samordning av utvärderingen av medicinsk teknologi måste dock vägas mot risken för en mer byråkratisk och tungarbetad process.

Ytterligare en faktor som förefaller tala för mer samordnade processer är att läkemedelsutveckling numera sällan är inriktad mot ett enda användningsområde. Läkemedel testas ofta i många prövningar, även efter det initiala godkännandet, i olika indikationer och i kombination med andra behandlingar.⁶⁶ För att få ett korrekt estimat av ett läkemedels effekt måste bedömningen då ta hänsyn till att ett flertal behandlingseffekter har skattats i en portfölj av prövningar. Till exempel prövades cancerläkemedlet sorafenib i 203 kliniska prövningar under 13 år, på 26 olika tumörtyper och i 67 läkemedelskombinationer.⁶⁷

I förlängningen av utvecklingen av de regulatoriska processerna ligger att produkter skulle kunna fasas in i allt större patientpopulationer och engångsbeslut skulle ersättas med en sekvens av regulatoriska beslut allteftersom kunskapen om en produkts effekt och biverkningar i rutinsjukvård utvecklas⁶⁸. En stor utmaning för dem som beslutar om pris och subvention är att de också i stor utsträckning fattar engångsbeslut. Med en gradvis introduktion och

⁶⁵ Eichler m.fl. 2015.

⁶⁶ Kimmelman J. *et al.* 2017. Drug Development at the Portfolio Level Is Important for Policy, Care Decisions and Human Protections JAMA 318 (11), 1 003–1 004.

⁶⁷ Ibid.

⁶⁸ Breckenridge *et al.* 2016.

akkumulation av kunskap om hur en produkt fungerar i verklig vård så skulle även dessa beslut behöva vara mer kontinuerliga och förändras då värdet av produkten för olika patienter framträder tydligare. Det har också spekulerats i att minskade kostnader för kliniska prövningar på lång sikt eventuellt kan medföra lägre priser på läkemedel eftersom de stora kliniska prövningsprogrammen står för en mycket stor andel av utvecklingskostnaderna för läkemedel.⁶⁹ Mot detta kan argumenteras att företagen inte sätter pris på patenterade produkter efter kostnad, utan efter värde. En alternativ mekanism för lägre priser skulle kunna vara att produkterna kan lanseras mer "ofärdiga" och att vården/samhället tar större ansvar för den värdeskapande, sista delen av utvecklingen av produkterna.

Hela konceptet med sekventiella introduktioner och utvärderingar av klinisk effekt, säkerhet och kostnadseffektivitet bygger på att det finns tillgång till ändamålsenliga data och funktionella IT-system. Dessutom måste det finnas institutioner som kan och får analysera och använda de data som tas fram. Det innebär att institutionerna måste ha analyskapacitet och kompetens, men det krävs också ändamålsenlig lagstiftning om tillgång till data och skydd av individens integritet.

3.3 Internationella trender

Mycket av de senaste årens internationella debatt kring läkemedel har färgats av en ny generation läkemedel med mycket höga priser. Framför allt introduktionen av nya Hepatit C läkemedlen följt av den vågen med nya cancerläkemedel satte prisfrågan på den internationella dagordningen. Debatten i Europa har förts i ljuset av de utmaningar som Europas hälso- och sjukvårdssystem brottas med – en förändrad demografisk profil med ökade hälso- och sjukvårdskostnader som i kombination med tio år av ekonomisk kris följt av svag ekonomisk tillväxt⁷⁰ sätter press på de sociala trygghetssystemen.

Debatten går också het i USA. Amerikanska myndigheter har historiskt sett låtit marknaden reglera prissättningen. I takt med att den offentliga sjukvården breddats till att omfatta fler människor

⁶⁹ Eichler, Hans-Georg, Hugo Hurts, Karl Broich, and Guido Rasi. 2016. Drug Regulation and Pricing – Can Regulators Influence Affordability? *N Engl J Med* 374;19.

⁷⁰ Eurosta, Key figures on Europe, 2016 edition.

(via Medicare och Medicaid) har också det offentliga intresset av att kontrollera prissättningen ökat. Kritiker ifrågasätter varför USA ska betala mer för läkemedel än andra länder. Tillsammans med ett antal mycket uppmärksammade fall där priset på gamla läkemedel utan konkurrens höjts med flera tusen procent efter att de köpts upp av investerare,⁷¹ bidrog det till att göra läkemedelspriser till en fråga i det senaste presidentvalet. Donald Trump har som president gjort flera uttalanden om orimliga priser och behovet av att se till att andra delar av världen inte åker snålskjuts.⁷² Om USA gör verklighet av sina uttalanden kan det innebära ett ökat tryck på Europa och andra delar av världen att ta ett större ansvar för finansieringen av framtidens läkemedel. Det behöver inte bara vara negativt. Om den amerikanska andelen av världsmarknaden minskar skulle också Europa och resten av världens inflytande över vilka läkemedel som utvecklas öka.

I takt med att priserna på nya läkemedel blivit allt högre har intresset för internationellt samarbete ökat. Inom flera olika fora förs diskussioner om alternativa lösningar för hur man kan skapa incitament för forskning och utveckling som levererar mot patienters och samhällets behov till en kostnad som är hållbar för alla inblandade, inte minst de offentliga hälso- och sjukvårdssystemen.

3.3.1 EU-samarbetet kring läkemedel förändras och fördjupas

Medlemstaterna har enligt EU-fördragets artikel 168.7 ansvaret för att organisera sina hälsovårdssystem och tillhandahålla hälsovårdstjänster och medicinsk vård, i vilket fördelningen av de resurser som tilldelats för dessa ingår. Inom denna ram kan alla medlemsstater vidta åtgärder för att styra läkemedelsförbrukningen, reglera läkemedelspriserna eller fastställa villkoren för offentlig finansiering av läkemedel. Samtidigt har kommissionen en bred kompetens när det gäller införlivandet av den inre marknaden. Dessa två prin-

⁷¹ Herper, M. Why Did That Drug Price Increase 6,000%? It's The Law. Forbes, 10 februari 2017.

⁷² Mukherjee S. Donald Trump Just Sent Drug Stocks Tumbling – Again. Fortune, 10 mars 2017.

ciper har flera gånger lett till konflikter mellan medlemsstaterna och EU:s institutioner.

Kompetensfrågan är känslig, vilket blev mycket tydligt vid förhandlingarna kring transparensdirektivet 2012–2015. Kommissionen lade 2012 fram ett förslag till revidering av transparensdirektivet 89/105/EEG. Syftet var modernisera lagstiftningen för att bättre svara mot medlemsstaternas alltmer komplicerade pris- och ersättningssystem samt kodifiera den rättspraxis som utvecklats sedan direktivet införades. Kommissionen ville också förtydliga direktivets angivna tidsfrist för pris- och ersättningsbeslut. Förslaget togs emot mycket negativt i ministerrådet. En mängd praktiska, politiska och juridiska problem identifierades. Kritiken bottnade i en oro för att direktivet skulle få en kostnadsdrivande effekt, bakbinda medlemsstaternas möjlighet att styra sina prioriteringsbeslut och på sikt leda till en kompetensförskjutning.

Trots att Europaparlamentet tog en pragmatisk hållning och tog till sig delar av medlemsstaternas kritik, lyckades kommissionen aldrig övertyga medlemsstaterna om mervärdet av en revidering.⁷³ Kommissionens ställning blev inte bättre av industrins ljumma intresse för förslaget, där oron för ökade krav på transparens kring faktiska priser överskuggade utsikterna att få ett tydligare regelverk och kortare handläggningstider. Förslaget drogs formellt tillbaka i mars 2015.

Även om pris- och ersättningsfrågor ligger inom medlemsstaternas kompetensområde finns ett ökat intresse för samarbete på frivillig basis. Flera rapporter har tagits fram och en rad nya arbetsgrupper tillsatts i syfte att understödja samarbete inom prioriterade områden.⁷⁴

Sedan den ekonomiska krisen 2008–2009 har läkemedelpriser och hälso- och sjukvårdens hållbarhet varit en återkommande fråga på ministerrådets dagordning. En sammanställning av rådets slutsatser sedan 2013 visar på flera återkommande teman.

⁷³ Ändrat förslag till EUROPAPARLAMENTETS OCH RÅDETS DIREKTIV om insyn i de åtgärder som reglerar prissättningen på humanläkemedel och deras inordnande i de allmänna sjukförsäkringssystemen. 2012/0035 (COD).

⁷⁴ Vogler, Lepuschütz, Schneider, Stühlinger: 2015. Study on enhanced cross-country coordination in the area of pharmaceutical product pricing. s. 6–11.

Tabell 3.1 Sammanställning EU:s ministerråds slutsatser kring läkemedel sedan 2013

Slutsatser	Teman
jun 2017 (MT)	• Analysera effekten av befintliga incitament för innovation, tillgänglighet och läkemedels överkomlighet (inkl. särskiljningsmedel). • Ökat frivilligt samarbete för att öka tillgängligheten på ny teknologi, ökad transparens och förhandlingsstyrka. • Utforska nya möjliga mekanismer för samarbete kring uppföljningsstudier. • Informationsutbyte om kriterier för att fasa ut teknologi som inte längre är kostnadseffektiv. • Stöd för att finna nya samarbetsformer kring HTA för att hantera en föränderlig marknad och ny teknologi. • Frivilligt samarbete för att identifiera områden där gränsöverskridande datainsamling kan skapa mervärde.
jun 2016 (NL)	• Frivilligt samarbete och samordnade pristäthandlingar. • Fördjupat, frivilligt HTA-samarbete och ömsesidigt erkännande av relativ effektivitetsstudier. • Behov av investeringar för att öka tillgången till data. • Bristande tillgänglighet/sortimentsbredd på små marknader. • Utvärdera effekten av alla befintliga incitament för utveckling av läkemedel. • Fortsätta övervaka och ingripa mot konkurrensrättsliga överträdelser.
dec 2015 (LU)	• Individanpassade behandlingar. • Öka interoperabiliteten mellan elektroniska journaldatasystem. • Utveckla gemensamma principer och standarder för datainsamling för effektiv forskning och användning av individanpassade behandlingar. • Främja tidig dialog och parallella utlåanden för förbättrad evidensgenerering. • Utveckla HTA-metoder för utvärdering av individanpassade behandlingar. • Behov av ökad evidensbaserad information till allmänhet, patienter och professionen om nya individanpassade behandlingar.
dec 2014 (IT)	• Stödja ett livcykelperspektiv på innovativa läkemedel. • Öka informationsutbytet kring priser på och utgifter för läkemedel, inbegripet innovativa läkemedel. • Bättre utnyttjande av befintliga instrument för snabbare godkännande av läkemedel, med bibehållen patientsäkerhetsnivå. • Säkerställa långsiktig hållbarhet i arbetet med HTA, inklusive hur befintliga organ skulle kunna utnyttjas på bästa sätt för att underlätta samarbete, bidra till effektivitetsvinster och vetenskapliga synergieffekter.

jun 2014 (EL)	• Den ekonomiska krisens inverkan på hälso- och sjukvården. • Oro över höga läkemedelspriser. • Stöd för utbyte av information om politik som rör läkemedel och medicintekniska produkter, med särskilt fokus på små marknader.
dec 2013 (LT)	• Reflektera över aspekter som kan påverka tillgänglighet, åtkomlighet, priser, kostnader, patientsäkerhet och innovation på läkemedel och medicinteknik.

Slutsatserna från Hollands ordförandeskap 2016 anses särskilt viktiga och vägledande för den framtida utvecklingen. Där lyfter man fram behovet av utökat samarbete och samordnade prisförhandlingar, ett fördjupat EU samarbete kring HTA, ökade investeringar både på nationell och EU-nivå för att öka tillgången till data kring både utfall av läkemedelsanvändning och forskningsdata. Mycket av detta är högst relevant ur ett svenskt perspektiv. Man talar också om behovet av att se över EU:s incitament för läkemedelsutveckling för att säkerställa en god tillgång till kostnadseffektiva läkemedel. Tillgång och sortimentsbredd är en fråga som särskilt engagerar EU:s små och köpsvaga länder som upplever att många läkemedel antingen lanseras sent eller till ett pris som inte står i proportion till landets köpkraft. Kommissionen arbetar nu med att utvärdera om EU:s incitamentsstruktur är ändamålsenlig eller behöver förändras. Det handlar bland annat om tilläggsskyddet i förordningen (EG) nr 469/2009, sär läkemedelsförordningen (EG) nr 141/2000, samt barnläkemedelsförordningen (EG) nr 1901/2006.

Vi har valt att fokusera på tre frågor som vi anser är av särskild relevans för utredningen: (1) ökat informationsutbyte kring priser och ersättningssystem, (2) försök till samordnade multilaterala prisförhandlingar och (3) ökat samarbete kring hälsoekonomiska utvärderingar. Dessa och andra frågor kopplade till läkemedel, innovation, prissättning och hållbarhet förväntas återkomma på ministerrådets dagordning de kommande åren. Enligt uppgift planerar Österrike att lyfta dessa frågor igen under sitt ordförandeskap hösten 2018.

Ökat informationsutbyte kring priser

I och med att extern prisjämförelse är så utbrett i Europa har flera försök gjorts att bygga en gemensam prisdatabas för att på så sätt förenkla insamlandet av validerade data. Den senaste plattformen EURIPID är ett samarbete mellan alla EU:s medlemsstater utom Tyskland som tillhandahåller detaljerade priser på produktnivå. Det innehåller också information om medlemsstaternas pris och ersättningssystem. Sedan 2013 är samarbetet i huvudsak finansierat via medlemsavgifter. Kommissionen deltar också och bidrar med en del pengar för utvecklingsarbete, till exempel för att förbättra data-innehållet och göra det mer ändamålsanpassat.

Databasen innehåller i dag inga uppgifter om faktiska priser, utan är baserat på listpriser. Det finns dock planer på att börja rapportera för vilka produkter det finns rabatter och avtal om ordnat införande, även om man inte kan rapportera rabatternas storlek på grund av sekretess. EURIPID ger en överblick över prisutvecklingen vilket är till nytta för de länder som använder ett formellt eller informellt referensprissystem. Utan tillgång till faktiska priser minskar dock systemets relevans. I ett framtidsscenario där allt fler nya produkter introduceras med hjälp av sekretessbelagda riskdelningsavtal finns det en uppenbar risk att EURIPID data och externa referensprissystem generellt inte längre representerar verkligheten då skillnaden mellan listpriser och faktiska priser blivit alltför stor.

Multilaterala prisförhandlingar och gemensam upphandling

För att öka förhandlingsstyrkan gentemot industrin kring nya dyra läkemedel pågår försök till samordnad prisförhandling eller gemensam upphandling mellan flera olika länder.

I kölvattnet av svininfluensan 2008–2009 har EU:s kommission utvecklat ett system för *gemensam upphandling* av vaccin och andra medel mot influensa. Systemet är frivilligt och baserat på artikel 5 i rådets och Europaparlamentets beslut 1082/2013 EU om allvarliga gränsöverskridande hälsohot. En majoritet av EU:s medlemsstater har anslutit sig till systemet, dock inte Sverige. Ett par pilotupphandlingar har diskuterats, en för skyddsmasker och annan skyddsutrustning och en för vaccin mot årlig influensa. Trots flera år av diskussion har systemet ännu inte testats i praktiken. Det kan ha

flera förklaringar, dels att det är tungt att praktiskt samordna så många parter med olika prioriteringar och behov, dels att det finns en oro att ett sådant samarbete på sikt leder till en maktförskjutning på ett område som historiskt legat hos medlemsstaterna.

Det kan också förklara varför flera länder nu i stället fokuserar på informellt samarbete i mindre konstellationer utanför den formella EU-strukturen.

BENELUXA är det mest utvecklade samarbetet som inleddes 2015 och i dag omfattar Belgien, Holland, Luxemburg och Österrike. Det fokuserar på fyra områden: (1) framtidsspaning (horizon scanning), (2) samordnad analys av nya läkemedels relativa effektivitet, (3) informationsutbyte och (4) samordnade processer för prissförhandlingar. Under 2017 presenterades en rapport med förslag på en gemensam process för framtidsspaning på liknande sätt som implementerats i flera olika länder, bland andra Sverige, genom livscykel-funktionen i SKL:s samverkansmodell. Belgien och Holland har också nyligen genomfört en samordnad prissförhandling rörande Vertex nya läkemedel Orkambi mot cystisk fibros. Försöket strandade dock i maj 2017 utan att man nått en överenskommelse vilket fått Holland att gå vidare själv då Belgiens lagstiftning inte tillåter förnyade förhandlingar förrän tidigast sex månader efter det att den förra förhandlingsomgången avslutats. Trots bakslaget fortsätter samarbetet och flera länder har uttryckt intresse av att medverka, bland annat Irland och Schweiz.

Liknande samlarbetsförsök pågår i flera olika konstellationer. 2016 skrev Bulgarien och Rumänien under en gemensam deklaration om samarbete. I mars 2017 skrev Visegradländerna dvs. Polen, Slovakien, Tjeckien och Ungern plus Lettland och Litauen under en avsiktsförklaring om rättvisa och överkomliga läkemedelspriser. Spanien och Portugal har för avsikt att upprätta en process för gemensam upphandling i syfte att pressa läkemedelspriserna. I maj 2017 undertecknade flera medelhavsländer Valetta-deklarationen om fördjupat samarbete. Liknande initiativ pågår också inom ramen för Nordiska ministerrådet.

Mot en centraliserad europeisk HTA-modell?

Det europeiska samarbetet kring utvärdering av medicinsk teknologi (HTA) har utvecklats gradvis under mer än tio års tid. 2004 uppmanade EU:s ministrar kommissionen att etablera ett nätverk för HTA. I dag har EUnetHTA över 70 partners där TLV, SBU och LV deltar från svensk sida. Arbetet inom EUnetHTA har framför allt fokuserat på metodfrågor och kunskapsutbyte. En gemensam modell för att utvärdera den kliniska nyttan av nya terapier har utvecklats och i viss mån testats via ett mindre antal pilotprojekt. Samarbetet har lett till en ökad förståelse av de modeller som olika medlemsstater använder för att värdera läkemedel. Den europeiska kommissionen genomförde mellan oktober 2016 och januari 2017 en enkätundersökning kring förutsättningarna för en utökad samordning kring utvärderingen av det kliniska värdet av nya läkemedel och medicinska terapier. Både läkemedelsindustrin och medlemsstaterna framstår som allt mer positiva till någon form av samarbete. Det kan förklaras av den ökade indelningen av sjukdomar med hjälp av biomarkörer med allt smalare terapier som följd, vilket minskar kretsen av experter som har kompetens och kapacitet att utreda nya terapier. Det stora antalet nya terapier i industrins pipeline, inte minst inom cancerområdet, riskerar också sätta stor press på många länders system. Allt fler behandlingar kommer dessutom initialt behöva godkännas med begränsat underlag om dess kostnadseffektivitet. Arbetet med att göra uppföljningsstudier är svårt och resurskrävande. Allt detta sammantaget driver på ett utökat samarbete.

Kommissionen har ännu inte publicerat någon officiell rapport, men verkar försiktigt optimistisk om möjligheten att kunna lägga ett förslag. Enligt uppgift arbetar de för närvarande på ett lagförslag som förväntas komma i december 2017.

Förutsatt att den ekonomiska utvärderingen lämnas till medlemsstaterna bör det finnas utrymme att ta steg framåt, mot ett centraliserat förfarande. Centralt är frågan om i vilken utsträckning en framtida gemensam utvärdering kommer vara bindande för den fortsatta pris-, ersättnings- och upphandlingsbeslut på nationell nivå. En annan fråga är vilken myndighet som i så fall ska få uppgiften och hur verksamheten ska finansieras. Givet den nuvarande kom-

missionens ambition om ett smalare men vassare EU⁷⁵, är inrättandet av en ny EU myndighet inom hälsoområdet mycket osannolik. Brexit och det avbräck det lär betyda för EU-budgeten ökar kostnadsmedvetenheten i Bryssel ytterligare. Att ge EMA ett utökat ansvar framstår som den mest realistiska lösningen. Det går också hand i hand med trenden mot ett livscykelperspektiv med joint early advice, ordnat införande, ökad integration mellan forskning, utveckling, regulatoriska beslut, HTA utvärdering, pris- och subventionsbeslut och krav på uppföljningsstudier.

Flytten av EMA kan komma påverka hur snabbt en europeisk HTA-process kan implementeras. Hur lång omställningsperioden blir påverkas av vilket land som får stå värd för myndigheten i framtiden.

3.3.2 OECD en allt tyngre aktör inom hälsoområdet

I takt med att EU:s aktivitet på hälsoområdet avtagit, verkar OECD tagit över mycket av ledarskapet kring hälso- och läkemedelsfrågorna. De senaste åren har de lagt fram ett flertal rapporter om framtidens, kunskapsdrivna hälso- och sjukvård.⁷⁶ Vid ett ministermöte i januari 2017 uttryckte OECD oro över de mycket höga kostnader som den nya generationens teknologi medför och dess inverkan på hälso-systemen.⁷⁷ Ökat internationellt samarbete och förbättrade system för att samla in och analysera den data som genereras inom vården framhålls, liksom HTA som en nyckel för att bättre förstå värdet av dessa nya teknologier. Tillgången till effektiva nya behandlingar måste balanseras mot systemens hållbarhet och incitamenten för fortsatt forskning och utveckling.

Ministrarnas uttalande baserades bland annat på en rapport om hur man ska öka kostnadseffektiviteten i sjukvården genom att sluta investera i saker som inte leder till bättre hälsa. Ett avsnitt som tillägnas läkemedel lyfter fram tre åtgärdsområden.

⁷⁵ Juncker JC. A New Start for Europe: my agenda for jobs, growth, fairness and demographic change, European Commission 2014.

⁷⁶ OECD 2017. New Health Technologies: Managing Access, Value and Sustainability, 2017; OECD 2016. Pharmaceutical Expenditure And Policies: Past Trends and Future Challenges; OECD 2015. Dementia Research and Care: Can Big Data Help.

⁷⁷ OECD 2017. Ministerial Statement "The Next Generation of Health Reforms".

För det första uppmanas länder minska mängden läkemedel som går till spillo, både inom öppen- och slutenvården. Det kan bero på dålig matchning mellan behandlingens längd och mängden läkemedel som förskrivs eller att behandlingen avbryts i förtid, antingen av behandlande läkare eller på grund av bristande följsamhet från patientens sida. Andra orsaker kan vara felaktiga eller suboptimala beslut och organisatoriska tillkortakommanden inom slutenvården som leder till onödigt svinn. För det andra pekas generikamarknaden ut som ett område där det finns mer att hämta.

För det tredje lyfts upphandling fram som en grundläggande strategi för att maximera kostnadseffektiviteten. Författarna konstaterar att det finns betydande prisskillnader mellan, men också inom, OECD länderna. Samtidigt konstaterar man att upphandling är komplext inom ett område där det ofta finns ett begränsat antal säljare och där köparen inte är den traditionella konsumenten, vilket gör det svårt att bedöma patientens betalningsvilja. Man framhåller också att även om priset är viktigt, måste andra aspekter också vägas in, till exempel förmågan att tillhandahålla rätt produkt i rätt tid, sett från behandlande läkare och patientens perspektiv. Upphandlingsorganisationen måste också klara av att balansera intresset av ett lågt pris på kort sikt mot sortimentbredd över tid. Trots denna komplexitet, framhåller OECD potentialen av en mer centraliserad upphandlingsprocess som instrument för att kontrollera kostnadsutvecklingen och minimera dubbelarbetet som flera parallella upphandlingsförfaranden medför. För att fungera effektivt, måste informationsflödet och förankringen med professionen och patienter fungera så att upphandlingssystemet kan svara mot förändrade kliniska behov och patientens förväntningar.

3.3.3 WHO tar ett bredare anslag kring läkemedelsfrågor

Världshälsoorganisationens fokus har förändrats de senaste åren. Tidigare begränsades deras arbete till att främja en jämlik och global tillgång till nödvändiga mediciner (essential medicines). På senare år har agendan utvidgats till att omfatta tillgång till läkemedel i bred bemärkelse. WHO tittar bland annat på alternativa lösningar för hur samhället kan skapa incitament för forskning och utveckling som bättre levererar mot patienters och samhällets behov på

ett sätt som är hållbart, inte minst de offentliga hälso- och sjukvårdssystemen. Inom ramen för *WHO:s Fair Pricing Forum* går en del mycket långt och menar att det behövs en total översyn av patentsystem eller att det offentliga borde villkora forskningsstöd så att det offentliga garanteras en rätt att ta del av resultaten. Andra radikala idéer skulle innebära ett skifte från en värdebaserad till en kostnadsbaserad modell där man reglerar hur mycket avkastning som anses skäligt för de produkter som når marknaden. För närvarande verkar de flesta länder förkasta idén om ett totalt systemskifte. Flera anser till exempel att en kostnadsbaserad modell riskerar leda fel, där investeringar riktas mot nya terapier med låg risk i stället för att satsa på områden där det finns störst medicinskt behov. Forskning kring nya, innovativa terapier riskerar ratas då de löper större risk att misslyckas. Det skulle heller inte ge några incitament att hålla nere utvecklingskostnaderna, kanske snarare tvärt om.

Däremot finns det stöd för att se över delar av nuvarande system, till exempel kring sär läkemedel. Det finns också en öppenhet att överväga nya modeller i de fall där nuvarande system inte fungerar. Hitintills verkar det dock bara vara antibiotikaområdet där det finns bredare samsyn om behovet av reform, men andra områden kan tillkomma. Eftersatta tropiska sjukdomar nämns ibland i detta sammanhang.

3.3.4 Fördjupat nordiskt samarbete

Även om många av hälso- och sjukvårdens utmaningar är gemensamma för de nordiska länderna, har varje land sina specifika problem, beroende på sin storlek, landets ekonomi och hur man valt att finansiera och organisera vården, inklusive läkemedelsanvändningen. Danmark har infört en ny modell för att prioritera bland nya sjukhusläkemedel. Finland har ägnat mycket tid och kraft åt struktur-reformer för att effektivisera vården och säkerställa en geografiskt jämlik tillgång till vård. Norge har arbetat med att förbättra vårdens styrning så att behandlingsriktlinjer följs.

Frågan om hur man ska hantera nya, dyra läkemedel står högt på dagordningen i alla länder. Sverige och Norge har kommit relativt långt när det gäller att utveckla modeller för införande av dyra, innovativa läkemedel. Danmark rör sig mot en modell med ökat inslag av

kostnadseffektivitetsanalys för att prioritera och styra resurserna rätt. Även Finland och Island överväger hur man ska hantera de utmaningar som dessa produkter medför.⁷⁸ En annan utmaning är hur man ska säkerställa en rimlig effektivitet på konkurrensutsatta marknader i och med den ökande andelen biosimilarer.

De gemensamma utmaningarna har diskuterats inom det nordiska ministerrådet. 2014 presenterade Bo Könberg en rapport med 14 rekommendationer till fördjupat nordiskt samarbete. Flera av dessa har sedan dess ministerrådet tagit fasta på. Flera av dessa berör utredningens område, men framför allt rekommendation tolv om utökat samarbete för större kostnadseffektivitet och ökad säkerhet på läkemedelsområdet.⁷⁹

I mars 2017 beslutade rådet att tillsätta en arbetsgrupp för informations- och erfarenhetsutbyte om pris och subventioner på läkemedelsområdet. Beslutet fattades på grundval av en rapport som kartlägger de nordiska pris- och ersättningssystemen.⁸⁰ Där konstateras skillnader i vilken utsträckning man använder sig av värdebaserad prissättning, utrymme för att via förhandling skapa prispress för att kontrollera kostnadsutvecklingen. Möjligheten att styra resurser med stöd av hälsoekonomisk analys beror till viss mån på landets regulatoriska kapacitet, då arbetet ofta är mer arbetskrävande än att driva ett referensprissystem. Rapporten tittar också på hur länderna hanterar analoga behandlingar och biosimilarer och vad man anser är likvärdiga produkter ur behandlingsperspektiv. Alla nordiska länder har nått långt när det gäller att genom priskonkurrens kostnadseffektivisera vården med hjälp av generika och biosimilarer, som står för majoriteten av läkemedelsanvändningen.

Liksom inom OECD står upphandling högt på agendan. Konkurrensverket konstaterade nyligen i en rapport betydande skillnader i de nordiska ländernas förmåga att förhandla priser och upphandla läkemedel. På rekvisitionsområdet är läkemedlen dyrare i Sverige jämfört med Norge och Danmark, sannolikt på grund av deras centraliserade upphandlingsorganisationer.⁸¹ En mer centrali-

⁷⁸ KORA (Det Nationale Institut for Kommuers og Regioners Analyse och Forskning) 2017. Kortlægning av lægemiddelområdet i de nordiske lande.

⁷⁹ Könberg B, Det framtida nordiska hälsosamarbetet, Nordiska Ministerrådet 2014.

⁸⁰ KORA 2017.

⁸¹ Konkurrensverket 2017. Prismodeller och prispress på läkemedelsmarknaden. Rapport 2017:9.

serad svensk upphandlingsorganisation skulle kunna leda till ökad prispress men måste vägas mot ökad byråkrati som en samordning av nuvarande åtta upphandlingskonstellationer innebär.

Med stöd av Amgros planerar Island, Norge och Danmark att genomföra gemensam upphandling under 2017. Sverige medverkar som observatör genom marknadsfunktionen i landstingens samverkansmodell.

På liknande tema planerar Finland, Norge och Sverige ett försök till gemensam utvärdering inom ramen för EUnetHTA. Diskussioner pågår med ett par företag inför piloten som beräknas starta hösten 2017.

4 Nuvarande system för prissättning

4.1 Olika krav för godkännande och prissättning påverkar prissättningen

Kraven för att få ett läkemedel godkänt skiljer sig från kraven för att ett läkemedel ska få ingå i läkemedelsförmånerna och bli prissatt. Lagstiftningen om försäljningstillstånd för läkemedel är reglerad på EU-nivå och därmed gemensam för hela EU, medan lagstiftningen om subvention och prissättning av läkemedel till stor del är reglerad på nationell nivå.

Det krävs ett tillstånd för att få sälja ett läkemedel i Sverige. Ett godkännande för försäljning gäller i princip i fem år och kan därefter förnyas. Godkännandena kan i vissa fall kombineras med villkor som årligen ska följas upp. Ett grundläggande krav för godkännande¹ är att läkemedlet är av god kvalitet och ändamålsenligt. Läkemedlet är ändamålsenligt om det är verksamt för sitt ändamål och vid normal användning inte har skadeverkningar som står i missförhållande till den avsedda effekten (4 kap. 1 och 2 §§ läkemedelslagen[2015:315]). För att få ett försäljningstillstånd för ett läkemedel ställs inget krav på att läkemedlet ska vara kostnadseffektivt. Bestämmelserna om godkännande av läkemedel bygger uteslutande på medicinska och vetenskapliga kriterier rörande kvalitet, säkerhet och effekt och ett nytt läkemedel behöver inte tillföra något utöver befintlig terapi och behöver därmed inte vara bättre än ett redan godkänt läkemedel.² Syftet med den EU-rättsliga regleringen som läkemedelslagen åter-

¹ Det finns olika typer av försäljningstillstånd såsom godkännande för försäljning, registrering för försäljning (t.ex. traditionellt växtbaserade läkemedel) och annat tillstånd till försäljning (t.ex. licensläkemedel).

² Prop. 2001/02:63 De nya läkemedelsförmånerna, s. 28.

speglar är främst att värna folkhälsan genom att bl.a. säkerställa att läkemedlen är säkra, effektiva och av god kvalitet.

Med hänsyn till folkhälsoskäl kan ett s.k. *villkorat godkännande* (conditional marketing authorisation)³ beviljas för vissa läkemedel när fördelarna för folkhälsan av att läkemedlet i fråga omedelbart blir tillgängligt på marknaden är större än de risker det medför att ytterligare uppgifter fortfarande krävs. För dessa läkemedel krävs att läkemedelsföretaget efter godkännandet kompletterar med ytterligare uppgifter om läkemedlet. När tillräckligt omfattande uppgifter har kommit in kan det villkorade godkännandet omvandlas till ett s.k. fullständigt godkännande. Sedan år 2006 då processen för villkorat godkännande introducerades har 30 läkemedel beviljats ett sådant godkännande varav 11 har omvandlats till ett fullständigt godkännande. I genomsnitt tog det fyra år för företaget att uppfylla villkoren för att få ett fullständigt godkännande.⁴

Ett *godkännande under särskilda omständigheter* (approval under exceptional circumstances) kan beviljas när det inte är möjligt att lämna fullständiga uppgifter om effekt och säkerhet vid normal användning av läkemedlet, på grund av att de indikationer för vilka produkten i fråga är avsedd uppträder så sällan att den sökande inte rimligen kan förväntas kunna tillhandahålla fullständig bevisning, eller att den vetenskapliga kunskapen som har uppnåtts vid ansöknings-tillfället inte medger fullständiga upplysningar, eller att det skulle strida mot allmänt vedertagna medicinsketiska principer att insamla sådana uppgifter.⁵ Ett sådant tillstånd kan förnyas men leder i regel inte till ett fullständigt godkännande.

När ett läkemedel godkänns kan det alltså finnas vetenskapliga kunskapsluckor men patientnyttan bedöms överväga de potentiella riskerna, se bilaga 3. Begränsad information om ett läkemedels effekt påverkar dock den osäkerhet som finns vid bedömningen av subvention och prissättning.

³ Art. 4 i Kommissionens förordning (EG) nr 507/2006 av den 29 mars 2006 om villkorligt godkännande för försäljning av humanläkemedel som omfattas av Europaparlamentets och rådets förordning (EG) nr 726/2004.

⁴ EMA, Conditional marketing authorisation Report on ten years of experience at the European Medicines Agency, 2006–2016, s. 3 och 8.

⁵ Art. 22 i Europaparlamentets och rådets direktiv 2001/83/EG av den 6 november 2001 om upprättande av gemenskapsregler för humanläkemedel samt art. 14.8 i Europaparlamentets och rådets förordning (EG) 726/2004 av den 31 mars 2004 om inrättande av gemenskapsförfaranden för godkännande och tillsyn över humanläkemedel och veterinärmedicinska läkemedel samt om inrättande av en europeisk läkemedelsmyndighet.

4.2 Prissättning av läkemedel som omfattas av läkemedelsförmånerna

Läkemedel prissätts på olika sätt beroende på flera faktorer, bland andra om de är avsedda att förskrivas och omfattas av läkemedelsförmånerna eller om de är avsedda att rekvireras.

Läkemedel som förskrivs i vissa syften och till en angiven personkrets kan omfattas av läkemedelsförmånerna (4 och 6 § lagen [2002:160] om läkemedelsförmåner m.m.). Läkemedelsförmånerna är ett skydd mot höga kostnader för patienten vid inköp av förmånsberättigade varor och innebär en reduktion av den enskildes kostnader för sådana varor, ett s.k. högkostnadsskydd (se avsnitt 5.4.1).

Huvudregeln är att endast receptbelagda läkemedel kan ingå i läkemedelsförmånerna men även ett receptfritt läkemedel får ingå om Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) har beslutat om detta och fastställt ett försäljningspris för läkemedlet.⁶

4.2.1 Processen för ansökan om subvention och prissättning

För ett receptbelagt läkemedel kan läkemedelsföretaget ansöka om att läkemedlet ska ingå i läkemedelsförmånerna och få ett inköpspris och försäljningspris fastställt av TLV. Läkemedelsföretaget ska visa att villkoren för subvention är uppfyllda och lägga fram den utredning som behövs för att fastställa inköps- och försäljningspris (8 § lagen om läkemedelsförmåner m.m.). Handläggningstiden är reglerad och får inte överstiga 180 dagar från det att en fullständig ansökan har kommit in till TLV (9 § förordningen (2002:687) om läkemedelsförmåner m.m.). Sökande läkemedelsföretag och landsting har rätt att överlägga med myndigheten (9 och 13 §§ lagen om läkemedelsförmåner m.m.).

TLV beslutar i regel om generell subvention men om det finns särskilda skäl kan TLV även besluta om begränsad subvention som innebär att ett läkemedel får ingå i läkemedelsförmånerna endast för ett visst användningsområde. TLV får även förena beslutet om subvention med andra särskilda villkor, exempelvis att företaget efter en

⁶ 17 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. och 3–4 §§ Läkemedelsförmånsnämndens föreskrifter (LFNFS 2003:2) om receptfria läkemedel enligt lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m.

tid ska redogöra för hur läkemedlet används i vården eller att det i marknadsföringen för läkemedlet ska framgå på vilket sätt subventionen är begränsad (11 § lagen om läkemedelsförmåner m.m.).

TLV får på eget initiativ besluta att ett läkemedel som ingår i läkemedelsförmånerna inte längre ska göra det eller besluta om prisändring. Även ett landsting får begära att TLV initierar ett ärende om prisändring (9 § lagen om läkemedelsförmåner m.m.). Beslut om subvention och prissättning av nya originalläkemedel fattas av ett särskilt beslutsorgan inom myndigheten som benämns Nämnden för läkemedelsförmåner. Nämnden består av en ordförande och sex ledamöter. Regeringen utser ordföranden och ledamöterna samt deras personliga ersättare för en bestämd tid.⁷ Nuvarande ledamöter är en överläkare från Landstinget Västernorrland, en professor emeritus i hälsoekonomi från Linköping universitet, ett oppositionslandstingsråd från Stockholms läns landsting, ordföranden i NT-rådet, förbundsordföranden i riksförbundet Sällsynta diagnoser samt en överläkare och professor i klinisk farmakologi från Göteborgs universitet.⁸

De av TLV fastställda priserna ska tillämpas av öppenvårdsapoteken, dock med vissa undantag. Öppenvårdsapotek får köpa in läkemedel, som inte är utbytbara mot generiska läkemedel, till priser som understiger det inköpspris som TLV har fastställt. De får även köpa in och sälja parallellimporterade läkemedel som är utbytbara till priser som understiger de av TLV fastställda priserna (7–7 b §§ lagen om läkemedelsförmåner m.m.). (Se vidare avsnitt 4.4).

4.2.2 Prissättningen sker utifrån den etiska plattformen

En förutsättning för att ett läkemedel ska kunna omfattas av läkemedelsförmånerna är att kostnaderna för användning av läkemedlet, med beaktande av bestämmelserna i 3 kap. 1 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30) HSL, framstår som rimliga från medicinska humanitära och samhällsekonomiska synpunkter och det inte finns andra tillgängliga läkemedel eller behandlingsmetoder som enligt en sådan avvägning mellan avsedd effekt och skadeverkningar som aktuali-

⁷ 5 och 11 §§ förordningen (2007:1206) med instruktion för Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket.

⁸ www.tlv.se/tlv/organisation/namnden-for-lakemedelsformaner/

seras i ett godkännandeförfarande är att bedöma som väsentligt mer ändamålsenliga (15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m.).

I 3 kap. 1 § HSL anges att målet för hälso- och sjukvården är en god hälsa och en vård på lika villkor för hela befolkningen, att vården ska visa respekt för alla människors lika värde och för den enskilda människans värdighet, samt att den som har det största behovet av hälso- och sjukvården ska ges företräde till vården. Vid beslut om subvention och pris ska TLV alltså göra en samlad bedömning med utgångspunkt i tre principer som utgör den etiska plattformen för all svensk hälso- och sjukvård, nämligen

- människovärdesprincipen, som innebär att vården ska ges med respekt för alla människors lika värde och för den enskilda människans värdighet,
- behovs- och solidaritetsprincipen, som innebär att den som har det största behovet av hälso- och sjukvården ska ges företräde till vården, och
- kostnadseffektivitetsprincipen som innebär att en rimlig relation mellan kostnader och effekt, mätt i förbättrad hälsa och förhöjd livskvalitet, bör eftersträvas vid val mellan olika verksamheter och åtgärder.⁹

Det finns inga ytterligare bestämmelser som preciserar vilka kriterier TLV ska tillämpa vid beslut om subvention och pris. Regeringen har uttalat att det inte är lämpligt eller möjligt att på lagnivå ytterligare precisera dessa kriterier. Det är i stället TLV som genom föreskrifter och allmänna råd bör lämna en mer detaljerad vägledning. En jämförelse kan i detta sammanhang göras med läkemedelslagstiftningen, där kriterierna för ett försäljningstillstånd också kan betecknas som relativt allmänt hållna.¹⁰

För att kunna bedöma kostnaden för användning av läkemedlet behöver TLV information om aktuell patientgrupp och volym, exempelvis om hur många patienter som kommer att behöva använda läkemedlet och under hur lång tid. TLV tar även ställning till om det finns risk för att läkemedlet används utanför en eventuell begränsning av subventionen vilket i så fall riskerar att vara en användning

⁹ Prop. 2001/02:63 De nya läkemedelsförmånerna, s. 44.

¹⁰ Prop. 2001/02:63, s. 47.

som inte är kostnadseffektiv. Kunskapen om hur läkemedlet kommer att användas finns framför allt i landstingen. Denna kunskap är viktig för att TLV ska kunna bedöma om kostnaden för läkemedlet är rimlig.

4.2.3 Prissättningens utveckling

Sedan år 2002 då lagen om läkemedelsförmåner m.m. tillkom har reglerna och processen för subvention och prissättning av för-
månsläkemedel gradvis förändrats. Ändringar i lagstiftningen och i TLV:s praxis har genomförts bl.a. i syfte att tillmötesgå de praktiska problem som har uppstått vid tillämpning av reglerna och för att mer effektivt kunna hantera läkemedelskostnaderna. Ett flertal specialregleringar har därmed tillkommit. Nedan följer ett urval av de ändringar som genomförts sedan lagens tillkomst.

TLV (tidigare Läkemedelsförmånsnämnden) har utvecklat en praxis för hur kriterierna för subvention och prissättning ska tillämpas. År 2003 tog myndigheten fram allmänna råd som i stor utsträckning baseras på internationella riktlinjer för hälsoekonomiska utvärderingar, men som också knyter an till vissa mer praktiska frågeställningar, t.ex. val av jämförelsealternativ. De allmänna råden riktar sig till läkemedelsföretag som avser att ansöka om subvention och prissättning av ett läkemedel och beskriver hur myndigheten anser att en hälsoekonomisk analys bör utföras. Flertalet av de punkter som presenteras i de allmänna råden är värda att beaktas redan vid planering och genomförande av hälsoekonomiska studier som ska användas vid kommande ansökningar om subvention och prissättning (Läkemedelsförmånsnämndens allmänna råd [LFNAR 2003:2] om ekonomiska utvärderingar, senast ändrad genom TLVAR 2017:1).

Utgångspunkten när lagen tillkom var att subventionssystemet i huvudsak skulle vara produktbaserat – för att en produkt ska kunna ingå i förmånerna bör den vara kostnadseffektiv för en stor del av användningen inom den godkända indikationen – och att subventionsbegränsningar endast skulle användas i undantagsfall.¹¹ Så är lagen utformad även i dag i och med att begränsningar av subventionen endast medges om det föreligger särskilda skäl, och detta har

¹¹ Prop. 2001/02:63, s. 37 ff.

också bekräftats i domstolspraxis.¹² Under de senaste åren har emellertid andelen subventionsbeslut för nya originalläkemedel som inkluderar någon form av begränsning varit mellan 30 och 40 procent.¹³ Det har således skett en tydlig praxisförändring från ett produktbaserat till ett indikationsbaserat system. Subventionsbegränsningar kan vara ett sätt att hantera produkter där det är känt att ytterligare indikationer kommer att godkännas. Emellertid är subventionsbegränsningar även förknippade med praktiska svårigheter vad gäller att informera om begränsningen till hälso- och sjukvården och patienterna samt att följa upp och kontrollera att användningen sker enligt subventionsbegränsningen.

TLV har sedan 2004 gjort strukturerade genomgångar av terapiområden för att pröva om läkemedel som sedan tidigare ingått i läkemedelsförmånerna ska kvarstå. Genom dessa genomgångar har det bl.a. etablerats en praxis om hur värdet av sortimentsbredd kan bedömas.¹⁴ De strukturerade genomgångarna har ersatts av att myndigheten identifierar områden där marknadsförändringar (t.ex. patentutgångar) medför att prissänkningar kan uppnås genom omprövningar av subventionsbeslut. En särskild praxis har vuxit fram för hur dessa omprövningar ska initieras, genomföras och avslutas.

År 2009 införde TLV nya takprisregler som innebär att det högsta priset på ett subventionerat originalläkemedel sänks med 65 procent när patentet löpt ut och en stabil generisk konkurrens uppstått. Det nya priset blir ett tak, ett högsta pris, för att läkemedlet ska ingå i högkostnadsskyddet (3–3 c § TLV:s föreskrifter [TLVFS 2009:4] om prissättning av utbytbara läkemedel och utbyte av läkemedel m.m., ändrad och omtryckt genom TLVFS 2014:10).

Utifrån en överenskommelse mellan regeringen och Läkemedelsindustriföreningen (LIF)¹⁵ tillkom den s.k. 15-årsregeln för att säkerställa kostnadseffektivitet över hela läkemedlets livscykel. 15-årsregeln har sedermera reglerats och innebär att priserna på läkemedel som är äldre än 15 år, räknat från tidpunkten för beslutet om försäljningstillstånd sänks med 7,5 procent, om inget annat takpris tidigare fastställts (4 b § förordningen om läkemedelsförmåner m.m.

¹² Högsta förvaltningsdomstolens dom meddelad den 14 mars 2008 i mål 2713-05.

¹³ TLV:s årsredovisning 2009, 2011, 2014 och 2016.

¹⁴ LFN, Genomgången av läkemedel mot sjukdomar orsakade av magsyra, april 2006.

¹⁵ Överenskommelse om utveckling av den svenska takprismodellen för läkemedel 15 år efter marknadsgodkännande, dnr S2013/6192/FS.

och TLV:s föreskrifter [TLVFS 2014:9] och allmänna råd om prissättning av vissa äldre läkemedel).

TLV har genomfört en översyn av hur myndigheten ska tillämpa den etiska plattformen vid beslut om subvention och pris. Översynen har lett till ändringar i de allmänna råden om hälsoekonomiska beräkningar (p. 6 LFNAR 2003:2, ändrad genom TLVAR 2015:1). Tidigare har TLV tagit hänsyn till det ekonomiska värdet av den extra produktion som sker när människor kan återgå i arbete. En av ändringarna som översynen lett till avser behandlingar som förlänger livet. Eftersom sättet att räkna inte får riskera att någon diskrimineras på grund av att man inte deltar i arbetskraften räknar myndigheten inte längre in förväntat deltagande i arbetskraften under de vunna levnadsåren som en behandling ger. Den andra ändringen rör behandlingar som påverkar livskvaliteten, och samtidigt påverkar arbetsförmågan, där myndigheten kommer att utveckla en praxis för i vilka situationer det är rimligt att beakta det ekonomiska värdet av att en patientgrupp kan återgå i arbetet.

Under år 2017 har TLV i sina allmänna råd förtydligat de praxisförändringar som skett under de senaste åren, bl.a. att myndigheten i vissa fall gör jämförelser med läkemedel trots att de inte är godkända för en särskild användning (p. 3 LFNAR 2003:2, ändrad genom 2017:1). Samma år trädde ny lagstiftning i kraft som möjliggör för TLV att besluta om tillfällig subvention i avvaktan på att subventionsansökan har prövats (16 a § lagen om läkemedelsförmåner m.m.). Detta avser nya läkemedel som ersätter tidigare licensläkemedel som har ingått i läkemedelsförmåner.

4.2.4 Trepartsöverläggningar och sidoöverenskommelser

TLV inledde i mitten av år 2014 arbetet med att genomföra trepartsöverläggningar i samband med handläggningen av förmånsärenden. Regeringen har i förarbetsuttalanden från 2014 anfört att TLV bör utreda om det är möjligt att låta landstingen utnyttja sin rätt till att begära prisändringar och överlägga med TLV i beslutsärenden i väsentligt större omfattning än som sker i dagsläget.¹⁶ De

¹⁶ Prop. 2013/14:93 Ökad tillgänglighet och mer ändamålsenlig prissättning av läkemedel, s. 59.

första läkemedlen som TLV hanterade inom ramen för en trepartsöverläggning var läkemedel mot hepatit C och mot prostatacancer. TLV har utvärderat erfarenheter av genomförda överläggningar och uppföljningar och har bedrivit ett arbete för att skapa enkla och tydliga rutiner kring deltagandet i trepartsöverläggningar.¹⁷

I dokumentet Utveckling av trepartsöverläggningar anger TLV att en trepartsöverläggning innebär att landstingen och läkemedelsföretaget tillsammans med TLV överlägger inom ramen för hanteringen av en ansökan om subvention och prissättning hos TLV. En trepartsöverläggning kan sägas syfta till att bl.a. hantera den osäkerhet som kan finnas i beslutsunderlaget, exempelvis kring hur många patienter som kommer att behöva använda läkemedlet och under hur lång tid samt om det finns risk för att läkemedlet används utanför en eventuell begränsning av subventionen.

TLV anger vidare att landstingen och företagen har rätt till överläggningar i vissa ärenden oavsett vilket läkemedel det är fråga om men ger även exempel på läkemedel som kan lämpa sig för trepartsöverläggningar, nämligen

- nya läkemedel med stor förväntad budgetpåverkan (större marknadsförändringar med osäkerhet),
- läkemedel för sällsynta och svåra sjukdomstillstånd (medicinskt angelägna men svårhanterade i dag),
- läkemedel i tidiga faser där information om klinisk effekt är begränsad (angelägna läkemedel med stor osäkerhet) och
- läkemedel som omprövas (för att säkerställa kostnadseffektiv användning under läkemedels hela cykel).

En trepartsöverläggning kan avslutas utan att diskussionerna får någon betydelse för TLV:s beslut. TLV beslutar då utifrån befintligt underlag. En trepartsöverläggningen kan också utmynna i att läkemedelsföretaget och landstingen ingår en sidoöverenskommelse som får betydelse för TLV:s beslut om subvention och pris. TLV beaktar sidoöverenskommelsen i bedömningen av om förutsättningarna för att läkemedlet ska ingå i läkemedelsför-

¹⁷ TLV, Uppdrag att redovisa arbetet med att utveckla den värdebaserade prissättningen för läkemedel inom förmånerna, dnr. 1133/2016, s. 18.

månerna är uppfyllda.¹⁸ En sidoöverenskommelse kan även påverka en rekommendation av läkemedlet som tas fram av NT-rådet, se avsnitt 4.6.

Sidoöverenskommelser har hittills undertecknats för nya läkemedel mot hepatit C, cancer, hjärtkärlsjukdom, reumatism och för vissa sär-läkemedel (se Tabell 4.1).

I en sidoöverenskommelse kan läkemedelsföretaget och landstingen komma överens om hur en föreliggande risk kring t.ex. antal behandlade patienter, behandlingstid eller behandlingsresultat ska hanteras. Riskfördelningen i en sidoöverenskommelse realiseras genom att läkemedelsföretaget betalar ut en återbäring till landstingen för en viss del av läkemedelskostnaden utifrån en eller flera riskdelningskomponenter som bestämts i sidoöverenskommelsen. I denna utredning benämns sådana avtal *återbäringsavtal med riskdelning*.

Det finns emellertid även sidoöverenskommelser som reglerar en återbäring som inte är kopplad till någon riskdelningskomponent. Det kan finnas en osäkerhet eller risk för en icke kostnadseffektiv användning av läkemedlet men återbäringen är i sådana avtal endast kopplad till försäljningsvolymen och är utformad som ett visst avdrag på läkemedelskostnaderna.¹⁹ En benämning för sådana avtal kan vara rabattavtal²⁰ men i denna utredning benämns sådana avtal *återbäringsavtal utan riskdelning*.

Av de totalt 22²¹ i dag gällande sidoöverenskommelser anges i 16 att återbäringen är avsedd att hantera en osäkerhet, medan i resterande anges inte att det föreligger någon osäkerhet. Av 13 överenskommelser framgår att återbäringen ska ske enligt en eller flera riskdelningskomponenter, av 9 framgår att återbäring ska ske med ett administrativt mått på den totala läkemedelskostnaden, och i 1²² anges att avsikten med återbäringen är en riskdelning men p.g.a. bristande uppföljningsmöjligheter ska återbäringen ske enligt ett administrativt mått (se Tabell 4.2).

¹⁸ TLV 1133/2016, s. 7–8.

¹⁹ TLV 1133/2016, s. 7.

²⁰ Vårdanalys 2017:5, s. 84.

²¹ I dag gällande sidoöverenskommelser finns för Benepali, Enbrel, Entresto, Eplclusa, Erelzi, Exviera, Humira, Ibrance, Mekinist, Olumiant, Praluent, Raxone, Repatha, Revlimid, Sovaldi, Tagrisso, Viekirax, Xeljanz, Xtandi, Zepatier, Zykadia och Zytiga.

²² I sidoöverenskommelsen för Zykadia anges att eftersom det för närvarande inte är möjligt för vården att på ett enkelt sätt följa upp behandlingsresultat utan omfattande manuella insatser har parterna enats om ett administrativt mått för riskdelning.

Det finns olikheter i avtalsskrivningarna om bl.a. i vad mån en sidoöverenskommelse påverkar förmånsbeslutet och om vilken försäljning avtalet ska omfatta. I 6 sidoöverenskommelser anges att avtalet inte påverkar det av TLV fastställda inköpspriset respektive försäljningspriset. I resterande överenskommelser finns inte någon motsvarande skrivning. I sidoöverenskommelsen för Ibrance anges att avtalet gäller både försäljning inom och utanför läkemedelsförmåner och att avtalet gäller under avtalsperioden för patienter som påbörjat sin behandling till det att de avslutat sin behandling oavsett om expediering sker inom eller utom läkemedelsförmåner. I sidoöverenskommelserna för läkemedlen mot hepatit C anges att avtalet gäller all försäljning av läkemedlet som sålts och förskrivs till förmånsberättigade enligt 4 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. I övriga sidoöverenskommelser anges att avtalet gäller försäljning av läkemedlet som expedieras inom läkemedelsförmåner.

Även i de till sidoöverenskommelserna hörande förmånsbesluten finns olika skrivningar om hur en sidoöverenskommelse påverkar förmånsbeslutet. I 8²³ av besluten anges att sidoöverenskommelsen innebär att osäkerheterna i kostnadseffektivitet minskar eller undanröjs, i 3²⁴ att sidoöverenskommelsen är en förutsättning för gällande subvention, i 2²⁵ att det inom ärendet har tecknats en sidoöverenskommelse och i 2²⁶ nämns inte förekomsten av en sidöverenskommelse. I de beslut som benämns avskrivningsbeslut²⁷ anges att sidoöverenskommelsen och i vissa fall en listprissänkning innebär en kostnadsreducering för användningen av läkemedlet och medför att TLV inte behöver vidta någon annan åtgärd rörande läkemedlets subvention och pris eller att frågan om prissänkning inte längre är aktuell för landstingen. För 4²⁸ sidoöverenskommelser finns varken ett omprövnings- eller avskrivningsbeslut. I avsnitt 6.3 redogörs för vissa rättsliga utmaningar med trepartsöverläggningar och sidoöverenskommelser.

²³ Epclusa, Exviera, Ibrance, Praluent, Raxone, Sovaldi, Viekirax och Zepatier.

²⁴ Entresto, Mekinist och Repatha.

²⁵ Erelzi och Tagrisso.

²⁶ Olumiant och Xeljanz.

²⁷ Revlimid, Xtandi och Zytiga.

²⁸ Benepali, Enbrel, Humira och Zykadia.

Tabell 4.1 Läkemedel för vilka det finns eller har funnits en sidoöverenskommelse (oktober 2017)

Område	Läkemedel	I förmån från och med	Sidoavtal från och med	Sidoavtal till och med	Försäljning mnkr tolv månader t.o.m. sep 2017
Hepatit C	Sovaldi*	okt-14	jul-15	dec-17	127
	Vekira*	feb-15	Jan-17	dec-17	72
	Exera*				
	Epclusa	sep-16	jan-17	dec-17	370
	Zepatier	sep-16	jan-17	dec-17	171
	Daklinza**	dec-14	dec-14	dec-16	57
	Harvoni**	feb-15	feb-15	dec-16	211
	Olysio**	okt-14	nov-14	jun-15	5
Hjärtsvikt	Entresto	apr-16	apr-16	dec-18	15
Cancer	Xtandi*	jul-15	jul-15	maj-19	364
	Zytiga*	jun-15	jun-15	maj-19	93
	Zykadia*	dec-15	dec-15	jun-19	13
	Revlimid	mar-08	mar-17	feb-19	345
	Mekinist	jun-16	jul-16	jun-18	54
	Ibrance	Jul-17	Jul-17	jun-20	7
	Tagrisso	okt-17	Okt-17	sep-19	28
Autoimmuna	Enbrel*	jun-02	okt-17	sep-19	410
	Benepali*	mar-16	okt-17	sep-19	477
	Cimzia**	mar-10	okt-16	sep-17	120
	Humira*	mar-03	okt-17	sep-19	1 185
	Erelzi	sep-17	okt-17	sep-19	
	Olumiant	apr-17	okt-17	sep-19	3
	Xeljanz	apr-17	okt-17	sep-19	4
PCSK9-hämmare	Repatha	jun-16	jul-16	dec-17	12
	Praluent	feb-17	feb-17	dec-17	3
Övrigt	Raxone	okt-16	nov-16	apr-18	13

Källa: TLV, Uppföljning av läkemedelskostnader, juni 2017, s. 23–24. Försäljning för hepatit C omfattar både inom och utom förmån.

* Produkten har haft mer än ett avtal.

** Avtalet för produkten har löpt ut.

**Tabell 4.2 Aktuella sidoöverenskommelser okt 2017
(typ av osäkerhet och typ av återbäring)**

Läkemedel	Osäkerhet	Typ av återbäring
Benepali	ej omnämnd	Utan riskdelning
Enbrel	ej omnämnd	Utan riskdelning
Entresto	patientantal	Med riskdelning
Epclusa	patientantal och behandlingstid	Med riskdelning
Erelzi	ej omnämnd	Utan riskdelning
Exviera	patientantal och behandlingstid	Med riskdelning
Humira	ej omnämnd	Utan riskdelning
Ibrance	behandlingstid	Med riskdelning
Mekinist	behandlingstid	Med riskdelning
Olumiant	ej omnämnd	Utan riskdelning
Praluent	patientantal och behandlingseffekt	Med riskdelning
Raxone	patientantal	Med riskdelning
Repatha	patientantal och behandlingseffekt	Med riskdelning
Revlimid	behandlingstid	Med riskdelning
Sovaldi	patientantal och behandlingstid	Med riskdelning
Tagrisso	behandlingseffekt	Utan riskdelning
Viekirax	patientantal och behandlingstid	Med riskdelning
Xeljanz	ej omnämnd	Med riskdelning
Xtandi	behandlingseffekt och behandlingstid	Utan riskdelning
Zepatier	patientantal och behandlingstid	Med riskdelning
Zykadia	Patientantal och behandlingseffekt	Utan riskdelning
Zytiga	Behandlingseffekt och behandlingstid	Utan riskdelning

Återbäringsavtal i den internationella vetenskapliga litteraturen

Eftersom det saknas vedertagna definitioner av vissa begrepp som används för att beskriva innehållet i sidoöverenskommelser är det relevant att nämna några av de distinktioner som görs internationellt. I den vetenskapliga litteraturen görs en differentiering av återbäringsavtal beroende på om återbäringen är utfallsbaserad eller inte. Vissa vill använda begreppet *risk sharing* bara om pris eller företagets

intäkt är kopplat till det framtida resultatet av behandlingen med en produkt.²⁹ Även ISPORs arbetsgrupp skriver: "... *involve a plan by which the performance of the product is tracked in a defined patient population over a specified period of time and the amount or level of reimbursement is based on the health and cost outcomes achieved*".³⁰ Det är även så begreppet *risk sharing* används i finansiella sammanhang. Andra är mer pragmatiska och inkluderar även kostnader i riskbegreppet.³¹ Det är vanligt i vetenskapliga artiklar att avtalen kallas *managed entry agreements* (MEA) och att återbäringen definieras utifrån kliniskt utfall, användning (t.ex. volymer) eller budgetpåverkan. Det brukar även göras en uppdelning av MEA utifrån om återbäringen är utfallsrelaterad eller finansiellt relaterad. Ett begrepp som använts internationellt för rabattavtal är *patient access schemes*.³²

4.2.5 Kostnadsbesparingar

En del av TLV:s arbete har sedan myndigheten grundades varit att ompröva om vissa läkemedelsgrupper ska fortsätta att subventioneras. En omprövning kan initieras av landstingen eller utifrån myndighetens egna prioriteringsprocesser. Omprövningsarbetet har genererat sänkningar av listpriset för läkemedel, vilket lett till kostnadsminskningar (TLV:s årsredovisningar 2006–2016).

I budgetpropositionen för 2014³³ anges att TLV:s arbete med att utveckla den värdebaserade prissättningen beräknas generera en kostnadsbesparing för anslaget 1:5 Bidrag för läkemedelsförmånerna på 550 miljoner kronor för 2017 jämfört med anslagsnivån för 2014. 2013-års överenskommelse mellan regeringen och LIF om en

²⁹ T.ex. Towse A, Garrison LP Jr. Can't get no satisfaction? Will pay for Performance help? Toward an economic framework for understanding performance-based risk sharing agreements for innovative medical products. *Pharmacoeconomics* 2010; 28:93–102.

³⁰ Garrison LP Jr, Towse A, Briggs A, de Pouvourville G, Grueger J, Mohr PE, Severens JL, Siviero P, Sleeper M. Performance-based risk-sharing arrangements-good practices for design, implementation, and evaluation: report of the ISPOR good practices for performance-based risk-sharing arrangements task force. *Value Health*. 2013 Jul-Aug;16(5):703-19.

³¹ Adamski J, Godman B, Ofierska-Sujkowska G, Osińska B, Herholz H, Wendykowska K, Laius O, Jan S, Sermet C, Zara C, Kalaba M, Gustafsson R, Garuolienė K, Haycox A, Garattini S, Gustafsson LL. Risk sharing arrangements for pharmaceuticals: potential considerations and recommendations for European payers. *BMC Health Serv Res*. 2010 Jun 7;10:153.

³² Garrison et al 2013.

³³ Prop. 2013/14:1 Budgetpropositionen för 2014, utgiftsområde 9, s. 80–81.

utvecklad takprismodell för läkemedel (se avsnitt 4.2.3) skulle generera 625 miljoner kronor i besparingar för 2017 jämfört med anslagsnivån 2014. Besparingsbetinget samt kravet på regelbunden uppföljning anges i ett regeringsuppdrag från 2014.³⁴

I regeringsuppdraget från 2014 anges också att TLV fått i uppdrag att utveckla den värdebaserade prissättningen i syfte att öka kostnadseffektiviteten vid nyintroduktion av läkemedel, men även vid omprövningar av läkemedel. Även i regleringsbrevet för åren 2015–2017 anges att myndigheten ska ha som mål att utveckla den värdebaserade prissättningen i syfte att säkerställa att läkemedel är kostnadseffektiva under hela livscykeln. Utvecklingsarbetet inkluderar ett fördjupat samarbete med landstingen, i syfte att samordna pris- och volymkomponenterna inom ramen för besluten om subvention och prissättning.³⁵

I respons på regeringsuppdraget intensifierade TLV arbetet med omprövningar av stora läkemedelsgrupper och genomförde prissänkningar på äldre läkemedel i enlighet med överenskommelsen mellan regeringen och LIF.³⁶

I den uppföljning av läkemedelskostnader som TLV redovisade i juni 2017³⁷ beräknar myndigheten att arbetet med omprövningar och 15-årsregeln har uppnått de besparingsmål som angavs i regeringsuppdraget. Utifrån TLV:s uppföljning konstaterar utredningen att från 2016 har besparingseffekterna av omprövningar av listpris sjunkit medan kostnadsminskningen tack vare återbäringssavtal har ökat (se Tabell 4.3).

³⁴ Regeringsbeslut om uppdrag att redovisa arbetet med att utveckla den värdebaserade prissättningen av läkemedel, dnr S2014/8964/FS.

³⁵ Prop. 2013/14:93, s. 57.

³⁶ TLV, Besparingsbeting enligt budgetpropositionen för 2014, dnr 2163/2014.

³⁷ TLV, Uppföljning av läkemedelskostnader, dnr 1621/2017.

Tabell 4.3 Beräknad ytterligare kostnadsminskning (mnkr AIP) per helår av TLV:s arbete med omprövningar och den utvecklade värdebaserade prissättningen

Status	År	Omprövningar	15-årsregeln	Återbäringsavtal**	Summa
Utfall	2014	224	269		493
Utfall	2015	352	133	259	744
Utfall	2016	44	114	464	622
Utfall delvis*	2017	8	44	217	269
Summa (ackumulerad)		628	560	940	2 128

* Förväntat utfall 2017 avseende kända omprövningar samt preliminärt utfall 15-årsregeln samt ingångna återbäringsavtal. I framskrivningen används volym löpande 12 månader fram t.o.m. april 2017.

** Redovisning av besparing av återbäringsavtal görs enligt samma metod som för övriga interventioner, dvs. förändring i besparing för helår i jämförelse med tidigare år.

4.3 Sekretess hos TLV och landsting

Grundläggande bestämmelser om rätten att ta del av allmänna handlingar hos myndigheter finns i 2 kap. tryckfrihetsförordningen (TF). Enligt 2 kap. 2 § TF får rätten att ta del av allmänna handlingar begränsas endast när det är nödvändigt med hänsyn till vissa särskilt angivna intressen, bl.a. det allmännas ekonomiska intresse och skyddet för enskilds personliga eller ekonomiska förhållanden. Begränsningen i rätten att ta del av allmänna handlingar ska anges i en särskild lag eller i en annan lag till vilken den särskilda lagen hänvisar.

Den sekretessbestämmelse som TLV ska tillämpa i sina ärenden, t.ex. på förmånsbeslut och sidoöverenskommelser, innebär att sekretess gäller för uppgift om en enskilds affärs- eller driftförhållanden, uppfinningar eller forskningsresultat, om det kan antas att den enskilde lider skada om uppgiften röjs, och för uppgift om andra ekonomiska eller personliga förhållanden än de tidigare nämnda, för den som har trätt i affärsförbindelse eller liknande förbindelse med den som är föremål för myndighetens verksamhet (30 kap. 23 § offentlighets- och sekretesslagen [2009:400] OSL och 9 § offentlighets- och sekretessförordningen [2009:641] samt bilaga till förordningen).

Det är TLV som utifrån sekretessregeln i varje enskilt fall ska bedöma vilka uppgifter som skyddas av sekretess. Uppgift om att ett företag har en pågående förmånsansökan eller har återkallat sin

förmånsansökan har av TLV ofta bedömts vara skyddade av sekretess.³⁸ Uppgifter i sidoöverenskommelser som avser återbärings storlek bedömer TLV som huvudregel också vara sekretesskyddade. Frågan om sekretess i förmånsärenden eller sidoöverenskommelser har hittills inte varit föremål för domstolsprövning.

När ett landsting i samband med en överläggning som avses i 9 och 13 §§ lagen om läkemedelsförmåner får en uppgift från TLV som är sekretessreglerad enligt 30 kap. 23 § första stycket 1 OSL, blir sekretessbestämmelsen tillämplig på uppgiften även hos landstinget (30 kap. 25 § OSL). Detta innebär alltså att landstinget inte får lämna ut uppgiften om det kan antas att den enskilde lider skada av ett sådant utlämnande. Angående de sidoöverenskommelser som landstingen undertecknar med företagen gäller sekretess för uppgift om en enskilds affärs- eller driftförhållanden om det av särskild anledning kan antas att den enskilde lider skada om uppgiften röjs (31 kap. 16 § OSL). Sekretess gäller även till skydd för landstinget om det kan antas att landstinget lider skada om uppgiften röjs (19 kap. 3 § OSL). Om vissa utmaningar med sekretessbedömningar se avsnitt 6.1.1 och 6.1.3–6.1.4.

4.4 Öppenvårdsapotekens förhandlingsrätt

Med apotekens förhandlingsrätt avses de fall då öppenvårdsapoteken för förmånsläkemedel får använda andra priser än de som fastställts av TLV.

I samband med apoteksomregleringen år 2009 blev det möjligt för apoteken att köpa in läkemedel, som inte är utbytbara mot andra läkemedel inom förmånerna, till priser som understiger det inköpspris som beslutats av TLV (7 a § lagen om läkemedelsförmåner m.m.). Öppenvårdsapoteken gavs även möjligheten att köpa in och sälja parallellimporterade läkemedel, där det endast finns viss utbytbarhet, till priser som understiger de av TLV fastställda priserna (7 b § lagen om läkemedelsförmåner m.m.). Som exempel på läkemedel som omfattas av förhandlingsrätten kan nämnas originalläkemedel med generisk konkurrens som inte bedömts utbytbara av

³⁸ TLV, Uppdrag att redovisa arbetet med att utveckla den värdebaserade prissättningen för läkemedel inom förmånerna, dnr. 1133/2016, s. 13.

Läkemedelsverket. Andra exempel är läkemedel som enbart är utbytbara mot parallellimporterade läkemedel och nyss nämnda parallellimporterade läkemedel.³⁹

Som skäl för att ge apoteken en förhandlingsrätt angav regeringen bl.a. att en prismodell bör utformas på ett sätt som möjliggör största möjliga prispress samtidigt som kostnadskontrollen för det offentliga säkerställs och apoteksaktörernas styrkor som kommersiella aktörer tas tillvara. Regeringen uttalade även att det är svårt att se hur dagens centraliserade prissättning av parallellimporterade läkemedel skulle kunna effektiviseras. Parallellmarknaden är av en annan karaktär än generikamarknaden, eftersom parallellhandel endast kan ske när det uppstår överskott på marknader där prisnivåerna möjliggör arbitragevinster. En ökad och effektivare parallellimport kan snarast åstadkommas genom att ge apoteksaktörerna goda incitament att handla med och bedriva parallellimport.⁴⁰ I ett senare förarbetsuttalande från 2014 menar regeringen att apotekens förhandlingsrätt har haft en positiv effekt på priskonkurrensen.⁴¹

Enligt branschorganisationen Läkemedelshandlarna finns det fler än 300 parallellimporterade läkemedel i Sverige och parallellhandeln står för runt 13 procent av läkemedelsmarknaden. Enligt TLV:s beräkningar var intjäningen för apoteken från denna handel år 2013 cirka 600 miljoner (550 miljoner enligt apoteksföreningen). Omfattningen av parallellhandeln påverkas av faktorer som ofta varierar över tid som valutakurser, patentutgångar, 15-årsregeln och andra beslut från TLV. TLV:s bedömning är att storleken på intjäningen, som hade ökat ganska mycket fram till hösten 2013 sedan sjönk under 2014 och 2015. TLV uppskattar intjäningen från parallellimporten till strax under 200 miljoner för år 2017 (mot tidigare prognos på cirka 160 miljoner) och cirka 180 miljoner för år 2018, vilket utgör 2 procent av den totala beräknade intäkten för apoteken.⁴²

³⁹ Prop. 2013/14:93, s. 86.

⁴⁰ Prop. 2013/14:93, s. 241 och 251.

⁴¹ Ibid, s. 89.

⁴² TLV, 2016 års uppföljning av apoteksmarknadens utveckling, 3457/2016, s. 48.

Särskilt om parallellimport

Parallellimport av läkemedel bygger på fri rörlighet av varor inom det europeiska ekonomiska samarbetsområdet (EES) och innebär försäljning av ett läkemedel i ett annat EES-land än det land läkemedlet ursprungligen tillverkats och frisläppts för. Läkemedlet packas eller märks om med svensk märkning och förses med en svensk bipacksedel av en godkänd ompackare. Det parallellimporterade läkemedlet har alltså samma tillverkare som det direktimporterade läkemedlet men en annan distributör, och ska vara medicinskt likvärdigt med sin direktimporterade motsvarighet. Det krävs tillstånd från Läkemedelsverket för att få sälja ett parallellimporterat läkemedel i Sverige. Läkemedel som parallellimporteras kan vara originalläkemedel eller generiska läkemedel. Läkemedlet ska vara godkänt i både Sverige och utförsellandet vid ansökningstillfället (Läkemedelsverkets föreskrifter [LVFS 2012:19] om parallellimporterade läkemedel).

Parallellimport möjliggörs av de prisdifferenser som förekommer mellan länder som ingår i EES. Följande tänkbara scenario illustrerar hur det går till. Läkemedelsföretag A säljer ett och samma läkemedel till ett högre pris i Sverige än i ett annat EES-land. Läkemedelsföretag B kan då köpa upp ett parti av detta läkemedel i det andra EES-landet och importera det till Sverige. Efter ompackning till svensk förpackning kan företag B sälja produkten till ett lägre pris än det pris som företag A erbjuder i Sverige. Företag B:s koncept kallas parallellimport medan företag A:s försäljning benämns direktimport. Parallellimporten styrs inte bara av förhållanden på den svenska marknaden. Försäljning av parallellimporterade läkemedel varierar beroende på tillgång till varor, valutaförändringar och prisförändringar i olika länder.

4.5 Prissättning av läkemedel utanför läkemedelsförmåner

För läkemedel som inte omfattas av läkemedelsförmåner råder fri prissättning. Fri prissättning gäller även för de läkemedel som inte omfattas av läkemedelsförmåner men som landstingen subventionerar. Likaså gäller fri prissättning för läkemedel som är utanför förmånen och som förskrivs till asylsökande. Apoteken kan således

själva besluta om vilket försäljningspris som ska gälla på apotek. Innan apoteksomregleringen var det Apoteket AB som prissatte varor som ingick i ensamrätten men inte omfattades av läkemedelsförmånerna.⁴³

Prissättning av de läkemedel som används på sjukhus eller inom annan hälso- och sjukvård, s.k. rekvisitionsläkemedel, sker genom de upphandlingar som landstingen genomför. I lagen (2016:1145) om offentlig upphandling finns bestämmelser om de krav som måste beaktas när man genomför en upphandling.

Vissa landsting genomför samverkansupphandlingar med något eller några andra landsting. Landstingsnätverket för upphandling som utgörs av landstingens/regionernas upphandlingschefer verkar för utveckling, samverkan och erfarenhetsutbyte inom upphandlingsområdet. Vid upphandling av rekvisitionsläkemedel anges priserna i relation till de av TLV fastställda priserna men det är ganska vanligt att landstingen betalar ett lägre pris än de fastställda priserna.⁴⁴

TLV har sedan 2010⁴⁵ fått i uppdrag av regeringen att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som används inom slutenvården. I budgetpropositionen för 2016⁴⁶ framgår att medlen till TLV för sådana hälsoekonomiska bedömningar permanentas. En stor del av dessa bedömningar har avsett cancerläkemedel. TLV genomför hälsoekonomiska bedömningar av de rekvisitionsläkemedel som väljs ut av NT-rådet men fattar inga beslut om subvention och prissättning av dessa läkemedel. Den hälsoekonomiska bedömningen utgör i stället ett underlag för landstingens upphandlingar och för NT-rådets framtagande av rekommendationer (se avsnitt 4.6).

⁴³ Prop. 2008/09:145 Omreglering av apoteksmarknadsen, s. 225.

⁴⁴ Konkurrensverket, Olika pris för samma läkemedel, 2016:5, s. 17, 24–25.

⁴⁵ Regeringsbeslut om uppdrag att genomföra hälsoekonomiska bedömningar av läkemedel som används inom slutenvården, S2010/8066/HS.

⁴⁶ Prop. 2015/16:1 Budgetpropositionen för 2016, Utgiftsområde 9, s. 80.

4.5.1 Särskilt om smittskyddsläkemedel

Smittskyddsläkemedel är sådana läkemedel som förskrivs till en patient som har en allmänfarlig sjukdom och som behövs för att minska risken för smittspridning. Om ett läkemedel ska betraktas som ett smittskyddsläkemedel beror alltså på vad orsaken till förskrivningen är. Det innebär att samma läkemedel kan anses som smittskyddsläkemedel i en viss patientsituation men inte i en annan. Vissa läkemedel används i princip enbart som smittskyddsläkemedel (t.ex. läkemedel mot hiv), men läkemedel som förskrivs enligt smittskyddslagen kan i många fall användas även för andra ändamål än smittskydd (t.ex. antibiotika).

Läkemedel som förskrivs enligt smittskyddslagen är kostnadsfria för patienten (7 kap. 1 § smittskyddslagen [2004:168]). Det finns inget krav på att TLV måste ha beslutat om ett pris för att läkemedlen ska kunna förskrivas avgiftsfritt till patienten. Vad gäller kostnadsfrihet för läkemedel till personer under 18 år finns exempelvis krav på att det endast avser förmånsberättigade varor (19 § 1 st lagen om läkemedelsförmåner m.m.). Det finns inte heller någon annan regel om priskontroll för läkemedel som förskrivs enligt smittskyddslagen. Man kan därför dra slutsatsen att det råder fri prissättning för läkemedel som – utan att ingå i läkemedelsförmånerna – förskrivs enligt smittskyddslagen.

Ett läkemedel som förskrivs enligt smittskyddslagen kan emellertid även omfattas av läkemedelsförmånerna och på så sätt ha fått ett förmånsgrundande pris fastställt av TLV. Det framgår inte av förmånslagstiftningen att det av TLV fastställda priset även ska gälla när läkemedlet förskrivs enligt smittskyddslagen. För sådana läkemedel som omfattas av läkemedelsförmånerna och potentiellt även kan vara smittskyddsläkemedel aktualiseras därmed frågan om det förmånsgrundande priset även ska gälla då läkemedlet förskrivs enligt smittskyddslagen.

Frågan om vissa av läkemedelsförmånsreglerna är tillämpliga på läkemedel som förskrivs enligt smittskyddslagen har aktualiserats i ett mål i allmän förvaltningsdomstol där ett apotek bytt ut ett smittskyddsläkemedel mot ett dyrare parallellimporterat läkemedel. Fokus i ärendet är dock om apoteket var tvunget att följa förmånslagstiftningens regler om utbyte (och inte om prissättning). Av intresse för frågan om prissättning är dock domstolens uttalande om att läke-

medel som förskrivs enligt smittskyddslagen inte räknas med i patientens högkostnadsskydd och därför anses vara förskrivna utom läkemedelsförmånerna.⁴⁷ Målet har överklagats till Kammarrätten i Stockholm.

I tidigare rapporter har TLV föreslagit att det bör tydliggöras att för de läkemedel som har ett förmånsgrundande pris ska det priset gälla även när läkemedlen förskrivs enligt smittskyddslagen.⁴⁸ I promemorian *Utökade möjligheter till utbyte av läkemedel* (Ds 2017:29), som är på remiss fram till den 31 oktober 2017, föreslås en särskild bestämmelse i lagen om läkemedelsförmåner m.m., om att inköpspris och försäljningspris som har fastställts av TLV enligt 7 § ska gälla även när läkemedlet är kostnadsfritt enligt smittskyddslagen.

Läkemedels- och apoteksutredningen gjorde en jämförelse av prissättningen av de tio mest sålda substanserna som förskrivits enligt smittskyddslagen under 2013, som visade att det pris apoteken fakturerade överensstämde med det förmånspris som TLV hade fastställt.⁴⁹ Utredningens analys av försäljningen av substanser med förskrivning enligt smittskyddslagen visade att största delen av kostnaden för smittskyddsläkemedel, 94 procent, utgjordes av produkter som hade prövats enligt lagen om läkemedelsförmåner m.m.⁵⁰

Under 2016 har en stor andel (>98 procent) av de mest säljande substanserna som ingår i läkemedelsförmånerna och som förskrivits enligt smittskyddslagen expedierats med det fastställda förmånspriset.⁵¹ För läkemedel som förskrivits enligt smittskyddslagen men som inte ingår i förmånerna är variationen i pris större – drygt hälften av förpackningarna expedierades med ett pris som avvek från det månatliga normalpriset för förpackningen.⁵² Exempel på läkemedel som förskrivs enligt smittskyddslagen i stor omfattning men som inte ingår i läkemedelsförmånerna är hiv-läkemedlen Tivicay och Triumeq.

⁴⁷ Förvaltningsrättens i Stockholm dom meddelad den 30 mars 2017 i mål 9482-16.

⁴⁸ TLV, Slutrapport om receptbelagda läkemedel utanför läkemedelsförmånerna, 1551/2014, s. 73 och 80–81 samt SOU 2014:20 *Läkemedel för särskilda behov*, s. 133–135.

⁴⁹ SOU 2014:20, s. 93 och 134.

⁵⁰ SOU 2014:20, s. 42–43.

⁵¹ E-hälsomyndigheten (Concise), Förskrivning, ej förmån, år 2016, ATC-koder J05AX15, J05AX14, J05AR03, J05AR06, J05AR02, J05AR08, J05AE10, J05AF07, J05AÖÖÖ, J05AF10, J05AE08, J05AX08 och J05AX67.

⁵² E-hälsomyndigheten (Concise), Förskrivning, ej förmån, år 2016, ATC-koder J05AX12, J05AR13.

4.6 NT-rekommendationer och andra landstingsprocesser för att ett läkemedel ska nå patienten

För att ett läkemedel ska nå en patient måste läkemedlet ordinerar till patienten. Beslut om ordination fattas av en läkare eller annan behörig hälso- och sjukvårdspersonal. Den som ordinerar läkemedel bör beakta bl.a. de kunskapsstöd och rekommendationer om läkemedel som finns men är inte bunden av dessa så länge ordinationen är i överensstämmelse med vetenskap och beprövad erfarenhet (6 kap. 1 § patientsäkerhetslagen [2010:659]).

