



2022

Dagens forskning – morgondagens behandling

Rapport om blodcancer

Denna rapport är en del av projektet "Dagens forskning – morgondagens behandling" som genomförs av Blodcancerförbundet i samarbete med AbbVie, Amgen, Bristol Myers Squibb, GSK, Janssen, Pfizer, Roche och Sanofi.

Sammanfattning

Fyra förbättringsområden för en bättre blodcancervård

Varje år insjuknar 4–5 000 människor i Sverige i blodcancer. De senaste åren har överlevnaden ökat, mycket tack vare introduktionen av nya läkemedel och behandlingar. Fortfarande är dock dödligheten omotiverat hög. Anledningen är bland annat att nya läkemedel och behandlingar inte alltid når svårt sjuka patienter i Sverige - trots att de godkänts och används i andra delar av Europa och världen.

Blodcancerförbundet är en ideell rikstäckande patientorganisation. Vårt mål är att öka kunskapen och förståelsen för hur det är att leva med blodcancer eller annan malign blodsjukdom. Vi jobbar för att alla som drabbats ska erbjudas en god, effektiv och rättvis vård, oavsett var man bor i landet och vi gör det gärna med samarbetspartners som delar våra mål. Vi har inte svar på alla frågor, men som patientorganisation arbetar vi nära blodcancerpatienter och vet vad som är viktigt för våra medlemmar. Vi har genomtänkta förslag på hur svensk blodcancervård kan bli bättre. Det gäller framför allt fyra förbättringsområden:

1. Snabbare introduktion och användning av nya innovativa läkemedel och behandlingsmetoder

Det finns exempel på värdefulla läkemedel som – trots att de godkänts av den europeiska läkemedelsmyndigheten – införts i Sverige först efter flera år. En av anledningarna är att den svenska modellen för finansiering, subvention och prissättning är komplex och svåröverskådlig.

2. Jämlikare vård över hela landet

Den svenska vården är ojämlik och orättvis. Även för läkemedel som gått igenom de nationella processerna för introduktion av nya behandlingar är det regionerna som tar det slutgiltiga beslutet om användning. På så vis riskerar cancervården att bli ett lotteri, där bostadsort kan avgöra om en potentiellt effektiv behandling påbörjas eller inte.

3. Fler patienter i kliniska studier i Sverige

Antalet kliniska studier, där nya läkemedel testas för godkännande och användning, har minskat drastiskt i Sverige de senaste tio åren. Dessutom haltar ibland inklusionen av patienter till studier som pågår. Det är oroväckande och rimmar illa med regeringens strategi om att Sverige ska vara en ledande life science-nation, med en sjukvård som ligger i framkant och kan erbjuda patienter den senaste och bästa vården. I en medlemsundersökning från Blodcancerförbundet svarade 83% av patienterna att de ville delta i en klinisk prövning, men enbart 21% deltog. Detta tyder på att det finns ett förbättringsbehov att matcha tillgången till kliniska prövningar med patienternas efterfrågan.

4. Ökat patientinflytande på systemnivå

Svensk sjukvård saknar idag ett reellt patientinflytande, med tydlig möjlighet att bidra med kunskap. Det gäller framför allt på systemnivå, till exempel vid utvärdering och introduktion av nya läkemedel och behandlingar. Det är beklagligt. Vi är övertygande om att en sjukvård i nära samarbete med de drabbade och dess företrädare - som patientföreträdare med specialistkunskap från diagnos och övergripande systemkunskap - resulterar i bättre och mer verkningsfulla behandlingsmetoder. Men idag finns inga fungerande modeller för ett ökat patientinflytande vid införandeprocessen av nya läkemedel. Här ligger Sverige efter flera andra länder såsom Storbritannien, Skottland, Spanien, Kanada med flera.

Ska Sverige nå målet om att bli en ledande life science-nation krävs resurser, handlingsvilja och bättre samordning mellan sjukvårdens aktörer. Här har patientorganisationerna en mycket viktig roll. Denna rapport ger en orientering om läget när det gäller behandling av blodcancer i Sverige. Den visar på vad som behöver göras för att hjälpa fler drabbade till en bättre framtid samt vilken roll politiken kan spela. Välkommen till en livsviktig rapport framtagen av Blodcancerförbundet i samarbete med åtta forskande läkemedelsföretag.

Behandling av blodcancer sker framför allt genom läkemedel

Behandling av blodcancer sker framför allt genom läkemedel. Kirurgi och strålning, som är viktiga behandlingsverktyg vid solida tumörer, har en mycket mindre roll vid behandling av blodcancer. För vissa blodcancersjukdomar har nya behandlingsmöjligheter förbättrat överlevnaden avsevärt. För andra är prognosen fortfarande mycket dystert. Lyckligtvis görs stora framsteg i forskningen inom blodcancerområdet till nytta för patienterna - förutsatt att de framforskade behandlingarna också når patienterna.

