

Värdefullt men inte fullvärdigt

Om nyttan med hälsoekonomiska
bedömningar av klinikläkemedel



Citera gärna ur Vårdanalys rapporter,
men ange alltid källa.

Rapporten finns även publicerad
på www.vardanalys.se

Beställning av Vårdanalys tryckta rapporter:
registrator@vardanalys.se
Box 6070, 102 31 Stockholm

© Myndigheten för vårdanalys

Grafisk Design och produktion: Les Creatives Sthlm

Omslagsbild: Thinkstockphotos

Tryck: TMG Sthlm, Stockholm 2014

ISBN 978-91-87213-26-7

Värdefullt men inte fullvärdigt

Om nyttan med hälsoekonomiska
bedömningar av klinikläkemedel

Beslut om denna rapport har fattats av Myndigheten för vårdanalys styrelse. Utredaren Åsa Ljungvall har varit föredragande. I den slutliga handläggningen har analyschefen Christofer Montell deltagit.

Stockholm 2014-03-12
Myndigheten för vårdanalys

Eva Lindström
Styrelseordförande

Anders Anell
Vice ordförande

Karin Tengvald
Styrelseledamot

Åsa Ljungvall
Föredragande

Fredrik Lennartsson
Myndighetschef



Förord

Genom att bedöma vilka läkemedel som ger mest valuta för pengarna, det vill säga, är kostnadseffektiva, kan hälsoekonomiska utvärderingar ge värdefull information inför beslut i vården. I Sverige bedömer Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) kostnadseffektiviteten när företag ansöker om att ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånen. Men för läkemedel som används inom slutenvården, även kallade klinikläkemedel, har TLV tidigare inte gjort sådana bedömningar. För att hälso- och sjukvårdens resurser ska kunna utnyttjas ändamålsenligt och kostnadseffektivt är det viktigt att det finns tillförlitliga kunskapsunderlag även för klinikläkemedel.

I november 2010 fick TLV i uppdrag av regeringen att etablera en försöksverksamhet kring hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel. Målet var mer kunskapsbaserad och likvärdig läkemedelsanvändning. Ansvaret för att välja ut läkemedel för bedömningen gavs till Nya läkemedelsterapier (NLT), en nationell samverkansgrupp inom Sveriges Kommuner och Landsting, som också publicerar rekommendationer till landstingen kring läkemedelsanvändningen baserat på TLV:s hälsoekonomiska utvärdering.

Myndigheten för vårdanalys har fått i uppdrag av regeringen att utvärdera nyttan med dessa hälsoekonomiska utvärderingar. I augusti 2013 lämnades en delrapport (Myndigheten för vårdanalys 2013) med fokus på effektiviteten i processerna kopplade till de hälsoekonomiska utvärderingarna. I den här slutrapporten redovisar vi en sammantagen bedömning av nyttan med att göra hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel. Eftersom klinikläkemedelsprojektet är en försöksverksamhet under kontinuerlig utveckling belyser rapporten verksamheten så som den har sett ut och utvecklats hittills.

Samtidigt som vi pekar på att hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel kan skapa värde, konstaterar vi att det finns en stor förbättringspotential, och rapporten ger förslag på hur verksamheten kan utvecklas vidare.

Arbetet har letts av utredaren Åsa Ljungvall. I projektgruppen har även Thomas Eriksson och Joakim Ramsberg ingått. En central del i arbetet har varit intervjuer med företrädare för TLV, NLT, patientorganisationer, landsting och läkemedelsindustrin. Vi vill tacka de personer som vi har intervjuat och som har bidragit till vårt arbete. Till projektet har en referensgrupp varit kopplad bestående av Marie Andersson (Melanomföreningen), Britta Berglund (Riksförbundet Sällsynta diagnoser), Katarina Steen Carlsson (Institutet för hälso- och sjukvårdsekonomi och Lunds universitet), Claes Lagerstedt (Region Halland), Nils Wilking (Region Skåne) och Olle Melinder (MSD). Vi tackar referensgruppen för viktiga synpunkter och bidrag till arbetet.

Vi hoppas genom denna rapport kunna bidra till den fortsatta utvecklingen av processen för hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel.

Stockholm i april 2014

Fredrik Lennartsson
Myndighetschef

Förkortningar

BRO	Bröstcancerföreningarnas Riksorganisation
ELIS	Effektiviserad läkemedelsupphandling i samverkan
EMA	Europeiska läkemedelsmyndigheten
LIF	Läkemedelsindustriföreningen
NLT	Nya Läkemedelsterapier
SKL	Sveriges Kommuner och Landsting
TLV	Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket
OtIS	Ordnat införande i samverkan

Sammanfattning

Myndigheten för vårdanalys (Vårdanalys) har fått i uppdrag av regeringen (S2012/3857/FS) att utvärdera nyttan av hälsoekonomiska utvärderingar av läkemedel som används i slutenvården (så kallade klinikläkemedel). I delrapporteringen av uppdraget utvärderades ändamålsenlighet och effektivitet i processerna som är kopplade till de hälsoekonomiska utvärderingarna (Myndigheten för vårdanalys 2013). Den här rapporten utgör slutredovisningen av uppdraget och innehåller vår sammantagna bedömning av nyttan med hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel.

BAKGRUND

Syftet med en hälsoekonomisk utvärdering är att bedöma om en viss behandlingskostnad står i rimlig relation till dess nytta, det vill säga om behandlingen är kostnadseffektiv. Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) gör hälsoekonomiska utvärderingar av läkemedel som förskrivs på recept i samband med att läkemedelsföretag ansöker om att ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånen. För klinikläkemedel har det inte tidigare gjorts någon motsvarande bedömning av kostnadseffektiviteten. Därför bedriver TLV på uppdrag av regeringen (S2010/8066/HS) sedan början av 2011 en försöksverksamhet inom ramen för det så kallade klinikläkemedelsprojektet, där myndigheten genomför hälsoekonomiska utvärderingar även av klinikläkemedel.

TLV:s hälsoekonomiska utvärdering resulterar i ett kunskapsunderlag där utvärderingen redovisas. Förutom TLV är Nya Läkemedelsterapigruppen (NLT), en grupp inom Sveriges Kommuner och Landsting (SKL), en viktig aktör i processerna kring de hälsoekonomiska utvärderingarna. NLT initierar processen genom att avgöra vilka läkemedel som ska genomgå en hälsoekonomisk utvärdering. Därefter tar TLV vid, begär in underlag från det

berörda läkemedelsföretaget och skapar ett hälsoekonomiskt kunskapsunderlag. Utifrån kunskapsunderlagen uttalar sig sedan NLT om huruvida de rekommenderar landstingen att läkemedlet ska användas eller inte. I vissa fall för NLT en prisdiskussion med det aktuella läkemedelsföretaget innan de ger en rekommendation. Prisdiskussionen sker i de fall då läkemedlet inte bedöms vara kostnadseffektivt till det pris som läkemedelsföretaget har angivit till TLV i underlaget till den hälsoekonomiska utvärderingen. Avslutningsvis är det sedan upp till varje landsting att besluta om och hur läkemedlet ska användas, sluta avtal med företagen, introducera läkemedlet i sjukvården och erbjuda patienterna behandling.

Vårdanalys uppdrag att utvärdera nyttan med hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel omfattar TLV:s hälsoekonomiska utvärderingar och de delar som NLT deltar i (initiering och rekommendation). TLV och NLT är separata organisationer och ligger bakom olika delar av processen. Men bådas delar utgör väsentliga inslag i processerna kring de hälsoekonomiska utvärderingarna. Försättningsvis definierar vi klinikläkemedelsprojektet som både NLT:s och TLV:s delar, från att NLT initierar processen till att de lämnar en rekommendation. Vi analyserar även mottagandet och användningen av underlag och rekommendationer i vården och bland andra intressenter.

RESULTATEN I KORTHET

På de kommande två sidorna redovisas de frågeställningar som specificeras i regeringsuppdraget samt en kortfattad sammanställning av våra resultat för respektive frågeställning, gällande både delrapporten och slutrapporten. Analyserna bygger på flera olika källor. Vi har bland annat intervjuat patientföreträdare, landstingens läkemedelschefer, läkemedelsföretag, TLV och NLT, och vi har genomfört en enkätundersökning bland landets verksamhetschefer inom onkologi. För att belysa regionala skillnader i läkemedelsanvändning har vi använt försäljningsstatistik för de läkemedel som har ingått i klinikläkemedelsprojektet. Vi har även gjort en internationell utblick där vi har undersökt hur andra länder arbetar med hälsoekonomiska utvärderingar av läkemedel. Det är viktigt att ha i åtanke att de svar som framkommer i våra intervjuer och i enkäten, avspeglar respondenternas uppfattning, men inte nödvändigtvis uppfattningen hos exempelvis andra landstingsföreträdare eller patientorganisationer.

Slutrapportens frågeställningar och sammanfattande resultat

Värdera vilken nytta de hälsoekonomiska bedömningarna av rekvisitionsläkemedel har inneburit för de olika intressenterna och då framförallt för patienterna och landstingen

Patientföreträdare anser att verksamheten fördröjer tillgången till nya läkemedel. De är kritiska till processerna och anser inte att skillnader i tillgång till läkemedel mellan landsting hitintills har minskat i och med klinikläkemedelsprojektet. Läkemedelschefer anser att kunskapsunderlagen och rekommendationerna svarar mot ett behov som finns och att de är användbara som beslutsunderlag.

Analysera hur sjukvårdshuvudmännen använder kunskapsunderlagen och hur underlagen implementeras hos sjukvårdshuvudmännen

Kunskapsunderlagen och rekommendationerna används som beslutsunderlag i landstingens ordnade införande-processer där sådana finns. På andra ställen vidarebefordras de till relevant verksamhetschef som kan använda dem i sitt arbete.

Belysa hur sjukvårdshuvudmännen använder bedömningarna i upphandlingen av läkemedel till slutenvården

Kunskapsunderlagen har använts i stor utsträckning i de nationella prisdiskussioner som skett för några läkemedel. För andra läkemedel används de i viss utsträckning vid landstingens inköp av läkemedlen.

Utvärdera om försöksverksamheten har lett till bättre utnyttjande av existerande resurser för kunskapsvärdering genom att hälsoekonomiska bedömningar görs av en nationell myndighet och inte av de olika sjukvårdshuvudmännen

Ja. Landstingen gjorde generellt sett inte hälsoekonomiska utvärderingar på egen hand förut. Det är positivt att utvärderingarna genomförs på nationell nivå och det är ändamålsenligt att använda TLV:s expertis till detta.

Utvärdera NLT-gruppens rekommendationer som utgår från TLV:s kunskapsunderlag

Landstingen tycker att rekommendationerna är värdefulla, och vi uppfattar att rekommendationen ökar den upplevda nyttan av den hälsoekonomiska utvärderingen. Vi bedömer därför att det även i fortsättningen bör finnas en rekommendation. Men det saknas insyn i NLT:s arbete och hur rekommendationerna tas fram. NLT menar att de ger en rekommendation som är i linje med TLV:s beslut om det hade rört sig om en ansökan inom läkemedelsförmånen, men vi anser att det ofta saknas referenser till tidigare beslut, den etiska plattformen och relevanta studier.

Utvärdera livslängden för kunskapsunderlagens tillförlitlighet och träffsäkerhet i TLV:s kunskapsunderlag och rekommendationer

Livslängden beror på om förutsättningarna för läkemedlet förändras, och i vilken grad detta sker varierar från läkemedel till läkemedel. I vissa fall är livslängden kort på grund av snabb utveckling av nya behandlingsmetoder. Träffsäkerheten beror på hur väl det underliggande underlaget avspeglar den verkliga kliniska situationen, och kan ökas genom uppföljning och uppdatering i de fall då den modellerade situationen avviker från den kliniska vardagen.

Analysera om kunskapsunderlagen leder till en mer jämlik vård mellan och inom landsting

Vår samlade bedömning är att klinikläkemedelsprojektet har större möjlighet att påverka skillnader mellan landsting än skillnader mellan befolkningsgrupper. Kunskapsunderlagen förbättrar förutsättningarna för, men garanterar inte, en mer jämlik vård. Patienterna upplever stora regionala skillnader i läkemedelsanvändningen även för de läkemedel som genomgått klinikläkemedelsprojektet, vilket också befintlig försäljningsstatistik indikerar. Det är ännu för tidigt att uttala sig om mer långsiktiga effekter på regionala skillnader.

Delrapportens frågeställningar och sammanfattande resultat

Har initieringsprocessen från NLT samordnats och prioriterats på ett effektivt sätt?

Samordning och kommunikation med TLV fungerar bra, men det är otydligt hur de läkemedel som ska genomgå hälsoekonomisk utvärdering har valts ut. NLT menar att de initialt inom ramen för försöksverksamheten valde att prova olika typer av läkemedel, men deras uppfattning är att i princip alla nya klinikläkemedel som har potential att påverka sjukvården (exempelvis genom stor budgetpåverkan eller en ny behandlingsmöjlighet för en viss patientgrupp) har inkluderats i takt med att verksamheten har utvecklats. För den utomstående är det dock oklart vilka principer som ligger till grund för det urval av läkemedel som har ingått i klinikläkemedelsprojektet, och både patientorganisationer och läkemedelsföretag ställer sig frågande till hur urvalet görs.

Handläggningstidernas längd

Handläggningstiderna har förkortats sedan starten av klinikläkemedelsprojektet då de var 10–20 månader, men de är fortfarande för långa. I praktiken tar det åtminstone åtta månader från det att TLV påbörjar den hälsoekonomiska utvärderingen till det att NLT ger en rekommendation, och det finns fortfarande fall där processen inte är avslutad trots att det gått mer än ett år.

Har TLV fått tillgång till det material från läkemedelsindustrin som myndigheten behöver?

Samtliga tillfrågade läkemedelsföretag har ställt upp och lämnat in det efterfrågade materialet. Ibland krävs större eller mindre tidskrävande kompletteringar under utredningens gång.

Kvaliteten på det från industrin inhämtade underlaget och TLV:s beräkningar av kostnads-effektivitet

Materialet som läkemedelsföretagen tillhandahåller håller i allmänhet hög kvalitet. Även TLV:s kunskapsunderlag håller överlag hög kvalitet där TLV på ett tydligt och strukturerat sätt redovisar den hälsoekonomiska utvärderingen. TLV identifierar de mest väsentliga områdena och fokuserar sedan på dessa i analysen. Kunskapsunderlagen är relativt utförliga, vilket är ett steg framåt i riktningen mot ökad transparens kring hälsoekonomiska utvärderingar. Men det finns utrymme för ytterligare utveckling, exempelvis vad gäller arbetet med kliniska experter, en mer konsekvent beräkning och redovisning av indirekta kostnader och presentation av osäkerhetsfaktorer i analysen.

NLT:s kommunikation och rekommendationer av kunskapsunderlag med landstingen

Det saknas insyn i hur rekommendationerna tas fram och motiveras. Det saknas också insyn i NLT:s eventuella prisdiskussion med läkemedelsföretagen och av landstingens bedömning av det resulterande avtalserbjudandet. Underlag och beslutsprotokoll finns inte tillgängligt. NLT:s kommunikation av rekommendationen till landstingen är däremot öppen och sker genom ett dokument som publiceras på NLT:s hemsida.

Hur ser företagen på TLV:s arbete och nyttan med de kunskapsunderlag som myndigheten presenterar. Vilka kostnader är förknippade med framtagandet av materialet för läkemedelsföretagen?

Läkemedelsföretagen är positiva till att klinikläkemedel utvärderas hälsoekonomiskt och anser att TLV:s arbete håller god kvalitet. Men de är kritiska till bland annat TLV:s hantering av avvikande åsikter, TLV:s val av experter och avsaknaden av möjlighet att överklaga. De är i grunden positiva till möjligheten till nationell prisdiskussion, men upplever att diskussioner därefter fortfarande måste föras med de enskilda landstingen. Kostnaden för framtagandet av underlaget är jämförbar med ansökan till TLV (upp till några miljoner kronor).

SLUTSATSER

Snabb tillgång till bra läkemedel, oberoende av bostadsort eller landstingstillhörighet, är centralt ur ett patientperspektiv. Vidare är det ur patientperspektivet viktigt att beslutsprocessen kring introduktion och användning av klinikläkemedel är transparent.

Det finns positiva aspekter av klinikläkemedelsprojektet. Det är värdefullt att genomföra hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel på nationell nivå. TLV:s expertkunskaper har kommit till användning på ett bra sätt och läkemedelsföretagen har bidragit med material som har möjliggjort de hälsoekonomiska utvärderingarna. Landstingen anser att det är värdefullt att få en rekommendation kopplad till det hälsoekonomiska kunskapsunderlaget.

Samtidigt finns det stora brister i klinikläkemedelsprojektet som gör att nyttan av de hälsoekonomiska utvärderingarna minskar. Strukturen och processerna kring utvärderingarna fungerar inte bra. NLT:s arbete brister i transparens och faller utanför offentlighetsprincipens och den etiska plattformens ramar. Vi anser därför att NLT:s nuvarande konstruktion och arbetssätt inte lever upp till de krav som bör ställas på en verksamhet som hanterar viktiga läkemedelsfrågor, påverkar prioriteringar i vården samt ansvarar för stora ekonomiska värden.

Även patientinvolveringen i processerna kan förbättras, och de hälsoekonomiska utvärderingarna kan utvecklas för att förbättra användbarheten och trovärdigheten. Vår utvärdering identifierar tre övergripande viktiga förbättringsområden.

► *Processerna brister i transparens och förutsägbarhet*

Vikten av transparens och förutsägbarhet lyfts fram i vår utvärdering och framhålls av patientföreträdare, landsting och läkemedelsföretag. Med transparens avser vi här möjligheten till insyn och öppenhet i processerna, medan förutsägbarhet avser möjligheten att på förhand kunna bedöma vad som kommer att hända. Vad gäller transparens finns det brister i flera delar av processerna:

- Det är oklart hur de läkemedel som har ingått i klinikläkemedelsprojektet har valts ut och det saknas utvecklade resonemang kring motiven till NLT:s rekommendationer.
- Det saknas insyn i hur NLT:s medlemmar tillsätts, på vilka grunder detta sker, hur länge mandatet för ledamöter sträcker sig, och utöver den kortfattade rekommendationen går det inte att ta del av NLT:s arbete.

- Det saknas insyn i hur NLT:s prisdiskussioner går till, både vad gäller vem som står för diskussionen, vilka parametrar i TLV:s kunskapsunderlag som har diskuterats och vad diskussionerna har resulterat i.
- TLV:s kunskapsunderlag är omfattande, vilket bidrar till transparens. Däremot kräver kunskapsunderlagen stora förkunskaper och är svåra att ta till sig för ovana läsare av hälsoekonomiska analyser, vilket gör att transparensen i betydelsen förståelse för vad som sker i den hälsoekonomiska utvärderingen likväl uteblir.
- Det saknas insyn i hur landstingen ställer sig till NLT:s rekommendation, om de väljer att följa den eller inte och vilka motiv som ligger till grund för landstingens beslut. Modellen med en nationell rekommendation och beslut i landstingen utan uttalade ställningstagande till rekommendationen från landstingens sida gör att det blir ottydligt var beslutet egentligen tas och av vem. Det är landstingen som formellt sett fattar beslut om läkemedelsanvändningen, men NLT:s rekommendation kan ha en stor påverkan på beslutet.

Bristande förutsägbarhet innefattar bland annat att det saknas tydliga strukturer för vilka läkemedel som är på väg in i klinikläkemedelsprojektet, när en rekommendation ska komma och vilka läkemedel som prisdiskuterar på nationell nivå. Vi anser även att informationsspridningen och kommunikationen är knapphändig, vilket skapar oklarheter och ineffektivitet. Det finns till exempel ingen samordnad beskrivning av, och inga tydliga tidsramar för, processerna.

► *De långa handläggningstiderna kan fördröja tillgången till nya läkemedel*

Långa handläggningstider riskerar att försena införandet av läkemedel som potentiellt kan rädda liv. Sedan starten av klinikläkemedelsprojektet har handläggningstiderna förkortats en del, men vi anser att de fortfarande är för långa. Det är svårt att veta när och i vilken utsträckning som patienter hade fått tillgång till de läkemedel som nu har ingått i klinikläkemedelsprojektet om klinikläkemedelsprojektet inte hade funnits. Men de långa handläggningstiderna innebär med stor sannolikhet en fördröjd introduktion av flera av de aktuella läkemedlen. Utmaningen är att skapa en process med bibehållen kvalitet på underlagen, men som också innebär att patienter får tillgång till bra läkemedel snabbare än i dagens process.

► *Ofta begränsade möjligheter för olika ståndpunkter att komma till tals*

Vi bedömer att det i dagsläget finns begränsade möjligheter för olika ståndpunkter att komma till tals och beaktas i utvärderingarna, och att patientinvolveringen i processerna kring de hälsoekonomiska utvärderingarna är bristfällig. Patientorganisationer bjuds in till informations- och diskussionsträffar med TLV och NLT två gånger per år, men patientinvolvering saknas vid handläggning av respektive läkemedel. TLV:s hälsoekonomiska utvärderingar och NLT:s påföljande rekommendationer kan ha stor inverkan på de patienter som blir berörda, men patienter eller patientorganisationer har ingen tydlig roll i processen. TLV:s och NLT:s möten är stängda och det finns ingen möjlighet att överklaga eller ompröva varken TLV:s kunskapsunderlag eller NLT:s rekommendationer. Vi anser att detta resulterar i att patienterna har små möjligheter till delaktighet.

Olika intressenter, eller olika personer inom samma intressegrupp, kan ha olika ståndpunkter gällande någon aspekt eller tolkning i den hälsoekonomiska utvärderingen. Exempelvis kan patientorganisationer ha en annan ståndpunkt i något eller flera avseenden än den som avspeglas i TLV:s kunskapsunderlag. Vidare kan två experter inom samma område ha olika uppfattning om exempelvis hur resultaten från en medicinsk studie ska tolkas, och den kliniska situationen kan skilja sig mellan olika landsting och kliniker. Eftersom värderingar och tolkningar kan skilja sig åt är det värdefullt att ta hänsyn till olika ståndpunkter. Det ökar sannolikheten att beskrivningen i det hälsoekonomiska underlaget är, och uppfattas som, en korrekt avspeglning av verkligheten. Legitimiteten för ett beslut eller en process kan öka om olika ståndpunkter får möjlighet att föras fram.

FÖRSLAG TILL FORTSATT UTVECKLING

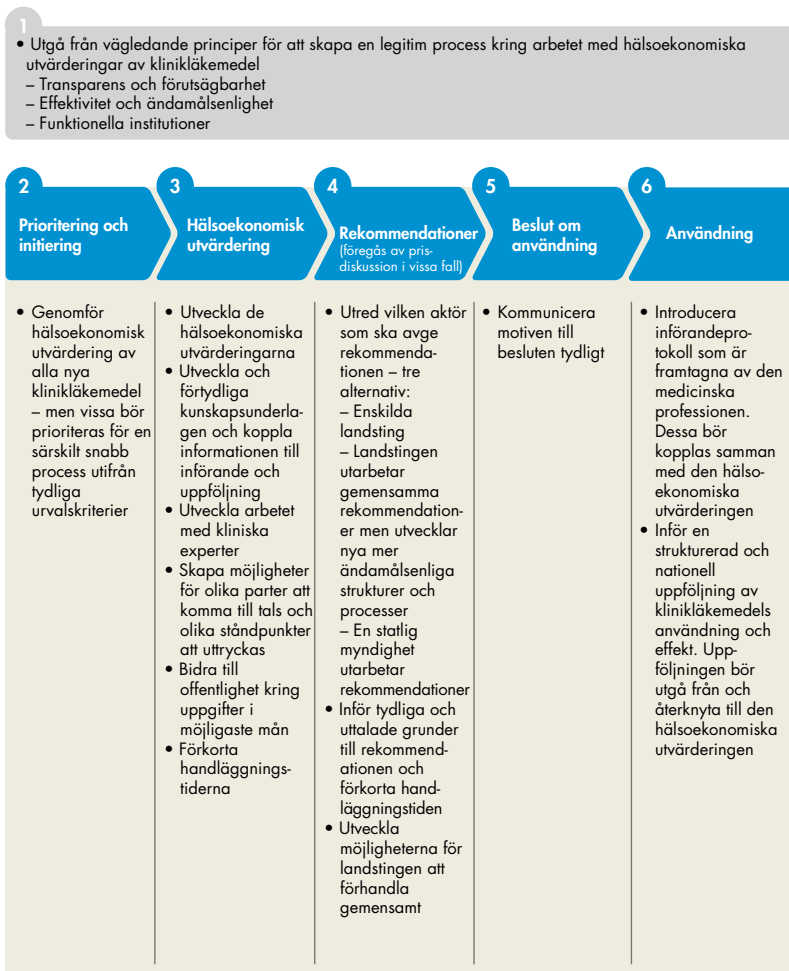
Våra utgångspunkter är att TLV bör fortsätta att genomföra hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel, och att processerna kring klinikläkemedelsprojektet behöver utvecklas.

Figuren på nästa sida sammanfattar våra förslag till fortsatt utveckling, och kapitel 4 innehåller en omfattande diskussion om förslagen. Förslagen är indelade i sex områden som följer processen för utvärderingar av klinikläkemedel, från initiering av den hälsoekonomiska utvärderingen till att läkemedlet används i sjukvården.

Några av förslagen kan implementeras i den nuvarande verksamheten relativt omgående, och för en del av dessa pågår det redan ett visst utvecklingsarbete.



Andra förslag syftar till att belysa olika mer långsiktiga handlingsalternativ och på så vis också diskutera några av de utmaningar som finns inbyggda i verksamheten. Dessa förslag innebär potentiellt större förändringar av den nuvarande verksamheten och kräver fortsatt analys och utredning innan de kan beslutas och implementeras. Vi bedömer att det även i fortsättningen i idealfallet ska finnas en rekommendation kopplad till den hälsoekonomiska utvärderingen, men en fråga som behöver lösas är vilken aktör som ska avge rekommendationen.



Bättre förutsättningar för en mer kunskapsstyrd och likvärdig läkemedelsanvändning

Innehåll

1 Inledning	21
1.1 Varför ett klinikläkemedelsprojekt?.....	21
1.2 Vårdanalys har regeringens uppdrag att utvärdera klinikläkemedelsprojektet	24
1.3 Delrapporten fokuserade på effektiviteten i de processer som är kopplade till klinikläkemedelsprojektet.....	25
1.4 Slutrapporten fokuserar på användningen och nyttan av TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer	26
1.5 Huvudsakligen kvalitativ metod för att besvara slutrapportens frågeställningar	27
1.6 Pågående utveckling av processerna kring klinikläkemedelsprojektet och inom läkemedelsområdet.....	29
1.7 Avgränsningar.....	30
1.8 Referensgrupp och kvalitetssäkring.....	30
1.9 Rapportens disposition.....	31
2 Resultat	35
2.1 Vilken nytta har de hälsoekonomiska utvärderingarna av klinikläkemedel inneburit för patienter och landsting?	35
2.2 Hur används TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer i landstingen?.....	44
2.3 Hur används TLV:s kunskapsunderlag i upphandling av läkemedel till slutenvården?.....	48
2.4 Har försöksverksamheten lett till bättre utnyttjande av existerande resurser för kunskapsvärdering?.....	50
2.5 Utvärdering av NLT:s rekommendationer.....	50
2.6 Kunskapsunderlagets träffsäkerhet och livslängd	60

2.7 Analys av om kunskapsunderlagen leder till en mer jämlik vård mellan och inom landsting	64
3 Slutsatser	77
3.1 Det är värdefullt att genomföra häsekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel... ..	77
3.2 ... men flera områden är viktiga att utveckla för en fungerande verksamhet.....	81
4 Förslag till fortsatt utveckling	89
4.1 En del förändringar är relativt lätta att implementera, men det finns också svårlösta frågor som kräver ytterligare analys.....	89
4.2 Avslutande reflektioner.....	105
5 Referenser	111
Bilagor	117
Bilaga 1 Sammanställning av läkemedel som ingått i klinikläkemedelsprojektet	117
Bilaga 2 Intervjupersoner.....	121
Bilaga 3 Svarsfrekvenser enkätundersökning	123



Inledning

1.1 VARFÖR ETT KLINIKLÄKEMEDELSPROJEKT?

Hälsoekonomiska utvärderingar syftar till att bedöma om en viss behandling har en rimlig relation mellan hälsovinsten och kostnaden, eller med andra ord, om behandlingen är kostnadseffektiv. Sådan kunskap ger ett bättre underlag för att välja mellan olika alternativa behandlingar (exempelvis läkemedel), vilket bidrar till att skapa förutsättningar för bästa möjliga användning av sjukvårdens resurser. Målet med att använda hälsoekonomiska utvärderingar är inte att spara pengar, utan att använda sjukvårdens tillgängliga resurser på ett sätt som ger så mycket hälsa som möjligt åt befolkningen.

För läkemedel som förskrivs på recept och hämtas ut av patienter på apotek har Sverige en utvecklad modell för att bedöma vilka läkemedel som är kostnadseffektiva. På det området gör Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) sedan drygt tio år tillbaka hälsoekonomiska utvärderingar. Utvärderingarna ligger till grund för TLV:s beslut om läkemedlen ska ingå i läkemedelsförmånen och därigenom subventioneras av staten.

För läkemedel som används inom slutenvården, så kallade klinikläkemedel, har det i Sverige inte tidigare gjorts någon motsvarande bedömning av kostnadseffektiviteten på nationell nivå. Läkemedelsförmånen omfattar inte klinikläkemedel som inte förskrivs på recept, och därför genomgår klinikläkemedel inte processen med hälsoekonomiska utvärderingen hos TLV. Det är landstingen i egenskap av sjukvårdshuvudmän som beslutar om inköp av klinikläkemedel, men inte heller de enskilda landstingen har utvärderat läkemedlens kostnadseffektivitet i någon betydande omfattning. Om inte klinikläkemedels kostnadseffektivitet utvärderas uppstår risker för att sjukvårdens resurser inte används optimalt. Att det görs en hälsoekonomisk utvärdering av receptläkemedel men inte av klinikläkemedel medför även att läkemedel kan komma att bedömas på olika grunder beroende på om användningen är i öppen- eller slutenvården.

Mot bakgrund av detta bedriver TLV på uppdrag av regeringen



(S2010/8066/HS) sedan början av 2011 en försöksverksamhet inom ramen för det så kallade klinikläkemedelsprojektet, där myndigheten genomför hälsoekonomiska bedömningar även av klinikläkemedel. Detta innebär inte att klinikläkemedel ingår i läkemedelsförmånen, och TLV fattar inga beslut om subvention inom ramen för klinikläkemedelsprojektet. Istället resulterar TLV:s arbete i ett kunskapsunderlag där den hälsoekonomiska utvärderingen redovisas. Några av de utfall som klinikläkemedelsprojektet förväntades bidra till är bättre underlag för kliniska beslut, större transparens kring läkemedels kostnadseffektivitet och priser, samt en mer kunskapsstyrd och likvärdig läkemedelsanvändning i hela landet.