Medan beslut om subvention och prissättning av ett läkemedel fattas av en statlig myndighet (TLV), är det landstingen och behörig hälso- och sjukvårdspersonal som bestämmer om introduktion av ett läkemedel, dvs. att läkemedlet ska börja ordinerar till en patient. Genom denna dualism kan situationer uppstå där TLV beslutar att inte bevilja subvention för ett läkemedel samtidigt som landstingen och hälso- och sjukvården väljer att ändå använda läkemedlet. Det kan också bli så att TLV beviljar subvention men användningen i landstingen blir lägre än förväntat.⁵³

För vissa läkemedel utfärdar NT-rådet en rekommendation om användning av läkemedlet som riktar sig till samtliga landsting. NT-rådet är utsett av landstingens hälso- och sjukvårdsdirektörer och är en utveckling av den tidigare NLT-gruppen (nya läkemedelsterapier) som bildades 2009. NT-rådet har landstingsmandat att lämna rekommendationer om förhållningssätt till nya läkemedelsterapier. NT-rådet rapporterar till styrgruppen för landstingens samverkan kring läkemedel.⁵⁴ Det var Sveriges Kommuner och Landsting (SKL) som lämnade förslaget till en landstingsgemensam samverkansform för läkemedel vilket antogs av samtliga landsting. SKL har angett att NT-rådet är en del av SKL men att NT-rekommendationerna inte är rekommendationer från SKL utan att NT-rådet utför sitt arbete på landstingens mandat.⁵⁵

⁵³ För exempel på bristande samstämmighet mellan TLV:s beslut och landstingens användning se TLV:s dokument Utveckling av trepartsöverläggningar, ej daterad, s. 2.

⁵⁴ [www.janusinfo.se/Nationellt-inforande-av-nya-lakemedel/Kontakt/NT-radet/](http://www.janusinfo.se/Nationellt-inforande-av-nya-lakemedel/Kontakt/NT-radet/samt) samt Vårdanalys, Ordning i leden? Utvärdering av ordnat införande av nya läkemedel, 2017:5, s. 96 ff.

⁵⁵ Vårdanalys, 2017:5, s. 96.

NT-rådet har åtta ordinarie ledamöter, en ordförande och en koordinator samt sex adjungerade ledamöter. Ledamöterna utför sitt arbete i NT-rådet inom ramen för sina anställningar i sina landsting.⁵⁶ Det finns ledamöter från samtliga sex sjukvårdsregioner samt ledamöter från Linköpings universitet, Statens beredning för medicinsk och social utvärdering, Nationella arbetsgruppen för cancerläkemedel och SKL.⁵⁷ Inför introduktionen av nya cancerläkemedel i Sverige spelar också den nationella arbetsgruppen för cancerläkemedel (NAC) en viktig roll. NAC är rådgivande till NT-rådet vid bedömning av cancerläkemedel. Medlemmarna i NAC utses av de regionala cancercentrumen.

Som underlag till beslut om rekommendationer använder NT-rådet bl.a. TLV:s hälsoekonomiska utvärdering av läkemedlet. NT-rådets rekommendation kan avse t.ex. vilka patientgrupper eller indikationer som läkemedlet ska användas för och uppföljning av användning. NT-rådets rekommendation behöver inte överensstämma med TLV:s beslut om subvention och pris. Exempelvis kan TLV besluta om en generell subvention för flera läkemedel och NT-rådet kan i sin rekommendation ange ett förstahandsalternativ bland dessa. För 10⁵⁸ av de 22 läkemedel för vilka det finns gällande sidoöverenskommelser har NT-rådet beslutat om en rekommendation. Avseende 7⁵⁹ läkemedel är NT-rekommendationen i enlighet med TLV:s förmånsbeslut, avseende 1⁶⁰ läkemedel utgör NT-rekommendationen en begränsning av subventionen i förhållande till TLV:s förmånsbeslut och avseende 2⁶¹ läkemedel utgör NT-rekommendationen både en begränsning och en utökning av subventionen i förhållande till TLV:s beslut. I avsnitt 6.3 redogörs för vissa rättsliga utmaningar med NT-rekommendationer.

Efter NT-rådets rekommendation alternativt efter TLV:s beslut om subvention och pris, hanteras läkemedlet vidare i respektive landstings lokala rutiner. I varje landsting ska det finnas en eller flera läkemedelskommittéer som genom rekommendationer till hälso-

⁵⁶ Vårdanalys, 2017:5, s. 99.

⁵⁷ www.janusinfo.se/Documents/Nationellt_inforande_av_nya_lakemedel/NT-ledamoter.pdf.

⁵⁸ Entresto, Repatha, Eplusa, Exviera, Sovaldi, Viekirax, Zapatier, Praluent, Zytiga och Xtandi.

⁵⁹ Eplusa, Exviera, Sovaldi, Viekirax, Zapatier, Zytiga och Xtandi.

⁶⁰ Entresto.

⁶¹ Repatha och Praluent.

och sjukvårdspersonalen eller på annat lämpligt sätt ska verka för en tillförlitlig och rationell läkemedelsanvändning inom landstinget.

Läkemedelskommittéerna har alltså genom sitt arbete möjliggjort för patienter att få evidensbaserad läkemedelsbehandling utifrån ett hälsoekonomiskt hållbart sätt samt sett till att läkare och sjuksköterskor får utbildning kopplad till de rekommendationer som läkemedelskommittéerna tillhandahåller. Rekommendationerna ska vara grundade på vetenskap och beprövad erfarenhet. Varje läkemedelskommitté ska i den omfattning som behövs samverka med andra läkemedelskommittéer samt med berörda myndigheter, universitet och högskolor (3 och 5 §§ lagen [1996:1157] om läkemedelskommittéer).

Läkemedelskommittéer i enskilda landsting kan alltså liksom NT-rådet besluta om rekommendationer för användning av läkemedel. En rekommendation från en läkemedelskommitté kan utgöra ett förtydligande av en rekommendation från NT-rådet men kan också utgöra en fristående rekommendation.

Utöver NT-rådets och läkemedelskommittéernas rekommendationer har landstingen även att förhålla sig till andra rekommendationer, riktlinjer eller kunskapsstöd från exempelvis Socialstyrelsen⁶², Statens beredning för medicinsk och social utvärdering, Läkemedelsverket, Folkhälsomyndigheten och Nationella samverkansgruppen för kunskapsstyrning.

4.7 Samverkansinitiativ som syftar till att påskynda patienters tillgång till läkemedel

Det pågår ett flertal samverkansinitiativ som syftar till att påskynda patienters tillgång till läkemedel, dvs. korta tiden till det att läkemedlet når patient, och de avser i regel nya läkemedel för behandling av patienter vars behov inte kan tillgodoses med befintliga läkemedel. Gemensamt för initiativen är att de strävar efter en ökad samverkan mellan företag, myndigheter, sjukvård och patienter. Nedan nämns tre sådana initiativ.

⁶² Förordningen (2015:155) om statlig styrning med kunskap avseende hälso- och sjukvård och socialtjänst.

Ordnat införande

Under 2011 tog regeringen inom ramen för den nationella läkemedelsstrategin initiativ till att utveckla samarbetet kring införandet av nya läkemedel. Utvecklingsarbetet har bedrivits av SKL, landsting och myndigheter och har resulterat i den nationella processen för ordnat införande av nya läkemedel.

Ordnat införande är en nationell process där alla landsting, ett flertal myndigheter och läkemedelsföretagen samarbetar för införande av nya läkemedel. Processen syftar till att uppnå en jämlik, kostnadseffektiv och ändamålsenlig användning av nya läkemedel över hela landet. Den omfattar flera funktioner: kartläggning av nya läkemedel, hälsoekonomisk utvärdering av TLV, förhandlingar mellan företag och landsting, urval av läkemedel och nationella rekommendationer till landstingen av NT-rådet samt uppföljning. Landstingen ansvarar för att införa läkemedlen i sina lokala processer.

Myndigheten för vård och omsorgsanalys (Vårdanalys) har på uppdrag av regeringen utvärderat nyttan med ordnat införande och bl.a. kommit fram till att ordnat införande kan bidra till en mer jämlik läkemedelsanvändning, att det är en viktig infrastruktur men att det finns brister i transparens och förutsägbarhet, vilket på sikt kan urholka processens legitimitet.⁶³

PRIME

År 2016 lanserade den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA initiativet PRIME (PRIority MEDicines) som syftar till att ge tidigt och proaktivt stöd till utvecklare av läkemedel som innebär en stor terapeutisk fördel jämfört med befintliga behandlingar, dvs. läkemedel avsedda att tillgodose ett stort medicinskt behov där ingen eller otillräcklig behandling finns. Stödet från det regulatoriska nätverket omfattar vägledning angående såväl den övergripande planen för utveckling som regulatoriska strategier, samt kontakt med de myndigheter som svarar för den hälsoekonomiska utvärderingen. Genom att möjliggöra kontakt med läkemedelsutvecklare i ett tidigt stadium avser PRIME att optimera utvecklingsplaner (t.ex. utformning av klinikstudier) med syftet att dessa läkemedel ska kunna nå

⁶³ Vårdanalys 2017:5, s. 10.

patienter tidigare. Alla kan skicka in en ansökan om att få gå via PRIME men små- och medelstora företag samt akademien prioriteras.⁶⁴

Nationella läkemedelsstrategin

Enligt nationella läkemedelsstrategins handlingsplanen för 2017 ska Läkemedelsverket med stöd av TLV och SKL ta fram ett förslag till en nationell aktörssamverkan för möjlighet till tidig dialog vid utveckling och introduktion av nya läkemedel. Arbetet baseras på bl.a. erfarenheter av genomförda workshops, samverkan inom processen för ordnat införande och samverkan kring utvalda projekt för behovsanpassad utvecklingsväg inom EMA.⁶⁵ Det finns även andra aktiviteter inom NLS som på olika sätt syftar till ett effektivt införande samt uppföljning av läkemedel.

⁶⁴ Enhanced early dialogue to facilitate accelerated assessment of PRIority MEDicines (PRIME), EMA/CHMP/57760/2015.

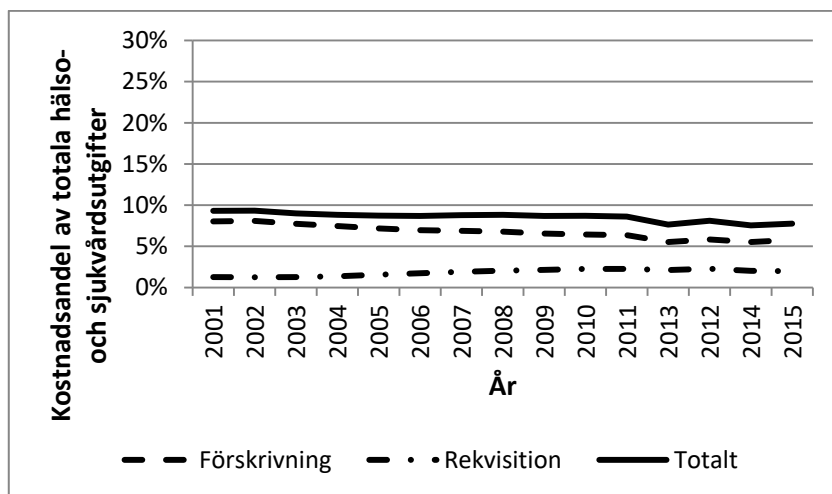
⁶⁵ Nationella läkemedelsstrategin för 2017, p. 2.1.

5 Dagens ordning för finansiering av läkemedel

I Sverige delas finansieringsansvaret för läkemedel mellan stat, landsting och patienter i ett komplext system. Läkemedel som ingår i förmåner finansierar staten till största delen genom att landstingen erhåller ett särskilt statsbidrag samtidigt som patienterna finansierar en del genom egenavgifterna i högkostnadsskyddet. Landstingen får det särskilda statsbidraget trots att landstingen sedan 1998 formellt har kostnadsansvaret även för läkemedel inom förmånen. Om vilka läkemedel som kan ingå i förmånen se avsnitt 4.2.

I figur 5.1 nedan visas det offentliga kostnader för läkemedel som andel av de totala kostnaderna för hälso- och sjukvården. Läkemedels kostnadsandel av hälso- och sjukvårdskostnaderna har legat relativt stabilt strax under 10 procent under perioden.

Figur 5.1 Offentliga kostnader för läkemedel, 2001–2015
som andel av hälso- och sjukvårdsutgifterna, uppdelade
på förskrivningsläkemedel och läkemedel på rekvisition

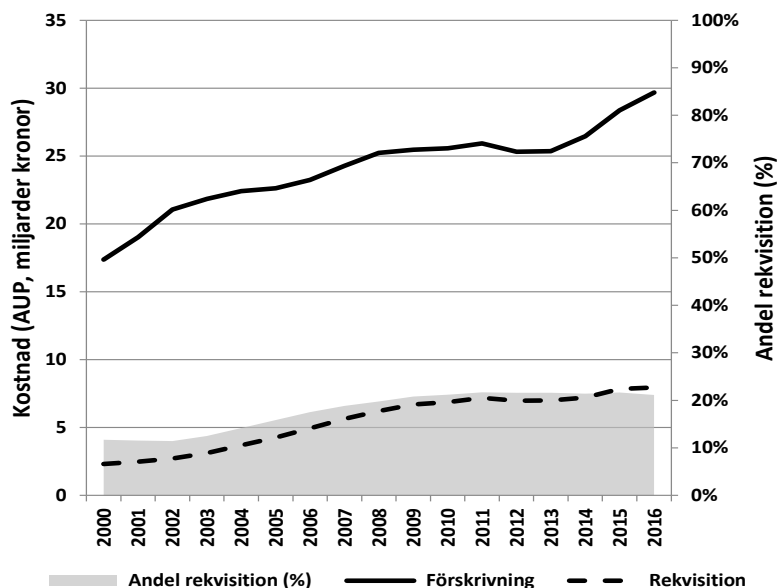


Källa: Nationalräkenskaperna, SCB och Concise, E-hälsomyndigheten.

I figur 5.2 nedan visas kostnadsutvecklingen för läkemedel uppdelat på läkemedel som förskrivs på recept och rekvisitionsläkemedel mellan år 2000 och 2016.

2014 vek kostnadskurvan för förskrivningsläkemedel tydligt uppåt. Kostnadsökningen kan till stor del förklaras av att de nya läkemedlen för behandling av hepatit C introducerades. I mitten av 2015 flyttades även läkemedlen för behandling av prostatacancer Xtandi och Zytiga från rekvisition till förskrivning i samband med att de inkluderades i förmånen. 2016 såldes Xtandi och Zytiga för närmare 400 miljoner kronor inom förmånen.

Figur 5.2 Kostnadsutveckling för läkemedel uppdelat på försäljningssätt, förskrivning och rekvisition



Källa: Concise, E-hälsomyndigheten.

Läkemedel som används i slutenvård finansieras huvudsakligen av landstingen genom landstingsskatten. Receptbelagda läkemedel som inte ingår i förmånerna finansieras vanligtvis av patienterna fullt ut, dock finns det undantag där landstingen, finansierar en del receptbelagda läkemedel som inte ingår i förmånerna till vissa patientgrupper. Läkemedel som förskrivs på recept och som ingår i förmånen finansieras av patienten upp till nivån för högkostnadsskydd, därefter av landstingen. Vad gäller läkemedel som förskrivs i enlighet med smittskyddslagen finansierar landstingen dessa, dock även där med vissa undantag. Dagens komplexa ordning har vuxit fram under många år och för att förstå dagens utformning krävs en tillbakablick.

5.1 Den historiska framväxten av det särskilda statsbidraget för läkemedel

I syfte att förbättra hälsoläget genom att minska konsumenternas kostnader för läkemedel infördes läkemedel 1955 i den allmänna sjukförsäkringen. Från 1955 och fram till 1998 finansierades läkemedelsförmånen via den allmänna sjukförsäkringen och var således ett helt statligt ansvar. År 1998 övergick kostnadsansvaret för läkemedelsförmånen formellt från staten (sjukförsäkringen) till landstingen (22 § 1 st lagen [2002:160] om läkemedelsförmåner m.m.). I förarbetena till ändringen bedömde regeringen att det inte längre var relevant att särbehandla de offentliga utgifterna för läkemedel i förhållande till övriga hälso- och sjukvårdskostnader¹. Genom att kostnadsansvaret för läkemedelsförmånen flyttades från sjukförsäkringen till sjukvårdshuvudmännen skulle dessa få bättre möjligheter att styra resursanvändningen och genomföra prioriteringar som skulle innebära en effektivare resursanvändning och därmed bättre vård för befolkningen. Idén var alltså att läkemedel i högre utsträckning skulle ses som en integrerad produktionsfaktor inom hälso- och sjukvården.

5.1.1 Den kommunala finansieringsprincipen

När finansieringsansvaret för läkemedelsförmånen formellt flyttades över till landstingen 1998 så innebar det att den kommunala finansieringsprincipen blev gällande. Finansieringsprincipen innebär att i det fall kommuner och landsting åläggs nya uppgifter av staten så ska kommuner och landsting inte behöva höja skatten eller prioritera om annan verksamhet för att finansiera de nya uppgifterna. Staten ska alltså i dessa fall ersätta kommuner och landsting för kostnaderna för dessa uppgifter.

Finansieringsprincipen är grundläggande för de ekonomiska relationerna mellan staten och kommunsektorn, och gäller i båda riktningarna. Regleringar till följd av finansieringsprincipen görs vid ett tillfälle, och ska göras i den pris- och volymnivå som gäller när förändringen träder i kraft. Någon retroaktiv reglering görs inte. Skulle ett regleringsbelopp i efterhand i väsentlig grad visa sig vara felaktig,

¹ Prop. 1996/97:27 Läkemedelsförmåner och läkemedelsförsörjning m.m., s. 46.

får detta beaktas senare i samband med bedömningen av det skattefinansierade utrymmet och fastställandet av statsbidragsramen. Regleringar sker genom en förändring av nivån på anslaget 48:1 Kommunalekonomisk utjämning under utgiftsområde 25 Allmänna bidrag till kommuner. Finansieringsprincipen är inte lagfäst men har godkänts av riksdagen och tillämpas sedan 1993.

Överföringen av kostnadsansvaret till landstingen

Vid överföringen av kostnadsansvaret för läkemedelsförmånen till landstingen reglerades inte överföringen enligt den ordinarie ordningen för den kommunala finansieringsprincipen, utan under en övergångsperiod skulle finansieringen ske genom ett särskilt statsbidrag. Regeringen angav i samband med överföringen att processen måste bygga på långtgående samstämmighet mellan staten och sjukvårdshuvudmännen i synen på hur reformen i praktiken ska genomföras².

Den slutliga överföringen av finansieringsansvaret till sjukvårdshuvudmännen har dock ännu inte slutförts. Från 1998 fram till i dag har landstingen erhållit ett särskilt statsbidrag för kostnaderna för läkemedelsförmånerna. Formerna för bidraget har reglerats genom särskilda överenskommelser mellan staten och Sveriges Kommuner och Landsting (SKL).

5.1.2 Statens läkemedelsbidrag till landstingen hanteras genom överenskommelser

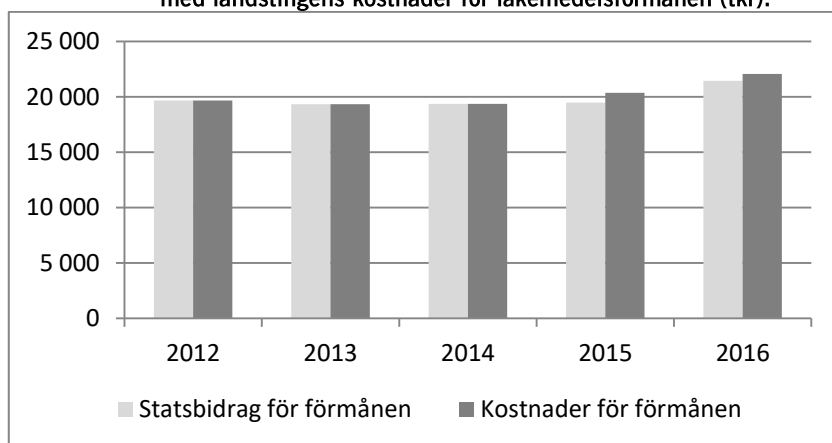
Den rådande komplexiteten kring hur läkemedel finansieras är till stor del en följd av den förhandlingsordning som har pågått sedan 1998. Statens bidrag till landstingen för läkemedel har sedan 1998 vanligtvis hanterats genom särskilda överenskommelser mellan staten och SKL (tidigare Landstingsförbundet), i vilka statsbidragets storlek har reglerats. Det har sedan 1998 fram till i dag utformats tio överenskommelser som har reglerat mellan ett till tre år per överenskommelse. Det har också förekommit perioder utan att någon över-

² Prop 1996/97:27, s. 50.

enskommelse mellan staten och SKL har undertecknats, under vilka landstingen i stället ersatts utifrån faktisk förbrukning.

I figur 5.3 nedan visas statsbidragets storlek för förmånen jämfört med landstingens kostnader för förmånen. Under 2012–2014 fick landstingen som helhet statsbidrag som motsvarade kostnaden för förmånen. För 2015 och 2016 har landstingens kostnader för förmånen överstigit statsbidraget. Under dessa två år har dock landstingen fått behålla den återbäring som har genererats genom sidoöverenskommelser mellan landstingen och läkemedelsföretagen. Vissa landsting har under samtliga år gått med överskott i relation till statsbidraget, medan det är tvärtom för andra landsting.

Figur 5.3 Statsbidrag för kostnader inom läkemedelsförmånen jämfört med landstingens kostnader för läkemedelsförmånen (tkr).



Källa: SKL.

För att möjliggöra genomförandet av överenskommelserna har kompromisser byggts på varandra över åren. Detta har i sin tur bidragit till dagens komplexa ordning. I kommande avsnitt beskrivs hur överenskommelserna har utvecklats.

1998 års överenskommelse skulle vara en övergångslösning

I den första överenskommelsen som undertecknades, gällande år 1998, ersattes landstingen utifrån faktisk förbrukning och bidraget fördelades mellan landstingen på samma sätt. Överenskommelsen inne-

höll bidrag om 12,7 miljarder kronor för landstingens kostnader för läkemedelsförmånen varav 90 miljoner kronor avsåg kostnader för prisnedsatta livsmedel. Överenskommelsen innehöll också skrivningar om att insulin och läkemedel till personer som saknar sjukdomsinsikt även fortsättningsvis skulle vara helt kostnadsfritt för patienterna trots att ett högkostnadsskydd infördes för alla. Landstingen skulle stå för den merkostnad som de uteblivna egenavgifterna för dessa patientgrupper innebar. För detta kompenenserades landstingen med 30 miljoner kronor för insulin i det generella statsbidraget och med 75 miljoner kronor för läkemedel till personer som saknar sjukdomsinsikt. Ordningen med att egenavgifter inte tas ut för insulin och för patienter som saknar sjukdomsinsikt tillämpas än i dag, trots att överenskommelse eller regelverk kring detta saknas.

Om kostnadsutfallet skulle överstiga det överenskomna beloppet skulle staten stå för 90 procent av det överskridna beloppet. Landstingens totala kostnadsrisk begränsades också till 50 miljoner kronor.³

En högre ekonomisk risk för landstingen infördes i 1999 års överenskommelse

Det bidragsbelopp som fastställdes i nästkommande överenskommelse för år 1999 grundades på senast kända utfall med tillägg för bedömd inflation samt volym- och sortimentsförändring. I samband med denna överenskommelse höjdes den ekonomiska risken för landstingen på så sätt att om de faktiska kostnaderna översteg överenskommet belopp skulle landstingen stå för 20 procent av det överskridande beloppet och staten för 80 procent. Dock var landstingens ekonomiska risk begränsad till högst 100 miljoner kronor. Om kostnaderna understeg överenskommet belopp skulle landstingen få behålla 50 procent av beloppet. Överenskommelsen innehöll också skrivningar om att parterna under år 2000 skulle utforma en ny modell för statens ersättning till landstingen.⁴

³ Överenskommelse om särskilt statsbidrag till landstingen för läkemedelsförmånens kostnader år 1998 m.m., 1997-09-11.

⁴ Överenskommelse om särskilt statsbidrag till landstingen för läkemedelsförmånens kostnader år 1999 m.m., 1999-04-22.

En tvåårig överenskommelse år 2000–2001 för bättre långsiktighet

För nästkommande period enades staten och SKL om en tvåårig överenskommelse för perioden 2000–2001. Staten fortsatte att ersätta landstingen utifrån faktiska kostnader för det första året. För det andra året, dvs. 2001, ersattes landstingen i stället med ett belopp som utgick från faktiska kostnader år 2000 uppräknat med den procentuella ökningstakten under år 2000 minus en procentenhet. Återigen enades parterna om en modell för hur överskott respektive underskott skulle hanteras. Hela överskottet tillföll landstingen, men om kostnaderna översteg överenskommet belopp skulle staten och landstingen dela lika på det överstigande beloppet. Landstingens ekonomiska risk begränsades denna gång till högst 250 miljoner kronor.⁵

År 2002 började bidraget fördelas enligt en behovsmodell

År 2001 enades parterna om en treårig överenskommelse för perioden 2002–2004. En nyhet i denna överenskommelse var att fördelningen av bidraget mellan landstingen nu skulle ske utifrån en fastställd behovsmodell. Den nya modellen skulle införas gradvis och vara helt genomförd 2005. Fördelningen mellan landstingen skedde i och med denna förändring utifrån en modell som beaktade sammansättningen av de enskilda landstingens befolkning med hänsyn till kön, ålder och vissa socioekonomiska variabler. I och med att fördelningen mellan landstingen nu skedde utifrån en behovsmodell och inte utifrån förbrukning så ökade de enskilda landstingens ekonomiska risk.⁶

Den treåriga överenskommelsen innebar också att landstingens ansvar och kostnadsrisk som kollektiv ökade i jämförelse med tidigare överenskommelser. En eventuell reglering av beloppet i avtalet skulle ske först efter tre år och staten skulle gå in med

⁵ Överenskommelse om statens ersättning till landstingen för läkemedelsförmånens kostnader åren 2000 och 2001 m.m., 2000-12-08.

⁶ Överenskommelse om fördelning mellan landstingen av statens ersättning för läkemedelsförmånens kostnader åren 2002-2004, 2001-12-03.

komensation bara om de faktiska kostnaderna översteg överenskommet belopp med mer än 1,5 miljarder kronor.⁷

Nya komponenter infördes i statsbidraget 2005

I överenskommelsen för åren 2005–2007 användes överenskommelsen inte bara som ett bidrag till landstingen för kostnaderna utan även som ett sätt att utveckla vissa områden. Bland annat fick landstingen ett bidrag på 322 miljoner kronor för att köpa in dosdispenseringstjänster. Bakgrunden till denna lösning var att ersättning för dessa tjänster tidigare hade ingått i handelsmarginalen för Apoteket AB och därmed ingått i förmånskostnaden. För att uppmuntra användning av tjänsten fick landstingen ett bidrag för detta i överenskommelsen.

I överenskommelsen infördes även skrivningar om att landstingen skulle använda sådana läkemedel som Läkemedelsförmånsnämnden bedömt som kostnadseffektiva ur ett samhällsperspektiv. Överenskommelsen var även den första där det inte fanns med någon modell för delning av vinst eller förlust, i det fall kostnaderna översteg överenskommet belopp skulle landstingen stå för dessa kostnader på egen hand.⁸

Ytterligare delkomponenter i 2008 års överenskommelse

Utvecklingen med att använda överenskommelsen som mer än ett bidrag förstärktes i 2008 års överenskommelse. Detta gjordes bl.a. genom skrivningar om att läkemedelskommittéerna skulle arbeta med att göra Läkemedelsförmånsnämndens beslut kända, samt att landstingen skulle kunna subventionera läkemedel som inte ingick i förmåner för patienter med synnerligen angelägna medicinska behov. Nytt för det här året var också att det i bidraget för 2008 även inkluderas en ”skälig” ersättning för läkemedel som förskrivs på recept för öppenvårdsbehandling av hivinfektion och hepatit C,

⁷ Överenskommelse om en ny modell för statens ersättningar till landstingen för läkemedelsförmånens kostnader åren 2002-2004, 2001-03-23.

⁸ Överenskommelse om statens ersättning till landstingen för kostnaderna för läkemedelsförmåner åren 2005 t.o.m. 2007, 2004-09-08.

se vidare kommande avsnitt om 2015 års överenskommelse för en utförligare beskrivning av bakgrunden till detta.

Landstingen fick i denna överenskommelse också ersättning för läkemedel och förbrukningsartiklar som tidigare hanterats inom förmånen men som landstingen av olika skäl valde att hantera utanför förmånerna och i stället upphandlade. I överenskommelsen angavs dock inget belopp för dessa olika ersättningar.⁹

Överenskommelsen för 2009–2010

I den överenskommelse som slöts för 2009–2010 infördes återigen en vinst/förlustdelningsmodell som innebar att om faktiska kostnader översteg överenskommet belopp med mer än 3 procent så delade staten och landstingen lika på de överstigande kostnaderna. Återigen användes överenskommelsen för att driva på utvecklingen i olika frågor så som följsamheten till subventionsbesluten från Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) och utvecklingen av Svensk Informationsdatabas för läkemedel (SIL).¹⁰

Under en avtalslös period 2011–2014 ersattes landstingen utifrån faktisk förbrukning

Under perioden 2011–2014 tecknades ingen överenskommelse mellan staten och SKL angående bidraget för läkemedelsförmåner. Staten utbetalade i stället bidrag till landstingen som helhet i efterhand och utifrån faktisk kostnad för förmånerna, samt ett belopp för dosdispensering, vissa läkemedel som används i slutenvården, vissa smittskyddsläkemedel och vissa förbrukningsartiklar i enlighet med den ordning som infördes i överenskommelsen 2008. Landstingen som kollektiv ersattes således under perioden utifrån faktisk förbrukning. Eftersom bidraget sedan fördelades till de olika landstingen utifrån en behovsmodell så var det dock nödvändigtvis inte detsamma för enskilda landsting.

⁹ Överenskommelse om statens ersättning till landstingen för kostnaderna för läkemedelsförmånerna 2008, 2008-01-18.

¹⁰ Överenskommelse om statens ersättning till landstingen för kostnaderna för läkemedelsförmånerna 2009-2010, 2009-03-18.

De nya läkemedlen mot hepatit C var en drivkraft för att återuppta förhandlingar till 2015 års överenskommelse

I slutet av 2014 introducerades det nya effektiva och dyra läkemedel för behandling av hepatit C. Dessa läkemedel kom att ställa ansvarsfrågan mellan stat och landsting kring finansiering av läkemedel som förskrivs i enlighet med smittskyddslagen på sin spets. Finansieringsansvaret för läkemedel som förskrivs enligt smittskyddslagen åligger sedan 1988 landstingen (7 kap. 1 § smittskyddslagen [2004:168]). Dock infördes i överenskommelsen för 2008 ett bidrag till landstingen för vissa läkemedel som förskrevs enligt smittskyddslagen och som tidigare hade förskrivits inom förmånen. Till dessa läkemedel hör läkemedel för behandling av hivinfektion och hepatit C.

Under 2005 började praxis förändras kring vilka läkemedel som förskrevs i enlighet med smittskyddslagen. Förändringen av hanteringen av dessa läkemedel berodde inte på förändringar i regelverket, utan på att Socialstyrelsen i juni 2005 skickade ut ett meddelandeblad¹¹ till landets smittskyddsläkare, infektionskliniker och vårdcentraler för att förtydliga tillvägagångssättet vid bedömningen av vilka läkemedel som ska förskrivas i enlighet med smittskyddslagen. Det fick till följd att praxis ändrades från att läkemedel för behandling av hivinfektion och hepatit C förskrevs inom förmånen till att de förskrevs kostnadsfritt till patienten i enlighet med smittskyddslagen.

I överenskommelsen för 2008 års enades staten och SKL om att landstingen skulle ersättas för kostnaderna för dessa läkemedel, som hade flyttats från förmånen till att förskrivas i enlighet med smittskyddslagen. Kostnaden för dessa läkemedel var under denna period låg.

De nya läkemedlen för behandling av hepatit C som introducerades 2014 innebar en stor ekonomisk utmaning för landstingen. Bara för de sista månaderna 2014 uppgick kostnaderna till 657 miljoner kronor. I början av 2015 tecknade staten och SKL återigen en överenskommelse om statens bidrag till landstingen. Oklarheterna kring finansieringsansvaret för läkemedel för behandling av hivinfektion och hepatit C resulterade i en kompromisslösning där staten och landstingen delade på dessa kostnader. Överenskommelsen innehöll

¹¹ Socialstyrelsens meddelandeblad, Kostnadsfrihet vid undersökning, vård och behandling av allmänfarlig sjukdom, art nr 2005-1-9.

full kostnadstäckning för de kostnader som landstingen haft för behandling av hepatit C under 2014 och för 2015 fick landstingen ett bidrag som skulle täcka 70 procent av kostnaderna. Liksom tidigare överenskommelser innehöll även denna en modell för vinst/förlust-delning och bidrag för ett antal övriga poster.¹²

Omvärldsförändring skapade behov av att styra genom 2016 års överenskommelse

År 2016 kom överenskommelsen återigen att användas för att påverka utvecklingen på området. I december 2015 meddelade Högsta förvaltningsdomstolen dom i ett mål som handlade om TLV:s beslut att förbjuda ett landsting att ingå vissa prisöverenskommelser med läkemedelsföretag (HFD 2015 ref. 75), den s.k. Cimzia-domen, se även avsnitt 6.3.4. Domen tolkades av flera aktörer som att det var möjligt för landstingen att förhandla med läkemedelsföretagen om rabatter efter det att TLV beslutat om ett förmånsgrundande pris. Som ett led i att bibehålla ett enhetligt system för prissättning av läkemedel infördes därför i överenskommelsen för 2016 skrivningar om vikten av att bibehålla ett nationellt system samt att i de fall enskilda landsting ingår rabattöverenskommelser med läkemedelsföretag så ska ett belopp som motsvarar rabatterna dras av från kommande års bidrag. I övrigt var utformningen av överenskommelsen i det närmaste identisk med föregående års överenskommelse.¹³

2017 års överenskommelse

I maj 2017 enades staten och SKL om en överenskommelse för år 2017. Överenskommelsen är i stort lik föregående års överenskommelse med den skillnaden att staten och landstingen för 2017 ska dela på den återbäring som följer av sidoöverenskommelser mellan landsting och läkemedelsföretag inom ramen för förmånsärenden hos TLV. Landstingen erhåller 70 procent av återbäringen och staten 30 procent. Överenskommelsen innehåller också en avsiktsförklar-

¹² Överenskommelse om statens bidrag till landstingen för kostnader för läkemedelsförmåner m.m. 2015, 2015-03-06.

¹³ Överenskommelse om statens bidrag till landstingen för kostnader för läkemedelsförmåner m.m. 2016, 2016-06-09.

ing för de kommande två åren. I avsiktsförklaringen anges att utformningen och upplägget av överenskommelserna för åren 2018 och 2019 ska vara detsamma som för 2017 med undantag för de faktiska beloppen för förmånerna respektive för läkemedel för behandling av hepatit C samt att fördelningen av återbäringen justeras till att landstingen erhåller 60 procent och staten 40 procent.¹⁴

Tabell 5.1 Belopp i överenskommelsen mellan staten och SKL om statens bidrag till landstingen för kostnaderna för läkemedelsförmåner m.m. 2017

	Överenskommet belopp 2017 (miljoner kronor)
Läkemedelsförmånen	23 442
Övrigt	1 620
Hepatit C	858
Totalt	25 920

Läkemedelsbidraget fördelas mellan landstingen enligt en behovsmodell

Från och med 2002 började en behovsbaserad fördelning av statsbidraget till landstingen att införas. Den nya fördelningsmodellen fasades in under tre år och var helt införd 2005. Tanken med denna nya ordning var att statsbidragets storlek inte skulle kunna påverkas av det enskilda landstinget. Fördelningen mellan landstingen skulle i stället bero på strukturella skillnader i behov mellan landstingen på samma sätt som modellen för hälso- och sjukvård i det kommunala utjämningssystemet. Den nya fördelningsmodellen som infördes tar hänsyn till skillnader mellan landstingen gällande ålder, kön och vissa socioekonomiska aspekter i enlighet med nedanstående.¹⁵

- Ålder 00–04, 05–14, 15–24, 25–44, 46–64, 65–74, 75–84 samt 85+
- Kön kvinnor samt män

¹⁴ Överenskommelse om statens bidrag till landstingen för kostnader för läkemedelsförmåner m.m. 2017, 2017-05-15.

¹⁵ Överenskommelse om fördelning mellan landstingen av statens ersättning för läkemedelsförmånernas kostnader åren 2002-2004, 2001-12-03.

- Inkomst 0, under median samt över median
- Boende småhus samt övrigt
- Sysselsättning sysselsatta samt ej sysselsatta
- Civilstånd barn och gifta vuxna, tidigare gifta, samt ogifta.

I en rapport från 2012 framtagen gemensamt av Socialdepartementet och SKL analyseras träffsäkerheten i behovsmodellen i förhållande till landstingens faktiska kostnader. Rapporten visar att det förekommer skillnader mätt som procentuell avvikelse mot faktisk kostnad på upp till 12 procent i vissa landsting. I rapporten konstateras också att det kan finnas faktorer som förklarar skillnaderna i utfallet, så som skillnad i effektivitet, ambitionsnivå och gränssnitt mellan hanteringen av läkemedel i öppen respektive slutenvård. Rapporten går inte in på om det finns ett faktiskt behov av en behovsbaserad fördelning av bidraget.¹⁶

Höga kostnader för vissa förmånsläkemedel fördelas solidariskt mellan landstingen

Utöver den generella fördelningsmodellen av statsbidraget finns det även en modell för solidarisk finansiering av läkemedel inom förmånen som är mycket dyra och där behovet är ojämnt fördelat mellan landstingen. För att ett läkemedel ska ingå i den solidariska finansieringen krävs att det föreligger en mycket ojämn fördelning av patienter mellan landstingen, att behandlingen är kostsam och medför en betydande kostnad för ett enskilt landsting jämfört med andra landsting samt att läkemedlet är dokumenterat effektivt. Modellen för solidarisk finansiering av vissa läkemedel ingår i det totala statsbidraget och innebär en ytterligare omfördelning mellan landstingen utöver den tidigare beskrivna behovsmodellen.

¹⁶ Socialdepartementet och Sveriges Kommuner och landsting, Ny behovsmodell för läkemedel?, 2012-02-27.

Utbetalningen av läkemedelsbidraget till landstingen

Statsbidraget till landstingen utbetalas, efter regeringsbeslut, av Kammarkollegiet från anslag 1:5 Bidrag för läkemedelsförmånerna med två månaders fördröjning dvs. det bidrag som utbetalas i maj månad avser kostnader som landstingen hade i mars månad. I budgetpropositionen för 2018 anges under utgiftsområde 9 att anslaget får användas för utgifter för det särskilda statsbidraget till landstingen för deras kostnader för läkemedelsförmånerna. Syftet är att ändamålsenliga och säkra läkemedel ska kunna förskrivas till en rimlig kostnad för den enskilde. Anslaget får även användas för att ersätta landstingen och SKL för vissa kostnader inom läkemedelsområdet som inte ingår i läkemedelsförmånerna.¹⁷

5.2 Landstingens finansieringsansvar för läkemedel som inte ingår i förmånen

Läkemedel som används inom den slutna vården finansieras i princip fullt ut av landstingen (8 kap. 1 § hälso- och sjukvårdslagen [2017:30]) genom i första hand landstingsskatten. Via det särskilda statsbidraget för läkemedelsförmånerna har dock landstingen ersatts för delar av de läkemedel som rekvireras till slutna vård, vilket beskrevs under avsnittet om 2008 års överenskommelse mellan staten och landstingen. Vad gäller kostnader för hälso- och sjukvård samt kostnader för tandvård och receptförskrivna läkemedel som bl.a. landsting har för vissa utlänningar, utgår viss statlig ersättning till landsting och kommuner samt till öppenvårdsapotek efter ansökan till Migrationsverket (förordning [1996:1357] om statlig ersättning för hälso- och sjukvård till asylsökande). Landstingen svarar även för kostnader för läkemedel som förskrivs enligt smittskyddslagen (7 kap. 4 § smittskyddslagen), men som tidigare nämnts har landstingen sedan 2008 erhållit ett visst bidrag från staten inom ramen för förhandlingarna om statsbidraget för läkemedelsförmåner.

¹⁷ Prop. 2017/18:1 Budgetpropositionen för 2018, s. 55.

5.2.1 Landstingen subventionerar läkemedel utanför förmånerna för vissa grupper

I överenskommelsen mellan staten och SKL för år 2008 enades parterna om att landstingen ska kunna subventionera läkemedel som inte ingår i läkemedelsförmånerna för enskilda patienter som har synnerligen angelägna medicinska behov och som saknar behandlingsalternativ. Enligt överenskommelsen gäller detta dock endast om användningen är kostnadseffektiv.

Bakgrunden till denna skrivning var den situation som uppstår i det fall TLV fattar beslut om att ett läkemedel inte ska ingå i förmånerna på grund av att användningen inte är kostnadseffektiv för alla patienter. Det kan dock finnas kostnadseffektiv användning för vissa patienter. TLV hänvisar även i vissa beslut om möjligheten till en sådan undantagshantering.

Det finns även avtalsrelationer där landstingen gemensamt enats om en undantagshantering för vissa läkemedel. Läkemedel som inte ingår i förmånen kan inom ramen för landstingens samverkan efter en dialog mellan företag och landsting få en positiv, begränsad rekommendation av NT-rådet. Ett avtal som reglerar villkoren kan då tas fram gemensamt för att sedan vara möjligt att teckna av samtliga landsting. Det kan till exempel gälla läkemedel som bara är kostnadseffektiva för en mer begränsad grupp patienter.

5.2.2 Det kommunalekonomiska utjämningsystemet

I Sverige har det länge funnits en bred politisk uppslutning kring tanken att medborgarna bör ha tillgång till likvärdig välfärd, oavsett var i Sverige de är bosatta. Därför finns sedan länge ett kommunalekonomiskt utjämningsystem som syftar till att ge kommunerna och landstingen förutsättningar att tillhandahålla sina invånare likvärdig service oberoende av skattekraft och strukturella kostnadskillnader.

Tidigare fanns ett generellt anslag till kommuner och landsting. Detta utvecklades 2005 då nuvarande system för kommunalekonomisk utjämnning trädde i kraft. Systemet består av inkomstutjämnning, kostnadsutjämnning, strukturbidrag, införandebidrag och en regleringspost. Varje del består i sin tur av ett system för kommuner och ett system för landsting.

Utjämningsystemet finansieras till allra största delen av statliga medel inom ramen för inkomstutjämnningen. I inkomstutjämnningen sker en utjämnning av skatteintäkter mellan kommuner och mellan landsting baserad på kommunernas respektive landstingens skattekraft. I kostnadsutjämnningen utjämnas för strukturella kostnadsskillnader mellan kommuner respektive landstingen. Kostnadsutjämnningen är statsfinansiellt neutral dvs. summan av bidragen och avgifterna i landstingen är lika stor och tar därför ut varandra.

Kostnadsutjämnningen innefattar för landstingens del fyra delmodeller, där delmodellen för hälso- och sjukvård är en. Den består av tre delar: hela befolkningens kostnader för hälso- och sjukvård, kostnader för hivsmittade personer samt tillägg eller avdrag för gles bebyggelsestruktur. Beräkningarna av strukturella kostnader för befolkningens hälso- och sjukvård görs utifrån variablerna kön, ålder, civilstånd, sysselsättning, inkomst och boendetyp. Ytterligare en delmodell i kostnadsutjämnningen för landstingen är en modell för lönekostnader, som utjämnar för strukturella lönekostnadsskillnader mellan landstingen¹⁸.

I det kommunalekonomiska utjämningsystemet för landstingen utbetalades från staten 25,6 miljarder kronor år 2016. Det särskilda statsbidraget för läkemedel, som för 2016 uppgick till 23,9 miljarder kronor är således i det närmaste lika stort som hela det generella statliga bidraget till landstingen. Bidraget i inkomstutjämnningen fördelas utifrån skattekraft i de olika landstingen. Det särskilda bidraget för läkemedel fördelas dock utifrån en behovsmodell som bl.a. tar hänsyn till ålder, kön och socioekonomi och den är således mer lik den hälso- och sjukvårdsmodell som används i kostnadsutjämningsystemet.

5.3 Landstingens lokala finansieringslösningar

I rapporten från Myndigheten för vård- och omsorgsanalys (Vårdanalys) har landstingsföreträdare lyft fram att komplexiteten i finansieringssystemet av läkemedel bidrar till att det är svårt för verksamheterna att göra prognoser och planera budget¹⁹. Landstingsföre-

¹⁸ Prop. 2003/04:155 Ändringar i det kommunala utjämningsystemet, s. 53.

¹⁹ Vårdanalys, Ordning i leden? Utvärdering av ordnat införande av nya läkemedel, 2017:5, s. 120.

trädare anser också att det är svårt att förutse dels timingen och storleken på statsbidraget för förmånsläkemedel, dels hur stor den eventuella återbäringen via sidoöverenskommelserna blir.

Varje landsting beslutar hur medlen som avsätts till läkemedel ska fördelas och användas i hälso- och sjukvården oavsett om medlen kommer från det särskilda statsbidraget eller från landstingens intäkter i övrigt. I följande avsnitt beskrivs mycket övergripande några av de sätt som olika landsting har valt för att organisera och fördela medlen till verksamheten. Uppgifterna kommer från en enkät som utredningen har skickat till samtliga landsting. En djupare analys av enkätsvaren kommer att redovisas i utredningens slutbetänkande.

De flesta landsting har en särskild budget för läkemedel. I vissa landsting ingår både förskrivningsläkemedel och läkemedel vid rekvisition i samma budget medan de i andra landsting är uppdelat.

5.3.1 Decentraliserat budgetansvar

Samtliga landsting har någon form av decentraliserat budgetansvar för läkemedel. Landstingen har dock olika modeller för hur de har decentraliserat budgetansvaret. Det skiljer sig t.ex. åt mellan landstingen till vilken vårdnivå som budgetansvaret är decentraliserat. De flesta landsting har inte heller en decentraliserad budget för samtliga läkemedel.

Flera landsting har kombinerat ett decentraliserat budgetansvar med att vissa budgetposter hanteras centralt i landstinget. Det kan röra sig om t.ex. vissa landstingssubventionerade läkemedel, sÄrläkemedel och introduktionsfinansiering av läkemedel inom ramen för ordnat införande. Flera landsting har också budgeten för förskrivningsläkemedel centralt.

5.3.2 Introduktionsfinansiering

I flera landsting förekommer någon form av introduktionsfinansiering av nya läkemedel. Processen för att avgöra vilka läkemedel som kan komma i fråga för introduktionsfinansiering varierar, liksom andelen av dessa läkemedel som finansieras centralt och tidsperioden för finansiering. I vissa fall sker en avtrappning av den centrala finansieringen under en viss tid innan kostnaderna helt ska rymmas inom den ordinarie budgeten ute i verksamheten.

5.4 Patienternas del i finansiering av läkemedel

Patienternas finansieringsansvar för läkemedel består dels av den egenavgift som betalas innan högkostnadstaket nås (5 § lagen om läkemedelsförmåner m.m.), dels av hela kostnaden för receptfria läkemedel. Därutöver står patienterna för hela kostnaden för receptbelagda läkemedel som inte ingår i förmånerna och för vilka det inte finns någon undantagshantering i landstingen. I utbytessystemet för läkemedel får patienterna dessutom betala mellanskillnaden i pris i det fall denne inte går med på att läkemedlet byts ut.

5.4.1 Högkostnadsskyddet för läkemedel

Högekostnadsskyddet är utformat så att patienten betalar hela kostnaden för ett läkemedel som finns i förmånen upp till 1 100 kronor under en tolv månaders period. Högekostnadsskyddet minskar därefter kostnaden för patienten.

- Mellan 1 100 kronor och 2 100 kronor betalar patienten 50 procent av läkemedelskostnaden.
- Mellan 2 101 kronor och 3 900 kronor betalar patienten 25 procent av läkemedelskostnaden.
- Mellan 3 901 kronor och 5 400 kronor betalar patienten 10 procent av läkemedelskostnaden.

Den maximala kostnaden för patienten för receptbelagda läkemedel som ingår i högekostnadsskyddet är 2 200 kronor under en tolv månaders period. Beloppen beräknas så att den förmånsberättigade under en ettårsperiod sammalat inte betalar mer än ett belopp som motsvarar 0,05 gånger prisbasbeloppet enligt 2 kap. 6 och 7 §§ socialförsäkringsbalken, avrundat nedåt till närmsta femtiotal kronor.

Till detta adderas den eventuella merkostnad som patienter får betala i de fall de motsätter sig utbyte av läkemedel på apotek. I de fallen får patienten betala skillnaden i pris mellan det förskrivna dyrare läkemedlet och det läkemedel som skulle expedieras i utbytessystemet.

Högekostnadsskyddet höjdes 2012 från 1 800 kronor per tolv månaders period till 2 200 kronor. Dessförinnan hade inte högekostnadsskyddet höjts sedan 1999. År 2016 infördes kostnadsfria läk-

emedel för barn upp till 18 år och den 1 januari 2017 infördes kostnadsfria preventivmedel för kvinnor upp till 21 år. Dessa två reformer innebar att inga egenavgifter längre betalas i dessa situationer. Sedan tidigare betalas heller ingen egenavgift av patienter som får läkemedel förskrivna i enlighet med smittskyddslagen, patienter som saknar sjukdomsinsikt och patienter som behandlas med insulin.

I tabell 5.2 visas hur andelen som patienterna har finansierat inom förmånssystemet har utvecklats över en tioårsperiod. Andelen sjönk under flera år fram till 2012 då andelen ökade i samband med att högkostnadsskyddet höjdes. Andelen sjönk sedan igen när kostnadsfria läkemedel till barn infördes. År 2016 uppgick patientandelen till drygt 21 procent.

Tabell 5.2 Utveckling av patientandelen i förmånssystemet (i procent)

	2006	2007	2008	2009	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016
Egenavgift (inkl. mer- kostnad)	22,6	22,4	21,8	21,4	21,5	21,1	23,1	24,4	24,2	23,7	21,1
Förmån	77,4	77,6	78,3	78,6	78,5	79,0	76,9	75,6	75,8	76,3	78,9

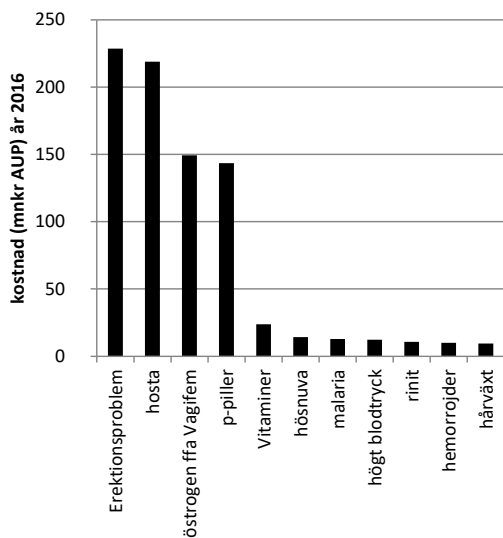
Källa: Concise, E-hälsomyndigheten.

5.4.2 Patienternas finansiering av läkemedel utanför förmånen

De läkemedel som inte ingår förmånen finansieras, som huvudregel, av patienterna fullt ut. Undantag är landstingssubventioner och läkemedel som förskrivs i enlighet med smittskyddslagen samt läkemedel till asylsökande. Receptfria läkemedel ingår vanligtvis inte i förmånen och det är en kostnad som alltså patienterna står för. Det finns även receptbelagda läkemedel som inte ingår i förmånen och som landstingen inte heller subventionerar. Det rör sig om sådana läkemedel som TLV har beslutat inte ska ingå i förmånerna, läkemedel för vilka läkemedelsföretaget inte har ansökt om att de ska ingå i förmånerna eller läkemedel som läkemedelsföretaget har tagit ut ur förmånen. I figur 5.4 visas de läkemedelsgrupper som har störst försäljning utanför förmånen och som patienten betalar själv. De läkemedel som säljs absolut mest utanför förmånen är läkemedel mot erektionsproblem, hostdämpande läkemedel, östrogenbehandling och p-piller. För flera av de läkemedel som säljs utanför förmånen finns det alternativ som

ingår i förmånen. Läkemedel som inte ingår i förmånerna prissätts inte på samma sätt som läkemedel inom förmånen. Se avsnitt 4.5 för en beskrivning av hur läkemedel som inte ingår i förmånen prissätts och vilka konsekvenser det innebär.

Figur 5.4 Läkemedelsgrupper utanför förmånen som patienterna betalar



Källa: Concise, E-hälsomyndigheten.

6 Utmaningar med nuvarande prissättning

I kapitel 4 beskrevs det nuvarande systemet för prissättning av läkemedel i Sverige. Det grundas i stora delar på i så kallad värdebaserad prissättning (VBP), som är en metod för prissättning av produkter baserad på förväntad upplevd nytta för konsumenten. Andra prismodeller förekommer internationellt (se bilaga 2 för en genomgång av prismodeller).

I det här kapitlet analyseras subventions- och prissättnings-systemen i Sverige och vilka effekter de har på möjligheterna att bedriva en modern, effektiv och jämlik hälso- och sjukvård. Vidare analyseras det utvecklingsarbete som Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) och landstingen gemensamt har bedrivit. Syftet är att kunna ta till vara lärdomar om vad som har fungerat väl och vad som har fungerat mindre väl. Detta innebär att vi uppmärksammar och analyserar ett antal dimensioner av prissättningen av läkemedel som lyfts i utredningsdirektiven:

1. Prissättningssystemets svåröverskådlighet.
2. I vilken mån subventions- och prissättningssystemet skapar förutsättningar för att läkemedel används på ett samhällsekonomiskt effektivt sätt och i enlighet med sjukvårdens etiska plattform.
3. Läkemedel i ett internationellt sammanhang, särskilt effekterna på priser och tillgång till läkemedel i Sverige av att Sverige används som referensprisland i andra länder.
4. Priskonkurrens när det gäller biologiska läkemedel och biosimilarer.

5. Systemets förutsättningar för kostnadseffektiva priser på läkemedel under hela läkemedlets livscykel.
6. För- och nackdelar med värdebaserad prissättning, bl.a.:
 - svårigheter att fastställa läkemedlets värde när tillräcklig information saknas,
 - svårigheter att hantera läkemedel som av olika skäl är svåra att hantera ur ett kostnadseffektivitetsperspektiv, som antibiotika, sällläkemedel och nya former av läkemedel t.ex. inom gen- och cellterapiområdena,
 - möjligheter och utmaningar med indikationsbaserad subvention och prissättning,
 - möjligheter och utmaningar med att följa upp och utvärdera värde över tid.
7. Prissättningens relation till forskning och innovation.
8. Utmaningar med den utvecklade prissättningen, bl. a.:
 - oklarheter kring prisöverenskommelser,
 - konsekvenser för patienterna av granskning av läkemedel i flera led,
 - konsekvenser för subventions- och prissättningssystemet av apotekens förhandlingsrätt,
9. Prissättning av läkemedel som förskrivs enligt smittskyddslagen.

6.1 Ett komplicerat system för prissättning

Läkemedel är en mycket heterogen grupp produkter som ska användas i flera olika typer av verksamheter och situationer. Därtill har såväl läkemedelsindustrin som sjukvårdshuvudmän och andra intressenter, nationellt och globalt, ett intresse av priserna på läkemedel i Sverige. Detta medför att systemet för prissättning av läkemedel kan behöva vara relativt komplicerat om läkemedel ska kunna användas kostnadseffektivt och inkluderas i läkemedelsförmåner.

Under de senaste 15 åren har det ursprungligen relativt enkla regelverket för prissättning av läkemedel inom förmånerna utvecklats till ett mycket mer detaljerat system, med en rad särregler för olika läkemedelstyper, jämförelsealternativ och kostnadsposter i de hälsoekonomiska värderingarna. De beslut som tidigare togs från fall till fall eller baserat på praxis har gradvis reglerats i föreskrifter, allmänna råd eller lag. Nya marknader har också tillkommit exempelvis de för parallellimporterade läkemedel på apotek.

Till detta mångfacetterade regelsystem har sedan mitten av 2014 tillkommit möjligheten till trepartsöverläggningar och därigenom sidoöverenskommelser för förmånsläkemedel. Modellen med trepartsöverläggningar har använts vid introduktionen av nya läkemedel men också för mer etablerade läkemedel såsom särskilt kostsamma läkemedel och biologiska läkemedel för vilka patentet går ut (se avsnitt 4.2.4). Sidoöverenskommelser används i tydligt ökande omfattning och omfattar nu produkter som omsätter sammanlagt cirka 4 miljarder kronor per år¹. Mer än hälften av försäljningen av nyintroducerade unika läkemedel omfattas av sidoöverenskommelser.²

Nya detaljregleringar och förhandlingsmöjligheter i samband med sidoöverenskommelser har tillkommit, men samtidigt lever de sedan tidigare etablerade regleringarna kvar.

Det nuvarande systemet för prissättning av läkemedel inom förmånerna beskrivs av flera intressenter – patienter, företag och enskilda landsting – som komplext, svåröverskådligt och i vissa delar inte transparent.³ Läkemedelsföretag menar att det blir allt svårare att förklara internt hur prissättningssystemet fungerar, vilket påverkar möjligheten att planera och prioritera lanseringen av nya läkemedel.

¹ TLV, Prognos för besparing från sidoöverenskommelser helåret 2017.

² LIF, Uppföljning av processerna för introduktion av nya läkemedel i Sverige, presentation, februari 2017.

³ Vårdanalys: Ordning i leden? Utvärdering av ordnat införande av nya läkemedel, 2017:5. s. 81–82, 120 och 125.

6.1.1 Företag kan välja mellan olika processer för nationell prioritering

Ett läkemedelsföretag kan påverka om ett läkemedel ska prissättas som förskrivnings- eller rekvisitionsläkemedel. Läkemedelsföretaget kan dessutom när som helst återkalla sin subventionsansökan hos TLV. Om företaget vid en subventionsansökan t.ex. upplever att TLV i sin utredning av läkemedlet tycks vara nära ett negativt beslut kan företaget dra tillbaka sin subventionsansökan för att i stället låta underlaget ligga till grund för ett prioriteringsbeslut från NT-rådet. På motsvarande sätt kan ett företag vars produkt bedöms inom rekvisitionsprocessen välja att ansöka om subvention om processen upplevs som för långsam eller oklar.⁴ TLV lämnar i regel inte ut information om att en ansökan finns inskickad till myndigheten, alternativt att ärendet inte längre pågår hos myndigheten eftersom myndigheten bedömer att sådan information skyddas av sekretess. Bedömningen av sekretess görs i varje enskilt fall och myndighetens bedömning varierar beroende på vilket typ av ärende det gäller och det sökande företagets inställning kring behovet av sekretess.

Det är naturligt att läkemedelsföretag använder sig av möjligheten att optimera sitt utfall i processen – stora värden kan stå på spel för det enskilda företaget. Valmöjligheten kan emellertid leda till att tid och arbete i onödan läggs på administrativt arbete och utredning innan en prioritering kan göras för ett läkemedel. Dessutom riskerar hanteringen att upplevas som svåröverskådlig och oförutsägbar. Företrädare för landstingen har påpekat att det blir krångligt när ett företag drar tillbaka sin förmånsansökan till TLV eftersom tillbakadragandet sekretessbeläggs, vilket förhindrar TLV och landstingen att kommunicera att ärendet inte längre pågår hos TLV⁵. TLV och landstingen arbetar för närvarande på att försöka nå samsyn kring dessa frågor.

Vad gäller prissättningen av läkemedel som kan förskrivas enligt smittskyddslagen finns det oklarheter kring vilket pris som ska gälla för de läkemedel som förskrivas enligt smittskyddslagen. För de läkemedel som har fått ett pris fastställt av TLV föreslås i promemorian

⁴ NT-rådets information om Darzalex: "Varför dröjer NT-rådets rekommendation gällande Darzalex?", 2017-07-06.

⁵ Vårdanalys 2017:5, s. 80.

Utökade möjligheter till utbyte av läkemedel (Ds 2017:29) att de av TLV fastställda priserna även ska tillämpas om läkemedlet förskrivs enligt smittskyddslagen. Men vilket pris ska gälla för de läkemedel som förskrivs enligt smittskyddslagen och som inte har fått ett pris fastställt av TLV? Oklarheten i vilket pris som ska gälla för dessa läkemedel medför att systemet för prissättning upplevs som oförutsägbart och motverkar en kostnadseffektiv användning av läkemedel.

6.1.2 Vinster och utmaningar avseende sidoöverenskommelser och NT-rådet

Sidoöverenskommelser kan göra det möjligt att inkludera nyligen godkända läkemedel i högkostnadsskyddet i situationer där osäkerheter i det vetenskapliga underlaget eller framtida användning, kombinerat med ett högt ansökt pris gör att produkten annars inte skulle subventioneras. Exempel på sådana beslut är subventionsbesluten för prostatacancerläkemedlen Zytiga och Xtandi, vilka båda tidigare fick avslag på ansökan men som kunde inkluderas i förmånerna i samband med indikationsvidgningar och sidoöverenskommelser⁶. Att inkludera läkemedel i förmånerna ökar tillgängligheten till läkemedlen och minskar sannolikt skillnader mellan landsting i användning⁷.

Sidoöverenskommelserna erbjuder också en pragmatisk lösning för att anpassa priser efter den faktiska betalningsviljan utan att det får konsekvenser på priset i andra länder som använder referensprissättning.

Sidoöverenskommelser innebär dessutom att TLV och landstingen kan skapa en form av marknad för patentskyddade läkemedel (och inte patentskyddade men ej utbytbara läkemedel på apotek) i de fall flera produkter med liknande verkningsmekanism och likvärdig klinisk effekt lanseras. För både nyintroducerade och äldre läkemedel kan företagen få konkurrera genom låga priser i sidoavtal vilket kan påverka den rekommendation som utfärdas av

⁶ Förmånsbeslut för Zytiga (dnr 4774/2014) och Xtandi (dnr 4852/2014).

⁷ TLV, Uppföljning av läkemedelskostnader Juni 2017, s. 32 och Vårdanalys 2017:5, s. 81.

NT-rådet⁸. Det leder till minskade läkemedelskostnader och/eller möjlighet att använda läkemedlen till fler patienter.

Myndigheten för vård- och omsorgsanalys (Vårdanalys) har gjort en utvärdering av processen för ordnat införandet och har bl.a. dragit följande slutsatser. Modellen med trepartsöverläggningar har utvecklats över tid och det finns en begränsad insyn i processens delar och beslutsgångar. De företag som har varit inblandade framhåller att det finns flera brister i processen och att de deltagande parternas roller är otydliga. För vissa av de företag som varit inblandade i processen har det inte varit tydligt om TLV är en neutral koordinator eller en pådrivande förhandlingspart, och vad i processen som styrs av förvaltningsrättsliga regler och vad som är ren förhandlingstaktik⁹.

En annan fråga är vad konsekvenserna blir av en ökad användning av sidoöverenskommelser på de listpriser läkemedelsföretagen sätter på sina nya produkter. I de fall ett företag vet att TLV och landsting kommer att förvänta sig en kostnadsminskning genom en sidoöverenskommelse är det möjligt att man överväger att höja det ansökta priset för att delvis kompensera. Det kommer i sin tur leda till höga kostnader per kvalitetsjusterat levnadsår och osäkra antaganden i de hälsoekonomiska beräkningarna. Om de ansökta priserna påverkats uppåt så överskattas också besparingsberäkningarna.

6.1.3 Sidoöverenskommelsernas praktiska konsekvenser för landstingen

Flertalet av de sidoöverenskommelser som uppkommit genom trepartsöverläggningarna bedömer TLV och landstingen skyddas av sekretess i centrala delar av avtalet, dvs. återbäringens storlek, (se avsnitt 4.3). Det som ligger bakom bedömningen att sekretessbelägga är ofta företagets inställning om att det finns ett behov av sekretess. Trots att avtalet skrivs mellan företaget och landstingen upplever landstingen att inte alla berörda inom landstingen har rätt att ta del av avtalet. Det innebär att fler av de som hanterar och förskriver läkemedlen inte känner till deras egentliga kostnad. Det leder till minskad transparens vid en prioritering av det aktuella läkemedlet jämfört med andra typer av konkurrerande interven-

⁸ Se t.ex. yttrande från NT-rådet gällande nya läkemedel vid kronisk hepatit C, 2015-06-26.

⁹ Vårdanalys 2017:5, s. 82.

tioner och kan leda till en mindre effektiv användning i dessa situationer. Det leder också till att de decentraliserade läkemedelsbudgetar som används i många landsting blir mer komplexa att administrera. De kliniker som har en specifik budget tilldelad för vissa läkemedel känner inte alltid till vilka återbäringsvillkor som gäller för dessa. Detta kompliceras enligt landstingen ytterligare när staten och landstingen delar på återbäringen för läkemedlen (se avsnitt 6.1.4). Hälso- och sjukvårdens rationella agerande skulle bli effektivare och enklare om villkoren kring ett läkemedels användning finns tillgängliga för en större krets av personer inom hälso- och sjukvården.

Sidoöverenskommelserna kräver interaktioner mellan alla landsting och företagen. De nationellt upprättade avtalen administreras och faktureras sedan av de enskilda landstingen. För de 19 återbäringsavtal som i dagsläget är gällande innebär det i sådana fall upp emot 390 olika avtal och återbäringsfaktureringar som hanteras. Till dessa tillkommer de nationella avtal som sluts för de klinikläkemedel som hanteras inom processen för ordnat införande.

TLV har framhållit att användningen av sidoöverenskommelser ökar och är en lämplig metod för att bland annat hantera de kommande patentutgångarna för biologiska läkemedel¹⁰. En ökad användning av sidoöverenskommelser samt administration av tidigare ingångna avtal kommer med nuvarande modell sannolikt att kräva ytterligare resurser inom SKL och landstingen.

6.1.4 Ytterligare konsekvenser av att TLV bedömer att sekretess gäller för omfattningen av återbäringen i sidoöverenskommelser

Sidoöverenskommelser upprättas för ett stort antal nyintroducerade läkemedel. TLV har bedömt att omfattningen av återbäringen i sidoöverenskommelser skyddas av sekretess. En farhåga är att företagen inte skulle gå med på att teckna dessa avtal, i vart fall inte till samma pris och villkor, om de inte fick sekretessbelägga uppgifterna. En konsekvens av detta är att ett företag som ansöker om subvention och förmån för ett nytt läkemedel inte känner till

¹⁰ TLV, Analys av marknaden för biologiska läkemedel med konkurrens av biosimilarer juni 2016.

priset på jämförelsealternativet i den hälsoekonomiska modellen om det är ett annat företags läkemedel och det har återbäringsavtal. Ska i dessa fall det pris som TLV fastställt eller det pris återbäringsavtalet ger upphov till användas vid utvärdering av nya interventioner som jämförs med produkter som ingår i återbäringsavtal? I praktiken löses detta genom att företaget ansöker baserat på det tillgängliga listpriset, men att TLV under utredningen i ärendet undersöker den faktiska kostnadseffektiviteten genom att använda det pris återbäringsavtalet ger upphov till. Sekretessen i återbäringsavtalen fortplantar sig på det sättet i flera led och leder till mindre transparens och mindre öppna prioriteringar. Det försvårar också för andra aktörer, som inte har full kännedom om återbäringsavtalet, att beräkna kostnadseffektiviteten av nya interventioner. Det gäller landstingens lokala och regionala prioriteringsarbete men också till exempel de hälsoekonomiska utredningar som görs av SBU och Socialstyrelsen.

6.1.5 Apotekens förhandlingsrätt får konsekvenser för prissättningssystemet

I samband med apoteksomregleringen fick öppenvårdsapoteken rätt att köpa in läkemedel, som inte är utbytbara mot generiska läkemedel, till priser som understiger det inköpspris som TLV har fastställt, (se avsnitt 4.4).

Det har inneburit att apoteken för en stor andel produkter köper in parallellimporterade läkemedel och byter till dessa i de fall en direktimporterad produkt är förskriven¹¹.

Hanteringen baseras i regel på ett avtal mellan ett apotek och ett parallellimporterande företag. För samma produkt kan landstingen och det direktimporterande företaget (originalföretaget) ha ingått en sidoöverenskommelse. För samma förskrivna produkt finns i dessa fall två olika avtal ingångna, och dessutom fyra olika intressenter. Detta har i dagsläget lösts genom att avtalet mellan landstingen och företaget också inkluderar parallellimporterade produkter¹². Direktimportören får alltså stå för kostnaden för åter-

¹¹ TLV, 2016 års uppföljning av apoteksmarknadens utveckling.

¹² LIF och SKL, Begäran om tilläggsdirektiv till utredningen Ökat fokus på kvalitet och säkerhet på apoteksmarknaden, 2016-06-07.

bäringsavtalet även för den del som säljs som parallellimporterad produkt. Det ökar svårigheterna att förutsäga de ekonomiska konsekvenserna för ett företag när ett återbäringsavtal upprättas. SKL och LIF har påtalat att detta kan leda till minskat intresse från företagens sida att delta i förhandlingar. Vilket kan leda till att hela systemet med sidoöverenskommelser hotas¹².

Apoteksföreningen har å sin sida framhållit att om läkemedelsleverantörerna har problem med sina egna höga listpriser inom ramen för sidoöverenskommelserna så är det betydligt enklare att sänka dem än att inskränka apotekens förhandlingsrätt¹³. Läkemedelshandlarna framhåller vidare att parallellhandeln bidrar till priskonkurrens som kommer patienterna till del genom bättre service och öppettider på apoteken (lakemedelshandlarna.se). Det har emellertid så vitt vi känner till inte visats att parallellhandel överlag leder till lägre listpriser. Det finns säkert exempel på när så har skett men t.ex. så sjönk inte priset alls för den största, mest parallellimporterade produkten under flera år (Symbicort och generiska alternativ, se Figur 6.4). Däremot kan originalföretagen vilja sänka priserna vid t.ex. en omprövning öka.

6.2 Ett positivt utvecklingsarbete

De senaste årens utveckling av nya läkemedel har resulterat i framsteg inom flera behandlingsområden. Flera nya läkemedel blir godkända allt tidigare, vilket leder till att patienterna snabbare får tillgång till nya behandlingsalternativ. Med denna utveckling följer ett antal utmaningar, exempelvis ökade osäkerheter om de nya läkemedlens effekter och risker, budgetpåverkan, landstingens införandeprocesser samt uppföljning på global, EU, nationell och lokal nivå.

För att möta denna utveckling, tog regeringen 2011 initiativ till att utveckla ett samarbete om ett nationellt införande av nya läkemedel – ett arbete som 2015 resulterade i den nuvarande nationella processen ordnat införande av nya läkemedel. Målet är att skapa en mer jämlik, kostnadseffektiv och ändamålsenlig användning av nya läkemedel.

¹³ Dagens medicin, Apoteksföreningen försvarar förhandlingsrätt, 2016-06-15.

Utvecklingsarbetet har givit resultat. Under 2015 och 2016 har nationella rekommendationer tagits fram för ett tjugotal nya läkemedel vid behandling av exempelvis hepatit C, cancer, hjärt-kärlsjukdomar, ADHD och höga blodfetter. Försäljningen av dessa läkemedel uppgick under 2016 till cirka 1 miljard kronor.¹⁴

6.3 Vissa rättsliga utmaningar med trepartsöverläggningar och NT-rådet

Frågor om juridiken kring trepartsöverläggningar och NT-rekommendationer har aktualiserats i olika sammanhang där det har lämnats rättsliga redogörelser som bl.a. avser förvaltningsrättsliga principer.¹⁵ Utredningen avser inte att upprepa dessa redogörelser. Här nedan beskrivs vissa rättsliga utmaningar med trepartsöverläggningar med särskild fokus på sidoöverenskommelser och NT-rekommendationer. En beskrivning av trepartsöverläggningar och NT-rekommendationer finns i avsnitt 4.2.4 och 4.6.

6.3.1 Finns det en lagreglering som tillåter trepartsöverläggningar, sidoöverenskommelser och NT-rekommendationer?

En trepartsöverläggning kan förutom själva överläggningen ge upphov till tre skilda rättsakter: ett beslut om subvention och prissättning som fattas av TLV, en sidoöverenskommelse som ingås mellan läkemedelsföretag och landstingen samt en rekommendation som beslutas av NT-rådet.

Enligt 9 § lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. ska sökande läkemedelsföretag och landstingen ges tillfälle till över-

¹⁴ Vårdanalys 2017. Utvärdering av ordnat införande av nya läkemedel – Ordning i Leden? Rapport 2017:5.

¹⁵ Bl.a. Vårdanalys 2017:5, s. 94-103; Reichel, J. 2015. En förvaltningsrättslig analys av Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets handläggning av vissa ärenden inom läkemedelsförmånen; Regeringsbeslut om uppdrag att redovisa arbetet med att utveckla den värdebaserade prissättningen för läkemedel inom förmånen, dnr S2016/02762/FS; TLV:s rapport Uppdrag att redovisa arbetet med att utveckla den värdebaserade prissättningen för läkemedel inom förmånerna, dnr. 1133/2016; Reichel, J. 2016. Uppföljning av förvaltningsrättslig analys av Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets handläggning av vissa ärenden inom läkemedelsförmånen.; och TLV 2015. Utveckling av trepartsöverläggningar. Publicerad 2015, uppdaterad 2017.

läggningar med TLV innan myndigheten meddelar beslut om subvention och pris. Det kan konstateras att det i 9 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. finns en rättslig grund för att läkemedelsföretag och landstingen ska få överlägga i ärenden om subvention och pris. Rätten till överläggning infördes redan år 1997 (i den numera upphävda lagen [1996:1150] om högkostnadsskydd vid köp av läkemedel m.m.) i samband med att kostnadsansvaret skulle föras över till landstingen och motiverades med att landstingen skulle ges ett reellt inflytande i de priser som den statliga myndigheten skulle fastställa.¹⁶

Detaljerna om hur dessa överläggningar ska gå till finns däremot inte reglerade i lag. Regeringen uttalade i propositionen Ökad tillgänglighet och mer ändamålsenlig prissättning av läkemedel att TLV bör utreda vidare om det är möjligt för TLV att utveckla denna möjlighet till överläggning i syfte att möjliggöra att även volymkomponenten kan inkluderas i samband med ett förmånsbeslut. Regeringen uttalade vidare att TLV bör utreda om det är möjligt att låta landstingen utnyttja sin rätt till att begära prisändringar och överlägga med TLV i beslutsärenden i väsentligt större omfattning än som sker i dagsläget och att det genom ett sådant nytt arbetssätt skulle det skapas förutsättningar för landsting och industri att avtala om t.ex. volymer och kunskaps- och datadelning i samband med att TLV sätter pris. Regeringens uttalande åtföljs emellertid inte av något lagförslag.¹⁷

Frågan om möjligheten för sjukvårdshuvudmännen att ingå s.k. samarbets- eller återbäringsavtal med läkemedelsindustrin har även berörts i ett antal utredningar¹⁸ men har inte lett till lagstiftning.

I 13 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. som reglerar prisändringsärenden infördes år 2009 ett tillägg om att i de fall överläggningar om prisändringar inte leder till en överenskommelse ska TLV fastställa det nya priset på grundval av tillgänglig utredning. Tillägget motiverades som ett förtydligande men någon definition av begreppet överenskommelse eller någon fördjupad kommentar

¹⁶ Prop. 1996/97:27 Läkemedelsförmåner och läkemedelsförsörjning m.m. s. 87.

¹⁷ Prop. 2013/14:93 Ökad tillgänglighet och mer ändamålsenlig prissättning av läkemedel, s. 59.

¹⁸ Bl.a. SOU 1997:165 Läkemedel i priskonkurrens, Ds 2002:53 Prissättning inom läkemedelsförmånerna och SOU 2012:75 Pris, tillgång och service – fortsatt utveckling av läkemedels- och apoteksmarknaden.

till tillägget finns inte i förarbetena.¹⁹ Gällande begreppet sidoöverenskommelser finns emellertid ingen reglering i lag.

Vad gäller NT-rådets rekommendationer saknas lagreglering helt.

6.3.2 Vilken rättslig status har en sidoöverenskommelse?

En sidoöverenskommelse är ett avtal mellan läkemedelsföretag och landsting som bl.a. reglerar en återbäring av kostnaden för för-
månsläkemedel från företaget till landstingen. En sidoöverenskom-
melse kan utgöra antingen ett återbäringsavtal med riskdelning eller
ett återbäringsavtal utan riskdelning, se vidare avsnitt 4.2.4.

TLV är inte en avtalspart men sidoöverenskommelsen är ett re-
sultat av en trepartsöverläggning i ett förmånsärende där TLV är
ansvarig myndighet. Hur en sidoöverenskommelse förhåller sig till
TLV:s förmånsbeslut finns det olika skrivningar om i de olika sido-
överenskommelserna och i de olika förmånsbesluten. Det kan dock
konstateras att den återbäring som regleras i en sidoöverenskom-
melse har en faktisk påverkan på det förmånsbeslut som TLV
fattar, eftersom återbäringen har en direkt betydelse för TLV:s
bedömning om huruvida kostnaderna för läkemedlet framstår som
rimliga enligt kraven i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m.
Sidoöverenskommelsen har också potentiell påverkan på den ers-
ättning som läkemedelsföretaget får för sin produkt då den kan
leda till en minskning av ersättningsnivån.²⁰ Oavsett hur åter-
bäringen är utformad (om den är kopplad till en riskdelning eller
inte) kan den utgöra en nödvändig förutsättning för att TLV ska
kunna bifalla en förmånsansökan som utan återbäringen skulle
kunna avslås.²¹ Återbäringen kan dessutom vara en nödvändig
förutsättning för att TLV ska kunna fastställa ett visst pris enligt de
principer som anges i 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m.
Återbäringen kan således påverka storleken på det av TLV fast-
ställda priset. I det fall en sidoöverenskommelse skulle upphöra att
gälla kan det leda till att TLV behöver ompröva sitt förmånsbe-

¹⁹ Prop. 2008/09:145 Omreglering av apoteksmarknaden, s. 450.

²⁰ EU-domstolens dom den 16 april 2015 i målen C-271/14 och C-273/14.

²¹ Jmf TLV, Uppdrag att redovisa arbetet med att utveckla den värdebaserade prissättningen för läkemedel inom förmåner, dnr. 1133/2016, s. 78 samt läkemedlen Zytiga och Xtandi för vilka förmånsansökan avslogs år 2012 respektive 2014 och med en sidoöverenskommelse kunde bifallas 2015.

slut.²² Men det kan även ha tillkommit andra omständigheter i ärendet, som exempelvis ny data som minskar osäkerheterna, som medför att förmånsbeslutet inte behöver ändras. Det finns således omständigheter som talar för att återbäringen ska ses inte bara som ett beslutsunderlag utan som en del av TLV:s förmånsbeslut, t.ex. som ett villkor till beslutet, och som därigenom enligt 26 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. kan underställas domstolsprövning.

Vad gäller de återbäringsavtal som inte är kopplade till en riskdelningskomponent kan det vidare ifrågasättas om de är förenliga med vissa bestämmelser i förmånslagstiftningen. Den återbäring som avtalas i sidoöverenskommelsen är inte beroende av några riskdelningsfaktorer. Ersättningen genom återbäringen skulle alltså kunna räknas av på de priser som TLV fastställer, dvs. en sänkning av de priser som TLV fastställer. Det går därför att resonera för att i de ärenden där återbäringsavtal utan riskdelning förekommer är de priser som TLV fastställer och offentliggör, dvs. AIP och AUP, inte de verkliga priserna för läkemedlet. Detta skulle innebära att fastställandet av priserna inte uppfyller kriterierna för prissättning enligt 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. och att kravet på att offentliggöra de fastställda priserna enligt 10 § förordningen (2002:687) om läkemedelsförmåner m.m. inte heller är uppfyllt.

6.3.3 Vilken rättslig status har en rekommendation från NT-rådet?

NT-rådet har ett landstingsmandat för att bl.a. ge rekommendationer om förhållningssätt till nya läkemedel. En mer utförlig beskrivning av NT-rådet och dess uppgifter finns i avsnitt 4.6. Det kan konstateras NT-rådets uppgifter inte är lagreglerade.

Den första frågan som aktualiseras är vad NT-rådet har för rättslig status. I NT-rådet finns ledamöter från samtliga sex sjukvårdsregioner och av det underlag som finns tillgängligt framgår att NT-rådet utses av landstingens hälso- och sjukvårdsdirektörer och har mandat att avge rekommendationer. Oavsett om NT-rådet ska ses som ett eget offentligt subjekt eller som en del av lands-

²² Jmf TLV, Uppdrag att redovisa arbetet med att utveckla den värdebaserade prissättningen för läkemedel inom förmånerna, dnr. 1133/2016, s. 12.

tingen²³ finns det skäl som talar för att NT-rådets beslut att anta en rekommendation skulle kunna ses som ett beslut fattat av samtliga landsting, alltså ett myndighetsbeslut.