Stora medicinska genombrott

De senaste åren har flera framsteg gjorts inom hela blodcancerområdet. Cellgifter, kemoterapi, spelar fortfarande en viktig roll, men ett ständigt flöde av nya kemofria behandlingar såsom målriktade läkemedel och immunterapier gör att allt fler blodcancerpatienter idag kan leva långa och relativt normala liv om de får rätt behandling i rätt tid.

En anledning till att blodcancerforskningen ofta ligger i framkant inom hela cancerforskningen är att några av blodcancerformerna, som lymfom och leukemier, ofta har färre mutationer jämfört med många solida tumörer. Det förenklar forskning och utveckling. En annan är att det är enklare att ta ett blodprov än ett vävnadsprov genom biopsi, som man behöver göra vid solida tumörer. Detta märks också inom de delar av forskningen som hamnar under benämningen precisionsmedicin.

De stora framstegen och de många nya behandlingarna väcker hopp om framtiden för personer som drabbas av någon form av blodcancer. Samtidigt finns det utmaningar. Behandling av blodcancer bygger till den helt dominerande delen på läkemedel och i ökad utsträckning på nya läkemedel som ersätter, eller kompletterar, de traditionella cellgiftsbehandlingarna. Det gör att patienterna blir väldigt beroende av tillgång till nya läkemedel. I dag finns det allvarliga brister inom området. Det gäller både hur introduktionen av nya läkemedel fungerar i Sverige samt möjligheten att delta i kliniska studier.

Budskap till politiken

- Eftersom läkemedelsbehandling är den dominerande behandlingsformen för blodcancerpatienter, är snabb tillgång till nya läkemedel mycket viktigt. Politikerna behöver tillsammans, nationellt, regionalt och över blockgränserna, tydliggöra sin ambitionsnivå till tjänstemännen och tilldela resurser för måluppfyllelse.
- Regering och riksdag bör säkerställa en mer central styrning av cancervården genom att ställa tydligare krav på myndigheter i form av regleringsbrev eller andra styrdokument, men också genom ett direkt inflytande och kostnadsfördelning av resurser. Uppföljning och utvärdering av nya läkemedel bör skötas nationellt för att ge kunskap om vilka patientgrupper som har mest nytta av olika behandlingar så resurserna används väl.
- Patienterna vill medverka i kliniska studier för att utveckla nya behandlingar men då behöver de också erbjudas möjlighet att delta i dem. Idag är patientinformationen om pågående kliniska prövningar mycket bristfällig och godtycklig. Politikerna måste därför tillsammans – nationellt och regionalt – skapa rätt förutsättningar för läkemedelsföretagen att bedriva kliniska studier i Sverige, men det är lika viktigt att avsätta resurser inom sjukvården som möjliggör kliniska studier. Genom kliniska studier och forskning ökar kunskapen hos vården om nya behandlingar, vilket förbättrar förutsättningarna för snabb tillgång, regionalt och lokalt, när beslut och rekommendationer är fattade nationellt.
- Patienternas inflytande i vården måste förbättras. Det gäller både på individnivå och i de övergripande processer som formar svensk sjukvård, det vill säga på systemnivå. Blodcancerförbundet vill därför se ett ökat genomslag för patientlagen samt en stärkt patientmedverkan vid de nationella HTA-processerna (Health Technology Assessment) för läkemedel.

Vi behöver blocköverskridande beslut när det handlar om att rädda liv – Sverige behöver det. Blodcancerförbundet står redo och vill bidra till att hitta vägar fram för större medverkan av patienter i kliniska prövningar, snabbare tillgång till nya behandlingar, mer jämlik vård och en stärkt patientdelaktighet.

Denna rapport är en del av projektet "Dagens forskning – morgondagens behandling" som genomförs av Blodcancerförbundet i samarbete med AbbVie, Amgen, Bristol Myers Squibb, GSK, Janssen, Pfizer, Roche och Sanofi.