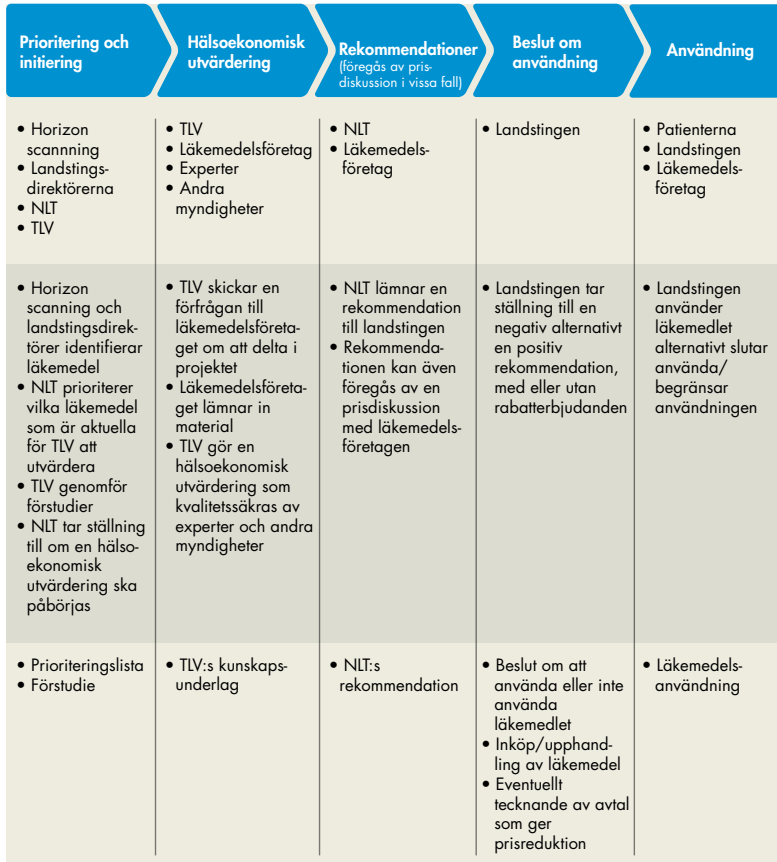
Till klinikläkemedelsprojektet kopplades även Sveriges Kommuner och Landsting (SKL). Inom SKL fanns sedan tidigare gruppen Nya Läkemedelsterapier (NLT) som hade till uppgift att värdera och ge rekommendationer om nya läkemedelsterapier. I NLT ingår 10–15 ledamöter som är utsedda att representera sjukvårdsregionerna och relevant expertis, inklusive hälsoekonomi. När klinikläkemedelsprojektet startade fick NLT i uppgift att välja ut vilka läkemedel som ska genomgå en hälsoekonomisk utvärdering och att utifrån TLV:s kunskapsunderlag, rekommendera landstingen om det aktuella läkemedlets användning.

TLV och NLT är separata organisationer och ligger bakom olika delar av processen. Men bådas delar utgör väsentliga inslag i processerna kring de hälsoekonomiska utvärderingarna. Fortsättningsvis definierar vi klinikläkemedelsprojektet som både NLT:s och TLV:s delar, från att NLT initierar processen till att de lämnar en rekommendation. Vår analys inkluderar även mottagandet och användningen av underlag och rekommendationer i vården och bland andra intressenter.

Figur 1 sammanfattar hur klinikläkemedelsprojektet fungerar. NLT initierar processen genom att avgöra vilka läkemedel som ska genomgå en hälsoekonomisk utvärdering. I detta arbete använder sig NLT bland annat av horizon scanning-verksamheten. Horizon scanning innebär att nya läkemedel identifieras omkring 2–3 år före ett godkännande, och för dessa bedöms konsekvenserna för sjukvården om läkemedlet blir godkänt. Horizon scanning tar bland annat fram tidiga bedömningsrapporter med en genomgång av de mest betydelsefulla kommande läkemedlen.

När NLT har bestämt att ett läkemedel ska utvärderas tar TLV vid och begär in hälsoekonomiska underlag från de berörda läkemedelsföretagen, bedömer tillförlitligheten i dem och sammanställer ett kunskapsunderlag med den hälsoekonomiska utvärderingen. Kunskapsunderlagen publiceras på TLV:s hemsida och är fritt åtkomliga för alla intresserade att ta del av, men vissa

Figur 1. Sammanfattande beskrivning av processerna kring de hälsoekonomiska utvärderingarna.



Källa: Myndigheten för vårdanalys 2013.

delar av kunskapsunderlagen kan vara utelämnade på grund av sekretess. Utifrån kunskapsunderlagen uttalar sig sedan NLT om ifall de rekommenderar landstingen att läkemedlet ska användas eller inte. I vissa fall för NLT en prisdiskussion med det aktuella läkemedelsföretaget innan de ger en rekommendation. Detta sker om läkemedlet inte bedöms vara kostnads-effektivt till det pris som läkemedelsföretaget har angivit till TLV i underlaget till den hälsoekonomiska utvärderingen.

Avslutningsvis är det upp till varje landsting att besluta om och hur läkemedlet ska användas, sluta avtal med företagen, introducera läkemedlet i sjukvården och erbjuda patienterna behandling. Eftersom rekommendationen inte är bindande kan landstingen förhålla sig till den så som de önskar.

Fram till och med mars 2014 har TLV publicerat 23 kunskapsunderlag och NLT har publicerat 16 rekommendationer inom ramen för klinikläkemedelsprojektet. Sex av rekommendationerna berör cancerläkemedel, fyra gäller läkemedel för ögonåkommor, ett är ett influensavaccin till barn och övriga berör bland annat reumatiska diagnoser och njurtransplantationspatienter. Även om projektet benämns klinikläkemedelsprojektet är det inte enbart läkemedel som ges inom slutenvården som har ingått. Några läkemedel som har ingått i klinikläkemedelsprojektet är förskrivningsläkemedel som även har bedömts inom läkemedelsförmånen (exempelvis Adcetris) och i vissa fall fått avslag på ansökan om subvention (exempelvis Zytiga).

Eftersom NLT:s rekommendationer bygger på TLV:s kunskapsunderlag är rekommendationerna färre än kunskapsunderlagen. För tre av läkemedlen med kunskapsunderlag har det dock dröjt över ett år utan en rekommendation från NLT. Bilaga 1 listar samtliga läkemedel som fram till och med mars 2014 genomgått en hälsoekonomisk utvärdering inom ramen för klinikläkemedelsprojektet. Bilagan anger även datum för när det europeiska läkemedelsverket (EMA) godkände läkemedlet för marknadsföring, när TLV publicerade sitt kunskapsunderlag, när NLT kom med en rekommendation samt ungefärlig läkemedelskostnad och den beräknade kostnaden för ett vunnet kvalitetsjusterat levnadsår.

1.2 VÅRDANALYS HAR REGERINGENS UPPDRAG ATT UTVÄRDERA KLINIKLÄKEMEDELSPROJEKTET

Myndigheten för vårdanalys (Vårdanalys) har fått i uppdrag av regeringen (S2012/3857/FS) att utvärdera nyttan med klinikläkemedelsprojektet. Rapportens inriktning och innehåll utgår från de frågeställningar som framgår av regeringsuppdraget. Uppdraget består av två delar, en delrapport och en slutrapport. Delrapporten fokuserade på processerna inom klinikläkemedelsprojektet och publicerades i augusti 2013. Slutrapporten fokuserar främst på hur TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer används och implementeras i landstingen, samt vilken nytta de gör för patienter och landsting. I enlighet med uppdraget innehåller slutrapporten också förslag på hur verksamheten kan utvecklas i syfte att säkerställa en god vård på lika villkor hos sjukvårdshuvudmännen. Dessa förslag baseras på resultaten från både delrapportens och slutrapportens analyser. Slutrapporten överlämnas till regeringen i april 2014.

Klinikläkemedelsprojektet är en relativt nyinrättad verksamhet som vid slutrapporteringen av det här uppdraget har löpt i omkring tre år, varav en del av

tiden har varit en uppstartsfas. Det innebär att vår utvärdering sker i en tidig fas, och våra resultat och de slutsatser vi drar baseras på vad som skett under dessa första år. För att undersöka mer långsiktiga effekter krävs en ny analys i ett senare skede. Verksamheten är dessutom under kontinuerlig förändring, och flera utvecklingsarbeten pågår vad gäller både TLV:s och NLT:s delar av processen.

1.3 DELRAPPORTEN FOKUSERADE PÅ EFFEKTIVITETEN I DE PROCESSER SOM ÄR KOPPLADE TILL KLINIKLÄKEMEDELSPROJEKTET

Av regeringsuppdraget (S2012/3857/FS) framgår sju frågeställningar för delrapporten:

- Bedöm om initieringsprocessen från NLT har samordnats och prioriterats på ett effektivt sätt
- Kartlägg handläggningstidernas längd
- Bedöm informationsinhämtning och uppgiftslämning
- Bedöm kvaliteten på det från industrin inhämtade underlaget
- Bedöm TLV:s beräkningar av kostnadseffektivitet
- Utvärdera NLT:s kommunikation och rekommendationer med landstingen
- Belys hur läkemedelsföretagen ser på TLV:s arbete, hur de värderar nyttan med de kunskapsunderlag som myndigheten presenterar och vilka kostnader för företagen som är förknippade med framtagandet av dessa kunskapsunderlag

Dessa frågeställningar analyserades och besvarades i samband med delrapporteringen av uppdraget. Svaren redovisas i Vårdanalys rapport 2013:5. Vi bedömde att TLV:s kunskapsunderlag, och det underliggande materialet, generellt håller hög kvalitet, även om vi också gav förslag på delar som kan förbättras. Vi drog slutsatsen att NLT inte har konstruerats för det utökade uppdrag som involveringen i klinikläkemedelsprojektet innebär, och att det råder brist på transparens i NLT:s och TLV:s arbete vad gäller bland annat information om när rekommendationer respektive kunskapsunderlag är att vänta och vilka motiv som ligger till grund för rekommendationerna. Vi konstaterade också att handläggningstiderna är långa och att patienter och patientorganisationer inte har någon tydlig roll i processen.

För att ge en sammantagen bild av klinikläkemedelsprojektet återges några av delrapportens analyser och slutsatser även i denna rapport. Några analyser har följts upp eftersom de återknyter till slutrapportens frågeställningar. Men

i huvudsak har delrapportens frågeställningar utelämnats från nya analyser i samband med slutrapporten. Fokus för arbetet har varit på slutrapportens frågeställningar.

1.4 SLUTRAPPORTEN FOKUSERAR PÅ ANVÄNDNINGEN OCH NYTTAN AV TLV:S KUNSKAPSUNDERLAG OCH NLT:S REKOMMENDATIONER

Av regeringsuppdraget (S2012/3857/FS) framgår sju frågeställningar för slutrapporten:

- Att värdera vilken nytta de hälsoekonomiska bedömningarna av rekvisitionsläkemedel har inneburit för de olika intressenterna och då framförallt för patienterna och landstingen
- Att analysera hur sjukvårdshuvudmännen använder kunskapsunderlagen och hur underlagen implementeras hos sjukvårdshuvudmännen. I detta ingår att belysa hur de hälsoekonomiska bedömningarna används av läkemedelskommittéerna och landstingens arbete med ordnat införande av läkemedel i hälso- och sjukvården
- Att belysa hur sjukvårdshuvudmännen använder bedömningarna i upphandlingen av läkemedel till slutenvården
- Att utvärdera om försöksverksamheten har lett till bättre utnyttjande av existerande resurser för kunskapsvärdering genom att hälsoekonomiska bedömningar görs av en nationell myndighet och inte av de olika sjukvårdshuvudmännen
- Att utvärdera NLT-gruppens rekommendationer som utgår från TLV:s kunskapsunderlag
- Att utvärdera livslängden för kunskapsunderlagens tillförlitlighet och träffsäkerhet i TLV:s kunskapsunderlag och rekommendationer
- Att analysera om kunskapsunderlagen leder till en mer jämlik vård mellan och inom landsting

Utifrån resultaten av delrapportens och slutrapportens analyser ska vi sedan komma med förslag på hur verksamheten kan utvecklas ytterligare i syfte att säkerställa en god vård på lika villkor hos sjukvårdshuvudmännen.

1.5 HUVUDSAKLIGEN KVALITATIV METOD FÖR ATT BESVARA SLUTRAPPORTENS FRÅGESTÄLLNINGAR

Slutrapportens analyser bygger på flera olika källor. Den huvudsakliga ansatsen är kvalitativ och består av informationsinhämtning via intervjuer och möten med de olika intressenterna i klinikläkemedelsprojektet. Dessutom har vi använt tillgänglig försäljningsstatistik, tidigare rapporter, TLV:s och NLT:s hemsidor och vetenskaplig litteratur. Vi har också genomfört en enkätundersökning bland verksamhetschefer inom onkologi och genomfört en internationell utblick.

Intervjuer med läkemedelschefer (eller motsvarande) och verksamhetschefer inom onkologi

Slutrapportens frågeställningar berör i stor grad hur TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer används i landstingen. I syfte att få information om detta, och om hur beslut om läkemedelsanvändning tas i landstingen, har vi intervjuat läkemedelschefer (eller motsvarande) i samtliga landsting. Exakta arbetsuppgifter för de personer som vi har intervjuat varierar, men de har alla landstingsövergripande positioner och har generellt sett ett övergripande ansvar för, och insyn i, läkemedelsfrågor i landstinget. De är ofta mottagare av NLT:s rekommendationer och TLV:s kunskapsunderlag. De har därmed en god bild av arbetet med läkemedel i landstinget och är insatta i klinikläkemedelsprojektet på landstingsövergripande nivå. I den här rapporten refererar vi till dessa personer som läkemedelschefer, även om alla inte har just den titeln.

Flera av de läkemedel som har ingått i klinikläkemedelsprojektet är nya cancerläkemedel. För att få en uppfattning om hur projektet uppfattas och används på en mer verksamhetsnära nivå har vi även intervjuat ett urval av fem verksamhetschefer inom onkologi. Bilaga 2 innehåller en lista över samtliga personer som intervjuades i samband med slutrapporten.

Den bild som träder fram baserat på dessa intervjuer berättar om läkemedelschefer och verksamhetschefer, men inte nödvändigtvis om andra landstingsföreträdares bild.

Enkätundersökning bland verksamhetschefer

I syfte att nå en större grupp av verksamhetschefer och inhämta information om användningen av TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer i verksamheten kompletterades intervjuerna med en enkätundersökning bland landets samtliga verksamhetschefer inom onkologi. Totalt fick vi 15 svar,

vilket motsvarar en svarsfrekvens på 71 procent. Vi saknar bara information från två av de landsting som har en onkologisk klinik. Det kan naturligtvis vara så att de personer som inte har besvarat enkäten har en annan uppfattning än de som svarade.

Enkäten skickades även till verksamhetschefer inom handkirurgi och på ögonkliniker, men på grund av för låg svarsfrekvens är det bara informationen från onkologerna som har kunnat användas. Bland verksamhetscheferna inom handkirurgi och på ögonkliniker uppger bara ett fåtal att de känner till klinikläkemedelsprojektet, vilket skulle kunna vara en förklaring till den låga svarsfrekvensen. Bilaga 3 innehåller mer information kring svarsfrekvenser och vilka som bjöds in att besvara enkäten.

Precis som med intervjuerna är det viktigt att komma ihåg att svaren från enkäten ger en bild av onkologichefers uppfattning, men inte nödvändigtvis av uppfattningen hos andra landstingsföreträdare. Det är möjligt att vi hade fått en annan bild om vi hade frågat en annan grupp av läkare.

Patientorganisationer

I syfte att få en bild av patienternas perspektiv på klinikläkemedelsprojektet har vi intervjuat företrädare för tre patientorganisationer: Melanomföreningen, Prostatacancerförbundet och Bröstcancerföreningarnas Riksorganisation. Dessa tre patientorganisationer företräder patienter som har berörts direkt av klinikläkemedelsprojektet genom att läkemedel som är avsedda för patienter bland organisationsmedlemmarna har ingått i projektet. Melanomföreningens och Prostatacancerförbundets medlemmar berörs av de två läkemedel som var först att gå igenom klinikläkemedelsprojektet, medan Bröstcancerföreningarnas Riksorganisations medlemmar berörs av ett läkemedel som kom in senare i klinikläkemedelsprojektet.

Andra intressenter

Vi har även inhämtat information och synpunkter från företrädare för tre läkemedelsföretag (BMS, Janssen och Roche) och de forskande läkemedelsföretagens branschorganisation Läkemedelsindustriföreningen (LIF). Genom två möten med medarbetare från TLV har vi inhämtat information om hur TLV:s arbete har fortskridit och utvecklats under försöksverksamhetens gång. Vad gäller NLT besökte vi ett av NLT-gruppens möten för en gruppdiskussion med NLT-gruppens medlemmar. Dessutom har vi fått kompletterande information från både TLV och NLT via e-post.

Vi har även träffat representanter från projektgruppen som arbetar med en nationell modell för ordnat införande (OtIS) för att få en inblick i deras arbete.

Försäljningsstatistik

Vi har använt försäljningsstatistik från e-hälsomyndigheten, tidigare Apotekens Service AB, för de läkemedel som har ingått i klinikläkemedelsprojektet i syfte att belysa skillnader mellan landsting. Försäljningsstatistiken visar antalet sålda förpackningar från apoteken till slutkund – det vill säga landstingen – per månad och per landsting från det att läkemedlet godkändes för försäljning till och med december 2013.

Internationell utblick

Som en del av den här utvärderingen har vi gjort en internationell utblick där vi har inhämtat information om hur andra länder arbetar med hälsoekonomiska utvärderingar och introduktion av klinikläkemedel. Utblicken kan ge lärdomar om möjliga sätt att arbeta i Sverige. Genom att belysa hur andra länder arbetar med några av de områden som vi bedömer som angelägna att arbeta vidare med i det svenska klinikläkemedelsprojektet, används resultaten från den internationella utblicken i samband med våra förslag till fortsatt utveckling av den svenska verksamheten.

1.6 PÅGÅENDE UTVECKLING AV PROCESSERNA KRING KLINIKLÄKEMEDELSPROJEKTET OCH INOM LÄKEMEDELSOMRÅDET

Klinikläkemedelsprojektet är en försöksverksamhet som är under kontinuerlig utveckling, och ytterligare utveckling är att vänta. Denna rapport belyser verksamheten så som den sett ut under tiden för denna utvärdering. Parallellt med klinikläkemedelsprojektet och vår utvärdering har SKL ett uppdrag att utforma en nationell modell för så kallat ordnat införande av läkemedel (OtIS), där klinikläkemedelsprojektet ingår. I detta arbete utformas både utvidgade processer runt klinikläkemedelsprojektet och utveckling av de processer som berör klinikläkemedelsprojektet (såsom initieringen av processen, rekommendationernas utformning och handläggningstider). Dessa förändringar har inte trätt i kraft ännu, och vi har därför inte haft någon möjlighet att utvärdera dessa planerade förändringar.

Det pågår även andra initiativ inom läkemedelssektorn som kan komma att påverka den fortsatta utvecklingen av hälsoekonomiska utvärderingar



av klinikläkemedel. I slutfasen av den här utvärderingen kom propositionen ”Ökad tillgänglighet och mer ändamålsenlig prissättning av läkemedel” (2013/14:93). Innehållet i propositionen berör bland annat både ordnat införande av läkemedel och en utveckling av värdebaserad prissättning. De förslag och ställningstagande som framgår i propositionen kan komma att påverka synen på hur organisationen kring hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel bör utvecklas. Men eftersom propositionen kom i ett så sent skede av vår utvärdering, har vi inte haft möjlighet att ta innehållet i den i beaktande i arbetet med vår slutrapport.

1.7 AVGRÄNSNINGAR

Den här rapporten utgår från och fokuserar på de frågeställningar som framgår av regeringsuppdraget (S2012/3857/FS). Dessa frågeställningar berör själva klinikläkemedelsprojektet som sådant, snarare än klinikläkemedelsprojektet i förhållande till andra relaterade läkemedelsfrågor. Det finns flera mer övergripande frågor och initiativ, såsom exempelvis läkemedelsförmånens innehåll och möjligheten att få vård i andra europeiska länder, som berör och påverkar klinikläkemedelsprojektets position i den svenska sjukvården. Dessa frågeställningar analyseras inte i den här rapporten, men rapporten avslutas med några korta kommentarer som berör dem eftersom vi tycker att det är viktigt att lyfta blicken och se klinikläkemedelsprojektet i ett större sammanhang.

1.8 REFERENSGRUPP OCH KVALITETSSÄKRING

En referensgrupp har varit knuten till arbetet med slutrapporten. Referensgruppen har bestått av Marie Andersson (Melanomföreningen), Britta Berglund (Riksförbundet Sällsynta diagnoser), Katarina Steen Carlsson (Institutet för hälso- och sjukvårdsekonomi och Lunds universitet), Claes Lagerstedt (Region Halland), Nils Wilking (Region Skåne) och Olle Melinder (MSD). Referensgruppen har haft möjlighet att läsa ett utkast av rapporten och lämna synpunkter, men står inte nödvändigtvis bakom innehållet och slutsatserna i rapporten. Företrädare för NLT, TLV och LIF har haft möjlighet att faktagranska ett utkast av rapporten.

1.9 RAPPORTENS DISPOSITION

Det här inledande kapitlet introducerar klinikläkemedelsprojektet, presenterar de frågeställningar som i enlighet med regeringsuppdraget ligger till grund för vår utvärdering och beskriver de metoder vi har använt för att besvara frågeställningarna.

Kapitel 2 innehåller resultaten från vår utvärdering. Det besvarar slutrapportens frågeställningar, men avser också att ge en sammantagen bild av klinikläkemedelsprojektet genom att också återkoppla till delar av delrapportens analyser och slutsatser.

Kapitel 3 innehåller sammanfattningar av våra resultat samt slutsatser baserade på delrapporten och slutrapportens arbete. Kapitlet presenterar också de förbättringsområden som vi bedömer är viktiga.

Kapitel 4 innehåller våra förslag på hur klinikläkemedelsprojektet kan utvecklas vidare.



Resultat

2.1 VILKEN NYTTA HAR DE HÄLSOEKONOMISKA UTVÄRDERINGARNA AV KLINIKLÄKEMEDEL INNEBURIT FÖR PATIENTER OCH LANDSTING?

Patientorganisationerna är positiva till ett nationellt initiativ, men kritiska till nuvarande organisation och arbetsätt

De patientorganisationer som vi har varit i kontakt med uttrycker att det är positivt att det finns ett initiativ som hanterar klinikläkemedel på nationell nivå. De är även positiva till att det sker en prisdiskussion med läkemedelsföretagen på nationell nivå. Det finns också förståelse för att det behövs någon form av värdering där kostnader vägs mot vilken hälsoförbättring som läkemedlet kan förväntas uppnå.

Utöver detta är patientorganisationerna övervägande kritiska till klinikläkemedelsprojektet. Kritiken handlar bland annat om att introduktionen av nya läkemedel är långsam, vem som involveras i de olika delarna av klinikläkemedelsprojektet och hur TLV genomför utvärderingarna.

Utifrån våra intervjuer med patientföreträdarna vill vi lyfta fram handläggningstidernas längd och tillgång till läkemedel oberoende av bostadsort och landstingstillhörighet som centrala aspekter ur ett patientperspektiv. Vidare betonar de intervjuade patientrepresentanterna att det är viktigt att beslutsprocessen kring introduktion och användning av klinikläkemedel sker på vad som uppfattas som ett korrekt och rättvist sätt, med transparenta processer. Det är exempelvis viktigt vilka personer som står bakom de olika delarna av beslutsprocessen, och att det finns förtroende för dessa. Vi vill också framhålla att intervjuerna pekar på vikten av att patienter inte drabbas negativt av aktörernas inlärningsprocess, även om klinikläkemedelsprojektet är en försöksverksamhet som har byggts upp successivt.

Nedan beskrivs tre patientorganisationers erfarenheter av klinikläkemedelsprojektet.



Melanomföreningens erfarenheter

Melanomföreningen företräder patienter som berörs av det första läkemedlet, Yervoy, som ingick i klinikläkemedelsprojektet. Föreningen anser att det i grunden är bra att det sker en nationell process vid introduktion av nya läkemedel. Samtidigt är Melanomföreningens erfarenhet att klinikläkemedelsprojektet, och det sätt som landstingen förhåller sig till det, inte fungerar:

”Melanompatienter har varit mycket illa av klinikläkemedelsprojektet. Förfarandet har varit katastrofalt för dessa patienter”

Melanomföreningen menar att den största bristen i förfarandet vad gäller Yervoy är den långsamma och fördröjda introduktionen av läkemedlet, vilket har resulterat i en betydande underbehandling av behövande patienter. Landstingen var avvaktande och restriktiva med användningen från början, och introduktionen fördröjdes ytterligare av processerna med TLV:s hälsoekonomiska utvärdering och NLT:s rekommendation.

Yervoy godkändes för användning av det europeiska läkemedelsverket (EMA) i juli 2011. TLV påbörjade den hälsoekonomiska utvärderingen i september samma år. Innan den var klar kom NLT med en negativ rekommendation i april 2012 där de rekommenderade landstingen att inte börja använda Yervoy i avvaktan på ett tillräckligt hälsoekonomiskt underlag. I juni 2012 var TLV:s hälsoekonomiska utvärdering klar, och i samband med detta kom NLT med en positiv rekommendation. Rekommendationen att använda Yervoy är kopplad till ett prisavtal där landstingen erbjuds ett lägre pris än det som lämnades in till TLV i underlaget till den hälsoekonomiska utvärderingen, om de tecknar avtal med det aktuella läkemedelföretaget (BMS).

Melanomföreningens erfarenheter är att landstingen väntade in TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendation och under tiden var restriktiva med att använda läkemedlet, även om hanteringen varierade mellan olika landsting. Vissa landsting behandlade några patienter, i andra landsting behandlades ingen. Enligt BMS började fyra landsting att behandla enstaka patienter innan den hälsoekonomiska utvärderingen var klar och innan NLT:s negativa rekommendation kom, och två landsting ingick ett avtal med företaget och började behandla patienter innan NLT:s negativa rekommendation.

Utöver den avvaktande och restriktiva hållningen som Melanomföreningen

menar att landstingen hade tills rekommendationen kom, har landstingen tvekat att skriva på avtalet och tvekat att behandla patienter även efter den positiva rekommendationen. Enligt BMS har det tagit mellan en och tio månader att skriva på avtalet och börja behandla patienter i de landsting som inte redan hade börjat behandla patienter före rekommendationen.

Melanomföreningen framhåller att många människor hade kunnat få en långtidsöverlevnad från sin sjukdom istället för att dö till följd av den långsamma introduktionen. De anser att landstingen inte kan avvakta med att behandla patienter i väntan på utvärderingsprocesserna:

”Behandling och utvärdering måste ske parallellt, i synnerhet då det inte finns någon alternativ behandling”

Dessutom anser Melanomföreningen att det är viktigt att säkerställa att alla landsting gör likadant:

”Landstingen ska inte kunna välja ifall de vill använda ett läkemedel eller inte”

Utöver handläggningstiderna som beskrivs ovan framhåller Melanomföreningen att den funktion som NLT-gruppen innehar måste vara sammansatt av rätt kompetenser, inklusive duktiga förhandlare.

”De bör sitta på tidsbegränsade mandat, och man ska veta på vilka grunder de personer som sitter i gruppen är tillsatta. Det är viktigt att veta vilka personer som står bakom de olika delarna i processen, och att man har förtroende för dessa. Exempelvis påverkas tilliten till TLV:s kunskapsunderlag av vilka medicinska experter som har använts.”

För att minska risken för att bilden av läkemedlets medicinska effekter blir alltför ensidig anser Melanomföreningen att TLV bör använda sig av flera



experter som har kliniska erfarenheter av att använda preparatet. Det är också viktigt att processen är transparent: det ska framgå vad besluten grundar sig på och det ska gå att få information om vad som pågår i processen.

Prostatacancerförbundets erfarenheter

Prostatacancerförbundet företräder patienter som berörs av det andra läkemedlet, Zytiga, som ingick i klinikläkemedelsprojektet. Zytiga godkändes för användning i Europa i september 2011. Läkemedelsföretaget (Janssen) ansökte om att Zytiga skulle ingå i läkemedelsförmånen, men fick i maj 2012 avslag på grund av att priset ansågs vara för högt. Parallellt med processen inom förmånssystemet, tog NLT upp Zytiga inom klinikläkemedelsprojektet. TLV publicerade ett kunskapsunderlag i augusti 2012, och efter prisdiskussioner med läkemedelsföretaget kom NLT med en positiv rekommendation kopplad till ett prisavtal i december 2012.

Prostatacancerförbundet anser att det är bra att det utvecklas processer och ett system för att hantera de nya, och ofta dyra, läkemedlen:

”Något måste göras, och det är bra att det görs nationellt”

Däremot är förbundet kritiskt till *hur* det genomförs:

”Under tiden som grupper som TLV och NLT håller på att formera sig, och fram tills det finns en fungerande modell för hanteringen av dessa nya och ofta dyra läkemedel, är det mycket rörigt, och det blir en slump vilken vård man får, beroende på var man bor.”

Prostatacancerförbundet kan än så länge inte se någon särskild nytta av klinikläkemedelsprojektet för prostatacancerpatienter:

”Tidsaspekten är en viktig faktor, och det tog lång tid innan patienter fick tillgång till Zytiga. Dessutom fick patienter tillgång olika snabbt beroende på vilket landsting man tillhör, och även graden av användning efter introduktionen skiljer sig åt mellan landsting.”

Förbundet menar att situationen blev än mer komplicerad av att beslutet om användning fattas på klinisknivå i många landsting:

”Eftersom målgruppen är stor och läkemedlet kostsamt blir de lokala variationerna ännu större, med svåra etiska avgöranden och undanträngningseffekter.”

Förbundet anser att en rekommendation bör komma från en myndighet och inte från en intresseorganisation som SKL.

Prostatacancerförbundet ifrågasätter hur TLV genomför de hälsoekonomiska utvärderingarna:

”I samband med att kunskapsunderlaget för Zytiga publicerades fick vi en smärre chock då vi insåg att det faktum att pensionärer inte är aktiva på arbetsmarknaden gör att kostnaden för den förbättrade hälsan blir högre jämfört med om de potentiella patienterna hade varit i arbetsför ålder”

Detta fick viss medial uppmärksamhet (Svenska Dagbladet 2013, Dagens Nyheter 2013, Sveriges Television 2013) och bidrog till en diskussion om hur så kallade indirekta kostnader ska hanteras i de hälsoekonomiska utvärderingarna, och huruvida TLV:s förhållningssätt harmonierar med principerna för människovärde, behov och solidaritet samt med principen om kostnadseffektivitet, som följer av 2 § hälso- och sjukvårdslagen (1982:763) och ska ligga till grund för prioriteringar inom hälso- och sjukvården.

Som följd har TLV påbörjat en översyn för att tydliggöra hur kostnadseffektiviteten vägs samman med dessa två andra beslutsprinciper och hur de hälsoekonomiska utvärderingarna ska utformas för att bättre passa ihop bättre med dessa två principer (Lundin och Lundquist 2013). Prostatacancerförbundet framhåller att det överlag är mycket svårt för en utomstående att förstå hur de hälsoekonomiska utvärderingarna görs, och påpekar att när man inte förstår vad som ligger bakom kalkylerna så minskar förtroendet för utvärderingarna.



Bröstcancerföreningarnas Riksorganisations erfarenheter

Bröstcancerföreningarnas Riksorganisation (BRO) företräder patienter som berörs av läkemedlet Perjeta. Till skillnad från de läkemedel som Melanomföreningen och Prostatacancerförbundet berörs av, togs Perjeta in i klinikläkemedelsprojektet i ett senare skede. Perjeta godkändes för användning i mars 2013. TLV:s kunskapsunderlag publicerades i juni och NLT:s rekommendation kom i oktober 2013. Perjeta var det tolfte kunskapsunderlaget som TLV publicerade och den sjätte rekommendationen som NLT gav inom ramen för klinikläkemedelsprojektet. Rekommendationen är kopplad till ett prisavtal, och Perjeta utgör det tredje läkemedlet där NLT har fört en prisdiskussion med läkemedelsföretaget.