En annan fråga är om NT-rådets rekommendationer kan anses utgöra överklagbara beslut. I svensk förvaltningsrätt anses den oskrivna huvudregeln gälla, att statliga myndigheters beslut kan överklagas även om bestämmelser om överklagande saknas.²⁴ Överklagandeinstitutets funktion är att bereda den som berörs av ett besluts verkningar en möjlighet att få beslutet ändrat eller upphävt eller, med andra ord, få de av honom eller henne oönskade verkningarna eliminerade.²⁵ Huruvida en skrivelse eller något annat dokument ska anses utgöra ett överklagbart beslut avgörs inte utifrån hur det är rubricerat, utan av de faktiska omständigheterna. Vad som avgör om ett beslut är överklagbart är beslutets effekt eller påverkan. I domstolspraxis har bl.a. nämnts omständigheter som om beslutet är av väsentlig betydelse för den enskilde²⁶, kan beräknas få och även fått påtagliga faktiska verkningar för den som besluten angår²⁷, har eller är ägnat att få faktisk negativ påverkan för någons personliga eller ekonomiska situation²⁸ och haft faktiska verkningar för den berörda personen.²⁹

En NT-rekommendation innehåller bl.a. direktiv om hur enskilda läkemedelsföretags produkter bör eller inte bör användas i landstingen. Rekommendationen har således till syfte att påverka landstingens handlande. NT-rekommendationerna är inte tvingande för landstingen och hur en rekommendation införs kan variera mellan landstingen.³⁰ Vårdanalys har emellertid i sin rapport om ordnat införande dragit slutsatsen att NT-rådet har ett stort inflytande över vilka läkemedel som prioriteras och införs genom processen för nationellt ordnat införande och att rådets rekommendationer kan få stor genomslagskraft och uppfattas av vissa aktörer som mer eller mindre bindande.³¹ En NT-rekommendation kan

²³ Jmf Vårdanalys 2017:5, s. 99–100.

²⁴ Prop. 1997/98:101 Översyn av förvaltningsprocessen; en allmän regel om domstolsprövning av förvaltningsbeslut m.m., s. 50.

²⁵ RÅ 2010 ref. 72.

²⁶ RÅ 1988 ref. 70.

²⁷ RÅ 1996 ref. 43.

²⁸ RÅ 2004 ref 8 (Olivoljemålet).

²⁹ RÅ 2010 ref. 9.

³⁰ Vårdanalys 2017:5, s. 49–50.

³¹ Vårdanalys 2017:5, s. 93–94.

alltså uppfattas som bindande för landstingen och inom vissa terapiområden kan den få stor genomslagskraft och därigenom medföra en faktiskt ekonomisk påverkan för berörda aktörer. Det finns därför omständigheter som talar för att en NT-rekommendation, trots sin rubricering som rekommendation, är ett sådant beslut som kan överklagas av den som beslutet gått emot.

6.3.4 Behövs det ytterligare lagreglering?

En grundläggande princip för det svenska styrelseskicket är legalitetsprincipen som innebär att all utövning av offentlig makt kräver författningsstöd (1 kap. 1§ första stycket regeringsformen, RF). Åtgärder som vidtas av en myndighet och som innebär myndighetsutövning måste ha stöd i lag. Det ska kunna utläsas av lagen vilka rättigheter och skyldigheter en enskild har i förhållande till staten. Myndighetsutövningen måste alltså vara förutsägbar. Två andra viktiga principer är objektivitetsprincipen och likabehandlingsprincipen, vilka innebär att myndigheter ska beakta allas likhet inför lagen och iakttä saklighet och opartiskhet (1 kap. 9 § RF).

Det kan konstateras att det finns en oförutsägbarhet i hur de olika rättsakterna (TLV:s beslut, sidoöverenskommelsen mellan landsting och företag samt NT-rekommendationen) förhåller sig till varandra. Den omständigheten att det finns olika skrivningar i gällande sidoöverenskommelser och förmånsbeslut om hur de skilda rättsakterna förhåller sig till varandra, se avsnitt 4.2.4, bidrar till oförutsägbarheten.

Det finns även oklarheter i vad mån och hur de olika rättsakterna kan överklagas. TLV:s förmånsbeslut är överklagbara enligt förvaltningsrättsliga regler och sidoöverenskommelserna kan överprövas enligt civilrättsliga regler. En ordning med ett förmånsbeslut och ett fristående avtal medför emellertid oklarheter i när förvaltningsrättsliga respektive civilrättsliga regler ska tillämpas. En sådan ordning medför också bristande insyn i hur avtalets innehåll påverkar TLV:s bedömning i förmånsbeslut. Det finns även oklarheter i vilka rättsverkningarna blir om endast avtalet eller endast förmånsbeslutet blir föremål för domstolsprövning. Hittills har de beslut där det förekommit sidoöverenskommelse inte överklagats till domstol. Den kan således ifrågasättas om det är lämpligt att en

del av eller ett villkor till ett myndighetsbeslut finns i ett separat avtal som myndigheten inte är part i.

Hur TLV:s handläggning av ett förmånsärende förhåller sig till förhandlingarna i en trepartsöverläggning uppfattas av läkemedelsföretagen som otydligt.³² Den omständigheten att NT-rådet kan besluta om en rekommendation som skiljer sig från det förmånsbeslut som TLV meddelat kan också skapa en osäkerhet för berörda parter. Det kan även ifrågasättas om det är rimligt att en offentlig aktör kan besluta om rekommendationer som i praktiken kan innebära en omprövning av TLV:s beslut. Det är inte heller klarlagt vilka handläggningsregler som gäller för NT-rådets verksamhet. Läkemedelsföretagen har anfört att det är oklart vilket inflytande medicinska experter har i NT-rekommendationerna och att det är problematiskt att de inte har samma rätt till överläggning med NT-rådet som de har med TLV.³³

Det finns även en oförutsägbarhet avseende vilken roll de olika aktörerna (TLV, landsting, företag och NT-rådet) har, vilket regelverk de lyder under och vilka regler som gäller för handläggningen. TLV:s roll i sidoöverenskommelserna kan uppfattas som oklar, även om TLV inte är avtalspart är TLV likväl ansvarig myndighet för själva förmånsärendet. Det finns även en risk för sammanblandning av roller då vissa företrädare för NT-rådet även sitter i TLV:s nämnd. Av läkemedelsföretagen upplevs det som oklart om TLV är en neutral koordinator eller en pådrivande förhandlingspart samt om vad i processen som ska styras av förvaltningsrättsliga regler och vad som är ren förhandlingstaktik.³⁴

En viktig aspekt utifrån likabehandlingsprincipen är om det kan fastställas att enskilda läkemedelsföretag behandlas lika i alla delar av processen för trepartsöverläggningar och om alla läkemedelsföretag har samma förutsättningar att delta i processen. Den avtalade återbäringen i en sidoöverenskommelse kan även omfatta parallellimporterade läkemedel, vilket innebär att undertecknade läkemedelsföretag får stå för kostnaden för återbäringsavtalet även för den del som säljs som parallellimporterad produkt av ett annat företag. Detta kan försvåra för möjligheterna för vissa läkemedels-

³² Vårdanalys 2017:5, s. 85–86.

³³ Vårdanalys 2017:5, s. 93.

³⁴ Vårdanalys 2017:5, s. 81–82.

företag att delta i trepartsöverläggningarna, särskilt om de parallell-importerade volymerna är stora och företagen enbart verkar på den svenska marknaden.³⁵

Oklarheten kring om landsting och företag får ingå lokala prisöverenskommelser om läkemedel som ingår i läkemedelsförmånerna ledde till en rättslig prövning i det s.k. Cimziamålet³⁶. I målet anför Högsta förvaltningsdomstolen att TLV utifrån nuvarande förmånslagstiftning inte kan förbjuda landsting och företag att ingå lokala prisöverenskommelser om läkemedel som ingår i läkemedelsförmåner. Domstolen anför vidare att ordalydelsen i 7 §³⁷ första stycket lagen om läkemedelsförmåner m.m. inte ger utrymme för en tolkning som innebär att även andra aktörer än öppenvårdsapotek skulle vara förpliktade att använda de av myndigheten fastställda priserna avseende läkemedel eller andra varor inom förmånerna eller att sådana aktörer skulle vara förhindrade att avtala om andra priser. Underinstanserna kom till en annan slutsats och bedömde att TLV kan förbjuda landsting och företag att ingå lokala prisöverenskommelser om läkemedel som ingår i läkemedelsförmåner³⁸. Underinstanserna tolkade lagen om läkemedelsförmåner m.m. i ljuset av det s.k. transparensdirektivet³⁹ och bedömde att ett förfarande med sådana prisöverenskommelser inte är förenligt med EU-rätten. Med anledning av Cimziamålet har i överenskommelserna mellan staten och SKL om statens bidrag till landstingen för kostnader för läkemedelsförmåner m.m. för åren 2016 och 2017 införts ett krav om att det under avtalsperioden inte får tecknas lokala avtal för läkemedel inom läkemedelsförmånerna mellan enskilda landsting och läkemedelsföretag.

Det finns alltså ett flertal omständigheter som tyder på att inte alla moment i trepartsöverläggningar, sidoöverenskommelser och NT-rekommendationer uppfyller de grundläggande kraven på legalitet, förutsägbarhet och objektivitet och att det kan behövas ett

³⁵ Vårdanalys 2017:5, s. 82.

³⁶ Högsta förvaltningsdomstolens dom meddelad i Stockholm den 17 december 2015 i mål nr 3596-14.

³⁷ Se även prop. 2008/09:145 Omreglering av apoteksmarknaden, s. 242 ff. avseende tillägget ”ska tillämpas av öppenvårdsapotek”, som infördes i 7 §.

³⁸ Kammarrättens i Stockholm dom meddelad den 12 juni 2014 i mål 6917-13 och Förvaltningsrättens i Stockholm dom meddelad den 28 oktober 2013 i mål 3010-13.

³⁹ 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.

tydligare regelverk för att processen ska bli rättssäker. Behov av rättsligt stöd finns särskilt vad gäller sidoöverenskommelser och NT-rekommendationer eftersom de har ett så stort inflytande i om ett läkemedel ska omfattas av läkemedelsförmånerna, till vilket pris- i förhållande till såväl konsument som till aktuellt företag – och hur läkemedlet ska prioriteras.

6.4 Samhällsekonomiskt effektiv användning av läkemedel

Det framstår som att det finns två centrala utmaningar med att tillämpa ett samhällsperspektiv på finansiering och prissättning av läkemedel. Dels finns en fråga om hur transfereringar mellan olika budgetar ska kunna ske så att den samhällsekonomiska effektiviteten som beräknats i nationella beslut ska kunna genomföras lokalt och regionalt. Dels finns en fråga runt vilka begränsningar den etiska plattformen sätter. Relaterat till detta är om det är den underliggande analysen eller bara besluten som ska begränsas.

Ett samhällsperspektiv på ekonomiska analyser betyder att alla kostnader och intäkter räknas med, oavsett var de uppstår. Detta innebär att såväl privata som offentliga kostnader och intäkter ska räknas med och att ekonomiska konsekvenser räknas oavsett i vilken budget de uppstår. Samhällelig kostnadseffektivitet betyder följaktligen att de positiva effekterna ska väga upp kostnaderna – oavsett var i samhället dessa uppstår. Det är vanligt att använda även andra perspektiv i ekonomiska utvärderingar som baseras på konsekvenserna för någon enskild budget, till exempel landstingets. Valet av perspektiv är betydelsefullt eftersom användning av läkemedel genererar kostnader i landstingen men samhällsvinsterna uppstår ofta i andra delar av samhället. Vi skriver mer om samhällsekonomisk effektivitet och budgetar i kapitel 7, men enligt en studie uppstod två tredjedelar av kostnaderna för sjukdom utanför landstingen.⁴⁰ Landsting och olika aktörer på lokal, regional och nationell nivå försöker med olika medel – t.ex. mål, incitament eller kunskap – styra användningen av läkemedel men beslut om använd-

⁴⁰ Ramsberg J. & Ekelund M. 2011. Stuprörstänkande gör samhällets kostnader för ohälsa onödigt höga. Ekonomisk Debatt. 39: 41–53.

ning av läkemedlen fattas i första hand av behandlande personal i hälso- och sjukvården tillsammans med patienter. En studie har visat att verksamheterna som bekostar läkemedel ofta uppgav att de hade svårt att se att de besparingar i vården som lyfts fram i de hälsoekonomiska analyserna realiserar i verkligheten.⁴¹ I en forskningsöversikt framkom att kostnadseffektivitetskriteriet var viktigt i första hand på makronivå och på både meso- och mikronivå rapporterades snäva budgetar vara en av flera barriärer för att ta hänsyn till kostnadseffektivitet i beslutsfattandet.⁴²

Nu till frågan om vilka begränsningar den etiska plattformen sätter. TLV har delvis ett samhällsekonomiskt perspektiv i sina underlag för beslut om subvention och prissättning för läkemedel inom förmånerna, där de kostnader som uppstår hos till exempel kommuner tas med. Tidigare räknades även produktivitetsförluster (som är de största indirekta kostnaderna) med, men efter 2014 har TLV en ny tillämpning av den etiska plattformen och då räknas de inte med i de fall en behandling ger extra levnadsår. Kostnaderna räknas eventuellt med för behandlingar som samtidigt påverkar livskvaliteten och arbetsförmågan. TLV har uttalat att den närmare tillämpningen ”kommer att utkristalliseras genom den praxis TLV:s förmånsbeslut bildar”.⁴³

6.5 Risk för låg precision vid prioriteringsbeslut

Läkemedel är ofta godkända att användas av en större grupp patienter än den användning som är kostnadseffektiv givet samhällets betalningsvilja. Detta beror för det första på att samhällets betalningsvilja varierar så att exempelvis hälsa som kommer personer som har ett sämre hälsotillstånd till del värderas högre. För det andra har inte alla individer samma förväntade utfall av hälsa och kostnader av en viss sjukdom och behandling. Behandlingseffekten kan till exempel bero på patientens genupsättning eller livsstil.⁴⁴

⁴¹ Williams IP, Bryan S. Cost-effectiveness analysis and formulary decision making in England: findings from research. *Soc Sci Med.* 2007 Nov;65(10):2116-29.

⁴² Erntoft S. 2011. Pharmaceutical priority setting and the use of economic evaluation: a systematic literature review. *Value Health.*14:587-99.

⁴³ (www.tlv.se/lakemedel/halsoekonomi/Ny-tillampning-av-etiska-plattformen/)

⁴⁴ Ioannidis JP, Garber AM. Individualized cost-effectiveness analysis. *PLoS Med.* 2011 Jul;8(7):

En av de tydligaste faktorerna är att ju yngre patienten är, desto fler förväntade levnadsår kan räddas. Som ett exempel redovisade en studie att kvinnor i åldersgruppen 65–69 som fick antracyklinbaserad kemoterapi vid bröstcancer i genomsnitt vann 18 QALY mot 3,5 QALY i gruppen >80 år.⁴⁵

Kostnadseffektivitetskvoter presenteras ibland som ett genomsnitt för hela den undersökta gruppen av patienter, men på grund av variationerna i utfall leder detta ofta till beslutsunderlag med låg träffsäkerhet. Den vetenskapliga litteraturen och de flesta nationella subventionsmyndigheter, däribland TLV, rekommenderar därför att kostnadseffektiviteten redovisas separat för olika subgrupper av patienter, beroende på t.ex. deras risknivå, kön, ålder eller allvarlighetsgrad.

6.5.1 Kostnadseffektivitet varierar över olika indikationer

Många läkemedel kan dessutom användas för mer än en indikation. Till exempel är mer än 50 procent av cancerläkemedlen godkända för mer än en indikation och detta väntas öka till 75 procent år 2020.⁴⁶ Vanligen kommer hälsovinsten av att behandla med ett visst läkemedel att vara olika för olika indikationer. Om då priset är detsamma kommer också kostnadseffektiviteten att variera. Till exempel bedömde TLV att kostnadseffektkvoten för Adcetris varierar mellan cirka 470 000 och 970 000 kronor per QALY för tre olika lymfomindikationer.⁴⁷ Den "genomsnittliga" kostnadseffektkvoten över alla indikationerna bedömdes vara omkring 820 000 kronor per QALY. Om priset sätts efter den genomsnittliga kostnadseffektkvoten skapas ett potentiellt problem eftersom priset blir för högt för åtminstone en av indikationerna.

Pris som sätts med vägledning av indikationen med den sämsta kostnadseffektiviteten kan i stället bli för lågt i betydelsen att det kan medföra att företaget väljer att inte lansera produkten till det

⁴⁵ Lairson DR, Parikh RC, Cormier JN, Chan W, Du XL. Cost-Effectiveness of Chemotherapy for Breast Cancer and Age Effect in Older Women. *Value Health*. 2015; 18(8):1070-8.

⁴⁶ Aitken M., Blansett, L. and Mawrie, R., 2015. Developments in cancer treatments, market dynamics, patient access and value. Global Oncology Trend Report 2015. The IMS Institute for Healthcare Informatics. Parsippany, NJ: IMS Health.

⁴⁷ TLV beslut 2013-06-21, dnr 3230/2012.

priset, särskilt inte om det kommer indikationer med större värde senare i livscykeln eftersom de då kommer säljas till ett lågt pris. Kostnaden i det fallet blir den uteblivna hälsovinsten hos de patienter som skulle haft nytta av behandlingen. Som ett exempel drog Sanofi 2012 tillbaka sitt leukemiläkemedel Campath från marknaden för att två år senare lansera samma produkt som ett MS-läkemedel, men under ett annat namn och till ett högre pris⁴⁸.

Storbritannien har sedan 2009 gett företag en möjlighet att sätta ett separat pris för en ny indikation. Möjligheten har dock inte utnyttjats särskilt ofta eftersom systemet är så komplext.⁴⁹ Det är överhuvudtaget ovanligt både globalt och i Sverige att priset varierar mellan indikationer. En vanlig lösning i Sverige och många andra länder är att med antingen begränsad subvention eller kunskapsstyrning begränsa användningen till de indikationer där behandlingen är kostnadseffektiv. I en studie illustrerades betydelsen av detta: i en analys av fyra cancerläkemedel varierade kostnaden för att behandla en patient en månad ganska lite, med dagens priser, en faktor fyra. Men om priserna skulle sättas så att kostnaden per levnadsår skulle bli \$150 000 för alla skulle behandlingskostnaden per månad i stället variera med en faktor 145.⁵⁰ Om utgångspunkten är att priset ska spegla produktens värde vore det logiskt att låta priset vara olika för olika indikationer. Detta skulle emellertid innebära en del utmaningar. Det finns för det första ibland metodologiska svårigheter att beräkna kostnadseffektiviteten för olika indikationer om kliniska data i huvudsak är framtagna för en av indikationerna och det blir nödvändigt att extrapolera resultat mellan indikationer. För det andra kan företagen vara ovilliga att sälja produkten till ett lägre pris på grund av att de inte kan kontrollera att användningen begränsas till den indikationen. För det tredje kan ett varierande pris också leda till ur tillverkarens perspektiv svåra diskussioner med köparna om varför produkten ska ha ett högre pris för vissa patienter när den bevisligen går att sälja till ett lägre pris till andra. För det fjärde får vården på motsvarande

⁴⁸ Det ska nämnas att Sanofi tillhandahöll Campath under ett compassionate use program till patienter som redan stod på behandlingen. Se t.ex.

http://www.pharmatimes.com/news/sanofi_withdraws_campath_in_us_and_eu_976762

⁴⁹ Mestre-Ferrandiz J, Towse A, Dellamano R, Pistollato M. 2015. Multi-indication pricing: pros, cons, and applicability to the UK.

⁵⁰ Bach, P., 2014. Indication-specific pricing for cancer drugs. Journal of the American Medical Association, 312(16), pp.1629–1630.

sätt incitament att begränsa användningen trots att priset varierar, i syfte att stärka sin förhandlingsposition. För det femte är det svårt att få information om vilken indikation ett läkemedel använts för, så tillvida företaget inte marknadsför produkten med olika namn för varje indikation.

I Italien används differentierade rabatt- och riskdelningsavtal för cancerläkemedel som ger olika nettopriser för olika indikationer.⁵¹ Det är en modell som är möjlig att implementera i miljöer med god tillgång till en relevant infrastruktur för uppföljning.

En alternativ modell är att beräkna ett pris som är viktat för användningen i olika indikationer. Så gör till exempel prismyndigheten i Frankrike där det tillkommande kliniska värdet av en produkt bedöms för alla dess indikationer. Sedan bedömer företag och myndighet tillsammans storleken på de olika indikationerna och priset sätts för att spegla ett viktat genomsnitt av värdet. Även Tyskland gör på ett liknande sätt. Detta riskerar att leda till svårigheter att prioritera i vården eftersom det priset inte är en korrekt signal om värde för den som bara bedömer en av indikationerna.

6.5.2 Begränsad subvention som verktyg för att öka precisionen

Det är alltså svårt att variera priset på samma produkt, även om värdet varierar. Som diskuterats är en vanligare lösning att genom begränsningar i subventionen eller kunskapsstyrning försöka säkerställa att användningen begränsas till de individer där en behandling är kostnadseffektiv. Exempel på detta kan vara att mer kostsamma läkemedel med i genomsnitt likvärdig medicinsk effekt som billigare läkemedel ska användas i andra hand, till exempel om patienten inte får tillräcklig effekt med förstahandsalternativet⁵². Det kan också röra sig om cancerläkemedel som är godkända för användning vid flera olika cancerformer men där kostnaden för läkemedlet enbart är rimlig för behandling av ett av de godkända användningsområdena⁵³.

⁵¹ Mestre-Ferrandiz J, Towse A, Dellamano R, Pistollato M. 2015.

⁵² Se till exempel subventionsbeslut för Adempas TLV dnr 2657/2014.

⁵³ Se till exempel subventionsbeslut för Stivarga, TLV dnr 2646/2015 och 776/2016.

I dessa fall inkluderas läkemedlen ofta i förmånerna med någon form av subventionsbegränsning. Ett särskilt exempel på detta är de begränsningar av subventionen av de nya läkemedlen mot hepatit C som infördes vid deras introduktion. I detta fall motiverades en subventionsbegränsning till patienter med långt framskriden sjukdom enligt beslutet bland annat av undanträngningseffekter⁵⁴ och med att vården ska ge företräde till dem som har det största behovet⁵⁵.

NT-rådets rekommendationer är en annan typ av nationella prioriteringsbeslut som kan inkludera begränsningar i fråga om vilka patienters behandling som ska finansieras med allmänna medel. NT-rådet har exempelvis rekommenderat att vården helt ska avstå från behandling med vissa läkemedel⁵⁶, eller att användning enbart bör ske för en av flera godkända indikationer.⁵⁷

I många fall är det inte möjligt att följa upp hur väl begränsningar fungerar i praktiken. När det varit möjligt framstår det, baserat på en analys utförd av TLV, som att det finns en stor spridning i hur väl subventionsbegränsningar följs.^{58,59} SKL har följt upp hur väl subventionsbegränsningarna för de nya läkemedlen vid Hepatit C följts av forskrivare och konstaterade att följsamheten överlag varit god⁶⁰. Ett liknande resultat har observerats av Vårdanalys⁶¹. Vid myndighetens intervjuer framkom att en anledning till detta kan vara att de berörda patienterna är en relativt väldefinierad grupp samt att information om patienter som uppfyllde kriterier för behandling kunde hämtas från nationella beslutsstöd.

Det förekommer att TLV inte är övertygade om att forskrivarna i tillräckligt hög grad skulle använda ett läkemedel i enlighet med

⁵⁴ Detta framstår som ett outvecklat argument. Varje gång en resurs används till en sak så trängs något annat undan och det är inget som gäller särskilt i fallet med hepatit-c läkemedel. Syftet med de hälsoekonomiska analyser som TLV granskar är att lyfta in denna undanträngning i beslutet. Det som var speciellt i fallet med hepatit -c var att de totala kostnaderna var så stora att betalningsviljan för hälsa kan ha påverkats. Betalningsviljan är en funktion av marginalnyttan av inkomst och den påverkas av om en utgift är så stor att inkomsten påverkas mer än bara marginellt.

⁵⁵ Se subventionsbeslut Sovaldi TLV dnr 1450/2014.

⁵⁶ Se till exempel NT-rekommendation för Empliciti 2016-09-01, Nucala 2016-09-19.

⁵⁷ Se till exempel NT-rekommendation för Kyprolis 2017-03-20.

⁵⁸ <https://www.tlv.se/lakemedel/efterlevnad-av-subventionsbegransningar/> [2017-08-03]

⁵⁹ Läkemedelsverket: Uppföljning av nationella läkemedelsstrategin på mål- och insatsnivå Dokumentversion 2014-03-07.

⁶⁰ SKL: Uppföljning av nationellt ordnat införande av läkemedel, 2017-07-07.

⁶¹ Vårdanalys 2017: Ordning i Leden? Rapport 2017:5.

en begränsad subvention och i stället väljer att inte subventionera läkemedlet alls⁶². De patienter där användning av läkemedlen ändå är kostnadseffektiv får i de fallen förlita sig på olika landstingsspecifika finansieringslösningar. Detta ökar risken för en ojämlik användning av förskrivningsläkemedel.

De nationella styrningsmekanismer som diskuterats här, begränsad subvention, rekommendation och kunskapsstyrning är relativt svaga och indirekta. Framför allt kan de förväntas få effekt då de inkluderas i landstingens lokala processer. I det vidare utredningsarbetet kommer vi göra en bedömning av om de lokala processerna för att uppnå en kostnadseffektiv läkemedelsanvändning med högre precision är tillräckliga eller om de behöver kompletteras av tydligare nationella mekanismer.

6.6 Den etiska plattformen

Eftersom de gemensamma resurser som finns tillgängliga för läkemedel inte är tillräckliga för att möta alla behov måste prioriteringar göras. När befolkningen åldras och får fler kroniska sjukdomar, samtidigt som innovationerna i läkemedelsindustrin blir fler och dyrare, kommer behovet av prioriteringar också att öka. I ett öppet demokratiskt samhälle ska prioriteringar göras öppet och efter vedertagna principer för att vara legitima. Läkemedelsanvändning är en del av sjukvården och den etiska plattformen för hälso- och sjukvården gäller därför även för subventions- och prissättningssystemet: prioriteringar ska ske utifrån principerna om människovärde, behovs, solidaritet och kostnadseffektivitet. TLV:s beslut har utgångspunkt i dessa principer, men användningen av värdebaserad prissättning har satt ljuset på några utmaningar med att tillämpa den etiska plattformen.

Dessa utmaningar blev tydliga till exempel i TLV:s tillämpning av ett samhällsperspektiv i kostnadseffektivitetsanalyser vilket gav upphov till en diskussion om åldersdiskriminering som slutade med att TLV började tillämpa ett mer begränsat samhällsperspektiv på kostnader och intäkter.⁶³ Den avvägningen har stöd bland flera

⁶² Se subventionsbeslut Viagra TLV dnr 34/2002 och Repatha 1735/2015.

⁶³ <https://www.tlv.se/lakemedel/halsoekonomi/> Publicerad 27 oktober 2008, uppdaterad 17 januari 2017.

aktörer.⁶⁴ En tillämpning av ett fullständigt samhällsperspektiv på ekonomiska utvärderingar skulle vidare enligt ekonomisk teori innebära att både produktion och konsumtion i vunna levnadsår räknas med. En person som räddas från en förtida död kan bidra till produktionen, men kommer naturligtvis också konsumera resurser.⁶⁵ TLV hade ursprungligen med dessa kostnader i sina allmänna råd för hälsoekonomiska analyser. Denna utgångspunkt var emellertid särskilt svårsmält ur ett etiskt perspektiv eftersom nettoeffekten ofta blir att äldre personer konsumerar mer än vad de producerar och det kan bli en ganska uttalad effekt på resultatet av hälsoekonomiska analyser.⁶⁶ Frågan är inte heller okontroversiell bland ekonomer⁶⁷, även om i princip alla delar uppfattningen att medicinska kostnader som tillkommer på grund av att en person får förlängt liv ska räknas med⁶⁸. Men att utvärdera utan ett fullständigt samhällsperspektiv kan också vara problematiskt eftersom det leder till en risk att suboptimala beslut fattas.⁶⁹ Det har framförts att det bästa kan vara att räkna med alla effekter i analyserna, men att beslutsfattare sedan kan välja att bortse från dem som de anser moraliskt oförsvarbara.⁷⁰ Även regeringen förefaller fästa stor vikt vid ett samhällsekonomiskt perspektiv, vilket framhålls bl.a. i direktiven till den här utredningen. Även i andra sammanhang, som exempelvis Prop. 2011/12:123 om en ny ordning för nationella vaccinationsprogram har regeringen pekat särskilt på betydelsen av att ha ett brett samhällsekonomiskt perspektiv, inklusive produktivitetsvinster. Det kan vara rimligt att överväga om staten i det här avseendet bör tillämpa samma principer för läkemedel som för vaccinationer.

⁶⁴ T.ex. Paulsson Rönnbäck E. Ålder vägs in i medicinnotat. Artikel i Svenska Dagbladet. Publicerad 10 mars 2013.

⁶⁵ Meltzer, D.: Accounting for future costs in medical cost-effectiveness analysis. *J. Health Econ.* 16(1), 33–64 (1997).

⁶⁶ Kruse, M., Sørensen, J. & Gyrd-Hansen, D. Future costs in cost-effectiveness analysis: an empirical assessment. *Eur J Health Econ* (2012) 13: 63.

⁶⁷ Nyman, J.A. 2004. Should the consumption of survivors be included as a cost in cost-utility analysis? *Health Econ.* 13(5), 417–427; Lundin, D. and Ramsberg, J. (2008), On survival consumption costs – a reply to Nyman. *Health Econ.*, 17: 293–297.

⁶⁸ Gold, M.R., Siegel, J.E., Russell, L.B., Weinstein, M.C.: *Cost-effectiveness in Health and Medicine*. Oxford University Press, New York (1996).

⁶⁹ Johannesson, M., Jonsson, B., Jonsson, L., Kobelt, G. and Zethraeus, N. 2009. Why Should Economic Evaluations of Medical Innovations Have a Societal Perspective? *OHE Briefing* Nr 51.

⁷⁰ Meltzer, D.: 1997.

De tre principerna i prioriteringsplattformen vägs samman i TLV:s beslutsfattande⁷¹. Samhällets betalningsvilja för hälsa styr om en behandling är kostnadseffektiv eller inte och den måste inte vara samma för samma mängd hälsa, utan kan bero på vem som får den ökade hälsan, eller hur den uppnås. Människovärdesprincipen uttrycker i det här sammanhanget vilka faktorer som betalningsviljan *inte* får variera över. TLV väger samman behov- och solidaritetsprincipen med principen om kostnadseffektivitet genom att låta betalningsviljan vara högre för sjukdomar med högre svårighetsgrad.⁷² Studier har visat ett samband mellan bedömd svårighetsgrad och betalningsvilja i empiriska analyser av TLV:s beslut.⁷³ Representanter från läkemedelsindustrin har sagt till utredningen att de å sin sida anser att TLV allt mer fokuserar på kostnadseffektivitetsprincipen och allt mindre på de andra principerna i den etiska plattformen, i betydelsen att TLV sägs använda kostnadseffektivitetsanalyser som ett verktyg för att förhandla lägre priser. Det finns ett mycket större inslag av förhandling i prissättningen i dag än vad det gjort tidigare, men vi anser inte att det med automatik innebär att TLV sätter kostnadseffektivitetsprincipen framför de andra principerna i den etiska plattformen. Olika aktörer kan naturligtvis ha uppfattningen att den betalningsvilja som TLV uttrycker borde vara högre i vissa sammanhang, men vi anser att beslutsfattandet speglar en avvägning av de tre principerna.

Sjukdomars svårighetsgrad spelar alltså en central roll i värderingen. Det är samtidigt en svår uppgift att operationalisera. Svårighetsgrad. Detta visar sig bland annat i att det saknas allmänna råd eller föreskrifter från TLV som beskriver hur svårighetsgrad ska beskrivas eller analyseras. NT-rådet har publicerat ett bakgrundsdokument som relativt ingående diskuterar bland annat hur svårighetsgrad kan bedömas⁷⁴, men i det dokumentet finns flera förslag och inget slutligt ställningstagande.

I beslut från TLV beskrivs ofta att svårighetsgraden bedömts som låg, måttlig, hög eller mycket hög. Detta görs emellertid inte

⁷¹ <https://www.tlv.se/lakemedel/halsoekonomi/> Publicerad 27 oktober 2008, uppdaterad 17 januari 2017.

⁷² Ibid.

⁷³ Svensson M, Nilsson FO, Arnberg K. 2015. Reimbursement Decisions for Pharmaceuticals in Sweden: The Impact of Disease Severity and Cost Effectiveness. *Pharmacoeconomics*. 33: 1229-36.

⁷⁴ NT-rådet 2015. *Bedömning av betalningsvilja*. Publicerad via Janusinformation.

alltid. Vid ett beslut om bifall för subvention av ett läkemedel vid spridd bröstcancer angavs att svårighetsgraden var ”mycket hög”⁷⁵, men vid ett beslut om spridd njurcancer⁷⁶ som kom bara några månader tidigare nämndes inget om sjukdomens svårighetsgrad trots att beslutet var ett avslag som motiverades med att värdet av hälsoeffekterna inte motsvarade kostnaderna.

Beskrivningen av bedömningen av svårighetsgrad är, när den finns, ofta kortfattad. Se Box 1 för ett exempel.

Box 1. Exempel på beskrivning av svårighetsgrad

TLV tog ett beslut om ett läkemedel mot IBS-D (Truberzi, 2017-04-20) där sjukdomen beskrevs med orden ”Irritabel Bowel Syndrome (IBS) är en funktionell mag-tarmsjukdom som kännetecknas av obehag och smärta i buken i kombination med avföringsrubbningar. IBS har buksmärta som huvudsymtom och skiljer sig på detta sätt från vanlig funktionell förstoppning och diarré. IBS delas in i flera undergrupper varav en är IBS med diarré (IBS-D)”. Svårighetsgraden beskrevs: ”Svårighetsgraden för tillståndet är varierande. TLV bedömer att för patienter med milda IBS-D symtom är svårighetsgraden för tillståndet låg och för patienter med svårare IBS-D symtom är svårighetsgraden för tillståndet medelhög”.

TLV aviserade 2016 att de börjat använda sällsynthet som kriterium för att öka betalningsviljan⁷⁷. De kriterier som ska vara uppfyllda är att behandlingen har en hög kostnad per hälsovinster som en konsekvens av att den omfattar endast få patienter, att det rör sig om ett tillstånd med mycket stor svårighetsgrad, att behandlingen ska antas ha en väsentlig effekt och att det inte finns någon alternativ behandling. Vidare ska osäkerhet kring totalkostnad vägas in och betalningsviljan bör vara större ju sällsyntare tillstånd. Utöver dessa villkor skriver TLV att alternativkostnaden måste beaktas. Om TLV accepterar en kostnad på två miljoner kronor per QALY så innebär det att man får en QALY hos patienter med ett svårt och

⁷⁵ TLV. Diariennr: 3686/2016. www.tlv.se/Upload/Beslut_2017/Underlag_beslut_ibrance.pdf

⁷⁶ TLV Diariennr 3734/2016. www.tlv.se/Upload/Beslut_2017/bes170420_cabometyx.pdf

⁷⁷ www.tlv.se/lakemedel/omprovning-av-lakemedel/avslutade-omprovningar/Cerezyme-och-Vpriv-kvarstar-i-hogkostnadsskyddet-till-sankt-pris/

sällsynt tillstånd till priset av två förlorade QALYs vid behandling av ett vanligare tillstånd med en lika stor svårighetsgrad där betalningsviljan är en miljon kronor per QALY. Huruvida samhället ska betala mer för läkemedel mot sällsynta tillstånd är en svår fråga som många länder brottas med. Å ena sidan finns en djupt känd vilja att samhället inte ska lämna någon i sticket för att de råkat få en ovanlig sjukdom. Å andra sidan blir den praktiska konsekvensen att hälsan värderas lägre hos människor som haft oturen att få en lika allvarlig men vanligare sjukdom och detta uppfattas ofta som orättvist. Se Bilaga 4 för en genomgång av vad som är känt om hur patienter och allmänhet uppfattar denna avvägning. Andra frågor som väcks är varför inte andra faktorer som gör läkemedel dyra (än att det finns få patienter) ska medföra högre betalningsvilja och vilka signaler den ökade betalningsviljan sänder till den forskande läkemedelsindustrin. Det finns redan incitament att forska fram läkemedel mot sällsynta tillstånd i form av bland annat utökad marknadsexklusivitet.

Processen för ordnat införande har blivit alltmer strukturerat även vad gäller tillämpningen av den etiska plattformen och NT-rådet har i uppdrag från landstingen att följa den etiska plattformen såsom den tillämpas av TLV.⁷⁸

6.7 Extern referensprissättning och värdebaserad prissättning kan påverka pris och introduktion av läkemedel i Sverige

Sverige är ett av få länder som använder en värdebaserad prissättning. De flesta länder i Europa använder i stället extern referensprissättning (ERP). ERP innebär att priset sätts i relation till priserna för samma läkemedel i ett eller flera andra länder. År 2015 användes Sverige som referens i sådana prisjämförelser i 14 länder.⁷⁹

⁷⁸ SKL 2013. Prissättning, introduktion och uppföljning av läkemedel – i samverkan.

⁷⁹ Panteli D, Arickx F, Cleemput I, Dedet G, Eckhardt H, Fogarty E, Gerkens S, Henschke C, Hislop J, Jommi C, Kaitelidou D, Kawalec P, Keskimäki I, Kroneman M, Lopez Bastida J, Pita Barros P, Ramsberg J, Schneider P, Spillane S, Vogler S, Vuorenkoski L, Wallach Kildemoes H, Wouters O, Busse R. Pharmaceutical regulation in 15 European countries: Review. *Health Systems in Transition*, 2016; 18(5):1–118.

En effekt av ERP är att företagen som marknadsför ett läkemedel måste ta hänsyn till hur priset i Sverige påverkar priset på samma läkemedel i de länder som direkt och indirekt berörs av referensen till det svenska priset. Vilken effekt det svenska priset har på prissättningen i andra länder beror på storleken på korgen av referensländer, hur ofta priserna revideras och vilken beräkningsmodell som används (medel, lägsta eller medel av de tre lägsta). Av de 20 länder som omfattas av TLV:s internationella prisjämförelse 2016 ingår Sverige i tretton korgar. Dessa korgar har mellan nio och tre1 länder, beräknas enligt alla tre modeller och uppdateras allt ifrån aldrig till var tredje månad. De länder (Belgien, Finland, Polen, Schweiz, Tyskland och Österrike) som använder ett medelpris påverkas alltid av en priset i Sverige. De sex länder (Grekland, Norge, Slovakien, Tjeckien och Ungern) som använder någon av de andra två beräkningsmodellerna påverkas bara om det svenska priset är lägst eller bland de tre lägsta i deras korg. Frekvensen med vilken priset revideras har stor inverkan på landets prisutveckling över tid. Grekland och Slovakien tillhör de länder som uppdaterar sina priser mest frekvent (fyra respektive två gånger per år), men bägge dessa länder har stora korgar och räknar på genomsnittet av de tre lägsta priserna så effekten av prissättningen i Sverige är som regel begränsad.

Tabell 6.1 Effekt av det svenska priset på prissättningen i andra länder

Europeiska länder i vars priskorg Sverige ingår			
FORMELL ERP		Genomsnitt:	2,1 %
Land	ERP Metod	Antal Länder	Inflytande (SE)
Grekland	Medel 3 lägsta	27	0,0 %
Norge	Medel 3 lägsta	9	0,0 %
Schweiz	Medel	9	11,1 %
Slovakien	Medel 3 lägsta	27	0,0 %
Tjeckien	Medel 3 lägsta	19	0,0 %
Ungern	Lägsta	31	0,0 %
Österrike	Medel	27	3,7 %
INFORMELL ERP		Genomsnitt:	2,8 %
Land	ERP Metod	Antal Länder	Inflytande (SE)
Belgien	Medel	27	3,7 %
Finland	Medel	29	3,4 %
Italien	Lägsta	24	0,0 %
Polen	Medel	31	3,2 %
Spanien	Lägsta	21	0 %
Tyskland	Medel	15	6,7 %

Källa: TLV Internationell Prisjämförelse 2016, Bilaga 2.

I tabellen 6.1 sammanställs Sveriges genomsnittliga inflytande på andra länders priskorgar baserat på data hämtat från TLV:s internationella prisjämförelse. Märk väl att endast 20 länder ingår i undersökningen – Sveriges påverkan på övriga länder skiljer sig dock inte nämnvärt. I första kolumnen listas land, i andra kolumnen uträkningsmetod (lägsta pris, medel av tre lägsta, eller medel av alla), i tredje kolumnen antalet länder som ingår i priskorgen, och i fjärde kolumnen Sveriges uppskattade inflytande på det slutgiltiga ERP priset. Eftersom Sveriges prisnivå relativt andra europeiska länder är genomsnittlig antas svenska priser bara ha inflytande på de länder vilka tillämpar medel som uträkningsmetod. Tabellen är även uppdelad mellan de länder som tillämpar formell och informell ERP, alltså huruvida ERP är direkt avgörande för priset eller om det används som underlag i en större beslutsprocess. Samman-

taget är Sveriges inflytande tämligen marginellt, med undantag för Schweiz och i mindre utsträckning Tyskland.

Oavsett omfattning kvarstår faktum att svenska priser har visst inflytande på andra länders prissättning. Detta skapar incitament för producenter att sätta högre pris i Sverige för att i förlängningen höja priset i andra länder. Beroende på vilken prisnivå som förväntas i Sverige kan därför ett företag ha incitament att antingen tidigarelägga, fördröja, eller helt avstå från att lansera ett läkemedel. Huruvida detta beteende faktiskt förekommer är till sin natur svårt att undersöka: det finns många andra faktorer än pris som påverkar både lanseringstid och sortimentsbredd.

Det finns alltså en farhåga att ERP i kombination med den svenska modellen för prissättning ska leda till högre priser i Sverige, alternativt senare lansering eller mindre sortimentsbredd. Eftersom priset även beror på flera andra faktorer än ERP är det svårt att isolera effekten av just referensprissättning. Priser och kostnader måste dessutom analyseras i samband med tillgång, sortimentsbredd och jämlighet.

Det är notoriskt svårt att skapa tillförlitlig data över framför allt priser, eftersom de publicerade priserna, de så kallade listpriserna, inte tar hänsyn till rabatter som förhandlas fram inom ramen för oftast sekretessbelagda avtal. Men tillgänglig statistik förefaller inte visa att vare sig priser, sortimentsbredd eller när ett läkemedel lanseras sammantaget skiljer sig markant i Sverige jämfört med andra jämförbara länder, även om det finns viktiga undantag från detta.

6.7.1 Svenska priser skiljer sig mellan mätningar

Enligt TLV:s senaste analyser (2016, 2017) är de svenska priserna för receptbelagda läkemedel utan konkurrens bland de åtta högsta av 20 jämförda länder. Sverige ligger i mitten om man jämför med de nordiska länderna och andra länder med köpkraft och storlek likande Sveriges: dvs. Danmark, Norge, Finland, Holland, Belgien och Österrike. Danmark ligger då högst och 14 procent över Sverige, Norge lägst med lika mycket. Jämfört med 2015 är det relativt små förändringar av listpriserna under 2016.

Bland de länder som ingår i jämförelsen finns stora skillnader i köpkraft, Ungerns BNP per capita (PPP) är cirka \$27 000, medan

Irlands är cirka \$69 000. I Tabell 6.2 nedan har varje lands prisindex korrigerats för PPP i fjärde kolumnen. Anmärkningsvärt är att vissa länder i tabellen, verkar avvika från det förväntade sambandet mellan pris och köpkraft. I synnerhet Norge har betydligt lägre priser än vad deras BNP per capita skulle antyda. Likadant har mindre rika länder som Ungern och Grekland högre priser.

Tabell 6.2 Köpkraft och prisnivåer för patentskyddande läkemedel

Land	Index*	PPP**	Justerat Index***
Norge	86	141	45
Irland	121	173	48
Belgien	90	111	79
Schweiz	134	152	82
Sverige	100	118	82
Österrike	104	121	83
Nederländerna	107	122	85
Frankrike	89	99	90
Finland	94	103	91
Danmark	114	118	96
Tyskland	120	117	103
Spanien	90	87	103
Tjeckien	88	84	104
Polen	71	65	106
Italien	98	91	107
Slovakien	84	73	111
Portugal	85	73	112
Grekland	79	63	116
Storbritannien	117	101	116
Ungern	85	63	122

* Index hämtat från TLV Internationell Prisjämförelse 2016.

** PPP data hämtat från OECD (OECD medel = 100).

*** Formel: Index – (PPP – 100).

Värt att notera i sammanhanget är att prisskillnaderna gentemot länder med ERP kan delas upp i två kategorier: de som tillämpar medelpris i urval och de som tillämpar medel av tre lägsta i urval.

Konkurrensverket⁸⁰ fann att jämfört med de som tillämpar medelpris i urval befinner sig svenska priser något under medel. Jämfört med de som tillämpar medel av tre lägsta befinner sig svenska priser i stället 13 procent över medel. Dessa länder: Norge, Italien, Spanien, Slovakien, Grekland, Ungern och Tjeckien, har emellertid alla – utom Norge – väsentligt lägre BNP per capita än Sverige och prisskillnaden speglar till någon del variationer i köpkraft.

Sverige tillhör en grupp av tre länder, tillsammans med Danmark och Nederländerna, som har betydligt lägre priser på generiska läkemedel (i periodens vara-systemet) jämfört med övriga europeiska länder. Enligt TLV är i genomsnitt prisindex för dessa läkemedel 93 procent högre i övriga länder. Dessa analyser är byggda på offentliga listpriser med de problem som detta medför. Läkemedel som är 15 år eller äldre prissänks enligt en överenskommelse mellan regeringen och läkemedelsindustrin med 7,5 procent i Sverige vilket har medfört att priserna på dessa produkter är låga i Sverige. Priserna för nyligen lanserade läkemedel är i flesta fall lägre i Sverige än genomsnittet i övriga länder. För produkter som lanserats däremellan är priserna inte överlag lika låga och för de flesta är något högre i Sverige. För enstaka är priset betydligt högre (12 indexenheter högre i Sverige) även om detta kan förklaras av höga priser på enstaka produkter.⁸¹

En annan studie jämförde listpriser för cancerläkemedel i 18 länder framstod Sverige, Schweiz och Tyskland som de med högst priser. Prisvariationerna mellan alla 18 länderna i undersökningen var olika för olika läkemedel och låg mellan 28 och 388 procent.⁸²

Också inom Sverige finns en prisvariation. Angående rekvisitionsläkemedel konstaterade Konkurrensverket 2016 att priserna varierade mellan 6 och 9 procent mellan landstingen, med ännu större variation för vissa enskilda produkter.⁸³ Prisspridningen var lägst bland produkterna med högst priser vilket ansågs hänga

⁸⁰ Konkurrensverkets rapport 2017:9. Prismodeller och prispress på läkemedelsmarknaden 2017.

⁸¹ TLV 2017. Internationell prisjämförelse av läkemedel 2016 – en analys av svenska läkemedelspriser i förhållande till 19 andra europeiska länder. Dnr: 113/2017

⁸² Vogler S, Vitry A, Babar ZU. Cancer drugs in 16 European countries, Australia, and New Zealand: a cross-country price comparison study. *Lancet Oncol.* 2016. 17: 39–47.

⁸³ Konkurrensverkets 2016. Olika pris för samma läkemedel. En kartläggning av landstingens priser vid upphandlingar av rekvisitionsläkemedel. Rapport 2016:5.

samman med att dessa produkter ofta omfattas av patent. Senare i livscykeln, i takt med att konkurrensen mellan homogena produkter ökar, ökade också prisspridningen. Konkurrensverket tolkade det som att det finns utrymme att pressa marginalerna ytterligare genom regional upphandling med nationellt koordinering. Det är värt att notera att rapporten enbart tittade på pris, utan hänsyn till andra faktorer som kan påverka, till exempel volym.

Mycket av den oro som finns om höga priser handlar om cancerläkemedel. Mellan 2005 och 2014 fördubblades kostnaden för cancerläkemedel i Europa. För Sverige ökade kostnaderna från 188 miljoner Euro till 338 miljoner Euro (80 procent) under samma tid.⁸⁴ Kostnaden per vunnen hälsoeffekt har ökat markant vilket i sin tur ökar osäkerheten om kostnadseffektiviteten av dessa dyra behandlingar.⁸⁵ Samtidigt pekar en annan studie på ett positivt nettovärde av de läkemedel som användes mellan 2004 och 2014 i nio länder, bland dessa Sverige.⁸⁶

6.7.2 Faktiska priser svåra att mäta

De flesta studier som görs av om priser, kostnader och hälsoekonomiska effekter baseras på listpriser eller försäljningssiffror. Som konstaterats berättar detta inte hela sanningen. Många länder förhandlar i dag till sig ett lägre pris än listpriset vid upphandling. Att mäta faktiska priser är svårt då överenskommelser om rabatter och riskdelning ofta ingås under sekretess.

I en dansk rapport jämförs faktiska priser på sjukhusläkemedel i fem länder. Där konstaterades att Sverige hade de högsta priserna 2014 och att skillnaderna i totalprisindex varierar mellan 85 och 101 (Danmark är 100). Se Tabell 6.3. Rapporten bygger på uppgifter som samlats in om vad det faktiska priset skulle vara på en korg av cirka 40 produkter som finns i alla länder. Från utredningens perspektiv har rapporten en del brister. Bland annat omfattar den

⁸⁴ Jönsson och Wilking 2014. New cancer drugs in Sweden: Assessment, implementation and access Journal of Cancer Policy June 2014 Volume 2, Issue 2, Pages 45–62.

⁸⁵ Howard, Bach, Ernst, Berndt & Conti 2015. "Pricing in the Market for Anticancer Drugs," Journal of Economic Perspectives, vol 29(1), pages 139–162.

⁸⁶ Salas-Vega S, Mossialos E. Cancer Drugs Provide Positive Value In Nine Countries, But The United States Lags In Health Gains Per Dollar Spent. Health Aff (Millwood). 2016. 35:813-23.

endast Stockholms läns landsting. Dessutom omfattar den enbart det som i Danmark säljs som sjukhusläkemedel. Över hälften av läkemedelkostnaderna i Danmark är för sjukhusläkemedel på grund av att de inkluderar många fler läkemedel i den gruppen än vad andra länder gör.

Tabell 6.3 Prisindex i fem länder, avseende år 2014. Danmark är 100

Läkemedelstyp	Andel av läkemedelsanvändningen i Danmark	DK	BE	NL	NO	SE
Antibiotika	8 %	100	103	94	90	115
Antimetaboliter (L01B) och andra antineoplastiska agenter (L01X)	24 %	100	96	103	87	107
Blödningsstanssande og midler mod blodbrist	6 %	100	112	127	101	97
Immunstimulerande	5 %	100	81	92	72	84
Immunosuppressiva, andra	11 %	100	104	89	87	108
Immunosuppressiva, TNF hämmare	28 %	100	90	94	77	98
Övriga topp 40	17 %	100	96	94	88	90
Total	100 %	100	96	99	85	101

DK = Danmark, BE = Belgien, NL = Nederländerna, NO = Norge, SE = Sverige

Ytterligare ett par studier kan nämnas. Enligt Konkurrensverkets rapport om upphandling av rekvisitionsläkemedel från 2016 hade Region Skåne i genomsnitt rabatter om 14 procent, Halland 38 procent och Uppsala 29 procent jämfört med listpriser.⁸⁷

En annan studie av faktiska priser för cancerläkemedel genomfördes bland medlemmar i European Organization of Cancer Institutes (OECI) och Cancer Core Europe. Undersökningen omfattade 15 länder, men inte Sverige, och visade stora skillnader mellan faktiska och officiella priser – upp till 92 procent lägre faktiskt pris. Även priserna mellan länder skilde stort och var 58 procent lägre i det land med lägst pris jämfört med det med högst pris. Författarna drog slutsatsen att priserna var högst i länder med hög

⁸⁷ Konkurrensverkets 2016. Olika pris för samma läkemedel. En kartläggning av landstingens priser vid upphandlingar av rekvisitionsläkemedel. Rapport 2016:5.

BNP per capita, men kunde inte visa någon strikt korrelation. Där-
emot föreföll enligt författarna inte länder som tillämpade en
central process för utvärdering och prissättning ha lägre priser.⁸⁸

Utredningen avser att återkomma till frågan om faktiska priser i
slutbetänkandet.

6.7.3 Sortimentbredd och tid till lansering

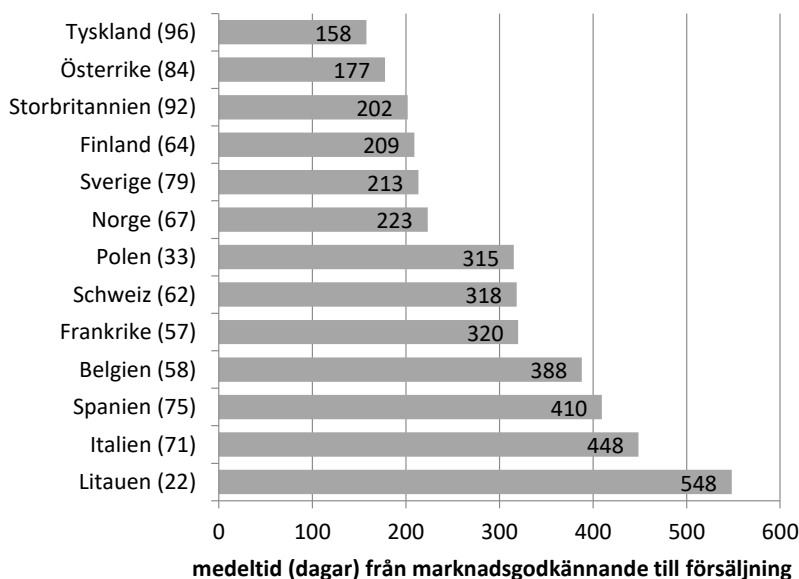
De nationella och lokala processer som styr prioritering och pris-
sättning av läkemedel kan påverka om och hur fort läkemedel in-
troduceras i landet. Till exempel, om det finns en tydlig och snabb
finansiering av ett läkemedel kan det tänkas leda till att dessa läke-
medel börjar användas snabbt. Om det finns en tydlig finansiell
styrning av vilka nya, kostsamma rekvisitionsläkemedel som kan
köpas in kan det leda till att introduktionen av ett läkemedel dröjer
tills ett prioriteringsbeslut är fattat. Vilka läkemedel som introdu-
ceras i ett land kan sannolikt också påverkas av behandlingstradi-
tioner i landet och sjukdomsprevalens.

Ett analysföretag noterade betydande variation i genomsnittlig
tid från EMAs regulatoriska godkännande till första försäljning i
olika länder.⁸⁹ Ett mått som används är tid från marknadsgodkän-
nande till första försäljning och där placerade sig Sverige 2015 på
plats 8 av 21 europeiska länder. Av de nya läkemedel som introdu-
cerades i Sverige under 2014 till september 2016 var genomsnitts-
tiden från godkännande till första försäljning cirka 200 dagar (se
Figur 6.1). Det går inte att dra några slutsatser om detta beror på
företagens eller ländernas agerande. Tid från marknadsföringsgod-
kännande till när läkemedlet börjar säljas i ett land kan också ge
information om hur effektiv prioriterings och finansieringsmo-
dellen i enskilda länder är för att få snabb tillgång till läkemedel.

⁸⁸ van Harten WH, Wind A, de Paoli P, Saghatchian M, Oberst S. Actual costs of cancer
drugs in 15 European countries. *Lancet Oncol.* 2016 Jan;17(1):18–20.

⁸⁹ Quintiles-IMS 2017. Pricing and Market Access Outlook. 2017 Edition.

Figur 6.1 Genomsnittstid från marknadsgodkännande till första försäljning*



*Uppgifter från januari 2014 till oktober 2016. Värde inom parentes anger antal introducerade läkemedel.

Källa: Vårdanalys, data från QuintilesIMS.

I en studie från 2011 av 58 läkemedel i 50 länder analyserades hur tid till lansering samvarierade med pris och olika regleringar av marknaden. I deras data hade Sverige sjunde snabbast lanseringstid och åttonde högsta priser av 17 europeiska länder. Det visade sig som väntat att fattiga länder får tillgång till läkemedlen senare än rika länder och på global nivå är sambandet starkt. Författarna testade också hypotesen att sambandet mellan pris och lanseringstid i själva verket har en U-form så att ett högt pris – men inte de högsta- är förknippat med snabbast lansering. Detta sägs i artikeln bero på att företagen behöver balansera tid på marknaden med pris och hypotesen visade sig stämma med data.⁹⁰

⁹⁰ Vernier I, Stremersch S, Croux C. The global entry of new pharmaceuticals: A joint investigation of launch window and price. Intern. J. of Research in Marketing 28 (2011) 295–308.

6.7.4 Tillgången till läkemedel är generellt god i Sverige jämfört med andra länder

En studie från European Society for Medical Oncology visar att tillgången på cancerläkemedel i Sverige är bland den bästa av 48 jämförda länder, varav cirka hälften dock är östeuropeiska länder med betydligt lägre BNP per capita än Sverige. Inte förvånande noterar författarna störst variationer i faktisk tillgång till läkemedel bland de nya, dyra cancerläkemedlen. (Cherny m fl. 2016)

För att utvärdera hur Sveriges lagstiftning och de processer som styr läkemedelsanvändningen påverkar företagens val att tillhandahålla läkemedel i landet analyserade Vårdanalys försäljningsdata från ett urval av länder i EU. De utvalda länderna är: Belgien, Finland, Frankrike, Italien, Litauen, Norge, Polen, Schweiz, Spanien, Storbritannien, Sverige, Tyskland och Österrike. För dessa länder anges i datakällan vilken månad nya läkemedel (NCE) som godkänts av EMA (och introducerats i Europa mellan december 2013 och oktober 2016) har börjat säljas i landet. Vilken volym läkemedlen använts i framgår inte av data utan informationen avser om läkemedelsföretag valt att tillhandahålla produkten eller inte.

En sammanställning av data uppdelat på läkemedlens användningsområde visar att en stor andel av de läkemedel som introducerats i Europa under perioden 2014 till oktober 2016 har tillhandahållits i Sverige (se Tabell 6.4). Tyskland är det land där flest nya läkemedel introducerats hittills, följt av Storbritannien och Österrike, därefter Sverige.

Tabell 6.4 Andel av de EMA-godkända nya läkemedel som lanserats i Europa under januari 2014 till oktober 2016 och som har introducerats i enskilda länder

Uppdelat på användningsområde

	antibiotika	Astma/KOL	autoimmun	cancer	diabetes	hepatit C	HIV	hjärtkärsjukdom	neurologi/psykiatri	ovanlig monogen	övrigt	totalt
antal läkemedel	10	10	6	26	13	7	10	11	10	26	19	148
Tyskland	80 %	80 %	83 %	96 %	62 %	100 %	70 %	82 %	100 %	88 %	89 %	86 %
Storbritannien	90 %	60 %	83 %	92 %	77 %	100 %	100 %	91 %	80 %	62 %	74 %	80 %
Österrike	90 %	50 %	100 %	92 %	77 %	100 %	80 %	82 %	50 %	42 %	68 %	72 %
Sverige	50 %	50 %	83 %	85 %	54 %	100 %	80 %	82 %	70 %	42 %	68 %	67 %
Norge	40 %	50 %	67 %	69 %	38 %	100 %	80 %	73 %	70 %	35 %	63 %	59 %
Italien	70 %	80 %	67 %	50 %	69 %	71 %	50 %	73 %	40 %	27 %	89 %	59 %
Spanien	30 %	80 %	67 %	54 %	85 %	86 %	60 %	64 %	60 %	23 %	68 %	57 %
Finland	40 %	50 %	100 %	58 %	54 %	100 %	60 %	82 %	50 %	8 %	58 %	52 %
Frankrike	50 %	40 %	83 %	65 %	15 %	86 %	30 %	27 %	50 %	58 %	58 %	51 %
Schweiz	20 %	30 %	67 %	65 %	77 %	100 %	50 %	64 %	50 %	12 %	58 %	50 %
Belgien	10 %	40 %	67 %	42 %	69 %	100 %	60 %	45 %	50 %	23 %	58 %	47 %
Polen	10 %	30 %	17 %	46 %	23 %	71 %	10 %	27 %	30 %	0 %	53 %	28 %
Litauen	20 %	30 %	33 %	23 %	8 %	29 %	30 %	18 %	20 %	0 %	37 %	20 %

Källa: Vårdanalys, data från quintilesIMS.

De vanligaste användningsområdena för de läkemedel som ännu inte introducerats i Sverige under 2016 är läkemedel vid ovanliga monogena (ärftliga) sjukdomar samt vissa cancerläkemedel. Vid tidigare års introduktioner av cancerläkemedel har alla slutligen introducerats i Sverige (se Tabell 6.5). För läkemedel vid ovanlig ärftliga sjukdomar (inkluderar blödarsjuka) tycks vissa läkemedel inte introduceras i Sverige i samband med marknadsföringsgodkännandet, det tycks också gälla för vissa antibiotika.

Tabell 6.5 Antal läkemedel som ännu inte introducerats (september 2016) i Sverige

uppdelat på användningsområde och introduktionsår i Europa

Användningsområde	År för introduktion i EU		
	2014	2015	2016
antibiotika	1	4	
Astma/KOL	3	1	1
autoimmun			1
cancer			5
diabetes	5		1
HIV	2		
hjärtkärlsjukdom	1		1
neurologi/psykiatri			3
ovanlig monogen	3	5	7

Källa: Vårdanalys, data från QuintilesIMS.

Sammantaget ger analysen en bild av att en stor andel av de läkemedel som introduceras i Europa också lanseras, relativt tidigt, i Sverige. Framför allt Tyskland har ett bredare upptag av läkemedel tidigt efter godkännandet. För ovanliga ärftliga sjukdomar samt antibiotika kan patientunderlaget delvis förklara att vissa behandlingar inte introduceras, men hur dessa typer av läkemedel finansieras och prioriteras kan också påverka. Sveriges framgångsrika arbete med en restriktiv användning av antibiotika kan också vara en faktor som gör att tillverkare inte har bråttom med att sätta ut produkter för behandlingsområden där det redan finns alternativ, då upptaget kan förväntas bli lågt.

6.8 Viktigt att uppnå ett dynamiskt pris över livscykeln för ett läkemedel

Många läkemedels kommersiella livscykel följer en viss sekvens, som förenklat består av 5 faser:

1. Introduktion och initial prissättning.
2. Monopol på marknaden, inga likvärdiga alternativ tillgängliga.

3. Konkurrens från likvärdiga läkemedel men kvarstående patent-skydd.
4. Patentskydd upphör, konkurrens från generika eller biosimilarer.
5. Äldre produkt, minskande konkurrens och omsättning, i vissa fall monopol på marknaden.

Den logik som påverkar kostnader och tillgänglighet för ett läkemedel varierar med de olika faserna.

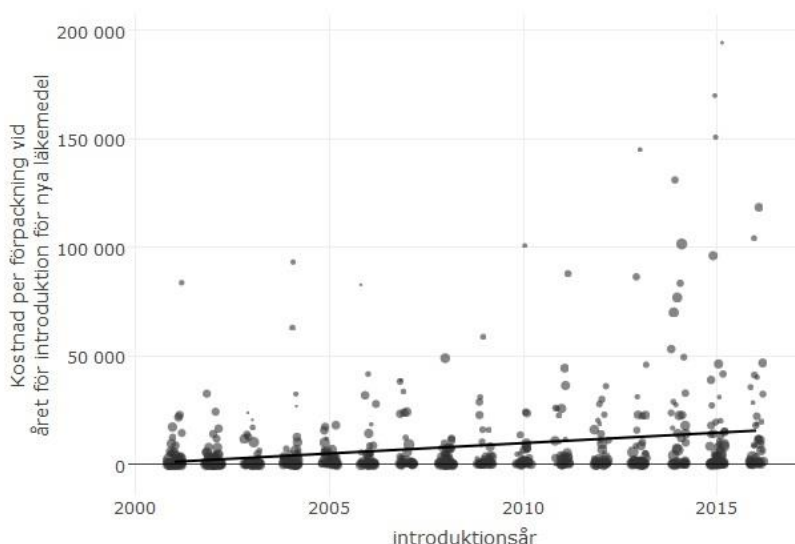
6.8.1 Fas ett och två präglas av ökad osäkerhet och avsaknad av konkurrens

I samband med den första fasen, godkännande och introduktion av ett nytt läkemedel, sker en rad aktiviteter från företag, myndighet och landsting. För att öka sannolikheten för att nya läkemedel används kostnadseffektivt och geografiskt jämnt inkluderas till exempel utvalda produkter i processen för ordnat införande (SKL 2014).

Företrädare för landsting och TLV har till utredningen framhållit att osäkerheten i de initiala hälsoekonomiska analyserna har ökat. Dels på grund av mer begränsade kliniska data och dels på grund av högre priser på nya läkemedel. Vad gäller den första punkten är det svårt att objektivt bedöma om de kliniska data som ligger till grund för de hälsoekonomiska analyserna blivit mer begränsade eller inte. Bedömningen påverkas också av förändringar i vilka krav som ställs på underlaget. Det faktum att andelen sär-läkemedel och antalet villkorade marknadsföringsgodkännande som delvis baseras på fas II studier ökat talar för att den kliniska informationen har blivit svårare att inkludera en kostnadseffektivitetsanalys.

Vad gäller frågan om priset på nya läkemedel har bidragit till ökad osäkerhet i den initiala fasen så är det logiskt att det pris som begärs för ett läkemedel i hög grad påverkar osäkerheten i den hälsoekonomiska analysen och efterföljande prioritering. Priset per förpackning för nyintroducerade läkemedel har ökat tydligt under en lång tidsperiod (se Figur 6.2) och ett flertal läkemedel med ett pris som överstiger 100 000 kronor per förpackning har introducerats på senare år.

Figur 6.2 Prisutveckling för nyintroducerade läkemedel*



*Den genomsnittliga kostnaden per förpackning (inflationsjusterat) det år ett nytt läkemedel (ny ATC-kod och ny beredningsform) introducerades i Sverige. Varje markör motsvarar ett nyintroducerat läkemedel. N = 764, regression år~genomsnittlig förpackningskostnad: $p < 0,0001$ $R^2 = 0,056$. Storlek på markör indikerar antal sålda förpackningar.

Högre förpackningspriser behöver dock inte nödvändigtvis innebära större osäkerhet i den hälsoekonomiska analysen (se exempelvis de nya läkemedlen vid hepatit C) utan kan också vara en signal om att de leder till en tydlig hälsovinst.

Vid en analys av hur kostnaden per uppmätt hälsovinst utvecklats för ett stort antal cancerläkemedel konstaterade författarna i en studie att priset vid introduktion för cancerläkemedel, justerat för inflationen och hälsofördelar, ökade med 10 procent årligen under år 1995 till 2013.⁹¹

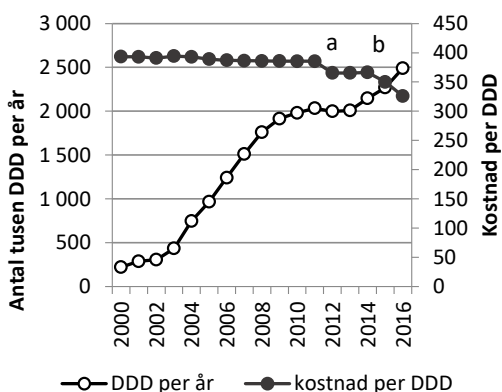
Sammantaget framstår det som att osäkerheten i de underlag som ska ligga till grund för ett tidigt beslut om prissättning och prioritering kan ha ökat.

⁹¹ Howard, Bach, Ernst, Berndt & Conti. 2015. Pricing in the Market for Anticancer Drugs. *Journal of Economic Perspectives*. 29: 139-162.

6.8.2 I den tredje fasen ökar ofta användningen

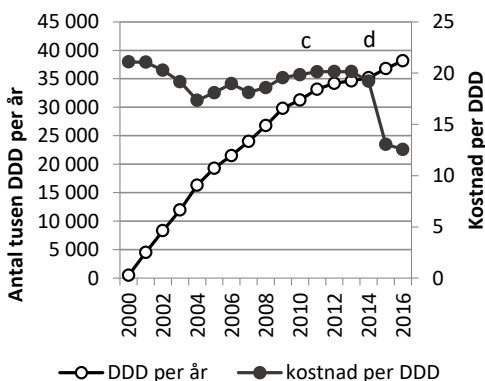
För många av de läkemedel som introduceras i Sverige är användningen relativt begränsad de första åren (se till exempel Figur 6.3). Undantag till detta är läkemedel som innebär helt nya behandlingsmöjligheter (till exempel vissa särläkemedel och cancerläkemedel).

Figur 6.3 Volym och listprisutveckling för etanercept (Enbrel)*



*Förklaringar i figur. a: omprövning av subvention; b: konkurrens från biosimilar och ny omprövning

Figur 6.4 Volym och listprisutveckling för formoterol-budesonid (Symbicort och generiska alternativ)*



*Förklaringar i figur. c: mycket omfattande parallellimport; d: omprövning av subvention och generisk konkurrens.

När ett läkemedel funnits tillgängligt på marknaden under något år kan dock användningen öka. Det kan bero dels på grund av förändringar i syn på läkemedlet från förskrivare, dels på att läkemedlet i vissa fall blir godkänt för ytterligare indikationer. I det läget får läkemedlets försäljningspris större konsekvenser på landstingens kostnader.

Tidigare genomförda utredningar och prisjämförelser indikerade att läkemedelspriserna för nyintroducerade läkemedel i Sverige låg på en medelnivå i relation till jämförbara länder, men högre för läkemedel som funnits på marknaden en tid⁹². Det framstod som att priserna på läkemedel i Sverige var mindre dynamiska än i vissa andra länder, bland annat på grund av att Sverige inte tillämpade någon extern referensprissättning och inte heller omförhandlade priser på produkter som funnits på marknaden ett tag.

En senare genomförd prisjämförelse visade på sjunkande priser i Sverige jämfört med andra länder för de (äldre) läkemedel som genomgått omprövningar av subvention, men tvärtom för de läkemedel där ingen intervention gjorts i Sverige (TLV 2015).⁹³ Särskilt omprövningen av Symbicort (se Figur 6.4) hade en stor påverkan på utfallet av den internationella prisjämförelsen.

Resultaten visade på ett behov av att regelbundet följa upp de priser som läkemedel säljs för samt hur läkemedlen användes och utvärdera om priset ledde till en kostnadseffektiv användning. Vidare, när det kommer en konkurrerande produkt så räcker det om den lägger sig på samma pris som den som först kom till marknaden. Detta innebär att priskonkurrensen blir begränsad.

Det arbete som under åren 2014 till 2017 skett i samverkan mellan TLV och landstingen har i delar svarat till det behovet. Bland annat har omprövningar på liknande sätt som tidigare genomförts för flera läkemedelsgrupper där det fanns signaler om att användningen kunde bli mer kostnadseffektiv. En viktig skillnad är att trepartsöverläggningar har använts i stället för direkta listprisförändringar⁹⁴. Som tillägg till det har en mer dynamisk prissättning för ett antal nyintroducerade läkemedel applicerats genom treparts-

⁹² Se SOU 2012:75 s. 327–335 för en sammanställning.

⁹³ TLV 2015. Internationell prisjämförelse av läkemedel 2015. dnr 3999/2015.

⁹⁴ Se omprövning av TNF-hämmare dnr 2356/2016.

överläggningar och återbäringsavtal. Tidsbegränsade subventioner ger i dessa fall möjlighet att återigen pröva subventionen en tid efter att läkemedlen inkluderats i förmånerna för första gången. Landstingens arbete med att nära följa utvecklingen för flera nya cancerläkemedel med nya indikationer och kontinuerligt konkurrensutsätta dem är också exempel på hur en mer dynamisk prissättning av läkemedel har uppnåtts i livscykeln⁹⁵.

Det framstår som att arbetet med att uppnå en dynamisk prissättning av läkemedel genom metoderna beskrivna ovan kräver mycket resurser, både från TLV och landstingen.⁹⁶ Resursbegränsningar hos centrala aktörer kan innebära att det inte finns möjlighet att följa och omvärdera så många läkemedel som egentligen är motiverat.

6.8.3 I den fjärde fasen ökar konkurrensen

När läkemedlen funnits en längre tid på marknaden, förlorar de patentskyddet och generiska alternativ eller biosimilarer kan nu marknadsföras. Som tidigare konstaterats har Sverige sedan länge en av Europas effektivaste generikamarknader genom månadens vara systemet. Det gäller dock inte i samman utsträckning för biosimilarer.

Biosimilarer godkänns som en version av ett sedan tidigare godkänt biologiskt originalläkemedel, vilket används som referensläkemedel. Biologiska läkemedel är proteiner som producerats i levande celler i en biologisk process. Molekylerna är stora och har komplex struktur.

Marknaden för biologiska läkemedel omsatte över 10 miljarder kronor i Sverige år 2015⁹⁷. Inom några år kommer omsättningen för biologiska läkemedel med konkurrens från biosimilarer att vara mer än 3,5 miljarder kronor i Sverige (se tabell 6.6). Den komplexa framställningsmetoden och den biologiska variationen innebär dock att det för biologiska läkemedel oftast inte är möjligt att

⁹⁵ Se bland annat NT-rådets hantering av introduktionen av Opdivo och Keytruda.

⁹⁶ Vårdanalys 2017. Utvärdering av ordnat införande av nya läkemedel – Ordning i Leden? Rapport 2017:5, s. 80.

⁹⁷ TLV Analys av marknaden för biologiska läkemedel med konkurrens av biosimilarer. Dnr 1751/2016.

framställa helt identiska kopior (generika) på samma sätt som för syntetiska läkemedel. Läke­medelsverket har bland annat på grund av det aldrig bedömt en biosimilar som utbytbar på apotek mot originalläkemedlet.

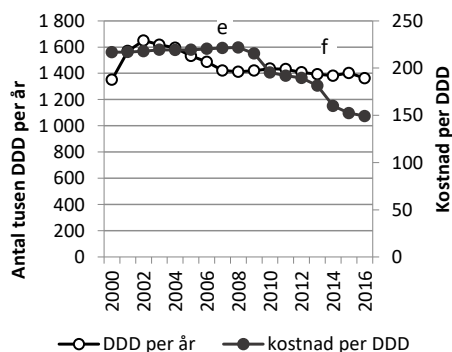
Tabell 6.6 Biologiska läkemedel som säljs i Sverige, där biosimilarer finns

Substans	Introår biosimilar	AUP (kr)/DDD 2017 [orig / biosimilar]	AUP 2016 (mnkr AUP)	Andel biosimilar 2016	Andel förskrivning 2016
insulin, glargin	2015	14/13	256	3 %	99 %
erythropoietin	2008	35/55	105	63 %	91 %
follitropin alfa	2014	222/208	71	17 %	99 %
somatropin	2007	152/139	207	18 %	100 %
filgrastim	2009	916/199	46	78 %	77 %
etanercept	2016	332/299*	823*	16 %	100 %
infliximab	2015	129/76*	445*	25 %	9 %

* Avtal mellan landsting och företag leder till att pris och försäljning i realiteten är lägre än i tabellen.

Då läkemedlen inte blir utbytbara på apotek har hittills inte de stora prissänkningar som annars ofta observeras vid patentutgångar skett för biologiska läkemedel. De prisändringar som dock skett beror på annan priskonkurrens, omprövningar av subvention och listpris utförda av TLV och upphandlingar av rekvisitionsläkemedel (se Figur 6.5). Under senare år har återbäringsavtal upprättats för TNF-hämmare i samband med en omprövning av läkemedelsgruppen.

Figur 6.5 Volym och listprisutveckling för det biologiska läkemedlet somatropin (Genotropin och andra alternativ)*



*Förklaringar i figur. e: konkurrens biosimilar; f: omprövning av subvention.

Läkemedelskostnaderna beräknas stiga de kommande åren. Ett skäl är att kostnadsminskningen till följd av patentutgångar blir lägre än tidigare, bland annat beroende på att flera av de läkemedel som förlorar patent de närmaste åren är biologiska läkemedel. I den analys av biosimilarmarknaden TLV utförde under 2016 framhölls att en viktig mekanism för att uppnå lägre priser och en mer dynamisk marknad bland biosimilarer som förskrivs var genom trepartsförhandlingar och därigenom upprättade återbäringsavtal. För att skapa en effektiv marknad för biosimilarer i likhet med den för generiska, utbytbara, läkemedel krävs att processen och lagstödet för sådana avtal är väl utformade och tydliga för alla parter, och därutöver att administrationen för att upprätta och underhålla avtalen är på en rimlig nivå så att inte tidsåtgång blir ett hinder för en effektiv marknad.

Danmark har emellertid med andra metoder uppnått både lägre priser och högre marknadsandel för biosimilarer än vad Sverige gjort. Några centrala komponenter förefaller vara:

- nationella riktlinjer om att "switcha" patienter till biosimilarer (alltså inte bara nyinsättningar som i Sverige)
- tydlig kommunikation av dessa riktlinjer
- nationell upphandling av biosimilarer.

6.8.4 I den femte fasen minskar konkurrensen

För ett flertal äldre läkemedel minskar användningen över tid i samband med att nya behandlingsalternativ i stället används för de indikationer de tidigare användes för. En begränsad grupp patienter kan dock fortfarande vara i behov av läkemedlet, antingen för att de har en specifik diagnos eller för att det för den patientgruppen är svårt eller farligt att byta en redan insatt och optimerad fungerande behandling. Ett läkemedel med sjunkande försäljningsvolym och ett pris som kanske inte ändrats på närmare 15 år kan för flera läkemedelsföretag anses ha för låg intjäningsmarginal för att det ska vara motiverat att fortsätta tillhandahålla läkemedlet. Det säljs då till ett annat företag eller så dras produkten in från marknaden och eventuellt avregistreras.

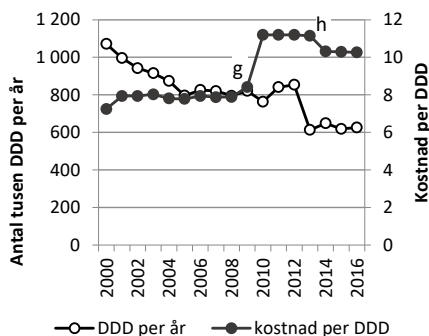
Ett antal äldre produkter som fortfarande hade kliniskt värde har under senare år försvunnit från marknaden och är inte längre tillgängliga⁹⁸. Bakgrunden till att en produkt försvinner från marknaden kan variera. Lönsamheten sett ut ett globalt perspektiv påverkar naturligtvis, men produkter som är lönsamma på en specifik marknad kan ändå försvinna, beroende på tillverkarens strategiska beslut, ändrade produktionslinjer och tillverkningskostnader.

För förmånsläkemedel finns möjlighet att ansöka om prishöjning för äldre läkemedel med avtagande användning och lönsamhet (se Figur 6.6). Det är dock givetvis intressant för många företag att höja priset på sin produkt, och det är en svår uppgift att identifiera de läkemedel som i praktiken riskerar att försvinna från marknaden om inte en prishöjning genomförs (se Figur 6.6 och 6.7). Det finns indikationer på att företag i vissa fall har utnyttjat en monopol-situation för att kraftigt höja priset på livsviktiga läkemedel⁹⁹. För att undvika risken att hamna i en utpressningsliknande situation kan väl utformade beslutsalternativ behövas finnas tillgängliga.

⁹⁸ Till exempel Primperan (metoklopramid), suppositorium; äldre antibiotika för infusion samt flera hudläkemedel (t.ex kombination triamcinolon och nystatin)

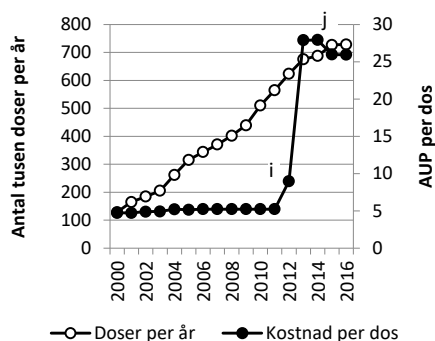
⁹⁹ Se Europeiska kommissionen 2017. Antitrust: Commission opens formal investigation into Aspen Pharma's pricing practices for cancer medicines. Pressmeddelande 15 maj 2017. http://europa.eu/rapid/press-release_IP-17-1323_en.htm

Figur 6.6 Volym och listprisutveckling för perfenazin (Trilafon, injektion)*



*Förklaringar i figur. g: prishöjning inom subvention; f: prissänkning 15-årsregeln.

Figur 6.7 Volym och listprisutveckling för merkaptopurin (Puri-Nethol)*



*Förklaringar i figur. i: prishöjning inom subvention; j: prissänkning 15-årsregeln.

6.9 Svårt fastställa läkemedlets värde vid bristfällig information

Om informationen om ett läkemedel är felaktig eller osäker försvåras bedömningen av det hälsoekonomiska och kliniska värdet och risken ökar att en beslutsfattare ska fatta fel beslut och säga ja när det borde varit ett nej, och tvärtom. Inte minst den värdebaserade prissättningen är beroende av att värdet i termer av förväntade kliniska och ekonomiska konsekvenser kan skattas med tillräckligt hög precision.