Innehållsförteckning

Sammanfattning	1
Låg kunskap om regeringens life science-strategi.....	5
Viktigt att behandla väl från början.....	5
Stora medicinska genombrott	7
Utmaningen med patienters tillgång till nya läkemedel.....	9
Trots ordnat införande finns det regionala skillnader	12
Fler kliniska studier behövs och fler måste få chans att delta.....	15
Precisionsmedicin, hälsodata och den svenska life science-ambitionen.....	17
Patientinvolvering och patientdelaktighet.....	19
Politiken är långt borta från läkemedelsfrågan.....	20
Blodcancerförbundets budskap till politiken.....	22

Låg kunskap om regeringens life science-strategi

Idag lever cirka 30 000 personer i Sverige med blodcancer, sammantaget ett hundratal olika diagnoser. Tack vare nya läkemedel och behandlingsmetoder har överlevanden ökat de senaste åren. Men fortfarande är dödligheten obefogat hög.

Vi frågade svenska politiker – på nationell och regional nivå - vad de vet och kan om blodcancer och cancervården. Responsen var överväldigande. Vi fick in cirka 400 svar på vår enkät¹. Frågorna handlade om allt ifrån nya läkemedel och kliniska studier till regeringens life science-strategi.

Resultaten visade att kännedomen och kunskapen om blodcancer varierar ganska mycket mellan partier och olika politiker. Kanske inte så förvånande med tanke på alla de frågor som våra politiker har att behandla och besluta om. Lite anmärkningsvärt är dock att 83 procent av de tillfrågade, framför allt på regional nivå, inte känner till eller har dåliga kunskaper om regeringens life science-strategi. Samtidigt vill många partier se en ökad nationell styrning av cancervården i Sverige.

Den mest prioriterade frågan anses vara snabb tillgång till nya och effektivare behandlingar, tätt följt av kortare värdköer och en ökad satsning på forskning inom cancerområdet.

Viktigt att behandla väl från början

Behandling av blodcancer sker framför allt genom läkemedel. Kirurgi och strålning, som är viktiga behandlingsverktyg vid solida tumörer, har en betydligt mindre roll vid behandling av blodcancer. Målsättningen med behandling av blodcancer är ofta att i ett första skede nå remission, det vill säga att sjukdomen går tillbaka och i bästa fall försvinner helt. I vissa fall kommer sedan sjukdomen tillbaka efter en tid och är då vanligtvis svårare att rå på. Det är därför viktigt att behandla väl från början. Målet med den initiala behandlingen bör vara att nå ett så djupt behandlingssvar som möjligt. Allra helst ska det inte finnas några spår av cancerceller kvar när behandlingen följs upp. Med ett djupt behandlingssvar minskar risken att sjukdomen kommer tillbaka.

Behandlingsalternativ vid cancer

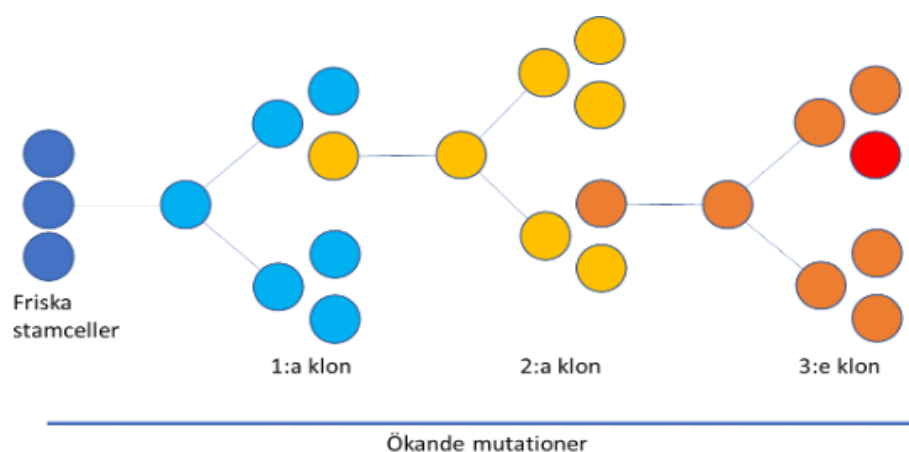


Behandling av blodcancer sker framför allt genom läkemedel. För vissa former av blodcancer är det mycket effektivt att kombinera olika läkemedel som adresserar olika cancerkloner (olika cancermutationer) för att uppnå ett djupt behandlingssvar, som bör vara målet med den initiala behandlingen. Kirurgi och strålning, som är viktiga behandlingsverktyg vid solida tumörer i tillägg till läkemedel, har en betydligt mindre roll vid behandling av blodcancer.

¹ Blodcancerförbundet, enkätundersökning (2022). (Ej publicerad).

