

## Motion till riksdagen 2012/13:So368

av **Penilla Gunther (KD)**

# Finansiering av sÄrläkemedel för sÄllsynta sjukdomar

## Förslag till riksdagsbeslut

1. Riksdagen tillkÄnnager för regeringen som sin mening vad som anförS i motionen om att sÄllsynta och extremt sÄllsynta sjukdomar bör få en likalydande definition i Sverige som inom EU och tillerkÄnnas en sÄrskild status inom vården.
2. Riksdagen tillkÄnnager för regeringen som sin mening vad som anförS i motionen om att utreda möjligheten att finansiera behandlingar av sÄllsynta och extremt sÄllsynta sjukdomar solidariskt inom ramen för den nationella läkemedelsbudgeten.
3. Riksdagen tillkÄnnager för regeringen som sin mening vad som anförS i motionen om att utvärderingen av finansieringen av sÄrläkemedel bör bygga på relevanta faktorer som sÄllsynthet, innovationsgrad, effekt enligt kliniska studier, jämförelser med eventuella alternativ samt övergripande kostnader för vård och behandling.

## Motivering

Sveriges fokus på allas lika värde, behovssolidaritet och jämlikhet i vården krÄver en sammanhÄllen politik som sÄkerstÄller tillgÄng till behandlingar för personer som lider av sÄllsynta eller extremt sÄllsynta och livshotande sjukdomar. Utan tillgÄng till bästa och effektivaste behandlingsform eller läkemedel diskrimineras dessa patienter, sett i relation till bredare patientgrupper med vanligare sjukdomar.

En sÄllsynt sjukdom definieras inom EU som en sjukdom som drabbar högst fem av 10 000 personer, medan en extremt sÄllsynt sjukdom definieras som en som drabbar högst en per 50 000 personer. Denna klassificering ger bland annat en sÄrskild status när ett läkemedel utvärderas för framtida användningsområden inom EU. I vissa länder har klassificeringen också bety-

## Fel! Okänt namn på

delse vid utvärderingen av vilka kostnader den offentliga vården kan acceptera vid förskrivning. Ett likalydande förhållningssätt bör införas i Sverige.

Trots att de drabbade patientgrupperna ofta är små har dessa sjukdomar många gånger omfattande inverkan på patienterna. De påverkar också patienternas familjer och samhället i stort. Många sällsynta och extremt sällsynta sjukdomar är svårartade, kroniska och progressiva. De kännetecknas av smärta, funktionsnedsättning, svår organsvikt och förhöjd dödlighet. Grymt nog är det också vanligt att dessa sjukdomar i första hand drabbar nyfödda eller barn.

Utvecklingen inom läkemedelsforskningen erbjuder dock hopp för framtiden. För varje år kommer fler och fler läkemedel mot sällsynta och extremt sällsynta sjukdomar, ibland som ett resultat av ett genombrott efter mångårig forskning. För patienterna kan tillgången till dessa läkemedel betyda skillnaden mellan ett utdraget lidande på väg mot en säker död och ett fortsatt fullgott liv.

Dessvärre händer det att enskilda kliniker och landsting, eller centrala myndigheter, stoppar eller fördröjer den hjälp patienterna kan få eftersom de kan vara mycket ovilliga till att finansiera sådana läkemedel. Om inte läkemedel för behandling av sällsynta och extremt sällsynta sjukdomar finansieras solidariskt av staten, regionerna och landstingen finns det med nuvarande praxis stor risk att patienter drabbas på ett mycket drastiskt sätt. Sjukdomen kan förvärras eller leda till döden.

I dag är det bostadsorten och den enskilda läkaren som avgör om patienten får den bästa möjliga vården eller inte, eftersom olika landsting och regioner fattar olika beslut kring behandlingen av sällsynta och extremt sällsynta sjukdomar.

Det är särskilt allvarligt att den svenska utvärderingen av läkemedel för sällsynta och extremt sällsynta sjukdomar sker med samma modell för kostnadseffektivitet som används för läkemedel mot vanligare sjukdomar riktade mot bredare patientgrupper. Det är i grunden orimligt, eftersom kostnaden för utvecklingen av sär läkemedel måste bäras av en mindre patientgrupp än bredare folksjukdomar. Det kommer därför att vara svårt att visa på kostnadseffektivitet i traditionell bemärkelse.

Utvärderingen för sär läkemedels finansiering behöver därför kompletteras med fler faktorer:

1. sällsyntheten och allvaret i den enskilda sjukdomen
2. innovationsgrad i den erbjudna behandlingen
3. tillgång till alternativa behandlingar och dess effekter
4. klinisk effekt och fördelar med behandlingen, inklusive överlevnadsgrad eller påtaglig vinst i livslängd eller livskvalitet.

I grunden talar vi om behandlingar som är helt livsnödvändiga för att leva ett fullgott liv. Mot sällsynta och extremt sällsynta sjukdomar finns det sällan eller aldrig effektiva och tillgängliga alternativa behandlingar.

Kostnadsutvärderingen bör därutöver också ta hänsyn till den övergripande budgetpåverkan som förskrivningen av ett sär läkemedel till den aktuella patientgruppen innebär. Sär läkemedel står i dag bara för knappt en tredjedels

**Fel! Okänt namn på**

procent av hela den nationella hälso- och sjukvårdsbudgeten. Samtidigt vet vi att dessa behandlingar, förutom att ge stor nytta till patienterna, också kan ha potential att ge oss nya verktyg för att bota många, många fler sjukdomar i framtiden.

Branschorganisationen Läkemedelsindustriföreningen (LIF) har efterfrågat en nationell läkemedelsstrategi för sällsynta sjukdomar. Den är på väg att utarbetas och där väntas finansiering för behandling av sällsynta och extremt sällsynta sjukdomar ingå.

I vad som hitintills framkommit finns dock inga accepterade hälsoekonomiska modeller för sällsynta och extremt sällsynta sjukdomar. Till exempel är patientpopulationen och mängden data begränsad. Dessa sjukdomar har generellt en hög kostnad per ökat levnadsår, vilket innebär att dagens vedertagna modeller för beräkning av kostnadseffektivitet inte är tillämpbara. Andra principer som patientens behov, sjukdomens sällsynthet och svårighetsgrad bör i stället beaktas i utvärderingen av sÄrläkemedlen.

Det är således rimligt att utreda möjligheten att finansiera behandlingar av sällsynta och extremt sällsynta sjukdomar solidariskt inom ramen för den nationella läkemedelsbudgeten. Patienten ska inte göras beroende av den klinik eller det landsting som finns där man bor. Detta bör ges regeringen tillkänna.

Stockholm den 3 oktober 2012

*Penilla Gunther (KD)*