BRO stödjer en nationell process, och menar att det är bra att det finns ett initiativ för hantering av klinikläkemedel eftersom den tidigare situationen inte fungerade bra. Det finns förståelse för att någon form av utvärdering av ett läkemedels kostnader och hälsoeffekter behöver göras, men det är viktigt att det görs på ett korrekt sätt.

Det är viktigt med förtroende för processen, och BRO uttrycker att detta är något som de saknar i nuläget. Utöver det grundläggande stödet för ett nationellt initiativ för hantering av klinikläkemedel är BRO överlag kritiska till klinikläkemedelsprojektet och uttrycker att de inte ser någon särskild nytta för de patienter som de företräder.

BRO är starkt kritiska till NLT:s roll i klinikläkemedelsprojektet. Kritiken grundar sig till stor del i att SKL är en intresseorganisation, inte en myndighet:

”Varför har SKL, som är en intresseorganisation, fått uppgiften att välja ut vilka läkemedel som ska genomgå en hälsoekonomisk utvärdering? Det är bra att det sker en prispförhandling på nationell nivå, men den borde inte skötas av en intresseorganisation.”

BRO är även kritiska till hur TLV genomförde den hälsoekonomiska utvärderingen av Perjeta. De menar att TLV misstolkade den kliniska dokumentationen som låg till grund för den hälsoekonomiska utvärderingen, vilket ledde till att kostnaden för läkemedlet i förhållande till de positiva hälsoeffekterna överskattades.

BRO anser också att det är viktigt att den hälsoekonomiska utvärderingen inte fördröjer tillgången till läkemedel för patienter. Kunskapsunderlaget för Perjeta publicerades tre månader efter att läkemedlet blivit godkänt för

användning i Europa, vilket är bland de snabbaste processerna inom klinisk-läkemedelsprojektet hittills (mars 2014). Omkring 3,5 månader senare hade NLT diskuterat fram vad de ansåg vara ett acceptabelt pris, och landstingen erbjöds ett avtal att ta ställning till. I relation till andra länder kom exempelvis NLT:s rekommendation samtidigt som en (negativ) rekommendation i Skottland. BRO uppfattar dock även detta som en alltför långsam process.

Handläggningstiderna har förkortats i vissa fall, men är fortfarande långa

I arbetet med delrapporten kartlades handläggningstidernas längd. En av slutsatserna var att handläggningstiderna är för långa. För de två första läkemedlen som gick igenom processen (Yervoy och Zytiga) tog det 12 respektive 15 månader från det att läkemedlet hamnade på TLV:s prioriteringslista till dess att NLT gav en positiv rekommendation. För de läkemedel som hade genomgått en hälsoekonomisk utvärdering vid tiden för vår delrapportering, men inte ännu fått någon rekommendation, tog det mellan 13 och 17 månader från det att TLV påbörjade den hälsoekonomiska utvärderingen till att ett kunskapsunderlag publicerades. Därutöver hade det gått ytterligare tre till åtta månader utan någon rekommendation från NLT. De långa handläggningstiderna förklaras delvis av att kliniskläkemedelsprojektet är en försöksverksamhet som tog ett tag att starta upp, och det var till exempel omöjligt för TLV påbörja arbetet med de hälsoekonomiska utvärderingarna för samtliga de läkemedel som fanns på den första listan.

Under kliniskläkemedelsprojektets gång har en del utvecklingsarbete bedrivits gällande handläggningstiderna, och ytterligare arbete pågår hos TLV och NLT. TLV har som målsättning att genomföra den hälsoekonomiska utvärderingen på fem månader, och NLT uppger på sin hemsida att det generellt tar 1-3 månader efter att TLV:s kunskapsunderlag har publicerats tills de ger en rekommendation. I praktiken tar det åtminstone åtta månader från det att TLV påbörjar den hälsoekonomiska utvärderingen till det att NLT ger en rekommendation, och det finns fortfarande fall där processen inte är avslutad trots att det gått mer än ett år.

Läkemedlet Perjeta, som används för behandling av bröstcancer, utgör det första exemplet på ett förändrat arbetssätt. Perjeta godkändes av det europeiska läkemedelsverket den 4 mars 2013. Läkemedelsföretaget lämnade in underlag till TLV omkring tre månader före godkännandet, och TLV publicerade sitt kunskapsunderlag tre månader efter godkännandet, vilket är snabbare än tidigare i kliniskläkemedelsprojektet. Enligt TLV är detta ett nytt sätt att organisera arbetet som kommer att användas även i kommande utvärderingar.

Från det att TLV publicerade sitt kunskapsunderlag tog det ytterligare fyra månader innan det kom en rekommendation från NLT för Perjeta. Den totala handläggningstiden blev alltså omkring tio månader, och en rekommendation sju månader efter marknadsgodkännande.



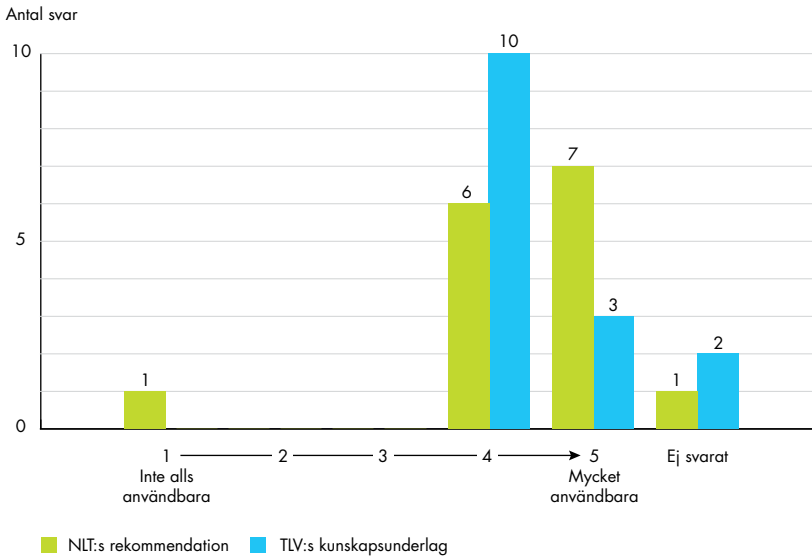
Landstingen har nytta av TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer...

De läkemedelschefer och verksamhetschefer inom onkologi som vi har intervjuat värdesätter tillgången till TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer, och menar att dessa fyller ett behov. Kunskapsunderlagen och rekommendationerna innebär att landstingen får tillgång till underlag och expertis som framför allt mindre landsting saknar. På så vis anses underlagen underlätta och tillföra viktig information vid beslut om läkemedelsanvändning. Genom TLV:s kunskapsunderlag får landstingen hjälp att sammanställa och bedöma läkemedlets kostnader och effekter och varje landsting slipper att göra sin egen bedömning. Flera läkemedelschefer menar att den hälsoekonomiska utvärderingen även är värdefull för att den ger en indikation på vilket pris som krävs för att läkemedlet ska bedömas som kostnadseffektivt och på så vis signalerar att det inte går att sätta hur höga priser som helst.

I intervjuerna med läkemedelschefer framkommer också en viss skepsis mot hälsoekonomiska utvärderingar, och flera läkemedelschefer påtalar att de tycker att hälsoekonomi är svårt. Vi uppfattar det som att tveksamheten bottenar i bristande förståelse för vad som händer i den hälsoekonomiska utvärderingen, exempelvis vilka antaganden som görs och hur antaganden påverkar resultatet. I vissa fall resulterar det även i en viss skepsis att använda resultaten från de hälsoekonomiska utvärderingarna.

Figur 2 baseras på vår enkätundersökning och visar hur användbara de verksamhetschefer inom onkologi som har besvarat enkäten tycker att TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer är för beslut om ifall ett läkemedel ska användas inom kliniken. Svaren har angetts på en skala mellan 1 och 5, där 1 betyder inte alls är användbara och 5 betyder mycket användbara. De allra flesta anger en fyra eller femma vad gäller användbarheten av både TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer. På frågan om i vilken utsträckning de anser att rekommendationer om läkemedelsanvändning ska tas fram på nationell nivå anger 13 av respondenterna att de anser att de ska det i mycket stor utsträckning (visas ej i figuren). De andra två respondenterna anger en fyra på en skala mellan 1 och 5, vilket innebär att de anser att de ska det i relativt stor utsträckning. Bland verksamhetschefer inom onkologi verkar det alltså finnas ett starkt stöd för att ta fram rekommendationer om läkemedelsanvändning på nationell nivå.

Figur 2. "Hur användbara är TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer för beslut om ifall ett läkemedel ska finnas tillgängligt för användning inom landstinget/kliniken?" Sammanställning av resultat från Vårdanalys enkätundersökning bland verksamhetschefer inom onkologi.



...men lyfter också fram delar som behöver förbättras

I våra intervjuer med läkemedelschefer framkommer också att det finns delar av klinikläkemedelsprojektet som behöver förbättras. I flera landsting uttrycker de att processen behöver bli snabbare och att informationsspridningen behöver förbättras. Flera läkemedelschefer menar att de ofta inte vet vilka läkemedel som är i processen. De efterfrågar tydligare signaler kring vilka läkemedel som är på väg in i klinikläkemedelsprojektet och information om när de kan vänta sig en rekommendation.

Flera läkemedelschefer säger att de gärna vill att TLV deltar mer och inte bara i arbetet med den hälsoekonomiska utvärderingen. Till exempel tar de upp att TLV skulle kunna vara den aktör som initierar processen, för prisdiskussionen med läkemedelsföretagen och lämnar en rekommendation baserat på kunskapsunderlaget. TLV skulle också kunna delta i diskussioner om kunskapsunderlagen ute i landstingen och svara på frågor om dem. TLV skulle på så sätt ytterligare kunna förmedla sina expertkunskaper om kunskapsunderlaget och hälsoekonomiska utvärderingar till landstingen.

2.2 HUR ANVÄNDS TLV:S KUNSKAPSUNDERLAG OCH NLT:S REKOMMENDATIONER I LANDSTINGEN?

Klinikläkemedelsprojektet används på olika sätt i olika landsting

Hur TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer används varierar mellan landstingen. Utifrån våra intervjuer med läkemedelschefer uppfattar vi att det finns två övergripande sätt att implementera kunskapsunderlagen och rekommendationerna i verksamheterna. I de landsting där det finns en modell för så kallat ordnat införande hittar TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer en plattform, och underlagen blir en del av modellen för det ordnade införandet. Med ordnat införande avser vi här att det finns någon form av modell eller etablerade rutiner för hantering av nya läkemedel där beslutet om huruvida ett nytt läkemedel ska introduceras fattas på en mer central nivå inom landstinget, till exempel genom en ansökan från den berörda kliniken. Landstingen arbetar i olika utsträckning och på olika sätt med ordnat införande, och våra intervjuer med läkemedelschefer och verksamhetschefer inom onkologi vittnar om flera olika modeller för ordnat införande runtom i landet. En fullständig genomgång av hur landstingen arbetar med ordnat införande ligger utanför ramen för den här rapporten, men i boxen på nästa sida ges några exempel. I vissa landsting är ett godkännande i den lokala processen också kopplat till ett budgettillskott för att täcka kostnaden för läkemedlet.

Även om modellerna för ordnat införande ser olika ut i olika landsting uppfattas både TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer som värdefulla i dessa processer. En positiv rekommendation från NLT verkar oftast mynna ut i ett godkännande även i de lokala processerna.

I de landsting som saknar etablerade rutiner för hantering av nya läkemedel slussas TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer vidare till berörda kliniker när de når landstinget. Beslut om nya läkemedel ska introduceras i verksamheten tas i dessa fall på klinikinivå och finansieras oftast av den enskilda kliniken. Men i exempelvis Jönköping och Västmanland finns möjlighet att ansöka om extra anslag för nya läkemedel, och i samband med en sådan ansökan är TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer värdefulla på ett liknande sätt som i modellerna för ordnat införande.

Det kan också finnas en mer strukturerad introduktion även inom de landsting som saknar modell för ordnat införande, men då inom ett sjukdomsområde och mellan landsting snarare än en landstingsspecifik modell. Så är fallet inom cancerområdet, där introduktion av nya läkemedel i exempelvis Uppsala och Östergötland lyfts till regionala processer och behandlas av en

regional expertgrupp. På så vis går introduktionen genom en strukturerad process, även om en sådan saknas på landstingsnivå. I denna process utgör TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer ett viktigt beslutsunderlag.

Exempel på modeller för ordnat införande runtom i landet

Norra sjukvårdsregionen – regiongemensam modell

När ett nytt läkemedel ska introduceras, måste det anmälas till arbetsutskottet för regionalt införande av nya läkemedel. Alla nya läkemedel med stor budgetpåverkan ska tas upp för beslut. Det är först när ett läkemedel blivit godkänt i den här processen, och efter att respektive landsting fattat beslut utifrån den regionala rekommendationen, som läkemedlet får börja användas. TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer utgör viktiga beslutsunderlag och används som utgångspunkt för det regionala ställningstagandet. Förutom en regional rekommendation om läkemedelsanvändningen innehåller ställningstagandet även en uppskattning av hur många patienter som kommer att behandlas och en beräkning av budgetpåverkan. Målet är att delge landstingen ett regionalt ställningstagande inom 30 dagar från det att en anmälan gjorts.

Onkologiska kliniken, Karolinska sjukhuset, Stockholms läns landsting

På den onkologiska kliniken på Karolinska sjukhuset har man utvecklat en modell för introduktion av nya läkemedel. Beslut om behandling tas utifrån ett av de behandlande läkarna framarbetat protokoll. Protokollet specificerar kriterier som ska vara uppfyllda för att påbörja behandlingen och har till syfte att styra användningen mot rätt patienter och säkerställa att det inte sker användning utanför indikation. Samtidigt ges möjlighet till central finansiering från Karolinska sjukhuset. När det kommer en rekommendation från NLT görs en beräkning av hur många patienter som beräknas bli aktuella för behandling och vad kostnaden för detta är, varpå läkemedelsrådet först bereder ärendet och prioriteringsrådet därefter beslutar om central finansiering ska ske eller inte. Processen tar 1-2 månader.

Västra Götalandsregionen

Processen för ordnat införande initieras genom att sjukvården själv nominerar nya läkemedel eller indikationer. Förslagen analyseras och analysen tar bland annat hänsyn till sjukdomens svårighetsgrad, behandlingens patientnytta och kostnadseffektivitet. Vidare gör de en horisontell prioritering och ett förslag sammanställs till hälso- och sjukvårdsutskottet. Utskottet beslutar om ordnat införande, inklusive den tvååriga introduktionsfinansiering som betyder att nya läkemedel finansieras centralt inom regionen.



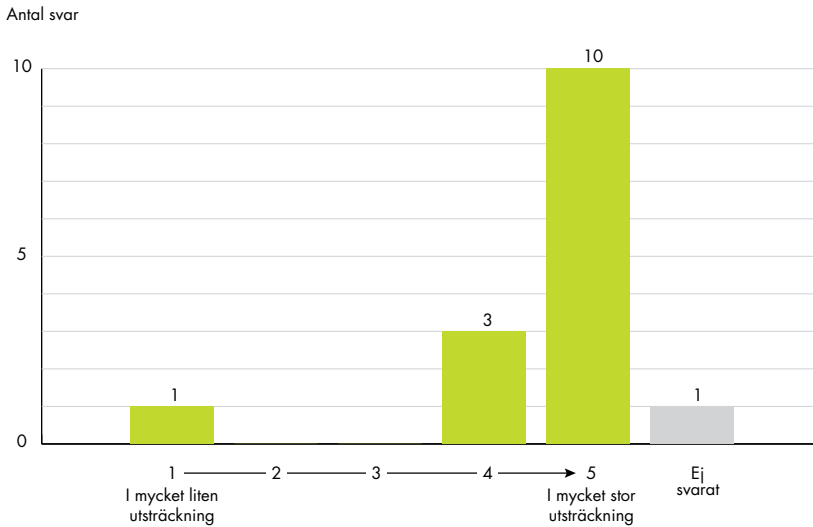
Läkemedelsföretagen upplever att klinikläkemedelsprojektet innebär att det finns två instanser som måste passeras innan ett läkemedel börjar användas i landstingen: först genom NLT som behöver lämna en positiv rekommendation, därefter av varje enskilt landsting som ska ta ställning till NLT:s rekommendation. Läkemedelsföretagen menar att det först är när NLT har kommit med sin rekommendation som landstingen är intresserade av att börja diskutera med läkemedelsföretagen, och att det då ofta blir många och långa diskussioner med enskilda landsting. På så vis är TLV:s utvärdering och NLT:s rekommendation ytterligare momentsomhantillkommit, jämfört med tidigare när läkemedelsföretagen vände sig direkt till landstingen. Men momenten med diskussioner med vart och ett av landstingen har inte försvunnit. Läkemedelsföretagen menar att konsekvensen är att introduktionen av läkemedel fördröjs.

Rekommendationerna måste inte inväntas eller följas

NLT:s rekommendationer är inte tvingande. Landstingen är självstyrande och beslutar själva om ett läkemedel ska användas oberoende av TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendation. Det finns i dagsläget inget sätt att följa upp i vilken utsträckning som NLT:s rekommendationer faktiskt efterföljs i landstingen, exempelvis vilka rekommendationer ett landsting har valt att följa, och vilka bedömningar som har gjorts ifall en rekommendation inte följs. Men i våra intervjuer med läkemedelschefer har vi frågat hur landstingen brukar ställa sig till NLT:s rekommendationer, och om rekommendationerna brukar följas. TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer används i landstingen och anses vara värdefulla för beslut om läkemedelsanvändning. Samtliga läkemedelschefer uppger i våra intervjuer att landstingen i allmänhet följer NLT:s rekommendationer. Samtidigt framhåller också flera läkemedelschefer i intervjuerna att det är upp till dem själva att besluta, och att det kan finnas tillfällen då de väljer att inte följa en rekommendation. Det kan till exempel handla om att de inte delar TLV:s och NLT:s resonemang, utan istället gör en annan bedömning eller värdering. I något landsting menar läkemedelschefer att NLT:s rekommendation sällan inväntas, utan att den i efterhand kan fungera som stöd till ett beslut som redan tagits.

Figur 3 visar hur verksamhetscheferna inom onkologi svarar på en enkätfråga om i vilken utsträckning som deras verksamhet strävar efter att följa NLT:s rekommendationer. 10 av 15 svarar att de strävar efter att följa NLT:s rekommendationer i mycket stor utsträckning, men figuren illustrerar också

Figur 3. "I vilken utsträckning strävar din verksamhet efter att följa NLT:s rekommendationer?"
Sammanställning av resultat från Vårdanalys enkätundersökning bland verksamhetschefer inom onkologi.



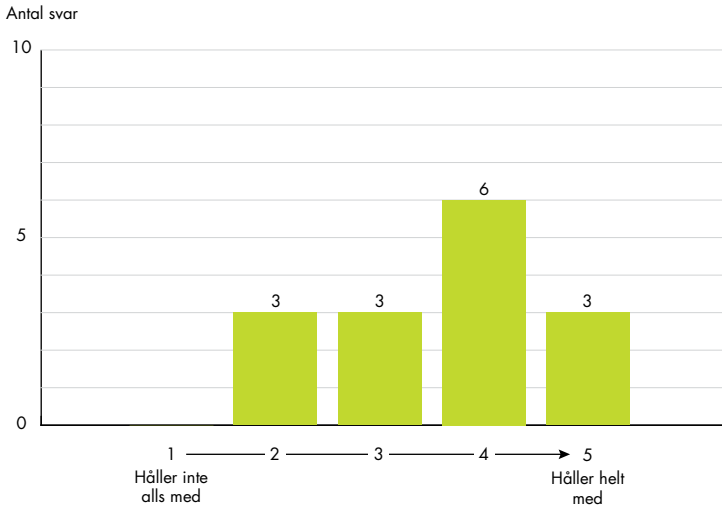
att det finns onkologkliniker där NLT:s rekommendationer spelar mindre roll: En verksamhetschef uppger att verksamheten strävar efter att följa NLT:s rekommendationer i mycket liten utsträckning.

Klinikläkemedelsprojektet kan innebära långsammare introduktion för vissa nya läkemedel

Patientorganisationer och läkemedelsföretag betonar att introduktionen av nya läkemedel är långsam, och att det dröjer alltför lång tid innan patienter får tillgång till nya läkemedel. Läkemedelsföretag menar också att introduktionen fördröjs av att ett läkemedel först behöver passera TLV och NLT, och därefter landstinginterna processer. Men många läkemedelschefer menar att processen med hälsoekonomiska utvärderingar inte nödvändigtvis innebär att introduktionen försenas. Tvärtom menar en del av dem att det kan gå snabbare i vissa fall: om det finns ett tillförlitligt kunskapsunderlag och en tydlig rekommendation är det möjligt att introduktionen går snabbare för att landstinget hade tvekat om dessa beslutsstöd inte fanns. I andra fall menar de att introduktionen nog kan försenas. Flera läkemedelschefer lyfter fram en snabbare process som ett viktigt förbättringsområde.

Figur 4 baseras på vår enkätundersökning och visar i vilken utsträckning

Figur 4. Grad av medhåll i påståendet att "klinikläkemedelsprojektet gör att det sammantaget tar längre tid innan ett nytt läkemedel används i den population där det är medicinskt motiverat och kostnadseffektivt". Sammanställning av resultat från Vårdanalys enkätundersökning bland verksamhetschefer inom onkologi.



som verksamhetschefer inom onkologi instämmer i påståendet att klinikläkemedelsprojektet gör att det sammantaget tar längre tid innan ett nytt läkemedel används i den population som det är medicinskt motiverat och kostnadseffektivt. Svaren anges på en skala mellan 1 och 5, där 1 innebär att de inte alls håller med och 5 innebär att de håller helt med. Svaren är spridda, men de flesta håller med i relativt stor utsträckning. Tre anger en femma och håller alltså med helt och hållet om att introduktionen försenas, och ytterligare sex av respondenterna anger en fyra. Ingen håller inte alls med om påståendet, men tre av respondenterna anger en tvåa.

2.3 HUR ANVÄNDS TLV:S KUNSKAPSUNDERLAG I UPPHANDLING AV LÄKEMEDEL TILL SLUTENVÅRDEN?

Kunskapsunderlagen används i diskussioner om pris med företagen

Så som klinikläkemedelsprojektet har utvecklats för NLT i vissa fall en prisdiskussion med det aktuella läkemedelsföretaget innan de lämnar en rekommendation till landstingen. Rekommendationen är i dessa fall kopplad till ett av företaget utlovat prisavtal som alla landsting ska erbjudas. I dessa fall har den hälsoekonomiska utvärderingen resulterat i ett högt pris i förhållande till

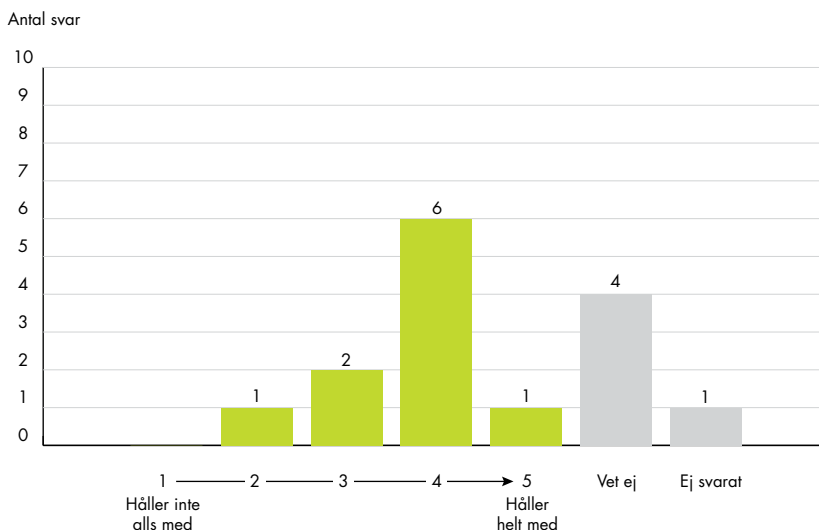
vilken effekt läkemedlet har, och NLT och det aktuella företaget har haft en dialog för att komma överens om ett pris som NLT bedömer som acceptabelt i förhållande till vilken effekt läkemedlet har. Till och med mars 2014 gäller det fyra cancerläkemedel och ytterligare ett läkemedel (se tabell i Bilaga 1).

Enligt de läkemedelsföretag som vi har intervjuat har TLV:s kunskapsunderlag utgjort en mycket viktig utgångspunkt för diskussionerna. I tillägg till priset har även tolkningar och antaganden i de hälsoekonomiska utvärderingarna varit en del av diskussionerna.

Figur 5 visar i vilken utsträckning de verksamhetschefer inom onkologi som har besvarat vår enkät instämmer i påståendet att klinikläkemedelsprojektet leder till lägre läkemedelspriser för de läkemedel som ingår i projektet. På en skala mellan 1 och 5 uppger sju av onkologerna en fyra eller femma. Tre håller med i mindre utsträckning, och fem uppger att de inte vet eller har inte besvarat frågan. För de läkemedel som dessa verksamhetschefer har erfarenhet av inom klinikläkemedelsprojektet har NLT fört en prisdiskussion i samtliga fall.

När det gäller läkemedel inom klinikläkemedelsprojektet där NLT inte har fört någon prisdiskussion, har TLV:s kunskapsunderlag använts av landstingen i viss utsträckning vid inköp av läkemedlen.

Figur 5. Grad av medhåll i påståendet att "klinikläkemedelsprojektet leder till lägre läkemedelspriser för de läkemedel som ingår i projektet". Sammanställning av resultat från Vårdanalys enkätundersökning bland verksamhetschefer inom onkologi.



2.4 HAR FÖRSÖKSVERKSAMHETEN LETT TILL BÄTTRE UTNYTTJANDE AV EXISTERANDE RESURSER FÖR KUNSKAPSVÄRDERING?

Bra att använda nationella resurser för kunskapsvärdering

Både läkemedelschefer, verksamhetschefer inom onkologi och läkemedelsföretag som vi har intervjuat uttrycker att det är bra att den hälsoekonomiska utvärderingen sker på nationell nivå och att TLV används för att genomföra dem. Enligt läkemedelscheferna gjorde inget av de enskilda landstingen den här typen av omfattande hälsoekonomiska bedömningar på egen hand förut. Däremot gjordes någon form av beräkning, men ofta var dessa beräkningar främst budgetmässiga med en kalkyl på hur användningen skulle slå mot budgeten. Den typen av budgetmässiga beräkningar gör landstingen fortfarande, medan den hälsoekonomiska utvärderingen från TLV snarare ses som ett nytt underlag som man inte själv tog fram tidigare. På så vis har de nationella hälsoekonomiska utvärderingarna inte direkt frigjort några resurser i landstingen, men läkemedelschefer och de verksamhetschefer inom onkologi som vi har intervjuat anser att tillgången till kunskapsunderlagen och rekommendationen är värdefulla som beslutsunderlag.

2.5 UTVÄRDERING AV NLT:S REKOMMENDATIONER

Rekommendationen innebär en värdering

TLV:s kunskapsunderlag visar en beräknad, förväntad, kostnad för den hälsoförbättring som följer av att behandla en viss patientgrupp med det aktuella läkemedlet. Men kunskapsunderlagen anger inte i sig om läkemedlet är värt sin kostnad för en viss beslutsfattare. Kostnadseffektivitetskvoten uttrycker en kostnad för ett vunnet kvalitetsjusterat levnadsår och för att fatta beslut krävs även en värdering som svarar på om hälsoförbättringen är värd kostnaden. Det är denna värdering som NLT bidrar med genom sin rekommendation. När NLT ger en positiv rekommendation har de bedömt att hälsoförbättringen är tillräckligt stor för att motivera kostnaden för läkemedlet. Detta är en viktig uppgift och innefattar svåra avvägningar mellan kostnad och nytta.

Om det inte hade funnits någon rekommendation kopplad till kunskapsunderlagen hade varje landsting fått göra denna värdering själva. Det är fullt möjligt, och till och med troligt, att olika beslutsfattare gör olika värderingar, och därmed tar olika beslut. Även om två beslutsfattare har samma uppfattning om en kostnad är det inte säkert att de är lika villiga att betala det aktuella priset. Olika uppfattningar kan också grunda sig i olika tolkningar av

det underliggande materialet, exempelvis hur stor den medicinska effekten är, vilket påverkar uppfattningen om kostnaden.

Det är värdefullt att få en rekommendation

Våra intervjuer med läkemedelschefer visar att samtliga landsting tycker att det är bra att få en rekommendation. Också TLV:s kunskapsunderlag läses och diskuteras inom landstingen i viss utsträckning, men läkemedelschefer menar att det är värdefullt att utöver själva kunskapsunderlagen också få en rekommendation. Särskilt i små landsting uppger de att det inte finns tillräckligt med resurser och specifik kompetens att själva sätta sig in i TLV:s kunskapsunderlag, och därför är rekommendationen en viktig sammanfattning och konkret riktlinje. Även om TLV:s kunskapsunderlag i sig inte alltid används i detalj, tycker de som vi har intervjuat att det är värdefullt att rekommendationen har en hälsoekonomisk utvärdering som utgångspunkt.

Resonemangen bakom rekommendationen är outvecklade

NLT:s rekommendationer är kortfattade och en läkemedelschef lyfter i våra intervjuer fram att de inte utgör fullständigt underlag för formella beslut. Det är tydligt att NLT:s rekommendationer bygger på TLV:s kunskapsunderlag, och i flera av rekommendationerna framgår det att TLV:s beslut inom läkemedelsförmånen används som referensram. NLT menar att de försöker att ge en rekommendation som är i linje med TLV:s beslut inom läkemedelsförmånen.

Ett TLV-beslut inom läkemedelsförmånen innehåller en diskussion där beslutet sätts i relation till den etiska plattformen; människovärdes-, behovs-, solidaritets- och kostnadseffektivitetsprincipen. Vidare sätts beslutet i relation till sjukdomens svårighetsgrad där, enkelt uttryckt, betalningsviljan för ett läkemedel är högre för en svår sjukdom, jämfört med en mindre allvarlig sjukdom. Slutligen, eftersom TLV:s beslut bygger på praxis används tidigare beslut som referenspunkter.

NLT:s rekommendation saknar ofta resonemang kring motiven. Exempelvis, i NLT:s rekommendationer för Yervoy (2012-06-21) och Zelboraf (2013-04-15) motiveras rekommendationen genom att läkemedelsföretagen erbjuder ett pris som TLV sannolikt hade accepterat om preparatet ingått i läkemedelsförmånen. Men det framgår inte vilka TLV-beslut NLT syftar till. Det framgår inte heller vilka parametrar (exempelvis sjukdomens svårighetsgrad) som har påverkat vad som är en acceptabel nivå, och det saknas referenser till relevanta studier. Vidare saknar flera rekommendationer diskussion kring

den etiska plattformen. Exempelvis saknas diskussion om den etiska plattformen för Benlysta (2013-12-04) och Perjeta (2013-10-07).

Under klinikläkemedelsprojektets gång har innehållet i NLT:s rekommendationer utvecklats vad gäller de aspekter som diskuteras ovan. I exempelvis rekommendationen för Yervoy (2014-03-28) finns bland annat rubriken ”NLT-gruppen gör följande bedömning”, där det finns en hänvisning till behovs- och solidaritetsprincipen och sjukdomens svårighetsgrad samt en avvägning mot kostnaden för läkemedlet. Här finns dock möjlighet för ytterligare utveckling av bakomliggande resonemang och avvägningar som gjorts i arbetet med att ta fram rekommendationen.

