Region Stockholm

20

Svar på skrivelse från Socialdemokraterna om uteblivna kliniska studier vid sällsynta sjukdomar

HSN 2019-1022

Hälso- och sjukvårdsnämnden
Hälso- och sjukvårdsförvaltningen
Läkemedelsenhet
Gerd Lärfars

TJÄNSTEUTLÅTANDE
2019-06-18

HSN 2019-1022

Hälso- och
sjukvårdsnämnden

Svar på skrivelse från Socialdemokraterna om uteblivna kliniska studier vid sällsynta sjukdomar

Ärendebeskrivning

I en skrivelse till hälso- och sjukvårdsnämnden ställer Socialdemokraterna frågor om situationen för kliniska studier på sällsynta sjukdomar i Region Stockholm. Bakgrunden till skrivelsen är att ett antal läkare förra året slog larm om att patienter i Region Stockholm kan ha nekats att delta i studier kring nya läkemedel. Anledningen ska, enligt rapporten, ha varit klinikernas risk att bära kostnader för läkemedel som godkänns men ej subventioneras. Även patientorganisationerna Sällsynta diagnoser och Cystisk Fibros har med anledning av ovanstående pekat på behovet av mer centraliserat kostnadsansvar i regionen gällande läkemedelsstudier för patienter med sällsynta diagnoser.

Med anledning av ovanstående har Socialdemokraterna ställt ett antal frågor kring läkemedelskostnader vid kliniska studier och konsekvenser av en eventuell central finansiering.

Beslutsunderlag

Hälso- och sjukvårdsdirektörens tjänsteutlåtande
Skrivelse från Socialdemokraterna om uteblivna kliniska studier vid sällsynta sjukdomar

Förslag till beslut

Hälso- och sjukvårdsnämnden beslutar

att anse skrivelsen besvarad.

Förvaltningens motivering till förslaget

Bakgrund
Kostnaden för en klinisk studie ska finansieras av den som är prövningsansvarig. För företagsinitierade läkemedelsstudier innebär det att ansvarigt läkemedelsbolag har kostnadsansvar från och med det att studien initierats till dess att den är avslutad och det gäller även för det läkemedel som prövas. Avtal skrivs med den som är ansvarig vårdgivare dvs respektive huvudman. När en läkemedelsstudie avslutas finns det fortfarande finns en osäkerhet vad gäller klinisk effekt och risk för biverkningar för läkemedlet eftersom det ännu ej godkänts av regulatoriska myndigheter. Frågan som gäller huruvida en patient ska eller kan få fortsätta med behandlingen är både etisk och medicinsk problematisk och framför allt vid sällsynta sjukdomar då ingen alternativ behandling finns tillgänglig.
Enligt nuvarande tolkning av Helsingforsdeklarationen ska dessa patienter få fortsätta med sin behandling även efter studien vilket kan ifrågasättas utifrån framför allt om detta läkemedel inte bedöms vara tillräckligt effektivt för att motivera det av företaget satta priset. Situationen är något enklare om läkemedlet inte ens godkänns av de regulatoriska myndigheterna på grund av bristande effekt. Dessutom tillkommer problemet i placebo-kontrollerade studier att även placebogruppen i dessa fall eventuellt skall erbjudas prövningsläkemedel. Tolkningen av Helsingforsdeklarationen är en viktig del i bedömningen av hur dessa frågor ska hanteras och ett arbete har därför initierats på nationell nivå och inom den nationella läkemedelsstrategin för att klargöra tolkningen av deklarationen och de etiska utmaningarna som finns med att avsluta en insatt behandling.

Det är också viktigt att ett läkemedelsföretag efter ett eventuellt marknadsgodkännande ansöker till Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) om förmån för läkemedel som ska förskrivas på recept. Ett förmånsbeslut av TLV säkerställer att läkemedlet har en effekt motsvarande kostnaden och görs utifrån den värdebaserade prissättningsmodell som vi har i Sverige. För läkemedel som är sk. rekvisitionsläkemedel så kan en liknande värdering ske via landstingens samverkansmodell för introduktion av nya läkemedel.
Samverkansmodellen innebär att regionen har tagit ställning för att följa de nationella rekommendationer som tas fram genom arbetet i samverkansmodellen och Region Stockholm deltar sedan 2014 aktivt i detta nationella arbete.
Om ett läkemedel varken får ett positivt förmånsbeslut av TLV eller en positiv rekommendation av NT-rådet så uppfyller inte läkemedlet de krav på klinisk effekt och vetenskaplig dokumentation i förhållande till kostnad som för närvarande med dagens betalningsvilja anses rimligt och hälso-och

sjukvårdsförvaltningens bedömning är att Region Stockholm bör avstå från att introducera dessa läkemedel, eftersom det är en viktig del i den nationella målsättningen med ordnat och jämlik introduktion av nya läkemedel.