Utvärderingar av nya läkemedel görs innan läkemedlet har använts i klinisk vardag. Beslutsunderlaget kommer därför i huvudsak från de läkemedelsprövningar som legat till grund för marknads-godkännandet. Dessa studier är designade med det specifika syftet att fastställa om nyttan överväger risken med att använda ett läkemedel vid en viss indikation. I dessa studier står hög *tillförlitlighet* (dvs. i vilken utsträckning studieresultaten är trovärdiga) i fokus. Problemet är att detta ofta i någon mån sker på bekostnad av resultatens *överförbarhet* (dvs. i vilken utsträckning resultat från en undersökning kan generaliseras till andra grupper) eftersom studierna designas för att vara så renodlade som möjligt – studiemiljön blir olik verklighetens sjukvård där läkemedlen sen ska användas. Dessutom är det nödvändigt att av både ekonomiska och etiska skäl ha med så få patienter som möjligt i studien, dvs. bara precis så många som behövs för att visa balansen mellan risk och nytta. Sammantaget leder detta till problem med överförbarheten:

- Liten patientpopulation som med hjälp av noggrant specificerade kriterier är utvald för att maximera möjligheten att med hög tillförlitlighet visa effekt och säkerhet. Det innebär att patienterna ofta inte är helt representativa för de patienter som ska använda läkemedlet i verklig sjukvård vad gäller exempelvis ålder, sjukdomens svårighetsgrad och vilka andra sjukdomar de har.
- Behandlingen följer ett noga uppsatt protokoll som ofta inte speglar verklig sjukvård, med exempelvis mycket tätare uppföljningar av patienterna.
- Jämförelsealternativet speglar ofta inte de behandlingsval som finns i varje land. Ofta utvecklas flera läkemedel parallellt av olika företag. Dessa blir då relevanta jämförelsealternativ i den vanliga sjukvården, men kan inte användas i prövningarna.
- De utfallsmått som används är inte valda enbart för att mäta för patienter och sjukvård relevanta konsekvenser.

Patienter, läkare och beslutsfattare behöver veta hur ett nytt preparats effekter, biverkningar och kostnader förhåller sig till nuvarande standardbehandling hos representativa patienter i den kliniska vardagen. Ett viktigt syfte med hälsoekonomiska modeller är därför att öka överförbarheten i den information som ges till be-

slutsfattare. Data från provningarna sätts i modellen ihop med t.ex. epidemiologiska data om en sjukdoms förlopp för att bättre spegla verkligheten. Men att öka överförbarheten är ofta utmanande och det är t.ex. inte ovanligt att sambandet mellan ett intermediärt effektmått (t.ex. progressionsfri överlevnad) och ett patientrelevant utfall (som överlevnad) är mer eller mindre dåligt känt.

Förutom svårigheten att utifrån de data som tagits fram i den regulatoriska processen bedöma effekt och kostnadseffektivitet i verkligheten finns det ofta osäkerhet om hur produkten kommer att användas. Med det menas i vilken grad behandlingen används på det sätt som definierades i beslutsunderlagen. Tillverkaren eller vården eller båda bidrar ofta på olika sätt till att produkten används på ett annat sätt. Detta är ändamålsenligt eftersom praktisk kunskap om hur produkten bäst ska användas kan utvecklas över tid. En viktig, men outvecklad, komponent i ordnat införande är därför uppföljning som syftar till klargöra om läkemedlet använts enligt rekommendationerna, till rätt patientgrupp och på rätt sätt. Observera dock att det inom ramen för ordnat införande inte finns några ambitioner att kontinuerligt öka kunskapen om läkemedlets effekt och kostnadseffektivitet i klinisk vardag.

6.9.1 Värderingen kan förändras under livscykeln

Under läkemedlets livscykel kan i princip två saker hända som påverkar den ursprungliga värderingen. För det första kan ny information tillkomma som gör att osäkerhet eller bias minskar och en ny värdering kan göras. Och viss information, som överlevnad och långtidsbiverkningar, tar av naturliga skäl lång tid att få fram. Informationen kan också komma som en del av ett mer eller mindre systematiskt uppföljningsarbete.

För det andra förändras förutsättningarna ofta under ett läkemedels livscykel på olika sätt som påverkar ett läkemedels värde för samhället. Användningen av läkemedlet förfinas och nya indikationer kan tillkomma. Många gånger ändras jämförelsealternativet, inte minst beroende på att flera läkemedel ofta utvecklas parallellt av flera företag. Det är då inte möjligt eller ens tillåtet att genomföra provningar där dessa produkter jämförs med varandra innan registrering.

6.9.2 Uppföljning och kunskapsstyrning möter stora utmaningar

TLV har konstaterat att uppföljning är ett högt prioriterat område, inte minst eftersom andelen subventionsbeslut med begränsningar ökar, alltså där läkemedlet endast har bedömts kostnadseffektivt om det används av vissa patientgrupper. Om uppföljning fungerar så kan TLV i större grad bevilja läkemedel i tidiga faser subvention vilket innebär att patienter i Sverige får tidigare tillgång till läkemedel. De pekar också på att det finns ett stort värde för life-science industrin i Sverige med tillgång till data om läkemedels effekter i klinisk praxis.

Som diskuterats ovan är kunskapen om ett läkemedels kostnadseffektivitet i klinisk praxis ofta bristfällig vid tidpunkten för lanseringen när beslut om pris- och eventuell subvention tas och när kunskapsunderlag för introduktion i vården tas fram. Därför framstår det som centralt att det finns fungerande system för kunskapsuppbyggnad efter lanseringen och egentligen under en produkts hela livslängd. Men en systematisk utvärdering av effekt och säkerhet hos läkemedel som börjat användas i rutinsjukvården sker i dag endast i begränsad utsträckning.

Detta beror på en rad problem relaterade till både regelverken för hur data får samlas in, hanteras och spridas och till den praktiska tillgången till data.¹⁰⁰ Vad gäller datainfrastrukturen i vården är den generellt inte skapad eller strukturerad efter behoven av bland annat uppföljning. Bland annat Vårdanalys har visat att såväl vårdens professioner som forskare, patienter, företag och myndigheter upplever att de inte har tillräcklig tillgång till information om vårdens kvalitet.¹⁰¹ En stor mängd data samlas in i olika vårddokumentationssystem, nationella och regionala kvalitetsregister, hälso-databaser och databaser, men informationen är inte tillgänglig för den som behöver den. Det finns dessutom ett stort behov av strukturerad information inom områden som i dag saknar nationella kvalitetsregister. Både Läkemedelsverket och TLV pekar i Vårdanalys utvärdering på att det är mycket svårt att utifrån nuva-

¹⁰⁰ Se t.ex. SOU 2017:48. Kunskapsbaserad och jämlik vård – Föresättningar för en lärande hälso- och sjukvård. s. 278–283.

¹⁰¹ Vårdanalys 2017. Lapptäcke med otillräcklig täckning. Slututvärdering av satsningen på nationella kvalitetsregister. Rapport 2017:4.

rande nationella kvalitetsregister följa vilka patienter som fått ett visst läkemedel och läkemedlets effekt i klinisk vardag och att det också finns stora skillnader mellan olika register. Myndigheterna ser vidare behov av att klargöra vem och hur olika aktörer kan få tillgång till data från kvalitetsregistren. De vill också kunna påverka vad som mäts i de nationella kvalitetsregistren och att det som mäts i viss utsträckning behöver vara mer flexibelt, eftersom det ibland finns behov av att snabbt lägga in variabler för att kunna följa upp nytillkomna, relevanta frågor. Det är ett prioriterat område för utredningen att fortsätta analysera dessa problem.

6.10 Antibiotika, särlekemedel, kombinationsbehandlingar och nya typer av läkemedel sätter modellen på prov

Det finns flera specialfall som av olika skäl inte hanteras på ett tillfredställande sätt i den värdebaserade prissättningen, åtminstone inte som den tillämpas i dag.

6.10.1 Antibiotika

Problemet med att bakterier utvecklar resistens mot antibiotika är ett av de största hoten mot den globala folkhälsan.¹⁰² Det finns mycket att göra vad gäller en restriktiv användning av antibiotika (inte minst i djurhållningen) och förbättrad hygien på sjukhus, men det står klart att en del av lösningen på problemet med antibiotika-resistens måste ligga i att utveckla nya antibiotika. Även om ett antal nya antibiotika kommit är det oroväckande att endast fem nya klasser av antibiotika har tillkommit de senaste 40 åren. Antalet patentansökningar har också minskat drastiskt.¹⁰³

En förklaring till bristen på nya klasser av antibiotika, vid sidan om de vetenskapliga utmaningarna, är att det anses olönsamt att ta fram ny antibiotika, åtminstone jämfört med lönsamheten för

¹⁰² WHO 2014. Antimicrobial resistance: global report on surveillance.

¹⁰³ Renwick M, Simpkin V, Mossialos E. Targeting innovation in antibiotic drug discovery and development. European Observatory for Health Systems and policies. Health Policy Series, Study no 45. 2016.

andra läkemedel som konkurrerar om investeringarna¹⁰⁴. Anledningen till att den förväntade förtjänsten av en ny antibiotika är relativt liten är för det första att infektioner behandlas under kort tid. För det andra finns det starka skäl för att ny antibiotika ska användas så lite som möjligt i syfte att fördröja resistensutvecklingen. Men ju mer restriktiv antibiotikaanvändningen är, desto mindre blir de sålda volymerna och priserna är inte tillräckligt höga för att kompensera för detta. Det goda syftet att ha en behandling att sätta in när inget annat fungerar blir samtidigt en signal till den forskande industrin att de kan förvänta sig låga försäljningsvolymerna av nyutvecklad antibiotika. För det tredje domineras marknaden i flera fall av generika, vilket bidrar till att hålla nere priset och försäljningsvolymerna.¹⁰⁵

För antibiotika är en ny verkningsmekanism i sig ett värde på grund av resistensutvecklingen. Det är tveksamt om VBP kan hantera det på ett adekvat sätt eftersom utvärderingen i grunden enbart inkluderar kliniskt mervärde i dag och normalt inte fångar t.ex. optionsvärde.

Problemet är dessutom globalt och det står klart att Sverige inte ensamt kan påverka förutsättningarna för forskningen. Sverige deltar aktivt i globala samarbeten, men hittills har det tagit tid att nå samsyn kring nya incitament för antibiotikaforskning. De flesta av de modeller som diskuteras bygger på idén om att frikoppla avkastningen för industrin från försäljningsvolymen. EU projektet DRIVE-AB syftar till att försöka enas om en modell. I projektets slutrapport förväntas föreslag om ett globalt belöningssystem för företag som lyckas sätta nya produkter på marknaden (market entry reward) tillsammans med höjda forskningsanslag för att öka antalet läkemedelskandidater i tidig fas. Båda dessa förslag ligger i linje med de rekommendationer som lämnades 2016 till den brittiska regeringen.¹⁰⁶

¹⁰⁴ Office for Health Economics har uppskattat det genomsnittliga nuvärdet för antibiotika till -50m USD. Det kan jämföras med till exempel muskeloskeletala läkemedel eller neurologiska läkemedel, +1,15 miljarder respektive +720 miljoner USD.

¹⁰⁵ Renwick m.fl. 2016.

¹⁰⁶ O'Neill Jim, Tackling drug-resistant infections globally: final report and recommendations. The review of antimicrobial resistance. May 2016.

I avvaktan på en global lösning har olika länder tagit nationella initiativ. 2012 antog till exempel USA en ny lag, den s.k. GAIN Act, som ger vissa nya antibiotika fem år extra exklusivitet.

I Sverige har Folkhälsomyndigheten (FOHM) och TLV undersökt förutsättningarna för att i praktiken testa en betalningsmodell för antibiotika som LIF föreslagit.¹⁰⁷ Den går ut på att tillverkaren av ett nytt antibiotika ska få huvuddelen av sin intäkt i form av en fast årlig värdebaserad ersättning medan intäkten per såld förpackning ska vara mycket låg. Den fasta årliga ersättningen betalas av staten medan landstingen betalar det låga styckpriset per använd förpackning. LIF föreslår också att det inrättas en "antibiotikapeng" på äldre generiska antibiotika som ett sätt för staten att finansiera den fasta årliga ersättningen.

FOHM och TLV:s analys fokuserade på tillgänglighet och inte på incitament för forskning. Myndigheterna ansåg att modellen med nuvarande utformning inte borde testas på grund av bristande juridiska och finansiella förutsättningar. De rekommenderar att man i stället samlat utvärderar olika ersättningsmodeller. Myndigheterna har i uppdrag att återkomma med förslag för att säkerställa tillgängligheten till antibiotika med särskilt medicinskt värde senast den 1 december 2017.

I avvaktan på en eventuell ny betalningsmodell, har TLV regelbundet använt den befintliga modellen för att främja olika samhällspolitiska mål kopplat till antibiotika. Utredningen har tittat på TLV:s olika beslut de senaste tio åren och de skäl som anförts till stöd för besluten. TLV beviljade subvention för Furadantin (dnr. 1652/2008) trots högre styckpris än tidigare godkända förpackning då den nya förpackningsstorleken låg i linje med de kliniska riktlinjerna och därmed kunde bidra till minskad överförskrivning. Sedan 2014 har flera beslut motiverats utifrån värdet av ökad sortimentsbredd vilket kan minska risken för resistensutveckling. Se bland annat Dificlir (dnr. 4276/2013). Angående Acnatac (dnr. 4675/2014) begränsade TLV subventionsbeslutet för att produktens användning till förmån för icke-antibiotikabaserade behandlingsalternativ. I flera fall har TLV också beviljat prishöj-

¹⁰⁷ Folkhälsomyndigheten och TLV, 2016. Analys av förutsättningar för att testa en ersättningsmodell för antibiotika. Rapportering av regeringsuppdraget Precisering av uppdraget angående tillgänglighet till antibiotika 2016-12-01.

ningar för äldre preparat för att minska risken att de försvinner från marknaden. Se Idotrim (dnr. 1618/2017) och Trimetoprim Meda (dnr. 4130/2015). Emellanåt har också tillgången till effektiva antibiotika påverkat beslut också för andra produktgrupper. En begäran om subvention för Donaxyl (dnr. 2540/2014) bifölls trots ett relativt högt pris då produkten erbjöd ett alternativ till antibiotikabehandling. Det är svårare att hitta fall där ett resonemang kring incitamenten för innovation bidragit till beslutet. Eventuellt skulle man kunna läsa in detta mellan raderna i subventionsbeslutet för Quinsair (dnr. 751/2016) där ansökan bifölls trots ett högt pris. TLV skriver:

[...] att Quinsair ger lika stor patientnytta som övriga läkemedel i gruppen. Detta till en kostnad som är lika stor som för Tobi Podhaler, men högre än för Colobreathe, Tadim, Cayston och Tobi. Mot bakgrund av de speciella omständigheterna i terapiområdet, att svårighetsgraden för tillståndet är mycket hög och problematiken med antibiotikaresistens, bedömer TLV att kostnaden för Quinsair får anses vara rimlig.

Regeringen gav nyligen Folkhälsomyndigheten i uppdrag att komma med förslag på åtgärder för att främja utvecklingen av nya antibiotika.¹⁰⁸ Det handlar om att skapa incitament för att underlätta för läkemedelsföretag att investera i utveckling av nya antibiotika. Regeringen bedömer att detta på sikt behöver hanteras på internationell nivå men utesluter inte behov av svensk pilotverksamhet på nationell nivå i syfte att visa på möjliga vägar framåt. Uppdraget ska redovisas till Socialdepartementet senast den 31 december 2018. En delredovisning av uppdraget ska ske senast den 30 juni 2018.

Utredningen avser att samordna vårt arbete med FOHM (angående incitament för forskning) och TLV (angående tillgångsfrågan) för att ta höjd för eventuella behov av regleringar.

¹⁰⁸ Socialdepartementet 2017. Nya antibiotika nödvändigt för framtiden. Pressmeddelande från Annika Strandhäll. Publicerad 19 oktober 2017. Uppdaterad 19 oktober 2017.

6.10.2 Sär läkemedel

EU:s förordning (EG) 141/2000 om sär läkemedel syftar till att stimulera utvecklingen av läkemedel mot sällsynta tillstånd ("sär läkemedel"). Historiskt utvecklades mycket få läkemedel mot sällsynta sjukdomar eftersom höga fasta utvecklingskostnader skulle slås ut på få patienter under en begränsad tid vilket gjorde läkemedlen mycket dyra. Tillverkaren får med stöd av sär läkemedelsstatus utökad marknadsexklusivitet (vilket ökar intjäningen eftersom marknaden inte ska delas upp mellan konkurrenter) samt stöd i utformningen av prövningsprotokoll inför en ansökan om marknadsgodkännande för att minska riskerna och därmed kostnaderna under utvecklingsfasen. Lagstiftningen syftar alltså både till att minska kostnaderna för läkemedelsutveckling och att öka intäkterna. Lagstiftningen har verkligen fungerat och antalet sär läkemedel har ökat stort. Analysföretaget quintilesIMS (2017) bedömer att till år 2025 kommer 120 nya sär läkemedel med en förväntad försäljning på 22 miljarder euro ha lanserats i EU. Det skulle i så fall ligga på ungefär samma antal som de senaste årens godkännanden om 15–18 per år.

Parallellt signalerade TLV i fjol att en ökad betalningsvilja för sär läkemedel ryms inom den etiska plattformen, men underströk att det rörde sig om en handfull produkter och ingen generell förskjutning av TLV:s riktlinjer. Eventuellt kan här skönjas en ny policy för läkemedel mot mycket sällsynta och allvarliga sjukdomar.

Svårt att analysera tillgången på sär läkemedel

Det är inte enkelt att analysera den faktiska tillgången på sär läkemedel i Sverige. Det går som regel inte att veta hur många patienter som skulle kunna ha nytta av ett sär läkemedel som finns registrerat i Europa, men som inte får det. Det som finns är i första hand information om registrerade produkter och försäljning. I oktober 2017 var 110 produkter godkända med sär läkemedelsstatus i Europa¹⁰⁹ och enligt Orphanet¹¹⁰ var ytterligare 158 produkter avsedda för sällsynta tillstånd godkända för marknadsföring, men utan sär läkemedels-

¹⁰⁹ EMA oktober 2017, <http://www.ema.europa.eu/ema/>

¹¹⁰ Orphanet. 2017. Lists of medicinal products for rare diseases in Europe.

status. I princip är samtliga dessa därmed tillgängliga för patienter i hela EU, inklusive Sverige. Men i praktiken styrs patienternas tillgång av om sjukvårdshuvudmännen alternativt staten väljer att köpa produkterna eller låta dem ingå i läkemedelsförmåner, eller inte. Enligt utredningens undersökning hade 69 sär läkemedel någon försäljning i Sverige 2016. Av dessa var 34 subventionerade, och 15 föremål för en NT-rekommendation.

År 2016 var den totala försäljningen av sär läkemedel i Sverige 1 236 miljoner kronor, varav 841 miljoner såldes inom läkemedelsförmånen. De tre största produkterna var Revlimid (286 miljoner), Soliris (124 miljoner) och Imbruvica (98 miljoner).

Kostnad per patient för sär läkemedel kan endast beräknas för sär läkemedel som förskrivs på recept. Det rörde sig 2011 om totalt cirka 5 000 individer. För dessa varierade kostnaden per år mellan 7,7 miljoner kronor (Elaprase mot Hunters sjukdom) och 11 000 kronor (Wilzin vid Wilsons sjukdom). Detta säger inte i sig så mycket om kostnadseffektiviteten. En analys från 2011 av TLV-beslut om sär läkemedel visade att kostnaden per QALY endast redovisades i 14 fall och då vanligen låg i intervallet 500 000–1 miljon, alltså relativt normala nivåer för myndighetens bifall.¹¹¹ I vissa fall har kostnaden per QALY tillåtits vara väsentligt högre. En analys av 114 publicerade TLV-beslut med kostnadseffektivitetskoter visade en tillskjutande betalningsvilja för sär läkemedel på ca 200 000 kronor utöver den värdering man annars skulle haft.¹¹²

Upptaget i landstingen kan skapa problem

Patientrepresentanter och flera läkemedelsföretag har framfört till utredningen att hanteringen i landstingen är det som främst bromsar introduktionen av sär läkemedel. Även när det finns en nationell rekommendation kan landstingen vara långsamma – och olika långsamma – i att påbörja användningen. Lynparza för äggstockscancer är ett sådant exempel som också Vårdanalys lyfter fram i sin utvärdering av ordnat införande. Vårdanalys påpekar att den nationella

¹¹¹ Nepi. 2011. Sär läkemedel i Sverige. Rapport.

¹¹² Dahlstrand J & Sandberg F. 2016. An analysis of the decision making process of the TLV and the willingness-to-pay for health care in Sweden. Magisterexamensprojekt vid Handelshögskolan, Göteborgs universitet.

processen var snabb i fallet Lynparza och att möjliga förklaringar till det långsamma och varierande upptaget i landstingen var skillnader i tillgång till den nya diagnostik som behandlingen förutsätter samt en användning av läkemedlet utanför godkänd indikation.

I debatten om ojämlik tillgång till sär läkemedel är det viktigt att minnas att sällsynta sjukdomar ofta är ojämnt fördelade över landet, vilket försvårar analysen av om skillnaderna i tillgång är omotiverade. Variationen i sjukdomsförekomst kan vara slumpmässig och är då en funktion just av att sjukdomarna är ovanliga – de små talens lag. Men det kan också bero till exempel på att en viss genetisk defekt är geografiskt begränsad (exempelvis ”skellefte-sjukan”, eller FAP, som är vanligast i just Skellefteå och Piteå). Följaktligen är variationerna i kostnader mellan landstingen också relativt stora, och var 2011 som lägst 84 kronor per invånare i Jämtland och som högst 173 kronor i Västerbotten.¹¹³

Rationellt med centraliserad hantering av sällsynta sjukdomar

På grund av brist på relevant information är det svårt att analysera hur stort problemet med ojämlik tillgång och långsam introduktion av sär läkemedel är. Det är inte heller uppenbart vad problemen beror på. Det svenska samhällets – både TLV:s och landstingens – betalningsvilja är uttryckligen och bevisligen högre för läkemedel mot sällsynta sjukdomar. Men i några fall har det begärda priset varit så högt i relation till betalningsviljan att det är uppenbart att det varit orsaken till avslag eller en utdragen förhandlingsprocess (ref?). I andra fall kan det vara variationer i landstingens hantering, antingen kliniskt eller budgetmässigt, som ligger bakom en långsam introduktion. Men det är förstås inte givet att landsting ska ha problem med introduktionen av sär läkemedel. Vissa landsting har flexibla och ändamålsenliga processer, utan kritiken är i första hand att det varierar så mycket.

Det finns starka argument för att vården av sällsynta tillstånd ofta är betjänt av en generellt hög grad av centralisering eftersom den är så specialiserad (SOU 2015:98). Det är också svårt att av

¹¹³ Persson U. 2017. En ny modell för prioritering och finansiering av läkemedel för mycket sällsynta sjukdomar. Kommissionen för innovativa sär läkemedel.

effektivitetsskäl motivera att samtliga landsting ska ha lika hög expertis, särskilt vad gäller de riktigt ovanliga tillstånden. Vidare, även om budgetpåverkan av läkemedel är relativt måttlig sett i ett större perspektiv, kan den vara mycket stor för en enskild klinik. Alla dessa faktorer talar för mer centraliserade lösningar även av beslut om läkemedelsbehandling. TLV för i linje med detta fram att ett av syftena med trepartsöverläggningarna är att förbättra och harmonisera hanteringen av bland annat läkemedel.¹¹⁴

Det är fortfarande för tidigt att säga hur en högre betalningsvilja för läkemedel mot sällsynta tillstånd från TLV:s sida kommer påverka NT-rådets rekommendationer. Ännu så länge är det bara inom ett par terapiområden principen om ett högre pris för läkemedel vid sällsynta sjukdomar prövats. Det är för Gauchers sjukdom, en ovanlig ärftlig inlagringssjukdom och vid Soliris-behandling på indikationen aHUS (Atypiskt hemolytiskt uremiskt syndrom). För Soliris fann NT-rådet att företaget prissatt produkten så att kostnaden hamnade 10–30 gånger högre än vad som normalt accepteras för läkemedel vid behandling av ovanliga, svåra sjukdomar¹¹⁵. Då NT-rådet inte kunde nå en acceptabel överenskommelse med företaget rekommenderade NT-rådet landstingen att avstå från behandling med Soliris vid indikationen aHUS.

6.10.3 Kombinationsbehandlingar

Ett läkemedels värde kan variera beroende på om det ges i kombination med andra läkemedel eller som monoterapi. Läkemedlet som monoterapi kan ge ett högt värde men värdet för patienten kan också bli ännu högre om det i stället ges i kombination eller i sekvens med ett annat läkemedel (t.ex. fungerar flera nya cancerbehandlingar på det sättet). Dock blir det svårt att avgöra vilket av läkemedlen i en kombinationsbehandling som genererade vilket värde. Om det är samma företag som producerar båda läkemedlen kan företag och betalare komma överens om olika pris-volym avtal för att hantera kombinationsbehandlingen men om det däremot är olika företag som marknadsför de olika produkterna blir problemet

¹¹⁴ TLV 2017. Utvecklingen av trepartsöverläggningarna.

¹¹⁵ www.janusinfo.se/Nyheter/Nyhetslista/2017/Gerd-Larfars-i-heta-stolen/

svårare att hantera, i synnerhet om produkterna också finns på marknaden som monoterapier eller i andra kombinationer och är förknippade med sekretessbelagda rabatt eller riskdelningsavtal.

I framtiden kan vi förvänta oss att kombinationsbehandlingar blir allt vanligare i takt med utvecklingen av målsökande och riktade terapier. 2015 beräknade IMS att mer än 160 kombinationsbehandlingar kan komma att lanseras innan 2021 inom immunonkologi. En majoritet av dessa rör kombination med ett läkemedel från ett annat företag.¹¹⁶

6.11 Pris- och finansieringssystem sänder signaler om vilka innovationer samhället värdesätter

I det här avsnittet diskuterar vi om och hur förutsättningarna för forskning, innovation och Life-science sektorn påverkas av finansiering, prissättning och introduktion av nya läkemedel i Sverige.

Forskning och kliniska studier är en viktig del av den och utveckling som förbättrar möjligheterna att ge god hälso- och sjukvård och har dessutom visats ha en direkt, positiv effekt på utfallet av den vård som ges på de forskande enheterna.¹¹⁷ När kliniker, universitet, och företag i Sverige har en stark roll i den forskningen når nyttan snabbare fram till patienterna och vården i Sverige, samtidigt som svensk forskning och företag som verkar i Sverige stärks.¹¹⁸

Klinisk forskning om läkemedel bedrivs både i den akademiska världen och i såväl små som stora företag. De större, forskande läkemedelsföretagen är organiserade i LIF och de står för en stor andel av den kliniska forskningen (43 procent av de kliniska läkemedelsprövningarna 2015). Antalet ansökningar om kliniska prövningar av läkemedel i Sverige hade 2016 sjunkit till 313 från en topp

¹¹⁶ IMS 2015. Developments in Cancer Treatments, Market Dynamics, Patient Access and Value, Global Oncology Trend Report. s. 10.

¹¹⁷ Boaz, A., Hanney, S., Jones, T., & Soper, B. (2015). Does the engagement of clinicians and organisations in research improve healthcare performance: a three-stage review. *BMJ Open*, 5(12), e009415. <http://doi.org/10.1136/bmjopen-2015-009415>; Ozdemir BA, Karthikesalingam A, Sinha S, Poloniecki JD, Hinchliffe RJ, Thompson MM, Gower JD, Boaz A, Holt PJ. 2015. Research activity and the association with mortality. *PLoS One*. 26;10:e0118253.

¹¹⁸ SOU 2013:87. Starka tillsammans.

2007 med 440.¹¹⁹ I början av 1990-talet var de ännu fler, cirka 600. Det finns ändå tecken på att de senaste årens nedgång i kliniska prövningar i Sverige har stannat av och antalet pågående kliniska läkemedelsprövningar var 424 år 2015, vilket var i stort sett samma antal som året innan.¹²⁰ Av de 313 nya prövningarna som registrerades hos läkemedelsverket hade 198 en kommersiell sponsor.¹²¹ Under senare år har cancer och sjukdomar i immunsystemet dominerat kliniska läkemedelsprövningar och utgör mer än en tredjedel av alla pågående och startade prövningar.¹²²

På global nivå är Sverige en liten aktör vad gäller kliniska läkemedelsprövningar. Topp-10 listan¹²³ över länder med många prövningar 2016 inkluderade bland annat USA, Japan och de största europeiska marknaderna och dessutom Kina och Ryssland. Det är kanske inte förvånande att stora marknader får många prövningar och därför är det mer intressant att studera var de stora läkemedelsföretagen lägger sina prövningar och det visar sig att inget av de 10 största företagen har Sverige som ett av sina största prövningsländer¹²⁴. På den listan finns annars länder med likartad befolkningsmängd som Sverige, som Belgien, Nederländerna, Tjeckien och Ungern. De två sistnämnda är dessutom länder med lägre prisnivå och långsammare upptag av nya läkemedel än Sverige.¹²⁵

Den globala konkurrensen om klinisk forskning är hård och många länder vill vara i livsvetenskapernas frontlinje. På flera håll i världen bygger man nya stödstrukturer för att stärka sin konkurrenskraft inom området.¹²⁶ Utredningen om samordning av klinisk forskning konstaterade att den svenska storhetstiden inom klinisk forskning innan millennieskiftet byggde på internationella förutsättningar som inte längre finns, med läkemedelsföretag som var nationella och integrerade hela vägen från tidig forskning till försäljning.¹²⁷ När företag väljer var i världen de ska förlägga en studie verkar tiden vara en avgörande faktor: att så snabbt som möjligt

¹¹⁹ Läkemedelsverket 2016. Årsstatistik för kliniska läkemedelsprövningar.

¹²⁰ LIF 2016. FOU 2016. Forskning och utveckling av läkemedel i Sverige.

¹²¹ Läkemedelsverket 2016.

¹²² LIF 2016.

¹²³ www.citeline.com

¹²⁴ www.citeline.com

¹²⁵ QuintilesIMS 2017. Pricing and market access outlook. 2017 Edition.

¹²⁶ SOU 2013:87.

¹²⁷ Ibid.

hitta patienter, en snabb godkännandeprocess och ett genomförande utan onödiga fördröjningar. Utredningen om samordning av klinisk forskning skriver att en del av detta fungerar bra i Sverige, men det finns flaskhalsar som behöver åtgärdas.

6.11.1 Kliniska prövningar värdefulla för patienter

Förutom att det på lång sikt kan leda till nya behandlingar kan det ur patienternas perspektiv finnas ett stort direkt värde i klinisk forskning eftersom patienter som deltar i kliniska prövningar kan få chansen att prova nya behandlingar när de behandlingar som finns i dag inte räcker till. Antalet patienter som deltar i kliniska prövningar är dock i realiteten begränsat – 2015 var de sammanlagt inte mer än drygt 15 000 i de kommersiella läkemedelsprövningarna.¹²⁸ Det finns också en stor regional variation i vilken möjlighet patienterna har att få delta i kliniska prövningar. Det verkar exempelvis vara närmare fem gånger så många läkemedelsprövningar per person i Stockholms sjukvårdsregion som i den Norra sjukvårdsregionen¹²⁹.

Många patienter vill också delta av altruistiska skäl.¹³⁰ Dessutom är kliniska prövningar viktig kompetensutveckling för sjukvården, för den personal som deltar i studierna och troligen även deras kollegor. Det är sannolikt också så att sjukvården har lättare att introducera nya läkemedel som de deltagit i kliniska prövningar med.¹³¹ Om detta är bra eller dåligt kan förstås bero på värdet av det nya läkemedlet i relation till de alternativ som finns.

¹²⁸ LIF 2016. FOU 2016. Forskning och utveckling av läkemedel i Sverige.

¹²⁹ www.kliniskastudier.se/download/18.3196cbc6159d05e1d83a37/1486484024776/presentation_kliniskastudier_almedalen.pdf

¹³⁰ Se tex. Moorcraft SY, Marriott C, Peckitt C, et al. 2016. Patients' willingness to participate in clinical trials and their views on aspects of cancer research: results of a prospective patient survey. *Trials*. 17:17.

¹³¹ Brommels M, Hansson J, Granström E, Wåhlin E. 2013. Professionen, pennan och pengarna – regionala skillnader i användningen av läkemedel. Rapport från SNS forskningsprogram Värdet av nya läkemedel.

6.11.2 Läkemedelsforskning påverkas av prissättning och upptag

Läkemedelsföretag har i kontakter med utredningen betonat att snabbt upptag och bred tillgång till nya läkemedel gör svensk sjukvård mer attraktiv som samarbetspartner i forskning och innovation. I enkätundersökningar i Sverige och Belgien har företaget PwC undersökt vilka faktorer som är viktigast när företag ska välja var kliniska studier ska förläggas.¹³² De viktigaste faktorerna var kvalitet i genomförandet av den kliniska studien, vilket var den enskilt viktigaste faktorn för svenska respondenter, storlek på patientunderlag, som var viktigast i Belgien, och tid för godkännande. Det verkar rimligt att storlek på patientunderlag kan påverkas av hur brett vissa behandlingar används i ett land. Även utredningen om samordning av klinisk forskning skriver att Sverige under sin storhetstid inom klinisk forskning hade en statlig läkemedelsfinansiering utan tak som möjliggjorde starka incitament till forskande kliniker och snabb introduktion av nya läkemedel (men att det samtidigt medförde en hög kostnadsökningstakt).

Även LIF argumenterar¹³³ för att Sverige ska ha ambitionen att snabbt introducera och systematiskt utvärdera nya läkemedel och vidare att innovation måste premieras i pris- och subventions-systemen. Det här argumentet är viktigt, men det är inte uppenbart hur det ska tolkas. Om det betyder att innovationer ska användas i större utsträckning än vad som är medicinskt motiverat och till kostnader som inte svarar mot de hälsovinster som görs så är argumentet problematiskt. Det innebär en risk att vi tränger undan mer värdefulla sätt att investera i hälsa (eller annat viktigt) och att skicka en felaktig signal om vilka innovationer vi värdesätter. Men argumentet kan i stället betyda att vi ska ha ett snabbt och effektivt upptag av de innovationer som är värda sin kostnad. Men i det fallet behövs knappast ett innovationsargument, utan det bör göras för patienternas skull. Vi behöver i fortsättningen av utredningen överväga om det finns argument för att sjukvården eventuellt behöver stimuleras att bli mindre riskaversiv mot nya läkemedel för att på så sätt stärka innovationskraften. Det skulle fortfarande

¹³² SOU 2013:87, bilaga 5.

¹³³ <http://lif.se/fragor-vi-arbetar-med/i-fokus/forskning/>

kunna innebära att endast produkter som är förväntat kostnads-effektiva ska användas, men att större osäkerhet möjligen kan accepteras i syfte att stimulera innovation med argumentet att samhället som helhet har en annan balans mellan risk och klinisk och ekonomiska fördelar än enskilda landsting.

Vidare är sannolikt många andra faktorer än upptag, finansiering och prissättning av läkemedel lika eller mer betydelsefulla för förutsättningarna för Life-science sektorn i Sverige. Vi tänker då på faktorer som kompetensförsörjning, infrastruktur och skatter. Men även strukturella faktorer i vården kan ha en stor påverkan på förutsättningarna för forskning. Utredningen om högspecialiserad vård¹³⁴ gör exempelvis bedömningen att den ökade koncentration av högspecialiserad vård med små patientvolymen som de föreslår skulle innebära en större bas för en bred och kraftfull forskning om såväl behandlingsinsatser som läkemedelsutveckling.

För vårdens deltagande i klinisk forskning är patientnyttan den grundläggande utgångspunkten, enligt utredningen om samordning av klinisk forskning, men det måste också finnas praktiska förutsättningar och incitament: det måste vara organisatoriskt och ekonomiskt möjligt att delta. Forskningen måste ge någon fördel för de medverkande på olika nivåer, t.ex. genom att tillföra efterfrågad kunskap till den egna verksamheten eller ge möjligheter till akademisk meritering.

6.11.3 Värdebaserad prissättning och forskning

Den värdebaserade prismodell som tillämpas i Sverige anses ge tydliga signaler om vilken utveckling och forskning som samhället värdesätter.¹³⁵ Ett företags beslut att forska och utveckla en viss molekyl till ett läkemedel beror på flera faktorer som har att göra bland annat med den förväntade kostnaden av att forska och den förväntade intäkten från den eventuella färdiga produkten. En viktig komponent är därför vilket pris och vilken volym de kan förvänta sig att sälja på olika marknader och där spelar de förvän-

¹³⁴ SOU 2015:98.

¹³⁵ OECD. 2008. Pharmaceutical Pricing Policies in a Global Market.

tade prissättningsmekanismerna stor roll.¹³⁶ En värdebaserad prismodell skickar en tydlig signal om vilka kliniska framsteg som en viss köpare anser är värdefulla och hur mycket de är värda. Företagen måste också ta hänsyn till hur mycket risk de kan bära och hur deras portfölj av produkter ser ut. Eftersom ledtiderna är så långa i läkemedelsutveckling så är kontinuitet och förutsägbarhet viktiga för att kunna påverka vilka produkter som forskas fram.

Att den globala läkemedelsindustrin alltmer har rört sig bort från produkter för stora patientpopulationer för att i stället fokusera på mer nischade behandlingar med visad meningsfull klinisk effekt på svåra sjukdomar är sannolikt ett utslag av anpassning till de signaler köpare globalt har skickat de senaste decennierna.

Det måste samtidigt sägas att försäljningen i ett litet land som Sverige som står för mindre än en halv procent av den globala läkemedelsmarknaden endast i marginell utsträckning kan förväntas påverka företags beslut om forskning och utveckling. Det är möjligt (men svårt att belägga) att Sverige har en påverkan som är större än vad den lilla marknadsandelen antyder genom användningen av VBP. Som tidigare konstaterats har svenska priser har visst inflytande på andra länders prissättning.

6.11.4 Registerbaserad läkemedelsforskning viktigt för framtiden

Möjligheten att följa användningen av nya läkemedel kopplat till medicinska resultat ses av flera intressenter vi intervjuat som en möjlighet för Sverige att kunna attrahera medicinsk forskning och utveckling i allt hårdare global konkurrens. Ökat nordiskt och europeiskt samarbete kring metodfrågor men också för att kunna koppla ihop större mängder data från flera olika källor framstår då som viktiga utvecklingsområden.

Flera aktörer framhåller att det är i övergången från kliniska läkemedelsprövningar till användningen i klinisk vardag som Sverige har en unik internationell position utifrån de möjligheter till registerforskning som finns i landet.¹³⁷ Det finns exempel på en-

¹³⁶ Vernon JA. 2005. Examining the link between price regulation and pharmaceutical R&D investment. *Health Econ.* 14:1-16.

¹³⁷ Rosén M. 2010. Guldgruvan i hälso- och sjukvården. SKL.

skilda studier som visat på den oerhörda potentialen i en utveckling av den registerbaserade forskningen i Sverige, men dessa studier har inte varit inriktade på läkemedelsbehandling.¹³⁸ Vårdanalys utvärdering av kvalitetsregistersatsningen visade att data från de 106 nationella kvalitetsregistren tillsammans låg till grund för 384 vetenskapliga publikationer år 2015. Det är dock ett mindre antal register som står för en stor andel av publikationerna och många register används lite eller inte alls till vetenskapliga publikationer.¹³⁹ Det framgår inte av utvärderingen om dessa publikationer har med läkemedel att göra. En annan forskningsgenomgång visade att läkemedelsregistret använts till 338 publicerade artiklar mellan 2005–2014. Registren används också till många observationsstudier på läkemedelsområdet.¹⁴⁰

Enligt LIFs statistik genomförde deras medlemmar 92 icke-interventionsstudier under 2015, varav 20 i kvalitetsregister och 26 på grund av myndighetskrav. Detta är dessutom en minskning med 10 studier jämfört med 2014. Enligt LIF verkar antalet icke-interventionsstudier ha stabiliserats kring 100 studier per år och att utvecklingen inte är mer positiv både förvånar och oroar organisationen eftersom bland annat utredningar pekat ut sådana studier som en potentiell motor för den kliniska forskningen i Sverige. Enligt utredningen om samordning av klinisk forskning måste de grundläggande förutsättningarna för vårdens deltagande i forskning säkras innan specifika svenska fördelar som vår folkbokföring, våra epidemiologiska register och våra kvalitetsregister kan ge ytterligare konkurrensfördelar på den internationella prövningsmarknaden.

¹³⁸ Lauer MS and D'Agostino RB. The randomized registry trial--the next disruptive technology in clinical research? *N Engl J Med*. 2013; 369: 1579-81.

¹³⁹ Vårdanalys 2017. Lapptäcke med otillräcklig täckning. Slututvärdering av satsningen på nationella kvalitetsregister. Rapport 2017: 4.

¹⁴⁰ Wallerstedt SM, Wettermark B, Hoffmann M. *Basic Clin Pharmacol Toxicol*. Epub 26 april 2016.

7 Utmaningar med nuvarande finansieringsordning

I detta kapitel går vi igenom de utmaningar som utredningen har identifierat med nuvarande finansieringsordning för läkemedel.

7.1 Analytiskt ramverk och översiktliga slutsatser

En central fråga för utredningen är om nuvarande system för finansiering av läkemedel – som bland annat innefattar ett särskilt statsbidrag för läkemedel inom förmånen och att landstingen finansierar rekvisitionsläkemedel – är ändamålsenligt. Till förutsättningarna i systemet hör också att landstingen har stor frihet att utforma sina egna finansieringsmodeller för hur läkemedel ska hanteras i budgeten och verksamheten. Svaret på frågan om ändamålsenlighet ligger i vilken grad och hur effektivt målen med systemet uppnås. Analysen i det här kapitlet utgår från de mål som anges i utredningens direktiv. Dagens system och lösningar har naturligtvis inte utformats med dessa mål i sikte, men vi bedömer att ändamålsenligheten bäst kan förstås utifrån vad dagens beslutsfattare vill uppnå nu och framöver eftersom det ger en grund för förslag på eventuella förändringar. Vi analyserar därför i vilken grad dagens system för finansiering av läkemedel uppfyller utredningsdirektivens mål:

- Användningen av läkemedel ska vara kostnadseffektiv ur ett samhällsperspektiv.
- Det ska finnas god tillgång till befintliga och nya effektiva läkemedel till en rimlig kostnad.
- Vården ska vara jämlik och patientcentrerad.

- Systemet ska vara långsiktig hållbart genom att bidra till att läkemedelskostnaderna hålls på en rimlig nivå.
- Det ska finnas en tydlig ansvarsfördelning mellan stat och landsting.
- Processerna ska vara förutsägbara för berörda aktörer.
- Goda förutsättningar för forskning och innovation till nytta för patienten ska eftersträvas.

Med avseende på måluppfyllelse har vi funnit att dagens system inte är särskilt ändamålsenligt vad gäller en tydlig ansvarsfördelning. När det gäller de övriga målen verkar det som om det regionala inslaget bidrar till kontroll och hållbarhet. Med avseende på jämlik tillgång är bilden komplex. Det finns stora variationer i tillgång på läkemedel, eftersom utformningen av landstingens lokala budgetar sannolikt påverkar prioriteringsbesluten mer än ett särskilt statsbidrag men det går inte att avgöra om skillnaderna skulle varit ännu större med en annan finansieringsordning. Det är inte överraskande att det som är mer tydligt nationella intressen som samhällsekonomisk effektivitet och forskning förefaller kunna stärkas av nationell involvering i finansieringen. Däremot är det en påminnelse om att olika mål måste balanseras mot varandra och att ändamålsenlighet till en viss del bara kan avgöras i ljuset av den relativa vikten man fäster vid olika mål. Det framstår inte som att dagens uppdelning av finansieringen beroende på om det rör sig om förskrivna eller rekvirerade läkemedel nödvändigtvis är den mest ändamålsenliga.

7.2 Kostnadseffektiv användning ur ett samhällsperspektiv

Samhällelig kostnadseffektivitet betyder att de positiva effekterna av en insats ska väga upp kostnaderna för att genomföra den – oavsett var i samhället dessa uppstår. Detta är betydelsefullt eftersom sjukvård genererar kostnader i landstingen medan vinsterna ofta uppstår i andra delar av samhället. Landstingen har i dag formellt finansieringsansvar för kostnaderna för läkemedelsförmåner och finansierar dessutom rekvisitionsläkemedlen. Samtidigt bekostar staten läkemedelsförmånen genom ett särskilt statsbidrag.

Denna konstruktion av finansieringen kan påverka förutsättningarna, positivt och negativt, för landstingen att anlägga ett brett samhällsperspektiv på sina beslut om exempelvis läkemedelsbudgetar och användning av läkemedel. Det finns däremot ingen anledning att anta att eventuella negativa effekter av ett mer begränsat budgetperspektiv skulle vara avsiktliga från sjukvårdens sida, eller att personer i sjukvården inte skulle förstå eller bry sig om att deras beslut kan påverka även andra samhällssektorer. Inget i utredningens kontakter med representanter från sjukvården tyder på det. Exempelvis Gustavsson m.fl.¹ argumenterar för att samhällsperspektivet är viktigt och relevant, men att sjukvårdsorganisationerna måste ha ett sjukvårdsperspektiv eftersom de måste få sina budgetar att gå ihop. Om det nationella perspektivet skiljer sig från sjukvårdens bör staten avsätta medel för en sådan satsning.

Kommunallagen² reglerar ett krav på ekonomisk balans i kommuner och landsting som bl.a. innebär att den budget som antas av fullmäktige skall vara upprättad så att intäkterna överstiger kostnaderna. En landstingsbudget inkluderar, per definition, inte kostnader och intäkter i exempelvis statens eller andra budgetar. Hälso- och sjukvården ska dessutom i enlighet med prioriteringsplattformen utformas och erbjudas patienterna utifrån medicinska behov och inte ta hänsyn till hur verksamheten påverkar kostnadsutvecklingen inom exempelvis sjukförsäkringen. En utmaning med att få till stånd en samhällsekonomiskt effektiv användning av läkemedel är då hur den samhällsekonomiska effektiviteten ska kunna genomföras lokalt och regionalt i avsaknaden av transfereringar mellan olika budgetar. Landsting kan förstås ändå finansiera åtgärder som till någon eller största del får effekter i andra budgetar eller genom kunskapsstyrning påverkas mot att även ta hänsyn till effekter i andra sektorer. En av få empiriska analyser på området visade att flera organisationers beslut att delta i finansieringen av två preventiva insatser i Sverige med ojämnt fördelade kostnader och vinster inte var styrt av om de gick med vinst i sin egen budget eller inte.³

¹ Gustavsson L, Korkmaz S, Persson ME, Almvist H, Hjemdahl P, Julander M, Kristianson K, Ringertz B, Thörnwall Bergendahl G, Wilking N. 2009. Rationell introduktion av nya läkemedel kräver både ett sjukvårds- och samhällsperspektiv. *Läkartidningen*, 106: 52.

² 8 kap. 4 § Kommunallagen (1991:2000).

³ Johansson P, Tillgren P. 2011. Financing intersectoral health promotion programmes: Some reasons why collaborators are collaborating as indicated by cost-effectiveness analyses. *Scandinavian Journal of Public Health*. 39(Suppl 6): 26–32.

I Storbritannien har akademiska hälsoekonomer och representanter för NICE på ett liknande sätt länge hävdat att sjukvården bör betrakta sin budget som given, satt i en legitim politisk process, och att uppdraget därför är att maximera hälsoutfallet för den budgeten snarare än värde för samhället.⁴ Icke desto mindre medför ett snävt budgetperspektiv risker för att behandlingar som ger positiva effekter på andra håll används för lite, eller i fel patientgrupper.

7.2.1 Kostnader i andra sektorer är stora och viktiga

En stor andel av kostnaderna för sjukdom – enligt vissa studier så mycket som två tredjedelar – uppstår utanför landstingen.⁵ En stor andel av kostnaderna för sjukdomar utgörs av produktivitetsförluster, det vill säga att människor inte kan arbeta eller arbetar med lägre produktivitet på grund av sjukdom. Den exakta andelen varierar mellan olika sjukdomar. Ett exempel är kronisk ryggsmärta där den totala samhällskostnaden år 2001 uppgick till 18 miljarder kronor varav endast 15 procent utgjordes av sjukvårdskostnader och 85 procent av kostnaderna av minskad arbetsförmåga.⁶ Ett annat exempel är prostatacancer som brukar anses ha låga indirekta kostnader eftersom större andelen patienter är äldre och flertalet som får diagnosen har slutat arbeta. Sjukdomen har också oftast ett långsamt förlopp, vilket innebär att konsekvenserna förskjuts upp i åldrarna, där ofta andra sjukdomar orsakar mer sjukvårdskonsumtion och död. För yngre män är dock de indirekta kostnaderna dominerande, vilket enligt till exempel en finsk studie innebar att produktivitetsförluster (från framför allt tidigare pensionering p.g.a. sjukdomen) i genomsnitt för alla åldrar uppgick till 37–51 procent.⁷

För många sjukdomar uppstår en stor andel av kostnaderna i kommunerna. Det gäller exempelvis omsorgskrävande sjukdomar som främst drabbar äldre som demens och stroke, men också sjukdomar och tillstånd som främst drabbar yngre och barn, t.ex. autism-

⁴ Claxton, K, Palmer, S, Sculpher, M & Walker, S 2010 'Appropriate perspectives for health care decisions.' The University of York, York.

⁵ Ramsberg J. & Ekelund M. 2011. Stuprörstänkande gör samhällets kostnader för ohälsa onödigt höga. Ekonomisk Debatt. 39: 41–53.

⁶ Ekman, M. 2005, The Economic Cost of Low Back Pain in Sweden in 2001, Acta Othopaedica, vol 76, s. 275–284.

⁷ Torvinen S, Färkkilä N, Risto PR, Sintonen H, Saarto T & Taari K. 2016. Costs in different states of prostate cancer, Acta Oncologica, 55:1, 30–37.

spektrumsjukdomar, missbruk och andra psykiatriska diagnoser. Vad gäller demenssjukdom så finns ungefär 160 000 personer med den sjukdomen i Sverige, varav 60–70 procent har Alzheimers sjukdom. De totala kostnaderna för demenssjukdom är mycket stora och beräknades 2014 till cirka 63 miljarder kronor.⁸ De kommunala kostnaderna är i särklass högst, närmare 80 procent. De närståendes insatser beräknas ha ett samhälleligt värde motsvarande cirka 10 miljarder kronor medan landstingens kostnader är mindre än fem procent. Det finns ingen botande behandling för demenssjukdomar, men det finns läkemedel (kolinesterashämmare och memantin) som kan lindra symptom och bromsa förloppet vilket kan skjuta upp tiden tills en person behöver särskilt boende. Resultatet från Socialstyrelsens litteratursökning indikerar att behandling med kolinesterashämmare vid mild till måttlig Alzheimers sjukdom är kostnadseffektiv och flera studier pekar på att memantin kan vara kostnadsbesparande och samtidigt ge hälsovinster. Det finns exempel på studier som ger andra resultat och som lyfter osäkerheten i bedömningen av effekt, men i Socialstyrelsens riktlinjer för demens rekommenderas behandling med demensläkemedel till personer med Alzheimers sjukdom. Andelen personer över 65 år med Alzheimers sjukdom beräknas uppgå till drygt 5 procent i landet – med en variation från 4,9 procent i Norrbotten till 5,6 procent i Jönköping – men skillnaderna mellan länen vad gäller förskrivningen av demensläkemedel till äldre är stora. Andelen personer över 65 år som behandlas med demensläkemedel varierar mellan 1 procent i Örebro till 2,4 procent i Västerbotten. I exempelvis Jönköping behandlas 1,4 procent medan man i Norrbotten, som har färre sjuka, behandlar 1,7 procent. Trots rekommendationerna i riktlinjerna har behandlingen med demensläkemedel inte ökat under de senaste åren, utan varit relativt konstant.

En viktig del av den totala kostnaden för sjukdom är anhörigas arbetsinsats. Socialstyrelsen⁹ har visat att närmare var femte person i vuxen ålder vårdar, hjälper eller stödjer en närstående men den totala omfattningen på anhörigvården är inte känd. I en doktors-

⁸ Socialstyrelsen 2014b: Rapport. Nationell utvärdering – Vård och omsorg vid demenssjukdom 2014.

⁹ Socialstyrelsen 2012. Anhöriga som ger omsorg till närstående – omfattning och konsekvenser.

avhandling undersöktes betydelsen och omfattningen av den informella vården för personer över 75 år i en kommun. Antalet personer som fick vård av anhöriga var betydligt större än antalet personer som fick formell vård och omsorg. Tjugo procent av personerna över 75 år fick formell vård och 38 procent informell vård. Bland personer med demenssjukdomar var skillnaden mellan mängden formell och informell vård ännu större.¹⁰

En del psykiatriska diagnoser kan också innebära stora kostnader för rättsväsendet. Narkotikamissbruk kan enligt beräkningar presenterade i Missbruksutredningen¹¹ innebära närmare fem gånger så höga kostnader för rättsväsendet som för sjukvården och omsorgen och en enda aktivt narkotikamissbrukande man beräknas kosta samhället i snitt 2 miljoner kronor per år. De totala kostnaderna för missbruk beräknar till 150 miljarder kronor per år, varav 66 miljarder för narkotikamissbruk. Socialstyrelsen bedömer att läkemedelsassisterad behandling både vid alkohol- och opiatberoende har, trots delvis osäkra underlag, en låg kostnad per QALY. I Socialstyrelsens riktlinjer rekommenderas behandling, men man har konstaterat att det finns en fortsatt stor underanvändning. Variationen mellan landstingen är också mycket stor – mellan cirka 15 och 50 procent (Gävleborg respektive Jämtland) av alkoholmissbrukarna får läkemedelsbehandling mot alkoholberoende, och andelen opiatmissbrukare som får läkemedelsbehandling varierar mellan cirka 15 och 65 procent (Södermanland respektive Norrbotten).

Det finns många exempel också på insatser som inte är läkemedel som under används och som till någon del kan bero på hur intäkter och kostnader fördelas över olika aktörer.¹²

¹⁰ Nordberg, G, E von Strauss, I Kåreholt, L Johansson och A Wimo 2005, The Amount of Informal and Formal Care among Non-demented and Demented Elderly Persons-results from a Swedish Population-based Study, *International Journal of Geriatric Psychiatry*, vol. 9, s. 862–871.

¹¹ SOU 2011. Bättre insatser vid missbruk och beroende.

¹² T.ex. Cochlea-implantat: <https://hrf.se/sex-ganger-fler-borde-erbjudas-cochleaimplantat/eller-vardplanering>: Skärby R, Chorell E, Karling P. Ökat omvårdnadsbehov främsta orsak till lång vårdtid på medicinklinik. Retrospektiv journalstudie styrker att tidig vårdplanering skulle kunna ge bättre platstillgång *Läkartidningen*. 2014;111:CMM9.

Oklart vad som orsakar underbehandling

Det går inte att veta säkert vilka faktorer som orsakar den underbehandling som kan visas för exempelvis Alzheimers sjukdom, missbruk och andra sjukdomar, t.ex. osteoporos. Det beror sannolikt på en rad omständigheter som varierar från fall till fall. Experter på demenssjukdom har uttryckt¹³ att landstingen inte tar ansvar för att behandla dessa patienter på rätt sätt och att det är kommunerna som drabbas av detta – men det bevisar inte att underbehandlingen orsakas av hur kostnader och intäkter fördelas i samhället. Det finns många frågor runt till exempel klinisk effekt, patientsäkerhet, vårdens organisation och styrkan i det vetenskapliga underlaget som styr val av behandling. I en studie av upptaget av nya läkemedel inom fyra områden konstaterade författarna till exempel att användning av nya läkemedel mest påverkas av hur ledande regionala aktörer uppfattar den vetenskapliga evidensen för klinisk effekt (dvs. de resultat som redovisas i kliniska prövningar).¹⁴ Förskrivande kliniker var den viktigaste aktörsgruppen när det gäller att införa nya läkemedel och processen var i allt väsentligt inomprofessionell. Användningen bestämdes av den lokala kliniska praxis som utvecklas. Oavsett om kostnadsansvaret var centralt eller decentraliserat var det i den aktuella studien rimligare att beskriva aktörernas roll som kostnadsmedvetenhet snarare än kostnadsansvar. I studien var ansvaret centralt i Stockholm, i Skåne låg det på förvaltningsnivå och i Västra Götaland på kliniknivå, men läkemedelsanvändningen sågs inte variera enligt det mönstret. Enligt rapporten innebar kostnadsmedvetenhet att pris beaktades tillsammans med andra patientgruppers behov vid läkemedelsval. Kunskapsstyrning snarare bekräftade än styrde lokala behandlingsprinciper, och den politiskt-administrativa styrningen eller patientorganisationerna påverkade knappast hur praxis utformades.

¹³ www.dn.se/debatt/alzheimerdrabbade-ges-inte-samma-ratt-som-andra-sjuka

¹⁴ Brommels M, Hansson J, Granström E, Wählin E. 2013. Professionen, pennan och pengarna – regionala skillnader i användningen av läkemedel. Rapport från SNS forskningsprogram Värde av nya läkemedel.

Både positiva och negativa konsekvenser av decentraliserade budgetar

Samtliga landsting har nu decentraliserad läkemedelsbudget i någon form, enligt vår enkät till landstingen. Eftersom beslut om behandling fattas decentraliserat (i patientmötet) kan en decentraliserad budget vara ett viktigt verktyg för att korrekt väga kostnader och nytta av olika behandlingsalternativ mot varandra och för att uppnå kostnadskontroll. Det finns emellertid få systematiska studier som utvärderat effekterna av ett decentraliserat kostnadsansvar för läkemedel på ekonomi och kvalitet. En Cochranerapport visade att läkemedelsbudgetar kan minska läkemedelskostnaderna, främst genom minskade volymer och ökad generikaanvändning.¹⁵ Långtidseffekterna på kvaliteten och kostnaderna i läkemedelsförskrivningen är dåligt studerade men införande av decentraliserat budgetansvar har i andra länder visats ha både positiva och negativa konsekvenser. Från Sverige visade en studie att landsting med decentraliserat budgetansvar hade lägre kostnader per invånare för läkemedel i öppenvård och högre följsamhet till rekommendationer utan att volymen läkemedel avvek från övriga landsting.¹⁶ I studien var landstingens struktur (bland annat om det fanns universitetssjukhus, storlek och mixen av offentlig och privat vård) den viktigaste förklarande faktorn till läkemedelsanvändning medan kunskapsstyrning hade liten påverkan.

Men bland annat i debatten om nya diabetesriktlinjer har forskare också fört fram att decentraliserade läkemedelsbudgetar gör att förskrivande läkare lockas att låta patienter stå kvar på äldre, billiga och riskfyllda läkemedel för att hålla budgeten.¹⁷ En hypotes är att ju mer decentraliserad en budget är, desto svårare blir förutsättningarna att ta hänsyn till effekterna i andra verksamheter, vare sig det är i eller utanför det egna landstinget. Å andra sidan måste detta bero på hur begränsande den lokala budgeten är (den är förstås mindre begränsande om en verksamhet går med ett betydande överskott) och vilka behandlingar som faktiskt finns tillgängliga och som eventuellt inte finansieras.

¹⁵ Rashidian A, Omidvari A, Vali Y, Sturm H, Oxman AD. 2015. Pharmaceutical policies: effects of financial incentives for prescribers. *Cochrane Database of Systematic Reviews* 2015, Issue 8. Art. No.: CD006731.

¹⁶ Levin LÅ, Andersson, Anell, Heintz, Hoffman, Schmidt & Carlsson (2010): Styrformer för effektiv läkemedelsanvändning. CMT Rapport.

¹⁷ www.dagssamhalle.se/debatt/det-ar-dags-nasta-steg-i-diabetesvarden-18210

7.2.2 Kommunalt självstyre och statlig påverkan

I de överenskommelser som reglerat ersättningen till landstingen har parterna de senaste åren enats om att de läkemedel som Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) har bedömts som kostnads-effektiva ur ett samhällsperspektiv ska användas. Överenskommelserna har således använts för att försöka få landstingen att anlägga ett samhällsperspektiv vid sina beslut om läkemedelsanvändning genom att koppla den till en transferering från stat till landsting.

Representanter från såväl patientorganisationer, landsting som läkemedelsföretag har vid ett flertal tillfällen framfört till utredningen att staten har lättare än landstingen att anlägga ett brett samhällsperspektiv på kostnader.

Möjligheten att statens läkemedelsbidrag ökar utifrån kostnadsutvecklingen för läkemedelsförmånen och att extra medel kan tillskjutas i det fall det kommer ny effektiv behandling som skulle innebära stora ekonomiska påfrestningar för landstingen kan också göra det lättare för landstingen att anlägga ett samhällsperspektiv. Däremot bedömer utredningen att möjligheten för landstingen och beslutsfattare på olika nivåer i landstingen att anlägga ett samhällsperspektiv i sina beslut snarare påverkas av den budget som de arbetar under än huruvida vinsterna av att använda behandlingen faller inom eller utanför landstingets domän. Det finns alltid en möjlighet för landstingen att höja skatterna för att finansiera läkemedel om de anser att hälso- och andra vinster motiverar de ökade kostnaderna. Om landstingen väljer att finansiera ökade kostnader för läkemedel med höjda skatter så kan det emellertid få viktiga fördelningspolitiska konsekvenser eftersom landstingsskatten inte är progressiv. Vidare kan det få effekter på arbetskraftsutbudet eftersom landstingsskatten är en inkomstskatt.

Det är hälsoeffekterna som möjliggör andra vinster med en behandling – det finns ingen separat ”hälsoekonomisk effekt” – och förmodligen har flertalet av de insatser som sjukvården gör stora effekter i andra sektorer. Sjukvården finns inte till för att spara pengar, utan för att skapa hälsa, men oftast sammanfaller stora besparingar i andra sektorer med stora hälsoeffekter och dessa försöker sjukvården maximera. Men på marginalen kan sjukvårdens beslut ändå påverkas av om en behandling anses värd investeringen genom att den ger stora kostnadsbesparingar i andra sektorer.

Sammantaget har vi hypotesen att vissa inslag i den nuvarande ordningen skulle kunna öka förutsättningarna för en samhälls-ekonomiskt effektiv användning av läkemedel:

- Staten betalar i slutändan landstingskollektivet för förmåns-läkemedlen
- Kostnaderna för dessa kan i vissa fall tillåtas öka snabbare än andra kostnader i vården
- Staten har i överenskommelser fört in behovet av en samhälls-ekonomiskt effektiv användning.

Vidare har vi hypotesen att andra dimensioner av den nuvarande ordningen troligen inte ökar förutsättningarna för en samhällseko-nomiskt effektiv användning av läkemedel:

- De enskilda landstingen har incitament att begränsa utgifterna inom förmånen
- Läkemedelsbudgetarna är decentraliserade.

Det särskilda statsbidraget kan i viss mån ge landstingen bättre för-utsättningar att anlägga ett samhällsperspektiv i sina prioriterings-beslut gällande läkemedel, även om kopplingen troligtvis är svag. Om de olika budgetarna för läkemedel inom förmånen och för rekvisitionsläkemedel skulle ha medfört helt olika incitament för landstingen kunde vi förvänta oss att kostnadsutvecklingen skulle skilja sig åt, men kostnadsutvecklingen ser överlag lika ut. Dagens sätt att dela på finansieringsansvaret förefaller inte ha lämnat några stora avtryck i den utvecklingen. Det är troligt att utformningen av landstingens lokala budgetar har större påverkan på priori-teringsbesluten än det faktum att landstingen får ett bidrag för läkemedelsförmånerna i form av ett särskilt statsbidrag.

7.3 God tillgång till läkemedel

Som vi redogjort för bekostar staten läkemedel inom förmånen genom ett särskilt statsbidrag medan landstingen finansierar rekvi-sitionsläkemedlen. Vidare har landstingen valt att organisera finan-

sieringen av läkemedel på olika sätt. Det är troligt att denna ordning på något vis påverkar patienternas tillgång på effektiva läkemedel.

En grundläggande fråga är dock hur god tillgången på effektiva läkemedel är. I Kapitel 6 har vi redogjort för tillgången på läkemedel i Sverige i relation till vilka läkemedel som är godkända i Europa och visat att en stor andel av de läkemedel som godkänns i Europa används i Sverige och ofta har sin första försäljning efter en relativt kort tid.

Att ett läkemedel har någon försäljning betyder inte att alla patienter som borde få tillgång har det. Ibland kan tillgången för hela den relevanta patientpopulationen dröja längre efter introduktionen, främst på grund av att introduktionen går olika fort i olika landsting.

I slutändan måste ändå begreppet god tillgång definieras i relation till det medicinska behovet, det vill säga hur stor andel av de personer som borde få ett visst läkemedel som faktiskt får det. Det går inte att ge något heltäckande svar på den frågan eftersom det bara i ett mindre antal fall finns information om hur många som skulle behöva ett visst läkemedel och ofta inte hur många som får det för en viss indikation. Även om en del av detta skulle gå att få fram genom att kombinera olika datakällor har vi inte bedömt det som ändamålsenligt att göra detta inom ramen för utredningen. Genom att använda publicerad och kvalitetssäkrad information från Vården i siffror kan vi dock studera patienternas tillgång genom 23 olika indikatorer. Dessa presenteras i Tabell 7.1 För 16 av indikatorerna finns ett målvärde satt av antingen det aktuella kvalitetsregistret eller Socialstyrelsen. Målvärdena bygger i de flesta fall på en bedömning från kvalitetsregistrens kliniska experter på hur stor andel av patienterna som borde få en viss behandling (det är sällan alla ska ha behandlingen). Målvärdena satta av Socialstyrelsen är ibland relativa och syftar till att stimulera dem med sämre resultat att nå högre. Avvikelser från målvärdet anses därför generellt inte motiverat i något av fallen. I endast ett fall når samtliga landsting upp till målvärdet och för tre indikatorer når inget landsting upp till målvärdet. Man kan också notera en betydande variation mellan landstingen för de flesta av dessa indikatorer. De läkemedel som analyseras är viktiga men troligen inte ett representativt urval av läkemedel i stort. Vissa indikatorer kan vara utvalda för att det finns tecken på en ojämlik användning, men vi kan annars inte se

något som talar för att variationen i användning skulle vara mindre för alla de läkemedel där det inte finns någon publicerad indikator. Snarare kan den vara större, eftersom publicerade indikatorer, särskilt med målvärden, skapar incitament att förbättra användningen.¹⁸

¹⁸ Vårdanalys. 2012. Grönt ljus för öppna jämförelser? Rapport 2012:4.

Tabell 7.1 Indikatorer på läkemedelsanvändning, med eventuellt målvärde

Indikator	Högst	Lägst	Målvärde (antal landsting som når mål)
Antikoagulantia vid förmaksflimmer efter stroke, 18–79 år	90 %	74 %	Så högt som möjligt
Antikoagulantia vid förmaksflimmer och riskfaktorer	78,8 %	68,3 %	80 % (0)
Basbehandling vid hjärtsvikt	67,9 %	53 %	65 % (2)
Behandling antipsykotiska läkemedel vid schizofreni och schizofreniliknande tillstånd, 12–18 mån	83,6 %	64,1 %	Nej
Behandling med anti-psykotiska läkemedel vid schizofreni	89,6 %	71,5 %	
	91,7 % (Gotland*),		
Behandling med litium vid bipolär sjukdom	82,5 % (Dalarna)	48,1 %	70 % (8)
Biologiska läkemedel vid reumatoid artrit	297,4 per 100 000 inv. (Gotland*), 199,9 (Örebro)	136,7	Målvärdet är +/- 25 % av rikssnittet, men inget tyder på att användningen är för stor i de landsting som använder mest.
Blodfettssänkande behandling 12–18 månader efter stroke, 18–79 år	85,2 %	67 %	75 % (11)
Blodfettssänkande behandling 12–18 månader efter stroke, 50–79 år	86,5 %	67,9 %	75 % (15)
Blodfettssänkande behandling 12–18 månader efter stroke, 80+ år	62,9 %	38,1 %	

Blodfettssänkande behandling efter hjärtinfarkt	88,1 %	79,7 %	90 % (0)
Blodfettssänkande behandling vid diabetes typ 1	57,2 %	34,3 %	Flertalet patienter med diabetes med hög eller mycket hög risk för hjärt-kärlsjukdom bör behandlas med statiner
Blodfettssänkande behandling vid utskrivning efter stroke	85 %	61 %	75 % (16)
Blodförtunnande läkemedel vid stroke och förmaksflimmer, 18–79 år	90 %	66,8 %	80 % (11)
Blodförtunnande läkemedel vid utskrivning efter stroke och förmaksflimmer	89 %	65 %	70 % (20)
Blodtryckssänkande behandling vid utskrivning efter stroke	89 %	73 %	80 % (14)
Bromsmedicin vid skovvis förloppande MS	104,6 %**	42,3 %	75 % (2)
Demensläkemedel vid Alzheimers sjukdom – primärvård	80,7 %	40,5 %	80 % (2)
Demensläkemedel vid Alzheimers sjukdom – specialiserad vård	100 %	77,4 %	80 % (13)
Extra blodförtunnande läkemedelsbehandling vid hjärtinfarkt	100 %	92,8 %	90 % (21)
God viruskontroll vid hiv	100 %	87 %	90 % (17)
Läkemedel mot benskörhet efter fraktur	20,6 %	7,3 %	30 % (0)
Lämpliga sömnmedel till äldre	72,7 %	49,8 %	

Källa: Vården i siffror.

*Befolkningen på Gotland är så liten att ovanligt höga eller låga värden är svåra att tolka och jämföra med andra landsting och därför rapporteras även ett landsting till.

**Beräkningen är gjord utifrån förmodat antal patienter med MS, vilket kan medföra såväl över- som underskattning. Antalet behandlande patienter kan därför vara fler än det skattade antalet, och därför kan värden högre än 100 procent uppkomma.

Utredningens bedömning är att dagens ordning har medfört att tillgången på läkemedel är god i den betydelsen att en stor andel av godkända läkemedel säljs i Sverige, men att många patienter i praktiken inte förefaller ha tillgång. En indikation på detta är att så få landsting når målvärdena för en rad läkemedelsbehandlingar. Det kan dock vara så att patienterna i många fall får tillgång till alternativa behandlingar och det är hälsoutfallet som i slutändan är det centrala. Det lokala beslutsfattandet leder dessutom till stora variationer i patienternas tillgång till läkemedel. Frågan går därmed inte att helt skilja från diskussionen om jämlik vård, vilket berörs i nästa avsnitt.

7.4 Jämlik och patientcentrerad vård

Ett viktigt mål med finansieringsordningen för läkemedel är att uppnå en jämlik tillgång till läkemedel, oavsett faktorer som patientens ålder, bostadsort, kön och socioekonomisk status. Vi påminner dock om att det finns många skillnader i vården som inte är tecken på att vården är ojämlik. Tvärtom är vissa skillnader en förutsättning för jämlik vård.¹⁹ Vidare är det jämlikhet i hälsoutfallet och inte vårdinsatsen som är det viktiga. På grund av att hälsoutfallet beror på många olika faktorer som har att göra med bland annat socioekonomi är det ofta svårt att fastställa om vården har bedrivits på ett jämlikt sätt genom att studera hälsoutfall. Men även i hälsoutfall finns det stora variationer. Inom ramen för Sveus-samarbetet (www.sveus.se) har exempelvis sju landsting studerat hälsoutfallet justerat för patientmixen inom sju områden: stroke, förlossning, höft- och knäprotesoperationer, ryggkirurgi, diabetes, bröstcancer och obesitaskirurgi. Inom alla områden utom höft- och knäprotesoperationer förefaller statistiskt signifikanta variationer ha observerats.

På grund av svårigheterna att korrekt analysera variationer i hälsoutfall förblir mått på tillgång till behandling viktiga för att studera jämlikhet i vården. Ett flertal analyser har undersökt hur läkemedelsanvändningen skiljer sig åt mellan olika landsting eller regioner. Vi visade i Tabell 7.1 att det finns stora variationer i an-

¹⁹ Vårdanalys 2014. En mer jämlik vård är möjlig. Rapport 2014:7.

vändningen av viktiga läkemedel. De läkemedel som ingår i indikatorerna i Tabell 7.1 har funnits ett tag på marknaden. Myndigheten för vård- och omsorgsanalys (Vårdanalys)²⁰ har i sina analyser av ordnat införande visat att det även för vissa nya läkemedel finns stora variationer i införandetakten mellan landstingen. Ett annat exempel på analyser av jämlik tillgång är de öppna jämförelser som sedan tio år tillbaka redovisas av Socialstyrelsen och Sveriges kommuner och landsting (SKL). Där använder man i flera indikatorer en jämförelse mellan läkemedelsanvändning i landsting för att påvisa vilka förbättringsmöjligheter som är uppnåbara inom ett visst vårdområde.²¹

Det finns en stor variation mellan olika analyser och studier på området vad gäller avsikt med analysen samt vilka metoder som använts. I många fall är jämförelser av läkemedelsanvändning mellan geografiska områden avsedda att användas som ett verktyg för verksamhetsutveckling (t.ex. öppna jämförelser) eller som ett underlag för att diskutera policybeslut eller för att prognosticera framtida läkemedelsanvändning. I regel redovisas ingen beräkning av huruvida skillnader mellan landsting är statistiskt signifikanta eller inte, utan de procentuella eller absoluta skillnaderna mellan geografiska områden redovisas beskrivande.

Flera av de analyser som nämns ovan har rapporterat tydliga geografiska skillnader i användning av enskilda läkemedelsgrupper. Socialstyrelsen har utvärderat jämlik användning av läkemedel i ett flertal arbeten. Till exempel konstaterade man vid uppföljningen av behandlingsriktlinjerna för rörelseorganens sjukdomar att det förekom en stor geografisk variation i användning av benspecifika läkemedel året efter en fragilitetsfraktur.²² Skillnaderna ansågs inte försvarbara.

Ett annat exempel är en nyligen genomförd utvärdering av hur den geografiska variationen i användning av prostatacancerläkemedlen Zytiga och Xtandi förändrats i samband med att läkemedlen inkluderades i läkemedelsförmånerna via trepartsöverläggningar

²⁰ Vårdanalys 2017. Utvärdering av ordnat införande av nya läkemedel – Ordning i leden? Rapport 2017:5.

²¹ Socialstyrelsen 2015a: Öppna jämförelser.

²² Socialstyrelsen 2014. Nationella riktlinjer – Utvärdering Vård vid rörelseorganens sjukdomar.

år 2015.²³ Läkemedlen är i tablettform och bör i normalfallet förskrivas, men fick avslag vid subventionsansökningar under år 2012 och 2013. Användningen blev därefter ändå stor och distributionen hanterades på olika sätt i enskilda landsting. Av TLV:s analys framgår att den geografiska variationen i användning mellan landsting minskade i samband med att produkterna inkluderades i läkemedelsförmånerna. Dessutom förändrades också distributionssättet för läkemedlen (från rekvisition till förskrivning). Detta kan påverka vilket landsting som tillskrivs användning av ett läkemedel i försäljningsstatistiken (klinik respektive bostadsort), vilket i någon utsträckning kan påverka utfallet.

Redovisningen av skillnader mellan landsting eller regioner framstår i regel som intressant eftersom det ofta är på den nivån beslut om rekommendation eller finansiering av nya interventioner sker. Behandlingsriktlinjer och andra styrande dokument kan också skilja sig åt mellan de olika landstingen. Tolkningen att redovisade geografiska skillnader skulle visa sannolikheten att en enskild patient i en av regionerna får tillgång till ett läkemedel har fått viss kritik.²⁴ Bland annat framhålls att genomsnittlig läkemedelsanvändning i ett visst landsting sannolikt inte avspeglar den faktiska sannolikheten för att en individ som tillhör det landstinget ska få läkemedelsbehandling.

Ett annat exempel på uppföljning är när Vårdanalys utvärderade hur geografiskt jämlig introduktionen av nya läkemedel vid hepatit C har varit baserat på individdata från Läkemedelsregistret och Patientregistret.²⁵ Vid en jämförelse mellan landstingen av hur stor andel av patienter med diagnosen hepatit C som har fått behandling med de nya läkemedlen och där resultatet justerats för ett flertal variabler (kön, ålder, utbildning, missbruk och leverpåverkan) framstod de geografiska skillnaderna som begränsade. Detta bedömdes vara en konsekvens av såväl processen för ordnat införande som kliniska faktorer och en särskild nationell finansiering.

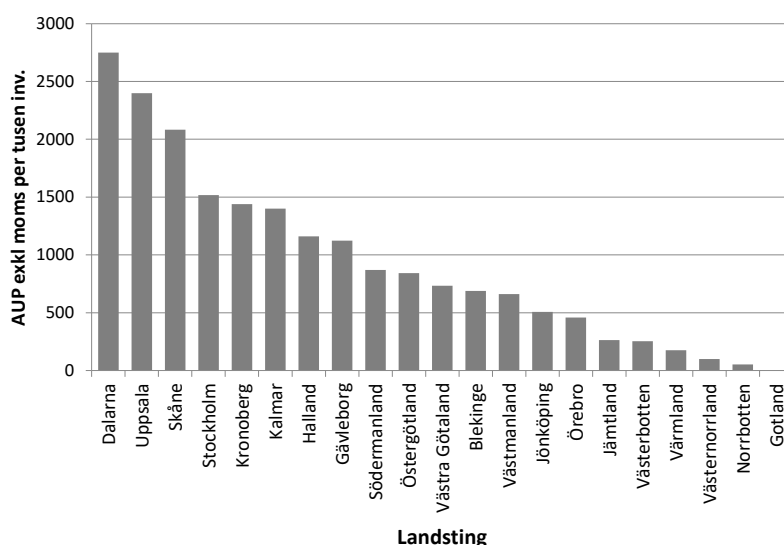
²³ Vårdanalys 2017. Utvärdering av ordnat införande av nya läkemedel – Ordning i leden?

²⁴ Ohlsson, Libro, Sundquist, Sundquist, Merlo 2011: Performance evaluations and league tables: do they capture variation between organizational units? An analysis of 5 Swedish pharmacological performance indicators. *Med Care*. 2011 Mar;49(3):327–31; NEPI (2010): Webbpublicerad analys. Användningen av abirateron (Zytiga) i Sverige; Ohlsson och Merlo (2011b): Small-area variations in sales of TNF inhibitors in Sweden between 2000 and 2009: comments on the article by M Neovius et al. *Scand J Rheumatol*. 2011 May;40(3):243–4.

²⁵ Vårdanalys 2017. Utvärdering av ordnat införande av nya läkemedel – Ordning i leden?

De två nya PCSK9-hämmarna som, med vissa restriktioner, ingår i högkostnadsskyddet är ett annat exempel. NT-rådet rekommenderade användning av dessa läkemedel enligt den subventionerade indikationen. Trots detta hade till sommaren 2017 knappt 300 patienter fått PCSK9-hämmare, trots att drygt 1 000 högriskpatienter identifierades i samband med det ordnade införandet.²⁶ Försäljningsstatistik till och med september 2017 visar betydande regionala skillnader. På Gotland har till exempel inte en enda patient förskrivits PCSK9-hämmare. Störst användning i förhållande till folkmängden har Dalarna. (Se Diagram 7.1).

Figur 7.1 Variation i försäljningen av PCSK9-hämmarna januari–september 2017



Det nationella systemet för läkemedelsförmånen bidrar till en både ekonomiskt och geografiskt jämlik tillgång till receptbelagda läkemedel eftersom patienterna skyddas från stora utgifter för dessa läkemedel och systemet är lika över hela landet. Men förmånen ger inte fullständig jämlikhet. Den stora internationella befolknings-

²⁶ Karlsson G. Eriksson M. 2017. Ska patienter tvingas flytta på grund av skillnader i förskrivning? Dagens Medicin 170721.

undersökningen IHP²⁷ visar att sex procent av respondenterna i Sverige svarade ja på frågan: "Under de senaste 12 månaderna, hände det då att du avstod från att hämta ut receptbelagd medicin eller hoppade över doser av din medicin på grund av kostnaden?". I andra länder i undersökningen var det mellan 2 (Storbritannien) och 19 procent (USA) som svarade ja och i endast tre länder av elva var det en större andel som svarade ja än i Sverige. Undersökningen visade även att det fanns variationer mellan landstingen. I Norrbotten var det två procent som hade avstått från att hämta ut läkemedel eller hoppat över doser, medan det i Stockholm och Jämtland var åtta procent, det vill säga fyra gånger så hög andel.

Vi anser att det är otvetydigt visat att det förekommer både geografisk och socioekonomisk ojämlikhet i tillgången på läkemedel. Vår bedömning är därför att utredningen inte har anledning att i detalj ytterligare analysera förekomsten av ojämlikhet för individuella läkemedelsbehandlingar. Den exakta omfattningen av ojämlikheten låter sig inte enkelt avgöras, utan analyser av ojämlik tillgång är svåra och krävande ifråga om data, tid och kompetens. Sammantaget är en individs läkemedelsanvändning resultatet av en komplex kedja av händelser. Egenskaper hos vårdssituationen och förskrivaren, liksom patientens ålder, bostadsort, kön och socioekonomi, liksom samspelet mellan dessa faktorer påverkar.

Risk att uppdelningen i öppen- och slutenvårdsläkemedel leder till mindre patientcentrerad vård

Det kan finnas skäl att tro att finansieringsordningen har skapat ekonomiska incitament som medför att valet mellan förskrivning och rekvisition i vissa fall sker på andra grunder än den medicinska. Vilka läkemedel som landstingen hanterar inom förmånssystemet respektive som rekvisitionsläkemedel har fortlöpande förändrats.

Det är inte heller orimligt att anta valet även kan påverkas av det faktum att läkemedel på rekvisition respektive recept prissätts på olika sätt. Så länge priserna på ett och samma läkemedel skiljer sig åt beroende på om det rekvireras eller förskrivs kan det finnas eko-

²⁷ Vårdanalys 2016. Vården ur befolkningens perspektiv. PM 2016:5.

nomiska incitament att välja det ordinationsätt där läkemedlet har lägst pris.