När landstingen följer en rekommendation från NLT, resulterar detta i en prioritering i landstingen. Landstingen är ansvariga för de beslut som tas om läkemedelsanvändning, men NLT:s rekommendationer har en direkt påverkan på dessa beslut, om rekommendationen efterföljs. Därigenom anser vi att det måste ställas särskilt höga krav på rekommendationerna vad gäller förankring i den lagstiftning som gäller för landstingen och resonemangen bakom motiven till rekommendationen. Detta är viktigt, inte minst för att landstingen ska kunna ta ansvar för sina beslut.

NLT:s rekommendationer till landstingen om hur ett läkemedel ska användas är av olika karaktär (se boxen på nästa sida). Det kan vara en tydlig positiv rekommendation för en viss (liten) grupp patienter, medan behandling av andra patienter inte rekommenderas (till exempel Nulojix). Andra rekommendationer landar i ett betydligt mindre rättframt uttalande. När det gäller Xiapex formulerar NLT att det är upp till enskilda kliniker att göra en medicinsk bedömning och för Eylea att det är upp till varje landsting att avgöra kostnadseffektiviteten, utifrån läkemedelspriset. Några rekommendationer är kopplade till ett av företaget utlovat pris (exempelvis Yervoy och Perjeta).

Figur 6 visar att bland de verksamhetschefer inom onkologi som besvarat vår enkätundersökning tycker tre att NLT:s rekommendationer är mycket tydliga. På en skala mellan 1 och 5 ger åtta onkologer tydligheten en fyra, medan övriga tycker att de är mindre tydliga. Rekommendationerna som berör onkologicheferna har i samtliga fall haft ett prisavtal kopplat till sig. Deras svar säger alltså inget om ifall andra rekommendationer utan prisavtal är tydliga eller användbara. Vår bedömning är att otydliga rekommendationer, som i fallet med Xiapex, riskerar att få mindre följsamhet än tydliga rekommendationer, som i fallet med exempelvis Perjeta.

Exempel på rekommendationer från NLT

Nedan återges utdrag ur fem rekommendationer. Rekommendationerna i sin helhet återfinns på NLT:s hemsida (NLT 2014).

Perjeta – För behandling av HER2-positiv spridd bröstcancer.

NLT-gruppen rekommenderar landstingen att:

- Använda Perjeta enligt det avtal som Roche nu erbjuder landstingen
- Följa upp samtliga patienter på ett nationellt samordnat sätt för möjligheter att värdera användningen av Perjeta

Yervoy – För behandling av avancerat melanom (en typ av hudcancer).

NLT-gruppen rekommenderar landstingen att:

- Använda Yervoy endast inom godkänd indikation och till det av BMS utlovade prisavtalet
- Följa upp samtliga patienter på ett strukturerat sätt

Nulojix – Används för att förhindra transplantatavstötning hos njurtransplantationspatienter.

NLT-gruppen rekommenderar landstingen att:

- Använda Nulojix inom godkänd indikation enligt ovan för det fåtal patienter som inte kan använda den etablerade standardbehandlingen takrolimus eller ciclosporin.

Xiapex – Används för behandling av Dupuytrens kontraktur, vilket är handsjukdom som gör att en eller flera fingrar kröker sig in mot handflatan.

NLT-gruppen rekommenderar landstingen att:

- Efter en sammanvägd medicinsk bedömning i varje enskilt fall använda det lämpligaste av de tre tillgängliga behandlingsalternativen
- Strukturerat följa upp resultaten på kort och lång sikt för var och en av de tre alternativa behandlingarna
- Bevaka att ett nationellt vårdprogram för behandling av Dupuytrens kontraktur tas fram när nödvändiga jämförande studier har genomförts

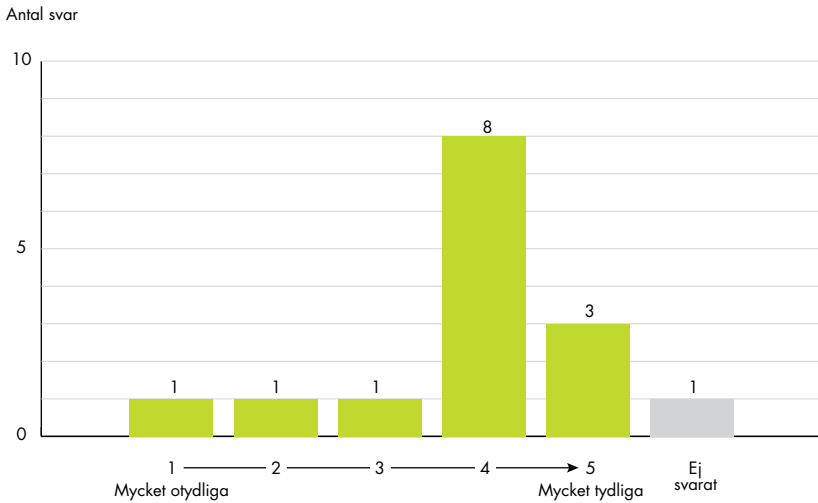
Eylea – Används för behandling av våt åldersrelaterad makuladegenration, vilket är en ögonåkomma som orsakar synnedsättning.

NLT-gruppen rekommenderar landstingen att:

- Använda Eylea enligt indikation som ett kostnadseffektivt alternativ till Lucentis. Då preparaten anses kunna ge likvärdig medicinsk effekt kan prisbilden efter upphandling ha stor betydelse för vilket av preparaten som kan anses vara det mest fördelaktiga alternativet.
- Makularegistret, där så är möjligt, ska användas för uppföljning av alla patienter som behandlas med intraokulära injektioner oavsett preparatval.



Figur 6. "Tycker du att NLT:s rekommendationer är tydliga?" Sammanställning av resultat från Vårdanalys enkätundersökning bland verksamhetschefer inom onkologi.



Ibland är rekommendationen kopplad till ett prisavtal som innehåller sekretessbelagda uppgifter

I vissa fall har NLT fört en prisdiskussion med det aktuella läkemedelsföretaget innan de har gett en rekommendation som då är kopplad till ett av företaget utlovat pris. Detta har skett i de fall då NLT inte bedömde läkemedlet som kostnadseffektivt till det pris som läkemedelsföretaget angav till TLV i underlaget till den hälsoekonomiska utvärderingen. Det saknas insyn i hur prisdiskussionerna mellan NLT och läkemedelsföretagen går till. Det är exempelvis otydligt vem eller vilka i NLT-gruppen som för diskussionerna, och i vilken utsträckning som förhandlingen är förankrad i hela gruppen eller sköts av någon enskild medlem.

De avtal som har tagits fram och tecknats inom ramen för kliniskläkemedelsprojektet kallas ibland för hemliga avtal. Det är inte hela avtalen som är hemliga, utan avtalen innehåller sekretessbelagda uppgifter, där i synnerhet priset på läkemedlet är sekretessbelagt, baserat bland annat på läkemedelsföretagens begäran. Bakgrunden till att läkemedelsföretagen vill sekretessbelägga priset är att många andra länder tillämpar referensprissättning av läkemedel. Det innebär att de använder sig av ett antal andra länders priser, däribland Sveriges, för att prissätta läkemedel i det egna landet. En sänkning av det officiella priset i Sverige skulle därför innebära att

priset måste sänkas i andra länder också, många av dem större och viktigare marknader än Sverige. Läkemedelsföretagen framhåller dock att de inte ser några hinder för att beslutsfattare och andra som behöver ha tillgång till priset för sitt arbete får ta del av hela avtalet, inklusive priset.

Samtliga läkemedelschefer som vi har intervjuat säger att de helst inte vill att avtalen ska innehålla sekretessbelagd information, men det finns också en viss förståelse och acceptans för att de gör det. De flesta menar att de som behöver ha tillgång till de sekretessbelagda delarna i avtalen har det, och att sekretessen på så vis inte påverkar verksamheten negativt. Samtidigt framgår det av våra intervjuer med läkemedelschefer att landstingen gör olika bedömningar av vilken information de kan sprida internt och till vem. Vissa landsting informerar sina verksamhetschefer om de sekretessbelagda delarna medan andra inte gör det. De landsting som inte informerar sina verksamhetschefer menar att brist på information (exempelvis pris) försvårar verksamhetschefer arbete eftersom de ofta har budgetansvar.

Sekretessen i avtalen har prövats rättsligt. Avtalet för läkemedlet Yervoy som slutits mellan Region Skåne och BMS har begärts ut av Dagens Medicin. Innan Region Skåne lämnade ut handlingen till Dagens Medicin, sekretessbelade Region Skåne själva rabattdelen av avtalet. Kammarrätten fann att det var korrekt att rabattdelen omfattades av sekretess. Bland annat bedömde Kammarrätten att ett utlämnande av rabattdelen i avtalet kunde antas försvåra möjligheten att sluta ekonomiskt fördelaktiga avtal i framtiden.

Prisavtalen är av olika karaktär och kan vara komplexa

De avtal som har tagits fram inom ramen för klinikläkemedelsprojektet är av olika karaktär. I något fall rör det sig om en direkt prissänkning där priset per förpackning är sekretessbelagt. Prissänkningen kan dock vara mer komplex än så, och avtalet kan innehålla rabatter i form av exempelvis återbetalning där läkemedelsföretagen i efterhand betalar tillbaka en del av läkemedelskostnaden till landstingen, eller i form av så kallad riskdelning. Riskdelning innebär att landstingen endast betalar läkemedelskostnaden för de patienter där läkemedlet har effekt.

Avtalet om Zytiga är ett exempel på ett riskdelningsavtal. Enligt avtalet återbetalas en del av kostnaden för läkemedlet för patienter som efter 12 veckor inte uppvisar en klar medicinsk förbättring (enligt parametrar som specificeras i avtalet). Härutöver består avtalet om Zytiga även av en direkt sänkning av landstingens inköpspris (så kallad rabattåterbäring).

Flera läkemedelschefer tycker att några av de rabattavtal som tagits fram



inom ramen för klinikläkemedelsprojektet är krångliga då de ställer krav och skapar administrativt merarbete. Exempelvis kan rabattavtalen, speciellt riskdelningsavtal, innehålla krav på rapportering av medicinska parametrar som landstingen inte har rutiner för att samla in. Avtalen kan också innebära administrativt merarbete då återbetalningarna måste följas upp och återföras till rätt verksamhet.

Det saknas fortfarande rekommendationer för några läkemedel

Det finns fler kunskapsunderlag från TLV än rekommendationer från NLT. Detta är till viss del naturligt eftersom NLT:s rekommendationer baseras på TLV:s kunskapsunderlag som måste tas fram före rekommendationen. Ibland tar det dock mycket lång tid mellan det att TLV publicerar sitt kunskapsunderlag och att NLT ger sin rekommendation. Fram till hösten 2013 fanns det få NLT-rekommendationer (tre stycken), jämfört med antalet kunskapsunderlag från TLV (15 stycken). Under vintern 2013–2014 har NLT däremot publicerat tolv rekommendationer. Men fortfarande finns det några läkemedel utan rekommendation där kunskapsunderlagen publicerades för över ett år sedan. Två av dessa fall rör sig om så kallade sär läkemedel, vilket innebär att de är framtagna för behandling av sjukdomar som drabbar ett fåtal personer (färre än 5 av 10 000 personer i EU).

NLT framhåller att den främsta anledningen till att dessa sär läkemedel ännu inte har fått någon rekommendation är att det saknas riktmärken för vad som av samhället anses rimligt att betala för sär läkemedel. Kostnaden för dessa läkemedel är ofta, men inte alltid, betydligt högre per hälsoeffekt än andra klinikläkemedel, och överstiger ofta den betalningsvilja som har vuxit fram genom praxis för förmånsläkemedel. NLT menar att de inte på egen hand vill utarbeta en praxis för betalningsviljan för sär läkemedel då de inte anser sig ha mandat att göra det. De avvaktar därför ett betänkande från Läkemedels- och apoteksutredningen (S 2011:07) som förväntas lämna ett förslag om prissättningen av sär läkemedel under hösten 2014. Så länge det inte finns tydlig vägledning om hur sär läkemedel ska hanteras, bedömer NLT att sär läkemedlen är en begränsning i projektet som inte går att komma runt.

Det tredje läkemedlet som saknar rekommendation trots att TLV:s kunskapsunderlag publicerades för över ett år sedan är bröstcancerläkemedlet Halaven. I det här fallet menar NLT att den fördröjda handläggningstiderna delvis beror på bristande resurser i NLT-gruppen.

Fördröjd eller utebliven rekommendation påverkar patienterna negativt om det leder till begränsad tillgång till läkemedel. Långdragna processer har

även skapat irritation hos läkemedelsindustrin som ifrågasätter nyttan med att stora resurser läggs på att ta fram underlag för bedömning om detta ändå inte resulterar i någon rekommendation inom rimliga och angivna tidsramar. Läkemedelsföretaget bakom Halaven (Eisai) menar att de är låsta i processen utan möjlighet att påverka tidsramarna. Enligt Eisai har konsekvensen av den långdragna processen blivit att TLV:s kunskapsunderlag för Halaven har hunnit bli inaktuellt. Under tiden som kunskapsunderlaget har varit hos NLT har ett generiskt jämförelsealternativ introducerats på den svenska marknaden. Detta påverkar priset på jämförelsealternativet, och NLT vill uppdatera kunskapsunderlaget för Halaven innan de avger en rekommendation.

Rekommendationerna kommer från en intresseorganisation som inte omfattas av viktiga regelverk

Alla prioriteringar inom hälso- och sjukvård ska styras av de etiska principer som riksdagen beslutat om och som uttrycks i 2 § hälso- och sjukvårdslagen (1982:763); 1) människovärdesprincipen, 2) behovs- och solidaritetsprincipen och 3) kostnadseffektivitetsprincipen. Beslut om läkemedelsanvändning innebär en prioritering, och även beslut angående läkemedel som ingått i klinikläkemedelsprojektet ska styras av den etiska plattformen.

I vår delrapport konstaterade vi att NLT inte har konstruerats för sitt nuvarande uppdrag. Eftersom NLT är en del av SKL, det vill säga en intresse- och arbetsgivarorganisation, måste de inte följa den etiska plattformen, men kan välja att göra det. Landstingen däremot är skyldiga att följa den.

NLT menar att de grundar sina rekommendationer i de etiska principerna på samma sätt som TLV:s nämnd är skyldiga att göra när de fattar beslut om förmånsläkemedel enligt lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner. NLT är samtidigt tydliga med att det är landstingen som är formellt ansvariga för att de beslut de fattar tas i linje med den etiska plattformen. Utifrån våra intervjuer med läkemedelschefer uppfattar vi det som att landstingen inte gör någon direkt bedömning av om en rekommendation från NLT följer de etiska principerna, utan att de förlitar sig på att den gör det. Det förefaller alltså som att det finns en risk att båda parter förlitar sig på att den andra tar ansvar för att rekommendationen eller beslutet är förankrat i den etiska plattformen, vilket givetvis inte en acceptabel ordning.

Det finns även andra viktiga regelverk som NLT, till skillnad från landstingen, inte omfattas av. NLT omfattas inte av tryckfrihetsförordningen (1949:105) eller offentlighets- och sekretesslagen (2009:400). Detta leder exempelvis till att NLT inte omfattas av offentlighetsprincipen.



NLT-gruppen har en viktig roll i klinikläkemedelsprojektet och är en del av en intresseorganisation

NLT-gruppen innehar en mycket viktig roll i klinikläkemedelsprojektet. För det första bestämmer NLT-gruppen vilka läkemedel som ska ingå i klinikläkemedelsprojektet. För det andra prisdiskuterar NLT med läkemedelsföretagen och för det tredje lämnar NLT en rekommendation om läkemedlets användning till landstingen.

NLT-gruppen är en samverkansgrupp inom SKL och är tillsatt på uppdrag av Sveriges landstingsdirektörer. Gruppen består av omkring tio personer som är anställda vid olika landsting och därutöver ett par personer som är anställda av SKL. Under klinikläkemedelsprojektets gång har gruppen förstärkts med en adjungerad hälsoekonom.

NLT-gruppen fanns redan innan klinikläkemedelsprojektet startade och fungerade då som stöd för landstingen vad gäller introduktionen av ett fåtal nya läkemedel. I TLV:s förstudie om klinikläkemedelsprojektet (Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket 2010), och sedermera även i TLV:s regeringsuppdrag (S2010/8066/HS) om hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel, framhålls att det är landstingen som har den största nyttan av utvärderingarna, och att det därför är landstingen, genom NLT-gruppen, som bör avgöra vilka läkemedel som ska genomgå en hälsoekonomisk utvärdering. När klinikläkemedelsprojektet startade fick NLT även rollen att ge rekommendationer till landstingen baserat på TLV:s kunskapsunderlag, och NLT:s funktion blev därmed betydligt mer omfattande än den hade varit förut. Vår tolkning är att NLT:s vidgade roll sannolikt var en pragmatisk lösning där det inte fanns några andra lämpliga aktörer eller strukturer som stod redo att konkretisera en rekommendation utifrån TLV:s kunskapsunderlag.

Vissa patientföreträdare och läkemedelsföretag uttrycker att det är angeläget att det finns någonstans att vända sig för till exempel en omprövning av rekommendationerna, och någon sådan möjlighet finns inte i dagsläget. De lyfter även fram att det är ett problem att de i kontakter med NLT vänder sig till enskilda medlemmar och inte till NLT som organisation. NLT saknar i dagsläget kanslifunktion och andra formella kontaktfunktioner.

Hanteringen av klinikläkemedel är en viktig process med stor ekonomisk betydelse som kan anses vara riskfylld

Varken TLV eller NLT tar några beslut i klinikläkemedelsprojektet, utan de formella besluten tas av de enskilda landstingen. TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer fungerar dock som beslutsstöd och har potentiellt

sett stor påverkan på de beslut som landstingen tar. Både TLV:s bedömningar och NLT:s resonemang och eventuella prisdiskussioner är viktiga processer för läkemedelsföretagen, eftersom TLV:s och NLT:s arbete påverkar deras möjligheter att marknadsföra och sälja sina produkter.

TLV:s kunskapsunderlag, NLT:s rekommendation och i slutändan landstingens beslut kan ha stor ekonomisk betydelse för landstingen och berörda läkemedelsföretag. Totalt uppgick landstingens kostnader för klinikläkemedel till 6,8 miljarder kronor år 2013 (SKL 2014). Denna summa inkluderar samtliga, och inte enbart nyintroducerade, klinikläkemedel, men det ekonomiska värdet av de läkemedel som TLV och NLT hanterar inom klinikläkemedelsprojektet är också betydande. En grov överslagsräkning av det ekonomiska värdet på tre av de läkemedel (Yervoy, Zytiga och Perjeta) där NLT har prisdiskuterat med respektive läkemedelsföretag visar att det rör sig om en halv miljard kronor per år för dessa tre läkemedel tillsammans, baserat på de priser som angavs till TLV vid den hälsoekonomiska utvärderingen (före rabatter) och antaganden om antal patienter som är aktuella för behandling. Härutöver finns det alltså flera läkemedel som det inte sker någon prisdiskussion om på nationell nivå, men där TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendation ändå kan komma att spela stor roll för inköp av läkemedel i de enskilda landstingen.

Riksrevisionen (2005) har identifierat besluten inom läkemedelsförmånen som en riskutsatt verksamhet vad gäller mutor, bestickning och annan form av otillbörlig påverkan. Riksrevisionen lyfter fram de hälsoekonomiska utvärderingarna som en särskild riskfaktor då de menar att utvärderingarna uppfattas som svåra att förstå av flera inblandade och då det dessutom finns stort tolkningsutrymme, i synnerhet då de etiska principerna ska vägas samman i beslutet om subvention.

Vi bedömer att klinikläkemedelsprojektet har flera likheter med beslut inom läkemedelsförmånen, även om den totala kostnaden för läkemedelsförmånen är betydligt större (19,3 miljarder per år enligt SKL 2014) än för klinikläkemedel och även om varken TLV eller NLT tar några formella beslut inom klinikläkemedelsprojektet. På liknande sätt som för beslut inom läkemedelsförmånen kan verksamheten som bedrivs inom klinikläkemedelsprojektet ses som riskutsatt vad gäller yttre påtryckningar. Vad gäller jäv och utrymme för tolkningsmöjligheter framhävs oklarheter kring experters oberoende samt vikten av enskilda experters utlåtande och hur experter tillsätts i ett par av våra intervjuer, vilket belyser att det kan förekomma problem. Misstankar om jäv och andra oegentligheter kan skada verksamhetens legitimitet även om inga faktiska oegentligheter har förekommit.



Vårdanalys har inom ramen för uppdraget att utvärdera nyttan med hälsoekonomiska utvärderingar inte granskat enskilda fall där jäv kan ha förekommit i samband med arbetet med TLV:s kunskapsunderlag eller NLT:s rekommendationer. Men vi vill påvisa risken för problem och anser att det är viktigt att samtliga inblandade aktörer tar ansvar för att på olika sätt säkerställa att jäv, mutor eller andra oegentligheter inte förekommer.

2.6 KUNSKAPSUNDERLAGENS TRÄFFSÄKERHET OCH LIVSLÄNGD

Utmaningen är att skapa en hälsoekonomisk modell som avspeglar verkligheten

När förhållandet mellan kostnader och hälsovinster för en viss behandling, den så kallade kostnadseffektkvoten, räknas ut i en hälsoekonomisk utvärdering används ofta information från flera olika datakällor. Det beror på att det vanligtvis saknas information om en behandlings kostnader och effekter från en och samma källa, till exempel från en enda klinisk prövning. Exempelvis ger medicinska studier information om den medicinska effekten, vårdkostnader hämtas ofta från prislistor för sjukhus, och indirekta kostnader baseras ofta på genomsnittlig konsumtion och lön för befolkningen i den aktuella åldersgruppen och hämtas från officiell statistik. Ofta finns det också delar som behöver uppskattas, eller modelleras, för att det inte finns någon information att hämta från någon särskild källa. Det kan exempelvis röra sig om att den medicinska studien inte följer alla patienter som ingick i studien under hela deras livstid. Målet med att använda sig av flera olika källor och modellering i den hälsoekonomiska utvärderingen är att kunna göra en beräkning av kostnadseffektkvoten som avspeglar verkligheten så bra som möjligt och därmed ge beslutsfattaren ett underlag med så hög validitet som möjligt.

Med kunskapsunderlagens träffsäkerhet avser vi hur väl den uppskattade kostnadseffektkvoten som presenteras i underlagen, som baseras på modellering och information från olika datakällor, stämmer överens med den verkliga kostnadseffektkvoten, det vill säga den kvot som uppstår i den faktiska användningen av läkemedlet. Datakällorna är behäftade med osäkerhet och systematiska fel som leder till sämre träffsäkerhet i den hälsoekonomiska utvärderingen. Det finns flera exempel på felkällor som försämrar träffsäkerheten, däribland exempelvis hur väl informationen som ligger till grund för den hälsoekonomiska utvärderingen avspeglar den verkliga behandlingssituationen och variation i kostnadseffektkvoten (se boxen på nästa sida för exempel).

Exempel på faktorer som påverkar träffsäkerheten i TLV:s kunskapsunderlag

Det underliggande materialets överensstämmelse med den verkliga behandlingssituationen

Medicinska studier, vars syfte är att mäta den medicinska effekten av en behandling, utgör en väsentlig del av hälsoekonomiska utvärderingar. För att säkerställa att det enbart är den medicinska effekten som mäts, eftersträvas att den grupp som ingår i en studie är så homogen som möjligt. Nackdelen med att utgå från en homogen grupp är att gruppen i studien inte behöver vara representativ för den population som sedan kommer att få den aktuella behandlingen, och det kan därför bli svårt att generalisera resultaten i en studie till populationen som senare kommer att få en viss behandling. Detta gör att den skattade kostnadseffektkvoten i en hälsoekonomisk utvärdering inte avspeglar verkligheten, och därmed innebär minskad träffsäkerhet. På liknande sätt kan oriktig avspiegning i någon av de andra datakällorna som ingår i den hälsoekonomiska utvärderingen göra att träffsäkerheten minskar.

Kunskapsunderlagen redovisar en kostnadseffektkvot, men heterogenitet leder till att en viss behandling kan ha flera kostnadseffektkvoter

Den medicinska effekten av ett läkemedel varierar mellan individer. Exempelvis kan den kliniska effekten variera mellan patienter som befinner sig i olika stadier av sjukdomen eller som svarar olika på samma behandling. Om effekten av läkemedelsanvändning skiljer sig mellan patienterna, skiljer sig också kostnadseffektiviteten. TLV:s kunskapsunderlag presenterar ibland flera, men ofta bara en, kostnadseffektkvot i sina kunskapsunderlag. Detta innebär att träffsäkerheten kan vara hög för en grupp och låg för en annan.

Kunskapsunderlagen för Jevtana är ett exempel där analysen har gjorts för en subgrupp, med resultatet att användningen är mer kostnadseffektiv för patienter som initialt har svarat på docetaxel men som progredierade inom tre månader efter den tidigare docetaxelbehandlingen. Även i kunskapsunderlaget för Nulojix identifieras en subgrupp av patienter där användningen av läkemedlet är mer kostnadseffektivt än för övriga. Det rör sig om patienter där behandlingsalternativet är dialys. Fler sådana subgruppsanalyser utifrån relevanta och identifierbara medicinska parametrar skulle kunna vara informativt och bidra till större kunskap om hur kostnadseffektivitet varierar mellan individer och grupper. Därigenom skulle det bidra till ökad träffsäkerhet i den hälsoekonomiska utvärderingen och mer effektiv användning av läkemedlet.

Kliniska experter spelar en viktig roll för att öka träffsäkerheten

I syfte att se till att informationen avspeglar verkligheten i största möjligaste mån, och på så vis göra utvärderingen så träffsäker som möjligt, har TLV till uppgift att bedöma validiteten i den information som ligger till grund för



den hälsoekonomiska utvärderingen. I detta arbete spelar kliniska experter en viktig roll genom att bedöma bland annat hur väl den medicinska studien avspeglar den behandlingssituation som kommer att uppstå i klinisk praxis vad gäller exempelvis patientsammansättning, om de kliniska effekterna är rimliga, om alla relevanta studier är inkluderade i underlaget, om bieffekter och vilken population som kommer att använda ett visst läkemedel. TLV har två vetenskapliga expertgrupper (vetenskapliga råd för läkemedel och tandvård) varifrån de främst rekryterar sina experter. TLV använder sig av mellan en och tre experter per hälsoekonomisk utvärdering. I början av klinikläkemedelsprojektet utgjorde rekryteringen av experter en flaskhals som förlängde handläggningstiderna. TLV menar att rekryteringen numera påbörjas tidigare och inte längre fördröjer handläggningstiderna på samma sätt som tidigare, även om det ibland är svårt att hitta lämpliga experter.

Olika experter och intressenter har ofta olika uppfattning om vilket scenario som bäst avspeglar verkligheten, vilket belyser svårigheten i att veta vad som är de mest rätta antagandena. TLV bedömer, med hjälp av kliniska experter, vad de anser är det mest troliga scenariot. Kunskapsunderlagen innehåller också känslighetsanalyser, som visar hur kostnadseffektkvoten ändras när något viktigt underliggande antagande ändras.

Uppföljning och fortsatta studier förbättrar kunskapen om verkliga hälsoeffekter och kostnadseffektivitet, men innebär en kostnad

TLV:s hälsoekonomiska utvärderingar rör oftast nya läkemedel och görs i ett tidigt stadium av läkemedlets kliniska användning. Eftersom läkemedlet inte har använts i klinisk vardag ännu är det kliniska underlaget ofta begränsat. När läkemedlet väl börjar användas i klinisk vardag kan behandlingsresultaten vara annorlunda jämfört med de tidiga studierna. För att ytterligare öka kunskapen är det värdefullt att följa upp såväl läkemedlets effekter i klinisk praxis som karaktäristika hos patienterna som blir behandlade. De tidiga utvärderingarna av TLV är värdefulla för att ge en bild av kunskapsläget i ett tidigt skede, men det finns mer kunskap att hämta när läkemedlet har börjat användas. Inom klinikläkemedelsprojektet är Yervoy ett exempel på hur ny kunskap inhämtad efter introduktionen används och hur detta kan minska osäkerheten kring läkemedlets medicinska effekt. Yervoy har ingått i klinikläkemedelsprojektet två gånger, först för att utvärdera kostnadseffektiviteten i behandling i andra linjen (juni 2012), och senare för utökad användning i första linjen (mars 2014). Vid den andra utvärderingen fanns mer uppföljningsdata att tillgå än vid första tillfället, vilket minskade osäkerheten i bedömningen av långtidseffekter på överlevnad.

För många av sjukvårdens metoder, däribland för läkemedel, finns kunskapsluckor även efter flera års eller till och med flera decenniers användning i klinisk vardag. Statens beredning för medicinsk utvärdering (SBU) har skapat en databas där så kallade kunskapsluckor registreras (SBU 2014). I mars 2014 innehåller databasen över 1 000 identifierade kunskapsluckor. Den brittiska motsvarigheten innehåller ännu fler (NICE 2014).

Ofta är dock inhämtandet av mer information förenat med en kostnad. En vanlig läkemedelsprövning kan kosta över 250 000 kronor per patient (Cutting Edge Information 2011). Därför måste värdet av den ytterligare informationen vägas mot kostnaden för att få den. I dagsläget finns ingen beslutsprocess om vilka läkemedel som ska undersökas ytterligare, men NLT:s rekommendationer innehåller ofta en uppmaning om att läkemedlet ska följas upp.

Kunskapsunderlagen och rekommendationerna är relevanta bara så länge förutsättningarna i analysen inte ändras

I stort sett samtliga läkemedelschefer som vi har intervjuat är överens om att livslängden för kunskapsunderlagets tillförlitlighet varierar mellan olika läkemedel. Med kunskapsunderlagets tillförlitlighet avses här hur länge kunskapsunderlagen är användbara för att de avspeglar verkligheten på ett bra sätt. TLV ser på sina kunskapsunderlag som en färskvara: de är i huvudsak ett verktyg vid introduktionen av ett läkemedel men har därefter spelat ut sin roll.

En hälsoekonomisk utvärdering är en korrekt beskrivning så länge som de antaganden och ingående parametrar som ligger till grund för modellen stämmer överens med verkligheten. Om priset på det aktuella läkemedlet eller på jämförelsealternativet ändras blir den beräknade kostnadseffektkvoten inaktuell. Likaså kan nya behandlingsalternativ eller ny information om till exempel läkemedlets effekt och säkerhet göra kunskapsunderlaget inaktuellt. Särskilt inom cancerområdet är det sistnämnda en stor fråga. De så kallade regulatoriska prövningarna (som ligger till grund för godkännandet för försäljning) har som regel inte pågått tillräckligt länge för att kunna visa genomsnittlig effekt på total överlevnad utan rapporterar något intermediärt mått, som progressionsfri överlevnad i median, och genomsnittlig total överlevnad måste modelleras med statistiska metoder. När ytterligare data om total överlevnad kommer fram ändras förutsättningarna för analysen, och utvärderingen kan behöva uppdateras. Resultaten i kunskapsunderlagen kan alltså behöva uppdateras, men välgjorda modellramverk och analyser kan ha lång livslängd och användas för uppdatering med nya data. För att TLV ska kunna göra sådana uppdateringar behöver de naturligtvis tillgång till både den nya



informationen och till den hälsoekonomiska modellen som läkemedelsföretaget tog fram i samband med den initiala utvärderingen.

TLV:s kunskapsunderlag innehåller känslighetsanalyser som till exempel visar resultat för olika priser på både det aktuella läkemedlet och för jämförelsealternativet och för olika antaganden om medicinsk effekt. På så vis förlängs livslängden på underlagen. En central fråga är vilken beredskap och förmåga landstingen och NLT har att dels gå tillbaka och ompröva sina beslut och rekommendationer baserat på de känslighetsanalyser som finns i TLV:s kunskapsunderlag och som framkommer vid eventuella uppföljningar och fortsatta studier av läkemedlet. På NLT:s initiativ har två kunskapsunderlag uppdaterats inom ramen för klinikläkemedelsprojektet när ny information kommit fram. Det rör sig om hälsoekonomisk utvärdering av två indikationer för läkemedlet Lucentis, där det framkommit nya uppgifter om bland annat omkostnaderna vid behandling.