Överväganden

1. Hur många läkemedelsstudier har stoppats i Region Stockholm det senaste året med anledning av risken att en enskild klinik får bära läkemedelskostnaden för ett lyckat läkemedel?
Frågan har ställts till Karolinska sjukhuset och enligt sjukhuset har ingen klinisk studie stoppats på grund av detta, men handläggningen av några studier kan ha fördröjts jämfört med tidigare på grund av att fler administrativa och juridiska överväganden har gjorts innan studien godkänts.

2. *Vilka för och nackdelar skulle ett mer centraliserat kostnadsansvar för läkemedelsstudier kring sällsynta sjukdomar innebära?*
Hälso- och sjukvårdsförvaltningen ser att det finns flera nackdelen med en central finansiering av särläkemedel, både ur ett regionalt prioriteringsperspektiv och utifrån regionens åtagande i det ordnade införandet av nya läkemedel. Central finansiering kommer inte att lösa det grundläggande problemet med att vissa särläkemedel inte kan uppfylla kriterierna för kostnadseffektivitet och tillräcklig klinisk nytta, vilket är de avgörande skälen för att ett läkemedel inte bör introduceras i regionen. Likaså kommer det också att vara en stor utmaning att definiera vilka läkemedelsstudier som i så fall ska inkluderas eftersom enligt nuvarande definition så är sällsynta sjukdomar inte så ovanliga. I Sverige används en frekvenssiffra på 1 per 10 000 invånare vilket i Region Stockholm motsvarar ca 200 patienter. Därtill kommer studier på nya cancerläkemedel där flera av de studierna gäller cancerformer som kan inkluderas inom den definitionen. Finansieringen löser inte heller den avgörande etiska problematiken nämligen hur andra patienter som inte ingått i studien men med likartad sjukdom ska hanteras eller svårigheterna med att avsluta behandlingen. Ur ett jämlikhetsperspektiv kan man också ställa sig frågan om inte alla övriga behandlingar inom andra terapiområden också borde hanteras på samma sätt.
Den fördel som kan finnas är att finansieringen på kort sikt är löst för de studier som får del av den centrala potten.

3. Vilka kostnader skulle ett mer centraliserat kostnadsansvar för läkemedelsstudier i Region Stockholm innebära?

Det är mycket svårt att bedöma eventuella kostnader för ett centralt kostnadsansvar. Det finns stora osäkerheter att beräkna en kostnad för de läkemedelsbehandlingar som kan uppstå efter en klinisk studie och det gäller framför allt för läkemedel som inte får ett positivt förmånsbeslut eller en positiv NT-råds rekommendation. Stora antagande måste göras kring eventuell prisnivå, antalet inkluderade patienter och längd på behandlingen. Kostnaden för ett läkemedel i en studie med ett särläkemedel kan ha en årskostnad på mellan 1-5 (6) miljoner kronor per patient. Antalet inkluderade patienter är också mycket svårt att estimera.
Som exempel på vilka kostnaderna som kan finnas för ett särläkemedel har vi gjort en kostnadskalkyl för ett nyligen godkänt läkemedel vid en ärftlig svår genetisk sjukdom (cystisk fibros). Där är den beräknade kostnaden för en patient ca 1,3-1,6 miljoner kronor per år (enligt FASS). Antalet patienter som är aktuella för denna behandling uppskattas till ca 40-50 patienter i Region Stockholm. För detta läkemedel så skulle kostnaden bli ca 45-80 miljoner kronor per år. Men det finns även exempel på kliniska studier inom särläkemedelsområdet som inkluderar betydligt färre patienter men å andra sidan kan ha ett mycket högre pris. Inkluderas även studier på cancerläkemedel och även kommande genterapier är kostnaden betydligt högre.
Det finns stora osäkerheter i en beräkning som denna, inte minst hur lång tid det tar innan ett läkemedel får ett godkännande av läkemedelsmyndigheten, om läkemedlet inkluderas i förmånen eller ej eller rekommenderas av NT-rådet. Det ovan nämnda läkemedlet vid cystisk fibros har fått ett positivt förmånsbeslut av TLV tillsammans med ett avtal med landstingen som ger en lägre behandlingskostnad. Eftersom avtalet är sekretessbelagt är nuvarande kostnad för läkemedlet inte möjlig att beräkna.
Sammanfattningsvis så är det svårt att avgöra antal tillkommande kliniska studier och utfallet av dessa. Förut den rent ekonomiska frågeställningen så innebär en central finansiering att prioriteringar i enlighet med den etiska plattformen åsidosätts liksom det gemensamma nationella arbetet.