Som beskrivs i kapitel 1 så ska valet mellan recept och rekvisition enligt regelverket ske utifrån medicinska grunder, dvs. om patienten behöver hjälp av hälso- och sjukvårdspersonal för att använda läkemedlet så ska det rekvireras och annars ska det förskrivas, om det inte ska användas i sluten vård. Det kan således diskuteras om det faktum att patienter får läkemedel rekvirerade på andra grunder än medicinska skulle kunna innebära några patientsäkerhetsproblem. Man kan också fundera över hur patienternas tillgång till läkemedlen påverkas av att de behöver åka till kliniken för att hämta vissa läkemedel i stället för att hämta ut läkemedlen på apotek. Det kan ju vara både längre till kliniken och sämre öppettider. Alternativt är det bekvämt för patienten att få tillgång till sitt läkemedel direkt vid läkarbesöket. Vi avser att göra en fördjupad analys av patienternas uppfattning i den här frågan.

Orättvis ordning kan uppstå när landsting kan hantera läkemedel och förbrukningsartiklar olika

När ett landsting väljer att hantera t.ex. förbrukningsartiklar eller ett förskrivningsläkemedel genom egen upphandling utanför förmånen så innebär det att det totala belopp som ligger till grund för beräkningen av statens bidrag för kostnaderna inom förmånen sjunker nästkommande år. Summan som bidraget sjunker med kommer dock i dagsläget att fördelas mellan alla landsting, även om bara ett landsting har valt att hantera t.ex. förbrukningsartiklar utanför förmånen. Det är således möjligt för ett landsting att minska sina kostnader inom förmånen utan att statsbidraget för det landstinget minskar på motsvarande sätt. Det innebär alltså att de landsting som hanterar läkemedel eller förbrukningsartiklar utanför förmånen gynnas på bekostnad av övriga landsting.

Finansieringen påverkar förutsättningarna för jämlik och patientcentrerad vård

Vilken roll finansieringen spelar vid uppkomsten av ojämlik tillgång på läkemedel varierar sannolikt mellan olika situationer. För mer kostsamma läkemedel eller nyintroducerade läkemedel har sannolikt lokala budgetprocesser, processen för prissättning samt den kunskapsstyrning som sker i samband med prissättning och prioritering stor påverkan på hur snabbt en jämlik läkemedelsanvändning uppnås. Detta har observerats för både rekvisitionsläkemedel och förskrivningsläkemedel.²⁸ Informanter från läkemedelsindustrin har framfört till utredningen att de särskilt för nya läkemedel med högt pris och för läkemedel som används vid sällsynta tillstånd har uppfattningen att lokala processer bidrar till en ojämlik introduktion. Det nationella systemet för läkemedelsförmånen bidrar å andra sidan starkt till en jämlik tillgång till receptbelagda läkemedel. Vidare tillåter dagens system som ovan nämnts, att kostnaderna ökar vid behov och detta kan minska risken för ojämlikhet.

Utredningen bedömer vidare att finansieringsordningen med sin uppdelning i öppen och sluten vård påverkar möjligheterna att ge en ändamålsenlig och patientcentrerad vård. Vi saknar viktig information för att avgöra hur stort problemet är för patienterna och avser att återkomma med ytterligare analyser i den frågan. Vad gäller landstingen angav 13 av 19 landsting som svarat på vår enkät att uppdelningen av finansieringen i öppen- och slutenvård inte är särskilt eller inte alls ändamålsenlig och 10 av 19 instämde helt och hållet eller till stor del i påståendet att uppdelningen orsakar stora utmaningar i deras landsting. De tar i sina svar bland annat upp problem som har att göra med hinder för rationella distributionslösningar för hemsjukvård och svårigheter för enskilda förskrivare att veta när recept respektive rekvisition ska användas. Vidare att det blir administrativt krångligt när ett typiskt receptläkemedel inte ingår i förmånen och inte kan förskrivas på vanligt sätt eftersom rekvisitionshantering då inte är tillåten. SKL:s styrelse har i sitt remissvar på utredningen Effektiv vård tagit ställning att de anser att uppdelningen i öppen- och slutenvård ska upphöra.²⁹

²⁸ Vårdanalys 2017. Utvärdering av ordnat införande av nya läkemedel – Ordning i leden?; TLV 2017. Utvecklingen av trepartsöverläggningarna.

²⁹ SKL 2016. Remissvar Effektiv vård (SOU 2016:2).

7.5 Långsiktig hållbarhet genom rimliga läkemedelskostnader

För landstingens del fungerar det särskilda statsbidraget och förhandlingarna med staten sannolikt som en form av ventil. I det fall kostnaderna för läkemedelsförmånen ökar så blir också statsbidraget högre eftersom det baseras på senaste utfall och Socialstyrelsen prognos för läkemedelsförmånerna. Möjligheten för uppräknings av statsbidraget på motsvarande sätt som t.ex. inom det generella statsbidraget saknas. Den ekonomiska risken för landstingen blir alltså lägre med ett särskilt statsbidrag. Det är därför inte svårt att se att det finns fördelar för landstingen med att fortsatt ha ett särskilt statsbidrag för läkemedel.

Läkemedel ställs inte mot andra insatsfaktorer i vården

Möjligheten för landstingen att kontinuerligt förhandla om statsbidraget storlek innebär samtidigt också att kostnaderna för läkemedel inte fullt ut kommer att behöva prioriteras inom ramen för de samlade kostnaderna för hälso- och sjukvården. Ur ett statligt budgetperspektiv har troligtvis förhandlingslösningen därför varit negativ för staten så tillvida kostnaderna för staten för just läkemedel kan ha blivit högre med förhandlingslösningen än om statsbidraget hade flyttats till det generella statsbidraget.

Även om läkemedel är sjukvårdens vanligaste behandlingsåtgärd består vården av mycket annat än läkemedel – mindre än 10 procent av kostnaderna i vården används till läkemedel. Läkemedel kan vara både komplement eller alternativ till annan behandling och för ett effektivt resursutnyttjande är det viktigt att olika behandlingsalternativ ställs mot varandra på ett relevant sätt vid valet av behandling. Så länge kostnaderna för läkemedel hanteras genom ett särskilt och förhandlingsbart statsbidrag finns risken att de inte fullt ut ingår i de samlade prioriteringarna för hälso- och sjukvården vilket skulle kunna ha en kostnadsdrivande effekt.

I de fall det är olika aktörer som betalar för olika behandlingsalternativ – som t.ex. att staten betalar för läkemedel i förmånen och landstingen betalar för alla andra behandlingsalternativ – skulle det kunna skapas en drivkraft till att inte fullt ut ställa de olika alternativen mot varandra utan i stället välja det alternativ där det egna

kostnadsansvaret är lägst. Med den logiken skulle dagens uppdelning av finansieringsansvaret mellan stat och landsting kunna driva på att läkemedel används i större utsträckning än om det var samma aktör som hade fullt kostnadsansvar för samtliga behandlingsmetoder och samma aktör dessutom fattade prioriteringsbesluten. Vi har tidigare pekat på att det kan finnas drivkrafter att använda för lite av ett läkemedel som har effekter utanför sjukvårdssektorn. Men att ha ett delat kostnadsansvar skulle också kunna få den motsatta effekten att läkemedel används mer än vad som är samhällsekonomiskt effektivt i förhållande till andra behandlingsalternativ och att läkemedelskostnaderna därför blir högre än de annars skulle vara. Det beror på hur kostnaderna fördelas i de enskilda fallen.

Å andra sidan betalas dagens särskilda statsbidrag ut till de enskilda landstingen utifrån en behovsmodell dvs. det är långt ifrån säkert att det enskilda landstinget får kostnadstäckning för sina läkemedelskostnader. Det betyder att det enskilda landstinget redan i dag troligtvis ser det som att det har fullt kostnadsansvar. Att kunna jämföra olika behandlingsalternativ med varandra på ett effektivt sätt förutsätter också att det finns information om vilka kostnader och vinster de olika behandlingsalternativen medför. Ofta är denna utvärdering i dagsläget mer utförlig beträffande läkemedelsbehandling än när det gäller andra behandlingsalternativ. Det är också ofta lättare att se exakt vilka kostnader som läkemedelsbehandling medför jämfört med andra behandlingsalternativ.

En finansieringsordning som involverar både 21 regionala huvudmän och staten innebär i sig en fragmentering som riskerar att leda till svagare kontroll, otydligare ansvar och svårare förutsättningar för ansvarsutkrävande. Allt detta försämrar förutsättningarna för långsiktig hållbarhet.

Att landstingen har ett kostnadsansvar för läkemedelsförmånen, så att minskade kostnader kommer landstingen till del, verkar däremot i motsatt riktning. Likaså kan det finnas motverkande krafter som vi inte analyserat närmare här, exempelvis i kunskapsstyrningen.

7.6 Tydlig ansvarsfördelning mellan stat och landsting och förutsägbara processer

Som vi påpekat innebär en finansieringsordning som på olika sätt involverar 21 regionala huvudmän, deras samarbetsorganisation och staten, genom både regeringskansliet och flera myndigheter, i sig ett fragmenterat system med dåliga förutsättningar för tydlig ansvarsfördelning.

När det formella kostnadsansvaret fördes över till landstingen var kostnadsutvecklingen för läkemedel hög. Landstingen var därför skeptiska till att fullt ut axla kostnadsansvaret samtidigt som staten behöll vissa verktyg som påverkar kostnadsutvecklingen, exempelvis prissättningen av läkemedel. Ett särskilt statsbidrag kan också vara ett sätt för staten att legitimera ett fortsatt statligt inflytande över prissättningen och andra delar av läkemedelsområdet. SKL har framfört att läkemedelsområdet är ett statligt genomreglerat system där det är staten som har tillgång till flera viktiga verktyg för att hålla nere kostnadsutvecklingen och att staten under dessa förutsättningar även bör ha ett fortsatt finansieringsansvar genom det särskilda statsbidraget.

Det särskilda statsbidragets utveckling och nuvarande ordning är resultatet av den mångåriga förhandlingstradition som har gällt sedan 1998. Samtidigt som läkemedelsområdet har utvecklats och förändrats har parterna genom åren kompromissat för att nå överenskommelser och det har resulterat i att statsbidraget i dag innehåller fler komponenter än det inledningsvis gjorde.

Efter alla år med förhandling har det blivit svårt att fullt ut härleda beloppen i de senaste överenskommelserna. Komponenter har under åren byggts på och dragits bort och därigenom har transparensen kring bidragets faktiska innehåll minskat. Det statliga läkemedelsbidraget var avsett att kompensera landstingen endast för kostnader som är att härleda till läkemedel m.m. inom förmånen. Med åren har bidraget dock av olika skäl kommit att omfatta ersättning även för andra kostnader, t.ex. smittskyddsläkemedel och förbrukningsartiklar som landstingen hanterar utanför förmånen. Även rekvisitionsläkemedel ersätts till viss del via statsbidraget. Det är bl.a. en följd av att uppdelningen mellan förskrivningsläkemedel och rekvisitionsläkemedel är otydlig eftersom ett och samma läkemedel kan vara bådadera.

Utöver detta har bidragsförhandlingarna i flera fall också använts som ett sätt att försöka påverka utvecklingen inom läkemedelsområdet t.ex. gällande dosdispenserings tjänster och nu de senaste två åren avseende enskilda landstings potentiella förhandlingar om återbäringsavtal för förmåsläkemedel.

En följd av nuvarande ordning där innehållet i överenskommelserna varierar mellan åren är att förutsägbarheten och transparensen för både landsting och staten kring storleken och innehållet på bidraget har försämrats.

7.6.1 Varierande kostnadsrisk för landstingen

Överenskommelserna har inte heller varit konsekvent utformade kring vilken kostnadsrisk landstingen ska stå för själva. Kostnadsrisken för landstingen har i överenskommelserna varierat från att landstingen får ersättning utifrån faktisk förbrukning (dvs. ingen kostnadsrisk alls) till att landstingen står för hela kostnadsrisken när ingen vinst/förlustmodell alls har använts. Det enskilda landstinget har dock sedan behovsmodellen infördes alltid fått stå för en viss ekonomisk risk.

Risken för staten respektive landstingskollektivet beror ju förstås också på hur nivån på överenskommet belopp förhåller sig till troligt utfall. De senaste åren, dvs. 2015–2016, har överenskommelsen inneburit att i det fall de faktiska kostnaderna överstiger överenskommet belopp med mer än tre procent så delar staten och landstingen lika på det överstigande beloppet. För 2015 översteg det faktiska utfallet det överenskomna beloppet med mer än tre procent, vilket innebar att landstingen fick stå för en betydande ytterligare kostnad och förlustdelningsmodellen trädde i kraft för det överstigande beloppet. Även för 2016 översteg det faktiska utfallet överenskommet belopp, med nästan tre procent. Samtidigt har landstingen fram till och med 2016 fått behålla den återbärning som sidoöverenskommelserna har gett upphov till.

7.6.2 Sena förhandlingar ger dåliga planeringsförutsättningar

De senaste åren har förhandlingarna dragit ut på tiden och blivit klara först en bra bit in på det år som överenskommelsen avser. Ett skäl till parternas svårigheter att komma överens kan vara att det har blivit allt svårare att göra tillförlitliga prognoser för kostnadsutvecklingen för läkemedel. Socialstyrelsens prognos för kostnaderna för läkemedelsförmånen har varit utgångspunkten för hur beloppet i överenskommelserna har fastställts. De många olika delkomponenter som överenskommelserna innehåller har också inneburit att parterna för varje år behövt komma överens i allt fler delar. En konsekvens av att överenskommelserna blivit klara sent är att landstingen fått sämre planeringsförutsättningar och sämre möjlighet att göra tillförlitliga budgetar. Det innebär en minskad förutsägbarhet för landstingen.

7.7 Goda förutsättningar för forskning och innovation till nytta för patienten

Vi bedömer att det kan finnas ett samband mellan upptaget av innovativa produkter i vården och förutsättningarna för forskning och innovation (se också avsnitt 6.11). Det går emellertid inte att säga hur starkt sambandet är eller hur viktig just finansieringsordningen är för förutsättningarna för forskning och innovation eftersom många andra faktorer spelar roll. Utredningen om samordning av klinisk forskning (SOU 2013:87) betonar att det måste finnas praktiska förutsättningar och incitament att delta i forskning.³⁰ Men det är i vilket fall inte sannolikt att ett finansieringsansvar utspjutt på 21 landsting skulle främja ett snabbt upptag i syfte att stimulera forskning och innovation.

I Hälso- och sjukvårdslagen (2017:30) anges att landsting och kommuner har ett ansvar vid finansiering, planering och genomförandet av kliniskt forskningsarbete på hälso- och sjukvårdens område samt av folkhälsovetenskapligt forskningsarbete.³¹ Utöver det så erhåller vissa landsting redan i dag statliga medel inom ramen för det så kallade ALF-avtalet för sin medverkan i bland annat kli-

³⁰ SOU 2013. Starka tillsammans. SOU 2013:87.

³¹ 18 kap. 2 § hälso- och sjukvårdslagen (2017:30).

nisk forskning. Det kan ifrågasättas om landstingen utöver detta även bör erhålla statlig finansiering för att stärka forskning och innovation inom just läkemedelsområdet och om det då ska ske inom ramen för de medel som landstingen erhåller för läkemedel.

Landstingen³² och SKL³³ betonar vikten av klinisk forskning och innovation för möjligheterna att nu och i framtiden erbjuda den bästa vården för patienterna och som en förutsättning för att effektivisera vården. Samtidigt betonar exempelvis utredningen om samordning av den kliniska forskningen³⁴ att det finns brister i de grundläggande förutsättningarna för klinisk forskning i sjukvården. Innan dessa rättas till kan Sverige inte få nytta av de specifika fördelar som finns här, runt exempelvis register. En enkätundersökning från SKL³⁵ ger den sammantagna bilden att merparten av landstingen ännu inte har skapat fasta strukturer för att främja förnyelse och innovation på bredden i sina organisationer – endast ett av fem landsting instämmer helt i påståendet att man har mål/strategier för innovation och förnyelse. Av enkätsvaren framkommer också att de interna drivkrafterna är de viktigaste och då framför allt politikens och tjänstemannaledningens initiativ och styrning.

Det finns även andra effekter att ta hänsyn till. Bland annat finns det forskning som tyder på att kliniker som själva leder eller deltar i kliniska prövningar fattar beslut på ett annat sätt än de som inte deltagit aktivt. De som deltagit har inte samma breda perspektiv som icke-deltagarna, där en strikt och kritisk hållning till evidensen förenas med ett resonemang om behovet av prioritering och rättvisa mellan patientgrupper.³⁶

³² T.ex. Region Norrbotten. Forskningsboksut 2016.

³³ SKL 2016. Patienter behöver forskning för att få bästa möjliga vård – inte bara i dag utan även imorgon. SKL:s positionspapper om klinisk forskning.

³⁴ SOU 2013. Starka tillsammans. SOU 2013:87.

³⁵ SKL 2016. Förutsättningar för innovation 2015. Enkätundersökning om kommuner, landsting och regioners syn på innovationsfrågor.

³⁶ Brommels M. m.fl. 2013 Professionen, pennan och pengarna.

8 Finansiering av förbrukningsartiklar

8.1 Finansieringsansvaret för förbrukningsartiklar

Kostnader för de förbrukningsartiklar som omfattas av läkemedelsförmånerna ska ersättas av landsting (22 § lagen [2002:160] om läkemedelsförmåner m.m.). För dessa kostnader får landsting ett särskilt statsbidrag från staten, se avsnitt 5.1.2.

Till skillnad från situationen för läkemedel som distribueras via apotek tillkommer moms på försäljningspriset för förbrukningsartiklar (3 kap. 23 § p. 2 mervärdskattelagen [1994:200]). Det innebär att den totala kostnaden vid den typen av försäljning baseras på apotekens inköpspris (AIP), apoteksmarginalen och därefter moms. Kostnaden för moms belastar huvudsakligen landstingen då den täcks av högkostnadsskyddet.

Kostnader för förbrukningsartiklar som upphandlas av landstingen ersätts huvudsakligen genom landstingsskatten. När förbrukningsartiklar upphandlas och därmed hanteras utanför läkemedelsförmånerna finns inget krav på att distributionen måste ske via ett apotek. Att hantera förbrukningsartiklar som ingår i läkemedelsförmånerna utanför läkemedelsförmånerna kommer leda till att de sammanlagda kostnaderna för förmånerna sjunker och att kostnaden läggs direkt på landstingen. Det kan i sin tur påverka det statsbidrag som landstingen erhåller under kommande år (se avsnitt 5.1.2). För de delar av kostnaderna för förbrukningsartiklar som flyttats från läkemedelsförmånerna till direkt inköp av landstingen får dock landstingen en särskild ersättning från staten. Denna ersättning ska dock inte inkludera momskostnaderna.¹

¹ Överenskommelse mellan staten och Sveriges Kommuner och Landsting, 2016-06-09.

8.2 Förbrukningsartiklar inom läkemedelsförmånerna

Utöver läkemedel kan även vissa andra varor som används med produkterna ingå i läkemedelsförmånerna – så kallade förbrukningsartiklar. Dessa är vanligen medicintekniska produkter. De förbrukningsartiklar som efter ansökan från företaget kan ingå i läkemedelsförmånerna är sådana som behövs vid stomi och sådana som behövs för att tillföra kroppen ett läkemedel eller för egenkontroll av medicinering. Förutsättningarna för att omfattas av läkemedelsförmånerna är att produkterna uppfyller kraven på prissättning och subvention enligt 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m., förskrivs av behörig hälso- och sjukvårdspersonal (18 § p. 2–3 lagen om läkemedelsförmåner m.m.) och hämtas ut på öppenvårdsapotek.

En förbrukningsartikel är en vara som fortlöpande förbrukas² och därför behöver ersättas vid vissa intervall. Produkten ska normalt kunna hanteras av patienten själv samt inte kunna återanvändas av andra. Därutöver ska produkten vara förhållandevis enkel och mindre kostsam samt ha en begränsad livslängd.³

De förbrukningsartiklar som används för att tillföra kroppen ett läkemedel eller för egenkontroll av medicinering har setts som en integrerad del av de läkemedlen (inom förmånerna) de används tillsammans med, och tillhandahålls därför helt kostnadsfritt utanför högkostnadstrappan (19 § 1 och 3 st lagen om läkemedelsförmåner m.m.).

Ett flertal olika typer av produkter ingår i läkemedelsförmånerna (se tabell 8.1 nedan).

² 2 kap. 1 § Socialstyrelsens föreskrifter (SOSFS 2008:1) om användning av medicintekniska produkter i hälso- och sjukvården.

³ Prop. 1996/97:27 Läkemedelsförmåner m.m., s. 111 och Högsta förvaltningsdomstolens dom meddelad den 30 april 2014 i mål 5169-12.

Tabell 8.1 Försäljning av förbrukningsartiklar på apotek i Sverige under 2016

Typ av förbrukningsartikel	Exempel på användningsområden	AUP (exkl. moms), mnkr 2016	AUP (inkl. moms), mnkr 2016	Förmånskostnad inkl. moms, mnkr 2016
Stomi	Stomipåsar och tillbehör	473	589	542
Diabetes	Teststickor, injektionshjälpmedel och tillbehör till insulinpumpar	456	569	564
Läkemedels-nära	Administrations-hjälpmedel, tester	116	143	132
Summa		1 045	1 302	1 238

Den utredning som ligger till grund för stora delar av det nuvarande systemet för läkemedelsförmåner föreslog i sitt slutbetänkande att endast de förbrukningsartiklar av engångskaraktär som behövs för att tillföra kroppen ett läkemedel eller som behövs för egenkontroll av medicinering samt vissa födelsekontrollerande medel skulle ingå i läkemedelsförmånerna.⁴ Produkter som kan återanvändas och stomiartiklar skulle alltså enligt förslaget inte ingå.

Bakgrunden till det förslaget var att olika former av förbrukningsartiklar och hjälpmedel inte bör behandlas olika, och att det fanns en lång rad artiklar, t.ex. olika former av inkontinensskydd, som inte ingick i förmånerna. Därutöver framstod det inte som rimligt att artiklar som kunde återanvändas skulle bli en individs egendom genom att de ingick i läkemedelsförmånerna. Slutligen bedömdes också stomiartiklar framför allt ingå i sjukvårdshuvudmännens ansvar för hälso- och sjukvård. Förslaget tillstyrktes dock inte av regeringen och flera av remissinstanserna var negativa till förslaget. Socialstyrelsen tillstyrkte i sitt remissvar men ansåg att konsekvenserna behövde utredas ytterligare.

Läkemedelsverket och Socialstyrelsen fick i samband med propositionen i uppdrag att se över bestämmelserna inom läkemedelsförmånerna när det gäller förbrukningsartiklar.⁵ I den utredning

⁴ SOU 2000:86 Den nya läkemedelsförmånen, s. 328 ff.

⁵ Prop. 2001/02:63 De nya läkemedelsförmånerna, s. 53 ff.

som gjordes av Socialstyrelsen⁶ drogs bland annat följande slutsatser angående fördelar och nackdelar med att vissa förbrukningsartiklar inte skulle ingå i förmånerna i enlighet med utredningens förslag.

- *Fördelar*
 - Samordningsvinster kan göras med övrig landstingsupphandling och med befintliga distributionssystem.
 - Genom landstingsupphandling finns möjlighet att pressa priserna och ställa kvalitetskrav på produkterna.
- *Nackdelar*
 - Risk för ett minskat och landstingsberoende sortiment med färre varumärken inom samma produkttyp.
 - Olika sortiment i olika landsting kan eventuellt innebära svårigheter för patienter som flyttar eller reser
 - Ett redan fungerande distributionssystem för produkterna överges.

Frågan om vilka typer av förbrukningsartiklar som ska ingå i läkemedelsförmånerna har aktualiserats i samband med att Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) hanterat subventionsansökningar för vissa produkter samt också i de omprövningar TLV har gjort av delar av sortimentet för förbrukningsartiklar. En praxisutveckling bland annat baserat på domstolsbeslut⁷ har skett under åren efter 2010. I dagsläget baseras TLV:s bedömning av om en produkt är en förbrukningsartikel som potentiellt kan subventioneras på en sammanvägning av följande kriterier:

- Livslängd
- Totalkostnad
- Hur enkel produkten är.

⁶ Socialstyrelsen, Förbrukningsartiklar i läkemedelsförmånerna Medicintekniska produkter för att tillföra kroppen läkemedel, för egenkontroll av medicinering samt för stomivård, artikelnummer: 2003-107-14 och prop. 2002/03:42 Vissa förbrukningsartiklar s. 7.

⁷ Högsta förvaltningsdomstolens dom meddelad den 30 april 2014 i mål 5169-12 och Förvaltningsrättens i Stockholm dom meddelad den 22 december 2011 i mål 43497-10.

Till exempel, om livslängden på produkten är på gränsen för vad som kan bedömas som en förbrukningsartikel kan detta uppvägas av att produkten har en låg kostnad och är av enklare slag.⁸

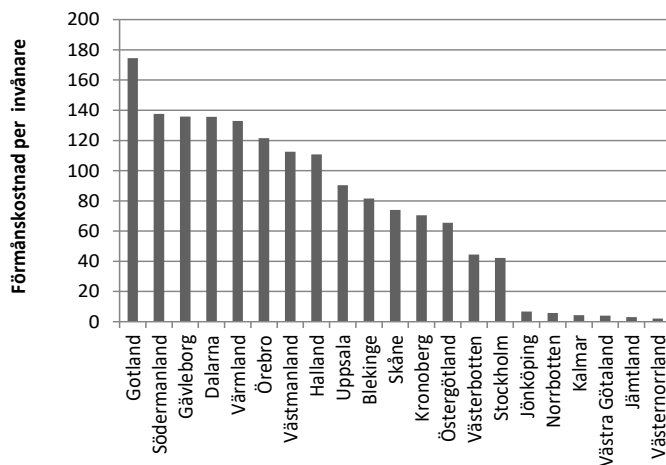
8.3 Upphandling av förbrukningsartiklar

Landstingen har möjlighet att upphandla och köpa in förbrukningsartiklar direkt från leverantörer och sedan distribuera dessa till respektive patient. Detta har enligt vissa landsting fördelar. De framhåller att kostnaderna då kan hållas lägre. Dels genom de prisavtal som uppkommer från upphandlingar, dels genom att kostnader för moms kan undvikas. En annan fördel med distribution utanför apotek anges vara att förbrukningsartikeln kan levereras direkt till patient med utkörning och att patienten själv kan styra när produkten ska komma.

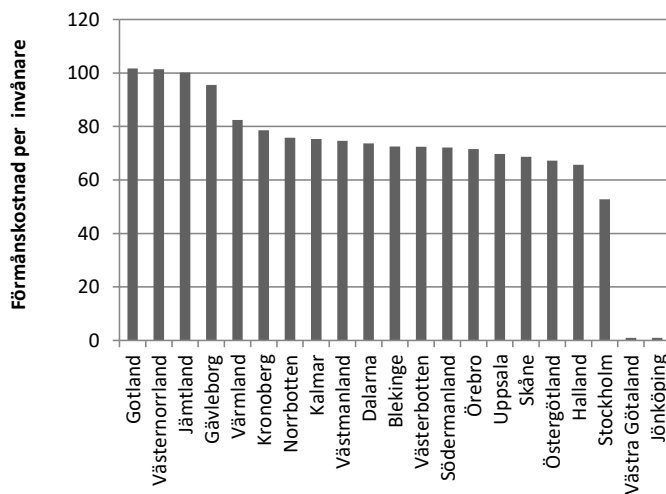
Norrbotten, Kalmar, Jönköping och Stockholm började redan tidigt att centralisera vissa delar av upphandlingen av förbrukningsartiklar, till exempel teststickor för diabetes. Under senare år har ytterligare landsting hanterat förbrukningsartiklar vid diabetes på liknande sätt och även upphandlat tillbehör till insulinpumpar, vilka dock fortfarande förskrivs via förmån i till exempel Stockholm (se figur 8.1). Västra Götalandsregionen förde under 2014 över stomiprodukterna från förmåner till upphandling och distribution utanför apoteken. Jönköping har sedan tidigare en liknande hantering av stomiartiklar. I övriga landsting hanteras stomiprodukter via förskrivning och förmån (se figur 8.2).

⁸ Förmånsbeslut för I-Neb Tadim halvårsset (dnr 430/2016).

Figur 8.1 Försäljning av förbrukningsartiklar vid diabetes inom förmåner under år 2016 uppdelat på enskilda landsting



Figur 8.2 Försäljning av stomiprodukter inom förmåner under år 2016 uppdelat på enskilda landsting



8.4 Sortimentetsbredd

Inom läkemedelsförmånerna finns i regel ett flertal olika varianter av en viss förbrukningsartikel tillgängliga, ofta med något varierande funktioner och egenskaper. För området stomiprodukter såldes exempelvis drygt 2 000 olika produkter inom förmånerna under år 2016.⁹

Värdet av att flera olika liknande produkter tillhandahålls för behandling av en sjukdom är svårt att utvärdera på en generell nivå. Överlag har TLV tidigare, i samband med beslut på läkemedelsområdet, bedömt att sortimentsbredd är värdefullt i de fall patienter inte får tillräcklig effekt av det första behandlingsalternativet samtidigt som det andra, tredje eller fjärde alternativet har visats kunna leda till en viss chans för patienten att svara på behandlingen. I tidigare beslut av TLV om läkemedel som används som tilläggsbehandling vid epilepsi har exempelvis svårighetsgraden av sjukdomen beaktats och behovet av flera behandlingsalternativ med nya verkningsmekanismer eller annorlunda biverkningsprofil haft betydelse i utredningen.¹⁰ I de fall produktbredden framför allt representerar likvärdiga produkter som inte innebär några egentliga nya behandlingsalternativ, har betalningsviljan för sortimentsbredd dock varit mycket begränsad.¹¹ Sortimentetsbredden anses ha ett värde enbart i den mån den bidrar till att sannolikheten att uppnå klinisk effekt hos en grupp patienter ökar.

För att en upphandling ska leda till lägre priser behöver de leverantörer som deltar i upphandlingen se en möjlighet att få en ökad avsättning för sina produkter och upphandlingen kan då tänkas leda till en styrning till ett mer begränsat antal produkter. En konsekvens av att landsting väljer att upphandla läkemedel kan därför bli att den sortimentsbredd som finns tillgänglig för vårdgivare och patienter minskar. Vid den upphandling Västra Götalandsregionen gjorde av stomiprodukter upphandlades exempelvis cirka 1 500 olika stomiprodukter, vilket alltså är färre än de drygt 2 000 som tillhandahålls inom förmånerna. I Jönköping upphandlades cirka 750 stomipro-

⁹ TLV, En kartläggning av stomimarknaden i Sverige, dnr 310/2017, s. 27.

¹⁰ Förmånsbeslut för Trobalt, dnr 1139/2011, Fycompa dnr 2235/2012 och Vimpat dnr 1900/2008.

¹¹ Förmånsbeslut för Briviact, dnr 71/2016.

dukter¹² (TLV 2017). Styrningen av inköp kan också leda till att enskilda vårdgivare får minskade möjligheter att själva välja i vilka situationer och hur ofta patienter ska få tillgång till vissa förbrukningsartiklar.

I utredningens kontakter med företrädare för Tarm- uro- och stomiförbundet (ILCO) har framkommit att det är ett problem att sortimentsbredd och tillgänglighet minskar när förbrukningsartiklar upphandlas. För det första kan möjligheten för en enskild patient att få tillgång till en produkt som ger tillräcklig effekt minska, vilket indirekt kan leda till ökat vårdutnyttjande och sjukskrivning. För det andra blir det svårare för patienter som färdats mellan olika landsting att få tillgång till rätt produkt i ett annat landsting än där patienten i normalfallet bor.

Vid utredningens diskussioner med företrädare för Svensk förening för Sjuksköterskor i Diabetesvård (SFSD) har det dock också framkommit att eventuella negativa konsekvenser av en upphandling av förbrukningsartiklar kan minskas genom en väl utformad process för att ta fram ett upphandlingsunderlag. Upphandlingsunderlaget bör i dessa fall tas fram i nära samarbete med vårdpersonal som är väl förtrogen med de behov som patienter har av till exempel sortimentsbredd och fler alternativ vid utebliven effekt.

I de fall landstingen väljer att distribuera förbrukningsartiklar på annat sätt än via apotek kan försäljningen inte registreras av E-hälsomyndigheten. Eftersom försäljningsdata för förbrukningsartiklar som upphandlats inte finns tillgängliga i en samlad datakälla är det svårt att analysera hur mycket upphandling påverkar sortimentsbredd och vilka effekter det får på övrig vårdkonsumtion.

¹² TLV, dnr 310/2017, s. 30.

Referenser

- Adamski J, Godman B, Ofierska-Sujkowska G, Osińska B, Herholz H, Wendykowska K, Laius O, Jan S, Sermet C, Zara C, Kalaba M, Gustafsson R, Garuolienė K, Haycox A, Garattini S, Gustafsson LL. 2010. *Risk sharing arrangements for pharmaceuticals: potential considerations and recommendations for European payers*. BMC Health Serv Res. 10:153.
- Aitken M., Blansett, L. and Mawrie, R. 2015. *Developments in cancer treatments, market dynamics, patient access and value*. Global Oncology Trend Report. The IMS Institute for Healthcare Informatics. Parsippany, NJ: IMS Health.
- Arnlin, Wettermark, Nokela, Hjemdahl, Rehnberg & Jonsson. 2010. Regional variation and adherence to guidelines for drug treatment of asthma. *European Journal of Clinical Pharmacology*. 66:187–98.
- Bach, P. 2014. Indication-specific pricing for cancer drugs. *Journal of the American Medical Association*, 312: 1629–1630.
- Baumol W. 1993. Health care, education and the cost disease: A looming crisis for public choice. I: Charles K. Rowley, Friedrich Schneider, Robert D. Tollison (red). *The Next Twenty-five Years of Public Choice*, s. 17–28.
- Breckenridge A, Eichler HG, Jarow JP. 2016. *Precision medicine and the changing role of regulatory agencies*. Nat Rev Drug Discov. 15:805–806.
- Boaz, A., Hanney, S., Jones, T., & Soper, B. 2015. *Does the engagement of clinicians and organisations in research improve healthcare performance: a three-stage review*. BMJ Open, 5(12), e009415.

- Brommels M, Hansson J, Granström E, Wåhlin E. 2013. *Professionen, pennan och pengarna – regionala skillnader i användningen av läkemedel*. Rapport från SNS forskningsprogram Värdet av nya läkemedel.
- Bröstcancerföreningen 2016. *Bröstcancerkvinnorna som världen glömde. Spridd bröstcancer*.
- Claxton, K., Palmer, S., Sculpher, M. & Walker, S. 2010. *Appropriate perspectives for health care decisions*. The University of York.
- COWI. 2016. *Analyse af priser på sygehusmedicin i fem lande*. Rapport, Sundheds- og ældreministeriet, Danmark.
- Cutler DM, Long G, Berndt ER, et al. *The value of antihypertensive drugs: a perspective on medical innovation*. Health Aff. 2007;26(1):97–110.
- Dagens medicin, Apoteksföreningen försvarar förhandlingsrätt. Artikel publicerad 2016-06-15.
- Dahlstrand J & Sandberg F. 2016. *An analysis of the decision making process of the TLV and the willingness-to-pay for health care in Sweden*. Magisterexamensprojekt vid Handelshögskolan, Göteborgs universitet.
- Davis Courtney, Naci Huseyin, Gurpinar Evrim, Poplavska Elita, Pinto Ashlyn, Aggarwal Ajay et al. 2017. *Availability of evidence of benefits on overall survival and quality of life of cancer drugs approved by European Medicines Agency: retrospective cohort study of drug approvals 2009–13*. BMJ. 359: j4530.
- Ds 2002:53 *Prissättning inom läkemedelsförmånerna*.
- Ds 2017:29. *Utökade möjligheter till utbyte av läkemedel*.
- Edlin, R., Hall, P., Wallner, K., and McCabe, C. 2014. *Sharing risk between payer and provider by leasing health technologies: an affordable and effective reimbursement strategy for innovative technologies?* Value Health 17: 438–444.
- Eichler HG, Hurts H, Broich K, Rasi G. 2016. *Drug Regulation and Pricing – Can Regulators Influence Affordability?* N Engl J Med. 374:1807–9.
- Eichler m.fl. 2015. *From Adaptive Licensing to Adaptive Pathways: Delivering a Flexible Life-Span Approach to Bring New Drugs to Patients*. Clin Pharmacol Ther. 97: 234–46.

- Eichler, Hans-Georg, Hugo Hurts, Karl Broich, and Guido Rasi. 2016. *Drug Regulation and Pricing – Can Regulators Influence Affordability?* N Engl J Med 374;19.
- EMA oktober 2017, <http://www.ema.europa.eu/ema/>
- EMA, Conditional marketing authorisation Report on ten years of experience at the European Medicines Agency, 2006-2016.
- EMA, Enhanced early dialogue to facilitate accelerated assessment of PRIority Medicines (PRIME), /CHMP/57760/2015.
- Erntoft S. 2011. *Pharmaceutical priority setting and the use of economic evaluation: a systematic literature review*. Value Health.14:587–99.
- Eurostat 2017. *Key figures on Europe*, 2016 edition.
- Ekman, M. 2005. The Economic Cost of Low Back Pain in Sweden in 2001, *Acta Othopaedica*. 76: 275–284.
- Europeiska kommissionen 2012. *Ändrat förslag till Europa-parlamentets och rådets direktiv om insyn i de åtgärder som reglerar prissättningen på humanläkemedel och deras inordnande i de allmänna sjukförsäkringssystemen*. 2012/0035 (COD).
- Europeiska kommissionen 2015. *Withdrawal of Commission proposals*. Official Journal of the European Union, (2015/C 80/08).
- Europeiska kommissionen 2017. *Antitrust: Commission opens formal investigation into Aspen Pharma's pricing practices for cancer medicines*. Pressmeddelande 15 maj 2017.
http://europa.eu/rapid/press-release_IP-17-1323_en.htm
- EvaluatePharma 2017. *World Preview 2017*.
- FDA. 2015. *Targeted Drug Development: Why Are Many Diseases Lagging Behind?*
- Ferrario A, Kanavos P. 2015. *Dealing with uncertainty and high prices of new medicines: a comparative analysis of the use of managed entry agreements in Belgium, England, the Netherlands and Sweden*. Soc Sci Med. 124: 39–47.
- Finansdepartementet 2015. *Bedömning av finanspolitikens långsiktiga hållbarhet*.
- Flume M, Bardou M, Capri S, Sola-Morales O, Cunningham D. 2016. *Feasibility and attractiveness of indication value-based pricing in key EU countries*. J Mark Access Health Policy. 10: 4.

- Folkhälsomyndigheten. 2014. Rapport. *Folkhälsoenkäten – Läke-medelsanvändning*.
- Folkhälsomyndigheten 2017. *Folkhälsans utveckling – årsrapport 2017*.
- Folkhälsomyndigheten och TLV, 2016. *Analys av förutsättningar för att testa en ny ersättningsmodell för antibiotika*. Rapportering av regeringsuppdraget Precisering av uppdraget angående tillgänglighet till antibiotika 2016-12-01.
- Förvaltningsrättens i Stockholm dom meddelad den 22 december 2011 i mål 43497-10
- Garrison LP Jr, Towse A, Briggs A, de Pouvourville G, Grueger J, Mohr PE, Severens JL, Siviero P, Sleeper M. 2013. *Performance-based risk-sharing arrangements-good practices for design, implementation, and evaluation: report of the ISPOR good practices for performance-based risk-sharing arrangements task force*. Value Health. 16:703-19.
- Gellad WF & Kesselheim A. 2017. *Accelerated Approval and Expensive Drugs – A Challenging Combination*. N Engl J Med. 376: 21.
- Gold, M.R., Siegel, J.E., Russell, L.B., Weinstein, M.C. 1996. *Cost-effectiveness in Health and Medicine*. Oxford University Press, New York.
- Gustavsson L, Korkmaz S, Persson ME, Almvist H, Hjemdahl P, Julander M, Kristianson K, Ringertz B, Thörnwall Bergendahl G, Wilking N. 2009. Rationell introduktion av nya läkemedel kräver både ett sjukvårds- och samhällsperspektiv. *Läkartidningen*, 106: 52.
- Harlid R & Bjerkestam M. 2017. Att styra och leda mot en hälsofrämjande hälso- och sjukvård. *Socialmedicinsk tidskrift* 94: 255-263.
- Herper M. 2017. *Price hike should give drug companies a disgusting sense of deja-vu*. Forbes 170210.
- Hibbard JH, Greene J. 2013. *What the evidence shows about patient activation: better health outcomes and care experiences; fewer data on costs*. Health Aff (Millwood). 32:207-14.
- Herper M. 2017. Why Did That Drug Price Increase 6,000%? It's The Law. *Forbes*, 10 February 2017.
- Hjärt-lungfonden 2016. *Hjärtrapporten*.
- Howard, Bach, Ernst, Berndt & Conti. 2015. Pricing in the Market for Anticancer Drugs. *Journal of Economic Perspectives*. 29: 139-162.

- Höjer H. 2014. Den lilla klicken som får klassklyftan att växa. *Forskning och framsteg*. 2014-04-30.
- Högsta förvaltningsdomstolens dom meddelad den 30 april 2014 i mål 5169-12
- Institute of Medicine (US) Roundtable on Value & Science- Driven Health Care. 2010. *Redesigning the Clinical Effectiveness Research Paradigm: Innovation and Practice-Based Approaches: Workshop Summary*. Olsen LA, McGinnis JM, eds. Washington, DC: The National Academies Press 2010.
- IMS 2010. Rapport. *Ojämlig hälso- och sjukvård – en rapport om regionala skillnader i läkemedelsbehandling i Sverige 2009*.
- IMS 2013. *Patient access to biological drugs in treatment of psoriasis*.
- IMS 2015. *Developments in Cancer Treatments, Market Dynamics, Patient Access and Value*, Global Oncology Trend Report. May 2015.
- Ioannidis JP, Garber AM. 2011. *Individualized cost-effectiveness analysis*. PLoS Med. 8:7.
- Jenssen, S. 2014. Pensionärers anmälan till DO fick myndighet att tänka i nya banor. *LIF-Time*, 1 april 2014.
- Jha AK, Aubert RE, Yao J, Teagarden JR, Epstein RS. *Greater adherence to diabetes drugs is linked to less hospital use and could save nearly \$5 billion annually*. Health Aff. 2012;31(8):1836–1846.
- Johannesson, M., Jonsson, B., Jonsson, L., Kobelt, G. and Zethraeus, N. 2009. *Why Should Economic Evaluations of Medical Innovations Have a Societal Perspective?* OHE Briefing Nr 51.
- Johansson P, Tillgren P. 2011. Financing intersectoral health promotion programmes: Some reasons why collaborators are collaborating as indicated by cost-effectiveness analyses. *Scandinavian Journal of Public Health*. 39(Suppl 6): 26–32.
- Juncker, Jean-Claude, 2014. *A New Start for Europe: my agenda for jobs, growth, fairness and demographic change*. European Commission.
- Jönsson B, Wilking N. 2014. New cancer drugs in Sweden: Assessment, implementation and access. *Journal of Cancer Policy*. 2: 45–62.

- Karlsson G, Eriksson M. 2017. Ska patienter tvingas flytta på grund av skillnader i förskrivning? *Dagens Medicin*. Publicerad 21 juli 2017.
- Kim C, Prasad V. 2015. *Cancer Drugs Approved on the Basis of a Surrogate End Point and Subsequent Overall Survival. An Analysis of 5 Years of US Food and Drug Administration Approvals*. JAMA Intern Med. 175:1992–1994.
- Kimmelman J. et al. 2017. *Drug Development at the Portfolio Level Is Important for Policy, Care Decisions and Human Protections*. JAMA 318: 1003–1004.
- Konjunkturinstitutet 2017. *Hållbarhetsrapport för de offentliga finanserna*. Specialstudier nr 54.
- Konkurrensverkets 2016. *Olika pris för samma läkemedel. En kartläggning av landstingens priser vid upphandlingar av rekvisitionsläkemedel*. Rapport 2016:5.
- Konkurrensverkets 2017. *Prismodeller och prispress på läkemedelsmarknaden*. Rapport 2017:9.
- KORA (Det Nationale Institut for Kommuers og Regioners Analyse och Forskning) 2017. *Kortlægning av lægemiddelområdet i de nordiske lande*.
- Kruse, M., Sørensen, J. & Gyrd-Hansen, D. 2012. *Future costs in cost-effectiveness analysis: an empirical assessment*. Eur J Health Econ 13: 63.
- M. Kuchenreuther and M. Abrams. *Risk-Sharing Agreements in the EU and Considerations for Moving Forward*. Pharmaceutical Technology Europe 27 (11) 10–13 (2015).
- NT-rådet 2015. *Bedömning av betalningsvilja*. Publicerad via Janusinformation.
- Könberg B, 2014. *Det framtida nordiska hälsosamarbetet*. Nordiska Ministerrådet.
- Lairson DR, Parikh RC, Cormier JN, Chan W, Du XL. 2015. *Cost-Effectiveness of Chemotherapy for Breast Cancer and Age Effect in Older Women*. Value Health. 18: 1070–8.

- Levin LÅ, Andersson, Anell, Heintz, Hoffman, Schmidt & Carlsson 2010. *Styrformer för effektiv läkemedelsanvändning*. Centrum för utvärdering av Medicinsk Teknologi, Linköpings universitet. Rapport på uppdrag av SKL. <http://www.nepi.net/res/dokument/CMT-Styrformer-foer-effektiv-laekemedelsanvaendning.pdf>
- LIF 2014. *Användning av läkemedel som ingått i klinikläkemedelsprojektet*.
- LIF 2016. FOU 2016. *Forskning och utveckling av läkemedel i Sverige*.
- LIF 2016. *Läkemedelsmarknaden och hälso- och sjukvården*. LIF Fakta.
- LIF och SKL 2016. Begäran om tilläggsdirektiv till utredningen Ökat fokus på kvalitet och säkerhet på apoteksmarknaden, 2016-06-07.
- LIF 2017. *Uppföljning av processerna för introduktion av nya läkemedel i Sverige*, presentation.
- LIF odaterad. *Forskning & Utveckling*. Information från LIF:s hemsida. <http://lif.se/fragor-vi-arbetar-med/i-fokus/forskning/>
- Lairson DR, Parikh RC, Cormier JN, Chan W, Du XL. 2015. Cost-Effectiveness of Chemotherapy for Breast Cancer and Age Effect in Older Women. *Value Health*. 2015; 18(8):1070-8.
- Lauer MS and D'Agostino RB. The randomized registry trial--the next disruptive technology in clinical research? *N Engl J Med*. 2013; 369: 1579-81.
- LFN, Genomgången av läkemedel mot sjukdomar orsakade av magsyra, april 2006.
- Loikas, Wettermark, von Euler, et al. 2013. *Differences in drug utilisation between men and women: a cross-sectional analysis of all dispensed drugs in Sweden*. *BMJ Open* 2013;3: e002378. doi:10.1136/bmjopen-2012-002378.
- Lundin, D. and Ramsberg, J. 2008. *On survival consumption costs – a reply to Nyman*. *Health Econ.*, 17: 293–297.
- Läkemedelsverket 2016. *Årsstatistik för kliniska läkemedelsprövningar*.
- Läkemedelsverket 2014. *Uppföljning av nationella läkemedelsstrategin på mål- och insatsnivå*.

- Marmot M. 2005. Social determinants of health inequalities. *Lancet*; 365: 1099–104.
- McKee, S. 2012. Sanofi withdraws Campath in US and EU. *Pharmatimes*. 21 augusti 2012.
- Meltzer, D. 1997. *Accounting for future costs in medical cost-effectiveness analysis*. J. Health Econ. 16(1), 33–64 (1997).
- Mestre-Ferrandiz J, Towse A, Dellamano R, Pistollato M. 2015. *Multi-indication pricing: pros, cons, and applicability to the UK*.
- Modig, Karin, Anders Ahlbom och Tomas Andersson *Sjukdomspanoramat i Stockholm – idag och i framtiden*. Karolinska Institutets folkhälsoakademi 2010:25.
- Moorcraft SY, Marriott C, Peckitt C, et al. 2016. *Patients' willingness to participate in clinical trials and their views on aspects of cancer research: results of a prospective patient survey*. Trials. 17:17.
- Morel T, Arickx F, Befrits G, Siviero P, van der Meijden C, Xoxi E, Simoens S. 2013. *Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries*. Orphanet J Rare Dis. 24:198.
- Mukherjee S. 2017. Donald Trump Just Sent Drug Stocks Tumbling – Again. *Fortune*, 10 mars 2017.
- Namslauer A. och Gómez de la Torre J. 2017. *Where is life-science heading in the future?* Stockholm science city foundation.
- Neovius, Sundström, Simard, Wettermark, Cars, Feltelius, Askling och Klareskog ARTIS Study Group. 2011. *Small-area variations in sales of TNF inhibitors in Sweden between 2000 and 2009*. Scand J Rheumatol. 40: 8–15.
- NEPI 2011. *Särläkemedel i Sverige*. Rapport.
- NEPI 2012. *Användningen av abirateron (Zytiga) i Sverige*.
- Nordberg G, E von Strauss, I Kåreholt, L Johansson och A Wimo 2005. The Amount of Informal and Formal Care among Non-demented and Demented Elderly Persons-results from a Swedish Population-based Study. *International Journal of Geriatric Psychiatry*. 9: 862–871.
- NT-rådets information om Darzalex: ”Varför dröjer NT-rådets rekommendation gällande Darzalex?”, 2017-07-06.

- Nyman J.A.: 2004. Should the consumption of survivors be included as a cost in cost-utility analysis? *Health Econ.* 13: 417–427.
- OECD. 2008. *Pharmaceutical Pricing Policies in a Global Market*.
- OECD. 2015. *Dementia Research and Care: Can Big Data Help*.
- OECD. 2015. *Results from PISA 2015*.
- OECD. 2016. *Pharmaceutical Expenditure And Policies: Past Trends and Future Challenges*.
- OECD. 2017. *Ministerial Statement "The Next Generation of Health Reforms"*.
- OECD. 2017. *New Health Technologies. Managing Access, Value and Sustainability*.
- OECD. 2017. *Economic survey of Sweden*.
- Ohlsson, Lynch och Merlo 2010. *Is the physician's adherence to prescription guidelines associated with the patient's socio-economic position? An analysis of statin prescription in South Sweden*. J Epidemiol Community Health. 64: 678–83.
- Ohlsson, Librero, Sundquist, Sundquist, Merlo. 2011. *Performance evaluations and league tables: do they capture variation between organizational units? An analysis of 5 Swedish pharmacological performance indicators*. Med Care. 49: 327–31.
- Ohlsson och Merlo. 2011. *Small-area variations in sales of TNF inhibitors in Sweden between 2000 and 2009: comments on the article by M Neovius et al*. Scand J Rheumatol. 40: 243–4.
- O'Neill Jim 2016. *Tackling drug-resistant infections globally: final report and recommendations*. The review of antimicrobial resistance.
- Orphanet. 2017. *Lists of medicinal products for rare diseases in Europe*.
- Ozdemir BA, Karthikesalingam A, Sinha S, Poloniecki JD, Hinchliffe RJ, Thompson MM, Gower JD, Boaz A, Holt PJ. 2015 . *Research activity and the association with mortality*. PLoS One. 26;10:e0118253.

- Panteli D, Arickx F, Cleemput I, Dedet G, Eckhardt H, Fogarty E, Gerkens S, Henschke C, Hislop J, Jommi C, Kaitelidou D, Kawalec P, Keskimäki I, Kroneman M, Lopez Bastida J, Pita Barros P, Ramsberg J, Schneider P, Spillane S, Vogler S, Vuorenkoski L, Wallach Kildemoes H, Wouters O, Busse R. 2016. *Pharmaceutical regulation in 15 European countries: Review*. Health Systems in Transition. 18: 1–118.
- Papaluca et al. 2015. *White spots in pharmaceutical pipelines—EMA identifies potential areas of unmet medical needs*. Expert Review of Clinical Pharmacology. 8: 353–360.
- Paris, V. and A. Belloni. 2013. *Value in Pharmaceutical Pricing*. OECD Health Working Papers, No. 63.
- Paulsson Rönnbäck E. Ålder vägs in i medicinnota. Artikel i *Svenska Dagbladet*. Publicerad 10 mars 2013.
- Pauwels 2017. Managed Entry Agreements for Oncology Drugs: Lessons from the European Experience to Inform the Future. *Frontiers in Pharmacology*. 04 April 2017.
- Persson U. 2017. *En ny modell för prioritering och finansiering av läkemedel för mycket sällsynta sjukdomar*. Kommissionen för innovativa sällskämedel.
- Porter ME 2009. A Strategy for Health Care Reform – Toward a Value-Based System. *N Engl J Med*. 361:109–112.
- Prop. 1996/97:27 Läkemedelsförmåner m.m.
- Prop. 1997/98:101 Översyn av förvaltningsprocessen; en allmän regel om domstolsprövning av förvaltningsbeslut m.m.
- Prop. 2001/02:63 De nya läkemedelsförmånerna.
- Prop. 2002/03:42 Vissa förbrukningsartiklar.
- Prop. 2003/04:155 Ändringar i det kommunala utjämnningssystemet
- Prop. 2008/09:145 Omreglering av apoteksmarknaden.
- Prop. 2013/14:93 Ökad tillgänglighet och mer ändamålsenlig prissättning av läkemedel.
- Prop. 2015/16:143. *Läkemedel för särskilda behov*.
- Prop. 2015/16:1 Budgetpropositionen för 2016, Utgiftsområde 9
- Prop. 2017/18:1 UO25. *Budgetpropositionen 2018*.
- QuintilesIMS 2017. *Pricing and market access outlook*. 2017 Edition.

- Rashidian A, Omidvari A, Vali Y, Sturm H, Oxman AD. 2015. *Pharmaceutical policies: effects of financial incentives for prescribers*. Cochrane Database of Systematic Reviews 2015, Issue 8. Art. No.: CD006731.
- Ramsberg J. & Ekelund M. 2011. Stuprörstänkande gör samhällets kostnader för ohälsa onödigt höga. *Ekonomisk Debatt*. 39: 41–53.
- Regeringen 1997. Överenskommelse om särskilt statsbidrag till landstingen för läkemedelsförmånens kostnader år 1998 m.m., 1997-09-11.
- Regeringen 1999. Överenskommelse om särskilt statsbidrag till landstingen för läkemedelsförmånens kostnader år 1999 m.m., 1999-04-22.
- Regeringen 2000. Överenskommelse om statens ersättning till landstingen för läkemedelsförmånens kostnader åren 2000 och 2001 m.m., 2000-12-08.
- Regeringen 2001. Överenskommelse om fördelning mellan landstingen av statens ersättning för läkemedelförmånens kostnader åren 2002-2004, 2001-12-03
- Regeringen 2004. Överenskommelse om statens ersättning till landstingen för kostnaderna för läkemedelsförmånerna åren 2005 t.o.m. 2007, 2004-09-08.
- Regeringen 2008. Överenskommelse om statens ersättning till landstingen för kostnaderna för läkemedelsförmånerna 2008, 2008-01-18.
- Regeringen 2009. Överenskommelse om statens ersättning till landstingen för kostnaderna för läkemedelsförmånerna 2009-2010, 2009-03-18.
- Regeringen 2015. Överenskommelse om statens bidrag till landstingen för kostnader för läkemedelsförmånerna m.m. 2015, 2015-03-06.
- Regeringen 2016. Överenskommelse om statens bidrag till landstingen för kostnader för läkemedelsförmåner m.m. 2016, 2016-06-09.
- Regeringen 2017. Överenskommelse om statens bidrag till landstingen för kostnader för läkemedelsförmåner m.m. 2017, 2017-05-15.

- Regeringen 2016. *Riksrevisionens rapport om statens styrning genom riktade statsbidrag inom hälso- och sjukvården*. Regeringens skrivelse 2016/17:110.
- Region Norrbotten, *Anvisning om receptförskrivning eller rekvisition av läkemedel i öppenvård*, 2016-07-20.
- Region Norrbotten. *Forskningsboks slut 2016*.
- Reichel, J. 2015. *En förvaltningsrättslig analys av Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets handläggning av vissa ärenden inom läkemedelsförmånen*.
- Reichel, J. 2016. *Uppföljning av en förvaltningsrättslig analys av Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets handläggning av vissa ärenden inom läkemedelsförmånen*.
- Renwick M, Simpkin V, Mossialos E. 2016. *Targeting innovation in antibiotic drug discovery and development*. European Observatory for Health Systems and policies. Health Policy Series, Study no 45.
- Renwick M, Simpkin V, Mossialos E. 2016. *Targeting innovation in antibiotic drug discovery and development*. European Observatory for Health Systems and policies. Health Policy Series, Study no 45.
- Riksrevisionen 2016. *Statens styrning genom riktade statsbidrag inom hälso- och sjukvården*. RiR 2016:29.
- Riksrevisionen 2017. *Staten och SKL – en slutrapport om statens styrning på vårdområdet*. RiR 2017:3.
- Rosén M. 2010. *Guldgruvan i hälso- och sjukvården*. SKL.
- Salas-Vega S, Mossialos E. *Cancer Drugs Provide Positive Value In Nine Countries, But The United States Lags In Health Gains Per Dollar Spent*. Health Aff (Millwood). 2016. 35:813–23.
- SCB 2015. *Sveriges framtida befolkning 2017–2060*.
- Schork NJ 2015. *Time for one-person trials*. Nature. 520: 609–611
- Shah SA, Velardo C, Farmer A, Tarassenko L. Exacerbations in Chronic Obstructive Pulmonary Disease: Identification and Prediction Using a Digital Health System. *J Med Internet Res* 2017;19(3):e69.
- SKL 2010. *Framtidens utmaning: välfärdens långsiktiga finansiering*.
- SKL 2013. *Positionspapper Hälsofrämjande hälso- och sjukvård*.

- SKL. 2013. *Prissättning, introduktion och uppföljning av läkemedel – i samverkan.*
- SKL 2015. Preliminär rapport. *Ordnat införande Hepatit C – Uppföljning januari 2014 – augusti 2015.*
- SKL 2016. *Förutsättningar för innovation 2015.* Enkätundersökning om kommuner, landsting och regioners syn på innovationsfrågor.
- SKL 2016. *Färre och mer effektiva riktade statsbidrag till kommuner, landsting och regioner.*
- SKL 2016. Remissvar *Effektiv vård* (SOU 2016:2).
- SKL 2016. *Så vässar vi vården.*
- SKL 2016. *Patienter behöver forskning för att få bästa möjliga vård – inte bara idag utan även imorgon.* SKL:s positionspapper om klinisk forskning.
- SKL 2016. *Beteenden och behov hos personer i kontakt med vården.* Rapport analysuppdrag; Flippen.
- SKL 2017. *Ekonomirapporten.* Maj 2017.
- SKL 2017. Pressmeddelande. *SKL välkomnar välfärdssatsningar.* SKL, 28 september 2017.
- SKL 2017. *Uppföljning av nationellt ordnat införande av läkemedel.*
- Skärby R. Chorell E, Karling P. 2014 Ökat omvårdnadsbehov främsta orsak till lång vårdtid på medicinklinik. Retrospektiv journalstudie styrker att tidig vårdplanering skulle kunna ge bättre platstillgång. *Läkartidningen*. 111:CMM9.
- SNS 2014. Konjunkturrådets rapport 2014. *Hur får vi råd med välfärden?*
- Socha-Dietrich Karolina, Chris James och Agnes Chouffinhal 2017. ”Reducing ineffective health care spending on pharmaceuticals”, in *OECD Tackling Wasteful Spending on Health*. OECD publishing. 2017. Paris.
- Socialdepartementet och SKL, *Ny behovsmodell för läkemedel?* 2012-02-27.
- Socialdepartementet 2017. *Nya antibiotika nödvändigt för framtiden.* Pressmeddelande från Annika Strandhäll. Publicerad 19 oktober 2017. Uppdaterad 19 oktober 2017.

- Socialstyrelsen, *Beskrivning och analys av hur regelverket för läkemedelsförsörjningen tillämpas utifrån dagens hälso- och sjukvård*, odaterad
- Socialstyrelsens, Förbrukningsartiklar i läkemedelsförmåner
Medicintekniska produkter för att tillföra kroppen läkemedel, för egenkontroll av medicinering samt för stomivård, artikelnummer: 2003-107-14.
- Socialstyrelsen 2005. *Kostnadsfrihet vid undersökning, vård och behandling av allmänfarlig sjukdom*. Meddelandeblad, nr 2005-1-9.
- Socialstyrelsen 2009. *Hälso- och sjukvårdsrapport 2009*.
- Socialstyrelsen 2012. *Anhöriga som ger omsorg till närstående – omfattning och konsekvenser*.
- Socialstyrelsen 2013. *Nationell utvärdering 2013 – Bröst-, prostata-, tjocktarms- och ändtarmscancervård. Indikatorer och underlag för bedömningar*.
- Socialstyrelsen 2014: Rapport. *Nationella riktlinjer – Utvärdering Vård vid rörelseorganens sjukdomar*.
- Socialstyrelsen 2014: Rapport. *Nationell utvärdering – Vård och omsorg vid demenssjukdom*.
- Socialstyrelsen 2015a: *Öppna jämförelser*.
- Socialstyrelsen 2015b: Rapport. *Nationell utvärdering – Hjärtsjukvård*.
- Socialstyrelsen 2016. *Läkemedelsförsäljningen i Sverige – analys och prognos*.
- Socialstyrelsen 2017. *Läkemedelsförsäljning i Sverige – Analys och prognos 2017–2019*.
- SOU 1997:165 *Läkemedel i priskonkurrens*.
- SOU 2000:86 *Den nya läkemedelsförmånen*.
- SOU 2007. *Hållbar samhällsorganisation med utvecklingskraft, Ansvarskommitténs slutbetänkande*. SOU 2007:10
- SOU 2011:35. *Bättre insatser vid missbruk och beroende*.
- SOU 2012:75 *Pris, tillgång och service - fortsatt utveckling av läkemedels- och apoteksmarknaden*.
- SOU 2013:87. *Starka tillsammans*.
- SOU 2015:98. *Träning ger färdighet. Koncentrera vården för patientens bästa*.
- SOU 2016:2. *Effektiv vård*.

SOU 2016:48. *Regional indelning – tre nya län.*

SOU 2017:48. *Kunskapsbaserad och jämlik vård – Förutsättningar för en lärande hälso- och sjukvård.*

Svensson M, Nilsson FO, Arnberg K. 2015. Reimbursement Decisions for Pharmaceuticals in Sweden: The Impact of Disease Severity and Cost Effectiveness. *Pharmacoeconomics*. 33: 1229–36.

The economist intelligence unit 2016. *World industry outlook – Healthcare and pharmaceuticals.*

TLV 2008. *Hälsoekonomi*. Publicerad 27 oktober 2008, uppdaterad 17 januari 2017. <https://www.tlv.se/lakemedel/halsoekonomi/>

TLV 2014. *Ny tillämpning av etiska plattformen*. Publicerad 18 juli 2014, uppdaterad 8 maj 2015. <https://www.tlv.se/lakemedel/halsoekonomi/Ny-tillampning-av-etiska-plattformen/>

TLV, Besparingsbeting enligt budgetpropositionen för 2014, dnr 2163/2014.

TLV, Slutrapport om receptbelagda läkemedel utanför läkemedelsförmånerna, dnr 1551/2014

TLV 2014. *Efterlevnad av subventionsbegränsningar på läkemedel*. Publicerad 21 augusti 2014, uppdaterad 18 januari 2016. <https://www.tlv.se/lakemedel/efterlevnad-av-subventionsbegransningar/>

TLV 2015. *Internationell prisjämförelse av läkemedel*. 2015. Dnr 3999/2015.

TLV 2015. *Utveckling av trepartsöverläggningar*. Publicerad 2015, uppdaterad 2017.

TLV 2016. *Uppdrag att redovisa arbetet med att utveckla den värdebaserade prissättningen för läkemedel inom förmånerna*. Rapport oktober 2016. Dnr 1133/2016.

TLV 2016. *Analys av marknaden för biologiska läkemedel med konkurrens av biosimilarer*. Dnr 1751/2016

TLV 2016. *2016 års uppföljning av apoteksmarknadens utveckling*, 3457/2016.

TLV 2017. *Uppföljning av läkemedelskostnader*, Rapport juni 2017. Dnr. 1621/2017.

- TLV 2017. *Internationell prisjämförelse av läkemedel 2016 – en analys av svenska läkemedelspriser i förhållande till 19 andra europeiska länder*. 2017. Dnr: 113/2017.
- TLV 2017. *En kartläggning av stomimarknaden i Sverige*. Dnr 310/2017.
- TLV 2017. *Utvecklingen av trepartsöverläggningarna*.
- TLV 2017. *Prognos för besparing från sidoöverenskommelser belåret*. <https://www.tlv.se/lakemedel/efterlevnad-av-subsventionsbegransningar/> [2017-08-03]
- Torvinen S, Färkkilä N, Risto PR, Sintonen H, Saarto T & Taari K. 2016. Costs in different states of prostate cancer, *Acta Oncologica*, 55: 30–37.
- Toumi M, Jarosławski S, Sawada T, Kornfeld Å. 2017. The Use of Surrogate and Patient-Relevant Endpoints in Outcomes-Based Market Access Agreements: Current Debate. *Applied Health Economics and Health Policy*. 15:5–11.
- Towse A, Garrison LP Jr. 2010. Can't get no satisfaction? Will pay for Performance help? Toward an economic framework for understanding performance-based risk sharing agreements for innovative medical products. *Pharmacoeconomics*. 28:93–102.
- van Harten WH, Wind A, de Paoli P, Saghatchian M, Oberst S. 2016. Actual costs of cancer drugs in 15 European countries. *Lancet Oncol*. 17:18–20.
- Vernier I, Stremersch S, Croux C. 2011. The global entry of new pharmaceuticals: A joint investigation of launch window and price. *Intern. J. of Research in Marketing* 28:295–308.
- Vernon JA. 2005. Examining the link between price regulation and pharmaceutical R&D investment. *Health Econ*. 14:1–16.
- Vetenskapsrådet och Kliniska studier Sverige. *Hur gör vi kliniska studier till en integrerad och självklar del av hälso- och sjukvården?*. Presentation. <http://www.kliniskastudier.se/download/18.3196cbc6159d05e1d83a37/1486484024776/presentationkliniskastudieralmedalen.pdf>
- Vogler, Lepuschütz, Schneider, Stühlinger. 2015. *Study on enhanced cross-country coordination in the area of pharmaceutical product*

- pricing*. Gesundheit Österreich Forschung- und Planungs GmbH 2015.
- Vogler S, Vitry A, Babar ZU. 2016. Cancer drugs in 16 European countries, Australia, and New Zealand: a cross-country price comparison study. *Lancet Oncol*. 17:39–47.
- Vårdanalys. 2012. *Grönt ljus för öppna jämförelser?* Rapport 2012:4.
- Vårdanalys 2013. *Statens styrning av vården med prestationsbaserad ersättning*. Rapport 2013:8.
- Vårdanalys 2013. *Vårdanalys ur led är tiden*. Rapport 2013:9.
- Vårdanalys 2014. *VIP i vården? – Om utmaningar med vården av personer med kronisk sjukdom*. Rapport 2014:2.
- Vårdanalys 2014. *En mer jämlik vård är möjlig*. Rapport 2014:7.
- Vårdanalys 2016. *Vården ur befolkningens perspektiv*. PM 2016:5.
- Vårdanalys 2016. *Vad står på spel? Om nyttan med digitala hälso-uppgifter och risker ur ett integritetsperspektiv*. Rapport 2016:3.
- Vårdanalys 2017. *Lag utan genomslag*. Rapport 2017:2.
- Vårdanalys 2017. *Lapptäcke med otillräcklig täckning*. Slututvärdering av satsningen på nationella kvalitetsregister. Rapport 2017:4.
- Vårdanalys 2017. *Utvärdering av ordnat införande av nya läkemedel – Ordning i leden?* Rapport 2017:5.
- Wallerstedt SM, Wettermark B, Hoffmann M. 2016. *The First Decade with the Swedish Prescribed Drug Register – A Systematic Review of the Output in the Scientific Literature*. Basic Clin Pharmacol Toxicol. Epub 26 apr 2016.
- Weitoft, Rosén, Ericsson och Ljung. 2008. Education and drug use in Sweden – a nationwide register-based study. *Pharmacoepidemiol Drug Saf*. 17:1020–8.
- Wilking, Jönsson, Wilking och Bergh. 2010. Trastuzumab use in breast cancer patients in the six Health Care Regions in Sweden. *Acta Oncologica*. 49: 844–850.
- Williams IP, Bryan S. 2007. *Cost-effectiveness analysis and formulary decision making in England: findings from research*. Soc Sci Med. 65:2116–29.
- WHO 2014. *Antimicrobial resistance: global report on surveillance 2014*.

Kommittédirektiv 2016:95

Finansiering, subvention och prissättning av läkemedel

Beslut vid regeringssammanträde den 17 november 2016

Sammanfattning

Nuvarande system för finansiering, subvention och prissättning av läkemedel är både komplext och svåröverskådligt och behöver ses över för att förbättra möjligheterna att bedriva en modern hälso- och sjukvård. Översynens övergripande mål är ett långsiktigt hållbart system som möjliggör en samhällsekonomiskt effektiv användning av läkemedel och följer den etiska plattform som gäller inom hälso- och sjukvården samtidigt som läkemedelskostnaderna kan hållas på en rimlig nivå. En tydlig ansvarsfördelning mellan stat och landsting, en jämlik och patientcentrerad vård, förutsägbara processer för berörda aktörer, samt goda förutsättningar för forskning och innovation till nytta för patienten ska eftersträvas. Den fråga som först bör utredas är ansvarsfördelningen mellan stat och landsting när det gäller finansieringen av läkemedel. Därefter bör det följa analys och förslag kring subventionering och prissättning av läkemedel.

Utredaren ska analysera och överväga om nuvarande system med ett särskilt statsbidrag för läkemedel inom förmånen är ändamålsenligt, eller om det bör förändras samt analysera hur finansieringssystemet för läkemedel, kan göras långsiktigt hållbart, effektivt, tydligt och mer förutsägbart för stat och landsting. Utredaren ska överväga olika alternativ för hur ansvarsfördelningen mellan stat och landsting när det gäller finansieringen av läkemedel kan utformas. Utredaren ska vidare analysera om det behövs en förändrad ansvarsfördelning mellan stat och landsting eller ett landstingsövergripande ansvar för

finansieringen av nya, effektiva läkemedel samt för läkemedel för sällsynta tillstånd. Utredaren ska väga för- och nackdelar med olika alternativa lösningar och därefter lämna förslag till åtgärder som utredaren bedömer bäst uppfyller målen.

Då finansiering av läkemedel och subventionering och prissättning av läkemedel är nära sammanlänkade ska de förslag som utredaren lämnar i finansieringsdelen även följas av lämpliga förslag för ett funktionellt och ändamålsenligt subventions- och prissättningssystem. Utredaren ska därför genomföra en analys av nuvarande system och det utvecklingsarbete som har genomförts och överväga olika prissättningsmodeller för läkemedel. Därefter ska utredaren föreslå ett subventions- och prissättningssystem som är anpassat till finansieringsmodellen och som skapar en god och jämlik tillgång till och användning av effektiva läkemedel i Sverige samtidigt som det inte ger ökade kostnader jämfört med dagens system. Om möjligt ska lägre kostnader eftersträvas.

Utredaren ska senast den 1 november 2017 lämna en delredovisning som innehåller en övergripande problembeskrivning och en beskrivning av inriktningen för det fortsatta arbetet.

Uppdraget ska slutredovisas senast den 1 december 2018.

Nuvarande regelverk

Landstingen och kommunerna är huvudmän för hälso- och sjukvården och har ansvaret både för utförande och finansiering. Sjukvård bedrivs enligt dagens regelverk som antingen öppen eller sluten vård. Denna indelning, som beskrivs närmare i det följande, har stor betydelse för hur de läkemedel som används i vården hanteras. Läkemedel finansieras på olika sätt och med olika fördelning mellan patienten och det offentliga i ett relativt komplext system. Läkemedel i öppen vård tillhandahålls i huvudsak via öppenvårdsapoteken och omfattas till stor del av läkemedelsförmånssystemet. Andra läkemedel upphandlas ofta av landstingen. För vissa kategorier av läkemedel gäller särskilda regler. Som en följd av hur finansieringen är utformad sker även prissättningen av läkemedel på olika sätt, t.ex. genom myndighetsbeslut, landstingens upphandlingar eller genom fri prissättning. För de läkemedel som ingår i läkemedelsförmånerna beslutar

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket om subvention och fastställer pris.

Hälso- och sjukvårdslagen

I 2 § hälso- och sjukvårdslagen (1982:763), förkortad HSL, anges att målen för hälso- och sjukvården är en god hälsa och en vård på lika villkor för hela befolkningen. Där slås också fast att vården ska ges med respekt för alla människors lika värde och för den enskilda människans värdighet. Den som har det största behovet av hälso- och sjukvård ska ges företräde till vården. Samtidigt ska ledningen av hälso- och sjukvården enligt 28 § vara organiserad så att den främjar kostnadseffektivitet. I 2 a § anges ett antal kriterier för vad som är en god vård. Enligt 3 och 3 c §§ ska ett landsting erbjuda dem som är bosatta inom landstinget och vissa andra som anges i paragraferna en god hälso- och sjukvård. Ett landsting ska även, enligt 4 §, vid behov erbjuda omedelbar vård åt den som vistas i landstinget.

Kraven på den vård som ska erbjudas preciseras i vissa avseenden i HSL. Några av dessa bestämmelser rör uttryckligen läkemedel. Av 3 e § framgår att landstinget får erbjuda den som får hälso- och sjukvård i hemmet (hemsjukvård) läkemedel utan kostnad. I 5 § definieras begreppen slutna respektive öppna vård.

I 18 § HSL regleras kommunernas ansvar för hälso- och sjukvård åt bl.a. dem som efter beslut av kommunen bor i vissa boendeformer samt möjligheten för kommuner att erbjuda hemsjukvård. I 18 d § finns bestämmelser om landstingens möjlighet att erbjuda läkemedel ur läkemedelsförråd till personer i särskilda boenden eller till dem som får hemsjukvård. Läkemedel ur förråden ska vara kostnadsfria för den enskilde. Landstinget svarar för kostnaderna för läkemedel som rekvireras till dessa förråd. I 26 och 26 a §§ finns bestämmelser om bl.a. vårdavgifter, avgifter för förbrukningsartiklar och högstkostnadsskydd.

Riksdagens prioriteringsriktlinjer

Riksdagen har beslutat om principer som ska gälla vid all prioritering inom hälso- och sjukvården, den s.k. etiska plattformen. Dessa principer är människovärdesprincipen, behovs- och solidaritetsprincipen

och kostnadseffektivitets-principen, vilka beskrivs närmare i propositionen Prioriteringar inom hälso- och sjukvården (prop.1996/97:60).

Människovärdesprincipen innebär att alla människor har lika värde och samma rätt oberoende av personliga egenskaper och funktioner i samhället. Det är oförenligt med principen att generellt låta behoven stå tillbaka på grund av ålder, födelsevikt, livsstil eller ekonomiska och sociala förhållanden.

Behovs- och solidaritetsprincipen innebär att resurserna bör fördelas efter behov, dvs. mer av resurserna bör fördelas till dem som har de största behoven, de svåraste sjukdomarna och den sämsta livskvaliteten.

Principen om kostnadseffektivitet innebär att en rimlig relation mellan kostnader och effekt, mätt i förbättrad hälsa och höjd livskvalitet, bör eftersträvas vid val mellan olika verksamhetsområden eller åtgärder.

Läkemedelsförmånerna

Prissättning av läkemedel som ingår i läkemedelsförmånerna regleras i lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m., förordningen (2002:687) om läkemedelsförmåner m.m. och Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets (TLV) föreskrifter. Författningarna innehåller bestämmelser om läkemedelsförmåner, prisreglering av varor som ingår i förmånerna och andra därmed sammanhängande frågor.

I 5 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. finns bestämmelser om kostnadsreducering för den enskilde vid köp av förmånsberättigade läkemedel.

Huvudregeln är att de läkemedel som kan ingå i läkemedelsförmånerna, ska vara receptbelagda. Med receptbelagda läkemedel avses läkemedel som lämnas ut från öppenvårdsapotek mot recept eller rekvisition. Ett receptfritt läkemedel får ingå i läkemedelsförmånerna endast om TLV har fattat beslut om detta och fastställt inköpspris och försäljningspris för läkemedlet.

Av 7 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. framgår att TLV ska besluta om ett läkemedel eller en vara ska ingå i läkemedelsförmånerna och fastställa inköpspris och försäljningspris som ska tillämpas av öppenvårdsapoteken. I 7 a och 7 b §§ samma lag finns bestämmelser om när öppenvårdsapoteken får använda andra än de av TLV fast-

ställda priserna. Detta brukar benämnas ”apotekens förhandlingsrätt”. Öppenvårdsapoteken får då köpa in läkemedel, som inte är utbytbara enligt 21 § första stycket, till priser som understiger det inköpspris som TLV har fastställt. De får vidare köpa in och sälja parallellimporterade läkemedel som är utbytbara enligt 21 § andra stycket, dvs. när det inte finns generisk konkurrens, till priser som understiger de fastställda priserna.

Enligt 15 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. ska ett receptbelagt läkemedel omfattas av läkemedelsförmånerna och ett inköpspris och försäljningspris fastställas under förutsättning att kostnaderna för användning av läkemedlet framstår som rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter och det inte finns andra tillgängliga läkemedel som är att bedöma som väsentligt mer ändamålsenliga.

I 21 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. finns regler om utbyte av läkemedel. Under vissa förutsättningar ska öppenvårdsapoteket expediera ett annat läkemedel än det som har förskrivits. En förutsättning för det är att läkemedlen är utbytbara mot varandra.

Förutom läkemedel kan läkemedelsförmånerna även omfatta vissa varor, bl.a. förbrukningsartiklar som används vid stomi, för att tillföra kroppen ett läkemedel eller för egenkontroll av medicinering. Lagen innehåller även bestämmelser om vilket landsting som ska ersätta kostnader för förmånerna.

Lagen om handel med läkemedel

Lagen (2009:366) om handel med läkemedel innehåller huvudsakligen bestämmelser om detaljhandel och partihandel med läkemedel och om sjukhusens läkemedelsförsörjning. Där finns bestämmelser om tillstånd och krav på verksamheten. Detaljhandel med läkemedel till konsument får endast bedrivas av den som fått Läkemedelsverkets tillstånd. En inrättning för sådan handel kallas öppenvårdsapotek. Tillstånd krävs också för partihandel med läkemedel. Detaljhandel till hälso- och sjukvården får bedrivas av den som har öppenvårdsapotekstillstånd eller partihandelstillstånd enligt vad som närmare anges i 4 kap. 1 §. Enligt 5 kap. 1 § ska vårdgivarna organisera läkemedelsförsörjningen till och inom sjukhus på ett sådant sätt att den bedrivs rationellt och så att behovet av säkra och effektiva läkemedel tryggas.

För dessa ändamål ska det finnas sjukhusapotek. Vårdgivaren ska anmäla till Läkemedelsverket hur läkemedelsförsörjningen till och inom sjukhus ska vara organiserad.

Andra viktiga författningar

Till de regelverk som har betydelse för frågorna som behandlas i detta direktiv hör bl.a. kommunallagen (1991:900), som innehåller grundläggande bestämmelser om kommuners och landstings organisation och verksamhet, lagen (2007:91) om offentlig upphandling, som ställer krav på förfarandet vid statens, landstingens och kommunernas upphandlingar och konkurrenslagstiftningen, som bl.a. innehåller förbud mot konkurrensbegränsningar och missbruk av dominerande ställning. På dessa områden finns även EU-rättsliga regleringar att ta hänsyn till, däribland rådets direktiv 89/105/EEG om insyn i de åtgärder som reglerar prissättningen på humanläkemedel och deras inordnande i de nationella sjukförsäkringssystemen, det s.k. transparensdirektivet.

Hälso- och sjukvården förändras och utvecklas

Sjukvård bedrivs enligt dagens regelverk antingen som öppen eller som sluten vård. För hälso- och sjukvård som kräver intagning i vårdinrättning finns det sjukhus och den vården kallas för sluten vård. All annan hälso- och sjukvård är öppen vård. Upphandlingar inom hälso- och sjukvården genomförs av landstingen var för sig eller av flera landsting gemensamt. Läkemedel inom den slutna vården, som ofta benämns rekvisitionsläkemedel (på grund av att klinikerna rekvirerar dem), betalas av landstingen och finansieras främst via landstingsskatten. Det finns också läkemedel som rekvireras till öppen vård t.ex. till vårdcentraler. Den största delen av de läkemedel som används i den öppna vården distribueras dock på öppenvårdsapoteken och bekostas dels av patienten, dels av det offentliga genom högkostnadsskyddet i den mån läkemedlen ingår i läkemedelsförmånerna.

Dagens lagstadgade uppdelning av vården i öppen respektive sluten vård bygger delvis på hur hälso- och sjukvård tidigare bedrevs. Denna uppdelning har emellertid i praktiken förändrats i takt med att nya sätt

att organisera hälso- och sjukvården utvecklats och nya behandlingsalternativ finns tillgängliga. Till exempel kan viss vård som tidigare endast kunde ges på sjukhus numera erbjudas i hemmet, så som vård i livets slutskede eller dialys. Vård kan även erbjudas på patienthotell.

Andra utredningars förslag kan komma att påverka utvecklingen

I betänkandet Trygg och effektiv utskrivning från slutenvård (SOU 2015:20) konstateras att utvecklingen sedan många år går mot att allt mer hälso- och sjukvård kan ges utanför sjukhusen. Mycket talar för att denna utveckling kommer att fortsätta. Utredningen har remitterats och bereds i Regeringskansliet.