I takt med att omvärlden förändras och nya konkurrerande läkemedel och behandlingar tillkommer behöver nya hälsoekonomiska underlag tas fram för den nya situationen. Hur snabbt nya konkurrerande behandlingsalternativ blir tillgängliga kan variera mellan olika läkemedelsområden. För flera av de läkemedel som tills nu har ingått i klinikläkemedelsprojektet pågår en snabb och fortsatt läkemedelsutveckling, vilket innebär att det kommer att finnas fortsatt behov av nya underlag.

2.7 ANALYS AV OM KUNSKAPSUNDERLAGEN LEDER TILL EN MER JÄMLIK VÅRD MELLAN OCH INOM LANDSTING

Det finns regionala skillnader i vård och läkemedelsanvändning

Det finns flera rapporter som belyser att svensk sjukvård varierar mellan landsting, och att patienter får tillgång till olika vård beroende på var i landet de bor (se till exempel Socialstyrelsen och SKL 2013a, Socialstyrelsen 2013a och 2013b samt Socialstyrelsen 2011). Likaså finns det regionala skillnader i läkemedelsanvändning (Socialstyrelsen och SKL 2013b, IMS Health 2010).

Figur 7 illustrerar att det finns regionala skillnader i användningen även av läkemedel som har ingått i klinikläkemedelsprojektet, och visar att det rör sig om skillnader både vad gäller när ett läkemedel börjar användas och i vilken utsträckning det används. Eftersom vissa behandlingar, speciellt specialistbehandlingar, genomförs inom ramen för sjukvårdsregionerna, är statistiken uppdelad på sjukvårdsregioner istället för på enskilda landsting. För fem läkemedel som har ingått i klinikläkemedelsprojektet, visar den vänstra

delen av figuren vid vilken tidpunkt den första försäljningen sker till ett landsting i respektive region ("Tidpunkt för introduktion"). Till exempel, vad gäller Yervoy, skedde den första försäljningen till den norra sjukvårdsregionen i oktober 2011. För respektive läkemedel och sjukvårdsregion visar den högra delen av figuren ("Användning 2013") försäljningsvolym per 100 000 invånare år 2013. Försäljningsvolymen uttrycks i ett index mellan 0 och 100. Den region som har den största volymen för respektive läkemedel har index=100. Övriga regioners volym uttrycks i förhållande till detta. Till exempel, vad gäller Yervoy, skedde sen största försäljningen år 2013 till den södra sjukvårdsregionen. Den västra sjukvårdsregionen hade den minsta volymen, vilket motsvarar 43 procent av volymen i den södra regionen. Försäljningsvolymen är justerad för den totala befolkningens mängden i regionen med hjälp av Statistiska Centralbyråns (2014) befolkningsstatistik.

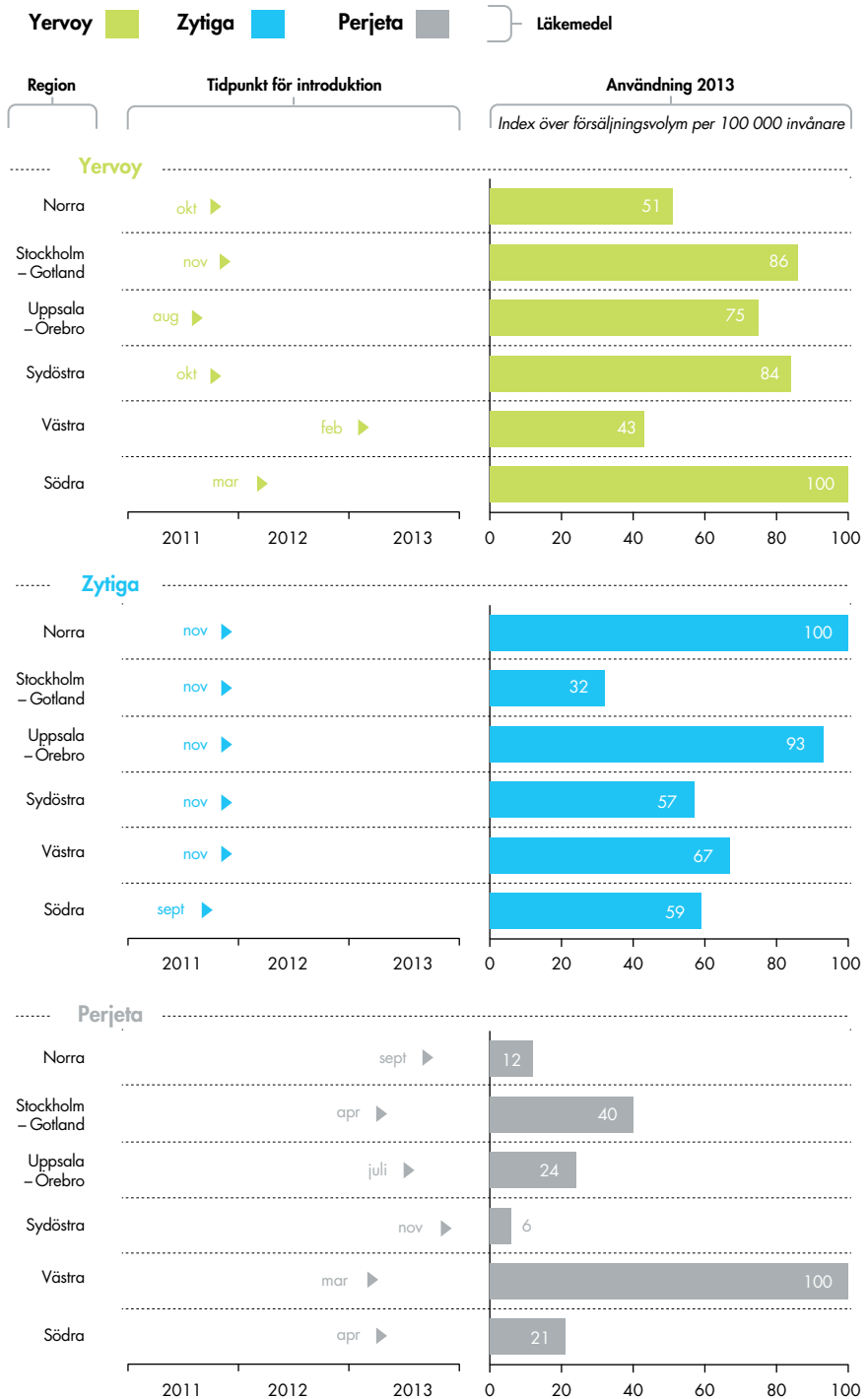
Yervoy och Zytiga är de två första läkemedlen som ingick i kliniskläkemedelsprojektet. De är båda cancerläkemedel och godkändes av EMA i juli respektive september 2011, och NLT uttalade sig med en positiv rekommendation efter prisdiskussioner med de aktuella läkemedelsföretagen i juni respektive december 2012. Figuren visar att i synnerhet användningen av Yervoy påbörjades vid olika tidpunkter i olika regioner, och att den södra sjukvårdsregionen påbörjade användningen av Zytiga tidigare än andra regioner. Under 2013, det vill säga efter att NLT kommit med en rekommendation om användningen, finns det skillnader i vilken utsträckning läkemedlen används i sjukvårdsregionerna. Exempelvis använder den södra sjukvårdsregionen betydligt mer Yervoy än särskilt den västra och norra sjukvårdsregionen, och den norra sjukvårdsregionen och Uppsala-Örebro-regionen använder betydligt mer Zytiga än övriga regioner.

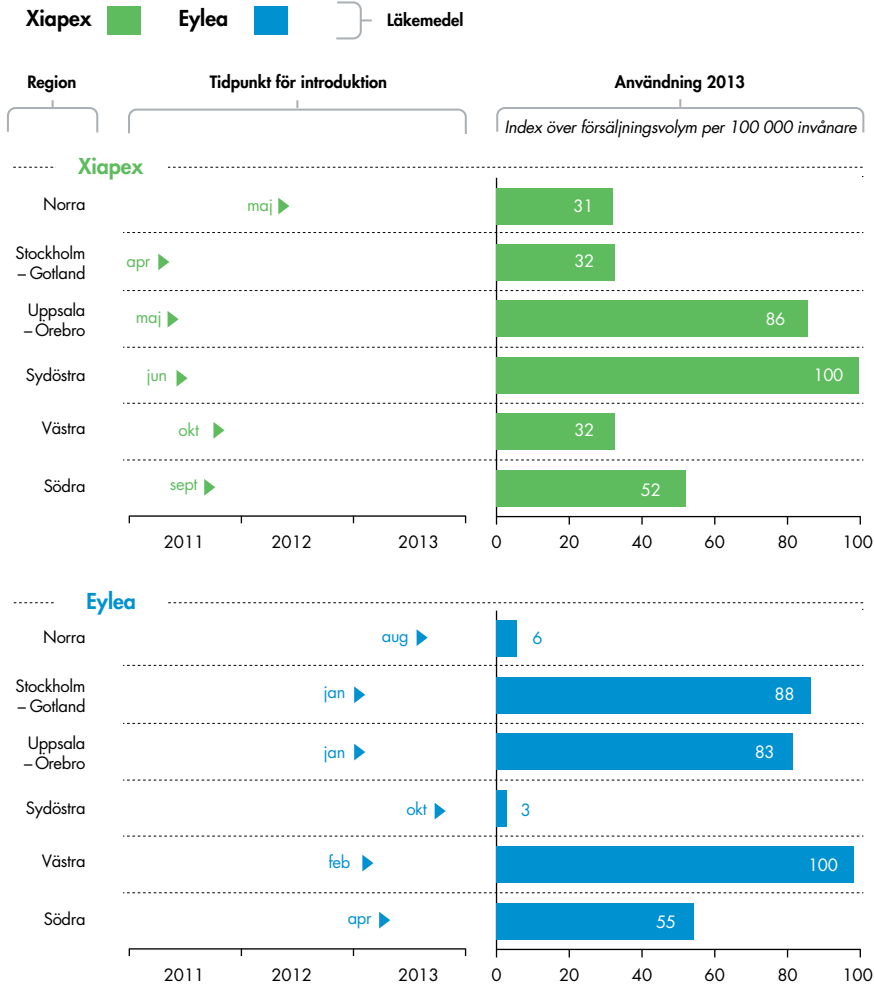
Även Perjeta är ett cancerläkemedel. Det godkändes för försäljning i mars 2013, och tidpunkten då Perjeta introducerades i sjukvårdsregionerna varierar mars och november 2013. Även nivån på användningen varierar, och i synnerhet den västra regionen använde betydligt mer Perjeta under 2013 än övriga regioner. NLT:s rekommendation kom i oktober 2013, vilket innebär att den största delen av information om Perjeta baseras på fasen innan NLT:s rekommendation och läkemedlets första nio månader på marknaden.

Xiapex och Eylea är läkemedel som används för att behandla en hand-sjukdom respektive en ögonåkomma. De har funnits på marknaden sedan februari 2011 respektive november 2012 och fick en rekommendation från NLT i oktober respektive november 2013. Även för dessa läkemedel skiljer sig sjukvårdsregionerna åt vad gäller introduktion och nivå på användningen. Exempelvis ser vi att norra sjukvårdsregionen använde Xiapex för första



Figur 7. Regionala skillnader i tidpunkt för introduktion och omfattning av användning av fem läkemedel som ingått i klinikläkemedelsprojektet.





Källa: Egna beräkningar utifrån försäljningsstatistik från Apotekens Service AB och befolkningsdata från Statistiska Centralbyrån (2014).

gången i maj 2012 medan motsvarande för Stockholm-Gotland är april 2011. Norra och sydöstra sjukvårdsregionerna använder betydligt mindre Eylea än exempelvis västra sjukvårdsregionen. Till skillnad mot Yervoy, Zytiga och Perjeta finns det tydliga behandlingsalternativ för Xiapex och Eylea på marknaden. Enligt TLV:s kunskapsunderlag är Lucentis ett behandlingsalternativ för Eylea och kirurgi eller nålbehandling är alternativa behandlingar för Xiapex. Det innebär att de regionala skillnaderna som synliggörs i

figur 7 inte nödvändigtvis innebär att patienter i olika sjukvårdsregioner får tillgång till behandling i olika utsträckning, utan att patienter i olika landsting behandlas på olika sätt men potentiellt med likvärdiga medicinska resultat. Om så är fallet belyser alltså statistiken för Xiapex och Eylea skillnader i lokala behandlingstraditioner snarare än skillnader i tillgång till behandling. Exempelvis kan priserna på Lucentis och Eylea skilja sig mellan landsting. Detta påverkar kostnadseffektiviteten och sannolikt också i vilken utsträckning de två alternativa läkemedlen används för behandling.

Sammantaget pekar befintlig försäljningsstatistik på att det finns regionala skillnader i läkemedelsanvändning för de läkemedel som har ingått i klinikläkemedelsprojektet, men det är svårt att urskilja mönster där en och samma sjukvårdsregion är den som var först eller sist med att börja använda ett läkemedel eller som använder läkemedlet i betydligt mer eller mindre omfattning än andra regioner. Introduktions- och användningsmönster verkar istället skilja sig från läkemedel till läkemedel.

I urvalet av läkemedel till figur 7 ingår inte något sär läkemedel, eftersom patientunderlaget är litet och det därmed blir svårt att tolka eventuella regionala skillnader. Likaså exkluderas läkemedel som är godkända för flera indikationer, eftersom det i dessa fall inte går att veta vilken indikation läkemedlet används för, och därmed om en eventuell skillnad finns vad gäller just den indikation som varit föremål för klinikläkemedelsprojektet. Bland övriga läkemedel är urvalet gjort med hänsyn till att inkludera läkemedel från flera terapiområden. Bilaga 1 listar samtliga läkemedel som ingått i klinikläkemedelsprojektet till och med mars 2014, tillsammans med bland annat datum för EMA:s godkännande, TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendation.

Det finns stora begränsningar i vårt statistikunderlag, vilket begränsar möjligheterna att genomföra en fullständig och mer detaljerad kvantitativ analys. Figur 7 ska därför ses som ett försök att med hjälp av tillgänglig statistik beskriva övergripande skillnader mellan landsting. En väsentlig begränsning för att göra en fullständig analys består i att försäljningsstatistiken enbart är justerad för den totala befolkningens mängd per sjukvårdsregion. Statistiken visar inte behovet av läkemedelsanvändning, det vill säga hur många patienter som är aktuella för behandling. En del av variationen som syns i figur 7 skulle alltså kunna förklaras av att antalet patienter som har behov av läkemedlet skiljer sig mellan regionerna. En annan begränsning är att det utifrån den här statistiken inte går att dra någon slutsats om huruvida klinikläkemedelsprojektet har lett till större eller mindre regionala skillnader i läkemedelsanvändningen.

Flera förklaringsfaktorer till regionala skillnader i läkemedelsanvändning

En stor svårighet med att analysera vilka effekter de hälsoekonomiska utvärderingarna har på skillnader både inom och mellan landsting, är att information saknas om hur läkemedelsanvändningen för dessa läkemedel hade sett ut om de inte hade ingått i klinikläkemedelsprojektet. Utifrån figur 7 kan vi konstatera att det finns regionala skillnader, men det går inte att avgöra ifall skillnaderna är större eller mindre än vad de hade varit om klinikläkemedelsprojektet inte fanns. För att belysa frågan om vilken skillnad de hälsoekonomiska utvärderingarna har på regionala skillnader utgår vi därför istället från ett teoretiskt resonemang kring förklaringsfaktorer till regionala skillnader. Därefter redogör vi för hur patientorganisationer, läkemedelschefer och verksamhetschefer inom onkologi ser på klinikläkemedelsprojektets möjligheter att bidra till mindre regionala skillnader i läkemedelsanvändning.

Den finns flera möjliga orsaker till regionala skillnader i läkemedelsanvändning. En förklaringsfaktor som lyfts fram i litteraturen är att det finns lokala behandlingstraditioner som gör att behandlingspraxis skiljer sig mellan regioner. I en studie av introduktionen av två specifika läkemedel (trastuzumab och TNF-hämmare) i Sverige drar Brommels och medförfattare (2013) slutsatsen att läkarprofessionen spelar en central roll i beslutsprocessen vid introduktion av nya läkemedel, och att observerade regionala skillnader i förskrivningsmönster främst förklaras av de kollegiala nätverkens förhållningssätt till nya teknologier och behandlingsformer. De menar också att nationella och regionala riktlinjer snarare bekräftar än styr de lokala behandlingstraditionerna.

Även Cutler och medförfattare (2013) uppmärksammar läkarens personliga uppfattning om behandlingens effekt som en viktig förklarande faktor och menar att egna erfarenheter och nätverk spelar en viktig roll. Ett annat exempel är IMS Health (2010) som lyfter fram att variationer i den enskilde läkarens beteende och skillnader i vårdprogram och processer som en viktig förklaring till att lokala behandlingstraditioner skapas.

En annan möjlig förklaringsfaktor till regionala skillnader i läkemedelsanvändning är att prioriteringar inom respektive landsting kan skilja sig åt, vilket kan leda till att sjukdomsområden ges olika prioritet i olika landsting och olika stora budgetar. I våra intervjuer med läkemedelschefer uppger flera personer att en viktig fråga är om det finns medel att betala för ett visst läkemedel. Den hälsoekonomiska utvärderingen utgår inte från ett landstings eller en kliniks budget, utan från ett samhällsperspektiv. Det innebär att kostnader och vinster även utanför sjukvården inkluderas. Även om ett läkemedel bedöms som kostnadseffektivt ur ett samhällsperspektiv inne-



bär det inte nödvändigtvis att läkemedlet kan finansieras i landstingets eller klinikens budget.

En ytterligare möjlig förklaringsfaktor till regionala skillnader i läkemedelsanvändning är att olika beslutsunderlag kan leda till olika beslut. Klinikläkemedelsprojektet kan sägas försöka ta hänsyn till denna förklaringsfaktor. Genom klinikläkemedelsprojektet får alla landsting tillgång till TLV:s kunskapsunderlag och alla landsting nås av NLT:s rekommendationer. På så vis skapas möjlighet för en mer likartad utgångspunkt för beslut. Tillgång till samma beslutsunderlag och en tydlig rekommendation borde i teorin leda till mindre skillnader i besluten om läkemedelsanvändning mellan landsting. Samtidigt finns det utrymme för tolkningar och bedömningar som kan göra att beslutsfattare i olika landsting tar olika beslut även om de utgår från samma beslutsunderlag.

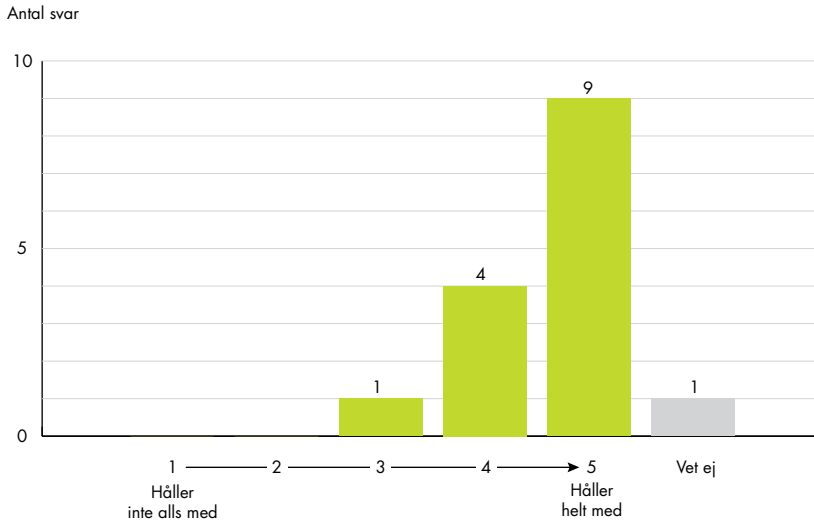
Läkemedelschefer, verksamhetschefer och patientorganisationers syn på klinikläkemedelsprojektets effekt på regionala skillnader

De läkemedelschefer och verksamhetschefer inom onkologi som vi har intervjuat tror att förutsättningarna för mindre regionala skillnader ökar i och med klinikläkemedelsprojektet. Samtidigt framhåller många av dem att det är en svår fråga att svara på, och att de inte vet i vilken utsträckning det faktiskt har blivit så.

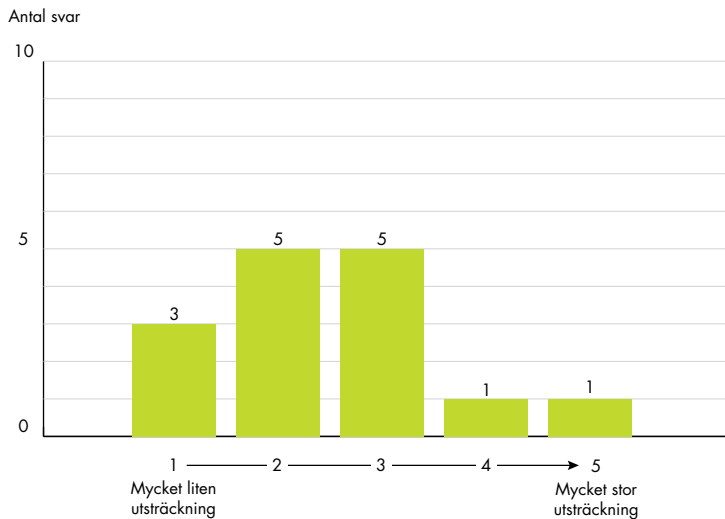
Figur 8 baseras på enkätundersökningen bland landets verksamhetschefer inom onkologi och visar i vilken utsträckning som de instämmer i påståendet att klinikläkemedelsprojektet förbättrar förutsättningarna för en mer jämlik läkemedelsanvändning mellan landsting och regioner. 9 av 15 håller helt med. Samtidigt instämmer de i mindre utsträckning i påståendet att det finns strukturer som säkerställer att ett läkemedel används på samma sätt i samtliga landsting (figur 9). På en skala mellan 1 och 5 anger 8 av de 15 en etta eller tvåa.

Även om läkemedelschefer och verksamhetschefer i onkologi ser att TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer kan öka förutsättningarna för mindre regionala skillnader i läkemedelsanvändning, ger patientorganisationer en annan bild av hur de upplever att det faktiskt har sett ut hittills. De menar att läkemedelsanvändningen fortfarande är ojämlig, vilket också försäljningsstatistiken för flera läkemedel indikerar (se figur 7).

Figur 8. Grad av medhåll i påståendet "klinikläkemedelsprojektet förbättrar förutsättningarna för en mer jämlik läkemedelsanvändning mellan landsting och regioner". Sammanställning av resultat från Vårdanalys enkätundersökning bland verksamhetschefer inom onkologi.



Figur 9. "I vilken utsträckning anser du att det finns strukturer som säkerställer att läkemedel som ingår i klinikläkemedelsprojektet används på samma sätt i olika landsting?" Sammanställning av resultat från Vårdanalys enkätundersökning bland verksamhetschefer inom onkologi.



I väntan på TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendationer har landsting behandlat patienter i olika utsträckning, och även efter NLT:s rekommendation menar de att det finns betydande regionala skillnader i vilken utsträckning som patienter får tillgång till de läkemedel som har gått igenom klinikläkemedelsprojektet. Patientorganisationerna ser ett problem i att NLT:s rekommendationer inte är tvingande, och menar att landstingen inte ska få välja om de vill använda ett läkemedel eller inte. De tror att det krävs tvingande beslut, statlig finansiering av läkemedel eller statligt ansvar för vården för att de regionala skillnaderna ska minska. Patientorganisationerna anser inte att klinikläkemedelsprojektet har bidragit till en mer jämlik vård.

Regionala skillnader i läkemedelsanvändning inom landsting

Regionala skillnader i vård och läkemedelsbehandling kan även uppstå inom landsting, och det finns studier som visar att regionala skillnader inom landsting ofta är minst lika stora som mellan landsting (IMS Health 2010). De läkemedel som hittills har ingått i klinikläkemedelsprojektet används i huvudsak inom den högspecialiserade sjukvården där behandling enbart sker på en klinik inom ett landsting. Därmed finns det alltså inte några regionala skillnader inom ett landsting för dessa läkemedel.

Klinikläkemedelsprojektet bedöms ha en mindre påverkan på skillnader mellan befolkningsgrupper

En annan typ av skillnader är att olika befolkningsgrupper behandlas olika, till exempel olika socioekonomiska grupper, män och kvinnor eller människor med olika etnicitet. Det finns många rapporter (till exempel Socialstyrelsen 2011 och 2013a) och vetenskapliga arbeten (se exempelvis Loikas och medförfattare 2014, Nordin, Dackehag och Gerdtham 2013 samt van Doorslaer, Masseria och Koolman 2006) som belyser den här typen av skillnader i olika delar av vården.

I våra intervjuer med patientorganisationer och läkemedelschefer lyftes i vissa fall frågan om skillnader mellan befolkningsgrupper. Vad som sker i läkar-patient-mötet lyfts fram som en viktig del för att förstå varför sådana skillnader uppstår. Exempelvis menar patientföreträdare att både läkarens och patientens kunskap om sjukdomen och tillgängliga behandlingar spelar roll. En patient med stor kunskap om vilka möjligheter som finns, och med förmåga att förmedla detta till sin läkare, har större möjlighet att få tillgång till en behandling. Patientföreträdare och majoriteten av de läkemedelschefer som vi har intervjuat tror att den här typen av skillnader i huvudsak förklaras

av faktorer som inte påverkas av klinikläkemedelsprojektet, och därmed att klinikläkemedelsprojektet inte har någon påverkan på dessa skillnader.

Vi har inte haft tillgång till någon statistik som delar upp behandling av klinikläkemedel utifrån till exempel utbildning, kön och etnicitet, och kan således inte belysa hur det ser ut med skillnader mellan befolkningsgrupper för de läkemedel som har gått igenom klinikläkemedelsprojektet. Strukturerad uppföljning av klinikläkemedel och tillgång till bakgrundsinformation på individnivå (om exempelvis kön, utbildningsnivå och arbetsmarknadsstatus) vore värdefullt för fortsatta analyser av skillnader mellan befolkningsgrupper i klinikläkemedelsbehandling.

Sammantagen bedömning av klinikläkemedelsprojektets effekter på skillnader inom och mellan landsting

Vår samlade bedömning av analysen ovan är att klinikläkemedelsprojektet har större påverkan på skillnader mellan landsting än på skillnader mellan befolkningsgrupper inom och tvärs landsting. Skillnader mellan befolkningsgrupper orsakas sannolikt av faktorer som inte påverkas av klinikläkemedelsprojektet medan projektet, åtminstone i teorin, förbättrar förutsättningarna för mindre skillnader i läkemedelsanvändning mellan landsting. Samtidigt finns det inget i processen som säkerställer likvärdig läkemedelsanvändning, bland annat eftersom NLT:s rekommendationer inte är tvingande. Vidare finns det andra viktiga förklaringar till regionala skillnader än att landstingen inte har haft tillgång till samma beslutsunderlag, däribland lokala behandlings-traditioner och ekonomiska förutsättningar. Dessa förklaringar har sannolikt inte påverkats av klinikläkemedelsprojektet i någon större utsträckning, utan spelar fortfarande roll för beslut om läkemedelsanvändning. Patientorganisationernas erfarenheter visar att det hittills inte blivit någon stor förändring vad gäller regionala skillnader, och de menar att bostadsorten fortfarande spelar stor roll för vilken läkemedelsbehandling en patient får tillgång till.

Vår bedömning grundar sig främst på teoretiskt resonemang och kvalitativt datamaterial, och baseras på erfarenheter från ett fåtal läkemedel och med relativt korta tidshorisonter. Det har gått mindre än två år sedan det första kunskapsunderlaget publicerades, och de långsiktiga effekterna av att göra hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel är ännu för tidigt att uttala sig om. Det är möjligt att klinikläkemedelsprojektet på längre sikt, om processerna kring de hälsoekonomiska utvärderingarna etableras, kan bidra till mer likvärdig läkemedelsbehandling mellan landsting, men hittills bedömer vi att effekten har varit begränsad.





Slutsatser

I det här kapitlet presenterar vi våra slutsatser från utvärderingen av klinikläkemedelsprojektet. På nästa uppslag återges en kortfattad sammanställning av resultaten för respektive frågeställning i regeringsuppdraget, för både slutrapporten och delrapporten. Baserat på dessa analyser och resultat drar vi två huvudsakliga slutsatser. Vi bedömer att det är värdefullt att på nationell nivå genomföra hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel. Samtidigt finns det tydliga brister i strukturen och processerna. Vi anser att dessa brister minskar legitimiteten i verksamheten och måste åtgärdas om verksamheten ska fortsätta. Vi sammanfattar bristerna i tre viktiga och övergripande förbättringsområden.

3.1 DET ÄR VÄRDEFULLT ATT GENOMFÖRA HÄLSEOKONOMISKA UT-VÄRDERINGAR AV KLINIKLÄKEMEDEL...

Klinikläkemedelsprojektet har visat att det är möjligt att skapa värde för framförallt landstingen genom att på nationell nivå ta fram hälsoekonomiska beslutsunderlag och rekommendationer för klinikläkemedel. Det är särskilt fyra aspekter som vi vill lyfta fram som positiva med klinikläkemedelsprojektet:

► *TLV:s expertkunskaper har kommit till användning på ett bra sätt*

Även om det finns utrymme för ytterligare utveckling, vilket vi återkommer till i nästa kapitel, bedömer vi att TLV:s kunskapsunderlag överlag håller god kvalitet. Tillgången till TLV:s expertis lyfts fram bland läkemedelschefer som en av nyttorna med klinikläkemedelsprojektet, de enskilda landstingen genomför inte själva hälsoekonomiska utvärderingar och det är resurseffektivt att genomföra utvärderingarna på nationell istället för på regional nivå.



Slutrapportens frågeställningar och sammanfattande resultat

Värdera vilken nytta de hälsoekonomiska bedömningarna av rekvisitionsläkemedel har inneburit för de olika intressenterna och då framförallt för patienterna och landstingen

Patientföreträdare anser att verksamheten fördröjer tillgången till nya läkemedel. De är kritiska till processerna och anser inte att skillnader i tillgång till läkemedel mellan landsting hitintills har minskat i och med klinikläkemedelsprojektet. Läkemedelschefer anser att kunskapsunderlagen och rekommendationerna svarar mot ett behov som finns och att de är användbara som beslutsunderlag.

Analysera hur sjukvårdshuvudmännen använder kunskapsunderlagen och hur underlagen implementeras hos sjukvårdshuvudmännen

Kunskapsunderlagen och rekommendationerna används som beslutsunderlag i landstingens ordnade införande-processer där sådana finns. På andra ställen vidarebefordras de till relevant verksamhetschef som kan använda dem i sitt arbete.

Belysa hur sjukvårdshuvudmännen använder bedömningarna i upphandlingen av läkemedel till slutenvården

Kunskapsunderlagen har använts i stor utsträckning i de nationella prisdiskussioner som skett för några läkemedel. För andra läkemedel används de i viss utsträckning vid landstingens inköp av läkemedlen.

Utvärdera om försöksverksamheten har lett till bättre utnyttjande av existerande resurser för kunskapsvärdering genom att hälsoekonomiska bedömningar görs av en nationell myndighet och inte av de olika sjukvårdshuvudmännen

Ja. Landstingen gjorde generellt sett inte hälsoekonomiska utvärderingar på egen hand förut. Det är positivt att utvärderingarna genomförs på nationell nivå och det är ändamålsenligt att använda TLV:s expertis till detta.