En utmaning vid behandlingen av blodcancer är att den vanligtvis inte består av en homogen grupp cancerceller utan av olika cancercellstyper, olika kloner som uppstått från olika mutationer. För många blodcancerformer betyder det att en kombination av läkemedel är den bästa behandlingsstrategin, annars riskerar man att de kloner av cancerceller som inte slogs ut vid inledande behandling lever vidare och växer. För varje behandling kvarstår de cancerceller som stått emot behandlingarna och canceren blir allt svårare att slå ut då så kallade behandlingsresistenta kloner kan ha uppkommit. Behandling med cytostatika, som tidigare var en vanlig första behandling, kan också leda till ökat antal mutationer med en mer aggressiv cancer vid ett återfall.

Klonal utveckling av cancer



Cancer uppstår när en cell börjar uppföra sig fel. Blodcancer består inte av en homogen grupp cancerceller utan av olika cancercellstyper, olika kloner med olika mutationer, som står emot olika typer av behandling olika starkt. Dessutom utvecklas nya mutationer över tid. De som står emot de olika behandlingarna bäst överlever längst och fortsätter växa.²

Det är vid den tidiga utvecklingen av cancer som vi har störst möjlighet för en lyckad långsiktig behandling^{3,4,5}. Med en suboptimal behandling hittar cancer sin väg fram. Dessutom får patienten för varje behandling allt svagare immunförsvar eller om man så vill – kroppens egna soldater mot cancer har blivit svagare. Det innebär att den inneboende förmågan att angripa tumörceller försämras. Ett dåligt allmäntillstånd försämrar dessutom förutsättningarna för en ny behandling. Därför är det av stort värde att tidigt i en patients behandlingsresa, när immunförsvaret är som starkast, behandla med potenta läkemedel, ofta i kombination, för att slå ut så mycket som möjligt av cancercellerna och minska risken att resistens på sikt utvecklas.

Den internationellt erkände hematologen Dr Rafat Abonour, Indiana University School of Medicine, uttryckte för flera år sedan sin frustration över att de effektiva behandlingarna sattes in för sent i sjukdomen: "I dag startar vi krig i kroppen när vi redan har tagit död på soldaterna".

² Lunds universitet. (2021). *Cancerforskningen går ständigt framåt*.

<https://www.medicin.lu.se/forskning/teman/cancerforskningen-tar-nya-kliv-framat/cancerforskningen-gar-standigt-framat>

³ World Health Organization. (Inget år). *Promoting Cancer Early Diagnosis*. <https://www.who.int/activities/promoting-cancer-early-diagnosis>

⁴ Breast Cancer Research. (2016). *Lymphocyte depletion and repopulation after chemotherapy for primary breast cancer*. <https://breast-cancer-research.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13058-015-0669>

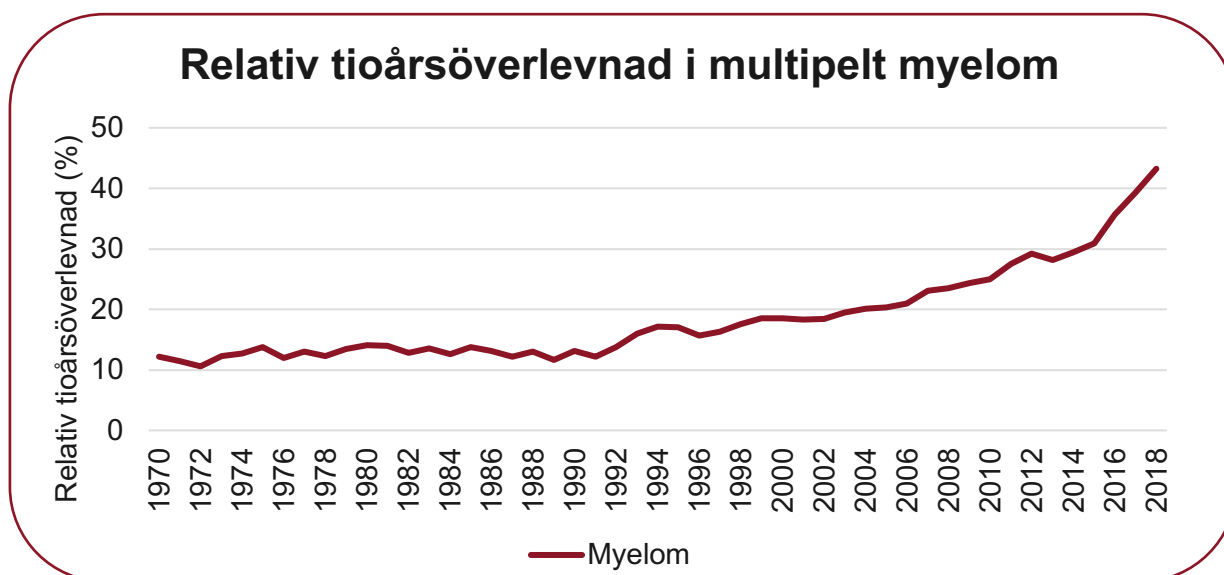
⁵ Haematologica. (2017). *The emerging role of immune checkpoint inhibition in malignant lymphoma*. <https://www.haematologica.org/article/view/7941>