I slutbetänkandet Effektiv vård (SOU 2016:2) föreslås att öppen vård ska vara huvudregel och att vård som inte kan tillgodoses i öppen vård ges som slutenvård. Detta synsätt är enligt utredaren egentligen praxis redan i dag. Utredaren påpekar även att det finns anledning att överväga om det fortsatt behövs en uppdelning i öppen respektive slutenvård. Vidare anges att gränserna mellan öppen och slutenvård nu är så oklara att det sannolikt inte är ändamålsenligt att upprätthålla någon exakt distinktion. När det gäller den slutna vården föreslår utredaren att denna ska kunna ges på vårdinrättning eller på annan plats. Betänkandet har remitterats och bereds i Regeringskansliet.

En annan utredning som rör vårdens organisation är Utredningen om högspecialiserad vård (S 2014:11) som hade i uppdrag att lämna förslag till hur den högspecialiserade vården kan utvecklas genom en ökad koncentration. Utredningen föreslog i sitt betänkande Träning ger färdighet – Koncentrera vården för patientens bästa (SOU 2015:98) en ny kunskaps- och beslutsstruktur för att nivåstrukturera den högspecialiserade vården. Utredningen konstaterar bl.a. att vården av mer sällsynta sjukdomar måste koncentreras. Betänkandet har remitterats och bereds i Regeringskansliet.

Den s.k. Indelningskommittén (Fi 2015:09) har i uppdrag att föreslå en ny läns- och landstingsindelning som innebär att Sverige delas in i väsentligt färre län och landsting. Syftet är att skapa en ändamålsenlig indelning och effektiva organisationer. Uppdraget ska slutredovisas senast den 31 augusti 2017.

I den mån dessa utredningar och den fortsatta processen leder till förändringar av landstingens och vårdens organisation kan det även påverka förutsättningarna för hur den framtida finansieringen av läkemedel bör utformas.

Utöver de ovan beskrivna utredningsförslagen finns andra pågående initiativ och arbeten som kan komma att påverka möjligheterna att följa upp användningen av läkemedel. Bland dessa finns arbetet med den nationella läkemedelslistan och med att strukturera journaldata. Även dessa processer kan vara intressanta för utredaren att bevaka för att se vilka möjligheter de kan innebära för utformningen av bl.a. subventions- och prissättningssystemet för läkemedel.

Patienters tillgång till effektiva läkemedel

För att möta de behov av läkemedel som finns inom hälso- och sjukvården bedömer regeringen att det behövs en tydlig och långsiktig finansiering, ett subventions- och prissättningssystem som innebär att de resurser som avsatts till läkemedel används på ett samhällsekonomiskt effektivt sätt och i enlighet med sjukvårdens etiska plattform, samt ett regelverk som stämmer överens med och stödjer hur modern hälso- och sjukvård bedrivs. Regeringen ser behov av en struktur som möjliggör att patienter över hela landet snabbt får tillgång till effektiva läkemedel till en rimlig kostnad för såväl patienten som det offentliga. I arbetet är det viktigt med tydligt patientfokus samt att de förslag som lämnas stödjer regeringens arbete med jämlik vård. Eftersom strukturella faktorer så som t.ex. en åldrande befolkning kommer att leda till högre kostnader för läkemedel är det viktigt att systemet ger förutsättningar för kostnadseffektiva priser på läkemedel under hela läkemedlets livscykel.

Vidare ska utredningens förslag eftersträva goda förutsättningar för forskning och innovation och vara långsiktigt hållbara i förhållande till framtidens olika typer av läkemedel och till hur framtidens vård bedrivs.

Den fråga som bör utredas och analyseras i ett första skede är hur ansvaret för finansieringen av läkemedel bör se ut i fråga om stat och landsting. Med denna analys som grund bör därefter analys och förslag kring subventionering och prissättning av läkemedel utformas. När det gäller landstingens läkemedelsförsörjning finns behov av

ytterligare kartläggning och analys vilket beskrivs närmare i nedanstående stycke.

*Regelverket för sjukvårdens läkemedelsförsörjning
kan behöva anpassas till en modern hälso- och sjukvård*

Den slutna vårdens läkemedelsförsörjning styrs av regleringen om sjukhusens läkemedelsförsörjning som begränsas till att gälla just vårdgivarens sjukhus. Detta innebär att läkemedel inte får rekvireras mellan sjukhus som drivs av olika vårdgivare men inom samma landsting. Öppenvårdsmottagningar får inte rekvirera läkemedel från sin vårdgivares sjukhusapotek utan ska i stället rekvirera läkemedel från ett öppenvårdsapotek. Läkemedel till patienter i hemmet och i särskilda boenden får varken rekvireras från sjukhusapotek eller från öppenvårdsapotek utan ska förskrivas på recept och hämtas ut på öppenvårdsapotek. I praktiken har dock gränsdragningen mellan öppen och slutna vård suddats ut i takt med att nya sätt att organisera hälso- och sjukvården och nya behandlingsalternativ finns tillgängliga. Som exempel kan nämnas att viss vård som tidigare endast kunde ges på sjukhus numera kan erbjudas i hemmet. Den öppna vården kan således utföras på en vårdmottagning men också i patientens hem eller i ett särskilt boende. Detta har skapat oklarheter om huruvida läkemedel ska införskaffas genom receptförskrivning eller rekvisition och om läkemedel ska distribueras via sjukhusapotek eller öppenvårdsapotek.

Det finns signaler om att nuvarande regelverk kan få till följd att patientens behov i vissa fall inte sätts först, t.ex. i situationer där det kan vara svårt för patienter att hämta ut sina egna läkemedel exempelvis vid vård i livets slutskede. Vidare försvåras möjligheten för landstingen att organisera läkemedelsförsörjningen utifrån hur de valt att organisera sin sjukvård. Ett exempel på detta är i landsting där akut-sjukhusen bedrivs av flera olika vårdgivare och därför inte kan ha ett gemensamt sjukhusapotek. Syftet med nuvarande regelverk är att säkerställa att läkemedelsförsörjningen bedrivs rationellt och att behovet av säkra och effektiva läkemedel tryggas.

För att få en bättre förståelse för vilka problem som regelverket för läkemedelsförsörjningen kan medföra utifrån hur hälso- och sjukvård numera bedrivs har regeringen gett Socialstyrelsen i uppdrag (dnr S2016/07172/FS) att beskriva och analysera tillämpningen av

regelverket. Då finansiering, prissättning och försörjning av läkemedel på flera sätt är sammanlänkade bedömer regeringen att denna utredning är mest lämpad att även se över delar av läkemedelsförsörjningen. Regeringen avser därför att återkomma med tilläggsdirektiv i denna del om myndighetens analys visar att problemet är av sådan omfattning att regelverket behöver ses över.

Övergripande mål för översynen

Utredaren ska i sina förslag eftersträva nedanstående mål. Målen kan i vissa fall innebära att målkonflikter uppstår och utredaren ska i de fallen göra bästa möjliga avvägning mellan målen. Målen ska nås på det samhällsekonomiskt mest effektiva sättet och innebär

- att användningen av läkemedel ska vara kostnadseffektiv ur ett samhällsperspektiv,
- god tillgång till befintliga och nya effektiva läkemedel till en rimlig kostnad,
- en jämlik och patientcentrerad vård,
- långsiktig hållbarhet genom att bidra till att läkemedelskostnaderna hålls på en rimlig nivå,
- tydlig ansvarsfördelning mellan stat och landsting,
- förutsägbara processer för berörda aktörer,
- att eftersträva goda förutsättningar för forskning och innovation till nytta för patienten.

Finansieringsmodellen behöver anpassas till ett modernt hälso- och sjukvårdssystem

Ansaret för kostnaderna för läkemedelsförmånerna flyttades från staten till landstingen den 1 januari 1998. Avsikten var då att staten efter en övergångsperiod i enlighet med finansieringsprincipen skulle kompensera landstingen via det generella statsbidraget till kommuner och landsting. Den slutliga regleringen av finansieringsövergången har därefter inte kommit till stånd utan landstingen kompenseras alltså för kostnaderna för läkemedelsförmånerna genom ett särskilt

statsbidrag. Under många år har staten och Sveriges Kommuner och Landsting (SKL) därför ingått överenskommelser om hur det särskilda statsbidraget till landstingen för kostnaderna för läkemedel ska hanteras. Parterna enades om att statsbidraget fr.o.m. 2002 skulle fördelas mellan landstingen utifrån en modell som beaktar befolkningens sammansättning med avseende på kön, ålder och vissa socio-ekonomiska variabler. Samtidigt infördes också en solidarisk finansiering mellan landstingen gällande vissa läkemedel som är mycket dyra och där behoven är ojämnt fördelade mellan landstingen. Syftet med förändringarna var bl.a. att ge de enskilda landstingen ett tydligare kostnadsansvar och därmed drivkrafter att hålla nere kostnaderna.

Staten och SKL eniga om behovet av en genomgripande översyn

I 2016 års överenskommelse mellan staten och SKL om statens bidrag till landstingen för kostnader för läkemedelsförmånerna m.m. enades parterna om att det finns ett behov av en genomgripande översyn av ersättningsmodellen för läkemedel som omfattas av överenskommelsen samt att en sådan översyn bör ske genom en statlig utredning. Parterna enades också om behovet av att, för såväl stat som landsting, hitta en mer långsiktig och förutsägbar finansieringsmodell som skapar förutsättningar att bedriva en modern och effektiv hälso- och sjukvård där patienter får tillgång till kostnadseffektiva behandlingar.

Därutöver enades parterna om vikten av att behålla ett nationellt prissättningssystem för läkemedel under den tid som utredningen arbetar och att eventuella större förändringar av prissättningssystemet ska ske under ordnade former inom ramen för utredningsarbetet.

Läkemedel finansieras på olika sätt

Läkemedel som hanteras inom läkemedelsförmånerna finansieras av staten genom ett särskilt statsbidrag till landstingen. Även patienterna finansierar en del av dessa läkemedel genom egenavgifter.

Läkemedel som förskrivs enligt smittskyddslagen finansieras i sin helhet av landstingen i och med att de är kostnadsfria för patienten. Landstingen har dock hittills fått ett visst statsbidrag för läkemedel för behandling av hiv och hepatit C.

Utöver ovanstående finansieringskategorier förekommer receptförskrivna läkemedel som inte ingår i förmånerna och som landstingen finansierar fullt ut. Det kan t.ex. röra sig om sådana läkemedel som av TLV inte bedöms vara kostnadseffektiva på gruppnivå men som däremot kan vara kostnadseffektiva att använda för enskilda patienter eller ett läkemedel som är kostnadseffektivt för användning vid en viss mindre indikation men inte för en annan.

Läkemedel som används i sluten vård finansieras däremot av landstingen. Dessa läkemedel upphandlas huvudsakligen av landstingen i enlighet med lagen om offentlig upphandling, förkortad LOU, och distribueras till patienten via kliniken. Via det särskilda statsbidraget för läkemedelsförmånerna har landstingen dock ersatts för delar av de läkemedel som förskrivs på rekvisition till sluten vård. Det har gällt sådana läkemedel som tidigare har hanterats inom förmånerna men som landstingen därefter har valt att i stället upphandla till sluten vård.

Det finnas även receptförskrivna läkemedel som inte ingår i förmånerna och som helt finansieras av patienten. Huvudregeln är att receptfria läkemedel betalas fullt ut av patienterna.

Komplexiteten innebär utmaningar för en effektiv vård

Dagens finansieringssystem för läkemedel är komplext och skapar drivkrafter, både för företagen och för landstingen, som leder till lösningar som inte alltid har patientperspektivet i fokus eller är samhälls-ekonomiskt effektiva. Systemet innebär t.ex. att det finns incitament att flytta läkemedel mellan systemen för att uppnå den mest fördelaktiga finansiella situationen snarare än att läkemedlen hanteras på det sätt som är mest effektivt i ett samhälls- eller patientperspektiv. Det skapar även onödig administration och uppföljningsbehov utifrån finansieringskälla snarare än resultat. Dessutom finns det problem med att avgöra i vilket system läkemedel hör hemma, då det många gånger kan vara så att ett och samma läkemedel kan användas både i öppen och i sluten vård eller förskrivas inom förmånerna eller i enlighet med smittskyddslagen. Det finns även skillnader i möjligheterna till uppföljning av olika typer av läkemedel beroende på om de är förskrivna läkemedel eller läkemedel på rekvisition. Läkemedel på rekvisition går t.ex. i nuläget inte att följa på individnivå.

Vården har utvecklats men finansieringsmodellen är oförändrad

Vården utvecklas ständigt vilket har medfört att uppdelningen i sluten och öppen vård har förändrats och att gränsdragningen mellan olika vårdformer har blivit otydlig. Det har även skett en utveckling mot att alltmer kvalificerad sjukvård bedrivs i hemmet.

Förutom förändringar i vårdstrukturerna genomfördes en omreglering av apoteksmarknaden 2009. Omregleringen innebar att Apoteket AB:s ensamrätt att bedriva detaljhandel med vissa läkemedel och varor upphörde. Omregleringen bestod av flera olika delar, däribland att vårdgivarna gavs ökad frihet att organisera läkemedelsförsörjningen till och inom sjukhus och att nya former för distribution av läkemedel utvecklades. Hur läkemedel finansieras kan ha betydelse för vilken form av distribution som både läkemedelsföretag och landsting finner mest attraktiv.

Vårdens strukturer och läkemedelsmarknaden har utvecklats på ett sådant sätt att det behöver analyseras om den nuvarande finansieringsuppdelningen och indelningen i övrigt av olika typer av läkemedel är ändamålsenlig. Rådande uppdelning i öppen- och slutenvårdsläkemedel bör därför ses över i syfte att skapa ett effektivt och förutsägbart system med en effektiv hantering och användning av läkemedel till nytta för patienten och samhället i övrigt.

För att möjliggöra en god och jämlik tillgång till nya och effektiva läkemedel i Sverige kan det övervägas om en annan finansieringslösning, t.ex. i form av förändrade ansvarsförhållanden mellan stat och landsting vad gäller nya och effektiva läkemedel eller om någon form av riskdelning kan vara lämplig. Det kan också övervägas när det gäller läkemedel för sällsynta tillstånd.

Kostnadsutvecklingen för läkemedel

Som en följd av bl.a. en åldrande befolkning ökar användningen av läkemedel och därmed också kostnaderna. Därutöver kan en rad olika faktorer påverka kostnadsutvecklingen. Under de närmaste åren kommer det att introduceras flera nya läkemedel inom en rad olika områden, exempelvis cancerområdet och nya särläkemedel. Många av de nya läkemedlen är relativt sett dyra samtidigt som de bedöms ha en lovande behandlingspotential. Dessutom förväntas relativt sett färre storsäljande läkemedel förlora patent de kommande åren vilket inne-

bär att kostnadsminskningen till följd av patentutgångar blir lägre än tidigare. Flera av de läkemedel som förlorar patent de närmaste åren är dessutom s.k. biologiska läkemedel.

Biologiska läkemedel och biosimilarer

Allt fler läkemedel är biologiskt framställda, dvs. har producerats i eller renats fram ur material av biologiskt ursprung (levande celler eller vävnad). Marknaden för biologiska läkemedel omsatte över 10 miljarder kronor 2015.

Biologiska läkemedel är mer komplexa än traditionella syntetiska läkemedel. Detta innebär att när de förlorar patent och det introduceras en biosimilar, dvs. ett läkemedel som liknar ett redan godkänt biologiskt läkemedel men som inte är en identisk kopia, har dessa inte bedömts som utbytbara på apotek på samma sätt som syntetiska läkemedel. Det innebär att utbyte på apotek som metod inte har kunnat användas för att skapa priskonkurrens på detta område. Andra mekanismer för att skapa priskonkurrens måste därför användas. Regeringens bedömning är att det är viktigt att skapa bästa möjliga priskonkurrens även när det gäller biologiska läkemedel och biosimilarer.

Höga priser på läkemedel kan innebära utmaningar för en jämlik vård

En del nya läkemedel är mycket dyra och kan därmed ha stor budgetpåverkan för det enskilda landstinget och även på enskilda kliniker i de fall där budgetansvaret är delegerat. Det kan i sin tur påverka olika landstings benägenhet att introducera läkemedlen och därmed patienternas tillgång till läkemedlen, vilket riskerar att ge en ojämlik tillgång till läkemedel över landet. Landstingen har dock under senare år arbetat gemensamt med en modell för ordnat införande av läkemedel. Målsättningen med arbetet är en jämlik och kostnadseffektiv läkemedelsanvändning för alla patienter i hela landet och att värdefulla läkemedel ska nå patienterna utan onödigt dröjsmål. Myndigheten för vård- och omsorgsanalys har regeringens uppdrag att följa och utvärdera nyttan av arbetet med ordnat införande (dnr S2016/01693/FS).

Läkemedel och hälso- och sjukvården är viktiga för life science

Hälso- och sjukvården är en central aktör för life science-området eftersom det ytterst är i hälso- och sjukvården som besluten om användning av nya och effektiva läkemedel fattas. Det engelska uttrycket life science brukar användas när det krävs ett gemensamt angreppssätt där näringslivets, hälso- och sjukvårdens och forskningens samverkan och synergier är centrala utgångspunkter.

Ett gott samarbete med hälso- och sjukvården är en förutsättning för mycket av den forskning som krävs för att utveckla nya läkemedel. Samverkan mellan vård, näringsliv och universitet och högskolor är därmed avgörande för att nya och effektiva läkemedel ska komma samhället till del. I syfte att ytterligare utveckla och stärka Sveriges globala attraktivitet inom life science har regeringen initierat ett strategiskt samverkansprogram inom området.

Regeringen strävar efter att hälso- och sjukvården ska vara modern, effektiv och under ständig utveckling för att på bästa sätt tillgodose befolkningens vårdbehov. För att vården ska kunna utvecklas är det viktigt att förutsättningarna för forskning och innovation är goda i landet. Att på ett ändamålsenligt sätt använda nya och effektiva läkemedel kan bl.a. bidra till regeringens ambitioner att förbättra förutsättningarna för forskning och innovation till nytta för patienten, hälso- och sjukvården och samhället i övrigt.

Den internationella konkurrensen för att bedriva kliniska studier har ökat och flera länder har ett betydligt mer gynnsamt kostnads-läge än Sverige för att bedriva kliniska studier. Samtidigt har Sverige goda förutsättningar att pröva nya läkemedelsbehandlingar mot tidigare behandlingar, genom att det finns väl utbyggda hälsodata- och kvalitetsregister i kombination med personnummer. En viktig förutsättning för kliniska studier av läkemedel är dock att det medicinskt relevanta jämförelsealternativet marknadsförs och används i Sverige och att det därmed blir möjligt att jämföra med. På så sätt kan studierna ligga till grund för att bygga upp relevant vetenskaplig evidens till nytta för patienten, hälso- och sjukvården och samhället i övrigt. I de fall där de medicinskt relevanta jämförelsealternativen utgörs av nya, effektiva läkemedel som inte används i Sverige eller används i låg utsträckning minskar företagens möjligheter och intresse att förlägga sådana studier till den svenska marknaden.

Förbrukningsartiklar inom förmånerna

Inom ramen för det särskilda statsbidraget till landstingen för kostnader för läkemedelsförmånerna ingår även ett bidrag för förbrukningsartiklar som ingår i förmånerna. Under senare år har flera landsting valt att ta ut vissa förbrukningsartiklar ur förmånerna och i stället upphandla dessa i egen regi. Detta har bl.a. inneburit nya logistiklösningar och att patienterna inte längre hämtar förbrukningsartiklarna på apotek utan i stället t.ex. får dem hemskickade. I dessa fall påverkas bl.a. apoteksledet i form av minskad expediering. Även statens skatteintäkter påverkas då förbrukningsartiklar inom förmånerna är momsbelagda medan de är momsbefriade i de fall de hanteras i landstingens egen regi.

De landsting som har inlett ett sådant arbete har dock fått ett visst statsbidrag för dessa produkter. Att landstingen har olika lösningar kring förbrukningsartiklar har bl.a. inneburit att det kan vara svårt att följa upp de totala kostnaderna för dessa produkter och därmed bestämma storleken på statsbidraget samt hur statsbidraget ska fördelas mellan landstingen. Det har även framförts viss kritik från bl.a. patientorganisationer beträffande enskilda landstings lösningar kring förbrukningsartiklar. Kritiken har framför allt rört begränsad sortimentsbredd och ojämlik vård över landet.

Uppdraget att föreslå en förbättrad finansieringsmodell

Mot bakgrund av ovanstående problembeskrivning och, uppsatta mål ska utredaren göra följande:

- Analysera om nuvarande system med ett särskilt statsbidrag för läkemedel inom förmånen är ändamålsenligt eller om det bör förändras.
- Överväga om systemet med ett särskilt statsbidrag för läkemedel inom förmånen bör behållas i sin nuvarande form eller om det i sin helhet eller i delar bör inordnas i det generella statsbidraget för kommuner och landsting.
- Analysera hur finansieringssystemet för läkemedel kan göras långsiktigt hållbart, effektivt, tydligt och mer förutsägbart.

- Analysera och överväga om det finns ett fortsatt behov av uppdelning av läkemedel i öppenvårdsläkemedel respektive slutenvårdsläkemedel eller någon annan form av uppdelning.
- Analysera och överväga om det kan behövas en förändrad ansvarsfördelning mellan stat och landsting kring finansieringen av nya effektiva läkemedel. I det fall utredaren bedömer att så är fallet ska även förslag på åtgärder lämnas.
- Analysera behovet av kostnadsutjämning mellan landstingen vad det gäller läkemedel.
- Våga för- och nackdelar med de olika alternativen och därefter lämna de förslag till åtgärder som bedöms kunna uppfylla målen på bästa sätt.

När det gäller finansiering av förbrukningsartiklar ska utredaren göra följande:

- Analysera om det är ändamålsenligt att föra över den del av det särskilda statsbidraget som gäller förbrukningsartiklar till det generella statsbidraget till kommuner och landsting.
- Analysera och våga för- och nackdelar med olika möjliga alternativ gällande förbrukningsartiklar och därefter lämna de förslag till åtgärder som utredaren bedömer som mest lämpliga. Förslagen ska i denna del även beakta att tillräcklig sortimentsbredd kan säkerställas samt att det finns utrymme för nya och effektiva produkter.

Behov av ett anpassat och effektivt subventions- och prissättningssystem för läkemedel

Läkemedel finansieras på flera olika sätt. Det har fått till följd att läkemedel även prissätts på flera olika sätt. Pris på läkemedel inom förmånerna fastställs av TLV i samband med att myndigheten fattar beslut om subvention. För läkemedel i den slutna vården gäller i stället att de prissätts genom att landstingen upphandlar läkemedlen. För läkemedel som förskrivs på recept men som inte ingår i förmånerna råder fri prissättning. För samtliga läkemedel som är utanför förmånerna och som inte är rekvisitionsläkemedel råder således helt fri

prissättning både för läkemedelsföretagen och i apoteksledet. Det gäller även läkemedel som finansieras helt av landstingen. Även för receptfria läkemedel gäller som huvudregel fri prissättning.

Begränsade resurser kräver prioriteringar

Det pågår ständigt utveckling av nya behandlingsmöjligheter för olika typer av sjukdomstillstånd. Nya behandlingsmöjligheter är i grunden positivt och kan bidra till en förbättrad hälsa och ett förbättrat välbefinnande. Samtidigt är samhällets resurser begränsade och den möjliga hälsovinst som uppstår av nya behandlingar kommer att behöva ställas mot den hälsovinst som uteblir om någon annan vård trängs undan. Läkemedelsanvändning är en del av sjukvården och precis som för annan hälso- och sjukvård gäller den etiska plattformen för hälso- och sjukvården även för subventions- och prissättningssystem för läkemedel. Det vill säga att prioriteringar ska ske utifrån människovärdesprincipen, behovs- och solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen. Utredarens analys och förslag måste således ha dessa som utgångspunkt.

Värdebaserad prissättning

Nuvarande prissättningssystem för läkemedel inom förmånerna infördes 2002 och samtidigt inrättades TLV (dåvarande Läkemedelsförmånsnämnden). I och med att lagen om läkemedelsförmåner m.m. trädde i kraft ökade betydelsen av kostnadseffektivitet vid subventionsbeslut, något som ofta benämns som värdebaserad prissättning. Detta innebär bl.a. att TLV i enlighet med lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. ska fatta beslut om att ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånerna om kostnaderna för användningen av läkemedlet framstår som rimliga från medicinska, humanitära och samhällsekonomiska synpunkter samt om det inte finns andra tillgängliga läkemedel eller behandlingsmetoder som enligt en avvägning mellan avsedd effekt och skadeverkningar är att bedöma som väsentligt mer ändamålsenliga. TLV:s beslut ska fattas utifrån människovärdesprincipen, behovs- och solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen på det sätt som principerna anges i lagen om läkemedelsförmåner m.m.

En värdebaserad prissättning där kostnadseffektivitet används som subventionsgrund syftar till att de resurser som används för läkemedel ska läggas på de läkemedel som antas ge mest hälsa för pengarna utifrån förväntade framtida positiva effekter för befolkningen och samhället. En fördel med en sådan värdebaserad prissättning kan anses vara att systemet på ett rationellt och transparent sätt prioriterar de resurser som läggs på läkemedelsbehandling. En nackdel är att Sverige dock är ett av få länder som tillämpar värdebaserad prissättning samtidigt som andra länder använder Sverige som referensprisland. Det kan bidra till en kostnadsdrivande effekt.

Det finns därutöver praktiska utmaningar kring att använda kostnadseffektivitet vid subventionsbeslut bl.a. i form av att fastställa läkemedlets värde när tillräcklig information saknas eller för läkemedel som av olika skäl inte kan uppvisa kostnadseffektivitet trots att det kan röra sig om livsavgörande behandling. Nedanstående avsnitt beskriver vissa av de utmaningar som förknippas med att tillämpa kostnadseffektivitet som subventionskriterium.

Läkemedel som inte passar in i pusslet

Fler och fler läkemedel utvecklas för att användas för små patientgrupper. Det gäller dels sådana läkemedel som, enligt Europaparlamentet och rådets förordning (EG) nr 141/2000 av den 16 december 1999 om särlekemedel, har klassats som särlekemedel, dels många läkemedel som utvecklats t.ex. inom cancerområdet för mycket specifika cancertyper. Ofta är kostnaderna för att utveckla ett läkemedel mycket höga. I de fall utvecklingskostnaderna är höga samtidigt som det är ett läkemedel för behandling av ett sällsynt tillstånd innebär det att företagen behöver slå ut utvecklingskostnaderna på ett litet antal patienter. Det får till följd att det pris som företaget begär kan vara mycket högt per patient. Till detta kommer att dessa läkemedels behandlingseffekt ofta är mycket osäker bl.a. på grund av svårigheter med att utföra kliniska prövningar av samma kvalitet som vid mindre ovanliga tillstånd.

I dagens subventions- och prissättningssystem kommer dessa läkemedel sällan kunna uppvisa säkerställd kostnadseffektivitet om gängse gränser för vad som är acceptabel kostnad per vunnen hälsoeffekt används. Detta är fallet trots att läkemedlet kan ha mycket

god effekt och vara avsett för behandling av mycket allvarliga tillstånd. Kostnadseffektivitet innebär i sammanhanget att tillgängliga resurser ska användas där de gör bäst samlad nytta och att kostnaden för en viss insats får vägas mot nyttan av insatsen jämfört med kostnaden och nyttan om resurserna används på annat sätt. I ett nytt subventions- och prissättningssystem är det viktigt att hitta en finansierings- och prissättningslösning som kan möjliggöra god tillgång till och användning av läkemedel även för sällsynta tillstånd. I sammanhanget är det också viktigt att kostnaderna för sådana läkemedel kan hållas på en rimlig nivå.

Det finns även andra typer av läkemedel där det finns utmaningar i förhållande till nuvarande subventions- och prissättningssystem, bl.a. när det gäller att skapa tillräcklig tillgång till läkemedlen. Däribland kan nämnas antibiotika. Folkhälsomyndigheten har bl.a. därför fått ett uppdrag om tillgänglighet till antibiotika (dnr S2015/05372/FS). Folkhälsomyndighetens arbete kring detta bör beaktas av utredningen.

I framtiden kan nya typer av läkemedel komma att utvecklas t.ex. inom gen- och cellterapiområdet. Ett nytt prissättningssystem för läkemedel bör ha en flexibilitet som möjliggör hantering av såväl de typer av läkemedel som skapar utmaningar för systemet i dag som för framtida läkemedelsbehandlingar.

Begränsad information vid beslutstillfället skapar osäkerhet

När ett företag ansöker om att ett läkemedel ska ingå i förmånerna finns ofta begränsad information om läkemedlets effekter i klinisk vardag. Ett läkemedels effekt i kliniska studier kan skilja sig åt jämfört med när det används på patienter utanför kontrollerade studier. Det är ett skäl till att det kan vara svårt att fastställa ett läkemedels rätta värde vid subventionstillfället. Statens beredning för medicinsk och social utvärdering (SBU) har bl.a. därför fått ett uppdrag att ta fram en metod för överförbarhet av data från randomiserade kliniska studier till uppföljning av läkemedels behandlingseffektivitet i klinisk vardag (dnr S2015/05930/FS).

Vidare sker läkemedelsutveckling ofta i cykler och kunskap byggs ofta upp successivt efter godkännandet. I nuvarande subventions- och prissättningssystem har det varit en utmaning att hantera och värdera de osäkerheter som kan finnas när beslut om subvention ska

fattas. När ett läkemedel är nytt finns det av naturliga skäl bristande kunskap och erfarenhet om behandlingen, vilket medför en osäkerhet och innebär en risk. Det sker även en utveckling mot att läkemedel numera godkänns för marknadsföring i ett tidigare skede och därmed är informationen om läkemedlets effekt än mer begränsad. Den trenden kan komma att ytterligare förstärka den osäkerhet som finns vid den tidpunkt när ett läkemedels värde ska bedömas och innebära högre krav på uppföljning för att det ska gå att fastställa läkemedlets värde. Samtidigt kan ett sådant förfarande med exempelvis ett stegvist godkännande också möjliggöra en tidigare tillgång till effektiva läkemedel.

Förutsättningarna kan också förändras under ett läkemedels livscykel vilket kan komma att påverka ett läkemedels värde för samhället. När ny information tillkommer eller nya förutsättningar uppstår kan en möjlighet att ompröva subventionsstatus inklusive pris vara centralt för att samhället ska betala för läkemedlets rätta värde.

Produktbaserat eller indikationsbaserad subvention och prissättning

I grunden är dagens system för subventionering av läkemedel produktbaserat, dvs. subventionen av läkemedlet gäller för alla de indikationer som läkemedlet har marknadsföringstillstånd för. Det innebär dock inte nödvändigtvis att läkemedlets kostnadseffektivitet är densamma för alla olika indikationer eller grupper av patienter. TLV tillämpar visserligen redan i dag, till viss del, möjligheten att begränsa ett subventionsbeslut med olika typer av villkor. Det är dock svårt att följa upp dessa villkor och begränsningar. Ett produktbaserat system är således förknippat med en del problem. Samtidigt saknas en analys av vilka möjligheter och svårigheter som i stället finns kring ett system där subvention t.ex. baseras på ett läkemedels olika indikationer.

Samhällsekonomiskt effektiv användning av läkemedel

Syftet med att anlägga ett samhällsperspektiv är att visa på de totala kostnaderna och effekterna för hela samhället och att subventionsbesluten därmed inte ska leda till suboptimering mellan olika sektorer. Det finns i dag en dualism i subventions- och prissättningssystemet

så tillvida att en statlig myndighet, TLV, beslutar om subvention och pris för läkemedel inom förmånerna medan beslut om användning av läkemedlen fattas av landsting och hälso- och sjukvården. Det kan uppstå en målkonflikt när TLV fattar beslut utifrån en hälsoekonomisk utvärdering om att ett läkemedel är kostnadseffektivt att använda ur ett samhällsperspektiv om landstingen sedan gör en annan bedömning utifrån lokala förutsättningar och begränsade resurser. Användning av läkemedel genererar kostnader i landstingen men samhällsvinsterna kan uppstå i andra delar av samhället. Regeringen anser att det är viktigt att läkemedel som ger nytta även i andra samhällssektorer än hälso- och sjukvården kommer till användning i tillräcklig omfattning.

Det kan finnas många skäl till att nya, effektiva läkemedel inte används i hälso- och sjukvården i tillräcklig utsträckning. Ett skäl kan naturligtvis vara ekonomiskt, både när det gäller budgetpåverkan och hur de lokala styrsystemen är utformade. Detta är kanske särskilt påtagligt i fråga om läkemedel för sällsynta tillstånd där behandlingen av en enda patient kan få stor påverkan på en kliniks budget. Regeringen anser att det är angeläget att ett nytt finansierings-, subventions- och prissättningssystem även stimulerar till samhällsekonomiskt effektiv användning av läkemedel.

Prissättningens relation till forskning och innovation

Enligt OECD:s rapport *Pharmaceutical Pricing Policies in a Global Market* ger en läkemedelsprissättning som bygger på hälsoekonomiska utvärderingar signaler till läkemedelsföretagen om vilka innovationer som värderas högst av samhället. Då Sverige är en liten marknad för de internationella läkemedelsföretagen är det dock inte troligt att prissättningen i Sverige har mer än en marginell påverkan på företagens investeringar i forskning och utveckling. Å andra sidan är det troligt att Sveriges prissättning påverkar mer än vad marknadens storlek borde medföra. Det är en följd av att flera länder inom EU/EES använder Sverige som ett av sina referensprisländer. Att Sverige är ett referensprisland innebär att svenska priser ingår i vissa andra länders prisjämförelser när dessa länder ska fastställa pris på läkemedel.

För ett land som dels är referensprisland, dels vill vara ett land där nya och effektiva läkemedel introduceras tidigt så att sjuka patienter

inte behöver vänta onödigt länge, är det särskilt viktigt att priserna speglar läkemedlets värde i förhållande till andra produkter. På så sätt ges även signaler om vilken typ av innovationer som samhället värdesätter.

Läkemedel ingår i ett internationellt sammanhang

Läkemedelslagstiftningen är huvudsakligen ett harmoniserat område inom EU. Det gäller dock inte området prissättning av läkemedel. Vissa krav på detta område slås dock fast i transparensdirektivet. Direktivet syftar bl.a. till att åstadkomma en överblick över metoder för nationell prissättning och de kriterier som prissättningen bygger på samt att göra dessa allmänt tillgängliga för alla aktörer på läkemedelsmarknaden. Prisjämförelser mellan länder är utmanande eftersom olika länder har olika prissättningssystem men också eftersom faktiska priser inte redovisas på samma sätt. I många länder förekommer t.ex. rabattsystem.

När TLV har fattat beslut om att ett läkemedel ska ingå i förmåner och därmed fastställt pris publiceras detta på TLV:s hemsida och blir därmed offentligt. Eftersom läkemedelsföretagen agerar på en internationell marknad där referenspriser i andra länder får allt större betydelse påverkas företagens prisstrategier i Sverige av att priserna är offentliga samtidigt som andra länder använder Sverige som ett referensprisland.

Ett lågt offentligt pris i Sverige kan dra ner läkemedelsföretagens priser i andra länder och tvärtom. Då andra länder än Sverige ofta är större och viktigare marknader för företagen skapas därför en drivkraft för företagen att hålla höga priser i Sverige. Även förekomsten av parallellhandel med läkemedel påverkar företagens prisstrategier. Inte bara företagens prisstrategier påverkas av de olika ländernas pris- och subventionssystem utan även i vilken ordning mellan länder som läkemedel introduceras samt i vilka länder som läkemedel marknadsförs över huvud taget. Att andra EU-länder tillämpar internationella referenspriser, med negativa effekter på de svenska priserna som följd, innebär att det uppstår en målkonflikt mellan snabb introduktion av läkemedel i Sverige och möjligheten till låga priser. Så länge Sverige används som referensprisland innebär det en betydande utmaning för utformningen av prissättningssystemet i Sverige.

Nya utmaningar för prissättningssystemet

Det har gått en betydande tid sedan lagen om läkemedelsförmåner m.m. trädde i kraft. Som tidigare nämnts har hälso- och sjukvården och läkemedelsmarknaden under denna tid förändrats. Bland annat bedrivs i dag en omfattande del av sjukvården i hemmet, apoteksmarknaden har omreglerats, fler och fler läkemedel utvecklas för små patientgrupper, många läkemedel ingår inte i förmåner och många av alla centralt godkända läkemedel inom EU marknadsförs inte på den svenska marknaden. Prissättningssystemet har sedan det infördes utvecklats och flera justeringar av regelverket har genomförts för att hantera de utmaningar och förändringar som systemet har ställts inför. De många förändringarna har bidragit till att systemet har blivit mer komplext och svåröverskådligt. En grundlig analys av vilka effekter dagens system har på möjligheterna att bedriva en modern, effektiv och jämlik hälso- och sjukvård saknas i dagsläget.

Fortsatta oklarheter kring prisöverenskommelser

I december 2015 meddelade Högsta förvaltningsdomstolen dom i ett mål mellan TLV och Skåne läns landsting om TLV:s tillsyn över läkemedelsförmåner (Högsta förvaltningsdomstolens dom i mål nr 3596-14).

Målet rör TLV:s beslut att förbjuda Skåne läns landsting och ett visst läkemedelsföretag att efter TLV:s beslut om subvention och pris ingå en separat prisöverenskommelse för ett visst läkemedel. TLV anger i sitt beslut om förbud att 7 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. innebär att det endast är TLV som fastställer priser på läkemedel inom förmåner med de undantag som anges i lagen. Både förvaltningsrätten och kammarrätten gjorde samma bedömning som TLV i den frågan. Högsta förvaltningsdomstolen, som gjorde en annan bedömning än TLV och underinstanserna, konstaterade inledningsvis att en grundläggande förutsättning för att en tillsynsmyndighet inom ramen för sin tillsynsverksamhet ska kunna meddela bl.a. förbud är att åtgärden i fråga har författningsstöd. Enligt domstolen omfattar TLV:s tillsynsansvar endast tillämpningen av lagen om läkemedelsförmåner m.m. och de föreskrifter och villkor som har meddelats i anslutning till lagen. Domstolen fann inte något stöd för att tillsynen även omfattar efterlevnaden av transparensdirektivets regler.

Högsta förvaltningsdomstolen konstaterar sedan att TLV har grundat sitt förbudsbeslut på 7 § lagen om läkemedelsförmåner m.m. Enligt domstolen ger 7 § inte utrymme för en tolkning som innebär att även andra än öppenvårdsapoteken skulle vara förpliktade att använda de av TLV fastställda priserna avseende läkemedel eller varor inom förmånerna. Eftersom den i målet aktuella överenskommelsen rör det pris som landstinget kommit överens med ett läkemedelsbolag om att använda så faller detta utanför 7 §. Således bedömde Högsta förvaltningsdomstolen att TLV inte inom ramen för sitt tillsynsansvar kan förbjuda ett sådant förfarande.

Eftersom Högsta förvaltningsdomstolen inte tar ställning till om prisöverenskommelser mellan t.ex. ett landsting och ett läkemedelsföretag är förenliga med transparensdirektivet är frågan fortfarande föremål för juridisk analys.

TLV har arbetat för att utveckla prissättningen

För att bl.a. möta de utmaningar som beskrivits ovan har TLV de senaste åren arbetat för att hitta nya vägar att prissätta läkemedel. Det pågår bl.a. ett arbete med att involvera landstingen mer innan beslut om subvention och pris på ett läkemedel fattas. TLV har bl.a. prövat nya former för överläggningar mellan landstingen, läkemedelsföretagen och myndigheten. Överläggningarna har resulterat i ett flertal s.k. riskdelningsavtal mellan företagen och landstingen som bl.a. har inneburit lägre kostnader för landstingen och en ordnad och snabb introduktion av läkemedlen i vården.

Den nya processen är resurskrävande både för sjukvårdshuvudmännen och för företagen. Processen har vidare fått kritik bl.a. för bristande transparens, förutsägbarhet och rättssäkerhet. Det saknas i dag en genomgripande analys av effektiviteten och ändamålsenligheten i detta arbete. TLV fick i april 2016 regeringens uppdrag att redovisa arbetet med att utveckla den värdebaserade prissättningen för läkemedel inom förmånerna (dnr S2016/02762/FS). I uppdraget ingick bl.a. att redogöra för hur utvecklingsarbetet uppfyller de rättsliga kraven på transparens, förutsägbarhet och rättssäkerhet. TLV redovisade sitt uppdrag den 1 oktober 2016. Myndighetens redovisning kan vara ett viktigt underlag för utredningens arbete.

Regeringens bedömning är att det finns behov av att, i ljuset av bl.a. Högsta förvaltningsdomstolens dom och TLV:s utvecklingsarbete, se över regelverket. Det är av avgörande betydelse för samtliga berörda aktörer att processerna kring prissättning är tydliga, förutsägbara och transparenta.

Granskning av läkemedel i flera led

När det gäller granskningen av nya läkemedel gör TLV, för många läkemedel, först en utvärdering inför subventionsbeslutet. Därefter utformar landstingen gemensamt genom NT-rådet (landstingens råd för nya terapier) en rekommendation om användning i landstingen, och slutligen fattar det enskilda landstinget beslut om användning av läkemedlet. För att möjliggöra att effektiva och viktiga läkemedel kommer patienten till del så fort som möjligt är det angeläget att den tid det tar för TLV och landstingen att utvärdera ett läkemedel för beslut om subvention och användning är så kort som möjligt. Regeringens bedömning är att det både av tids- och resursskäl är viktigt att denna typ av utvärdering före användning samordnas på ett ändamålsenligt sätt för att på så sätt undvika både dubbelarbete och tidsförluster. Administration kring utvärdering av läkemedel måste vara optimerad så att resurserna används effektivt och att effektiva behandlingar kan komma patienterna till del utan onödiga dröjsmål.

Myndigheten för vård- och omsorgsanalys har uppdraget att följa och utvärdera nyttan med arbetet som syftar till ett ordnat nationellt införande av nya läkemedel inklusive TLV:s utvecklingsarbete (dnr S2016/01693/FS). Regeringen anser att myndighetens arbete kommer att kunna vara ett viktigt underlag i utredningens arbete.

Alternativa prissättningsmodeller

Traditionellt har läkemedel prissatts utifrån pris per tablett eller förpackning och utifrån ett och samma pris för ett läkemedels alla användningsområden trots att vissa läkemedel kan användas till vitt skilda sjukdomstillstånd.

De utmaningar som finns med nuvarande prissättningssystem för läkemedel och som tidigare har beskrivits i direktiven samt framtidens utmaningar med nya former av läkemedel t.ex. inom gen- och

cellterapiområdet ger anledning att undersöka om det kan finnas alternativa prissättningslösningar som skulle kunna användas på läkemedelsområdet. Det finns exempel från andra produktmarknader där volym inte är kopplat till pris och det finns lösningar där kombinationer av fast och rörligt pris används. Det kan även finnas prissättningsmodeller i andra länder som skulle kunna förbättra prissättningsystemet i Sverige.

Uppdraget att föreslå ett förbättrat subventions- och prissättningssystem som ger ändamålsenlig tillgång till läkemedel

Nuvarande subventions- och prissättningssystem baseras på ett statligt finansieringsansvar för läkemedel inom förmånerna och att landstingen har ett finansieringsansvar för läkemedel som används inom slutenvård och läkemedel som förskrivs i enlighet med smittskyddslagen. Finansieringsmodellen för läkemedel påverkar vilket prissättningssystem som är mest ändamålsenligt för att uppnå uppställda målsättningar. De förslag som utredaren lämnar i finansieringsdelen bör därför följas av lämpliga förslag för ett funktionellt och ändamålsenligt subventions- och prissättningssystem. Mot bakgrund av direktivets problembeskrivning, uppsatta mål, och de förslag som utredaren lämnar i finansieringsdelen ska utredaren göra följande:

- Genomföra en noggrann analys av nuvarande subventions- och prissättningssystem och det utvecklingsarbete som har genomförts, för att kunna ta till vara lärdomar om vad som har fungerat väl och vad som har fungerat mindre väl, bl.a. i det utvecklingsarbete som TLV och landstingen gemensamt har bedrivit.
- Utvärdera tillgång till och faktiska priser på läkemedel i Sverige i förhållande till andra jämförbara länder.
- Utvärdera de samlade effekterna på priser och tillgång till läkemedel i Sverige av att Sverige används eller inte används som referensprisland i andra länder, och vid behov föreslå åtgärder för att minimera eventuella negativa effekter.
- Analysera vilka konsekvenser som apotekens förhandlingsrätt har på subventions- och prissättningssystemet och vid behov föreslå åtgärder för att hantera eventuella negativa konsekvenser.

- Analysera, överväga och eventuellt lämna förslag på någon form av priskontroll för samtliga offentligt finansierade läkemedel.
- Analysera och överväga olika prissättningsmodeller innan eventuella förslag till åtgärder utformas.
- Föreslå ett subventions- och prissättningssystem som skapar en god och jämlik tillgång till och användning av effektiva läkemedel i Sverige samtidigt som det inte ger ökade kostnader jämfört med dagens system.
- Analysera och redogöra för hur berörda myndigheters och landstingens roll påverkas av förslagen.

Övrigt att beakta

Samtliga analyser och förslag ska beakta eventuella förändringar av hälso- och sjukvårdssystemet som innebär förändringar av öppen respektive slutenvård samt innehålla nödvändiga författningsförslag, kostnadsberäkningar och en tidsplan för genomförande.

Avgränsning av uppdraget

Jämlik vård är ett prioriterat område för regeringen och därför är det viktigt att patienterna även fortsättningsvis ska mötas av ett och samma pris på läkemedel inom förmånerna oavsett på vilket apotek i landet som läkemedlet hämtas ut.

Det ingår inte i utredarens uppdrag att se över nivån på högkostnadsskyddet för läkemedel eller utformningen av högkostnadstrappan.

Alla förslag ska vara kostnadsneutrala mellan stat och landsting, dvs. i de fall förslagen medför att kostnader överförs mellan parterna så måste även förslag lämnas om hur den part som får ökade kostnader ska kompenseras.

Förslagen får inte innebära en ökning av de offentliga kostnaderna för läkemedel jämfört med dagens system. Förslagen ska också medföra att de offentliga läkemedelskostnaderna kan hållas på en rimlig nivå.

Apotekens expediering av läkemedel ska påverkas i så liten omfattning som möjligt alternativt ska utredaren lämna förslag om hur apoteken kan kompenseras för minskad expediering.

Det ingår inte i utredarens uppdrag att se över systemet för generiskt utbyte på apotek.

Konsekvensbeskrivningar

Utredaren ska redovisa förslagets konsekvenser i enlighet med kommittéförordningen (1998:1474) och i det sammanhanget särskilt redogöra för konsekvenserna för berörda aktörer. I synnerhet ska konsekvenserna för patienter och hälso- och sjukvården samt berörda myndigheters roll beskrivas. Även konsekvenserna för en jämlik vård ska beskrivas, både vad gäller jämlik vård mellan olika grupper och jämlik vård över landet. Eventuell miljöpåverkan av nya prissättningssystem bör redovisas.

Samråd och redovisning av uppdraget

Utredaren ska samråda med samtliga myndigheter med centrala uppgifter som berör uppdraget och andra berörda aktörer. Utredaren ska samråda med SKL och med företrädare för landstingen. Utredaren ska samråda med life science samordnaren (U 2015:08 Utredningen En nationell samordnare för området livsvetenskap) och Nya apoteksmarknadsutredningen (S 2015:06 Utredningen om ökat fokus på kvalitet och säkerhet på apoteksmarknaden). Utredaren ska i den mån det bedöms lämpligt också föra dialog med andra pågående utredningar, t.ex. Indelningskommittén (Fi 2015:09). Vid genomförandet av uppdraget ska utredaren ta hänsyn till tidigare utredningar och kartläggningsarbeten som kan vara av betydelse för uppdraget.

Utredaren ska senast den 1 november 2017 lämna en delredovisning som innehåller en övergripande problembeskrivning och en beskrivning av inriktningen för det fortsatta arbetet.

Uppdraget ska slutredovisas senast den 1 december 2018.

(Socialdepartementet)

Pris- och betalningsmodeller

Pris och betalningsmodeller för läkemedel

Ulf Persson up@ihe.se
Frida Hjalte fh@ihe.se

Institutet för Hälso- och Sjukvårdsekonomi (IHE)
Lund, Sweden

1. Bakgrund

Läkemedelsutredningens uppdrag och syftet med denna rapport

Läkemedelsutredningen (2016:07) är tillsatt för att se över nuvarande system för finansiering, subvention och prissättning av läkemedel i Sverige. Översynens övergripande mål är ett långsiktigt hållbart system som möjliggör en samhällsekonomiskt effektiv användning av läkemedel och följer den etiska plattform som gäller inom hälso- och sjukvården samtidigt som läkemedelskostnaderna kan hållas på en rimlig nivå. En tydlig ansvarsfördelning mellan stat och landsting, en jämlik och patientcentrerad vård, förutsägbara processer för berörda aktörer, samt goda förutsättningar för forskning och innovation till nytta för patienten ska eftersträvas.

Den modell för prissättning av läkemedel som i dagsläget används i Sverige utgår från bland annat följande:

- Prissättning per förpackning
- Värdebaserad prissättningsmodell för nyare forskrivnings- och rekvisitionsläkemedel (TLV resp. NT-rådet).
- Lägsta tillgängliga pris för äldre forskrivnings- och rekvisitionsläkemedel (periodens vara systemet resp. upphandling).
- Hemliga nationella avtal används i ökande utsträckning för att undvika hinder i prissättning p.g.a. internationell referensprissättning. Avtalen kan vara i form av enklare riskdelningsavtal eller rena rabatter.
- Subventionsbeslut sker i regel för hela den godkända användningen för en produkt och för hela populationen. Subventionsbesluten är alltså inte indikationsspecifika och kan inte kopplas till enskilda individer.

För att uppnå målen med utredningen behövs en sammanställning av de modeller för prissättning av läkemedel och vissa medicintekniska produkter som kan vara möjliga alternativ i framtiden.

IHE har fått i uppdrag att ta fram ett för Läkemedelsutredningen relevant och användbart underlag där olika alternativa betalningsmodeller av läkemedel beskrivs.

Värde, pris och betalning

Värde

Ett läkemedels värde uppstår då läkemedlet används i klinisk praxis för att förebygga, behandla eller lindra symptom av sjukdom. Värde uppstår då behandlingen förväntas leda till ökad livslängd eller ökad livskvalitet för individerna som behandlas. Värde uppstår också om en behandling kräver minskad mängd resurser, t.ex. för att administrera läkemedlet eller för att behandla patienter med sjukdomen. För läkemedel mot cancer demonstreras värdet av läkemedel ofta med hjälp av randomiserade kliniska prövningar som visar att behandling med ett läkemedel är överlägset en annan behandling i termer av progressionsfri överlevnad (progression free survival) eller ändå bättre i total överlevnad (overall survival). Värde kan också demonstreras genom att en behandling medför att individerna kan öka sin gångförmåga, t.ex. genom att gå en längre sträcka på sex minuter efter en behandling än efter en annan behandling. Den ökade gångförmågan är då en indikation på att den behandlade individens hälsotillstånd förbättrats, vilket naturligtvis kan manifesteras i flera förbättrade egenskaper och framtida prognos över hälsans utveckling än endast gångförmågan.

Randomiserade kliniska prövningar som syftar till att demonstrera läkemedlets effekt har ofta ett primärt resultatmått (primary endpoints) som kan vara tid till progression, tid till död eller antal meter som individerna hinner gå på sex minuter. Det är detta mått som studierna designats för att kunna visa upp en statistiskt säkerställd skillnad i, jämfört med placebo eller en aktiv behandling. Utöver dessa mått finns ofta även resultat för sekundära mått (secondary endpoints).

Värdet av en ny läkemedelsbehandling kan skattas utifrån de observerade överlevnadsvinsterna, hälsoförbättringarna och förväntade resursförbrukningar som demonstreras i de kliniska prövningarna.

Det värde som kan beräknas utifrån resultaten i randomiserade kliniska prövningar är inte säkert överensstämmande med det värde som kan bli resultatet då läkemedelsbehandlingen används i svensk klinisk praxis. Det finns flera anledningar till det. En är att de kliniska prövningarna i första hand kan vara designade för att tillfredsställa de regulatoriska myndigheternas krav (t.ex. EMAs, den europeiska läkemedelsmyndigheten) på att kunna visa säkerhet och effekt. Det

innebär t.ex. att studierna kan innehålla flera tester och vårdkontakter än vad som sker i klinisk praxis. Det kan också innebära att läkemedelsdoseringarna och behandlingstiden blir annorlunda i svensk sjukvård än vad fallet är i den randomiserade kliniska prövningen. En annan anledning kan vara att de randomiserade kliniska prövningarna använder en annan jämförelsebehandling (comparator) än vad som är aktuellt i svensk sjukvård. De randomiserade kliniska prövningarna kan vara designade med placebo som jämförelse eller med en annan aktiv behandling än den som vi använder i Sverige eller som vi anser är den kostnadseffektiva behandlingen i Sverige. En tredje orsak till att värdet i svensk sjukvård inte direkt kan skattas utifrån de randomiserade kliniska prövningarna kan vara att patientpopulationen som studerats inte överensstämmer med den målpopulation som förväntas bli aktuell i Sverige. Den svenska målpopulationen kan t.ex. vara äldre och lindrigare eller svårare sjuk än den som studerats i de kliniska prövningarna som ligger till grund för den regulatoriska bedömningen av säkerhet och effekt och som krävts för godkännande av EMA.

Detta betyder att det många gånger krävs ytterligare information än vad som redovisas i de randomiserade kliniska prövningarna för att kunna bedöma en ny läkemedelsterapis värde. Det kan t.ex. krävas tillägg av information från observationsstudier om hur svensk patientkarakteristik, behandlingspraxis och behandlingskostnad ser ut.

Ett läkemedel som har en helt ny verkningsmekanism utan att behandlingen visat sig resultera i ökad livslängd, förbättrad livskvalitet, minskad risk för komplikationer eller minskade resurser för behandling tilldelas sällan något värde då beslut ska tas om subvention och prissättning i Sverige.

Pris

Priset på ett läkemedel kan sättas utifrån flera olika principer. En princip är att basera priset på kostnaderna för att ta fram läkemedlet och då avses vanligen både kostnaderna för att utveckla läkemedlet och att producera läkemedlet. Utvecklingskostnaderna kan var stora och inkluderar även kostnaderna för utveckling av misslyckade produkter som inte visat sig hålla förväntningarna på säkerhet och effekt. Kostnaderna för att ta fram ett nytt läkemedel har beräknats

av diMasi och Grabovski till 2,6 miljoner US \$ [1]. Det är ungefär i samma storleksordning som kostnaderna för att bygga Öresundsbron (20 miljarder SEK). Produktionskostnaderna, dvs. kostnaderna att producera läkemedlet när det väl utvecklats är vanligen av mindre betydelse. De motsvaras av marginalkostnaderna, kostnaderna för att producera en ytterligare enhet. Det är den kostnaden som vi kan förvänta oss för att producera läkemedlet när patentet gått ut och generika kommer in på marknaden. Utöver detta tillkommer kostnader för att informera om läkemedlet, försäkringar och marknadsföring med mera. Principen att prissätta läkemedlet utifrån kostnaderna för företagen kallas internationellt cost plus prissättning.

En helt annan princip för prissättning av läkemedel är värdebaserad prissättning, Value based pricing (VBP). Priset ska då stå i proportion till det värde som läkemedelsbehandlingen kan generera. Det är den princip som Sverige har tillämpat sedan 2002 då Tandvårds- och Läkemedelsförmånsverket (TLV) eller dess föregångare Läkemedelsförmånsnämnden (LFN) bildades. För att beräkna värdet används kostnadseffektanalyser och det är hälsovinstens värde som tillsammans med resursförbrukningen är de centrala komponenterna. I Storbritannien, Nederländerna, Belgien och i de skandinaviska länderna används kvalitetsjusterade levnadsår, Quality Adjusted Life Years (QALYs) som ett sammanvägt mått på livslängd och livskvalitet i arbetet med prissättning och behandlingsriktlinjer. Även i andra länder är QALY ett viktigt mått i diskussionerna mellan företagen och de myndigheter som har ansvaret för att bedöma läkemedlets plats i terapin (behandlingsriktlinjer) och/eller prisregleringsmyndigheter.

En tredje princip för prissättning är Internationella Referens Priser (IRP). Det innebär i korthet att priset sätts efter hur priset är satt i andra länder. Dåvarande Apoteksbolaget använde redan 1971 en "medianprismodell" i sina förhandlingar med industrin för att sätta "rimliga" priser på läkemedel. Möjligheterna att göra internationella prisjämförelser var på den tiden begränsade bl. a beroende på att det inte fanns så många läkemedel som var tillgängliga i många länder. Skapandet av en internationell process för godkännande av innovativa läkemedel (procedure for mutual recognition) år 1975, EU:s internationella marknad 1992 samt Europeiska läkemedelsmyndighetens (EMA, senare EMA) tillkomst 1995 har ökat möjligheterna för att nya innovativa läkemedel ska bli tillgängliga vid samma

tid i många europeiska länder. Detta var en av anledningarna till att IRP utvecklades som ett viktigt instrument för prissättning av läkemedel under 1990-talet.

Att se på andra länders priser för att få riktvärden för prissättningen i det egna landet är en möjlig strategi. För det första kan det uppfattas som enkelt och för det andra så kan det upplevas som en garant för allmänheten att priserna i vårt land inte blir högre än i andra jämförbara länder. Alternativa prissättningsmodeller som bygger på data om kostnader för att ta fram nya läkemedel eller den värdebaserade modellen (VBP) som bygger på kostnadseffektanalyser kan upplevas som komplicerade och vara möjliga att manipulera. Det finns också en förhoppning om att IRP kan användas för att pressa ner priserna och därmed generera kostnadsbesparingar. Detta har lett till att IRP år 2013 användes i totalt 29 europeiska länder (26 av de 28 EU-medlemsstaterna plus Island, Norge och Schweiz). Endast Storbritannien och Sverige valde att inte tillämpa IRP vid prissättning av nya innovativa läkemedel [2].

Populariteten för IRP bland myndigheter i de europeiska länderna har dock främjat framväxten av utveckling av modeller, databaser och en hel industri med konsulter som erbjuder sina tjänster till olika läkemedelsföretag om hur dessa ska kunna sätta priserna i de första länderna de lanserar i, vilka länder man sedan ska lansera i, vilken ordning man ska gå till olika länder samt vilka länder man ska låta bli att lansera i. Allt för att försöka maximera intäkterna och manipulera systemet. IRP fungerar så att länderna har korgar med andra länders läkemedelspriser som utgör referenspriser. Alla länder har olika länder i sina korgar som de refererar till. Som exempel kan nämnas att både Frankrike och Nederländerna inkluderar fyra länder i sina korgar. Frankrikes korg inkluderar Tyskland, Italien, Spanien och Storbritannien. Nederländernas korg inkluderar Belgien, Frankrike, Tyskland och Storbritannien. I Frankrike får priset inte bli högre än det lägsta priset i korgen. I Nederländerna ska priset motsvara genomsnittspriset i korgen.

Tillämpningen av IRP i Europa ger effekter både på priser och på tillgängligheten av läkemedel. Ett lågt pris i ett land kommer att få direkt inverkan på priset i det land som använder det första landets pris i sin korg. Det finns därför ett incitament för företagen att noga fundera ut i vilka länder man ska lansera i först och sedan vilka länder man ska gå vidare till. Här är det naturligtvis viktigt att

inte äventyra priserna på stora och betydelsefulla marknader. Det kan t.o.m. vara strategiskt riktigt att inte lansera läkemedlet alls i vissa mindre betydelsefulla länder/marknader. Om ett land förekommer i flera andra länders priskorgar så blir priset i detta land viktigt eftersom priset kan leda till högre pris även i andra länder. Från företagets synvinkel är det mest lönsamt att först gå till relativt oreglerade marknader, som Tyskland och Storbritannien.

Sverige påverkas av IRP även om vi inte själva tillämpar systemet genom att svenska läkemedelpriser förekommer i andra länders korgar. Det får en effekt på våra priser på så sätt att företagen har begränsade incitament att bevilja oss rabatter och sänka priserna i Sverige eftersom våra rabatter spiller över till priserna på andra större och viktigare marknader. Detta driver upp priserna i vårt land och kan fördröja introduktionen och upptaget av innovativa effektiva läkemedel i Sverige. Läkemedlet arbiraterone (Zytiga) för behandling av prostatacancer är ett sådant exempel. Det tog ungefär tre år innan Zytigas pris accepterades av TLV och läkemedlet inkluderades i det nationella förmånssystemet. I Norge och Danmark fick läkemedlet ett snabbt upptag medan motsvarande användning fördröjdes med ungefär två år i Sverige. Fallet med Zytiga beskrivs utförligt i en artikel i en vetenskaplig tidskrift av Persson och Jönsson, 2016 [2].

Zytiga var ett av de läkemedel som medförde att NT-rådet bildades och att det i Sverige blev möjligt med konfidentiella rabatter. Föregångaren till NT-rådet, NLT-rådet förhandlade med företaget om en rabatt på priset. Företaget ansåg dock att de inte kunde äventyra priset i andra stora marknader som hade svenska priser i sina korgar och därför vägrade de inledningsvis att ge Sverige rabatten. Vid den tidpunkten kunde inte NLT rådet acceptera ett hemligt pris. Efter ett års förhandlande accepterade NLT-rådet dock ett hemligt pris. Detta skulle dock accepteras av alla 21 regionerna och landstingen. Det tog ytterligare ungefär ett år innan det sista landstinget hade signerat överenskommelsen.

NT-rådet bildades mot bakgrund av dessa erfarenheter vilket innebar att landstingens acceptans för ingångna avtal nu kunde få juridisk status mycket snabbare.

Betalning

Kostnaderna för att resa över Öresundsbron med bil inkluderar kostnader för bränsle, slitage och värdeförlust på bilen. Kostnaderna för slitage på bron när en personbil passerar är inte många kronor. Till sammans utgör dessa kostnader marginalkostnaderna för att resa över bron. Kostnaderna för att bygga Öresundsbron är betydande (20 miljarder kronor) och måste betalas på något sätt. Öresundsbron är inte skattefinansierad utan ska betalas med broavgifter av de trafikanter som reser över bron.

Figur 1 **Betalningen av Öresundsbron sker med en intressant betalningsmodell**

Betalningsmodell för Öresundsbron mellan Sverige och Danmark	
Enkel resa	
-bil (ingen rabatt, kontant):	490 SEK
-bil med "EasyGo":	437 SEK
-bil med 10-turskort	317 SEK
-bil Öresundspendlaren 1-16, 51+	194 SEK
-bil Öresundspendlaren 17-50	42 SEK
Källa: Öresundsbron, Priser 2015-08-21	
-med tåg (Öresundståg) 1:a klass	137 SEK
-" " 2:a klass	107 SEK
-med buss (Swebuss)	74 SEK

Betalningsmodellen för att passera Öresundsbron utnyttjar flera kända exempel för att maximera intäkterna genom att utnyttja individens varierande priskänslighet och betalningsvilja. Högst kostnad per resa betalar de som endast gör en enkel resa. Resor med 10-turskort och Öresundspendlaren erbjuder olika mängdrabatter. Allra lägst pris har de som reser 17–50 gånger per månad. Pendlare är priskänsliga och avstår förmodligen från bilresor om kostnaderna för pendlingen blir för betungande. För ännu flitigare resenärer som t.ex. taxichaufförer så går priset upp igen för fler resor än 50 resor per månad. För taxichaufförer finns möjlighet att föra kostnaden vidare till mindre

priskänsliga taxikunder. Det är därmed logiskt att höja priserna för dessa trafikanter.

De höga produktionskostnaderna för Öresundsbron innebär att en marginalkostnadsprissättning för att passera bron inte ger tillräckliga intäkter för att finansiera brobygget. Marginalkostnadsprissättning räcker endast till för att reparera och underhålla bron. Öresundskonsortiets betalningsmodell utnyttjar det som av ekonomer brukar kallas tredje gradens prisdiskriminering eller Ramseyprissättning. Det innebär att priserna varierar mellan marknadssegment i omvänd relation till efterfrågeelasticiteten. Ramseyprissättningen kan användas av en monopolist som vill maximera konsumentöverskottet samtidigt som intäkterna ska täcka såväl marginalkostnaderna som de fasta byggkostnaderna.

Flyget är ett annat exempel från trafiksektorn där betalningsmodeller tillämpas sedan många år för att fylla planen med passagerare och på så sätt maximera intäkterna. Flygtrafiken utnyttjar prisdiskriminering i betydande omfattning. Priserna för affärsresenärer som reser vid de attraktivaste tiderna, sitter på de främsta platserna och som väljer att betala för mat och service får betala de högsta reskostnaderna. Fritidspassagerare som har möjlighet att anpassa sitt resande till mindre bekväma tider på dagen, avstår från mat och service kan få resa till ett betydligt lägre pris. Deras bidrag till flygets fasta kostnader är dock viktigt. Ett genomsnittligt pris per resa där affärsresenärer betalar samma som fritidsresenärer skulle innebära att flyget missar intäkter som man kunde tagit ut från affärsresenärerna samtidigt som man får flyga med tomma stolar eftersom fritidsresenärerna inte är beredda att betala ett i deras tycke för högt pris.

På samma sätt som för brobygget så är läkemedel förknippade med höga fasta kostnader för Forskning och Utveckling (FoU). Marginalkostnaderna för läkemedel inkluderar endast de rörliga kostnaderna för produktion och försäljning av ytterligare enheter och denna kostnad är ofta låg. Fritt inträde på marknaden och marginalkostnadsprissättning ger därför inte tillräckliga incitament för FoU.

På läkemedelsmarknaden används patent som ett instrument för att ge innovativa företag en möjlighet att ta ut en betalning över marginalkostnaden och på så sätt täcka utgifterna för FoU. Patentsystemet fördröjer möjligheten för andra företag än det forskande företaget att kopiera produkterna och pressa priserna ner till marginalkostnaden.

Fram till 1960-talet var läkemedel framförallt en privatfinansierad behandlingsform. Utvecklingen över tiden med större krav på dokumentation och forskning kring säkerhet och effekt ökar kostnaderna för att ta fram nya innovativa läkemedel. Det har lett till att läkemedlen i större och större utsträckning blivit skattefinansierade. Till detta kommer en stor tillit till randomiserad kliniska prövningar för att uppskatta behandlingseffekten och tilldela läkemedlet ett pris som kan motiveras utifrån denna uppmätta behandlingseffekt.

Vi vet också att värdet av ett läkemedel i klinisk användning, dvs. i "real world" inte behöver vara samma som det som uppmäts i de randomiserade kliniska prövningarna. Orsaken till detta är att patientkaraktäristikan kan skilja sig åt, comparatorn eller jämförelsebehandlingen i verkligheten är inte placebo och kanske inte heller samma aktiva substans som den som används i de randomiserade studierna. Sjukvården är inte heller organiserad på samma sätt i verkligheten som i de randomiserade studierna. Det har med initiativ till återbesök i vården att göra och vilka prover som tas och i vilken ordning, dvs. i vilken sekvens som andra behandlingar sätts in. Allt detta gör att kliniska randomiserade prövningar har hög intern validitet men låg extern validitet. Studier i verklig klinisk praxis har däremot hög extern validitet men låg intern validitet. Värdet av behandlingen uppstår ur användningen i den verkliga kliniska vardagen och det är därför den relevanta miljön för att studera det utfall som genererar värde.

Traditionellt har vi haft en modell för betalning av läkemedlen per mg eller per konsumerad enhet. Det innebär en modell där betalningen för läkemedlen sker innan vi ser vilket utfall vi får. Det är ungefär som att först köpa en dammsugare och sedan hoppas vi att den suger damm också.

Det finns nu en trend inom sjukvården där vi diskuterar om vi inte bör se vilket utfall vi får först och sedan betala för läkemedlen.

Genomgång av några utmaningar på dagens läkemedelsmarknad

Det finns i dag ett flertal förändringar på läkemedelsmarknaden som innebär utmaningar när det gäller prissättning och betalning av läkemedel. Detta avsnitt presenterar några av de utmaningarna som ligger till grund för att nya alternativa betalningsmodeller behöver tas fram och diskuteras.

Botande läkemedel

Genterapi är en experimentell teknik som använder gener för att behandla eller förebygga sjukdomar. Sjukdomar som kan vara intressanta för genterapi är: ALS, ALD (adrenoleukodystrophy), cancer, cystisk fibros, epilepsi, hemofili, muskulär dystrofi, Parkinson, transfusionsberoende β -thalassemi (TDT), etc. Det är ofta sällsynta sjukdomar (orphan diseases) eller så är målpopulationen en delmängd av de som lider av sjukdomen. Om genterapin fungerar så kan den leda till "bot" för de som svarar på behandlingen och det är ofta en kort behandlingstid.

Det finns många andra läkemedelsbehandlingar som leder till bot eller näst intill bot genom att patienterna svarar så kraftigt på läkemedelsbehandlingen att tecken på sjukligheten är närmast försvunnen. Flera av de sjukdomar som kan botas är kroniska sjukdomar. Ett sådant exempel är de läkemedel för behandling av hepatit C som kom under 2010-talet. Dessa läkemedel hade en förmåga att eliminera hepatit-C. Ett annat exempel är alemtuzumab för behandling av Multipel Skleros (MS). Ett tredje exempel är några nya behandlingar för psoriasis där den inflammatoriska aktiviteten i det närmaste försvunnit hos en delmängd av patienterna. Den botande effekten av de nya hepatit C-läkemedlen avser flertalet av de behandlade patienterna. Den botande effekten av läkemedelsbehandlingarna för MS och psoriasis avser dock endast en liten del av patientpopulationen.

Gemensamt för flera botande terapier är att behandlingen avser en kort period. Om sjukdomen samtidigt är kronisk kommer den positiva hälsoeffekten och den förväntade minskade resursförbrukningen för sjukvård och läkemedel avse en mycket lång tid därefter.

Naturligtvis kommer det alltid att råda osäkerhet om den positiva hälsoeffekten och kostnadsbesparingen är bestående eller inte. Svaret

på den frågan kräver mycket långa uppföljningar som inte kommer finnas tillgängliga då beslut om pris och subvention ska tas.

För MS är den genomsnittliga behandlingstiden med de i dag tillgängliga bästa läkemedlen 19 år. Därefter räknar man med att sjukdomen progredierat så mycket att behandling måste modifieras. För en sjukdom som hemofili (blödarsjuka) är behandlingen med faktor VIII-preparat som profylax livslång och påbörjas i barndomen vilket innebär minst 50 år för de allra flesta. Årlig behandling med faktor VIII-preparat kostar åtminstone 1 miljon kronor per år. Skulle vi inom snar framtid få se en genterapi som kan bota hemofilin så blir värdet av terapin mycket stort. Enbart de minskade behandlingskostnaderna för faktor VIII-preparat kommer med lätthet att betinga ett värde av 50 miljoner kronor per botad patient. Sådana preparat är under utveckling och det är därför viktigt att sjukvården signalerar vilken betalningsvilja som finns och vilken förmåga sjukvården har att anpassa sitt budgetsystem så att befintliga budgetbarriärer inte hindrar framtagandet av sådana botande innovativa terapier.

Sammanfattningsvis kommer nya innovativa botande läkemedel innebära stora initiala kostnader under mycket kort tid. Samtidigt kommer osäkerheten om den bestående effekten av behandlingen att vara genuint osäker under många år. Den stora initiala kostnaden under kort tid är inte förenlig med dagens budgetsystem som redan i dag skapar barriärer för att kunna betala för botande behandlingar. Läkemedlet kan mycket väl vara kostnadseffektivt men det finns inte finansiering att betala för terapin inom dagens budgetsystem.

Särläkemedel

Läkemedel för mycket ovanliga sjukdomar kallas särläkemedel. Vilka läkemedel som definieras som särläkemedel bestäms på EU-nivå. När ett läkemedel fått en godkänd särläkemedelsstatus för en indikation ges företaget ensamrätt på marknaden för försäljning under tio år vilket är kortare än för andra läkemedel där skyddstiden för patent normalt är begränsad till tjugo år. Ensamrätten på marknaden kan också brytas om det kommer ett nytt läkemedel som visar på bättre kliniskt resultat eller om företaget inte kan förse marknaden med tillräckliga mängder av produkten. Utmaningen med särläkemedel är att kostnaden för ett särläkemedel per år och patient ofta blir väldigt

högt eftersom utvecklingskostnaden för ett läkemedel är högt samtidigt som det är en liten population som ska använda produkten. Kostnaden per patient och år kan uppgå till en miljon kronor eller mer vilket i vårt nuvarande system som tillämpar värdebaserad pris-sättning med kostnad/QALY är svåra nivåer att acceptera. TLV och NT-rådet har emellertid på senare tid börjat tillämpa ett annat sätt att värdera sär-läkemedel för att ta hänsyn till att ett det finns ytterligare värde av vissa läkemedel som inte fångas av en QALY men det saknas ännu så länge information och transparens kring hur det nya värderingssättet går till och hur det ska implementeras[3].

Mycket talar för att vi under de kommande åren kan räkna med att se flera nya sär-läkemedel på marknaden, exempelvis finns en studie som estimerar att vi får cirka tio nya sär-läkemedel varje år och att totalantalet skulle öka från 111 2016 till 149 år 2020 [4]. Kommissionen för Innovativa Sär-läkemedel har låtit ta fram en rapport som bland annat presenterar olika förslag till finansiering av nya sär-läkemedel: Egenfinansiering – privata försäkringar, Nya ekonomiska ersättningsmodeller, Skattefinansierad landstings/regional egen försäkringslösning för sär-läkemedel, Skattefinansierad statligt öronmärkt tilläggsfinansiering och Skattefinansierad separat statlig budget för sär-läkemedel [3].

Läkemedel med multipla indikationer och kombinationsbehandlingar

Det finns många läkemedel som är effektiva för flera indikationer. Graden av effektivitet för ett läkemedel med samma aktiva substans kan skifta beroende på indikation, patientkaraktäristika och behandlingslinje. Cancerområdet är ett sådant exempel där värdet av ett läkemedel kan variera beroende på typ av cancersjukdom eller sjukdomsstadium. Dagens subventionssystem är produktbaserat vilket innebär att produkten subventioneras för alla de indikationer som läkemedlet är godkänt för. Detta resulterar i att om ett läkemedels värde varierar för olika indikationer och priset sätts baserat på den indikationen med högst värde så blir priset för högt för att de indikationerna med lägre värde ska anses kostnadseffektiva. I sin tur leder det till att läkemedlet inte får subvention för vissa indikationer och att vissa patienter inte får tillgång till behandlingen. Vidare om priset i stället sätts baserat på den indikationen med lägst värde så

leder det till att läkemedelsföretagen inte ansöker om subvention för vissa indikationer vilket på längre sikt kan leda till att företagen avstår från att utveckla nya läkemedel eftersom innovation inte premieras. Det har till exempel visats att för många cancerläkemedel är den faktiska kostnaden lägre än värdet av behandlingen vid flera indikationer men det finns även exempel som visar på det motsatta. Om kostnadseffektiviteten ser olika ut för olika indikationer motiverar det därför olika priser beroende på indikation, dvs. indikationsbaserad prissättning. För närvarande tillämpas inte indikationsbaserad prissättning i Sverige men företagen kan marknadsföra produkten under olika namn och/eller med olika dosering eller administreringsätt vilket därför kan motivera olika pris. Internationellt tillämpas inte heller indikationsbaserad prissättning i någon större utsträckning även om det finns en del erfarenheter från andra länder kring hur man kan hantera utmaningen [5, 6]. Exempelvis finns i Italien indikations-specifika register (ägda av Italian Medicines Agency, AIFA) för vissa läkemedel med multipla indikationer (t.ex. Avastin (bevacizumab, Cimzia (certolizumab pegol), Erbitux (cetuximab) för att garantera användning enligt godkänd indikation och insamling av real-world data för uppföljning.

Ett läkemedels värde kan också variera beroende på om det ges i kombination med andra läkemedel eller som monoterapi. Läkemedlet som monoterapi kan ge ett högt värde men värdet för patienten kan också bli ännu högre om det i stället ges i kombination eller i sekvens med ett annat läkemedel (t.ex. fungerar flera nya cancerbehandlingar på det sättet). Dock blir det svårt att avgöra vilket av läkemedlen i en kombinationsbehandling som genererade vilket värde. Om det är samma företag som producerar båda läkemedlen kan företag och betalare komma överens om olika pris-volym avtal för att hantera kombinationsbehandlingen men om det däremot är olika företag som marknadsför de olika produkterna blir problemet svårare att hantera. I framtiden kan vi förvänta oss att kombinationsbehandlingar blir allt vanligare i takt med utvecklingen av målsökande och riktade terapier.

Biosimilarer

Biosimilarer har funnits i Europa sedan 2006. Den första biosimilaren var somatropin som är ett tillväxthormon. Året därpå kom epoetin som stimulerar bildningen av röda blodkroppar. Biosimilarer innehåller samma aktiva substans som det tidigare godkända biologiska läkemedlet (referensläkemedlet) men är inte identisk. Vid godkännandet av biosimilaren ska jämförbar effekt och säkerhet visas mot referensläkemedlet. Europeiska unionen har ett gemensamt regulatoriskt system för godkännande av biosimilarer men de olika europeiska länderna har skillnader i sina system för subvention och även olika system för att ge incitament för att förskriva biosimilarer. Detta innebär att man trots det enhetliga regulatoriska systemet kan se betydande skillnader mellan länderna i upptag av biologiska läkemedel [7].

I en studie publicerad 2014 kring upptaget av biosimilars låg fokus på två klasser av biosimilarer, erythropoiesis-stimulerande agenter (ESAs) och granulocyte colony-stimulerande faktorer (G-CSFs) [7]. I den förra gruppen ingår epoetin (Eprex) och biosimilaren för detta läkemedel hade 2011 en marknadsandel på cirka 60 procent både i Tyskland och i Sverige. Biosimilarernas andel av hela gruppen ESA var cirka 40 procent i Tyskland och något lägre cirka 30 procent i Sverige år 2011. Tyskland och Sverige utmärker sig med en högre andel biosimilarer än vad som användes samma år i Storbritannien, Frankrike och Italien där andelen låg runt 10 procent både för epoetin och för hela ESA-gruppen. För G-CSF och för filgrastim (Neupogen) som är ett av läkemedlen i gruppen är dock andelarna biosimilarer relativt högt även i Storbritannien [7].

Biosimilarer är inte automatiskt utbytbara mot sina referensläkemedel. Därför ser vi inte heller några omedelbara stora kostnadsbesparingar när ett biologiskt läkemedel förlorar sitt patent. Biosimilarerna måste konkurrera på marknaden precis som andra originalläkemedel. Det är inte säkert att företag utvecklar biosimilarer. Roche fokuserade på att utveckla förbättrade versioner av patenterade läkemedel. Herceptins patent gick ut i EU år 2014 och går ut i US 2019. Företaget utvecklade två nya läkemedel Perjeta (pertuzumab) och Kadcylla (ado-trastuzumab emtansine) för att ersätta Herceptin. En del företag väljer att sänka priserna på sitt biologiska läkemedel och samtidigt utveckla en andra generationens biologiska läkemedel

vilket ska vara en förbättring av det ursprungliga originalläkemedlet och ge företaget ett nytt patent. Ett exempel Neulasta som är andra generationens Neupogen (filgrastim). Neulasta har i US ett pris som är cirka 60 procent av priset per cykel för Neupogen,[8]. I sådana fall kan det vara svårt för biosimilarerna att komma in på marknaden med betydligt lägre pris.

Priserna och upptaget av biologiska läkemedel och biosimilarer skiljer sig åt. Det finns tre läkemedel på marknaden med substansen infliximab. Remicade är originalet och Inflectra och Remsima biosimilarer. TLV har beräknat andelen sålda biosimilarer till infliximab till 30,9 procent i Sverige, 97,0 procent i Danmark, 86,9 procent i Finland och 91,1 procent i Norge. Enligt TLV:s beräkning har Sverige ett väsentligt lägre upptag av biosimilarer än övriga nordiska länder [9].

Kostnadsbesparingarna till följd av biosimilarer kan komma på olika lång sikt. För att detta ska ske krävs omfattande uppföljningsstudier av effekt och säkerhet samt jämförelser med behandling med referensläkemedlet och med nya andra generationens biologiska läkemedel. För att undanröja tveksamheter kring effekt och säkerhet av att byta från en fungerande biologisk behandling till en billigare men osäkrare behandling med biosimilarer har Läkemedelsverket i Norge finansierat en klinisk studie NOR-SWITCH för att studera Remicades och Remsima/Inflectras utbytbarhet. Resultat presenterades i november 2016 och visade att patienter som stod på TNF-hämmaren Remicade kunde byta till en så kallad biosimilar utan att effekt, biverkningar eller antikroppsbildning påverkades [10].