Utvärdera NLT-gruppens rekommendationer som utgår från TLV:s kunskapsunderlag

Landstingen tycker att rekommendationerna är värdefulla, och vi uppfattar att rekommendationen ökar den upplevda nyttan av den hälsoekonomiska utvärderingen. Vi bedömer därför att det även i fortsättningen bör finnas en rekommendation. Men det saknas insyn i NLT:s arbete och hur rekommendationerna tas fram. NLT menar att de ger en rekommendation som är i linje med TLV:s beslut om det hade rört sig om en ansökan inom läkemedelsförmånen, men vi anser att det ofta saknas referenser till tidigare beslut, den etiska plattformen och relevanta studier.

Utvärdera livslängden för kunskapsunderlagens tillförlitlighet och träffsäkerhet i TLV:s kunskapsunderlag och rekommendationer

Livslängden beror på om förutsättningarna för läkemedlet förändras, och i vilken grad detta sker varierar från läkemedel till läkemedel. I vissa fall är livslängden kort på grund av snabb utveckling av nya behandlingsmetoder. Träffsäkerheten beror på hur väl det underliggande underlaget avspeglar den verkliga kliniska situationen, och kan ökas genom uppföljning och uppdatering i de fall då den modellerade situationen avviker från den kliniska vardagen.

Analysera om kunskapsunderlagen leder till en mer jämlik vård mellan och inom landsting

Vår samlade bedömning är att klinikläkemedelsprojektet har större möjlighet att påverka skillnader mellan landsting än skillnader mellan befolkningsgrupper. Kunskapsunderlagen förbättrar förutsättningarna för, men garanterar inte, en mer jämlik vård. Patienterna upplever stora regionala skillnader i läkemedelsanvändningen även för de läkemedel som genomgått klinikläkemedelsprojektet, vilket också befintlig försäljningsstatistik indikerar. Det är ännu för tidigt att uttala sig om mer långsiktiga effekter på regionala skillnader.

Delrapportens frågeställningar och sammanfattande resultat

Har initieringsprocessen från NLT samordnats och prioriterats på ett effektivt sätt?

Samordning och kommunikation med TLV fungerar bra, men det är tydligt hur de läkemedel som ska genomgå hälsoekonomisk utvärdering har valts ut. NLT menar att de initialt inom ramen för försöksverksamheten valde att prova olika typer av läkemedel, men deras uppfattning är att i princip alla nya klinikläkemedel som har potential att påverka sjukvården (exempelvis genom stor budgetpåverkan eller en ny behandlingsmöjlighet för en viss patientgrupp) har inkluderats i takt med att verksamheten har utvecklats. För den utomstående är det dock oklart vilka principer som ligger till grund för det urval av läkemedel som har ingått i klinikläkemedelsprojektet, och både patientorganisationer och läkemedelsföretag ställer sig frågande till hur urvalet görs.

Handläggningstidernas längd

Handläggningstiderna har förkortats sedan starten av klinikläkemedelsprojektet då de var 10–20 månader, men de är fortfarande för långa. I praktiken tar det åtminstone åtta månader från det att TLV påbörjar den hälsoekonomiska utvärderingen till det att NLT ger en rekommendation, och det finns fortfarande fall där processen inte är avslutad trots att det gått mer än ett år.

Har TLV fått tillgång till det material från läkemedelsindustrin som myndigheten behöver?

Samtliga tillfrågade läkemedelsföretag har ställt upp och lämnat in det efterfrågade materialet. Ibland krävs större eller mindre tidskrävande kompletteringar under utredningens gång.

Kvaliteten på det från industrin inhämtade underlaget och TLV:s beräkningar av kostnads-effektivitet

Materialet som läkemedelsföretagen tillhandahåller håller i allmänhet hög kvalitet. Även TLV:s kunskapsunderlag håller överlag hög kvalitet där TLV på ett tydligt och strukturerat sätt redovisar den hälsoekonomiska utvärderingen. TLV identifierar de mest väsentliga områdena och fokuserar sedan på dessa i analysen. Kunskapsunderlagen är relativt utförliga, vilket är ett steg framåt i riktningen mot ökad transparens kring hälsoekonomiska utvärderingar. Men det finns utrymme för ytterligare utveckling, exempelvis vad gäller arbetet med kliniska experter, en mer konsekvent beräkning och redovisning av indirekta kostnader och presentation av osäkerhetsfaktorer i analysen.

NLT:s kommunikation och rekommendationer av kunskapsunderlag med landstingen

Det saknas insyn i hur rekommendationerna tas fram och motiveras. Det saknas också insyn i NLT:s eventuella prisdiskussion med läkemedelsföretagen och av landstingens bedömning av det resulterande avtalserbjudandet. Underlag och beslutsprotokoll finns inte att tillgå. NLT:s kommunikation av rekommendationen till landstingen är däremot öppen och sker genom ett dokument som publiceras på NLT:s hemsida.

Hur ser företagen på TLV:s arbete och nytta med de kunskapsunderlag som myndigheten presenterar. Vilka kostnader är förknippade med framtagandet av materialet för läkemedelsföretagen?

Läkemedelsföretagen är positiva till att klinikläkemedel utvärderas hälsoekonomiskt och anser att TLV:s arbete håller god kvalitet. Men de är kritiska till bland annat TLV:s hantering av avvikande åsikter, TLV:s val av experter och avsaknaden av möjlighet att överklaga. De är i grunden positiva till möjligheten till nationell prisdiskussion, men upplever att diskussioner därefter fortfarande måste föras med de enskilda landstingen. Kostnaden för framtagandet av underlaget är jämförbar med ansökan till TLV (upp till några miljoner kronor).



► *Kunskapsunderlagen har kopplats till en rekommendation*

TLV:s kunskapsunderlag tar fram en beräknad kostnad för den hälsoförbättring som följer av läkemedelsbehandlingen, men de säger inget om huruvida det är värt att köpa läkemedelsbehandlingen. För att kunna fatta beslut om läkemedelsanvändning utifrån kunskapsunderlaget krävs därför en värdering som svarar på om hälsoförbättringen är värd kostnaden. NLT bistår med denna värdering genom att ge en rekommendation. Enligt de läkemedelschefer som vi har intervjuat är det värdefullt att utöver själva kunskapsunderlaget också få en rekommendation. Vår bedömning är att kunskapsunderlagen skulle implementeras i verksamheten i lägre grad om det inte fanns en rekommendation, och anser att det i sak är positivt att kunskapsunderlagen har kopplats till en rekommendation. Men jämfört med i dagsläget måste transparensen kring motiven till rekommendationerna förbättras och det kan diskuteras vem som bör avge rekommendationen, vilket vi återkommer till i nästa avsnitt och i nästa kapitel.

► *Landstingen är involverade i processen*

Det är landstingen som bedriver den sjukvård där klinikläkemedel används, och det är landstingen som finansierar klinikläkemedel. Kunskapsunderlagen syftar till att fungera som beslutsunderlag för landstingen, och det finns ingen annan aktör som bättre än landstingen känner till den kliniska beslutssituationen och andra, till exempel organisatoriska, omständigheter. Vidare, eftersom det är landstingen som finansierar klinikläkemedel är det viktigt att rekommendationen utgår från landstingens, och inte någon annans (exempelvis statens) betalningsvilja. Ur ett organisationsperspektiv anser vi därför att det i sak är positivt att landstingen är involverade i processen. Men sättet som det har skett på i klinikläkemedelsprojektet, via SKL och NLT, har inte fungerat väl vilket vi återkommer till i nästa avsnitt och i nästa kapitel.

► *Läkemedelsföretagen har bidragit med underlag som har möjliggjort de hälsoekonomiska utvärderingarna*

Läkemedelsföretagen tillhandahåller det material som ligger till grund för TLV:s kunskapsunderlag. TLV:s arbete går till stor del ut på att validera det inkomna materialet, och läkemedelsföretagen kan bli ombedda att förse TLV med kompletterande material vid behov. Materialet från läkemedelsföretagen spelar således en avgörande roll för kunskapsunderlagen, och utan läkemedelsföretagens samarbetsvilja hade klinikläkemedelsprojektet

inte kunnat genomföras. Samtliga tillfrågade läkemedelsföretag har ställt upp på att skicka material till TLV, och vi bedömer att TLV har fått tillgång till det material som de behöver för att kunna göra de hälsoekonomiska utvärderingarna.

3.2 ... MEN FLERA OMRÅDEN ÄR VIKTIGA ATT UTVECKLA FÖR EN FUNGERANDE VERKSAMHET

Vi bedömer att det finns ett värde av att genomföra hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel och att utvärderingarna upplevs skapa nytta i landstingen, men en permanent verksamhet behöver förbättras på flera väsentliga punkter. Vi bedömer att det finns stora brister i arbetsgången kring de hälsoekonomiska utvärderingarna, bland annat vad gäller organisationen kring rekommendationer och prisdiskussioner. Även arbetet med kliniska experter och patientinvolveringen kan förbättras.

Vi anser att NLT:s nuvarande konstruktion och arbetssätt, med bland annat brist på transparens och att arbetet med rekommendationen faller utanför offentlighetsprincipens och den etiska plattformens ramar, inte lever upp till de krav som bör ställas på en verksamhet som hanterar viktiga läkemedelsfrågor, påverkar prioriteringar i vården samt ansvarar för stora ekonomiska värden. De enskilda medlemmarna i NLT är engagerade och gör ett bra arbete med de förutsättningar som finns, men vi bedömer att NLT som organisation inte har konstruerats för de uppgifter som de utför inom klinikläkemedelsprojektet. Delar av arbetsgången och organisationen ifrågasätts från olika håll. Vi bedömer att dessa brister minskar tilliten till och legitimiteten för processen. Verksamheten uppfattas inte som fullt ut korrekt och rättvis bland alla aktörer och intressenter. I det här avsnittet presenterar vi tre viktiga och övergripande förbättringsområden.

► *Processerna brister i transparens och förutsägbarhet*

Vikten av transparens och förutsägbarhet lyfts fram på olika håll i vår utvärdering, och framhålls av både patientföreträdare, landsting och läkemedelsföretag. Med transparens avser vi här möjligheten till insyn och öppenhet i processerna, medan förutsägbarhet avser möjligheten att på förhand kunna bedöma vad som kommer hända. Information och kommunikation är verktyg som kan öka både transparensen och förutsägbarheten, men transparens och förutsägbarhet handlar också om hur arbetet bedrivs och är strukturerat.



Transparensen brister i flera delar av processerna. Det är oklart hur de läkemedel som har ingått i klinikläkemedelsprojektet har valts ut och resone-mangen kring motiven till rekommendationerna är alltför kortfattade. Vidare saknas det insyn i hur NLT:s medlemmar tillsätts, på vilka grunder detta har skett eller hur länge mandatet för ledamöter sträcker sig. Utöver de kortfattade rekommendationerna går det inte att ta del av NLT:s arbete. Det saknas insyn i hur NLT:s prisdiskussioner i förekommande fall går till, både vad gäller vem som står för diskussionen, vilka parametrar i TLV:s kunskapsunderlag som har diskuterats och vad diskussionerna har resulterat i. Vi anser att dessa brister till stor del grundar sig i att NLT inte har konstruerats för de uppgifter de har fått i klinikläkemedelsprojektet, då de exempelvis inte lyder under offentlighetsprincipen, inte har något mandat att pridförhandla och är sammansatt på otydliga grunder. Den bristande förutsägbarheten innebär bland annat att det saknas tydliga strukturer för vilka läkemedel som är på väg in i klinikläkemedelsprojektet, när en rekommendation ska komma och vilka läkemedel som prisdiskuteras på nationell nivå och inte.

Det saknas även insyn i hur landstingen ställer sig till NLT:s rekommendation, om de väljer att följa den eller inte och vilka motiv som ligger till grund för deras beslut. Modellen med en nationell rekommendation och beslut i landstingen utan uttalade ställningstagande till rekommendationen från landstingens sida gör att det blir otydligt var beslutet egentligen tas, vilka motiv som ligger till grund för beslutet och av vem beslutet tas. Det är landstingen som formellt sett fattar beslut om läkemedelsanvändningen, men NLT:s rekommendation kan ha en stor påverkan på beslutet.

Vad gäller TLV:s kunskapsunderlag är de omfattande, vilket bidrar till transparens. Däremot kräver kunskapsunderlagen stora förkunskaper och är svåra att ta till sig för ovana läsare av hälsoekonomiska analyser, vilket gör att transparensen i betydelsen förståelse för vad som sker i den hälsoekonomiska utvärderingen likväl uteblir.

Vi anser även att informationsspridningen och kommunikationen är knapphändig, vilket skapar oklarheter och ineffektivitet. Patientorganisationer, läkemedelsföretag och läkemedelschefer lyfter alla fram aspekter av tydlighet och information som ett viktigt förbättringsområde för klinikläkemedelsprojektet. Det finns till exempel ingen samordnad beskrivning av, och inga tydliga tidsramar för, processerna. Viss information återfinns på TLV:s hemsida där bland annat planerade och pågående utvärderingar anges. Under klinikläkemedelsprojektets gång har informationen förbättrats, och det framgår numer även när en hälsoekonomisk utvärdering förväntas vara klar. Vad gäller NLT:s information och kommunikation har även

denna förbättrats under klinikläkemedelsprojektets gång. Det framgår numer vilka läkemedel som värderas för tillfället. Däremot saknas information om när rekommendationer kan förväntas.

► *De långa handläggningstiderna kan fördröja tillgången till nya läkemedel*

Långa handläggningstider riskerar att försena införandet av läkemedel som potentiellt kan rädda liv. Handläggningstidernas längd är därför en central fråga ur ett patientperspektiv. Långa handläggningstider kan även leda till att landstingen inte inväntar rekommendationen, utan fattar beslut som inte grundar sig i TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendation. Därmed minskar kunskapsstyrningen av vården.

I delrapporteringen av det här uppdraget konstaterade vi att handläggningstiderna är för långa. Sedan dess har det generellt sett skett en viss förkortning av handläggningstiderna, och ytterligare arbete pågår hos TLV och NLT. TLV har som målsättning att genomföra den hälsoekonomiska utvärderingen på fem månader, och NLT uppger på sin hemsida att det generellt tar 1–3 månader efter att TLV:s kunskapsunderlag har publicerats tills de ger en rekommendation. I praktiken tar det åtminstone åtta månader från det att TLV påbörjar den hälsoekonomiska utvärderingen tills NLT ger en rekommendation, och det finns fall där processen inte är avslutad trots att det gått mer än ett år.

NLT:s rekommendation betyder inte nödvändigtvis att läkemedlet blir tillgängligt för patienten. Den totala tiden det tar innan patienter får tillgång till ett läkemedel förlängs i många fall av de landstingsinterna processerna, exempelvis prioriteringar och avtalsskrivande.

Arbetet med att ta fram kunskapsunderlag av god kvalitet måste rimligen ta viss tid i anspråk, och en snabb process är inte enbart positivt om det innebär att kvaliteten försämras. Utmaningen är således att skapa en process med bibehållen kvalitet på underlagen, men som också innebär att patienter får tillgång till bra läkemedel snabbare än i dagens processer. Om landstingen avvaktar med att använda ett läkemedel i väntan på dessa processer påverkas patienterna direkt genom fördröjd tillgång till läkemedlet. Även om det är svårt att veta när och i vilken utsträckning som patienter hade fått tillgång till de läkemedel som nu har ingått i klinikläkemedelsprojektet om klinikläkemedelsprojektet inte hade funnits, innebär de långa ledtiderna med stor sannolikhet att introduktionen av flera av de aktuella läkemedlen fördröjs. Vad som händer med tillgången till läkemedel på längre sikt går inte ännu att uttala sig om. En långsam



men noggrann process som leder till förmånliga avtal skulle förstås på sikt kunna ha positiva nettoeffekter på läkemedelstillgången för patienterna, jämfört med situationen innan klinikläkemedelsprojektet. Men en *snabb* och noggrann process skulle naturligtvis ha ännu bättre effekt.

► *Ofta begränsade möjligheter för olika ståndpunkter att uttryckas*

Olika intressenter, eller olika personer inom samma intressegrupp, kan ha olika ståndpunkter gällande någon aspekt eller tolkning i den hälsoekonomiska utvärderingen. Exempelvis kan patientorganisationer ha en annan ståndpunkt i något eller flera avseenden än den som avspeglas i TLV:s kunskapsunderlag, och två experter inom samma område kan ha olika uppfattning om exempelvis hur resultaten från en medicinsk studie ska tolkas. Vidare kan den kliniska beslutssituationen skilja sig mellan olika landsting och kliniker. I den hälsoekonomiska utvärderingen bedömer TLV, med hjälp av experter och utifrån befintligt kunskapsläge, vilket scenario som stämmer mest överens med verkligheten, men andra kan göra en annan bedömning och inneha en annan ståndpunkt än den som beskrivs i TLV:s kunskapsunderlag.

Patientinvolveringen i klinikläkemedelsprojektet är bristfällig. Patientorganisationer bjuds in till informations- och diskussionsträffar med TLV och NLT två gånger per år, men patientinvolvering saknas vid handläggning av respektive läkemedel. Klinikläkemedelsprojektet kan ha stor inverkan på de patienter som blir berörda, men patienter eller patientorganisationer har ingen tydlig roll i processen. I kombination med bristande transparens, förutsägbarhet och information anser vi att resultatet är en mycket otydlig arbetsgång och verksamhet ur ett patientperspektiv, med små möjligheter till delaktighet.

Vi bedömer att det i dagsläget överlag finns begränsade möjligheter för avvikande ståndpunkter att uttryckas och beaktas i utvärderingarna och i arbetet med rekommendationerna. TLV:s och NLT:s möten är stängda och det finns ingen möjlighet att överklaga varken TLV:s kunskapsunderlag eller NLT:s rekommendationer. Samtidigt finns det tecken på att det finns avvikande ståndpunkter bland involverade eller berörda parter. I delrapporteringen av det här uppdraget framkommer det att läkemedelsföretagen anser att TLV i för liten omfattning redovisar läkemedelsföretagens avvikande uppfattningar i kunskapsunderlagen. TLV:s medicinska experters oberoende ifrågasätts i ett av fallen av den berörda patientorganisationen och av en verksamhetschef. I ett annat fall

ifrågasätter den berörda patientorganisationen TLV:s tolkning av en klinisk studie. Vi bedömer att den här typen av obeaktade avvikande ståndpunkter minskar tillit, trovärdighet och legitimitet.



Förslag till fortsatt utveckling

De övergripande målen med klinikläkemedelsprojektet är att åstadkomma en mer kunskapsstyrd och likvärdig läkemedelsanvändning (TLV:s regeringsuppdrag (S2010/8066/HS)). I det här kapitlet presenterar vi våra förslag på hur verksamheten kan utvecklas vidare i syfte att säkerställa att dessa mål nås. För att i någon mån försöka identifiera referenspunkter och få uppslag till hur strukturer och processer kan utformas, använder vi oss av resultat från en internationell utblick, där vi har studerat hur andra länder arbetar med hälsoekonomiska utvärderingar och introduktion av klinikläkemedel.

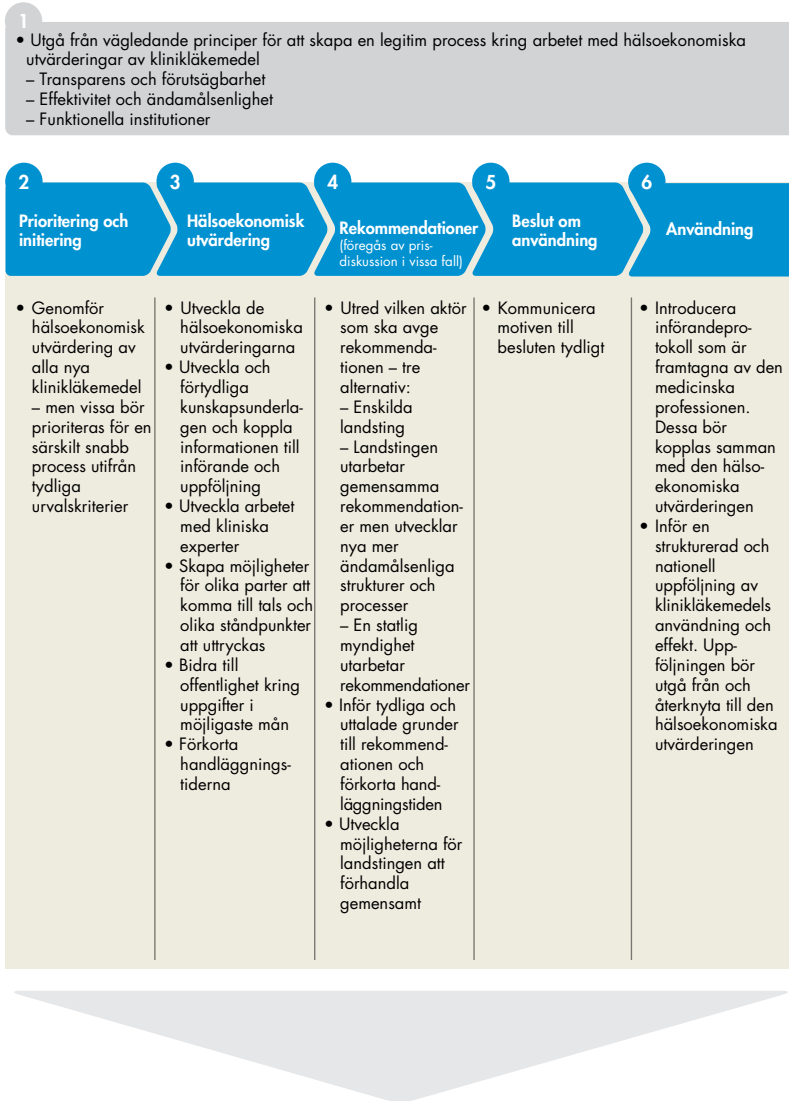
4.1 EN DEL FÖRÄNDRINGAR ÄR RELATIVT LÄTTA ATT IMPLEMENTERA, MEN DET FINNS OCKSÅ SVÅRLÖSTA FRÅGOR SOM KRÄVER YTTRELLIGARE ANALYS

Vårdanalys anser att det även fortsättningsvis bör göras hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel på nationell nivå och att det är lämpligt att TLV fortsatt har den uppgiften. Samtidigt har klinikläkemedelsprojektet visat att det finns flera centrala förbättringsområden om verksamheten ska kunna etableras på permanent basis. Utifrån dessa utgångspunkter sammanfattar figur 10 våra förslag till fortsatt utveckling. Vi har valt att strukturera förslagen i sex områden som följer processen för utvärderingar av klinikläkemedel.

Några av våra förslag på fortsatt utveckling är konkreta och kan implementeras i den nuvarande verksamheten relativt omgående. För en del av dessa pågår det redan ett visst utvecklingsarbete, både inom TLV och inom ramen för SKL:s uppdrag att utveckla en nationell process för ordnat införande, där hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel byggs in som en delkomponent. TLV arbetar exempelvis med förkortade handläggningstider och har börjat ange när de hälsoekonomiska utvärderingarna för olika läkemedel förväntas vara klara. Vidare använder de sig numer, i enlighet med vårt



Figur 10. Sammanfattning av förslag till fortsatt utveckling.



förslag i delrapporteringen av det här uppdraget, av checklistor för att systematisera genomgången av de hälsoekonomiska modellerna i samband med att kunskapsunderlagen tas fram. NLT:s hemsida fylls på med alltmer information, och de senaste rekommendationerna från NLT har var varit något mer

utvecklade vad gäller resonemang om motiven till rekommendationen.

Andra förslag syftar till att belysa olika mer långsiktiga handlingsalternativ och på så vis också diskutera några av de utmaningar som finns inbyggda i verksamheten. Dessa förslag innebär potentiellt större förändringar av den nuvarande verksamheten och kräver fortsatt analys och utredning innan de kan beslutas och implementeras.

1. Vägledande principer för arbetet med hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel

Vi anser att delar av klinikläkemedelsprojektet har bristande legitimitet och för en välfungerande och effektiv permanent verksamhet behöver legitimiteten stärkas. Med legitimitet menar vi att samtliga berörda aktörer, inklusive patienter, medborgare, landsting, verksamhetschefer och läkemedelsföretag, uppfattar verksamheten som rättfärdig, att verksamheten accepteras som korrekt enligt rådande lagar, normer och värderingar. Legitimitet är centralt i alla verksamheter som berör prioriteringar, men särskilt när det som i detta fall ofta handlar om mycket allvarliga eller dödliga sjukdomstillstånd och stora kostnader. Medborgare och patienter har rätt att ställa höga krav på hur dessa processer är organiserade och hanteras. Dessutom beror följsamheten och nyttan av rekommendationerna på deras legitimitet. Legitimitet och en uppfattning att processerna är korrekta och rättvisa är faktorer som i den internationella och vetenskapliga litteraturen lyfts fram som centrala vid genomförande av utvärderingar av hälso- och sjukvård (Drummond m.fl. 2008, Daniels och Sabin 1997).

För att öka legitimiteten i processerna kring de hälsoekonomiska utvärderingarna anser vi att samtliga delar av processen behöver följa tre principer:

Transparens och förutsägbarhet – Öppenhet och möjlighet till insyn bör genomsyra arbetet. Det måste även finnas tydlig information kring de hälsoekonomiska utvärderingarna av klinikläkemedel. Arbetet bör följa lagstiftningen om offentlighet och sekretess och ge möjlighet till insyn vad gäller bland annat tillsättning av ledamöter, pågående arbete, beslutsgrunder och arbetssätt.

Effektivitet och ändamålsenlighet – Handläggningstiderna bör vara så korta som möjligt eftersom tid i det här fallet kostar hälsa eller liv. Samtidigt är det inte säkert att en snabbare process är enbart positivt om det försämrar kvaliteten på arbetet. Målet är att ta fram underlag som skapar

värde för patienter och medborgare, och detta ska göras med en ändamålsenlig avvägning mellan tid och nytta.

Funktionella institutioner – Det måste finnas organisatoriska förutsättningar för att skapa en process som är långsiktig och ändamålsenlig. Detta inkluderar bland annat möjlighet för olika parter att komma till tals, att rekommendationer är förankrade i den gällande etiska plattformen för prioriteringar och att aktörerna är beständiga med en hållbar organisation och finansiering.

2. Förslag gällande initiering och prioritering

Alla nya klinikläkemedel bör genomgå en hälsoekonomisk utvärdering – men vissa bör prioriteras för en särskilt snabb process utifrån tydliga urvalskriterier

Vi anser att utgångspunkten bör vara att alla nya läkemedel och indikationer som introduceras i den svenska sjukvården ska utvärderas hälsoekonomiskt eftersom det skapar ett mervärde för hälso- och sjukvården. Detta skulle lösa frågan om vilka läkemedel som ska utvärderas. Det finns som regel alltid frågor kring kostnadseffektiviteten av nya läkemedel, inte minst vad gäller olika grupper av patienter. Om det i något fall redan från början är uppenbart att ett läkemedel inte är kostnadseffektivt för någon, eller är kostnadseffektivt för alla, inom indikationen, bör utvärderingen kunna gå mycket snabbt.

Om utgångspunkten är att alla nya klinikläkemedel och indikationer ska utvärderas hälsoekonomiskt uppstår en rad frågor. Den första gäller läkemedel som det är särskilt angeläget att snabbt analysera och besluta om, såsom läkemedel som används vid livshotande tillstånd och där det ibland inte finns några alternativa behandlingar. En brist i klinikläkemedelsprojektet är att processen tar för lång tid och att det inte har funnits någon tydlig prioritering av arbetet. Vårt förslag är därför att överväga möjligheten att införa ett snabbspår för utvärdering av särskilt angelägna läkemedel. Så görs exempelvis i Kanada, där högprioriterade läkemedel utvärderas hälsoekonomiskt på tre månader, medan andra utvärderingar tar längre tid. En sådan modell skulle kräva tydliga riktlinjer för vilka läkemedel som ska väljas ut att ingå i snabbspåret, och det måste avgöras vem som ska göra urvalet. Att det finns tydliga och uttalade kriterier för urvalet av läkemedel i de fall ett urval görs förbättrar förutsättningarna för att processen uppfattas som rättvis (Singer m.fl. 2000) och att den i förlängningen får större acceptans (Drummond m.fl. 2008).

En möjlighet är att alla intressenter, inklusive patientorganisationer

och representanter för läkarprofessionen, kan föreslå läkemedel för snabbspåret. Landstingen gör sedan urvalet genom en lämplig och fungerande samordningsorganisation och utifrån tydliga kriterier. Detta förslag påminner om initieringsprocessen för hälsoekonomisk utvärdering av nya läkemedel i Norge (dock inte ett urval till ett snabbspår) där det finns en tydlig och uttalad strategi för att initiera en utvärderingsprocess. Det finns en nationell instans (*Bestillerforum RHF*) dit alla aktörer, såsom patientorganisationer, läkemedelsföretag och sjukhus, kan lämna förslag om vilka läkemedel som ska utvärderas. De regionala sjukvårdshuvudmännen och *Helsedirektoratet* fattar sedan beslut om urvalet (Helsedirektoratet 2013).

En annan återstående fråga gäller äldre läkemedel som redan tidigare har introducerats i sjukvården, utan att ha utvärderats hälsoekonomiskt. Många läkemedel som redan används i sjukvården kan vara angelägna att utvärdera eftersom deras kostnadseffektivitet är okänd. Vi anser att det bör finnas möjlighet att inkludera även äldre läkemedel i processen för hälsoekonomiska utvärderingar. En relaterad modell är TLV:s arbete med omprövningar av läkemedelsubventioner. Liksom i förslaget om urval till ett snabbspår är det viktigt att det finns en transparent modell för urval med tydliga och uttalade kriterier.

Vad gäller både urvalet till ett eventuellt snabbspår och urvalet av äldre läkemedel som ska genomgå en hälsoekonomisk utvärdering anser vi att landstingen bör vara involverade och stå bakom processen. Det är landstingen som finansierar och tar beslut om inköp av klinikläkemedel. Vi bedömer det därför som viktigt att det är landstingen, snarare än TLV eller någon annan aktör, som har det sista ordet om vilka läkemedel som ska prioriteras. Detta bidrar även till att säkerställa landstingens nytta av de hälsoekonomiska utvärderingarna.

Som framgår av vår utvärdering anser vi att organisationen i klinikläkemedelsprojektet där NLT har stått för landstingsinvolveringen inte har fungerat tillfredställande på flera sätt. Utmaningen är således att finna en samordningsorganisation för landstingen som motsvarar de krav som ställs på processen vad gäller bland annat transparens och stabilitet och som preciseras i våra vägledande principer.