4.Hur har Karolinskas arbete med att skriva särskilda kontrakt med patienter som ingår i kliniska läkemedelsstudier fortlöpt?
Hälso- och sjukvårdsförvaltningen har inte kännedom om att några särskilda kontrakt har skrivits med patienter, och vi ser även flera juridiska hinder för ett dylikt förfarande. Enligt de uppgifter som vi har fått från Karolinska så finns det inget som talar för att detta i praktiken har skett.

5. Hur ser möjligheten ut gällande att få läkemedelsbolagen att ta ett större ansvar för de läkemedelskostnader som kan uppstå efter en klinisk studie?
Den diskussionen har förts med företrädare för läkemedelsbolagen men några konkreta förslag eller möjliga lösningar har inte framkommit vid dessa samtal. En anledning till det och som anförts från läkemedelsföretagens sida är ett det skulle kunna uppfattas som otillåten konkurrens och att det inte förenligt med nuvarande lagstiftning. En möjlighet i framtiden kanske kan vara att verksamhetsansvariga förhandlar med respektive läkemedelsbolag kring ett delat kostnadsansvar efter avslutad studie. I anslutning till sådan förhandling föreslås verksamhetsansvarig att definiera de verkliga kliniska förbättringar som studien skall leda fram till för att överenskommelse skall gälla. Ett sådant förfarande skulle innebära att vårdgivare och läkemedelsbolag gemensamt formade primära och sekundära mål med studierna.

Men även fortsättningsvis kommer det vara läkemedelsföretagens ansvar att ha en snabb process för introduktion av nya läkemedel/indikationer, för vilket de ofta har en trimmad och väl genomtänkt verksamhet som relativt effektivt kan samverka med myndigheterna. För företag som kommer med läkemedel avsedda för en sällsynt diagnos och kanske har hela sin verksamhet kopplad till detta enda läkemedel så kan det mycket väl vara så att det varken finns intresse eller möjlighet att erbjuda läkemedel innan allt är klart med godkännande och pris.

Björn Eriksson
Hälso- och sjukvårdsdirektör

Magnus Thyberg
Avdelningschef

Beslutet ska skickas till
Akten

Hälso- och sjukvårdsnämnden

SKRIVELSE
2019-04-23

Region Stockholm
Hälso- och sjukvårdsförvaltningen

2019 -04- 23

Dnr

Socialdemokraterna
FRAMTIDSPARTIET

Skrivelse om uteblivna kliniska studier på sällsynta sjukdomar

Flera läkare slog förra året larm om att patienter i Region Stockholm med sällsynta sjukdomar nekas att delta i studier kring nya läkemedel. Detta trots att läkemedlen potentiellt kan rädda liv. Anledningen är att klinikerna riskerar bära kostnaderna för fortsatt läkemedelsbehandling i de fall då läkemedlet godkänns men inte blir subventionerat. Detta innebär en stor kostnad för den enskilda kliniken. Rädslan för att läkemedelsstudier ska vara lyckad, och därmed innebära ökade kostnader för kliniken, gör därför att kliniker väljer att avstå från att delta i läkemedelsstudier. Ett exempel på detta är Stockholm CF-center på Karolinska i Huddinge där patienter med cystisk fibros nekades att delta i en studie av ett nytt läkemedel förra året.

Patientorganisationerna Riksförbundet Sällsynta diagnoser och Riksförbundet Cystisk Fibros, har med anledning av ovanstående pekat på behovet av ett mer centraliserat kostnadsansvar i Region Stockholm, gällande läkemedelsstudier för patienter med sällsynta diagnoser. Istället för att eventuella läkemedelskostnader efter framgångsrika läkemedelsstudier hamnar på kliniknivå, skulle regionen kunna garantera att dessa täcks från central nivå.

Andra menar att läkemedelsbolagen själva borde täcka kostnaderna för behandling även efter studiens genomförande i det fall då läkemedlet godkänns men inte subventioneras. I en artikel i Dagens medicin framgår även att Karolinska påbörjat ett arbete med att genom kontrakt med patienten friskriva sig kostnadsansvaret i de fall då medicinen godkänns men ej subventioneras av tandvårds- och läkemedelsförmånsverket.

Med anledning av ovanstående ställer vi följande frågor:

- Hur många läkemedelsstudier har stoppats i Region Stockholm det senaste året med anledning av risken att en enskild klinik får bära läkemedelskostnaden vid ett lyckat försök?

- Vilka för- och nackdelar skulle ett mer centraliserat kostnadsansvar för läkemedelsstudier kring sällsynta sjukdomar innebära?

- Vilka kostnader skulle ett mer centraliserat kostnadsansvar för läkemedelsstudier kring sällsynta sjukdomar innebära för Region

Stockholm?

- Hur har Karolinskas arbete med att skriva särskilda kontrakt med patienter som ingår i läkemedelsstudier fortlöpt?

- Hur ser möjligheten ut gällande att få läkemedelsbolagen att ta ett större ansvar för de läkemedelskostnader som kan uppstå efter en klinisk studie?