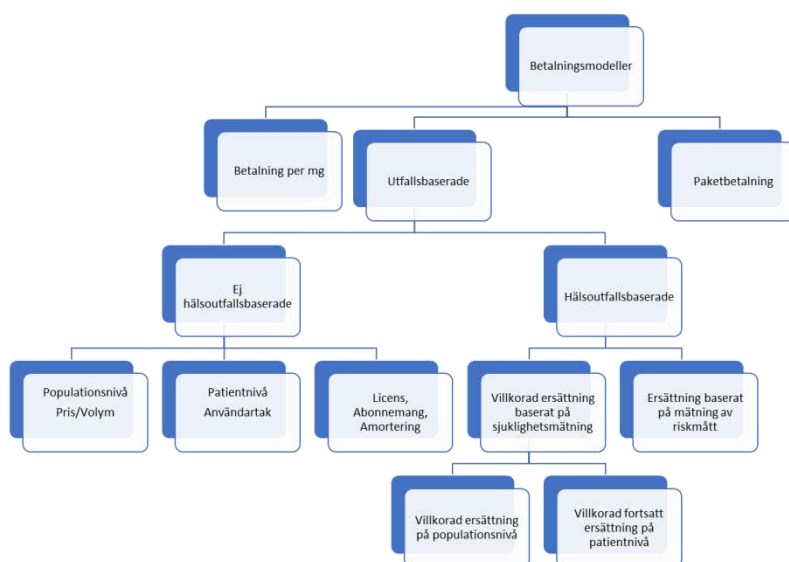
En liknande studie har satts upp i Nederländerna med stöd från offentliga finansärer, BOI-SWITCH. Denna studie ska se på effekter och säkerhet av att byta från Remicade till infliximabs biosimilar hos patienter med reumatoid artrit, spondylorartit och psoriasis artrit [11].

Utöver information om effekt och säkerhet i klinisk praxis krävs det också andra incitament för att använda biosimilarerna. Biosimilarer kan administreras av läkare på kliniker och sjukhus men kan också administreras i hemsjukvård.

Översikt av några alternativa betalningsmodeller

För att kunna hantera ovan beskrivna utmaningar på läkemedelsmarknaden krävs en öppenhet för nya alternativa betalningsmodeller. I detta avsnitt presenteras ett antal olika betalningsmodeller tillsammans med exempel på hur de kan fungera samt vilka fördelar respektive nackdelar som finns. Vår översikt av betalningsmodeller i figur 2 är en anpassning av en klassificering gjord av Carlson med flera 2010 [12]. För de olika typerna presenteras först det huvudsakliga syftet och principen för hur modellerna fungerar. Därefter ges exempel på var och hur modellerna har fungerat i praktiken och dess fördelar respektive nackdelar.

Figur 2 Översikt av alternativa betalningsmodeller



Betalning per mg och paketbetalning

En i dag vanlig betalningsmodell för läkemedel är betalning per dos eller mg. Denna modell är enkel i sin grund även om den kan innehålla olika typer av rabatter. En annan betalningsmodell är paketbetalning (bundled payment) som innebär att ersättningen baseras på en sammantagen kostnad för hela behandlingen. Den betalningsmodellen är mest använd vid betalning av vårdtjänster där den förut-

bestämda betalningen ska täcka alla vårdkostnader som kan relateras till ett visst ingrepp eller diagnos. Ett exempel där denna typ av betalningsmodell fungerat i sjukvården är vid höftledsoperation där vårdgivare ges en fast ersättning som inkluderar operation, röntgen, eftervård och återbesök. Betalning av läkemedel kulle kunna ske efter samma princip där paketbetalningen då skulle inkludera inte bara kostnaden för den enskilda produkten utan även kostnader för exempelvis uppföljning och behandling av komplikationer. Olika typer av paketbetalning kan tänkas beroende på typ av sjukdom och typ av behandling. Ett område där en paketbetalning skulle kunna fungera är vid målriktade terapier där den individualiserade behandlingen kräver viss typ av diagnostik som t.ex. identifiering av patienternas individuella biomarkörstatus. I det här fallet kan man tänkas sig att kostnaden för behandlingen även inkluderar kostnaden för diagnostiken som krävs. Ett annat område är vid kroniska sjukdomar där behandlingen ibland befinner sig i gränslandet mellan läkemedel och medicinteknik. Till exempel vid diabetesbehandling där patienten behöver kontrollera sina blodglukosnivåer och behandla med insulin. Kostnaden för läkemedelsbehandlingen kan här även inkludera kostnaden för blodglukosmätare såsom FGM (flash glucose monitoring) och CGM (continuous glucose monitoring) med eller utan insulinpump. Andra exempel kan vara vid reumatologiska sjukdomar där betalningen för biologisk läkemedelsbehandlingen inte bara kan inkludera läkemedlet utan också kostnaderna för administrering (t.ex. spruta, kanyl, penna). För en infusionsbehandling kan det även inkludera kostnader för personal på sjukhus, hemsjukvård etc. Vidare kan man tänka sig att betalningen för läkemedelsbehandlingen även skulle kunna inkludera utbildning av patienten, sjuksköterskor, startkit för behandling, användarvänlig utrustning etc.

Utfallsbaserade betalningsmodeller

Utfallsbaserade betalningsmodeller kan delas i upp icke-hälsoutfallsbaserade och hälsoutfallsbaserade modeller baserat på om betalningen är kopplad till kvalitet eller värde (hälsa) eller inte.

Ej hälsoutfallsbaserade

Pris/volym

Bland de betalningsmodeller som inte baseras på hälsoutfall finns populationsbaserade pris/volym avtal. I dessa baseras enhetskostnaden för läkemedlet på den totala volymen av läkemedel som köps. Enhetspriset per produkt kan således variera utifrån olika mängdnivåer som uppnås.

Användartak

En annan betalningsmodell som inte heller baseras på hälsoutfall är en variant där man har ett användartak på patientnivå. Detta innebär att betalare och företag kommer överens om en maxgräns för konsumtion av läkemedlet per patient och om konsumtionen överstiger denna nivå så förser företaget betalaren med läkemedlet utan kostnad. Denna modell kräver ingen insamling av hälsoutfallsdata men väl data på patienternas användning. När avtalet ingås och nivån på taket sätts är det dock rimligt att anta att nivån baseras på befintliga hälsoutfallsdata.

Från Storbritannien kan nämnas ett exempel på ett avtal med användartak mellan NHS och Novartis kring Lucentis som används vid maculadegeneration [12]. I denna behandling finns en viss osäkerhet kring hur många extra injektioner patienten behöver efter en initial behandling. Avtalet innebar att man begränsade antalet behandlingar som NHS behövde betala till ett visst antal injektioner och att företaget direkt ersatte de sjukhus som behövde ge patienterna extra injektioner utöver begränsningen.

Ett annat exempel är de avtal som slutits mellan landstingen och företagen i Sverige gällande de kotsamma läkemedlen vid kronisk hepatit C. Avtalen är utformade för att hantera den osäkerhet som finns kring behandlingslängden i hepatit C-behandlingen och innebär att företagen lämnar en viss del av läkemedelskostnaden i återbäring till landstingen. I de första sidoöverenskommelserna gällde olika regler för olika företag men från och med 2017 ser överenskommelserna lika ut för alla företag och landsting. I sidoöverenskommelserna definieras nu en maximal behandlingskostnad per patient för ett läkemedel och kostnader som överstiger den nivån lämnas som återbäring till lands-

tingen. Detta innebär att maxkostnaden för behandling av en patient förblir oförändrad även om priset ändras.

Ett ytterligare svenskt exempel på betalningsmodell där någon form av användartak sätts i stället för att koppla till behandlingsutfall är vid behandling av icke-småcellig lungcancer med nivolumab (Opdivo) och pembrolizumab (Keytruda). NT-rådet har här valt att tillämpa en stoppregel som begränsar behandlingen till ett visst antal månader i stället för att behandla fram till sjukdomsprogression [13]. För båda läkemedel gäller att det blir stora skillnader i beräknad kostnad per kvalitetsjusterade levnadsår (QALY) om man tillämpar stoppregeln. Landstingen och företagen har ingått avtal med sekretessbelagd rabatt för att inte påverka listpriserna och detta tillsammans med stoppregeln gör att priset på läkemedlen kan hållas nere.

Abonnemang/licens

En betalningsmodell med abonnemangs- eller licenslösning är ett exempel på en populationsbaserad betalningsmodell där det inte finns en koppling till kvalitet eller värde. I en sådan modell kan en klinik betala en fast avgift och därmed få fri tillgång till läkemedlet för de patienter som har godkänd indikation. På så sätt har betalaren full budgetkontroll medan företaget står för risken

Amortering/annuitet

En annan betalningsmodell är en amorteringsmodell där kostnaden för läkemedlet delas upp över en längre tid. Den här typen av lösning är intressant när man ska hantera läkemedel med mycket höga kostnader under kort tid och med långsiktiga bestående effekter [14, 15]. De här läkemedlen används oftast vid mycket allvarliga, kroniska eller livshotande sjukdomar. Betalningsmodeller med avbetalning är vanliga för andra områden såsom till exempel vid kapitalvaror med hög initial kostnad och där nyttan med produkten varar under en längre period. Det är samma princip som för denna typen av läkemedel där betalaren står inför en hög initial behandlingskostnad medan effekten av läkemedlet varar under en längre tid i termer av förlängd överlevnad, förbättrad livskvalitet eller en minskning av framtida sjukvårdskostnader. Denna typ av betalningsmodell har inte

använts i någon större utsträckning men har diskuterats till exempel i USA vid behandling av hepatit C med sofosbuvir som är ett mycket dyrt läkemedel men som leder till bot för patienten. Olika typer av genterapi (till exempel vid sjukdomar som ALS, cancer, cystisk fibros, epilepsi, hemofili, muskulär dystrofi, Parkinson) som kan leda till långsiktiga effekter eller till och med ha botande effekt är ett annat område där den här typen av betalningsmodell diskuterats som en möjlig lösning [16].

Ett exempel där man också skulle kunna tänka sig en betalningsmodell med amorteringskaraktär är alemtuzumab (Lemtrada) vid behandling av multipel skleros (MS). Behandlingen innebär att man endast behöver behandla med alemtuzumab (Lemtrada) under en kort tid men att effekten kvarstår under en längre tid. För ett fåtal patienter krävs dock ytterligare behandling. I Sverige förskrivs inte läkemedlet i särskilt stor utsträckning då det finns en tydlig budgetbarriär i användandet. Första årets behandling är prissatt tre gånger så högt som första linjens behandling för MS och 50 procent högre än det som är jämförelsebehandling i andra linjen. För detta läkemedel skulle man kunna tänka sig en betalningsform där den initiala kostnaden fördelas över flera år för att komma runt problemet med budgetbarriären.

Fördelen med icke-hälsoutfallsbaserade modeller är att det inte krävs någon uppföljning eller mätning av hälsoeffekter. Modellerna kräver information om indikation och användning (ibland på populationsnivå och ibland på patientnivå) men det kan antas vara sådan information som redan finns tillgänglig oavsett typ av betalningsmodell. Nackdelen med denna modell är att det inte finns någon koppling mellan betalning och nytta, det vill säga det krävs betalning även om behandlingen inte har någon effekt. Ifall patienten inte blir hjälpt av behandlingen krävs någon ytterligare behandling eller åtgärd vilket i sin tur leder till en minskad budgetkontroll ur ett betalarperspektiv.

Hälsoutfallsbaserade

Hälsoutfallsbaserade betalningsmodeller innebär att modellen länkar betalningen till uppnått behandlingsutfall. Det kan innebära en överenskommelse om rabatt eller prisjustering om inte produkten uppnår det förväntade utfallet. Exempelvis kan det innebära att man som betalare får betala ett ”högt” pris vid uppfyllt mål medan man om målet inte uppfylls betalar ett ”lågt” pris. Vidare kan man genom att komma överens om rabatt eller återbetalning i stället för att justera priset göra så att man inte riskerar att påverka listpriserna. En sådan modell kan fungera om utfallet kan mätas utan alltför stora kostnader för att mäta utan kan baseras på patienternas egen rapportering av hälsa (t.ex. via mobilapplikationer i stället för besök hos läkare eller sjuksköterska). Betalningsmodeller som baseras på behandlingsutfall kan således innebära administrativa kostnader för infrastruktur (skapa ett system för lagring och bearbetning av data) samt för arbete med att registrera data, förhandla fram avtal och hantera eventuell återbetalning etc.

Det finns flera internationella erfarenheter där företag kommit överens med betalare kring olika hälsoutfallsbaserade betalningsmodeller under 2000-talet som har visat både på potentialen med sådana modeller men även på de utmaningar som finns med den typen av avtal [17, 18]. Ett exempel på nationell nivå är Belgien där läkemedelsindustrin 2015 skrivit avtal med myndigheter för att patienter ska få tillgång till nya läkemedel snabbt. Patienterna ska kontinuerligt följas upp och betalningen ska ske baserat på utfall [19].

Villkorad ersättning baserat på hälsoutfall med sjuklighetsmätning

Betalningsmodeller med villkorad ersättning är beroende av utfallsdata. Företaget kan exempelvis krävas på mer data för att få ersättning för sin produkt (Coverage with evidence development, CED). Kraven på mer data kan innebära både uppföljningar i kliniska prövningar eller real-world studier men på populationsnivå. En annan variant på villkorad ersättning är när företaget tillhandahåller produkten gratis/ till ett lågt pris i ett initialt behandlingsskede för att sen få ersättning för de patienter som svarat på behandlingen i ett andra skede (Conditional

treatment continuation CTC). Med denna modell begränsar man behandlingen till de patienter som har faktisk effekt av behandlingen. Modellen kräver dock att hälsoutfallet mäts på patientnivå.

Det finns ett flertal exempel på utfallsbaserade betalningsmodeller från USA [18]. Ett exempel är ett avtal mellan Sanofi Aventis och Health Alliance Plan gällande Actonel (risedronate) vid osteoporos. I avtalet gav företaget rabatt om patienterna fick frakturer när de stod på behandlingen. Ett annat exempel är ett avtal mellan Amgen och Harvard Pilgrim (icke vinstdrivande sjukvårdsföretag) för det kolesterolsänkande läkemedlet Repatha (evolocumab) där Amgen ger rabatt om en patient får en stroke eller hjärtinfarkt under behandlingen med Repatha. Ett annat exempel är ett avtal som slutits mellan Novartis och Harvard Pilgrim vid hjärtsviktsbehandling (Entresto). Avtalet innebär att Novartis ger rabatt på läkemedlet om sjukhusinläggningarna vid hjärtsvikt inte minskar. Novartis har också slutit liknande avtal med andra sjukförsäkringsbolag där antalet minskade sjukhusinläggningar länkas till finansiell kompensation.

Ett annat sjukdomsområde där alternativa betalningsmodeller baserade på hälsoutfall diskuteras är vid behandling av hemofili [20]. Dagens betalning av behandlingen (faktor VIII preparat) baseras ofta på pris per internationell enhet (volymmått på mängden faktorkoncentrat). Detta är administrativt enkelt men har en svag koppling till behandlingsutfall. Detta tillsammans med att det nu finns nya faktorkoncentrat som är mer långverkande har lett till att alternativa betalningsmodeller diskuteras. En sådan modell skulle kunna innebära att betalningen kopplas till patientutfall (ex-post) i termer av blödningar eller klinisk ledscore i stället.

Ytterligare ett område där en betalningsmodell som kopplar betalning till behandlingsutfall är psoriasisbehandling med biologiska läkemedel. Det finns nya biologiska läkemedel för psoriasis där studier visat att den inflammatoriska aktiviteten nästintill försvunnit hos en del av patienterna. Det finns dock en osäkerhet kring långtidseffekt och vilka patienter som svarar på behandlingen som kan motivera en betalningsmodell där man länkar betalningen till utfallet. Utfall i det här fallet skulle kunna vara PASI (Psoriasis Area Severity Index) som är det vanligaste kliniska utfallsmåttet för att mäta effekt i kliniska prövningar. Principen skulle vara att man sätter en målnivå för PASI där företaget får ett "høgt" pris för de patienter som svarar på behandlingen, det vill säga, om målnivån nås, och ett "lågt" pris om

målnivån inte nås. En utmaning som lyfts fram med en sådan modell är att i största mån undvika att den administrativa bördan för läkare ökas om det skulle krävas fler sjukvårdsbesök för att bedöma PASI etc. Att patienterna själva skulle rapportera sin hälsostatus genom exempelvis mobilapplikationer skulle eventuellt vara en möjlig väg.

En amorteringsmodell där kostnaden för läkemedlet delas upp över en längre tid (som beskrivits under 3.2.1 som en lösning för att hantera läkemedel med mycket höga kostnader under kort tid och med långsiktiga bestående effekter) kan också innehålla en betalningsdel som baseras på hälsoutfall [15]. Avbetalningarna kan vara knutna till uppmätt hälsoutfall där dessa uteblir om det förväntade hälsoutfallet inte uppnås. Utmaningen med en sådan modell är dels att definiera och komma överens om vad som menas med "att det förväntade hälsoutfallet inte uppnås" samt att skapa ett system som länkar behandlingsutfallet med de faktiska utbetalningarna. För att bygga på exemplet med amorteringsmodellen som presenterades tidigare för behandling med alemtuzumab (Lemtrada) vid MS kan man i den tänka sig att lägga till en hälsoutfallsdel. Behandlingen med alemtuzumab (Lemtrada) sker under en kort tid, till en hög kostnad men med en lång kvarstående effekt. Några patienter behöver dock återbehandling vilket bidrar till en osäkerhet i framtida kostnader. För att hantera både budgetbarriären med den höga initiala kostnaden och osäkerheten med eventuella återbehandlingar kan man kombinera amorteringsmodellen med en hälsoutfallsdel där företaget tillhandahåller läkemedlet för eventuella återbehandlingar till ett rabatterat pris (alternativt ett "mycket lågt" pris om den fasta amorteringsdelen är satt "högre"). På så sätt delar företag och betalare på risken vid eventuella återbehandlingar.

Fördelen med den här typen av betalningsmodell som kopplar betalningen till kvalitet och värde är att betalningen faktiskt speglar hur behandlingen fungerar. Nackdelen med den här typen av betalningsmodell är att det kan innebära administrativa kostnader för att hantera datauppföljningen som sen ska kopplas till betalningen/återbetalningen. En förutsättning för att en betalningsmodell som ska koppla betalning till behandlingsutfall ska fungera är dessutom att alla parter är överens om hur behandlingsrespons ska mätas. Det kan också ur ett betalarperspektiv innebära en svårighet med budgetkontroll om man inte på förhand vet hur stor den patientpopulation är som inte har effekt av läkemedlet.

Ersättning baserat på mätning av riskmått

En relativt enkel modell för betalning skulle vara att koppla betalning för ett visst läkemedel till ett riskmått. Med riskmått menas här objektiva mått som är enkla att mäta upp såsom exempelvis blodtryck, BMI, kolesterolvärden, blodglukosvärden etc. Dessa innebär risker för olika sjukdomar och korrelerar med en viss sjuklighet men innebär inte nödvändigtvis att patienten är sjuk. I en betalningsmodell skulle det vara relativt enkelt att sätta upp mål genom att använda dessa riskmått för att därefter koppla betalningen till huruvida målen uppnås eller ej. Det kan innebära en överenskommelse om rabatt eller prisjustering om målet inte nås, exempelvis om inte blodtrycksnivån sänks till ett visst värde. Förslagsvis kan det innebära att man som betalare får betala ett "högt" pris om målet nås medan man om målet inte uppfylls betalar ett "låg" pris.

Ett exempel på en sådan betalningsmodell är ett avtal mellan Amgen och Harvard Pilgrim (icke vinstdrivande sjukvårdsföretag) för det kolesterolsänkande läkemedlet Repatha (evolocumab) där Amgen ger rabatt om patienternas kolesterolvärden inte sänks till de värden som uppmätts i de kliniska prövningarna[18]. Amgen har även slutit ett avtal för ett annat läkemedel, Enbrel (etanercept) vid reumatoid artrit där Harvard Pilgrim inte betalar fullt pris om patientens värden inte når upp till en viss förutbestämd nivå baserat på mätning av patientens följsamhet, switch eller tillägg av andra läkemedel, doseskalering och steroidintervention. Eli Lilly har också ingått avtal med Harvard Pilgrim för ett läkemedel, Forteo (teriparatide) vid osteoporos. Avtalet innebär att följsamhet till behandlingen i försäkringsgruppen belönas med att Eli Lilly sänker priset på läkemedlet. För att Forteo ska nå bäst effekt måste läkemedlet tas regelbundet under två år.

Ett annat exempel är ett avtal som Merck hade med Cigna (sjukförsäkringsföretag) i USA angående Januvia/Janumet (tablettform) vid diabetesbehandling [18]. Avtalet innebar att företaget gav en rabatt på läkemedlet om patienter med typ 2-diabetes sänkte sitt blodglukosvärde (HbA1c) och följde sin behandling oavsett vilken behandling de tagit. Efter ett år hade patienterna förbättrat sitt blodsockervärde med mer än 5 procent och följsamheten hade stigit steg till 87 procent men värt att notera är att utfallet inte endast kan kopplas till Januvia/Janumet.

Ett annat sjukdomsområde där en alternativ betalningsmodell baserat på mätning av riskmått kan vara ett alternativ är vid behandling av hemofili. Dagens betalning av behandlingen (faktor VIII preparat) baseras ofta på pris per internationell enhet (volymmått på mängden faktorkoncentrat). Målsättningen med behandlingen är att hålla faktorhalten i blodet på en nivå som gör att patienten inte får blödningar. Koncentrationen av faktor VIII i blodet är korrelerad med risken för blödningar. En alternativ utfallsbaserad betalningsmodell skulle därför kunna innebära att betalningen för behandlingen kopplas till nivån av faktor VIII i blodet [20]. I en sådan modell är det viktigt att betalaren definierar vad som är en acceptabel nivå på risken för blödningar.

I tabell 1 finns en summering av de alternativa betalningsmodeller som har beskrivits.

Tabell 1 Summering alternativa betalningsmodeller

Modell	Betalningsprincip	Exempel	Fördelar	Nackdelar
Betalning per mg	Betalning per mg.	Pris per IE (internationell enhet) för faktor VIII-koncentrat vid hemofili.	Administrativt enkelt	Ingen koppling till behandlingsutfall.
Paketbetalning	Förutbestämd paketkostnad för ett läkemedel/behandling.	Kostnaden för insulin inkluderar även glukosmätare och insulinpump.		Ingen koppling till behandlingsutfall.
Ej hälsoutfall				Ingen koppling till behandlingsutfall.
– Pris/volym	Enhetskostnaden varierar baserat på totalvolymen.	När en viss mängd läkemedel köps utgår en rabatt (olika nivåer ger olika rabatter).	Administrativt enkelt	
– Användartak	Nivå av maxkonsumtion av läkemedel/patient – därutöver förser företaget med produkten.	Betalaren står för initial behandling (ex. 10 injektioner). Vid behov av extra injektioner ersätter företaget dessa.	Budgetkontroll	Företaget bär hela risken. Användningsdata krävs.
– Abonnemang, Licens	Fast avgift och därefter fri tillgång eller enligt maxgräns.	En klinik betalar en fast avgift för ett läkemedel och får därmed fri tillgång till produkten.	Budgetkontroll	Företaget bär hela risken.
– Amortering	Kostnaden delas upp enligt en avbetalningsplan.	Lemtrada (alemtuzumab) vid MS: den höga initiala kostnaden är 182 (539 kr) delas upp enligt en avbetalningsplan på 5 år (108 kr/år).	Budgetkontroll. Eventuella budgetbarriärer kan hanteras vilket ger snabbare upptag av läkemedel.	
Hälsoutfallsbaserade				
– Villkorad ersättning baserat på sjuklighet	Betalning endast om patienten uppnår målnivån eller rabatt om målnivån inte nås.	Actonel (risedronate) vid osteoporos: rabatt på läkemedlet om patienterna fick frakturer under behandling annars full betalning.	Full betalning endast om det finns ett positivt behandlingsutfall. Snabbare upptag av läkemedlet.	Kräver datainsamling/mätning. Kan ge begränsad budgetkontroll.
– Ersättning baserat på riskmått	Betalningen är kopplad till intermedieärt mått (riskmått).	Betalning för läkemedel vid hemofili baserat på den faktor VIII nivå som finns i blodet (faktor VIII-koncentrationen korrelerar med risken för blödning).	Full betalning endast om det finns en nytta. Snabbare upptag av läkemedlet.	Kräver datainsamling/mätning. Kan ge begränsad budgetkontroll.

Sammanfattning och diskussion

Grunden när man diskuterar finansiering, subvention och prissättning av läkemedel är att det i princip handlar om tre olika delar; värdet, priset och betalningen. Ett läkemedels värde uppstår då läkemedlet används i klinisk praxis för att förebygga, behandla eller lindra symptom av sjukdom i exempelvis en ökad livslängd eller ökad livskvalitet för patienterna eller om behandlingen kräver en minskad resursinsats. Det värde som kan beräknas utifrån resultaten i randomiserade kliniska prövningar är inte säkert överensstämmande med det värde som kan bli resultatet då läkemedelsbehandlingen används i klinisk praxis. Därför krävs ofta ytterligare information än data från de randomiserade kliniska prövningarna för att kunna bedöma värdet av en ny läkemedelsterapi.

Det finns olika principer för prissättning av läkemedel. Ett är att sätta priset i relation till värdet av användningen av ett läkemedel, värdebaserad prissättning (VBP). Ett annat är att basera priset på vad det kostat att utveckla läkemedlet. En tredje princip är att prissätta baserat på Internationella Referens Priser (IRP). IRP innebär att prissättning sker utifrån hur priserna på motsvarande läkemedel ser ut i ett antal jämförelseländer. Svenska TLV tillämpar VBP vid sina beslut om vilka läkemedel som ska ingå i läkemedelsförmånerna och vilket pris som ska gälla. OECD har i en rapport beskrivit hur olika OECD länder tillämpar och beslutar kring ett läkemedels värde vid subventions- och prissättningsbeslut [21]. I rapporten lyfts diskussionen kring huruvida läkemedelpriserna faktiskt skiljer sig åt när man jämför länder som tillämpar VBP och länder som har andra prissättningsmodeller i form av mindre strukturerade förhandlingsprocesser.

Den vanliga betalningsmodellen för läkemedel har hittills varit att betala per mg eller per konsumerad enhet vilket innebär en modell där betalningen för läkemedlen sker innan vi vet hur behandlingsutfallet blir. Med dagens förändringar på läkemedelsmarknaden med allt fler botande läkemedel, särlekemedel, läkemedel med multipla indikationer, läkemedel som ges i kombination etc. finns det behov av alternativa betalningsmodeller för att hantera det faktum att vi vill att patienterna ska få snabb tillgång till nya läkemedel, att betalarna ska ha budgetkontroll samtidigt som det ska finnas incitament för företagen att utveckla nya läkemedel.

I dagens beslutsfattande inom hälso- och sjukvården är trenden alltmer att först se vilket utfall vi får och därefter betala. Utfallsbaserade betalningsmodeller kan delas upp i sådana som baseras på hälsoutfall och sådana som baseras på andra typer av utfall såsom till exempel den totala volymen man köper eller hur användningen per patient ser ut. Fördelen med dessa modeller är att de kan vara administrativt enkla då det inte krävs någon mätning och insamling av data för uppföljning.

Eftersom värdet beror på vilka patienter som behandlas (patientkaraktistik), vilken behandling man jämför med (komparator), hur sjukvården är organiserad (sekventiell behandling, behandlingstid, målgrupp) och patienternas beteenden (följsamhet) så kan värdet i klinisk praxis skilja sig väsentligt från det som mäts upp i randomiserade välkontrollerade kliniska prövningar.

Därmed kan det saknas koppling mellan nyttan med behandlingen/värdet och det man faktiskt betalar. I de hälsoutfallsbaserade betalningsmodellerna länkas betalningen till de hälsoutfall som uppnås med behandlingen och det finns exempel på avtal som slutits mellan betalare i sjukvården och företagen kring sådana modeller. Emellertid kan det finnas många utmaningar med hälsoutfallsbaserade modeller såsom kostnader och tid för att administrera datainsamling, med att definiera hur och vilket hälsoutfall som ska mätas, med att hantera vissa begränsningar i teknologi och datainfrastruktur, med att förhandla fram faktiska avtal mellan alla berörda parter såsom företag, betalare och sjukvården. Den utmaning som kanske är den största för att få till en fungerande betalningsmodell som kopplar betalning till hälsoutfall är att hitta sätt att mäta/följa upp utan alltför stora kostnader för att undvika extrabesök i vården eller merarbete för forskrivare. Patientrapporterade utfallsmätningar kan där vara möjliga.

Referenser

1. DiMasi, J.A., H.G. Grabowski, and R.W. Hansen, *Innovation in the pharmaceutical industry: New estimates of R&D costs*. J Health Econ, 2016. 47: p. 20-33.
2. Persson, U. and B. Jonsson, *The End of the International Reference Pricing System?* Appl Health Econ Health Policy, 2016. 14(1): p. 1-8.
3. Persson, U., *En ny modell för prioritering och finansiering av läkemedel för mycket sällsynta sjukdomar*. 2016, Kommissionen för Innovativa Särskilda läkemedel.
4. Hutchings, A., et al., *Estimating the budget impact of orphan drugs in Sweden and France 2013-2020*. Orphanet J Rare Dis, 2014. 9: p. 22.
5. Mestre-Ferrandiz, J., et al., *Multi-indication Pricing: Pros, Cons and Applicability to the UK*. October 2015, OHE.
6. Pearson, D.S., B. Dreitlein, and C. Henshall, *Indication-specific pricing of pharmaceuticals in the United States health care system – A report from the 2015 ICER Membership Policy Summit*, http://icer-review.org/wp-content/uploads/2015/03/Final-Report-2015-ICER-Policy-Summit-on-Indication-specific-Pricing-March-2016_revised-icons-002.pdf. March 2016, ICER.
7. Grabowski, H.G., R. Guha, and M. Salgado, *Regulatory and cost barriers are likely to limit biosimilar development and expected savings in the near future*. Health Aff (Millwood), 2014. 33(6): p. 1048-57.
8. Blackstone, A.E. and P.J. Fuhr, *The Economics of Biosimilars. American health & drug benefits*, 2013. 6(8): p. 469-478.
9. TLV, *Analys av marknaden för biologiska läkemedel med konkurrens av biosimilarer*. www.tlv.se/Upload/Ovrigt/Rapport_160615_biosimilarer.pdf, 2016.
10. Dagens Medicin, *Byte till biosimilar var säkert*. www.dagensmedicin.se/artiklar/2016/10/19/byte-till-biosimilar-var-sakert/, 2016-10-19.

11. Mestre-Ferrandiz, J., A. Towse, and M. Berdud, *Biosimilars: How Can Payers Get Long-Term Savings?* *Pharmacoeconomics*, 2016. 34(6): p. 609-16.
12. Carlson, J.J., et al., *Linking payment to health outcomes: a taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers*. Health policy, 2010. 96(3): p. 179-90.
13. NT-rådet – Sveriges Kommuner och Landsting, *NT-rådets yttrande till landstingen gällande nivolumab (Opdivo) och pembrolizumab (Keytruda) för behandling av icke-småcellig lungcancer i andra linjen*
[www.janusinfo.se/Documents/Nationellt_inforande_av_nya_lakemedel/Pembrolizumab-\(Keytruda\)-forsta-linjen-NSCLC-170401.pdf](http://www.janusinfo.se/Documents/Nationellt_inforande_av_nya_lakemedel/Pembrolizumab-(Keytruda)-forsta-linjen-NSCLC-170401.pdf). 2017-04-01.
14. Gottlieb, S. and T. Carino, *Establishing new payment provisions for the high cost of curing disease*. 2014, American Enterprise Institute.
15. Kleinke, J.D. and N. McGee, *Breaking the Bank: Three Financing Models for Addressing the Drug Innovation Cost Crisis*. American health & drug benefits, 2015. 8(3): p. 118-26.
16. Brennan, T.A. and J.M. Wilson, *The special case of gene therapy pricing*. *Nature biotechnology*, 2014. 32(9): p. 874-6.
17. Neumann, P.J., et al., *Risk-sharing arrangements that link payment for drugs to health outcomes are proving hard to implement*. *Health affairs*, 2011. 30(12): p. 2329-37.
18. Eye for pharma, *Is the US market ready for value-based contracting?* www.eyeforpharma.com.
19. De Block, M., *Pact for the future*:
www.pharma.be/nl/component/library/library/159-pact-of-the-future-with-the-pharmaceutical-industry.html. 2015.
20. Persson, U., K. Steen Carlsson, and B. Jönsson, *Alternative payment models in haemophilia treatment*. IHE Report 2016:10, 2016.
21. Paris, V. and A. Belloni, *Value in Pharmaceutical Pricing*. OECD Health Working Papers 2013. No. 63.

Dagens läkemedelsutveckling ger utmaningar för betalningsmodellen

Läkemedelsverket

I olika sammanhang har det kommunicerats att trenden är att det i dag godkänns fler läkemedel med mindre underlag än tidigare, med en andemening att det är så litet att det försvårar värdering av ett läkemedel i terapin.

Godkännande av nya läkemedel sker alltid med en viss osäkerhet (kunskapslucka), men när vet vi tillräckligt för att kunna göra en värdering? Vad behöver vi veta före ett godkännande dvs. vilka frågor besvaras bäst före ett godkännande och vilka kan/måste besvaras efter? Hur kan en betalningsmodell hantera kunskapsinhämtning efter godkännandet?

Bakgrund

De viktigaste besluten om godkännande av läkemedel fattas på EU-nivå, drivkraften för den centrala proceduren har gått från att vara obligatoriskt endast för vissa läkemedel till att vara proceduren för i stort sett alla nya innovativa läkemedel. Under 2016 godkändes en ny substans i den decentrala proceduren (DCP) vilket ska jämföras med 27 i den centrala proceduren trots att antalet DCP är många fler (mer än 10 gånger fler). Nya cancerläkemedel, biologiska läkemedel, avancerade terapier och särlekemedel samt andra innovativa läkemedel hanteras i den centrala proceduren.

EUs regulatoriska nätverk inkluderar 50 olika nationella regulatoriska myndigheter och tusentalsexperter från 31 (28+3) länder där Sverige har ett stort engagemang. Det finns etablerade processer för hur granskning och godkännande går till, där alla medlemsstater medverkar i godkännandeprocessen. EMAs respektive kommitté rekommenderar beslut och det finala godkännandebeslutet fattas av Europeiska kommissionen (KOM). Därutöver så har cirka 70 procent av alla ansökningar om försäljningstillstånd genomgått vetenskaplig rådgivning inför planering och genomförande av kliniska studier vars data sen ingår ansökningen, vilket aktivt bidrar till kompetensutveckling av experter och att riktlinjer utarbetas/uppdateras vid behov.

KOM vill se fler initiativ för ökad utveckling av nya innovativa läkemedel och att patienter får snabbare tillgång till bra läkemedel. KOM har tillsammans med EMA och andra aktörer tagit fram olika incitament för att stimulera forskning och utveckling av nya läke-

medel där det finns ett stort medicinskt behov för att på så sätt främja folkhälsa i EU. EMAs strategiplan definierar hur detta ska uppnås. Exempel på EMAs strategi att främja forskning och utveckling är genom support till SME företag, läkemedelsutveckling, vetenskaplig rådgivning men också användning av befintliga regulatoriska verktyg på ett annat sätt och mer samverkan med andra intressenter t.ex. HTA myndigheter (Adaptive pathway, PRIME).

För att säkerställa granskning av EMAs initiativ har KOM tillsatt en expertgrupp STAMP (Safe and Timely Access to Medicinal Products) för att genom dialog och samverkan säkerställa att robusta processer tas fram. Dessutom har andra aktiviteter initierats av KOM och andra intressenter (t.ex. IMI) för öka samarbetet mellan olika aktörer och stödja utveckling och introduktion av nya läkemedel.

Försäljningstillstånd

Resultatet av en utredning av en ansökan är nytta-risk bedömningen som baseras på tillgängliga prekliniska och kliniska data (säkerhet och effekt) samt kvalitet. En positiv nytta-risk bedömning är grunden för en positiv rekommendation från EMA och därefter godkännande från KOM. Regulatoriska beslutsfattare måste kunna balansera behovet av mer information om kvalitet, säkerhet och effektivitet mot behovet av tillgång till läkemedlet, särskilt i terapiområden med ett stort medicinskt behov.

Alla godkännanden av nya läkemedel är behäftade med ett visst mått av osäkerhet (kunskapslucka). Efter godkännandet behöver kunskap byggas från en större användning utanför de strikta inklusions och exklusions kriterier i de randomiserade kliniska studierna (RCT), som ligger till grund för godkännandet, samt behandling av en större patientgrupp. Långtidseffekterna av säkerhet och effekt kan bara bedömas efter godkännandet om inte orimligt långa utvecklingstider och kostnader ska accepteras. Utifrån en bred erfarenhet har kunskap byggts upp om hur risker kan minimeras för olika produkter och terapiområden.

De senaste åren har det varit fokus på att minska kunskapsluckor efter godkännandet (postapproval) och de uppdaterade farmakovigilans(PhV)-lagstiftningarna från 2012 har gett ökade möjligheter genom olika regulatoriska verktyg att minimera detta. Kun-

skapsbristen kan t.ex. hanteras genom att produkten godkänns med villkor som att säkerhets-(PASS) och/eller effektstudier (PAES) ska genomföras efter godkännandet alternativt utökad övervakning för att aktivt samla in information om produkten och dess användning. Signalspaning och biverkningar från långtidsanvändning är andra traditionella sätt att (passivt) samla ytterligare information. Förutom RCT kan kunskap bl.a. inhämtas från sjukvårdens kvalitetsregister, där kunskap om behandling och dess effekter dokumenteras.

Oavsett ansökningsprocedur (nationellt, decentraliserad, ömsesidig eller central procedur) är (effektiva) utredningstiden densamma 210 dagar, därefter tillkommer tid för godkännande av KOM eller av nationell myndighet. I den centrala proceduren finns en möjlighet att ansöka om en accelererad process vilket innebär att den utredningstiden kortas till 150 dagar under förutsättning att vissa specifika kriterier uppfylls. Tidtabellen kan dock under proceduren ändras till den normala tidtabellen. Utökade vetenskapliga rådgivningar (flera och/eller parallella rådgivningar) och accelererad process är de regulatoriska verktyg som finns in lagstiftningen för att ge tidigare tillgång till nya läkemedel. Mer information om procedurer och tidtabeller se bilaga 1.

Det finns tre typer av försäljningstillstånd; fullständigt (normalt), villkorat och under särskilda omständigheter. En översikt av dessa framgår i tabell 1.

Tabell 1 Översikt av olika godkännanden

“normalt” MA	Villkorat MA	MA under särskilda omständigheter
Omfattande data vid godkännandet	Omfattande data efter godkännandet	Omfattande data ej möjligt (specifika orsaker förutsågs i lagstiftningen)
Komplett (full) MA	Senare ”switch” till komplett MA	Kan normalt inte switchas till en komplett MA
Gäller i 5 år, förnybar	Gäller i 1 år, förnyas årligen	Förnyas årligen för att bedöma nytta-risk balansen
Standard i alla registreringsprocedurer	Bara möjligt i den centrala proceduren	Möjlig i alla registreringsprocedurer
Kan ha villkor (eg. PASS, PAES)	Särskilda förpliktelser + kan ha villkor	Särskilda förpliktelser + kan ha villkor

MA= marketing authorisation (försäljningstillstånd).

Om fullständiga data inte skulle finnas för att verifiera (bekräfta) en positiv nytta-risk bedömning finns det två möjligheter under förutsättning att väldefinierade specifika kriterier uppfylls som t.ex. att det är en livshotande sjukdom, det finns ett stort medicinskt behov och ingen alternativt otillfredsställande behandling finns.

- Ett villkorat godkännande: patienter får tillgång till läkemedlet men kliniska data måste rapporteras in årligen så att ett fullständigt godkännande kan ges. *Exempel:* Blincyto (2 linjens terapi vid recidiv av B-precursor ALL)
- Under väldigt speciella kriterier kan ett läkemedel godkännas under exceptionella omständigheter. Det gäller t.ex. om sjukdomen är så sällsynt att data inte går att få fram eller där det anses oetiskt att inte tillhandahålla produkten. *Exempel:* Obizur (hemofili), Imvanex (Smittkoppsvaccin)

Har de regulatoriska besluten förändrats, nulägesanalys?

De flesta nya läkemedel i den centrala proceduren godkänns inom cancerområdet, hematologi samt infektion. Många nya produkter är så kallade "targeted therapies" för vilka den godkända indikationen kan vara relativt smal och behandlingen riktad till en specifik patientpopulation som avgränsats baserat på ex. diagnostiska test alternativt är indicerad som en andra eller tredje linjens behandling dvs. efter att andra behandlingar inte har visat tillräcklig effekt. Precis som för särlekemedel kan den kliniska information inte vara av samma omfattning som för läkemedel framtagna för stora folksjukdomar där det finns ett stort patientunderlag. Beroende på indikation så kan antalet patienter i de kliniska studierna variera kraftigt från ett tiotal till tiotusentals patienter och med mindre studier finns en risk för större kunskapsluckor.

Läkemedelsverkets uppdrag är precis som för EMA och EUs regulatoriska nätverk att främja folkhälsa genom att godkänna läkemedel i de fall man bedömer att nytta-risk balansen är positiv. De regulatoriska kraven har inte ändrats, behovet och den potentiella nyttan av ett nytt läkemedel vägs in och större okunskap kan accepteras när de potentiella vinsterna är större. Det finns möjligheter att kräva studier efter ett första godkännande och hittills så har inget

läkemedel som fått villkorat godkännande dragits tillbaka pga. av säkerhetsrisker eller effektbrist. Tiden det tar för att ”switcha” från ett villkorat godkännande varierar från knappt ett år till sju år.

EMA erbjuder från och med juli 2017 parallella vetenskapliga rådgivningar tillsammans med European Network for Health Technology Assessment (EUnetHTA), vilket har ersatt de tidigare parallell rådgivningar med en eller några nationella HTA myndigheter. Detta syftar till att ge läkemedelsutvecklare möjlighet att få feedback från myndigheter och HTA-organ på deras evidens-genereringsplaner för att stödja beslutsfattande om försäljningstillstånd och ersättning för nya läkemedel samtidigt. Dessa rådgivningar kan äga rum före eller efter att produkten görs tillgänglig på marknaden. Målet är att bidra till att skapa optimala och robusta data som uppfyller behoven hos både tillsynsmyndigheter och HTA-organ. Parallell rådgivningar erbjuds också nationellt men har inte efterfrågats i någon större omfattning.

Till skillnad från det regulatoriska nätverket inom EU så har HTA myndigheterna inget etablerat forum med gemensamma metoder och krav vad gäller hälsoekonomiska utvärderingar. Pris-subsidiering är i dag ett helt nationellt beslut och som skulle kunna innebära 31 olika krav på jämförelse produkter. Industrin efterfrågar i dag en harmonisering och KOM verkar överväga lagstiftning för att säkerställa samverkan för att harmoniserade hälsoekonomiska analyser (metoder) inom EU.

Trender

Utifrån statistik från EMA 2013 till nu (september 2017), se tabell 2 och figur 1 nedan, kan man se följande;

- Andelen nya kemiska läkemedelssubstanser (NCE) varierar över tid (30–50 procent).
- Andelen särlekemedel ökar inte (cirka 19 procent).
- Andelen läkemedel med villkorat godkännande – fler 2016 men verkar inte öka (ingen trend).

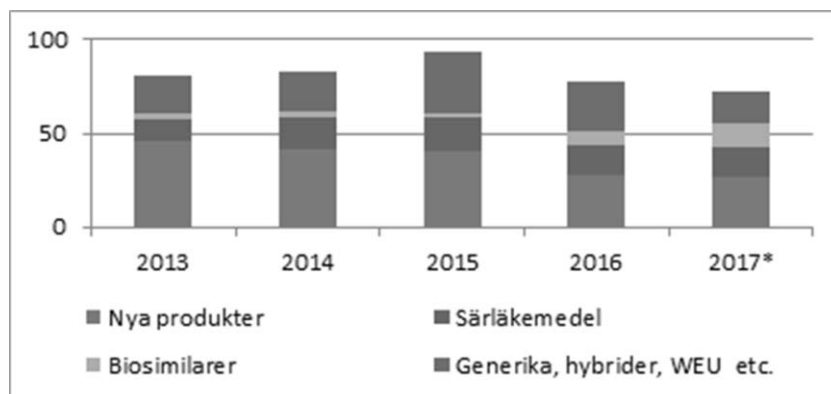
- Andelen biosimilarer har ökat från 2013.
- Andelen generika, hybrider, WEU etc. se ut att öka i den centrala proceduren (dock vanliga i DCP/MRP).

Tabell 2 **Översikt centrala godkännanden**

År	Totalt antal positiva rekommendationer	Nya kemiska substanser	Särläkemedel	Villkorat godkännande	Godkännande under särskilda omständigheter
2017*	74	29	16	1	2
2016	81	27	16	8	1
2015	93	39	18	3	3
2014	82	41	17	2	1
2013	81	37	11	5	4

*Tom september 2017.

Figur 1 **Godkännanden per kategori**



Framtid

Statistik från Scientific Advice Working Party indikerar att onkologi och hematologi (som inkluderar vissa immunologiska sjukdomar) kommer att vara i fokus även de kommande åren, infektion och CNS är andra större terapiområden. Läkemedelsforskningen kommer med stor sannolikhet även fortsättningsvis vara inriktad på mindre och väl selekterade patientpopulationer där man har identifierat ett stort medicinskt behov. Det sker en utveckling av diagnostiska verktyg för

att möjliggöra än mer riktad behandling till enskilda patienter. Även om utvecklingen vad gäller avancerad cell terapi hittills lett fram till relativt få godkända produkter så är det troligt att framåt vi kommer att se en ökning av den typen av produkter.

Utifrån kommunikation från Kommissionen är inga förändringar i läkemedelslagstiftningen planerade och PhV-lagstiftningarna kommer även framöver att innebära att information samlas in eftergodkännandet antingen genom krav på PASS, PAES eller utökad uppföljning. Så den hälsoekonomiska modellen måste kunna hantera att information genereras från olika datakällor efter godkännande.

Traditionellt har randomiserade kliniska prövningar (RCT) utgjort stor del av underlaget som behövs för att besvara frågor innan godkännandet och registerdata (kvalitetssäkrade), PASS/PAES kan användas för att besvara frågor efter godkännandet. Vi kommer inte att kunna besvara alla relevanta frågeställningar, före eller efter ett godkännande, med RCT. Därför behövs, som komplement, andra data källor såsom t.ex. registerdata som kan besvara definierade regulatoriska frågeställningar. BIG data, en term som beskriver insamlingen av extremt stora uppsättningar information som kräver specialiserade beräkningsverktyg för att möjliggöra analys och utnyttjande. Dessa stora datamängder förutspås ha förmåga att väsentligt bidra till hur nyttan av läkemedel utvärderas under hela livscykeln. Datakällor kan inkludera elektroniska journaler, register och sjukförsäkringsdata, som i dag används för att stödja läkemedelsövervakningsaktiviteter men har potential att stödja produktutveckling och bedömning av prestanda för ett läkemedel på marknaden. Samtidigt som det skapar enorma möjligheter finns det också stora utmaningar vid utnyttjandet av dessa data. Kvalitetssäkring av data är en stor utmaning.

I vetenskaplig rådgivning, och ansökningar om försäljningstillstånd diskuteras ofta om valet av de mest lämpliga försöksdesigner och statistiska verktyg. EMA har dialoger med andra tillsynsmyndigheter, läkemedelsindustrin, patientorganisationerna och akademien, för att bidra till och att bättre förstå fördelarna och begränsningarna av olika statistiska metoder inom läkemedelsutveckling. Det sker en ständig utveckling av nya innovativa statistiska metoder och forskningsmodeller som förbättra hur kliniska prövningar utformas, genomförs, utvärderas och tolkas. Det som driver utvecklingen är att kunskap om sjukdomar blir mer och mer specifi-

cerad och detaljerad viket ställer nya krav på forskningsmodeller och statistiska metoder. Som ett exempel, bröstcancer var tidigare en diagnos, men är i dag uppdelad i flera diagnoser baserat på vilken genmutation som föreligger och sannolikt kommer framtida forskning att definiera ytterligare subdiagnoser. Genom ökande kunskaper kommer också mer kunskap om hur risker ska hanteras (åtgärdas).

Även om det redan i dag sker en samverkan mellan regulatoriska beslutsfattare och HTA-myndigheter så behöver samarbetet utvecklas ytterligare. Det som tidigare var en process med successiva steg med det regulatoriska godkännande som det första steget är i dag en mycket mer iterativ process där de olika stegen överlappar varandra. Det är ineffektivt och dyrt för samhället och det gynnar inte patienterna om regulatoriska myndigheter och HTA myndigheter agerar isolerat och t.ex. inte försöker få svar på sina respektive frågor ur samma studier. Det finns fortfarande stor förbättringspotential i dessa samarbeten inte minst mellan olika HTA myndigheter. Nya produkter kommer även fortsättningsvis godkännas med kunskapsbrist och det är viktigt att ha ett system där ny kunskap genereras och att betalningsmodellen kan stödja att de initiala kunskapsluckorna fylls igen efter godkännandet.

Patentskydd är, liksom data- och marknadsexklusivitet, viktiga incitament för forskning och utveckling av nya läkemedel och är avgörande för när en produkt utsätts för generisk konkurrens. Ett arbete har startat via KOM för att utvärdera effekterna av nuvarande struktur varför den framtida incitamentsstrukturen kan komma att se annorlunda ut.

Diskussion och konklusion.

De regulatoriska kraven för att godkänna ett läkemedel har inte förändrats. Läkemedelsverkets uppdrag innefattar värdering av läkemedel för folksjukdomar t.ex. diabetes där det kliniska underlaget innehåller tusentalspatienter och ovanliga sjukdomar t.ex. lysosomal acid lipase deficiency där underlaget omfattar endast ett hundratal patienter. Det medicinska behovet och den potentiella nyttan av ett nytt läkemedel vägt mot riskerna dvs. nytta-risk balansen är det som ligger till grund för värdering av ett läkemedel och principen är att en större okunskap kan accepteras när de potentiella vinsterna är större.

Via PhV-lagstiftningarna finns regulatoriska verktyg i form av utökad övervakning, PASS, PAES och RMP för att få mer kunskap om produkten i en bredare användning efter godkännandet. Alla frågeställningar kan inte lösas före ett godkännande, vissa frågeställningar kan besvaras först efter ett godkännande och då med hjälp av olika typer av datakällor.

KOM har tillsammans med EMA tagit flera initiativ för att ge bättre förutsättningar för att nya produkter med stor potentiell medicinsk nytta ska nå patienter med störst behov. Dessa innebär inte att kraven för ett marknadsgodkännande sänks utan initiativen ska användas för att säkerställa att relevanta frågor adresseras före marknadsgodkännande men också och efter godkännandet när produkten är ute i användning. Syftet är också att öka samarbetet mellan läkemedelsmyndigheter, HTA-myndigheter och andra viktiga aktörer (patientorganisationer, sjukvården och betalare) för att på bästa sätt öka kunskapen för ett nytt läkemedel. Det finns fortfarande en förbättringspotential i dessa samarbeten, de regulatoriska myndigheterna har sedan länge ett väl fungerande samarbete och gemensam lagstiftning på EU-nivå, däremot är samverkan mellan europeiska HTA myndigheter under uppbyggnad liksom samarbetet mellan EMA och EUnetHTA.

Den viktiga fråga som bör adresseras är hur olika aktörer, som är del av processen från utveckling av ett läkemedel tills produkten är ute i användning, kan samarbeta för att hantera de kunskapsluckor som finns och på ett strukturerat sätt fylla ut luckorna med ny kunskap utan att utvecklingstiden signifikant förlängs.

Referenser

- Statistik läkemedelsgodkännanden EMA www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/news_and_events/document_listing/document_listing_000256.jsp&mid=WC0b01ac0580099fbb#section1
- Statistik läkemedelsgodkännanden CMDh www.hma.eu/fileadmin/dateien/Human_Medicines/CMD_h_/Statistics/2016_Annual_statistics_CMDh_Statistics.pdf

Bilagor

Bilaga 1: mer information om; procedurer och sär läkemedel.

Mer information om procedurer och sär läkemedel

Olika procedurer och tidtabeller (översikt)

En översikt över procedurer för försäljningstillstånd ses i tabell 3 nedan. Med undantag av MRP och den accelererade processen så är utredningstiden den samma i alla procedurer. DCP och MRP (inklusive repeat use) är de vanligast godkännandeprocedurerna. Under 2016 var antalet finaliserade DCP'er 1 133 stycken vilket ska jämföras med 81 avslutade (positiva rekommendationer) i den centrala proceduren. DCP och MRP är de vanligaste processerna för generika, hybrider och bibliografiska ansökningar (s.k. well established use, WEU ansökningar), och endast en ny NCE hanterades i DCP under 2016. I den centrala proceduren hanterades under 2016, totalt 27 nya substanser och under 2013 till 2016 har andelen varierar mellan 30–50 procent (se tabell 2). I clock-stop ges företaget möjlighet att besvara de frågor som utredningen har genererat. Det första s.k. clock-stoppet kan vara 3 månader som kan förlängas till 6 månader om företaget så önskar för att ta fram begärt underlag. I undantagsfall och om väl motiverat och vid behov så kan man acceptera längre än 6 månader (upp till cirka 1 år).

Tabell 3 **Översikt procedur och tidtabeller**

Procedur	Utredningstid (dagar)	Beslut	Procedur	Utredningstid (dagar)
Nationell	210	–	3	2
MRP	90**	30	1	–
DCP	210	30	2	1
CP	210	60	3	2
CP Accelererad	150	< 60	3	1

* Om alla frågor är besvarade kan proceduren avslutas tidigare. **Bygger på att ett nationellt godkännande först erhållit i ett EU-land.

Särläkemedel

EMAs program för särläkemedel (sk orphan drugs) ger företag och akademi tillgång till olika incitament och är ett viktigt verktyg inom EU för att stimulera utveckling av läkemedel för patienter med sällsynta sjukdomar dvs. sjukdomar som är livshotande, allvarligt funktionsnedsättande och förekommer hos högst 5/10 000 individer inom EU samt där det saknas tillfredställande behandling. För särläkemedel blir de kliniska studierna som ligger till grund för godkännandet naturligt mindre omfattande. Det är färre patienter inkluderade i studien eftersom det är färre patienter som har sjukdomen jämfört med mer ”vanliga” sjukdomar. Underlaget måste alltid vara tillräckligt stort för att en effekt och säkerhetsbedömning ska kunna göras. Nyttarisk bedömningen är en väsentlig del av utredningen, och en positiv nytta-risk balans är det ett godkännande baseras på. En separat ansökningsprocess bedömer om ett läkemedel uppfyller de kriterier som krävs för klassning som ett särläkemedel.

Statistik: Av de läkemedel som godkändes via den centrala proceduren 2016 och 2015 var cirka 19 procent särläkemedel, se tabell 2.

Villkorat godkännande

Försäljningstillstånd med villkor är en av möjligheterna i EU att ge patienterna tidig tillgång till nya läkemedel. Det gäller för allvarliga sjukdomar där det finns ett stort akut medicinsikt behov (specifika kriterier ska vara uppfyllda). Ett villkorat godkännande kan vara base-

rat på mindre fullständiga kliniska data än vad som normalt krävs. För att fullständiga data ska erhållas är godkännandet kopplat till särskilda krav och villkor som måste uppfyllas efter godkännandet. Vetenskapliga data som påvisar en positiv nytta-risk balans ska finnas för rekommendation om godkännande, men nytta-risk bedömningen behöver konfirmeras med mer kliniska data. Fördelen för folkhälsan av att läkemedlet omedelbart finns tillgänglig på marknaden uppväger risken för att ytterligare uppgifter fortfarande krävs för att bekräfta nytta-risk bedömning.

Syftet med villkoren är alltså att fullständiga kliniska data ska uppnås och att produkten då switchar över till ett vanligt godkännande. Nya data ska skickas in årligen (förnyelse) och KOM beslutar om fortsatt försäljningstillstånd. Tiden för att uppnå ett fullgodkännande varierar från 1–7 år.

Statistik; Andelen läkemedel som erhöll ett villkorat godkännande under 2013–2016 är 5–10 procent, se tabell 2.

Godkännande under exceptionella omständigheter

Försäljningstillstånd under exceptionella omständigheter gör det möjligt för patienter att få tillgång till läkemedel som inte kan godkännas enligt ett standardförfarande, eftersom fullständiga uppgifter inte kan erhållas, antingen för att den sjukdom de riktar sig till är för sällsynt, insamlingen av fullständiga uppgifter om läkemedlets effektivitet och säkerhet skulle vara oetiskt, eller det finns luckor i den vetenskapliga kunskapen. Dessa läkemedel omfattas av särskilda förpliktelser, villkor och övervakning efter godkännandet. Exempel på läkemedel som godkänts är smittkoppsvaccin

Statistik; Andelen läkemedel som godkänns under exceptionella omständigheter har inte nämnvärt ökat under 2013–2017 varierar mellan 1–3 procent.

Patienters, medborgares och vårdprofessioners syn på och förtroende för läkemedelsprissättning, läkemedelssubvention och läkemedelsfinansiering inom ramen för offentligt finansierade välfärdssystem – en översikt med kommentarer utifrån den etiska plattformen

Lars Sandman, Thomas Davidson, Mari Broqvist,
Ann-Charlotte Nedlund¹

Sammanfattande text

I denna rapport ges en kortfattad översikt av studier kring patienters, medborgares och vårdprofessioners uppfattningar om kriterier för att prioritera läkemedel inom offentligt finansierade hälso- och sjukvårdssystem. Denna översikt visar på generellt stöd för följande kriterier: svårighetsgrad, brist på alternativ behandling, behandlingseffekt och jämlik vård. Översikten visar också att sällsynthet som självständigt kriterium inte förefaller få stöd. I övrigt är bilden mer blandad när det gäller vilka kriterier som får stöd i de studier som

¹ Alla författarna är knutna till Prioriteringscentrum vid Linköpings universitet.

redovisas. Utifrån en värdering i relation till den etiska plattformen för prioriteringar inom offentligt finansierad hälso- och sjukvård har ett flertal av de kriterier som generellt har stöd i de redovisade studierna även stöd i den etiska plattformen. Möjligen finns det en viss diskrepans när det gäller kostnadseffektivitetens roll som är mer framträdande i den svenska etiska plattformen än vad dessa studier ger uttryck för. Studierna kring sociala eller olika intressenters preferenser eller värderingar väcker dock mer principiella frågor kring vilken roll dessa bör spela i relation till en etisk plattform för resursfördelning, framför allt i den mån vi återfinner diskrepanser – en fråga som inte är utredd.

När det gäller förtroende och legitimitet för systemen för läkemedelsprissättning, läkemedelssubvention och läkemedelsfinansiering så förefaller det finnas få studier som undersöker läkemedelsprioriteringar specifikt. I de utvärderingar som gjorts av dessa system inom offentligt finansierade hälso- och sjukvårdssystem har man snarare använt teoretiska ramverk än uppfattningar hos olika intressenter. I dessa studier lyfter man dock fram deltagande från olika intressenter som en viktig faktor för att skapa legitimitet. Samtidigt identifieras problem med representativitet och vilken roll sådant deltagande ska implicera för att undvika påverkan från särintressen. Däremot finns mer generella exempel på där medborgare konsulterats både för att utvärdera processer och för att delta på olika sätt i dessa processer i syfte att öka legitimiteten och i rapporten ges en mer allmän redovisning av det vetenskapliga kunskapsläget när det gäller legitimitet och förtroende i relation till hälso- och sjukvården.

Inledning

Som underlag för utredningen av Finansiering, subvention och prissättning av läkemedel (Regeringen, 2016), har Prioriteringscentrum fått i uppdrag att sammanställa kunskap kring patienters, medborgares och vårdprofessioners syn på dessa frågor samt dessa gruppers förtroende för de system som hanterar dessa frågor inom hälso- och sjukvården. I samråd med företrädare för utredningen har vi i arbetet valt att dels presentera en allmän bild av kunskapsläget när det gäller patienters, medborgares och vårdprofessioners syn på och förtroende avseende prioriteringar (där vi ser dessa specifika frågor

kring läkemedel som en del av det större prioriteringsområdet), dels lyfta fram kunskap specifikt i relation till läkemedelsområdet.

Rapporten ska inte ses som en systematisk översikt inom dessa områden utan som en mer allmän översikt där vi försöker belysa hur kunskapsläget ser ut genom ett antal nedslag i vad vi bedömer som intressant litteratur. Underlaget utgörs dels av publicerade vetenskapliga artiklar av olika karaktär, både empiriska studier och mer teoretiska argumentationer, dels av andra rapporter och underlag som vi bedömt som relevanta (för en mer detaljerad beskrivning av den litteratursökning som ligger till grund för identifieringen av de vetenskapliga artiklarna, se appendix).

Allmänt om patienters och medborgares syn på och deltagande i hälso- och sjukvårdsprioriteringar

Patienter och prioriteringar

Under senare år har vi sett en stark utveckling mot det som kallas patient- eller personcentrerad vård, inte minst i Sverige och det finns få landsting och regioner som inte har som ett prioriterat mål att röra sig i en sådan riktning. Lagstiftningsmässigt har vi sett en rörelse mot att på olika sätt stärka patientens ställning inom hälso- och sjukvården, inte minst genom den patientlag som trädde i kraft 2015 (Socialdepartementet, 2015). En sådan utveckling stöds av ett antal etiska skäl men ger också upphov till ett antal etiska frågeställningar (Munthe, Sandman, & Cutas, 2012). Den patientcentrerade eller personcentrerade vården rör framför allt mötet mellan patient och vårdpersonal men vi ser även en liknande rörelse när det gäller patienters involvering på andra beslutsnivåer inom hälso- och sjukvården. Inom området 'health technology assessment'-assessment (HTA) som under senare år även kommit att inbegripa prioriteringsområdet har vi sett en sådan utveckling (Facey, Ploug Hansen, & Single, 2017). Vi kan identifiera ett antal etiskt grundade skäl till varför patienter bör involveras som delvis överlappar med de skäl vi finner i diskussionen kring patient- eller personcentrerad vård (Sandman, Bond, & Hofmann, 2017):

- Att behandlingen bättre anpassas till patienters behov
- Att det kan leda till större acceptans och legitimitet för behandlingsrekommendationer
- Att patienterna därmed kan stärkas i att förstå och fatta beslut kring nya teknologier
- Att man därmed respekterar patienters autonomi
- Att det är i linje med ett demokratiskt ideal
- Att det kan leda till större jämlikhet och rättvisa.

När det gäller patienters involvering i HTA skiljer man ofta numera på att inhämta evidensbaserad information om patienters situation, attityder etc.; respektive att patienter deltar i faktiska utvärderingar och beslut (Facey *et al.*, 2017). Det är viktigt att notera att olika etiska skäl stödjer olika form av involvering (Sandman *et al.*, 2017). Ett generellt problem som har identifierats med att involvera patienter i beslut kring prioriteringar är kopplat till representativitet och risken för påverkan från ett särintresse (Sandman *et al.* 2017). Den externa utvärdering som Myndigheten för vårdanalys lät genomföra 2013 visade dock att Sverige jämfört med andra länder rankades lågt när det gällde att ta in patientperspektiv i olika typer av politiska policyfrågor (Coulter & Docteur 2012, Fredriksson *et al.* 2018).

Om patienter eller medborgare är mest lämpade att rådfråga om prioritering och resursfördelning har länge varit föremål för en intensiv debatt (Shah 2009). En teori som ofta framförs är att när ett prioriteringsbeslut påverkar en viss patientgrupp (t.ex. med en viss sjukdom) är det att föredra att konsultera just dem. Om det däremot påverkar även andras tillgång till resurser i vården, är medborgare mer lämpliga att vända sig till för samråd (Whitey 2014, Fredriksson & Tritter 2017). Motiven till detta är flera. Till exempel anses det finnas anledning att å ena sidan förhålla sig till så kallad illness adaptation, dvs. att personer vänjer sig vid sitt sjukdomstillstånd och, oftast, skattar dem som mindre svåra än friska personer vilket kan ha implikationer på prioriteringar. Ett annat, delvis motsatt motiv, är att risken för egenintresse måste beaktas. En annan fråga är vem de som konsulteras om prioriteringar i vården förväntas representera. Är det a) som enskilda patienter eller medborgare

som talar i egen sak, b) som representant för organiserade intressegrupper som talar å deras medlemmars vägnar eller, c) som medborgare som förväntas kunna tala utifrån ett vidare samhällsperspektiv. Samma fråga anses egentligen behöva ställas inför konsultation av profession eller experter av olika slag, och bör inte ses som en fråga som endast gäller medborgarnas deltagande (Mitton *et al.* 2009).

Medborgare och prioriteringar

På motsvarande sätt som när det gäller patienters deltagande i prioriteringsbeslut finns det en självständig diskussion kring vikten av att inhämta medborgares uppfattningar och låta dessa delta i beslut (och inte endast som ett sätt att balansera patienters perspektiv). Kännedom om värderingar i samhället har setts som ett viktigt inslag för att komma fram till hur prioriteringsunderlag ska tas fram och vem som ska fatta beslut (s.k. processvärden), vilka prioriteringar som ska göras och på vilka grunder (s.k. innehållsvärden) (Clark & Weale 2012). Genom att involvera medborgare finns hopp om ökad acceptans för prioriteringar och kanske framför allt för de begränsningar som görs i vården, men också förhoppningar om förbättrad kvalitet i beslut om fördelning av resurser (William *et al.* 2012, Hunter *et al.* 2016). Tanken om ökad kvalitet bygger på att medborgare kan antas bidra med viktiga värderingar och kunskap, men också på att insyn i beslutsprocesser tvingar fram beslutsgrunder som tål att granskas. Ibland används också här de demokratiska argumenten, dvs. helt enkelt att allmänheten ska tillåtas uttrycka en åsikt som en del i att ha demokratiska rättigheter (Frankish *et al.* 2002, Williams *et al.* 2012). Flera svenska regeringsutredningar under det senaste decenniet har föreslagit att den representativa demokratin i Sverige bör förstärkas med utökade inslag av gemensam dialog och överväganden på områden som upplevs som viktiga i samhället (SOU 2000:1, SOU 1995:5). På hälso- och sjukvårdens område ses medborgarmedverkan som en viktig förutsättning för att i det långa loppet bevara den externa legitimiteten för en solidariskt finansierad hälso- och sjukvård (se avsnitt nedan om legitimitet och förtroende).

I samband med den prioriteringsutredning som gjordes på 1990-talet beslutade riksdagen att de prioriteringar som görs inom

svensk hälso- och sjukvård ska vara öppna, och att allmänheten bör ges möjlighet att påverka prioritering genom att delta i den ”demokratiska dialogen” (Prop. 1996/97). Vad som avses med öppenhet och delaktighet är dock inte helt klart. Inom forskning kring prioriteringar i vården betecknar ofta öppenhet att *offentliggöra* beslut om prioriteringar och ransoneringar. Andra teorier fokuserar i stället på öppenhet som att beslutsfattare vid behov ska *kunna förklara grunderna* för beslut (Daniels & Sabin, 2002). Öppenhet kan också stå för möjligheten att som medborgare *delta* i en beslutsprocess som präglas av dialog och interaktion mellan olika aktörer s.k. pluralistic bargaining (Nedlund 2012). Vi närmar oss därmed begreppet medborgarmedverkan. En klassisk definition av medborgarmedverkan har formulerats av Arnstein, den s.k. ”ladder of participation” (Arnstein 1969). Den lägsta graden står för en icke-medverkan där deltagarna utsätts för ren manipulation i syfte att de ska anamma en av beslutsfattarna önskvärd uppfattning. Symbolisk medverkan innebär att medborgarna får information eller blir konsulterade utan att för den skull tillförsäkras att deras uppfattning kommer att påverka själva beslutet. Högsta graden av medverkan innebär att medborgare har faktisk makt och är med och fattar beslut (Arnstein 1969). Gränsen mellan öppenhet och medborgarmedverkan är med andra ord inte knivskarp utan dessa två relaterar till varandra. Ett annat sätt att beskriva medborgardeltagande är att koncentrera sig på vilken sorts deltagande det gäller: kommunikation, konsultation eller deltagande. Kommunikativa aktiviteter innebär en ren överföring av information från beslutsfattare till allmänheten. Vid konsultation överförs i stället information från allmänheten till beslutsfattare, medan interaktion eller verklig dialog krävs för att det ska vara en deltagande aktivitet (Rowe & Frewer 2004).

Generellt så finns det ett antal exempel på hur medborgare på olika sätt involverats i beslut kring hälso- och sjukvård: delta i kommittéer, rådgivande folkomröstningar, formaliserade forum för medborgardialog, s.k. citizen juries eller medborgarpaneler, politikerdialog, fokusgrupper etc. (Martin *et al.* 2002, Abelson & Eyles 2002, Ableson *et al.* 1995, Bagott 2001, Bowling 1996, Rosén 2005 och 2006, Garpenby 2002, Litva *et al.* 2002, Bäckman *et al.* 2004). Det är dock fortfarande oklart i vilken utsträckning medborgare faktiskt vill

delta mer utöver att delta i allmänna val (Lomas 1997, McKie *et al.* 2008, Mitton *et al.* 2009).

De vanligaste konsultationerna av medborgare i internationell forskning handlar om prioritering mellan specifika patientgrupper (där en specifik diagnosgrupp ställs mot en annan) eller specifika vårdinsatser (t.ex. förebyggande mot behandling) och är studier som är kopplade till kostnadseffektivitetsanalyser med kostnaden per vunnet QALY som resultatmått (Whitney *et al.*, 2014, Mitton *et al.* 2009). Konsultationer gällande avvägningar mellan olika typer av prioriteringsprinciper eller -kriterier (t.ex. mellan svårighetsgrad och hälsovinst) är också vanliga (Nord & Johansen 2014). Krevers m.fl. (2015) konstaterar att bland 155 genomgångna artiklar har följande frågor varit föremål för medborgarkonsultation (i fallande ordningsföljd): prioriteringskriterier, metoder för medborgardeltagande, specifika prioriteringsfall, acceptans för prioriteringar, val av beslutsfattare, synen på lämplig prioriteringsprocess och inställningen till öppenhet. Generellt finns mer forskning om prioriteringar på individnivå än forskning som rör resursfördelning på mesonivå, dvs. den resursfördelningsnivå som landstingspolitiker i Sverige har att hantera. Likaså vet man relativt lite om vad medborgare vill bli tillfrågade om (ref). Vissa studier pekar dock mot att medborgare föredrar samråd som fokuserar på värderingar som bör ligga till grund för prioriteringar – snarare än preferenser för vilka specifika sjukdomar eller vårdinsatser som bör prioriteras före andra (Lomas 1997, Bowling 1996, Litva *et al.* 2002).

Sedan slutet av 90-talet har förvisso vissa aktiviteter som kan relatera till resursfördelning genomförts i Sverige (Fredriksson *et al.* 2018, Rosén & Karlberg 2002). Olika former av så kallad ”medborgardialog” har testats, i vissa landsting mer som enstaka aktiviteter, i andra på mer regelbunden basis (Fredriksson *et al.* 2018, Garpenby & Bäckman 2016). I en nyligen genomförd jämförande studie mellan Sverige och England visas att Sverige involverar medborgare i liten utsträckning i policybeslut inom hälso- och sjukvården. Däremot framkom där att den svenska allmänheten var mer intresserad av att delta i den typen av konsultationer (55 procent) än allmänheten i England (33 procent) (Fredriksson *et al.* 2018).

Om Sverige har en låg grad av aktivitet när det gäller medborgares deltagande i övergripande prioriteringssammanhang, så gäller detsamma i forskningsaktivitet där svenska medborgare har rådfrå-

gats i dessa frågor. I Sverige finns en handfull studier som handlar om prioritering och/eller ransoneringar på mesonivå. Fine de Licht har gjort experimentella studier om hur s.k. framing av prioriteringsbudskap påverkar prioriteringarnas legitimitet i specifika fall. Resultatet pekar på att öppenhet i grunderna bakom prioriteringsbeslut kan vara ett möjligt sätt att nå legitimitet – men det kan också (åtminstone i kortare perspektiv) gå åt andra hållet med minskat förtroende för den typen av beslut (Fine de Licht 2014). En enkätstudie visar att allmänheten har höga förväntningar på tillgång till vård, även när det gäller ”triviala problem”, jämfört med vårdpersonal, administratörer och politiker (Rosen & Karlberg 2002). Det finns också enstaka svenska studier som fokuserar på prioriteringskriterium (ålder respektive sällsynthet), på lämpliga beslutsfattare för ransonering samt vad medborgare anser skapar acceptans för ransoneringar (Werntoft 2006, Wiss 2017, Broqvist & Garpenby 2014, Broqvist & Garpenby 2015).

Olika intressenters syn på vilka kriterier som ska vägleda prissättning och finansiering av läkemedel

I detta avsnitt presenterar vi patienters, medborgares, professions (och delvis andra intressenters) syn på vilka kriterier som bör vägleda prissättning, subvention och finansiering av läkemedel. I den litteratur som ligger till grund för denna presentation kan vi urskilja tre olika linjer, studier som fokuserar på allmänna principer utan att specifikt koppla detta till läkemedel inom ett särskilt diagnos- eller behandlingsområde, studier som fokuserar på cancerläkemedel och studier som fokuserar på läkemedelsbehandling av sällsynta tillstånd.

Allmänna kriterier utan koppling till specifikt diagnosområde eller läkemedelstyp

När det gäller allmänna kriterier för vad som ska styra huruvida ett läkemedel finansieras inom ramen för ett offentligt finansierat hälso- och sjukvårdssystem finns det några kriterier som förefaller ha starkt stöd. Dessa är svårighetsgrad, behandling av tillstånd utan

behandlingsalternativ, behandlingseffekt samt mer generellt, jämlik vård.

I en medborgarstudie av Linley och Hughes (Linley & Hughes, 2013) utvärderas de kriterier som används av NICE i England och Wales samt andra föreslagna och diskuterade kriterier i den engelska debatten i bedömningen av läkemedel. De visar att en absolut majoritet prioriterar behandling av svåra tillstånd, behandling av tillstånd som saknar alternativ behandling, och behandling av tillstånd som gör patienten beroende av närståendevårdare vid antagande om allt annat lika mellan de grupper som bedöms. Vid antagande om olika behandlingseffekter fanns en stark preferens för alla grupper som fick en större behandlingseffekt. Dock gällde inte detta tillstånd där det saknas behandlingsalternativ då man även kunde tänka sig att prioritera tillstånd med en liten behandlingseffekt. Det fanns endast preferenser för innovativa behandlingar om de förknippades med en stor behandlingseffekt, likaså fanns det preferenser för behandling av vanliga tillstånd med stor behandlingseffekt framför behandling av sällsynta tillstånd med liten behandlingseffekt. Det fanns ingen preferens för andra kriterier under antagandet att behandling leder till olika behandlingseffekter. Vid antagande om olika kostnader mellan behandlingarna fanns en signifikant förändring i riktning mot att behandla de som är mest kostsamma förutom när det gäller svårighetsgrad och sällsynthet (där förändringen gick i samma riktning men inte var signifikant). Personer med barn var mer benägna att prioritera behandling av barn, de som var beroende av närståendevård var mer benägna att prioritera behandling som minskade behovet av närståendevård (det som kallas för vidare sociala vinster), de i en lägre socioekonomisk grupp var mer benägna att prioritera grupper med lägre inkomster än de i högre socioekonomiska grupper, och kanske mer förvånande, de som uppskattade sig själva ha dålig hälsa mindre benägna att prioritera behandling av svåra tillstånd, tillstånd utan behandlingsalternativ och behandling av barn.

I en australiensisk medborgarstudie från 2017 pekar Chim med kollegor på kriterier som ges stöd av mer än 50 procent av studiepopulationen när man antog lika behandlingskostnad och lika effekt: behandling av tillstånd med stor svårighetsgrad, behandling av tillstånd som det inte finns några alternativ till, behandling av grupper som inte har det ekonomiskt gott ställt, behandling av

tillstånd som inte är livsstilsrelaterade (Chim *et al.*, 2017). Med samma antagande görs ingen skillnad mellan behandling av barn eller vuxna, eller mellan cancer och icke-cancer. Man prioriterade grupper som fick en större hälsovinst framför de som fick en mindre vinst, utom när det gäller behandling i livets slutskede (då man behandlade de som fick en stor respektive liten vinst som likvärdiga). När det gäller behandlingar med olika kostnader var man villig att prioritera tillstånd utan alternativ behandling, grupper som inte är ekonomiskt välbeställda, barn framför vuxna, tillstånd som påverkar möjligheten att arbeta samt ej livsstilsrelaterade tillstånd. Däremot prioriterades fortfarande svåra tillstånd framför mer kostsamma. Om uppfattningarna kopplades till populationens egenskaper visade analysen att personer med barn var mer benägna att prioritera behandling av barn, cancer och sällsynta tillstånd än de utan barn. Personer med en hushållsinkomst över 20 000 dollar (US) per år var mer villiga att prioritera behandling av svåra tillstånd samt tillstånd som saknar alternativ behandling. Personer utan full sysselsättning var mer benägna att prioritera de som inte är ekonomiskt välbeställda, barn och tillstånd som ej är livsstilsrelaterade. Personer över 25 var mindre benägna att prioritera svåra tillstånd, barn, sällsynta tillstånd och behandling i livets slutskede.

I en relativt liten internationell studie (n=81) med deltagare från 28 EU-medlemsstater som involverade åtta olika intressegrupper (patienter, konsumenter, företrädare för läkemedelsmyndigheter, offentliga finansärer, läkemedelsindustrin (forskande och producenter av generika), samt apotekare och läkare) studerades vilka mål som bör finnas för läkemedelsfinansiering (Vogler, Zimmermann, & Habimana, 2016). Starkast stöd fick målet om en jämlik tillgång till läkemedel, följt av ett hållbart system samt tillgång till läkemedel i rimlig tid. Svagast stöd fick målen om belöning för innovation och ökad konkurrens. Respondenterna från de nordiska länderna (n=11) gav högst prioritet åt ett långsiktigt hållbart system framför jämlik tillgång och läkemedel i rimlig tid (som gavs samma stöd som en rationell läkemedelsanvändning). Att belöna innovation kom lägst även i denna grupp men på näst sista plats kom kontroll av läkemedelskostnader.

I en studie av Tordrup med kollegor studerades kriterier för att klara av den framtida finansieringen av hälso- och sjukvården (inklusive läkemedelsförsörjning) (Tordrup, Angelis, & Kanavos, 2013).

Studien undersökte preferenser hos offentliga finansiärer, förskrivare, myndigheter, akademi och hälso- och sjukvårdsrelaterad industri. Här fann man starkt stöd för att belöna hälsosamma livsstilar samt fri och obligatorisk screening och starkt motstånd från att ta från andra samhällssektorer som social välfärd och skola, respektive att öka konsumtionsskatter. Likaså fick riktade skatter på tobak och alkohol högt stöd.

Kriterier för cancerläkemedel

Ett specifikt område där man finner studier är cancerområdet, vilket förmodligen förklaras av den utveckling som varit av nya och ofta kostsamma cancerläkemedel under senare år. Tre studier har identifierats inom detta område, varav en är en översiktsartikel (MacLeod, Harris, & Mahal, 2016). Dessa tre studier är inte helt överensstämmande. Medan både översiktsartikeln (MacLeod *et al.*, 2016) och en studie ifrån Spanien (Sacristan *et al.*, 2016) visar på skillnader mellan medborgares och beslutsfattares preferenser för beslut, visade en studie ifrån Kanada (Skedgel, 2016) att inga sådana skillnader förelåg.

I översiktsartikeln jämfördes beslutspreferenser för cancerläkemedel mellan patienter, allmänheten och beslutsfattare (MacLeod *et al.*, 2016). Totalt identifierades 25 studier, inkluderande 41 olika beslutskriterier. Beslutsfattare visade sig ha flest olika kriterier (35), därefter allmänheten (23) och slutligen patienterna med tolv kriterier. Av dessa tolv kriterier hos patienterna var det fyra som var unika för just patienternas beslutspreferenser, nämligen finansiellt skydd, tillgång till medicinsk information, autonomi i behandlingsbeslut samt 'värdet av hopp'. Studien konstaterar att det verkar som om beslutsfattare föredrar kriterier såsom kostnadseffektivitet, medan medborgare (både allmänheten och patienter) föredrar jämlik vård (samma tillgång till behandling oavsett kostnadseffektivitet). Dessutom visar studien att det finns skillnader mellan medborgare och beslutsfattare angående vilka kriterier som anses relevanta för beslutet. Största skillnaden anses vara att vissa medborgare inte önskade betänka alternativkostnaden alls, utan lägger mycket stor vikt vid behov.

I studien av Skedgel jämfördes preferenser för prioriteringsprinciper inom cancerläkemedelsområdet mellan allmänheten och de som ingår i en kommitté för att fatta dessa beslut (The pan-Canadian Oncology Drug Review) (Skedgel, 2016). Inga skillnader kunde hittas mellan allmänheten och kommitténs preferenser. Ingen av grupperna strävade efter att endast maximera nytta (i form av QALY) utan accepterade lägre effektivitet för att kunna prioritera särskilt utsatta patienter (även om tendens till ökad betydelse för QALY-maximering fanns hos kommittén). Båda grupperna prioriterade ner äldre patienter, patienter med god hälsa vid behandlingen start samt patienter med dålig hälsa i behandlingens slutskede.

Även Sacristán med kollegor jämförde olika gruppers syn avseende vilka attribut som är viktigast för att bedöma värdet av cancerbehandlingar (Sacristan *et al.*, 2016). I studien intervjuades 188 individer i Spanien, uppdelat mellan beslutsfattare i hälso- och sjukvården, onkologer, patienter, och allmänheten. Alla grupper var överens om att de viktigaste aspekterna var en behandlings effekt, säkerhet, anpassning till patients önskemål och möjlighet att snabbt återgå till dagliga aktiviteter. Däremot påvisades skillnader i betydelse för aspekter såsom överlevnad, livskvalitet och kostnader. Generellt vägde livskvalitet tyngre hos onkologer och medborgare (både patienter och allmänheten) än hos beslutsfattarna. De senare lade i stället större vikt vid ekonomiska aspekter.