3. Förslag gällande de hälsoekonomiska utvärderingarna

I delrapporten utvärderade Vårdanalys kvaliteten på läkemedelsföretagens material som ligger till grund för den hälsoekonomiska utvärderingen och TLV:s beräkningar av kostnadseffektivitet. Vi drog slutsatsen att kunskaps-



underlagen håller god kvalitet och gav förslag på hur de kan förbättras ytterligare. Våra samlade förslag gällande de hälsoekonomiska utvärderingarna är:

Utveckla de hälsoekonomiska utvärderingarna

Vi anser att TLV bör få i uppdrag av regeringen att utveckla metoderna för hälsoekonomiska utvärderingar. Hälsoekonomiska utvärderingar är ofta till nytta, men vi bedömer att de har potential att bli ännu mer användbara genom en större anpassning till slutanvändarnas behov. Det är välkänt att hälsoekonomiska analyser i liten utsträckning används i lokalt (se till exempel Drummond 2003, Eddamma och Coast 2009) och regionalt beslutsfattande. Våra intervjuer tyder på varierad användning. Läkemedelschefer läser och använder främst NLT:s rekommendation medan verksamhetschefer verkar läsa även kunskapsunderlaget i större utsträckning. Den begränsade användningen beror troligen åtminstone delvis på att analyserna inte adresserar beslutsfattarens faktiska problem. Beslutsfattare behöver inte hälsoekonomiska analyser för att fatta beslut, de behövs enbart för att fatta *bättre* beslut och dagens hälsoekonomiska analyser upplevs ofta inte leda till detta på lokal eller regional nivå. Utvecklingsarbetet måste därför ske i samarbete med kliniska experter – förslagsvis från specialistföreningarna – beslutsfattare i vården, patienter och läkemedelsindustrin. Syftet är att anpassa de hälsoekonomiska utvärderingarna till vårdens behov, och utvecklingsarbetet kan gälla såväl hur modeller konstrueras och hur resultat presenteras. Detta gäller exempelvis antaganden i de hälsoekonomiska modellerna och om, och i så fall hur, budgetpåverkan ska inkluderas i de hälsoekonomiska utvärderingarna. Vidare är det angeläget att analysera och diskutera utvärderingarnas roll i prissförhandlingar. Om kunskapsunderlagen ska användas till prissförhandlingar kan de behöva anpassas till detta ändamål. Genom att öka användarvänligheten hos TLV:s kunskapsunderlag och göra kunskapsunderlagen mer läsvänliga för läsare utan stora förkunskaper i hälsoekonomi kan acceptansen för TLV:s kunskapsunderlag ökas.

Utveckla och förtydliga kunskapsunderlagen och koppla informationen till införande och uppföljning

Vi anser också att TLV:s kunskapsunderlag behöver utvidgas och bli tydligare. Osäkerhet och träffsäkerhet behöver belysas i större utsträckning, och fler subgruppsanalyser som visar om, och i så fall hur, kostnadseffektiviteten varierar mellan grupper och individer skulle kunna bidra till större kunskap om läkemedlet och mer effektiv användning. Denna kunskap, eller avsaknad

av kunskap, vad gäller exempelvis osäkra parametrar och väsentliga patientkaraktäristika, bör användas för att konstruera både införandeprotokoll och en plan för uppföljning av läkemedlet (se vidare under steg sex).

TLV bör även ta hänsyn till mottagarens förmåga att ta till sig kunskapsunderlagen. Om det exempelvis inte finns hälsoekonomisk kompetens i landstingen, kan TLV hjälpa landstingen att tolka kunskapsunderlagen. Detta tror vi kommer öka värdet av TLV:s kunskapsunderlag för beslutsfattare i vården.

Utveckla arbetet med kliniska experter

De kliniska experterna bidrar med viktig kunskap om den aktuella sjukdomen och läkemedlets användning. De är nödvändiga för att validera modeller och resultat. Samtidigt tar det ofta lång tid att involvera experter, det finns en risk för jäv och experten kanske inte representerar en av andra aktörer accepterad ståndpunkt. Vi anser att det finns möjlighet för TLV att utveckla arbetet med kliniska experter, och på så vis öka möjligheten för olika ståndpunkter att reflekteras i kunskapsunderlagen och minska risken för att andra aktörer uppfattar den bild som kunskapsunderlagen ger som felaktig.

Experter som inte uppfattas som oberoende skadar utvärderingens trovärdighet (Drummond m.fl. 2008). För att öka trovärdigheten och legitimiteten i de hälsoekonomiska utvärderingarna bedömer vi därför att det är viktigt att utveckla arbetet med de kliniska experterna. Ett sätt är att öppna upp processen genom att engagera fler medicinska experter och på så vis låta fler åsikter komma till tals.

Englands modell för hälsoekonomisk utvärdering av läkemedel utgör ett intressant exempel på hur en tänkbar väg framåt skulle kunna se ut vad gäller rekrytering av kliniska experter. Istället för att själva rekrytera, har de i den engelska modellen avtal med expertcentra (knutna till exempelvis universitet). Centren är ansvariga för att rekrytera experter, och eftersom de redan har många experter kopplade till sig, finns det stor grupp att rekrytera medicinska experter från (NICE 2009).

Skapa möjligheter för olika parter att komma till tals och olika ståndpunkter att uttryckas

Vi anser att det ska finnas rutiner för hur olika parter, inklusive patientföreträdare, kan komma till tals under arbetet med de hälsoekonomiska utvärderingarna. Vi anser också att det är viktigt att ståndpunkter hos olika parter eller olika personer inom samma grupp reflekteras i de hälsoekonomiska utvärderingarna. Vi bedömer att detta skulle öka trovärdigheten och användbarheten av kunskapsunderlagen.



Olika ståndpunkter kan vara av olika slag. Dels kan det röra sig om olika tolkningar av samma underlag. Exempelvis kan två experter, två intressenter, eller två behandlande läkare ha olika uppfattning om vilken effekt ett läkemedel har. Olika ståndpunkter kan också uppstå för att beslutssituationen skiljer sig mellan två beslutsfattare, till exempel för att uppfattningen om, eller praxis för, vilken dos som är vanligast för en viss patientgrupp skiljer sig åt. Det som är en korrekt beskrivning av situationen i ett landsting kanske inte är det i ett annat landsting. Om kunskapsunderlaget enbart avspeglar den ena ståndpunkten eller den ena situationen kan det uppfattas som mindre träffsäkert, trovärdigt och användbart för någon som har en annan ståndpunkt eller befinner sig i beslutssituation som återfinns i ett landsting.

För att få en ändamålsenlig process som leder fram till högkvalitativa och trovärdiga underlag, rekommendationer och beslut är det viktigt att säkerställa att olika ståndpunkter tas till vara. Genom att olika ståndpunkter har möjlighet att göra sin röst hörd, kan också legitimiteten för ett beslut, eller för en process, öka (Singer m.fl. 2000).

Det finns olika sätt att skapa möjligheter för olika parter att komma till tals. Till exempel kan olika möten under processens gång vara offentliga. I England är delar av möten offentliga där olika ståndpunkter (exempelvis patientorganisationer och producenter) kan komma till tals (NICE 2009). Andra sätt är att ha en formell process för att höra bland annat patienter eller stödja dessa att komma in med synpunkter skriftligt, som Skottland gör (SMC 2013). Ytterligare andra sätt är att ordna hearings, som i Tyskland (IQWiG 2014) eller sända ut texter på remiss, som i England (NICE 2009). En utmaning är att skapa en struktur som möjliggör att olika ståndpunkter kommer till uttryck utan att handläggningstiderna blir alltför långa.

Läkemedelsföretag betonar vikten av rättssäkerhet och efterfrågar en möjlighet att kunna överklaga TLV:s kunskapsunderlag och NLT:s rekommendation. Även den vetenskapliga och internationella litteraturen för utvärdering framhåller att möjligheten att överklaga är viktigt för att en utvärdering ska uppfattas som legitim (Drummond m.fl. 2008, Daniels och Sabin 1997). I England är det möjligt att överklaga den engelska motsvarigheten till kunskapsunderlag (NICE 2009), och i Skottland kan läkemedelsföretag lämna in en ny ansökan om deras första ansökan fick avslag (SMC 2013). I den modell som valts inom kliniskläkemedelsprojektet i dag är det inte möjligt att överklaga varken TLV:s kunskapsunderlag eller NLT:s rekommendationer. För att skapa en möjlighet att överklaga krävs justeringar av den nuvarande ordningen, varför det krävs vidare utredning och ställningstaganden i frågan för att kunna bedöma om det är en ändamålsenlig utveckling. Vi anser att

möjligheter för olika parter att komma till tals och vara delaktiga i ett tidigt skede av processen är ett viktigt alternativ till möjligheten att överklaga.

Bidra till offentlighet kring uppgifter i möjligaste mån

Samtliga inblandade parter bör i möjligast mån bidra till offentlighet kring de uppgifter som ingår i de handlingar som tas fram inom kliniskläkemedelsprojektet.

Förkorta handläggningstiderna

Det är viktigt att de totala handläggningstiderna förkortas jämfört med idag och där har TLV en viktig roll. TLV har redan påbörjat arbetet med att förkorta handläggningstiderna. Vi är även medvetna om att det finns en avvägning mellan hur lång tid arbetet tar och kunskapsunderlagets kvalitet och att detta är en resursfråga. Trots detta anser vi att det bör ställas krav på TLV att korta sina handläggningstider.

Vår internationella utblick visar att handläggningstiderna för hälsoekonomiska utvärderingar av läkemedel varierar mycket mellan olika länder (se boxen på nästa sida för exempel). Skottland är bland de snabbaste med 19 veckors handläggningstid, vilket inkluderar en fullständig hälsoekonomisk utvärdering liknande den som TLV gör och ett beslut om läkemedlet ska användas eller inte. Kanada är som nämnt tidigare ännu snabbare med 12 veckors handläggningstid för vissa läkemedel. England är bland de långsammare och behöver 26–34 veckor, beroende på hur många remissomgångar som används. I England görs dock utvärderingarna först när läkemedlet börjat användas i sjukvården, vilket innebär att introduktionen av läkemedlet inte är lika beroende av handläggningstiderna.

4. Förslag gällande rekommendationerna

Utred vilken aktör som är mest lämplig att avge en rekommendation – tre alternativ till fortsatt utveckling

TLV:s hälsoekonomiska utvärdering resulterar i en beräknad kostnad för ett vunnet kvalitetsjusterat levnadsår, men svarar inte på frågan om användningen av läkemedlet är värt kostnaden. En rekommendation som svarar på frågan om läkemedlet ska användas eller inte står för en sådan värdering. Om det ska finnas en rekommendation kopplad till TLV:s kunskapsunderlag är frågan vilken aktör som är mest lämpad att avge rekommendationen. Det faktum att rekommendationen påverkar landstingens eller enskilda klinikers budget gör frågan svår, eftersom betalningsviljan för läkemedlet och betalningsförmågan

Handläggningstider i andra länder

Skottland

När ett läkemedel fått marknadsgodkännande måste läkemedelsföretagen ansöka hos de skotska myndigheterna. De skotska myndigheterna följer ett strikt tidsschema och tiden mellan läkemedelsföretagens ansökan till beslut om användning är 19 veckor. (SMC 2014)

Kanada

Kanada har en expressintroduktion för vissa läkemedel. Läkemedel som antingen bedöms fylla en terapeutisk lucka för allvarliga sjukdomar eller vara kostnadsbesparande hanteras separat från andra läkemedel. Om ett läkemedel uppfyller något av kraven ovan, kan läkemedelsföretag ansöka om att deras läkemedel ska behandlas i en så kallad *rapid review process*, som innehåller en hälsoekonomisk analys. Läkemedelsföretagen ska lämna in underlag till *rapid review process* senast 60 dagar innan beslut om marknadsgodkännande fattas och målet är att en *rapid review process* ska vara klar inom 30 dagar efter marknadsgodkännande. En *rapid review process* tar alltså 90 dagar. (Ispar 2011)

Tyskland

I Tysklands modell för bedömningar av läkemedel är prisförhandling en central del. I Tyskland introduceras ett läkemedel när det fått marknadsgodkännande. I samband med introduktionen initieras en så kallad *rapid assessment* som är färdig inom 90 dagar. En *rapid assessment* syftar till att undersöka om det nya läkemedlet har någon ytterligare effekt jämfört med tidigare läkemedel. En sådan utvärdering kan innehålla en hälsoekonomisk utvärdering. När ett läkemedel funnits ett år på marknaden kan en så kallad *full assessment* initieras. En *full assessment* innehåller alltid en hälsoekonomisk utvärdering. Målet är att en *full assessment* ska ta högst tre månader. (Kifman och Neelsen 2010)

England

I England introduceras läkemedel i samband med dess marknadsgodkännande. Därefter kan en hälsoekonomisk utvärdering initieras. Beroende på antalet remissomgångar tar det 26–34 veckor innan beslut fattas om fortsatt användning om läkemedel. (NICE 2009)

påverkas av budgeten och kan skilja sig mellan olika aktörer. En viss kostnad per levnadsår måste således inte nödvändigtvis leda till samma beslut för alla beslutsfattare. Därför kan det vara svårt för en utomstående part, som inte är starkt förankrad i beslutsfattarens värderingar eller budgetavvägning, att lämna en rekommendation. Utmaningen består alltså i att lämna en rekommendation som är förankrad i beslutsfattarens värderingar, men som också är en del av en effektiv process med hög legitimitet. Dessutom är ökad jämlikhet mellan landstingen i tillgången på läkemedel ett viktigt slutmål.

I vår utvärdering konstaterar vi att rekommendationerna i klinikläkemedelsprojektet har haft en oklar ställning gentemot prioriteringsplattformen och arbetet med att ta fram rekommendationerna har betydande brister i transparens och effektivitet. Vi har identifierat tre möjliga alternativ för fortsatt utveckling, som skulle kunna utredas vidare, vad gäller mottagandet av TLV:s kunskapsunderlag.

I. Enskilda landsting är mottagare av TLV:s kunskapsunderlag

Ett alternativ är att inte koppla någon nationell rekommendation till kunskapsunderlagen. Varje enskilt landsting, eller landsting i grupp om de samarbetar runt inköp av läkemedel, skulle då vara mottagare av TLV:s kunskapsunderlag, och utifrån dessa göra en egen värdering utifrån den egna situationen. Med ett välutvecklat och tydligt kunskapsunderlag skulle det finnas förutsättningar för landstingen att anpassa innehållet till den situation som råder i det enskilda landstinget. Arbetsgången skulle möjliggöra förankring av värderingen och beslutet i det enskilda landstingets förutsättningar och tolkning. En förutsättning är dock att det finns tillräcklig mottagarkompetens i landstingen för att fatta sådana överväganden utifrån TLV:s kunskapsunderlag.

Vår utvärdering visar att många landsting tycker det är värdefullt att det finns en nationell rekommendation kopplad till TLV:s kunskapsunderlag. Vi uppfattar det som att rekommendationen ökar den upplevda nyttan av TLV:s kunskapsunderlag och bedömer att kunskapsunderlagen skulle implementeras mindre i verksamheterna utan en rekommendation. Ur ett patient- och jämlikhetsperspektiv är det dessutom viktigt att landstingen tar samma beslut, så att patienter i olika landsting får tillgång till samma vård. En nationell rekommendation bör öka sannolikheten för lika beslut och behandling i hela landet, men det är viktigt att det finns acceptans för processen, att rekommendationen är förankrad i landstingen, att landstingen har tilltro till organisationen och därmed väljer att följa rekommendationen. Vi bedömer att det även fortsättningsvis troligen bör finnas en rekommendation kopplad till de hälsoekonomiska kunskapsunderlagen, samtidigt som vi ser svårigheten i att separera rekommendationen från beslutsfattaren med budgetansvar.

II. Landstingen utarbetar gemensamma rekommendationer, men utvecklar nya mer ändamålsenliga strukturer och processer

Ett annat alternativ är att landstingen går samman och tar fram en gemensam rekommendation baserad på TLV:s kunskapsunderlag. I idealfallet är samtliga landsting med, men det är också möjligt att vissa landsting går före.



Det är landstingen som finansierar klinikläkemedel och ytterst är ansvariga för deras användning, vilket talar för att landstingen ska värdera läkemedlet genom att avgöra om kostnaden är acceptabel i förhållande till vilken effekt läkemedlet har, och därmed ta fram rekommendationen.

Den avgörande frågan är om det finns förutsättningar för och engagemang bland landstingen att samordna sig och sätta upp rutiner för ett sådant samarbete. Det är viktigt att framhålla att det här alternativet inte innebär en oförändrad process jämfört med den verksamhet som har bedrivits inom klinikläkemedelsprojektet. Formen med NLT som en del av SKL separerad från landstingen har inte fungerat tillräckligt väl. NLT är visserligen tillsatt av hälso- och sjukvårdsdirektörerna, men enligt SKL är NLT en del av SKL och de personer som ingår i gruppen representerar inte landstingen. Därmed bedömer SKL att man inte behöver följa den lagstiftning som annars gäller för landstingen i fråga om bland annat offentlighet, sekretess samt mål för och krav på vården. Den ordning som har valts för samarbetet bidrar alltså till att skapa bristerna i processen.

Vi anser att det krävs en annan samarbetsform för landstingen. En form som innebär att det är landstingen som står bakom processen och som innebär en skyldighet att följa relevant lagstiftning, och att det inte är fortsatt valfritt att göra det. Exempelvis skulle samarbetet kunna organiseras så att gruppen består av landstingen och representerar dem. Skillnaden skulle vara att en sådan ordning skulle kunna bidra till att skapa öppenhet, transparens, ökad förståelse och kännedom kring de hälsoekonomiska utvärderingarn för landstingen. Arbetet skulle även omfattas av de viktiga regelverk som efterfrågas för att skapa legitimitet och stabilitet. Det bygger också på att samtliga landsting som väljer att vara med i samarbetet är representerade. Representeranterna bör vara utvalda av, och väl förankrade i, sina respektive sjukvårdsregioner. Om prisförhandlingar ska ske inom en sådan grupp av landsting kan representanter från landstingens inköpsavdelningar delta i den delen av processen för att öka förhandlingskompetensen. Syftet med en sådan ordning skulle vara att förstärka bryggan mellan rekommendationen och landstingen där det formella beslutet om användning tas.

Utmaningen i den här möjliga vägen framåt är att hitta en välfungerande modell för nationellt landstingssamarbete som är förankrad i landstingen, har mandat att utföra de uppgifter som arbetet innebär och som uppfyller principerna om transparens, förutsägbarhet, effektivitet, ändamålsenlighet och funktionella institutioner. I dagsläget saknas en lämplig konstellation för sådant nationellt landstingssamarbete.

III. En statlig myndighet utarbetar rekommendationer

Ett tredje alternativ är att staten utöver att stå till tjänst med det hälsoekonomiska kunskapsunderlaget även uttalar sig med en rekommendation. TLV lämnar i dagläget inga rekommendationer inom klinikläkemedelsprojektet. Men inom läkemedelsförmånen tar de beslut om statlig subvention, och eftersom beslutet inom läkemedelförmånen påminner om rekommendationen inom klinikläkemedelsprojektet kan TLV vara en lämplig aktör. I våra intervjuer lyfts just TLV fram som en aktör som skulle kunna få utvidgat ansvar i klinikläkemedelsprojektet genom att också ge en rekommendation utifrån sina kunskapsunderlag. Det skulle innebära att hanteringen av klinikläkemedel blir mer lik hanteringen av förmånsläkemedel. TLV skulle kunna få i uppdrag att inrätta en nämnd, där samtliga landsting är representerade, och som beslutar om rekommendationer på liknande sätt som TLV:s nämnd för förmånsläkemedel fattar beslut om subvention. Landstingsrepresentanterna bör vara utvalda av och väl förankrade i sina respektive sjukvårdsregioner. Syftet med en nämnd skulle vara att skapa en brygga mellan rekommendationen och landstingen där det formella beslutet om användning tas. En viktig fråga att utreda är om arbetet i nämnden skulle kunna organiseras så att landstingen inte drabbas av sekretessbarriärer som kan komma att begränsa landstingens öppenhet och transparens.

Oavsett vilken statlig myndighet som skulle yttra sig med en rekommendation om läkemedelsanvändning skulle det innebära att delprocessen gällande rekommendationerna omfattas av lagstiftningen om bland annat offentlighet och sekretess. Men ett utökat ansvar för TLV eller inblandning av andra statliga myndigheter innebär inte automatiskt att även hälso- och sjukvårdslagens bestämmelser om människovärdes-, behovs- och solidaritetsprincipen samt kostnadseffektivitetsprincipen gäller. För TLV:s del när det gäller läkemedelsförmånen regleras det till exempel särskilt i lagen (2002:160) om läkemedelsförmåner m.m. Myndigheten behöver också arbeta för att komma tillrätta med bristerna i processerna runt rekommendationerna i den nuvarande modellen som inte försvinner automatiskt genom att en statlig myndighet avger en rekommendation. Exempel på sådana brister är knapphändig information, långa handläggningstider och outvecklade resonemang kring motiven till rekommendationerna.

En viktig del som behöver utredas i alternativet där en statlig myndighet skulle avge en rekommendation som påverkar landstingen ekonomiskt är om en sådan lösning är förenlig med landstingens självstyre. Utmaningen är att finna en lämplig modell för statlig kunskapsstyrning som harmonierar med landstingens ansvar för hälso- och sjukvården.



Inför tydliga och uttalade motiv till rekommendationen och prioritera arbetet med att korta handläggningstiderna, oavsett vem som ger rekommendationen

Oavsett vilken organisation som ger rekommendationen måste det fastställas vilka motiv som får ligga till grund för rekommendationerna. Liksom för urval av läkemedel kan tydliga och uttalade kriterier leda till att processen uppfattas som rättvis (Singer m.fl. 2000), och att den i förlängningen får större acceptans (Drummond m.fl. 2008). Motiven bör redovisas öppet och utgå från den etiska plattformen. I varje enskilt fall bör resonemang som leder fram till rekommendationen framgå, och jämfört med dagens rekommendationer anser vi att resonemangen behöver utvidgas. Utöver en referens till vad TLV:s troligen hade accepterat inom läkemedelsförmånerna, för ett liknande läkemedel, bör det exempelvis framgå hur resonemangen har gått gällande sjukdomens svårighetsgrad och det bör det framgå hur människovärdes-, behovs-, solidaritets- och kostnadseffektivitetsprincipen har vägts samman. Om rekommendationen ska efterlikna TLV:s beslut inom läkemedelsförmånen är det viktigt att det framgår *hur* detta har gjorts, utöver *att* det har gjorts. Alla utvärderingar som påbörjas bör mynna ut i en rekommendation.

Oavsett vem som ger rekommendationen måste tiden från det att kunskapsunderlagen färdigställs till det att det kommer en rekommendation förkortas, i synnerhet om hälsoekonomisk utvärdering ska ske innan läkemedlet introduceras i vården. Handläggningstiderna har förkortats sedan starten av projektet, men fortfarande tar det flera månader för NLT att avge en rekommendation. Inom ramen för OtIS-projektet ingår förslag om ytterligare förkortade handläggningstider.

Utveckla möjligheterna för landstingen att prissförhandla gemensamt

Nationella prissförhandlingar med läkemedelsföretag har blivit ett återkommande inslag i klinikläkemedelsprojektet, och de kommer sannolikt att vara aktuella även i fortsättningen. Hur dessa prissförhandlingar, som är tätt relaterade till rekommendationen, ska hanteras är en viktig men svår fråga. Det är landstingen själva som ingår avtal med läkemedelsföretag. Avtals- och prissförhandlingar som sköts av någon annan part riskerar att bli ineffektiva, vilket vi också sett i klinikläkemedelsprojektet. Avtalen är inte alltid ändamålsenliga och det har tagit lång tid att använda dem i praktiken. Exempelvis har vissa landsting omförhandlat vissa delar av avtalen. Samtidigt finns det ett värde i att rekommendationen bygger på det faktiska, färdigförhand-

lade priset, och många parter ställer sig positiva till att det sker en nationell prisförhandling. I dagsläget saknas dock en lämplig konstellation för nationella prisförhandlingar, och NLT:s prisdiskussioner inom kliniskläkemedelsprojektet har förts med ett otydligt mandat.

Vi bedömer att det antingen är landstingen individuellt, i sjukvårdsregioner eller inom ramen för Effektivisering av Läkemedelsupphandling i Samverkan (ELIS), som är lämpligast att förhandla avtal och priser med företagen. Vi ser klara fördelar med en mer centraliserad process för detta, men anser att den måste följas av ett tydligt mandat och kompetens att förhandla. I förlängningen är det möjligt att ELIS, eller dess efterföljare, är lämplig för prisförhandlingar. Eftersom rekommendationen om ett läkemedels användning kan bero på läkemedelspriset, behöver organisationerna för rekommendationer och prisförhandlingar samordnas.

5. Förslag gällande beslut om läkemedelsanvändning

Kommunicera motiven till besluten tydligt

Landstingen ansvarar för hälso- och sjukvården och beslutar om inköp och användning av läkemedel. TLV:s kunskapsunderlag utgör beslutsstöd och är inte tvingande. Landsting resonerar på olika sätt och gör olika bedömningar, vilket leder till olika beslut. Vi anser att det ska råda öppenhet kring landstingens beslut, och att dessa ska vara tydligt motiverade och kommunicerade. Om ett landsting väljer att inte använda ett läkemedel, eller att använda det i begränsad utsträckning, ska grunderna till beslutet vara klara och tydliga för patienter och medborgare. Detta bidrar till öppna prioriteringar, och möjliggör uppföljning av i vilken utsträckning som landstingen väljer att följa rekommendationerna.

6. Förslag gällande fasen då läkemedlet börjar användas

Introducera införandeprotokoll som är framtagna av den medicinska professionen. Dessa bör kopplas samman med den hälsoekonomiska utvärderingen.

Vi föreslår att nationella införandeprotokoll, eller införandeprogram, tas fram – i idealfallet för varje nytt kliniskläkemedel. Protokollen bör vara framtagna av den medicinska professionen och beskriva hur läkemedlet ska användas och vilka patienter som bör komma ifråga för behandling. Med en sådan beskrivning ökar sannolikheten att rätt patient får rätt behandling, vilket innebär att träffsäkerheten i behandlingen ökar. Protokollen syftar även till



att minska osäkerheten i vården om vem som bör påbörja behandling med ett nytt läkemedel. Med en nationellt framtagen plan, som är väl förankrad i professionen, ökar även förutsättningarna för att läkemedlet används likadant i alla landsting, vilket kan bidra till minskade regionala skillnader och mer jämlik vård. Om förankring i den medicinska professionen kräver att protokollen tas fram lokalt kan det finnas en motsägelse mellan förankring och nationellt framtagna protokoll. För att främja jämlik vård är det viktigt att protokollen har samma innehåll i hela landet.

Som nämndes under punkten 3 ovan anser vi att införandeprotokollen bör sammankopplas med den hälsoekonomiska utvärderingen. Exempelvis kan den hälsoekonomiska utvärderingen bidra till att identifiera viktiga medicinska parametrar där läkemedlet är mer eller mindre kostnadseffektivt. Vi föreslår därför att införandeprotokoll och det hälsoekonomiska kunskapsunderlaget tas fram i nära samarbete.

Inför en strukturerad och nationell uppföljning av klinikläkemedels användning och effekt. Uppföljningen bör utgå från och återknyta till den hälsoekonomiska utvärderingen.

Vi föreslår att det för varje hälsoekonomiskt kunskapsunderlag i normalfallet ska finnas en tydlig plan för hur läkemedlet ska följas upp, alternativt en analys som visar varför det inte behöver följas upp. Som nämndes under punkten 3 ovan anser vi att planen för uppföljning, i likhet med införandeprotokollet, ska kopplas till den hälsoekonomiska utvärderingen. Uppföljningsplanen behöver identifiera vilken information som är kritisk för att i framtiden kunna återvända till det hälsoekonomiska kunskapsunderlaget och det därpå följande beslutet om att använda ett läkemedel eller inte. Om det under den hälsoekonomiska utvärderingen råder stor osäkerhet kring till exempel hur väl patientgruppen som den hälsoekonomiska modellen utgår från stämmer överens med den patientgrupp som sedermera kommer att behandlas i klinisk praxis, bör uppföljningsplanen innehålla relevanta variabler så att kunskapen kring detta kan öka. På liknande sätt, om det råder osäkerhet kring vilken effekt läkemedlet har på överlevnad eller livskvalitet eller på patientens sjukskrivningstid, bör dessa parametrar ingå i uppföljningsplanen.

När läkemedlet börjar användas i klinisk vardag är det också möjligt att det framkommer ny information om de medicinska effekterna och hur dessa varierar mellan olika typer av patienter. Då är det viktigt att fånga upp även sådan typ av ny information, och återkoppla till den hälsoekonomiska utvärderingen. När exempelvis nya viktiga kliniska parametrar identifieras kan

den hälsoekonomiska utvärderingen kompletteras med analyser i enlighet med den nya informationen.

Med den här typen av hjälp av data från klinisk vardag skulle träffsäkerheten i den hälsoekonomiska utvärderingen kunna utvärderas och successivt öka. När nya data har samlats in, och läkemedlet har testats i klinisk vardag, anser vi därför att det vore värdefullt att återvända till den hälsoekonomiska utvärderingen för att stämma av ifall tidigare resultat står sig eller förändras. Vid det här tillfället kan det bli aktuellt att omvärdera tidigare beslut och eventuell rekommendation. En viktig fråga är således vilken beredskap som finns för att omvärdera användningen och fasa ut läkemedlet om den senare hälsoekonomiska utvärderingen visar att läkemedlet inte skulle vara kostnadseffektivt.

Liksom för införandeprotokoll kan uppföljning av läkemedlets användning öka förutsättningarna för mindre regionala skillnader. Exempelvis kan öppna jämförelser användas för att undersöka hur olika landsting väljer att använda nya läkemedel. För att en strukturerad uppföljning ska vara möjlig, krävs att kvaliteten och tillgången på datamaterial säkerställs. Det är också viktigt att utveckla system för datainsamlingen som inte innebär en alltför stor administrativ börda i sjukvården.

4.2 AVSLUTANDE REFLEKTIONER

Vårdanalys har fått regeringens uppdrag (S2012/3857/FS) att utvärdera nyttan av att genomföra hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel. Vi drar två huvudsakliga slutsatser. Vi bedömer att det är värdefullt att klinikläkemedel utvärderas hälsoekonomiskt på nationell nivå. Men den nuvarande strukturen och processen kring de hälsoekonomiska utvärderingarna fungerar inte tillfredsställande.

I samband med våra förslag på fortsatt utveckling belyser och diskuterar vi några frågor och svårigheter som behöver lösas för att skapa en väl fungerande modell för hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel. En sådan viktig fråga är vem som är den mest lämpliga mottagaren av TLV:s kunskapsunderlag, och vem som ska avge en rekommendation om en sådan ska finnas kopplad till kunskapsunderlaget. Vi anser att arbetet i dagsläget inte har konstruerats och organiserats på ett ändamålsenligt sätt för mesta möjliga nytta för landstingen och patienterna. Det är viktigt att organisationen lever upp till höga krav på bland annat offentlighet, transparens, förutsägbarhet och institutionell soliditet.

De frågeställningar som ges av vårt regeringsuppdrag, och som ligger till



grund för vår utvärdering och våra slutsatser, berör klinikläkemedelsprojektet som sådant, snarare än klinikläkemedelsprojektet i förhållande till andra relaterade läkemedelsfrågor. Men det finns flera mer övergripande frågor som också berör klinikläkemedelsprojektet. En sådan fråga är prissättningen av läkemedel i Sverige. Som beskrivs i inledningen av den här rapporten, hanteras klinikläkemedel och förmånsläkemedel i olika system. Gränsen för vad som är ett läkemedel som kan ingå i läkemedelsförmånen och vad som är ett klinikläkemedel är inte alltid tydlig, och inom klinikläkemedelsprojektet har även några förskrivningsläkemedel som inte ingår i läkemedelsförmånen tagits upp. Ett och samma läkemedel kan alltså befina sig i båda systemen och röra sig emellan dem, vilket också innebär att det finns olika sätt för ett och samma läkemedel att prissättas. Utöver olika hantering av förmånsläkemedel och klinikläkemedel finns ytterligare andra system för receptfria läkemedel samt receptbelagda läkemedel som inte ingår i läkemedelsförmånen, som prissätts fritt.