I en studie av Desser med kollegor med syfte att studera framing-effekter kring bedömning av behandling av sällsynta tillstånd, gjordes även en delstudie där respondenterna ställdes inför valet mellan ett vanligt och sällsynt tillstånd som både gavs etiketten cancer (Desser, Olsen, & Grepperud, 2013). Här fick man delvis motsägelsefulla resultat, dels att man var villig att lägga en något högre andel av resurserna på den grupp som var dyrast att behandla (jämfört med valet mellan tillstånd som inte beskrevs som cancer), dels att fler valde att fördela resurserna lika mellan grupperna. Det senare diskuteras av författarna som menar att det kan handla om att man i större utsträckning vill undvika att göra val mellan olika cancer-grupper.

Kriterier för läkemedel för sällsynta tillstånd

I ett flertal studier har man undersökt uppfattningar kring huruvida sällsynthet bör vara ett självständigt kriterium vid prioritering av sällsynta tillstånd återigen förmodligen motiverat av den starka utvecklingen av läkemedel för sällsynta tillstånd under senare år och den höga individuella behandlingskostnaden dessa läkemedel generellt har. Den samlade bilden förefaller vara att sällsynthet i sig inte har stöd för att vara ett självständigt prioriteringskriterium bland medborgarna (vars uppfattningar primärt har undersökts).

I en norsk medborgarstudie av Desser med kollegor fann man inget stöd för att sällsynthet skulle vara ett kriterium som i sig motiverar prioritering (Desser, Gyrð-Hansen, Olsen, Grepperud, & Kristiansen, 2010). Vid fördelning mellan två lika stora grupper av patienter (en med en ovanlig och en med en vanlig sjukdom) fann man att närmare 90 procent antingen vara indifferent eller prioriterade den vanliga gruppen. Vid fördelning mellan två olika stora grupper (där gruppen med vanlig sjukdom var 4 gånger så stor som gruppen med en ovanlig sjukdom), prioriterade över 90 procent de med en vanlig sjukdom eller var indifferent (nu med en högre andel som prioriterade vanlig sjukdom jämfört med när grupperna var lika stora). Författarna menar dock i sin tolkning av resultaten att sociala preferenser inte nödvändigtvis är ett bra mått på vad som är ett rimligt etiskt ställningstagande.

Eftersom en så stor del av respondenterna i denna norska studie fortfarande var indifferent när det rörde sig om olika stora grupper (45 procent) misstänkte man att det kunde finnas irrelevanta s.k. framingeffekter som påverkat resultat och genomförde därför en uppföljande studie 2013 (Desser *et al.*, 2013). Resultaten när det gällde lika stora grupper var jämförbara med den första studien, däremot fann man bara en liten effekt om man ökade alternativkostnaden för att behandla det sällsynta tillståndet, en liten minskning på drygt 3 om man ökade alternativkostnaden från 4 gånger så stor till 25 gånger så stor som för det vanliga tillståndet. Med en annan utformning av frågorna så såg man också att antalet personer som var indifferent mellan grupperna minskade kraftigt (från cirka 39 procent till cirka 14 procent). I resultatet ser man en viss motsägelse i deltagarnas attityder. Av de som hävdade att man bör prioritera behandlingen av så många som möjligt, ville sedan endast

cirka 6 procent ge alla medel till den största gruppen (vilket skulle leda till att så många som möjligt behandlas). McCabe med kollegor menar att detta kan bero på att man inte skiljer mellan olika sätt att se på rättvis och jämlik fördelning (McCabe, Stafinski, & Menon, 2010), något som vidare diskuteras i Drummond och Towse (Drummond & Towse, 2014). Sammantaget förefaller dock inte studien visa på något stöd för att prioritera sällsynta tillstånd på grund av sällsynthet i sig.

I en studie av Dragojlovic med kollegor (2015) kommer man fram till samma resultat, dvs. att sällsynthet i sig som kriterium inte skulle ha något stöd, men pekar även här på att framingeffekter förefaller ha påverkan på hur stabila dessa attityder förefaller vara (Dragojlovic *et al.*, 2015). De lyfter framför allt fram att låg kunskapsnivå om frågeområdet samt att valsituationerna presenteras som nollsummespel påverkar attityderna. Med nollsummespel menas att valet av behandling av en grupp får direkta konsekvenser för en annan grupp inom hälso- och sjukvården. När de i stället utformar valsituationen så att resurser även kan tas från något helt annat samhällsområde får de delvis ett annat resultat. Även i Drummond och Towse återfinns en diskussion och förslag på sätt att undersöka sociala preferenser för att undvika dessa framingeffekter (Drummond & Towse, 2014).

I Johanna Wiss avhandling kring läkemedel mot sällsynta tillstånd återfinns ett antal studier kring detta tema. I en studie undersöktes medborgares preferenser för att prioritera behandling av sällsynta tillstånd (Wiss, Levin, Andersson, & Tinghog, 2017). Här var det en större andel av respondenterna jämfört med de norska studierna ovan som valde att prioritera sällsynta tillstånd när valet stod mellan lika stora grupper, men fortfarande valde en större andel att prioritera gruppen med en vanlig sjukdom och cirka hälften var indifferent. Här valde man även att göra samma sak på individnivå, dvs. att ställa frågor kring val mellan individer med vanliga respektive sällsynta tillstånd. Vid det valet var det en större andel som valde patienten med ett sällsynt tillstånd jämfört med individen som hade ett vanligt tillstånd jämfört med när valet skedde på gruppnivå, samtidigt som en större andel också var indifferent (cirka 60 procent). Fortfarande var det dock en större andel av respondenterna som prioriterade behandling av individen med det vanliga tillståndet.

Vid val mellan olika stora grupper (dvs. när kostnaden för att behandla patienter var större i den sällsynta gruppen med en faktor 8) sjönk andelen indifferent och nästan 65 procent valde att prioritera gruppen med vanlig sjukdom framför cirka 13 procent när det gällde den sällsynta gruppen. Här gick dock förändringen i en annan riktning när man gick från grupp-nivå till individ-nivå, dvs. då minskade stödet för individen med sällsynt tillstånd. Huruvida patienten eller patienterna ifråga var identifierbar(a) gjorde ingen skillnad i de båda olika fallen.

I denna studie undersöktes också om det spelade någon roll huruvida valet uttrycks i relativa termer (dvs. att behandla 80 av 80 patienter mot att behandla 100 av 10 000) jämfört med att uttrycka detta i absoluta termer (dvs. behandla 100 patienter av varje grupp). Vid det relativa valet ökade stödet för den sällsynta gruppen i båda fallen – men effekten var mindre när alternativkostnaden var större. När man undersökte huruvida det spelar någon roll att valet uttrycks i termer av att ge någon behandling eller neka någon behandling, såg man skillnader. I fallet med att neka patienter behandling men där valet stod mellan lika stora grupper, sjönk stödet för den sällsynta gruppen. Vid samma val i samband med olika stora grupper, ökade stödet för att behandla den sällsynta gruppen. Återigen visar dessa studier på att det finns olika framingeffekter som påverkar resultatet.

I ytterligare en studie i avhandlingen undersöktes om det spelar någon roll att en patient är identifierbar eller inte, respektive huruvida det spelar någon roll om behandling ges till en eller flera patienter (Wiss, Andersson, Slovic, Vastfjall, & Tinghog, 2015). I detta fall undersöktes distributionen av vaccin till olika grupper, så studien handlar inte specifikt om sällsynta tillstånd men frågan om identifierbarhet har diskuterats som en faktor som kan spela in vid just sällsynta tillstånd. Vid valet mellan att ge behandling till en respektive fem icke-identifierbara patienter, valde majoriteten att ge behandlingen till fem patienterna. Dock noteras att en relativt stor del av den svenska delen av populationen (som även utgjordes av amerikanska medborgare) valde att ge behandling till den enskilda patienten (cirka 20–30 procent beroende på datainsamling) (en andel som dock var högre för den amerikanska populationen, cirka 40 procent). När det gällde frågan om identifierbarhet gav de olika datainsamlingarna i Sverige olika resultat, i den ena såg man

en svag negativ effekt av identifierbarhet och i den andra en svag positiv effekt (den positiva effekten av identifierbarhet i den amerikanska kontexten var dock betydligt större). Man såg även vissa skillnader när man gick från individnivå till gruppnivå. På individnivå såg man antingen ingen effekt eller en negativ effekt av identifierbarhet i den svenska population, medan man på gruppnivå såg en positiv effekt av identifierbarhet i båda grupper (dock ej statistiskt signifikant i ena gruppen). (Återigen var resultatet positivt i både individ och gruppfallen för den amerikanska populationen).

En tredje studie undersökte vilka kriterier som bör styra prioriteringen av behandling av sällsynta tillstånd genom fokusgruppsintervjuer (Wiss, 2017). Faktorer som lyftes fram som viktiga var: svårighetsgrad, behandlingseffekt, brist på alternativ behandling och eget ansvar. Likaså att utveckla vetenskaplig kunskap och att ge viss prioritet till yngre patienter. Sällsynthet, att det rör sig om en sårbar grupp eller risken för s.k. double jeopardy (dvs. både hälso- och privatekonomiska risker) gavs inte särskilt stor vikt. Inte heller identifierbarhet sågs som ett relevant kriterium. Inställningen till ekonomiska kriterier som kostnadseffektivitet och budgetpåverkan föreföll mer blandad. Vissa lyfte läkemedelsindustrins ansvar och likaså vikten av att besluten är rättvisa.

Patienters och medborgares deltagande i beslut kring finansiering av läkemedel

När det gäller patienters och medborgares faktiska deltagande i beslut kring finansiering av läkemedel finns det ytterst begränsat med underlag i form av empirisk utvärdering av synen på medverkan eller av erfarenhet från sådan medverkan. Pace med kollegor för en teoretisk argumentation där man framför allt lyfter fram att bristen på deltagande i beslut kring läkemedel är ett legitimitetsproblem i relation till de beslut som fattas (se avsnitt om legitimitet nedan) (Pace, Pearson, & Lipworth, 2015). Givet de skillnader som förefaller finnas när det gäller prioritering kring vad som är viktigt utifrån olika intressenters perspektiv, betonar de att det kan vara svårt att uppnå enighet kring besluten och vad man då snarare bör eftersträva är att de processer för beslut som tas fram anses som legitima. I en genomgång av litteraturen identifierar man ett

antal svagheter som lyfts fram som skulle kunna påverka legitimiteten. För det första bristande transparens kring de beslut som fattas, dels kring innehållet, dels kring vilka överväganden och avvägningar som lett fram till beslutet. En annan svaghet är bristande representation, framför allt när det gäller patienter och medborgare. Även i Douglas med kollegor hittar vi en teoretisk argumentation för varför det framför allt är viktigt med patientdeltagande i beslut kring läkemedelsbehandling av sällsynta tillstånd som kopplas till bristande kunskap om hur dessa tillstånd och behandlingen av dem upplevs av patienter (Douglas, Wilcox, Burgess, & Lynd, 2015).

Rosenberg-Yunger med kollegor har undersökt i vilken mån olika intressenter är involverade inom olika länders processer för utvärdering och subvention av läkemedel (Rosenberg-Yunger, Thorsteinsdottir, Daar, & Martin, 2012). De länder som undersöks är Israel, USA, England/Wales, Australien och Canada. De intressenter som framför allt är delaktiga i dessa länders processer är hälso- och sjukvårdspersonal, akademiker och medborgare. I flera fall finns möjligheter för läkemedelsindustri att formellt överklaga beslut, en möjlighet som inte generellt finns för patienter. I stället använder patienter informella vägar, som media etc., för att försöka påverka besluten. Vissa länder involverar medborgare eller patientadvokater i sina kommittéer, medan andra inte gör det. Endast i Israel har patienter möjlighet att lyfta utvärderingsförslag, medan ett par länder har möjlighet för hälso- och sjukvårdspersonalen att lyfta förslag.

Patienters och medborgares förtroende för beslut kring prissättning och finansiering av läkemedel

Allmänt om förtroende och legitimitet inom hälso- och sjukvård

Frågor som rör förtroende och legitimitet är centralt för de system som hanterar prissättning, subventionering och finansiering av läkemedel, särskilt i ett demokratiskt styrt och skattefinansierat system. Legitimitet och förtroende handlar ytterst om makt, ansvarsfördelning och inflytande och har accentuerats i tider då vi rör oss mot mer transparens och öppenhet (Nedlund, 2012). Om beslut och de aktiviteter som genomförs inom systemet inte uppfattas som rättvisa kan olika förtroende- och legitimitetsproblem uppkomma. Det

kan både handla om *den externa legitimiteten* mellan hälso- och sjukvårdssystemet och medborgarna men också om *den interna legitimiteten*, mellan olika aktörer inom hälso- och sjukvårdssystemet (Nedlund, 2012; Nedlund & Baeroe, 2014; Nedlund & Garpenby, 2008). Vi kommer först att röra oss i det som kan kallas den externa legitimiteten.

Med legitimitet menas att ett system och/eller beslutsfattare uppfattas besitta rätten att i vissa frågor ta beslut för den aktuella organisationen. Rätten att ta dessa beslut (eller utföra andra handlingar) kan förvärras genom ett "samtycke" från alla berörda om hur formen och innehållet i en maktrelation ska utformas. Legitimitet förutsätter en viss enighet om vad beslutsfattaren ska besluta om, vem som ska besluta (vem som är beslutsfattaren) och hur man ska gå tillväga när det finns olika uppfattningar om vad som t.ex. är en korrekt fördelning, prissättning och finansiering (Hinnfors och Oskarson 1998)(Nedlund, 2012; Nedlund & Garpenby, 2008). Rätten att utföra vissa handlingar och att ta beslut är emellertid inte absolut utan systemet och/eller beslutsfattaren förvaltar ett förtroende. Detta innebär att systemet och/eller beslutsfattaren har ett ansvar för sina beslut och handlingar. Brist på legitimitet kan ta sig uttryck i minskat förtroende, och brist på förtroende kan ta sig i uttryck i minskad legitimitet. Medborgarna behöver uppfatta att systemet och beslutsfattarna agerar i enlighet med de värden och mål som vi i samhället tycker är rimliga och lämpliga både vad gäller hur något görs (process) och vad som blir resultat (substantiellt). Legitimitet kopplas även till begreppet ansvarsutkrävande, då systemet och dess beslutsfattare har ett ansvar för de beslut och handlingar som görs. Ofta används närliggande begrepp, såsom förtroende, tillit, tilltro, acceptans och samtycke, för att studera legitimitet empiriskt (Nedlund, 2012). Men det finns en viss skillnad mellan begreppen legitimitet och förtroende, även om de tangerar varandra. Ett vanligt synsätt är att om det ska finnas förtroende för ett system och dess beslutsfattare krävs att dessa ska uppfattas som legitima, däremot krävs inte nödvändigtvis det motsatta. Det vill säga ett system och dess förtroende kan uppfattas som legitima, dvs. rättmätiga, men behöver nödvändigtvis inte uppfattas ha förtroende/vara tillförlitliga (Nedlund, 2012). I enlighet med Assarsson (1995) så kan vi förstå det som att det bara är när förtroendet för ett system/institution och dess beslutsfattare har blivit misstroende

(till skillnad från t.ex. lågt förtroende) som legitimiteten för detta system blir ifrågasatt. Vi behöver därför vara försiktiga när vi drar slutsatser angående legitimitet från studier där mätningarna har gjorts gällande förtroende eller andra närliggande begrepp, eller vice versa. Legitimitet är inget enkelt begrepp och fångar upp andra dimensioner, normer och värderingar än just förtroende begreppet (Nedlund, 2012; Nedlund & Baeroe, 2014). I en demokrati är det svårt att tänka sig att alla medborgarna i alla situationer är tillfreds med alla slags beslut och handlingar. Det är också svårt att tänka sig att medborgarna i alla situationer känner tilltro till beslutsfattarna. En aspekt kopplad till att inhämta medborgares syn på prioriteringar handlar om den påverkan detta skulle kunna ha på dessa gruppers förtroende för hälso- och sjukvården. Hur ser då detta förtroende ut? IPM från Myndigheten för vårdanalys redovisas den internationella undersökningen "The Commonwealth Fund's 2016 International Health Policy Survey of Adults in 11 countries" (IHP) (Vårdanalys, 2016). Utifrån de siffror som redovisas kring bedömningen av sjukvården kvalitet, tillgänglighet, möjligheten till information och delaktighet dras slutsatsen att förtroendet för svensk hälso- och sjukvård minskat de senaste åren. En liknande slutsats skulle kunna dras från SOM-institutets undersökningar under senare år där man kan se en ganska kraftig nedgång i det s.k. balansmåttet för följande fråga kring sjukvården 'Hur tycker du att den verksamhet fungerar som bedrivs på följande områden i det landsting/region eller kommun där du bor?'. Balansmåttet, som innebär att resultatet på alternativen "dåligt" och "mycket dåligt" subtraheras från resultatet på alternativen "mycket bra" och "ganska bra", har under åren 2010 till 2016 sjunkit från +49 till +18 (Arkhed & Holmberg, 2017). Samtidigt, när SOM-institutet redovisar resultatet på den explicita frågan om "Hur stort förtroende har du för det sätt på vilket [sjukvården] sköter sitt arbete?" så har balansmåttet för den frågan hållit sig stabil sedan 2001 efter några större upp- och nedgångar under 1980- och 1990-talen (Andersson, Ohlsson, Oscarsson, & Oskarson, 2017). Av redovisade samhällsinstitutioner är sjukvården den institution som fortfarande åtnjuter störst förtroende. Frågan om huruvida det generella förtroende för hälso- och sjukvården har förändrats eller inte är därmed svårt att besvara. Vad dessa exempel visar är komplexiteten i dessa frågor där en möjlig tolkning är att hälso- och sjukvårdssystemets legitimitet

är relativt stabil, dvs. beslut och handlingar uppfattas av medborgarna att ske av en rättmätig legitim aktör, men att andra aspekter med sviktande resultat kan försvaga denna tilltro och legitimering. Det mångtydiga och komplicerade beslutsförhållande som kännetecknar hälso- och sjukvården gör frågor gällande förtroende och legitimitet mer komplex och i vissa fall, kan det hävdas, kanske också mer centrala och angelägna.

Olika former för att generera legitimitet och förtroende

Som redogjorts av Nedlund (2012) kan legitimitet genereras via olika arrangemang som rör beslutsfattande i ett politiskt styrt system. En offentligt finansierad sjukvårdssystem kan betraktas som ett politiskt system och i enlighet med Eastons (1965) klassiska modell kan det betraktas som ett system som med "inputs" (till exempel politiska val) och "outputs", (till exempel olika hälso- och sjukvårdstjänster). Inuti systemet (dvs. inuti den svarta lådan) sker "throughput". Genom att ha den här enkla bilden i åtanke kan vi avgränsa oss till olika sätt som legitimitet kan genereras: det vill säga genom input-, throughput- och/eller outputsidan av systemet. Dessa relaterade former av legitimitet och legitimering speglar också olika idéer och huvuddrag i olika demokratiska teorier.

Den splittrade, och ofta otydliga, ansvarsfördelningen mellan den representativa sidan (politikerna) och den genomförande sidan (professionerna) innebär att det är svårt att veta var makten/inflytandet över beslut ligger och var ansvaret är placerat (Nedlund & Garpenby, 2008). Det finns således olika legitimitetsgrunder i systemet och enligt Rothstein är det som händer på outputsidan, exempelvis vad som konkret händer med tillgången till vissa hälso- och sjukvårdstjänster som ett resultat av en viss policy, mer avgörande för legitimiteten än vad som händer på inputsidan (Rothstein 1994). Den representativa sidan förvärvar exempelvis sin legitimitet genom den demokratiska valproceduren och den genomförande sidan förvärvar sin legitimitet genom sina kunskaper och förmågan att omsätta dessa i individrelaterade beslut. Generellt sett har den representativa sidan (politikerna) större problem med sin legitimitet i jämförelse med den genomförande (professionerna) som vanligtvis

besitter ett stort förtroende från medborgarna (Nedlund & Garpenby, 2008).

För att skapa förtroende och legitimitet för angelägna och etiskt och politiskt svåra beslut om t.ex. prissättning, finansiering och subventionering av läkemedel är det oerhört viktigt hur arbetet bakom besluten ser ut och inte minst hur detta uppfattas av de som arbetar inom hälso- och sjukvården. Vi rör oss här mot det som kan kallas *intern legitimitet* och *det interna förtroendet* (Nedlund, 2012; Nedlund & Baerøe, 2014; Nedlund & Garpenby, 2008). Vad som ska ingå i den offentligt finansierade hälso- och sjukvård väcker känslor. Det är ofta svårt att komma fram till en lösning där alla inblandade är överens. Det gäller inte minst bland de olika aktörerna som arbetar inom hälso- och sjukvården då de har olika roller, synsätt och erfarenheter, det kan handla om politiker med olika partitillhörigheter, tjänstemän med olika positioner, olika professioner med olika specialiteter. legitimitet och det interna arbetet, dvs. arbetet inom hälso- och sjukvårdens organisationer, där aktörer med olika roller, tankemönster och erfarenheter interagerar med varandra för att komma fram till hur man ska hantera olika typer av situationer och ärenden. Personalens uppfattningar är viktiga då de ger signaler till patienter, eller till medborgare i allmänhet, om beslut, handlingar och aktiviteter (däribland prioriteringar och gränsdragningar) kan uppfattas som rimliga. På så sätt kan de som arbetar inom hälso- och sjukvården ses som en förlängd arm för den offentliga hälso- och sjukvården till medborgarnas legitimitet och förtroende.

En god hälso- och sjukvård handlar inte bara om tillgänglighet, diagnos och behandling av hälsoproblem utan också om beaktandet av demokratiska värden. Det innebär att organisation, styrning och ledning av hälso- och sjukvård representerar värden som är en del av vår demokrati. Här har vårdprofessionerna en viktig roll både i att försvara dessa och i att förlängningen stärka förtroendet för beslut som görs inom den offentligt finansierade vården. Vårdprofessionerna spelar en viktig roll då de utgör länken mellan de folkvalda på både nationell och regional nivå och medborgarna. Vårdprofessionerna är representanter för den politiskt styrda offentliga sektorn som medborgarna möter och har uppdraget att genomföra politiska beslut (t.ex. lagar, regler och riktlinjer) och fördela välfärd till medborgarna (t.ex. medicinska behandlingar) och realisera in-

entioner framskrivna av riksdag, regering, myndigheter, och lokala politiker och tjänstemän. Förutom sin professionella kompetens har vårdprofessionerna en viktig roll att utföra och genomföra beslut. I de fall de inte är med på tåget så blir helt enkelt inte besluten genomförda på det sätt som var avsett.

I en offentligt finansierad och politisk styrd organisation är det viktigt att det finns legitimitet i hur tjänsterna är organiserade. Det vill säga medborgarna måste kunna lita på att de får ta del av den goda vård som de förväntar sig ska existera till följd av politiska beslut, t.ex. vad gäller kvalitet i professionell behandling – resultatet – men också att de har fått en professionellt bemötande i termer av respekt och lika behandling – proceduren (Nedlund 2012). I och med detta finns det i vården också värden som är relaterad till förtroende, legitimitet och demokrati. Av den kritiska och angelägna kärnfrågan i all välfärdspolitik och fördelning av offentliga resurser, dvs. ”vem som får vad, när och hur”, följer ett krav att beslut och genomförande bör omfattas av legitimitet och förtroende från medborgarnas sida. Första steget är att det utförs i en politisk process i vilken kollektivt bindande beslut fattas. Förtroende och legitimitet är också viktigt då dessa är nyckeln till stabilitet i organisationen vilket innebär undvikande av onödiga friktioner och möjliggör effektivitet. Frågan är vilken roll vårdprofessionerna kan spela i detta sammanhang.

Med denna utgångspunkt går det att argumentera för att det har betydelse hur hälso- och sjukvården organiseras; både för hälso- och sjukvårdens medarbete och för allmänheten. I hälso- och sjukvård handlar styrning, ledning och beslut i mångt och mycket om att göra bedömningar och att gemensamt resonera om vad som bör göras och varför det är en rimlig åtgärd. Styrning och ledning handlar både om evidens, erfarenhet och politiska värderingar. Den offentliga hälso- och sjukvården är en politisk organisation i den meningen att gemensamma resurser ska fördelas efter behov. I en sådan organisation måste organisering, styrning och ledning kunna rymma bedömningar av ”hårda fakta” i form av vad som är effektivt för patienten, delaktighet och samråd i fattade beslut om utredning, behandling och uppföljning, men också politiska värderingar med grund i vad samhället har som mål och kan ge samtycke till. Beslut och ställningstagande behöver därför genomförs i en interaktiv process där flera aktörer skapar en gemensam förståelse för hur situationen ser ut och

hur beslut ska göras i praktiken. Det kan till exempel handla om att skapa former för interaktion och dialog där olika aktörsgrupper var för sig eller tillsammans diskuterar, utbyter erfarenheter, skapar förståelse för varandras situation och möjligen kommer fram till en rimlig lösning, ex. i form av professionella team, konstruerade råd där politiker och vårdföreträdare träffas och/eller mötesplatser för politiker, vårdprofessioner och patientorganisationer.

Sammantaget är öppenhet som omfattar dialog, interaktion mellan hälso- och sjukvårdens många intressenter och en organisering som leder till gemensam förståelse kring problem och lösningar på resursfördelningens dilemma en viktig förutsättning för en hållbar utveckling och styrning av välfärden. Det är också ett gemensamt ansvar för samtliga medarbetare i hälso- och sjukvården.

Nyckel för att upprätthålla och stärka den interna legitimiteten är således att de inblandade känner stöd och trygghet i att veta hur de ska göra. Vårdprofessionerna har ofta dubbla lojaliteter där de ska beakta både brukarnas vårdbehov och följa de beslut som tagits inom systemet, dessa kan ibland gå på tvärs. Vid situationer som handlar om prioriteringar är det betydelsefullt att de olika personalgrupperna känner stöd för sina handlingar, hittar argument att lyfta fram gentemot patienten men också i sin egen roll och för andra inom organisationen. På så sätt kan olika disharmonier och budskap i organisationen undvikas. I en studie om hur den interna legitimiteten skapades och upprätthölls, alternativt nedmonterades såg Nedlund att en viktig funktion var just skapandet av olika signal-system och s.k. "mellanled" som finns på olika nivåer inom organisationen (Nedlund, 2012; Nedlund & Garpenby 2014). Dessa fungerar som arenor där de olika personalgrupperna – ej bara vårdprofessioner på kliniker utan även högre tjänstemän – kunde diskutera, utbyta erfarenheter och skapa en gemensam förståelse för sin roll i sammanhanget, dvs. vad de ska göra, hur de ska göra och hitta stöd att hantera faktiska situationer. "Att bolla" med varandra och ha eller vara ett "bollplank" för att hitta stöd, för att skapa en gemensam förståelse inom sin personalgrupp och med andra personalgrupper om hur man ska göra och vad ens roll är i sammanhanget är en viktig del i skapandet av intern legitimitet och förtroende inom organisationen. Att vara delaktig i arbetet ger trygghet. Waldau (2010) studerade den landstingsövergripande prioriteringsprocessen i Västerbottens läns landsting. För att undvika konflikter var man noga med att reda ut

ansvarsförhållanden för politiker, sjukvårdsledning och kliniska företrädare samt skapa en arena där man kunde mötas och reda ut sådant som skulle kunna generera konflikt. Allt i syfte att skapa en gemensam värdebas för organisationen. Tidigare har det lyfts fram att för att få legitimitet för en viss policy måste den både ses som konsistent och i linje med rådande politiska värderingar, men också uppfattas som genomförbar (Smoke 1994).

Studier kring förtroende för beslut kring prissättning och finansiering av läkemedel

Vi har identifierat ett fåtal studier som specifikt tittar på förtroende och legitimitet när det gäller processer för läkemedelsutvärdering och subvention.

I en svensk studie av Jansson utvärderades TLVs (dåvarande LFNs) verksamhet utifrån Daniels och Sabins ramverk *accountability for reasonableness* (A4R)² dels genom analys av beslut och dels genom intervjuer med olika intressenter (Daniels & Sabin, 2008; Jansson, 2007). I sin studie finner de att berörda intressenter (enskilda patienter, patientorganisationer, forskrivare och läkemedelsbolag) har försökt utöva direkt påverkan på beslutsfattare i de fall beslutet varit negativt. Starkast lobbying hade skett i de fall läkemedlet tidigare varit en del av förmånssystemet. Utifrån ramverket A4R drar de slutsatsen att systemet uppfyller kraven på legitimitet. Det innebär att systemet bedöms som transparent med klara beslutsgrunder (den etiska plattformen), involverar de huvudsakliga intressenterna och uppfattas som relevant av dessa. Likaså att det finns möjlighet att revidera beslut och att genomdriva dessa.

² A4R är ett ramverk som fokuserar på det som kallas för procedural rättvisa, dvs. att proceduren eller processen för en viss verksamhet, ses som rättvis – delvis oavsett utfallet av processen. Daniels och Sabin har föreslagit fyra kriterier för procedural rättvisa inom prioriteringsområdet (Daniels & Sabin, 2008):

1. Transparens (Publicity) – att skälen för prioriteringar ska finnas allmänt tillgängliga
2. Relevans (Relevance) – att skälen för prioriteringar ska uppfattas som rimliga och accepteras som relevanta av människor med ett "rättvist" sinne och med ambitionen att hitta gemensam grund för samverkan.
3. Revision och överklagande (Revision and Appeals) – att det ska finnas möjlighet för att överklaga beslut och revidera riktlinjer utifrån nya argument och ny evidens.
4. Reglering (Regulative) – att det finns någon form av process för genomdrivande av ovanstående kriterier.

Samtidigt pekar de på vissa motsägelser i de beslut och de beslutsgrunder som ligger bakom dessa i de beslut som analyserats, likaså pekar de på att inte alla (exempelvis patienter) har möjlighet att överklaga beslut. I en tidigare studie redovisas att svenska intressenter också förefaller uppfatta verksamheten som rättvis och legitim (Jansson & Anell, 2006).

Intressant nog har Cleemput med kollegor gjort en liknande analys utifrån A4R-ramverket av TLV med delvis annat resultat (övriga studerade enheter finns i Belgien, Frankrike, Holland och Österrike) (Cleemput, Franken, Koopmanschap, & le Polain, 2012). När de gäller transparenskriteriet finner de inte verksamheten fullt transparent. Även om det framgår vilka kriterier som ligger till grund för besluten, så uppfattar man inte avvägningen mellan dessa som fullt transparent. Man noterar att svenska sekretessregler gör att inte alla delar kan göras transparenta och att läkemedelsbolagen kan dra tillbaka ansökan om förmån och sekretessbelägga att en sådan gjorts, något som sker på bekostnad av transparens. När det gäller relevanskriteriet uppmärksammas att Sverige konsulterar vetenskapliga experter men också att man som enda studerade land har en patientrepresentant i den beslutande nämnden. Man identifierar att Sverige har en revisionsprocess, men att den ej sker systematiskt utan baserat på det individuella fallet. Likaså noteras att man saknar en mer systematisk utvärdering av huruvida besluten får genomslagskraft.

I en studie av Milewa undersöks hur man kan förstå representativitet och legitimitet inom ramen för NICE genom intervjuer med ett antal intressenter (Milewa, 2008). Han lyfter fram att en viktig aspekt för systemets legitimitet är att de olika representanterna för olika intressenter inte kan misstänkas "gå sina egna ärenden" utan faktiskt representerar de intressen de ska företräda. Även om de formella processerna för detta finns på plats, kommer detta påverkas av hur den faktiska interaktionen går till i dessa beslutssammanhang. Studien fokuserar därmed på att försöka titta på dessa bakomliggande antaganden och förutsättningar som påverkar interaktionen mellan olika intressenter, inte minst mot bakgrund av tidigare studier som förefaller visa att professionella företrädares uppfattningar ges prioritet framför lekmanuppfattningar. Milewa identifierar fyra faktorer i denna situation som är intressanta. För det första, den selektivitet som förefaller utövas när det gäller att

identifiera legitima intressenter. Det är företrädare för NICE som avgör huruvida och i så fall vilka grupper som ska inbjudas i relation till en specifik utvärdering. För det andra, hur man introducerar erfarenhetsbaserade perspektiv i dialogen för att definiera vad det "egentligen" är att leva med ett visst tillstånd och därmed peka på vad som verkligen representerar den berörda gruppens perspektiv. För det tredje, hur olika representanter inte bara för fram sina respektive perspektiv utan även identifierar möjliga allianser med andra grupper för att på ett starkare sätt kunna få gehör eller genomdriva sitt perspektiv. För det fjärde, hur representanterna kan glida mellan olika perspektiv och roller och att de därmed inte på ett "rent" sätt bara representerar ett perspektiv. Milewa drar slutsatsen att bara det faktum att man är en utsedd representant innebär inte att mer informella mönster kring auktoritet, inflytande etc. förlorar sin roll. Detta kan i sin tur påverka legitimiteten hos de beslut som fattas. Som en effekt av detta förslås att man bör inrätta dessa processer på ett sätt som tonar ned rollen för status och ställning, och i stället lyfter fram kännetecken för det som kallas deliberativ demokrati (Bohman & Rehg, 1997). För det första att dialogen ska kännetecknas av att det rationella eller goda argumentet ska vara vägledande snarare än vem som yttrar det. För det andra, att man ska försöka uppnå så stor grad av konsensus som möjligt bland deltagarna, snarare än att förlita sig på majoritetsbeslut eller se det som en kamp och avvägning mellan olika intressentperspektiv.

Kommentarer med utgångspunkt i den etiska plattformen för prioritering

Avslutningsvis i denna korta rapport vill vi bidra med kommentarer utifrån den specifikt svenska situationen och den etiska plattform³ som sedan riksdagsbeslutet 1997 och senare 2002 (för läkemedelsförmånslagstiftningen) ska ligga till grund för de prioriteringar som görs (Socialdepartementet, 1982, 1996/97:60, 2001/02:63). Kommentarererna är uppdelade i två olika avsnitt där det första handlar

³ I denna rapport används, för enkelhetens skull, den etiska plattformen som samlingsnamn för alla de aspekter som hör till det etiska ramverket för prioriteringar enligt den proposition som ligger till grund för lagändringen 1997 (Socialdepartementet, 1996/97:60).

om de olika uppfattningar om kriterier för prioriteringar av läkemedel som återfinns i redovisade studier och det andra behandlar frågor om deltagande och förtroende.

Den etiska plattformen och olika intressenters uppfattningar om prioriteringskriterier

En generell fråga i detta sammanhang rör hur olika intressenters perspektiv eller preferenser på specifika kriterier för prioritering av läkemedel bör vägas in. I någon mån kan den etiska plattformen sägas vara ett uttryck för en deliberativ demokratisk process (se ovan) där ett förslag till etisk plattform tas fram genom något som mer påminner om en rationell dialog där olika alternativa principer analyseras och där argument för olika ställningstaganden vägs emot varandra. Detta först i den statliga utredningen och därefter i den remissomgång som följde på utredningsförslaget och som resulterade i propositionen. Därefter vidtog ett mer formellt majoritetsbeslut (dock enhälligt) om att anta förslaget. I den situationen kan det sägas att en mer direkt avläsning av sociala preferenser eller värderingar i befolkning har en oklar roll. Om man bortser från de metodologiska problemen med att konstatera vilka sociala preferenser som finns och är dominerande i en viss population givet existensen av framingeffekter, så uppstår frågan om en diskrepans mellan dessa preferenser och ett etiskt ramverk ska implicera att ramverket ändras?

De senaste årens förändring kring policyn för prioritering av behandling av sällsynta tillstånd kan illustrera detta. Baserat på en normativ analys av den etiska plattformen inom ramen för Läkemedels- och apoteksutredningen (Carlsson, Hoffman, Levin, Sandman, & Wiss, 2015), gjordes förändringen att acceptera ett högre tröskelvärde för kostnadseffektivitet för läkemedel för sällsynta tillstånd av TLV och NT-rådet. Detta trots att ovan redovisade svenska studier inte visade på att det finns sociala preferenser för att sällsynthet ska spela roll vid prioritering, snarare tvärtom. Huruvida det visar att det skulle finnas en diskrepans mellan befolkningens preferenser och TLV:s förändrade praxis när det gäller hur läkemedel för sällsynta tillstånd ska prioriteras i relation till annan behandling är naturligtvis svårt att uttala sig om givet metodologiska utmaningar. Möjligen är det inte förrän man låter befolkningen ta

ställning till den faktiska argumentationen bakom förändringen som man kan konstatera om det finns en sådan diskrepans. Men det väcker trots allt frågan kring vad som ska vara vägledande när det gäller vilka kriterier som ska vägleda prioriteringar inom läkemedelsområdet (och andra områden). I denna rapport kommer vi att kommentera redovisade studier utifrån antagandet att den etiska plattformen i nuläget utgör ”facit” eller ramen för vilka uppfattningar som kan accepteras i en svensk hälso- och sjukvårdskontext. Även om den etiska plattformen innehåller stora tolkningsmöjligheter i detta sammanhang så görs en del explicita ställningstaganden som trots allt ger en fond till ovan redovisade studier.

Vi såg ovan att ett kriterium som i flertal studier fick starkt stöd var tillståndets eller sjukdomens svårighetsgrad, detta är ju även ett centralt kriterium i den etiska plattformen, eller snarare i den allmänt accepterade operationaliseringen av den etiska plattformen (Broqvist, Branting Elgstrand, Carlsson, Eklund, & Jakobsson, 2011). Behovs-solidaritetsprincipens skrivningar om att man bör satsa på den patientgrupp som har störst behov har normalt tolkats som att tillståndets svårighetsgrad är en viktig faktor vid prioriteringen. På samma sätt är ett annat kriterium som får generellt stöd, behandlingseffekten, ofta uttryckt i termer av åtgärdens effekt eller patientnytta, en del av plattformens operationalisering.

En aspekt som fick stöd i flera studier är att väga in bristen på behandlingsalternativ. Detta återfinns inte explicit i den etiska plattformen, men delvis kan det sägas vägas in på ett implicit sätt. När den etiska plattformen omsätts i praktiken och man bedömer svårighetsgraden hos det tillstånd som ska behandlas – så bedöms svårighetsgraden normalt som svårighetsgraden hos tillståndet givet den behandling som finns tillgänglig i nuläget. Saknas det behandlingsalternativ blir därmed svårighetsgraden i många fall större än om det hade funnits behandlingsalternativ. På samma sätt vägs behandlingsalternativen in i kostnadseffektivitetsanalysen och då det inte finns något behandlingsalternativ påverkar det både effektsidan och kostnadssidan av analysen.

Den fjärde aspekten som föreföll få starkt stöd var en jämlik vård eller behandling. I den etiska plattformen kan jämlikhet sägas vara ett grundläggande antagande på två olika sätt. För det första genom att människovärdesprincipen lägger en likabehandlingsgrund där irrelevanta egenskaper (som delvis specificeras) inte ska spela

roll för patienters tillgång till behandling (om inte dessa egenskaper påverkar svårighetsgraden hos tillståndet eller åtgärdens patientnytta). För det andra genom att behovs-solidaritetsprincipen ger uttryck för en strävan om jämlikhet när det gäller tillgång till vård och när det gäller utfallet i termer av hälsa och livskvalitet av denna vård. Strävan att uppnå ett jämlikt hälsoutfall i befolkningen förutsätter att de som ligger längst från detta prioriteras, dvs. att de med svåraste tillstånd prioriteras (i den mån det går att påverka deras hälsoutfall). Jämlik tillgång till vård och människovärdesprincipens skrivningar kan tolkas som att om patienter har samma behov (dvs. samma svårighetsgrad och samma patientnytta av de åtgärder som finns tillgängliga) så bör de också ha samma tillgång till vården.

Den tredje aspekten i den etiska plattformen, åtgärdens kostnadseffektivitet, ges dock inte explicit stöd i någon större utsträckning i ovan redovisade studier. Metodologiskt är en del av de studier som är redovisade utformade för att implicit undersöka i vilken mån respondenterna är villiga att göra avvikelser från den mest effektiva/kostnadseffektiva fördelningen av resurser – och i dessa ser vi delvis stöd för den mest effektiva fördelningen under vissa omständigheter (Chim *et al.*, 2017; Linley & Hughes, 2013; Wiss *et al.*, 2017). Endast ett fåtal förefaller att explicit ha ställt frågor kring huruvida kostnadseffektivitet bör spela roll (Skedgel, 2016; Wiss, 2017). Men det är viktigt att notera att i alla studier förefaller det på olika sätt finnas stöd för avsteg från att endast ta kostnadseffektiviteten i beaktande och att man är villig att acceptera lägre effektivitet för att uppnå andra fördelningseffekter.

Ett antal studier förefaller hitta stöd för att livsstilsfaktorer bör spela viss roll vid prioriteringen, till fördel för de patienter vars sjukdomstillstånd inte kan kopplas till livsstilsfaktorer. I den etiska plattformen tar man explicit ställning emot en sådan prioriteringsgrund, om inte livsstilen eller patientens egna val påverkar behandlingsnyttan – där det finns ett visst sådant utrymme. Likaså finns det i vissa studier stöd för att ålder bör spela viss roll, oftast med implikationen att barn bör prioriteras. Återigen tar den etiska plattformen ställning emot att låta kronologisk ålder spela roll för den prioritering som görs. Vi finner även stöd för tanken att ekonomiskt underprivilegierade grupper bör ges viss prioritet. I den etiska plattformen är ställningstagandet snarare att ekonomiska möjligheter inte bör påverka i vilken utsträckning en patientgrupp

får tillgång till vård. Om studierna tolkas som att man bör kompensera en ekonomiskt underprivilegierad grupp genom att prioritera vård till dessa grupper, så förefaller inte den etiska plattformen ge stöd åt det. Om det däremot snarare tolkas som att ekonomiska möjligheter inte ska leda till att man inte kan tillägna sig vård är detta i linje med den etiska plattformen.

I studien av Linley och Hughes i den engelska och walesiska kontexten ges effekter på närståendevårdare stöd som ett viktigt prioriteringskriterium, vad de kallar "wider societal benefits" (Linley & Hughes, 2013). Människovärdesprincipen ger uttryck för att patientens sociala situation eller ställning inte får spela någon roll för vilken behandling hen får tillgång till. Ett sådant ställningstagande kan komplicera huruvida vi kan väga in påverkan på närstående eller inte. Om sådana effekter vägs in skulle patienter utan närstående kunna missgynnas, samtidigt som hälso- och sjukvården i många fall ser det som etiskt motiverat att även ta hänsyn till närståendes situation. Här är det inte helt klart hur den etiska plattformen ska tolkas.

Detta väcker generellt frågan kring hur effekter på samhället utanför hälso- och sjukvården ska behandlas. I den svenska kontexten har detta behandlas i samband med hur den hälsoekonomiska värderingen ska göras. De två vanligast använda perspektiven för analyser av medicinska teknologier är *samhällets* respektive *hälso- och sjukvårdens*. En genomgång av samtliga riktlinjer för ekonomiska analyser av medicinska teknologier i Europa visar att det är ganska jämnt fördelat mellan de som förespråkar ett samhällsperspektiv och de som rekommenderar ett hälso- och sjukvårdsperspektiv (EUnetHTA, 2015). De flesta riktlinjer som förespråkar ett visst perspektiv önskar dock samtidigt se ett annat perspektiv i känslighetsanalyser.

Sverige är en av förespråkarna för att använda ett samhällsperspektiv. Detta yttrar sig bland annat i rådet från Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV): *"Den hälsoekonomiska analysen bör göras utifrån ett samhällsekonomiskt perspektiv. Detta innebär bland annat att alla relevanta kostnader och intäkter för behandling och sjuklighet oavsett vem de faller på (landsting, kommun, stat, patient, anhörig) bör beaktas."* (TLV, 2017). Övriga myndigheter (Socialstyrelsen, SBU, Folkhälsomyndigheten) har inte lika tydligt uttryckta råd avseende val av perspektiv, men överlag verkar det

samhällsekonomiska perspektivet eftersträvas. SBU skriver exempelvis så här i sin metodbok *"Oftast eftersträvas att analysen ska använda ett samhällsperspektiv för att den ska visa de totala kostnaderna och effekterna för hela samhället och inte leda till suboptimering inom olika sektorer. ... Det kan emellertid ändå vara av intresse att beskriva hur kostnader och effekter fördelar sig på olika intressenter, såsom patient, landsting, kommun, staten med flera."* (SBU, 2014).

År 2013 pågick en debatt avseende hur inkluderingen av produktion och konsumtion i analyserna kunde anses förenligt med den etiska plattformen för prioriteringar, framför allt människovärdesprincipen med dess skrivningar kring kronologisk ålder och social situation. Detta ledde till att TLV gjorde ändringar i sina allmänna råd. Rådet om att använda ett samhällsperspektiv finns kvar, men vad gäller vilka kostnader som ska inkluderas inkluderades följande mening *"Beräkningen bör göras både med och utan inkludering av indirekta kostnader, såsom produktionsbortfall ..."*. Dessutom ströks rådet om att också inkludera kostnader till följd av ökad överlevnad. Syftet med dessa ändringar var att öka transparensen av den hälsoekonomiska analysen, och att säkerställa att beslut inte fattas baserade på beräkningar som inte är förenliga med människovärdesprincipen.

Att inte inkludera produktion i analysen skulle i sin tur kraftigt kunna snedvrider analysen. För preventiva folkhälsoinsatser (exempelvis vaccinationer) är värdet av produktion ofta den mest betydelsefulla posten i beräkningarna. Om valet står mellan två likvärdiga behandlingar, men där den ena innebär frånvaro från arbete under en längre tid, och den alternativa behandlingen inte påverkar arbetsmöjligheter, förefaller det problematiskt att inte låta värdet av produktion påverka beslutet.

Givet att Sverige önskar genomföra analyser utifrån ett samhällsperspektiv förefaller TLV:s uppdaterade riktlinjer lämpliga (att analysens görs både med och utan produktion). Detta borde dock uttryckas tydligt och efterföljas konsekvent även av övriga myndigheter. I analysen baserat på samtliga Europeiska riktlinjer inom området, gjordes rekommendationen att resursförbrukningen ska presenteras så detaljrikt som möjligt, så att beslutsfattare kan få komplett information men själva avgöra vilka poster som ska vara av betydelse för beslutet. I debatten som pågick i Sverige 2013 föreslog Heintz med kollegor *"... att det blir standard i Sverige att*

resultaten i kostnadseffektivitetsanalyser redovisas både med och utan hänsyn till produktion och konsumtion samt med en explicit diskussion kring de etiska konsekvenserna av de alternativa beräkningsgrunderna.” (Heintz, Davidson, & Rosen, 2013).

Ett viktigt skäl för att inkludera det vidare samhällsperspektivet och framför allt i vilken utsträckning en viss prioritering leder till påverkan på produktion är att detta i förlängningen påverkar de skatteintäkter som samhället har. Om man inte tar hänsyn till detta skulle vi kunna få en situation där vi följer den etiska plattformen men där vi gör detta till priset av att resurserna för hälso- och sjukvård minskar och därmed färre kan ges behandling. En mer generell slutsats av ett sådant resonemang är att den etiska plattformens ställningstaganden kanske inte kan anses vara huggna i sten utan måste utsättas för viss prövning och omvärdering över tid – framför allt i den mån den omgivande samhällskontexten och de förutsättningar den ger upphov till förändras. I det sammanhanget blir det naturligtvis viktigt att väga in eventuella diskrepanser mellan den existerande etiska plattformen och preferenser hos olika intressenter som patienter och medborgare – även om de etiska ställningstaganden som en sådan plattform grundas på inte bör göras till förmån för majoritetsbeslut utan fortsatt bör vara resultatet av en övervägd argumentation.

Den etiska plattformen i relation till deltagande, förtroende och legitimitet

Generellt kan det sägas att den etiska plattformen har mindre att säga i relation till frågor om deltagande, förtroende och legitimitet. Ett grundläggande skäl till att överhuvudtaget formulera explicita principer för prioritering som vi återfinner i plattformen är dock att den skapar förutsättningar för öppenhet som i sig antas vara en central grund för förtroende och legitimitet. Utöver de tre principerna människovärdesprincipen, behovs-solidaritetsprincipen och kostnadseffektivitetsprincipen så är normen om öppenhet är en viktig del av den etiska plattformen. Exakt hur denna norm ska tolkas är inte helt klart, men i tillämpningen av plattformen har det framför allt tolkas som ett krav på att grunderna för de prioriteringar som görs i enskilda fall ska kunna redovisas för berörda parter.

När det gäller frågan om patienters och andra intressenters deltagande i beslut kring prioriteringar i allmänhet och läkemedel i synnerhet ger den etiska plattformen inga explicita besked. Vad som dock är klart är att propositionen som ligger till grund för plattformen avfärdar att vården skulle styras av efterfrågan eller att prioriteringar skulle kopplas till en självbestämmandeprincip. Även om man lyfter fram värdet av patienters självbestämmande och vikten av dialog med patienterna, så betonas samtidigt att vården ska vara behovsbaserad och att ansvaret för bedömningen av patienters behov i sista änden åvilar hälso- och sjukvårdsprofessionerna. Dessa ställningstaganden skulle kunna komplicera patienters (men även andra intressenters) deltagande i prioriteringsbeslut i den mån det leder till en rörelse mot en efterfrågestyrd prioritering som avviker från en prioritering i linje med den etiska plattformen. Om patienters (och andra intressenters) deltagande i beslut kring prioriteringar däremot handlar om att få en så allsidig belysning som möjligt av den behandling och det tillstånd som ska prioriteras så förefaller det inte finnas något i den etiska plattformen som motsäger detta.

Referenser

- Abelson, J., & Eyles, J. (2002). *Public participation and citizen governance in the Canadian health system*. Romanow Papers: Changing health care in Canada. University of Toronto.
- Abelson, J., Lomas, J., Eyles, J., Birch, S., & Veenstra, G. (1995). Does the community want devolved authority? Results of deliberative polling in Ontario. *Canadian Medical Association Journal*, 4(135).
- Andersson, U., Ohlsson, J., Oscarsson, H., & Oskarsson, M. (2017). *Larmar och gör sig till*. Göteborg.
- Arnstein, S. (1969) A Ladder of Citizen Participation. *Journal of the American Institute of Planners* Vol. 35 (4): 216–224.
- Arkhede, S., & Holmberg, S. (2017). *Betyg på offentlig verksamhet 2016*.
- Assarson, J. (1995). Systemtilltro och brukarmissnöje. *Statsvetenskaplig tidskrift*, 2(98).
- Baggott, R. O. B. (2001). A Funny Thing Happened on the Way to the Forum?
- Reforming Patient and Public Involvement in the NHS in England. *Public Administration*, 83(3), 533–552.
- Bohman, J., & Rehg, W. (1997). *Deliberative democracy*. Cambridge, Mass.: MIT Press.
- Bowling, A. (1996). Health care rationing: the public's debate. *British Medical Journal*, (312), 670–674.
- Broqvist, M., Branting Elgstrand, M., Carlsson, P., Eklund, K., & Jakobsson, A. (2011). *Nationell modell för öppna prioriteringar inom hälso- och sjukvård – reviderad version*.
- Broqvist, M., & Garpenby, P. (2014). To accept, or not to accept, that is the question: citizen reactions to rationing. *Health Expectations*, 17, pp. 82–92.
- Broqvist, M., & Garpenby, P. (2015). It takes a giraffe to see the big picture e Citizens' view on decision makers in health care rationing. *Social Science & Medicine* 128:301–308.

- Bäckman, K., Andersson, A., & Carlsson, P. (2004). *Öppna prioriteringar i Östergötland. Del I. Den politiska processen*. PrioriteringsCentrum rapport 2004:4. Linköping: PrioriteringsCentrum.
- Carlsson, P., Hoffman, M., Levin, L.-Å., Sandman, L., & Wiss, J. (2015). *Prioritering av läkemedel för behandling av patienter med sällsynta tillstånd. Reviderad version*.
- Chim, L., Salkeld, G., Kelly, P., Lipworth, W., Hughes, D. A., & Stockler, M. R. (2017). Societal perspective on access to publicly subsidised medicines: A cross sectional survey of 3080 adults in Australia. *Plos One*, 12(3). doi:10.1371/journal.pone.0172971.
- Clark S, Weale A. (2012) Social values in health priority setting: a conceptual framework. *J Health Org Manag.* 26(3):293–316. doi:10.1108/14777261211238954.
- Cleemput, I., Franken, M., Koopmanschap, M., & le Polain, M. (2012). EUROPEAN DRUG REIMBURSEMENT SYSTEMS' LEGITIMACY: FIVE-COUNTRY COMPARISON AND POLICY TOOL. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 28(4), 358–366. doi:10.1017/s0266462312000529.
- Coulter, A., Docteur, E., (2012). *Patientcenteredness in Sweden's Health System* (Rapport 2012:7). Vårdanalys, Stockholm.
- Daniels, N., & Sabin, J. E. (2008). *Setting limits fairly. Learning to share resources for health*. (2nd ed.). Oxford: Oxford university press.
- 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. doi:10.1136/bmj.c4715.
- Desser, A. S., Olsen, J. A., & Grepperud, S. (2013). Eliciting Preferences for Prioritizing Treatment of Rare Diseases: the Role of Opportunity Costs and Framing Effects. *Pharmacoecconomics*, 31(11), 1051–1061. doi:10.1007/s40273-013-0093-y.
- Douglas, C. M. W., Wilcox, E., Burgess, M., & Lynd, L. D. (2015). Why orphan drug coverage reimbursement decision-making needs patient and public involvement. *Health Policy*, 119(5), 588–596. doi:10.1016/j.healthpol.2015.01.009.

- Dragojlovic, N., Rizzardo, S., Bansback, N., Mitton, C., Marra, C. A., & Lynd, L. D. (2015). Challenges in measuring the societal value of orphan drugs: insights from a Canadian stated preference survey. *Patient*, 8(1), 93–101. doi:10.1007/s40271-014-0109-5.
- Drummond, M., & Towse, A. (2014). Orphan drugs policies: a suitable case for treatment. *European Journal of Health Economics*, 15(4), 335–340. doi:10.1007/s10198-014-0560-1.
- EUneHTA. (2015). Methods for health economic evaluations – a guideline based on current practices in Europe.
- Facey, K. M., Ploug Hansen, H., & Single, A. (2017). *Patient Involvement in Health Technology Assessment*. Singapore: Adis: Springer Nature.
- de Fine Licht, J. (2011). Do We Really Want to Know? The Potentially Negative Effect of Transparency in Decision Making on Perceived Legitimacy. *Scandinavian Political Studies*, 34(3), 183–201.
- de Fine Licht J. (2014). *Magic Wand or Pandoras Box? How transparency in decision making affects public perceptions of legitimacy*. Gothenburg university.
- Frankish C J, Kwam B, Ratner P, & Larsen C. (2002) Challenges of citizen participation in regional health authorities. *Soc Sci Med*. 54:1 471–1 480.
- Fredriksson, M., Eriksson, M. & Tritter, J. (2018) Who wants to be involved in health care decisions? Comparing preferences for individual and collective involvement in England and Sweden. *BMC Public Health* 18:18. DOI 10.1186/s12889-017-4534-y.
- Fredriksson, M. & Tritter, J. (2017) Disentangling patient and public involvement in healthcare decisions: why the difference matters. *Sociology of Health & Illness* Vol. 39 No. 1 ISSN 0141-9889, pp. 95–111. doi: 10.1111/1467-9566.12483.
- Garpenby, P. (2002). *Samtalsdemokrati och prioritering – utvärdering av ett försök med medborgarråd*. PrioriteringsCentrum rapport 2002:3. Linköping: PrioriteringsCentrum.
- Garpenby P; Bäckman K. (2016). Formal priority setting in health care: the Swedish experience. *J Health Organ Manag*. 30(6):891–907 (ISSN: 1 758–7 247).

- Heintz, E., Davidson, T., & Rosen, M. (2013). [Prioritize based on productivity – an ethical problem?]. *Läkartidningen*, 110 (39–40), 1 712–1 713.
- Hinnfors, J., & Oskarsson, M. (1998). Introduktion till studiet av utländska politiska system. In R. Lindahl (Ed.), *Utländska politiska system*. Stockholm: SNS Förlag.
- Hunter D J, Kieslich K, Littlejohns P, Staniszewska S, Tumilty E, Weale A, Williams I. (2016) Public involvement in health priority setting: future challenges for policy, research and society. *J Health Organ Manag.* 30(5):796–808: <http://dx.doi.org/10.1108/JHOM-04-2016-0057>.
- Jansson, S. (2007). Implementing accountability for reasonableness – the case of pharmaceutical reimbursement in Sweden. *Health Economics Policy and Law*, 2(2), 153–171. doi:10.1017/s1744133107004082.
- Jansson, S., & Anell, A. (2006). The impact of decentralised drug-budgets in Sweden – a survey of physicians’ attitudes towards costs and cost-effectiveness. *Health Policy*, 76(3), 299–311. doi:10.1016/j.healthpol.2005.06.002.
- Krevers B., Broqvist M., Bäckman K. (2015) *Frågor till medborgare om öppenhet, prioriteringsprocess och beslutsfattande avseende prioritering och ransonering. En artikelöversikt*. Prioriteringscentrums rapportserie 2015:2. Prioriteringscentrum: Linköping.
- Linley, W. G., & Hughes, D. A. (2013). SOCIETAL VIEWS ON NICE, CANCER DRUGS FUND AND VALUE-BASED PRICING CRITERIA FOR PRIORITISING MEDICINES: A CROSS-SECTIONAL SURVEY OF 4118 ADULTS IN GREAT BRITAIN. *Health Economics*, 22(8), 948–964. doi:10.1002/hec.2872.
- Litva, A., Coast, J., Donovan, J., Eyles, J., Shepherd, M., Tacchi, J., Abelson, J., et al. (2002). “The public is too subjective”: public involvement at different levels of health-care decision making. *Social Science & Medicine*, 54(12), 1 825–1 837.
- Lomas J. (1997). Reluctant rationers: Public input to health care priorities. *J Health Serv Res Policy.* 2:103–111. doi: 10.1177/135581969700200208.

- Lomas, J. (2007). The inbetween world of knowledge brokering. *British Medical Journal*, 334(7585), 129–132.
- MacLeod, T. E., Harris, A. H., & Mahal, A. (2016). Stated and Revealed Preferences for Funding New High-Cost Cancer Drugs: A Critical Review of the Evidence from Patients, the Public and Payers. *Patient-Patient Centered Outcomes Research*, 9(3), 201–222. doi:10.1007/s40271-015-0139-7.
- Martin, D K, Giacomini, M., & Singer, P. A. (2002). Fairness, accountability for reasonableness, and the views of priority setting decision-makers. *Health Policy*, 61(3), 279–290.
- McCabe, C., Stafinski, T., & Menon, D. (2010). Is it time to revisit orphan drug policies? *British Medical Journal*, 341. doi:10.1136/bmj.c477.
- McKie, J., Shrimpton B., Hurworth R., Bell Catherine. & Richardson J.(2008) Who should be involved in health care decision making? A qualitative study. *Health Care Analysis* 16, 144–126.
- Milewa, T. (2008). Representation and legitimacy in health policy formulation at a national level: Perspectives from a study of health technology eligibility procedures in the United Kingdom. *Health Policy*, 85(3), 356–362. doi:10.1016/j.healthpol.2007.09.001.
- Mitton, C., Smith. N., Peacock S., Evoy B. & Abelson J. (2009). Public participation in health care priority setting: a scoping review. *Health Policy* 91, 219–228.
- Munthe, C., Sandman, L., & Cutas, D. (2012). Person Centred Care and Shared Decision Making: Implications for Ethics, Public Health and Research. *Health Care Analysis*, 20(3), 231–249. doi:10.1007/s10728-011-0183-y.
- Nedlund, A. C. (2012). Designing for legitimacy: policy work and the art of juggling when setting limits in health care. (PhD), Linköping University, Linköping.
- Nedlund, A. C., & Baerøe, K. (2014). Legitimate Policymaking: The Importance of Including Health-care Workers in Limit-Setting Decisions in Health Care. *Public Health Ethics*, 7(2), 123–133. doi:10.1093/phe/phu016.
- Nedlund, A. C., & Garpenby, P. (2008). *Kan rättvisa procedurer stärka förtroendet för prioriteringar?*

- Nord E., Johansen R. (2014). Concerns for severity in priority setting in health care: A review of trade-off data in preference studies and implications for societal willingness to pay for a QALY. *Health Policy*. June 116(2–3):281–88:
<http://dx.doi.org/10.1016/j.healthpol.2014.02.009>
- Pace, J., Pearson, S. A., & Lipworth, W. (2015). Improving the Legitimacy of Medicines Funding Decisions: A Critical Literature Review. *Therapeutic Innovation & Regulatory Science*, 49(3), 364–368. doi:10.1177/2168479015579519.
- Regeringen. (2016). *Finansiering, subvention och prissättning av läkemedel*. (Dir. 2016:95). Stockholm.
- Rosenberg-Yunger, Z. R. S., Thorsteinsdottir, H., Daar, A. S., & Martin, D. K. (2012). Stakeholder involvement in expensive drug recommendation decisions: An international perspective. *Health Policy*, 105(2–3), 226–235.
 doi:10.1016/j.healthpol.2011.12.002.
- Rosen P, Karlberg I. (2002). Opinions of Swedish citizens, health-care politicians, administrators and doctors on rationing and health-care financing. *Health Expectations*, 5: 148–155.
- Rosén, P. (2005). *Befolkningsdialog kring prioriteringar i Region Skåne*. Linköping: Linköping: PrioriteringsCentrum (The National Centre for Priority Setting in Health Care).
- Rosén, P. (2006). Public dialogue on healthcare prioritisation. *Health Policy*, 79(1), 107–116.
- Rothstein, B. (1994). *Vad bör staten göra?: om välfärdsstatens moraliska och politiska logik* (1st ed.). Stockholm: SNS Förlag.
- Rowe, G., & Frewer, L.J. (2004) Evaluating Public-Participation Exercises: A Research Agenda. *Science, Technology, & Human Values*, Vol. 29 No. 4, 512–556. DOI: 10.1177/0162243903259197.
- Sacristan, J. A., Lizan, L., Comellas, M., Garrido, P., Avendano, C., Cruz-Hernandez, J. J., Dilla, T. (2016). Perceptions of Oncologists, Healthcare Policy Makers, Patients and the General Population on the Value of Pharmaceutical Treatments in Oncology. *Advances in Therapy*, 33(11), 2 059–2 068.
 doi:10.1007/s12325-016-0415-5.

- Sandman, L., Bond, K., & Hofmann, B. (2017). Exploring Ethical Rationales. In K. M. Facey, H. Ploug Hansen, & A. Single (Eds.), *Patient Involvement in Health Technology Assessment*. Singapore:Adis: Springer Nature.
- SBU. (2014). *Utvärdering av metoder i hälso- och sjukvård – en handbok*. Stockholm: SBU.
- Skedgel, C. (2016). The prioritization preferences of pan-Canadian Oncology Drug Review members and the Canadian public: a stated-preferences comparison. *Curr Oncol*, 23(5), 322–328. doi:10.3747/co.23.3033.
- Shah K. Severity of illness and priority setting in healthcare: A review of the literature. *Health Policy*. Dec 2009;93(2–3):77–84: <http://dx.doi.org/10.1016/j.healthpol.2009.08.005>.
- Smoke, R. (1994). On the Importance of Policy Legitimacy. *Political Psychology*, 15(1), 97–110. International Society of Political Psychology.
- SOU 1995:5 Vårdens svåra val. Prioriteringsutredningens slutbetänkande.
- SOU 2000:1. En uthållig demokrati! Politik för folkstyrelse på 2000-talet. Demokratiutredningens betänkande.
- Hälso- och sjukvårdslag, Proposition 1982:763 C.F.R. (1982).
- Prioriteringar inom hälso- och sjukvården, Proposition 1996/97:60 C.F.R. (1996/97:60).
- Lag om läkemedelsförmåner, Proposition 2001/02:63 C.F.R. (2001/02:63).
- Patientlag, (2015).
- TLV. (2017). *Ändring i Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets allmänna råd (TLVAR 2003:2) om ekonomiska utvärderingar*.
- Tordrup, D., Angelis, A., & Kanavos, P. (2013). Preferences on policy options for ensuring the financial sustainability of health care services in the future: results of a stakeholder survey. *Appl Health Econ Health Policy*, 11(6), 639–652. doi:10.1007/s40258-013-0056-7.
- Waldau, S. (2010). *Creating organisational capacity for priority setting in health care : using a bottom-up approach to implement a top-down policy decision*. Umeå University.

- Werntoft E. (2006). Older people's views of prioritization and resource allocation in health care. Lund University.
- Whitty, J.A., Lancsar, E., Rixon, K., Golenko, X., & Ratcliffe, J. (2014) A Systematic Review of Stated Preference Studies Reporting Public Preferences for Healthcare Priority Setting. *Patient* 7:365–386. DOI 10.1007/s40271-014-0063-2.
- Williams I, Robinson S, Dickinson H. (2012) *Rationing in health care: The theory and practice of priority setting*. Bristol: Policy Press.
- Wiss, J. (2017). Healthcare Priority Setting and Rare Diseases. What Matters When Reimbursing Orphan Drugs. (PhD), Linköping University, Linköping.
- Wiss, J., Andersson, D., Slovic, P., Vastfjall, D., & Tinghog, G. (2015). The influence of identifiability and singularity in moral decision making. *Judgment and Decision Making*, 10(5), 492–502.
- Wiss, J., Levin, L. A., Andersson, D., & Tinghog, G. (2017). Prioritizing Rare Diseases: Psychological Effects Influencing Medical Decision Making. *Medical Decision Making*, 37(5), 567–576. doi:10.1177/0272989x17691744.
- Vogler, S., Zimmermann, N., & Habimana, K. (2016). Stakeholder preferences about policy objectives and measures of pharmaceutical pricing and reimbursement. *Health Policy and Technology*, 5(3), 213–225. doi:10.1016/j.hlpt.2016.03.009.
- Vårdanalys, M. f. (2016). *Vården ur befolkningens perspektiv 2016 – en jämförelse mellan Sverige och tio andra länder*.

Appendix – sökstrategi för vetenskapliga artiklar

De vetenskapliga artiklar som sökts fram för föreliggande rapport har sökts fram genom att använda följande sökkombinationer i databaserna Web of Science och PubMed med begränsningen 10 år:

(((((pharm* OR drugs*)) AND (pric* OR fund* OR financ* OR reimburse*)) AND (patient* OR citiz* OR stakehold* OR doctor* OR physician* OR public*)) AND (attitud* OR preferenc* OR view*) AND ("last 10 years"[PDat]))

Denna söksträng resulterade i 928 träffar för PubMed och 902 träffar för Web of Science. Efter genomgång av titlar och

abstract samt sekundärsökning utifrån hittade artiklar användes slutligen 12 artiklar som ansågs ligga i linje med syftet.

(((((pharm* OR drugs*)) AND (pric* OR fund* OR financ* OR reimburse*)) AND (patient* OR citiz* OR stakehold* OR doctor* OR physician* OR public*)) AND (trust* OR legitimat* OR confidenc*) AND ("last 10 years" [PDat])

Denna söksträng resulterade i 922 träffar för PubMed och 629 träffar för Web of Science. Efter genomgång av titlar och abstract samt sekundärsökning utifrån hittade artiklar användes slutligen 7 artiklar som ansågs ligga i linje med syftet.

Statens offentliga utredningar 2017

Kronologisk förteckning

1. För Sveriges landsbygder – en sammanhållen politik för arbete, hållbar tillväxt och välfärd. N.
2. Kraftsamling för framtidens energi. M.
3. Karens för statsråd och statssekreterare. Fi.
4. För en god och jämlik hälsa. En utveckling av det folkhälsopolitiska ramverket. S.
5. Svensk social trygghet i en globaliserad värld. Del 1 och 2. S.
6. Se barnet! Ju.
7. Straffprocessens ramar och domstolens beslutsunderlag i brottmål – en bättre hantering av stora mål. Ju.
8. Kunskapsläget på kärnavfallsområdet 2017. Kärnavfallet – en fråga i ständig förändring. M.
9. Det handlar om oss. – unga som varken arbetar eller studerar. U.
10. Ny ordning för att främja god sed och hantera oredlighet i forskning. U.
11. Vägs katt. Volym 1 och 2. Fi.
12. Att ta emot människor på flykt. Sverige hösten 2015. Ju.
13. Finansiering av infrastruktur med privat kapital? Fi.
14. Migrationsärenden vid utlandsmyndigheterna. Ju.
15. Kvalitet och säkerhet på apoteksmarknaden. S.
16. Sverige i Afghanistan 2002–2014. UD.
17. Om oskuldspresumtionen och rätten att närvara vid rättegången. Genomförande av EU:s oskuldspresumtionsdirektiv. Ju.
18. En nationell strategi för validering. U.
19. Uppdrag: Samverkan. Steg på vägen mot fördjupad lokal samverkan för unga arbetslösa. A.
20. Tillträde för nybörjare – ett öppnare och enklare system för tillträde till högskoleutbildning. U.
21. Läs mig! Nationell kvalitetsplan för vård och omsorg om äldre personer. Del 1 och 2. S.
22. Från värdekedja till värdecykel – så får Sverige en mer cirkulär ekonomi. M.
23. digitalforvaltning.nu. Fi.
24. Ett arbetsliv i förändring – hur påverkas ansvaret för arbetsmiljön? A.
25. Samlad kunskap – stärkt handläggning. S.
26. Delningsekonomi. På användarnas villkor. Fi.
27. Vissa frågor inom fastighets- och stämpelskatteområdet. Fi.
28. Ett nationellt centrum för kunskap om och utvärdering av arbetsmiljö. A.
29. Brottsdatalag. Ju.
30. En omreglerad spelmarknad. Del 1 och 2. Fi.
31. Stärkt konsumentskydd på bostadsrättmarknaden. Ju.
32. Substitution i Centrum – stärkt konkurrenskraft med kemikaliesmarta lösningar. M.
33. Stärkt ställning för hyresgäster. Ju.
34. Ekologisk kompensation – Åtgärder för att motverka nettoförluster av biologisk mångfald och ekosystemtjänster, samtidigt som behovet av markexploatering tillgodoses. M.
35. Samling för skolan. Nationell strategi för kunskap och likvärdighet. U.
36. Informationssäkerhet för samhällsviktiga och digitala tjänster. Ju.
37. Kvalificerad välfärdsbrottslighet – förebygga, förhindra, upptäcka och beivra. Ju.

38. Kvalitet i välfärden – bättre upphandling och uppföljning. Fi.
39. Ny dataskyddslag. Kompletterande bestämmelser till EU:s dataskyddsförordning. Ju.
40. För dig och för alla. S.
41. Meddelarskyddslagen – fler verksamheter med stärkt meddelarskydd. Ju.
42. Vem har ansvaret? M.
43. På lika villkor! Delaktighet, jämlikhet och effektivitet i hjälpmedelsförsörjningen. S.
44. Entreprenad, fjärrundervisning och distansundervisning. U.
45. Ny lag om företagshemligheter. Ju.
46. Stärkt ordning och säkerhet i domstol. Ju.
47. Nästa steg på vägen mot en mer jämlik hälsa. Förslag för ett långsiktigt arbete för en god och jämlik hälsa. S.
48. Kunskapsbaserad och jämlik vård. Förutsättningar för en lärande hälso- och sjukvård. S.
49. EU:s dataskyddsförordning och utbildningsområdet. U.
50. Personuppgiftsbehandling för forskningsändamål. U.
51. Utbildning, undervisning och ledning – reformvård till stöd för en bättre skola. U.
52. Så stärker vi den personliga integriteten. Ju.
53. God och nära vård. En gemensam färdplan och målbild. S.
54. Fler nyanlända elever ska uppnå behörighet till gymnasiet. U.
55. En ny kamerabevakningslag. Ju.
56. Jakten på den perfekta ersättningsmodellen. Vad händer med medarbetarnas handlingsutrymme? Fi.
57. Lag om flygpassageraruppgifter i brottsbekämpningen. Ju.
58. Amerikansk inresekontroll vid utresa från Sverige – så kan avtalen genomföras. Ju.
59. Reglering av alkoglass m.fl. produkter. S.
60. Nästa steg? Förslag för en stärkt minoritetspolitik. Ku.
61. Villkorlig frigivning – förstärkta åtgärder mot återfall i brott. Ju.
62. Kärnavfallsrådets yttrande över SKB:s Fud-program 2016. M.
63. Miljötillsyn och sanktioner – en tillsyn präglad av ansvar, respekt och enkelhet. M.
64. Detaljplanekravet. N.
65. Hyran vid nyproduktion – en utvärdering och utveckling av modellen med presumtionshyra. Ju.
66. Dataskydd inom Socialdepartementets verksamhetsområde – en anpassning till EU:s dataskyddsförordning. S.
67. Våldsbejakande extremism. En forskarantologi. Ku.
68. Barnets rättigheter i ett straffrättsligt förfarande m.m. Genomförande av EU:s barnrättsdirektiv och två andra straffprocessuella frågor. Ju.
69. Marknadskontrollmyndigheter – befogenheter och sanktionsmöjligheter. UD.
70. Förstärkt skydd för uppgifter av betydelse för ett internationellt samarbete för fred och säkerhet som Sverige deltar i. Ju.
71. Bostäder på statens mark – en möjlighet? N.
72. Genomförande av vissa straffrättsliga åtaganden för att förhindra och bekämpa terrorism. Ju.
73. En gemensam bild av bostadsbyggnadsbehovet. N.
74. Brottsdatalog – kompletterande lagstiftning. Ju.
75. Datalogring – brottsbekämpning och integritet. Ju.
76. Enhetliga priser på receptbelagda läkemedel. S.
77. En generell rätt till kommunal avtalssamverkan. Fi.
78. En sammanhållen budgetprocess. Fi.
79. Finansiering av public service – för ökad stabilitet, legitimitet och stärkt oberoende. Ku.

80. Stärkt integritet i Rättsmedicinalverkets verksamhet. Ju.
81. Rättslig översyn av skogsvårdslagstiftningen. N.
82. Vägledning för framtidens arbetsmarknad. A.
83. Brännheta skatter! Bör avfallsförbränning och utsläpp av kväveoxider från energiproduktion beskattas? Fi.
84. Uppehållstillstånd på grund av praktiska verkställighetshinder och preskription. Ju.
85. Rekrytering av framtidens domare. Ju.
86. Hyresmarknad utan svarthandel och otillåten andrahandsuthyrning. Ju.
87. Finansiering, subvention och prissättning av läkemedel – en balansakt. S.

Statens offentliga utredningar 2017

Systematisk förteckning

Arbetsmarknadsdepartementet

- Uppdrag: Samverkan. Steg på vägen mot fördjupad lokal samverkan för unga arbetslösa. [19]
- Ett arbetsliv i förändring – hur påverkas ansvaret för arbetsmiljön? [24]
- Ett nationellt centrum för kunskap om och utvärdering av arbetsmiljö. [28]
- Vägledning för framtidens arbetsmarknad. [82]

Finansdepartementet

- Karens för statsråd och statssekreterare. [3]
- Vägs katt. Volym 1 och 2. [11]
- Finansiering av infrastruktur med privat kapital? [13]
- digitalförvaltning.nu. [23]
- Delningsekonomi. På användarnas villkor. [26]
- Vissa frågor inom fastighets- och stämpel-skatteområdet. [27]
- En omreglerad spelmarknad. Del 1 och 2. [30]
- Kvalitet i välfärden – bättre upphandling och uppföljning. [38]
- Jakten på den perfekta ersättningsmodellen. Vad händer med medarbetarnas handlingsutrymme? [56]
- En generell rätt till kommunal avtalssamverkan. [77]
- En sammanhållen budgetprocess. [78]
- Brännheta skatter! Bör avfallsförbränning och utsläpp av kväveoxider från energiproduktion beskattas? [83]

Justitiedepartementet

- Se barnet! [6]
- Straffprocessens ramar och domstolens beslutsunderlag i brottmål – en bättre hantering av stora mål. [7]

- Att ta emot människor på flykt. Sverige hösten 2015. [12]
- Migrationsärenden vid utlandsmyndigheterna. [14]
- Om oskuldspresumtionen och rätten att närvara vid rättegången. Genomförande av EU:s oskuldspresumtionsdirektiv. [17]
- Brottsdatalog. [29]
- Stärkt konsumentskydd på bostadsrättmarknaden. [31]
- Stärkt ställning för hyresgäster. [33]
- Informationssäkerhet för samhällsviktiga och digitala tjänster. [36]
- Kvalificerad välfärdsbrottslighet – förebygga, förhindra, upptäcka och beivra. [37]
- Ny dataskyddslag. Kompletterande bestämmelser till EU:s dataskyddsförordning. [39]
- Meddelarskyddslagen – fler verksamheter med stärkt meddelarskydd. [41]
- Ny lag om företagshemligheter. [45]
- Stärkt ordning och säkerhet i domstol. [46]
- Så stärker vi den personliga integriteten. [52]
- En ny kamerabevakningslag. [55]
- Lag om flygpasageraruppgifter i brottsbekämpningen. [57]
- Amerikansk inresekontroll vid utresa från Sverige – så kan avtalen genomföras. [58]
- Villkorlig frigivning – förstärkta åtgärder mot återfall i brott. [61]
- Hyran vid nyproduktion – en utvärdering och utveckling av modellen med presumtionshyra. [65]
- Barnets rättigheter i ett straffrättsligt förfarande m.m. Genomförande av EU:s barnrättsdirektiv och två andra straffprocessuella frågor. [68]

Förstärkt skydd för uppgifter av betydelse för ett internationellt samarbete för fred och säkerhet som Sverige deltar i. [70]

Genomförande av vissa straffrättsliga åtaganden för att förhindra och bekämpa terrorism. [72]

Brottsdatalog – kompletterande lagstiftning. [74]

Datalogring – brottsbekämpning och integritet. [75]

Stärkt integritet i Rättshjälpverkets verksamhet. [80]

Upphållstillstånd på grund av praktiska verkställighetshinder och preskription. [84]

Rekrytering av framtidens domare. [85]

Hyresmarknad utan svarthandel och otillåten andrahandsuthyrning. [86]

Kulturdepartementet

Nästa steg? Förslag för en stärkt minoritetspolitik. [60]

Våldsbejakande extremism. En forskarantologi. [67]

Finansiering av public service – för ökad stabilitet, legitimitet och stärkt oberoende. [79]

Miljö- och energidepartementet

Kraftsamling för framtidens energi. [2]

Kunskapsläget på kärnavfallsområdet 2017. Kärnavfallet – en fråga i ständig förändring. [8]

Från värdekedja till värdecykel – så får Sverige en mer cirkulär ekonomi. [22]

Substitution i Centrum – stärkt konkurrenskraft med kemikaliesmarta lösningar. [32]

Ekologisk kompensation – Åtgärder för att motverka nettoförluster av biologisk mångfald och ekosystemtjänster, samtidigt som behovet av markexploatering tillgodoses. [34]

Vem har ansvaret? [42]

Kärnavfallsrådets yttrande över SKB:s Fud-program 2016. [62]

Miljötillsyn och sanktioner – en tillsyn präglad av ansvar, respekt och enkelhet. [63]

Näringsdepartementet

För Sveriges landsbygger – en sammanhållen politik för arbete, hållbar tillväxt och välfärd. [1]

Detaljplanekravet. [64]

Bostäder på statens mark – en möjlighet? [71]

En gemensam bild av bostadsbyggnadsbehovet. [73]

Rättslig översyn av skogsvårdslagstiftningen. [81]

Socialdepartementet

För en god och jämlik hälsa. En utveckling av det folkhälsopolitiska ramverket. [4]

Svensk social trygghet i en globaliserad värld. Del 1 och 2. [5]

Kvalitet och säkerhet på apoteksmarknaden. [15]

Läs mig! Nationell kvalitetsplan för vård och omsorg om äldre personer. Del 1 och 2. [21]

Samlad kunskap – stärkt handläggning. [25]

För dig och för alla. [40]

På lika villkor! Delaktighet, jämlikhet och effektivitet i hjälpmedelsförsörjningen. [43]

Nästa steg på vägen mot en mer jämlik hälsa. Förslag för ett långsiktigt arbete för en god och jämlik hälsa. [47]

Kunskapsbaserad och jämlik vård. Förutsättningar för en lärande hälso- och sjukvård. [48]

God och nära vård. En gemensam färdplan och målbild. [53]

Reglering av alkoglass m.fl. produkter. [59]

Dataskydd inom Socialdepartementets verksamhetsområde – en anpassning till EU:s dataskyddsförordning. [66]

Enhetliga priser på receptbelagda läkemedel. [76]

Finansiering, subvention och prissättning av läkemedel – en balansakt. [87]

Utbildningsdepartementet

Det handlar om oss.

– unga som varken arbetar eller studerar. [9]

Ny ordning för att främja god sed
och hantera oredlighet i forskning. [10]

En nationell strategi för validering [18]

Tillträde för nybörjare – ett öppnare och
enklare system för tillträde till hög-
skoleutbildning. [20]

Samling för skolan.

Nationell strategi för kunskap och
likvärdighet. [35]

Entreprenad, fjärrundervisning
och distansundervisning. [44]

EU:s dataskyddsförordning och
utbildningsområdet. [49]

Personuppgiftsbehandling
för forskningsändamål. [50]

Utbildning, undervisning och ledning
– reformvård till stöd för en bättre
skola. [51]

Fler nyanlända elever ska uppnå behörighet
till gymnasiet. [54]

Utrikesdepartementet

Sverige i Afghanistan 2002–2014. [16]

Marknadskontrollmyndigheter
– befogenheter och
sanktionsmöjligheter. [69]