Frågor relaterade till de olika systemen för läkemedel är viktig för sjukvården såväl som för läkemedelsföretagen. LIF påpekar i Sjukhusläkaren (2014) att läkemedelsförmånen i allt större omfattning främst omfattar äldre och generiska läkemedel, medan nya läkemedel allt oftare får avslag, och då i vissa fall tas över av NLT-gruppen för prisförhandling. Nätverket för läkemedelskommittéerna (LOK) skriver på DN Debatt (LOK 2014) om hur läkemedelsförmånen urholkas när läkemedelsföretag väljer att lyfta ut vissa läkemedel ut förmånen. Detta innebär att prissättningen blir fri, och varken läkare eller patienter känner till priset. Debattörerna får medhåll av TLV som uttrycker att det är bekymmersamt att läkemedel lämnar läkemedelsförmånen och vill bland annat förbättra informationen om priser (Wallström 2014). LIF replikerar med en uppmantran om en diskussion om läkemedelsförmånens innehåll och vilka läkemedel den statliga finansieringen ska täcka och inte (Blanck 2014). Frågorna ligger utanför ramen för Vårdanalys uppdrag – att utvärdera nyttan med att göra hälsoekonomiska utvärderingar av klinikläkemedel – men vi vill genom den här avslutande reflektionen ändå lyfta fram att det kan finnas anledning att ta ett helhetsgrepp om prissättningen och hanteringen av läkemedel i Sverige.

En ytterligare relaterad fråga är vilken konsekvens en negativ rekommendation, eller ett beslut att inte använda ett visst läkemedel i Sverige, skulle ha. Vad ingår i den offentligt finansierade vården och hur ska möjligheter till ytterligare vård utöver det hanteras? Möjligheten att få vård i andra europeiska länder gör att en sådan behandling kanske ändå behöver bekostas av den svenska sjukvården. Tanken på möjliga konsekvenser av en negativ

rekommendation väcker också frågan om egenfinansiering och privata sjukvårdsförsäkringar. Kan vi komma att se en utveckling där läkemedelsbehandlingar som inte finansieras av den offentliga vården istället finansieras av den enskilda patienten, eventuellt via en försäkring? Vad innebär det i så fall för jämlik vård? Inte heller dessa frågor hanteras inom ramen för Vårdanalys uppdrag att utvärdera klinikläkemedelsprojektet, men vi vill med den här avslutande reflektionen framhålla att det finns yttre utmaningar som också påverkar klinikläkemedelsprojektets position i det svenska sjukvårdssystemet. Den samlade utmaningen är att skapa välfungerande system för en god och jämlik vård i en omvärld där teknikutveckling och internationell integration ger allt större möjligheter för svenska patienter.





Referenser

- Blanck, A. (2014). Debatten bör handla om vad vi vill att staten betalar för. Replik *Dagens Nyheter*. 12 mars. Tillgänglig: <http://www.dn.se/debatt/debatten-bor-handla-om-vad-vi-vill-att-staten-betalar-for/>. [2014-03-24].
- Brommels, M., Hansson, J., Granström, E. och Wåhlin, E. (2013). *Professionen, pennan och pengarna – regionala skillnader i användning av läkemedel*. (Rapport från SNS forskningsprogram Värdet av nya läkemedel). Stockholm: SNS.
- Cutler, D., Skinner, J., Dora Stern, A. och Wennberg, D. (2013). Physician beliefs and patient preferences: A new look at regional variation in health care spending. *NBER Working Paper Series*, nr 19320. Cambridge, Massachusetts: National Bureau of Economic Research.
- Cutting Edge Information (2011). *Clinical Operations: Benchmarking Per-Patient Costs, Staffing and Adaptive Design*.
- Dagens Nyheter (2013). *Ålder vägs in i medicinbeslut*. 10 mars. Tillgänglig: <http://www.dn.se/nyheter/sverige/alder-vags-in-i-medicinbeslut/>. [2014-03-24].
- Daniels, N. och Sabin, J. (1997). Limits to health care: Fair procedures, democratic deliberation, and the legitimacy problem for insurers. *Philosophy and Public Affairs*, Vol 26, ss 303-350.
- Drummond, M. F. (2003). Making economic evaluations more accessible to health care decision-makers. *European Journal of Health Economics*, Vol 4, ss 246-247.
- Drummond, M. F., Schwartz, J. S., Jönsson, B., Luce, B. R., Neumann, P. J., Siebert, U. och Sullivan, S. D. (2008). Key principles for the improved conduct of health technology assessments for resource allocation decisions. *International Journal of Assessment in Health Care*, Vol 24, ss 244-258.

- van Doorslaer, E., Masseria, C. och Koolman, X. för the OECD Health Equity Research Group (2006). Inequalities in access to medical care by income in developed countries. *Canadian Medical Association Journal*, vol 174, ss 177-183.
- Eddama, O. och Coast, J. (2009). Use of economic evaluation in local health care decision-making in England: A qualitative investigation. *Health Policy*, Vol 89, ss 261-270.
- Helsedirektoratet (2014). *Forslag om nasjonal metodevurdering*. Tillgänglig: <http://www.helsedirektoratet.no>. [2014-03-28].
- IMS Health (2010). *Ojämlig hälso- och sjukvård – en rapport om regionala skillnader i läkemedelsbehandling i Sverige 2009*. (IMS Health Report oktober 2010). Tillgänglig: <http://www.lif.se/default.aspx?id=56242>. [2014-03-24].
- IQWiG - Institute for Quality and Efficiency in Health Care (2014). *The commenting procedure (hearings)*. Tillgänglig: https://www.iqwig.de/en/participation_/commenting_procedures_hearings/the_commenting_procedure_hearings.3075.html. [2014-04-05].
- Ispor – International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (2011). *Canada-Pharmaceuticals*. Tillgänglig: <http://www.ispor.org/hta-roadmaps/CanadaPharm.asp>. [2014-02-15].
- Kifman, M. och Neelsen, S. (2010). Germany's Struggle with Prices or Patent-protected Drugs. *CESifo DICE report*, Vol 8, issue 3, ss 43-52.
- Loikas, D., Wettermark, B., von Euler, M., Bergman, U. och Schenk-Gustafsson, K. (2014). Differences in drug utilisation between men and women: A cross-sectional analysis of all dispensed drugs in Sweden. *British Medical Journal (BMJ) Open*, 2013;3:e002378.
- LOK – nätverket för läkemedelskommittéerna i Sveriges landsting och regioner (2014). Högkostnadsskyddet urholkas. *Dagens Nyheter*, 12 mars, s. 7.
- Lundin, D. och Lundquist, L. (2013). Man är inte värd mindre vård eller läkemedel för att man inte arbetar. *Läkartidningen* 2013;110:CHWE.
- Myndigheten för vårdanalys (2013). *Vad är nyttan med hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel? Delrapport*. (Rapport 2013:5). Stockholm: Myndigheten för vårdanalys.
- NICE – National Institute for Health and Care Excellence (2009). *Guide to the single technology appraisal process – National Institute for Health and Clinical Excellence*. Tillgänglig: <http://www.nice.org.uk/media/42D/B3/STAGuideLrFinal.pdf>. [2013-10-25].
- NICE – National Institute for Health and Care Excellence (2014). Databas

- över kunskapsluckor nås på <http://www.library.nhs.uk/duets/>. Tillgänglig 2014-03-24.
- NLT – Nya Läkemedelsterapigruppen (2014). Rekommendationer av NLT-gruppen. Tillgänglig: http://www.skl.se/vi_arbetar_med/halsoochvard/lakemedel/nya-lakemedel/nlt/rek. [2014-03-24].
- Nordin, M., Dackehag, M. och Gerdtham, U-G. (2013). Socioeconomic inequalities in drug utilization for Sweden: evidence from linked survey and register data. *Social Science and Medicine*, Vol 77, ss 106-117.
- Riksrevisionen (2005). *Skydd mot mutor – Läkemedelsförmånsnämnden*. (Promemoria 2005:23). Stockholm: Riksrevisionen.
- Singer, P. A., Martin, D. K., Giacomini, M. och Purdy, L. (2000). Priority setting for new technologies in medicine: Qualitative case study. *British Medical Journal (BMJ)*, Vol 321, ss 1316-1318.
- Sjukhusläkaren (2014). Parallella system riskerar att hälso- och sjukvårdslagen sätts åt sidan. *Sjukhusläkaren*, Nr 1 2014, ss 16-17.
- SMC – Scottish Medicines Consortium (2013). *Guidance to Manufacturers for Completion of New Product Assessment Form*. Tillgänglig: <http://www.scottishmedicines.org.uk>. [2013-11-13].
- SMC – Scottish Medicines Consortium (2014). *Timelines for Submission to secretariat and review by NDC and SMC*. Tillgänglig: http://www.scottishmedicines.org.uk/Submission_Process/Submission_Guidance_and_Templates_for_Industry/Timelines. [2014-04-15].
- Socialstyrelsen (2011). *Ojämna villkor för hälsa och vård: Jämlikhetsperspektiv på hälso- och sjukvården*. Stockholm: Socialstyrelsen.
- Socialstyrelsen (2013a). *Öppna jämförelser: Jämlik vård 2013*. Stockholm: Socialstyrelsen.
- Socialstyrelsen (2013b). *Väntetider i cancervården: Väntetider från remiss till behandling i cancervården. Delrapport oktober 2013*. Stockholm: Socialstyrelsen.
- Socialstyrelsen och Sveriges Kommuner och Landsting (SKL) (2013a). *Öppna jämförelser 2013. Hälso- och sjukvård: jämförelse mellan landsting*. Stockholm: Sveriges Kommuner och Landsting.
- Socialstyrelsen och Sveriges Kommuner och Landsting (SKL) (2013b). *Öppna jämförelser 2013. Läkemedelsbehandlingar: jämförelse mellan landsting*. Stockholm: Socialstyrelsen.
- Statens beredning för medicinsk utvärdering (SBU) (2014). Databas över kunskapsluckor nås på <http://www.sbu.se/sv/Publicerat/Vetenskapliga-kunskapsluckor/>. Tillgänglig 2014-03-24.

- Statistiska Centralbyrån (2014). Utdrag ur Statistikdatabasen. Folkmängd 1 november 2013 efter region.
- Svensk Handkirurgisk förening (2014). Länkar till handkirurgiska kliniker. Tillgänglig: <http://www.handkirurgi.se/node/9>. [2014-03-24].
- Svenska Dagbladet (2013). Ålder vägs in i medicinnota. Publicerad 10 mars. Tillgänglig: http://www.svd.se/nyheter/inrikes/alder-vags-in-i-medicinnota_7982636.svd. [2014-03-24].
- Sveriges Kommuner och Landsting (SKL) (2014). *Läkemedelskostnader*. Tillgänglig: http://www.skl.se/vi_arbetar_med/halsoochvard/lakemedel/lakemedelskostnader. [2014-03-24].
- Sveriges Television (2013). *PRO: Äldre diskrimineras vid medicinbeslut*. SVT Nyheter 10 mars. Tillgänglig: <http://www.svt.se/nyheter/sverige/pro-aldre-diskrimineras-vid-medicinbeslut>. [2014-03-24].
- Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) (2010). *Ska TLV genomföra hälsoekonomiska bedömningar av rekvisionsläkemedel?* (Dnr: 2731/2009).
- Wallström, S. (2014). Vi bjuder in till samtal om högkostnadsskyddet. *Dagens Nyheter*. Replik. Publicerad 12 mars. Tillgänglig: <http://www.dn.se/debatt/vi-bjuder-in-till-samtal-om-hogkostnadsskyddet/>. [2014-03-24].



BILAGA 1 SAMMANSTÄLLNING AV LÄKEMEDEL SOM INGÅTT I KLINIKLÄKEMEDEL- PROJEKTET

Tabellen på de kommande sidorna redogör för de läkemedel som fram till och med mars 2014 hade genomgått en hälsoekonomisk utvärdering inom klinikläkemedelsprojektet.

- Kolumnen märkt EMA anger datumet då det europeiska läkemedelsverket (EMA) godkände marknadsföring av läkemedlet.
- Kolumnen märkt Kunskapsunderlag anger den månad då TLV publicerade kunskapsunderlaget.
- Kolumnen märkt Rekommendation anger den månad då NLT kom med sin rekommendation.
- Kolumnen Nationell prisförhandling indikerar huruvida NLT har fört en prisdiskussion med det aktuella företaget.
- Kolumnen Särlläkemedel indikerar huruvida läkemedlet används för en sjukdom som drabbar färre än 5 av 10 000 personer.
- Kolumnen märkt Läkemedelskostnad anger den avrundande kostnaden för läkemedlet och är hämtat från TLV:s kunskapsunderlag. Siffrorna bygger således på de priser som läkemedelsföretagen anger till TLV i samband med den hälsoekonomiska utvärderingen (listpriser), och motsvarar inte alltid de priser som landstingen betalar i slutändan, exempelvis om rabattavtal tecknas eller om olika landsting redan har avtalade priser eller

har upphandlat läkemedlet. Som framgår av tabellen anges läkemedelskostnaden i varierande former, exempelvis ibland per patient och ibland per patient och år. I vissa fall är kostnaden uppskattad utifrån hur många doser en genomsnittlig patient förväntas behöva, men kostnaden kan variera mellan olika patienter. Den angivna siffran ska således ses som en indikation på läkemedelskostnaden snarare än ett exakt pris, och siffrorna är inte helt jämförbara mellan olika läkemedel eftersom de anges i olika former.

- Slutligen anger den sista kolumnen den uppskattade kostnaden för ett vunnet kvalitetsjusterat levnadsår (QALY) i jämförelse med den angivna alternativa behandlingen. Denna kostnad är hämtad från TLV:s kunskapsunderlag (förutom i ett fall, såsom framgår av tabellen), och motsvarar den kostnad som TLV anger i sitt så kallade grundscenario. Utöver grundscenariot redovisar TLV resultat från känslighetsanalyser där olika antaganden ändras. I dessa fall förändras även den uppskattade kostnaden per vunnet QALY. Uppskattningarna bygger på de priser som läkemedelsföretagen anger till TLV i samband med den hälsoekonomiska utvärderingen (listpriser), vilket inte alltid motsvarar de priser som landstingen betalar. Det innebär att om landstingen betalar ett lägre pris efter att exempelvis ha skrivit på ett avtal som ger rabatt, sjunker kostnaden per vunnet QALY. Eftersom priserna efter rabatter är okända (sekretessbelagda), kan vi inte redovisa den faktiska uppskattade QALY-kostnaden. Läkemedelskostnaden som redovisas i den förra kolumnen utgör bara en del av de totala kostnaderna som ligger till grund för uppskattningen av kostnaden för ett vunnet QALY. Härutöver ingår eventuella kostnader för exempelvis sjukhuskostnader i samband med behandlingen, produktionsbortfall och kostnader som uppstår i samband med biverkningar.

Läkemedel	EMA-godkännande	Kunskapsunderlag	Rekommendation	Nationell prisdiskussion	Sär-läke-medel	Läkemedelskostnad (avrundat)	Kostnad per QALY (avrundat)
Yervoy	13 juli 2011	Juni 2012	April 2012 (negativ) Juni 2012 (positiv)	x		670 000n kr/patient	1 080 000 kr
Zytiga	5 sept 2011	Aug 2012	Sept 2012 (negativ) Dec 2012 (positiv)	x		320 000 kr/patient	1 300 000 kr
Lucentis (DME)	22 jan 2007	Nov 2012 (uppdaterat nov 2013)	Dec 2013			8900 kr/förpackning*	990 000 kr
Lucentis (RVO)	22 jan 2007	Nov 2012 (uppdaterat nov 2013)	Dec 2013			8900 kr/förpackning*	540 000 kr för CRVO 895 000 kr för BRVO
Ilaris	23 okt 2009	Nov 2012			x	760 000 kr/patient/år	> 1 000 000 kr
Soliris	20 jun 2007	Dec 2012			x	3 400 000 kr*	5 100 000 kr
Halaven	17 mars 2011	Jan 2013				18 300 kr/behandling*	1 400 000 kr
Jevtana	17 mars 2011	Febr 2013	Dec 2013	x		250 000 kr/patient	1180 000 kr – 1 440 000 kr (860 000–1 000 000 kr)*
Nulogix	17 juni 2011	Mars 2013	Maj 2013			120 000 kr/patient/ år*	Saknas
Xiapex	28 febr 2011	Maj 2013	Okt 2013			10 000 kr per led	Saknas
Benlysta	13 juli 2011	Maj 2013	Dec 2013	x	x	120 000 kr/patient/ år*	750 000 kr*
Perjeta	4 mars 2013	Juni 2013	Okt 2013	x		1 300 000 kr/patient	2 600 000 kr
Adcetris	25 okt 2012	Juni 2013	Okt 2013			480 000 kr/patient*	820 000 kr*
Eylea	22 nov 2012	Aug2013	Nov 2013			111 000 kr/patient	200 000 kr

*Kommentarer till tabellen:

Lucentis: Det framgår inte tydligt i kunskapsunderlaget hur många förpackningar som behövs för en behandling eller en patient.

Soliris: Kostnaden avser patient per år. Framgår dock inte hur många år en genomsnittlig patient använder läkemedlet.

Halaven: Kostnaden avser behandlingscykel. I kunskapsunderlaget framgår inte hur många behandlingscykler som är aktuella för den genomsnittliga patienten.

Jevtana: Den högre kostnaden per QALY avser hela populationen, och den lägre en undergrupp, för vilken NLT rekommenderar användning.

Nulogix: Avser underhållsbehandling. Kostnaden för behandling första året är högre (ca 170 000 kr). Framgår ej hur många år den genomsnittliga patienten behandlas.

Benlysta: Kostnaden första året är något högre (ca 130 000 kr). Framgår ej hur många år den genomsnittliga patienten behandlas. Kostnaden per QALY baseras på rabatterat pris och framgår av NLT:s rekommendation.

Adcetris: Läkemedelskostnaden baseras på antagande om sex behandlingscykler. QALY-kostnaden avser ett genomsnitt, men kunskapsunderlaget anger kostnaden per QALY för tre indikationer och visar att den varierar mellan 469 000 kr och 967 000 kr.

Fortsättning på nästa sida »»

Läkemedel	EMA-godkännande	Kunskapsunderlag	Rekommendation	Nationell prisdiskussion	Sär-läke-medel	Läkemedelskostnad (avrundat)	Kostnad per QALY (avrundat)
Zaltrap	1 feb 2013	Sept 2013	Dec 2013			10 000 kr/ behandling*	Zaltrap dominerar*
Fluenc (vac-cin)	27 jan 2011	Nov 2013	Dec 2013			196 kr per dos	max 210 000 kr
Vidaza	17 dec 2008	Dec 2013	Febr 2014			710 000 kr –760 000 kr/patient*	890 000–1 140 000 kr*
Avastin	12 jan 2005	Dec 2013				3000 kr/100 mg*	1–2 milj kr
Ozurdex	27 juli 2010	Dec 2013	Febr 2014			23 000 kr/patient	Se kommentar*
Kalydeco	23 juli 2012	Jan 2014			x	2 100 000 kr/patient/år*	5,8–10,4 milj kr
Kadcyla	15 nov 2013	Febr 2014				850 000 kr/patient	1,1–1,6 milj kr*
Lemtrada	12 okt 2013	Febr 2014				500 000 kr	Lemtrada dominerar*
Yervoy (utökad indikation)		Mars 2014	Mars 2014	x		730 000 kr/patient*	540 000 kr

*Kommentarer till tabellen:

Zaltrap: Läkemedelskostnaden avser en behandlingscykel, men det framgår inte hur många cykler den genomsnittlige patienten går igenom. Läkemedlet visar sig vara billigare än jämförelsealternativet per behandlingscykel och minst lika effektivt, och kunskapsunderlaget presenterar därför en kostnadsminimeringsanalys.

Vidaza: I TLV:s kunskapsunderlag analyseras tre jämförelsealternativ (bästa möjliga omvårdnad, kemoterapi och lågdos kemoterapi). Läkemedelskostnaden och kostnaden per vunnet QALY varierar beroende på jämförelsealternativ.

Avastin: Minst 500 mg krävs för ett doseringstillfälle, men i kunskapsunderlaget framgår det inte tydligt hur många doseringstillfällen som behövs eller vad den totala läkemedelskostnaden för den genomsnittliga patienten är.

Ozurdex: Vid CRVO jämförs Ozurdex med Lucentis och bästa möjliga omvårdnad. Vid bästa möjliga omvårdnad beräknas kostnaden för ett vunnet QALY till 1,5 milj kr. Ozurdex är billigare än Lucentis men har i den indirekta jämförelsen visat sig ha en sämre effekt. Detta gör kostnadseffektivitetskvoten svårtolkad och TLV har därför valt att presentera resultaten i en omvänd ordning, som en jämförelse mellan Lucentis och Ozurdex. Kostnad per vunnet QALY (Lucentis gentemot Ozurdex) blir då ungefär 740 000 kr vid CRVO. För BRVO jämförs Ozurdex med laser och Lucentis. Kostnad per vunnet QALY (Lucentis gentemot Ozurdex) redovisas till 950 000 kr. Vad gäller jämförelsen med laser är Ozurdex dominerat då det uppvisar sämre effekt till en högre kostnad.

Kalydeco: Antalet år som den genomsnittlige patienten behandlas framgår inte tydligt i kunskapsunderlaget, men i redovisningen av den hälsoekonomiska modellen framgår en total läkemedelskostnad på 21,2 milj kronor.

Kadcyla: Två olika jämförelsealternativ presenteras, och kostnaden per vunnet QALY är 1,1 respektive 1,6 för dessa två alternativ.

Lemtrada: Är billigare och ger bättre utfall än jämförelsealternativet.

Yervoy: Läkemedelskostnaden skiljer sig mellan den initiala och utökade indikationen för att beräkningen utgår från olika antal doser. Priset för läkemedlet är dock detsamma, och det avtal som landstingen erbjöds för den initiala indikationen gäller även för den utökade. Det har alltså inte förekommit någon ny nationell prisdiskussion.

BILAGA 2

INTERVJUPERSONER

Resultaten i vår utvärdering bygger till stor del på intervjuer och möten med de olika intressenterna i klinikläkemedelsprojektet som har utgjort en viktig källa för informationsinhämtning. I samband med slutrapporten har vi intervjuat företrädare för tre patientorganisationer, läkemedelschefer (eller motsvarande) i samtliga 21 landsting eller regioner (i vissa landsting har fler än en person deltagit i diskussionen), sex verksamhetschefer och företrädare för tre läkemedelsföretag. Härutöver har vi inhämtat information från NLT, TLV och LIF. Vi har använt oss av direkta intervjuer och möten i många fall, och av telefonmöten i andra fall. Kompletterande information har även inhämtats via e-post. De personer som deltagit i informationsinhämtningen listas i tabellen nedan.

Organisation	Namn	Titel/funktion
Patientföreträdare		
Melanomföreningen	Marie Andersson	Ordförande
Prostatacancerförbundet	Calle Waller	Vice ordförande
Bröstcancerföreningarnas Riksorganisation (BRO)	Elizabeth Bergsten-Nordström	Ordförande
Läkemedelschefer (eller motsvarande)		
Landstinget Östergötland	Ulrika Whiss	Enhetschef för läkemedelsgruppen
Landstinget Västmanland	Karl Johan Lindner	Chef på läkemedelsenheten
	Inge Eriksson	Ordförande i läkemedelskommittén
Västerbottens läns landsting	Jonas Claesson	Verksamhetschef Läkemiddelscentrum i Umeå
Landstinget i Värmland	Susanne Carlsson	Läkemedelschef
Landstinget Blekinge	Anna Jansson	Ordförande i läkemedelskommittén
Landstinget i Uppsala län	Astrid Forsström	Läkemedelschef Akademiska sjukhuset
	Henrik Toss	Ordförande i läkemedelskommittén
	Hans Sjöberg	Apotekare
Landstinget Sörmland	Lars Steen	Ordförande i läkemedelskommittén
	Kjell-Ola Engman	Hälsoekonom
	Fredrik Ax	Apotekare
Landstinget Gävleborg	Per-Henrik Back	Ordförande i läkemedelskommittén
Norrbottnens läns landsting	Anders Bergström	Läkemedelsstrateg
Örebro läns landsting	Maria Palmetun Ekbäck	Ordförande i läkemedelskommittén
	Magnus Olsson	Apotekare, Sekreterare i läkemedelskommittén
Landstinget i Dalarna	Elisabeth Kallin	Sekreterare i läkemedelskommittén
Region Skåne	Maria Landgren	Läkemedelschef, Läkemiddelsenheten
Västra Götalandsregionen	Karin Lendenius	Läkemedelschef
Jämtlands läns landsting	Karin Lindgren	Läkemedelsstrateg
Jönköpings läns landsting	Mårten Lindstöm	Läkemedelsstrateg
Landstinget Kronoberg	Magnus Munge	Enhetschef för läkemedelsenheten
Region Halland	Patrik Olsson	Apotekare
	Ann-Kristin Ottersgård-Brorsson	Utvecklare
Stockholms läns landsting	Magnus Thyberg	Chef för läkemedelsenheten
Landstinget i Kalmar län	Ellen Vinge	Ordförande i läkemedelskommittén

Fortsättning på nästa sida »

Bilagor

Organisation	Namn	Titel/funktion
Region Gotland	Monika Westermark	Chefsapotekare
Landstinget Västernorrland	Lena Wiberg	Läkemedelsamordnare på läkemedelsenheten
Verksamhetschefer		
Stockholms läns landsting	Thomas Walz	Verksamhetschef onkologiska kliniken på Karolinska Universitetssjukhuset
Landstinget Östergötland	Gunnar Adell	Verksamhetschef onkologiska kliniken
Västerbottens läns landsting	Elisabeth O Karlsson	Verksamhetschef onkologiska kliniken
Västra Götalandsregionen	Jan Nyman	Sektionschef, Sahlgrenska sjukhuset
Region Skåne	Nils Wilking	Klinikchef onkologiska kliniken
Landstinget Västmanland	Mats Rosén	Verksamhetschef ögonkliniken i Västerås
Läkemedelsföretag		
BMS	Christoffer Holmberg	Associate Director, Nordic Value Strategy Lead, Oncology
	Ulrika Brunell-Abrahamsson	Senior Scientific Advisor, Oncology
Roche	Per Brinck	Pricing and Market Access Manager
	Lars Franksson	Head National Market Access
Janssen	Anna Käll	Public Affairs Leader
Övriga		
NLT-gruppen	Vårdanalys besökte NLT-gruppens möte den 18 december för gruppdiskussion med de som närvarade på detta möte.	
NLT	Anders Hallberg	Ordförande NLT. Har ej intervjuats, men diskussion och dialog har förts per e-post.
NLT	Sören Hansen	Representant i NLT
SBU/SKL/NLT	Jan Liliemark	Adjungerad i NLT, Projektledare för OHS
SKL/NLT	Sofie Alverlind	Koordinator NLT, Projektkoordinator OHS
SKL/Landstinget i Östergötland	Mikael Svensson	Biträdande projektledare OHS
TLV	Jonathan Lind Martinsson	Hälsoekonom och projektledare kliniskläkemedelsprojektet från hösten 2013
	Sophia Brodin	Medicinsk utredare och projektledare kliniskläkemedelsprojektet till hösten 2013
	Christin Andersson	Avdelningschef
	Ulrika Ternby	Jurist
LIF	Anders Blanck	VD
	Karolina Antonov	Chefsstrateg

BILAGA 3

SVARFREKVENSER ENKÄTUNDERSÖKNING

Som en del av informationsinsamlingen genomförde vi en enkätundersökning (webbenkät) bland verksamhetschefer. Inbjudan att besvara enkäten skickades till tre grupper av verksamhetschefer: Verksamhetschefer inom onkologi, verksamhetschefer inom handkirurgi och verksamhetschefer inom ögonsjukvård. Dessa grupper berörs av läkemedel som utvärderats inom klinikläkemedelsprojektet och valdes i syfte att bredda informationsinhämtandet genom spridning över flera terapiområden.

För onkologigruppen användes e-postlistan för nationella onkologichefsrådet där alla verksamhetschefer i onkologi ingår. Några landsting har flera representanter på e-postlistan medan andra landsting inte har någon, eftersom cancerpatienterna där behandlas på en klinik i ett annat landsting.

Vad gäller handkirurgi finns det sju rena handkirurgiska kliniker i Sverige (Svensk handkirurgisk förening 2014). Verksamhetscheferna på dessa kliniker bjöds in att besvara enkäten. I landsting som saknar en handkirurgisk klinik tog vi kontakt med landstinget och fick via e-postkorrespondens kontaktinformation till den klinik som hanterar handkirurgiska åkommor. I några fall gjorde vi en egen eftersökning av kontaktpersoner via landstingens hemsidor. Detta resulterade i kontakuppgifter till ortopediska, kirurgiska eller plastkirurgiska kliniker.

För verksamhetschefer på ögonkliniker kontaktade vi också landstingen för att be om kontakuppgifter, och även här kompletterade vi i några fall med egen eftersökning via landstingens hemsidor.

Tabellen på nästa sida redovisar antal enkätinbjudningar och besvarade enkäter per grupp. Bland verksamhetschefer i onkologi fick vi totalt 15 svar, vilket motsvarar en svarsfrekvens på 71 procent. Bland verksamhetschefer i handkirurgi och ögon var svarsfrekvensen betydligt lägre, och på grund av för låg svarsfrekvens är det enbart informationen från onkologerna som används och redovisas i rapporten. Det är intressant att notera att de verksamhetschefer inom handkirurgi och ögon som har besvarat vår enkät känner till klinikläkemedelsprojektet betydligt sämre än onkologicheferna. Alla verksamhetscheferna inom onkologi uppger att de kände till projektet, men ingen av verksamhetscheferna inom handkirurgi och bara ett fåtal av de svarande verksamhetscheferna på ögonkliniker. Att klinikläkemedelsprojektet inte är så känt bland verksamhetschefer inom handkirurgi och ögon kan vara en förklaring till den låga svarsfrekvensen.

	Antal enkät- inbjudningar	Antal svar	Svarsfrekvens	Kännedom om klinikläke- medelsprojektet*
Onkologi	21	15	71%	15 (100%)
Handkirurgi – totalt	36	12	33%	0
Handkirurgiska kliniker	7	2	29%	0
Ortopediska kliniker	22	8	36%	0
Kirurgiska och plastik- kirurgiska kliniker	7	2	29%	–
Ögon	55	19	35%	4 (21%)

*Antal (och andel) av de som skickat in enkäten som uppger att de innan enkätinbjudan kände till klinikläkemedelsprojektet. Fyra av verksamhetscheferna inom handkirurgi (varav två på kirurgiska och plastkirurgiska kliniker) och tre inom ögon som har skickat in enkäten har inte besvarat frågan.

Värdefullt men inte fullvärdigt

Om nyttan med hälsoekonomiska bedömningar av klinikläkemedel

Vårdanalys har på regeringens uppdrag utvärderat en pågående försöksverksamhet där klinikläkemedels kostnadseffektivitet utvärderas. Vi drar slutsatsen att verksamheten är värdefull och tillför nytta i sjukvården, men att det finns väsentliga brister i processerna som behöver åtgärdas. Rapporten lyfter fram viktiga förbättringsområden och diskuterar hur verksamheten kan utvecklas vidare för att skapa värde för patienter och landsting.

Myndigheten för vårdanalys (Vårdanalys) uppgift är att ur ett patient-, brukar- och medborgarperspektiv följa upp och analysera hälso- och sjukvården, tandvården och gränssnittet mellan vården och omsorgen. Vårdanalys har patienternas och brukarnas behov som utgångspunkt i sina granskningar. Myndigheten ska också verka för att samhällets resurser används på bästa sätt för att skapa en så god hälsa och patientupplevd kvalitet som möjligt. Syftet är att bistå vården och omsorgen med att förbättra kvalitet och effektivitet – förbättringar som ytterst ska komma patienter, brukare och medborgare till del.