Stora medicinska genombrott

De senaste åren har flera framsteg gjorts inom hela blodcancerområdet. Cellgifter, kemoterapi, spelar fortfarande en viktig roll, men ett ständigt flöde av nya kemofria behandlingar såsom målriktade läkemedel och immunterapier gör att allt fler blodcancerpatienter idag kan leva långa och relativt normala liv om de får rätt behandling i rätt tid. Två tydliga exempel under 2000-talet är kronisk myeloisk leukemi (KML) och multipelt myelom (MM).

Redan på 1960-talet upptäcktes att KML beror på genförändringar som leder till bildandet av ett protein som driver sjukdomen. I början av 2000-talet kom ett läkemedel som hämmar proteinets aktivitet, en tyrosinkinashämmare. Det nya läkemedlet innebar en enorm framgång för behandlingen av KML. För 20 år sedan var medianöverlevnaden i Sverige ca 5–7 år för KML patienter. Idag ligger överlevnaden mycket nära en åldersmatchad normalpopulation.⁶ Men utvecklingen inom KML stannade inte där. På senare år har det blivit möjligt att nå en nivå som innebär att man med dagens känsliga mätinstrument inte kan se några spår av sjukdomen längre. Man tvekar ännu inför att tala om bot, men ett växande antal KML-patienter lever idag i vad som kallas behandlingsfri remission, och har kunnat avsluta sin läkemedelsbehandling.⁷ Trots det finns det fortfarande en grupp KML-patienter som behöver ny behandling då de inte svarat på befintliga tyrosinkinashämmare eller tvingats avsluta behandlingen på grund av biverkningar.

Ett senare exempel är behandlingen av myelom. Det var länge en sjukdom med få behandlingsalternativ och en mycket kort överlevnad. I dag finns det många nya behandlingar och resultaten förbättras snabbt. Kurvan nedan visar den relativa tioårsöverlevnaden i Sverige. Även om den fulla effekten av de nya behandlingarna inte syns än är det uppenbart att något drastiskt hände i mitten av 1990-talet och sedan i mitten på 2010-talet genom nya läkemedelsbehandlingar.



Källa: Cancerfonden

⁶ Dreimane, A. (2019). *KML – Kronisk myeloisk leukemi*. [PPT] Blodcancerförbundet kronisk-myeloisk-leukemi-arta-dreimane.pdf (blodcancerforbundet.se)

⁷ Rea D. et al. (2017). *What is treatment free remission in chronic myeloid leukemia?* *Oncotarget*. 8;9(4):4279.

Ett betydande genombrott de senaste åren är behandlingar bestående av modifierade celler eller antikroppar, så kallade CAR-T (Chimeric Antigen Receptor T-cell therapy). Hit hör också BiTE (Bi-specific T-cell engager). Dessa har betytt mycket för personer med akut lymfatisk leukemi och tillsammans erbjuder behandlingarna nytt hopp för svårt sjuka patienter med få andra behandlingsalternativ.

- CAR-T är en ny typ av immunterapi som har revolutionerat cancervården. Förenklat går behandlingen ut på att omprogrammera immunförsvarets T-celler (vita blodkroppar) så att de mer effektivt kan identifiera och förgöra tumörceller. I dag behandlas främst akut leukemi samt en aggressiv form av lymfom, och behandlingen ges i huvudsak till patienter som utan framgång provat all annan botande behandling. Metoden kommer med hög sannolikhet bli aktuell för fler former av blodcancer och i slutet av 2021 behandlades de första svenska myelompatienterna.⁸

Det har gått relativt trögt med implementeringen av CAR-T i Sverige. Behandlingarna godkändes i augusti 2018, den första personen behandlades i slutet av 2019 och i slutet av 2021 hade bara runt 40 personer behandlats (gäller kommersiella produkter).⁹ Samtidigt är det ett fält med många kliniska studier och stora förhoppningar.

- BiTE aktiverar, liksom CAR-T, immunförsvarets T-celler att angripa cancer. BiTE-molekyler tycks vara minst lika lovande som CAR-T men med den stora fördelen att det är ett färdigt läkemedel som aktiverar patientens egna T-celler inne i kroppen och därmed finns tillgängligt direkt när patienten behöver det. BiTE-molekyler behöver inte tillverkas unikt för varje patient och T-celler behöver inte manipuleras utanför kroppen. Det finns stora förväntningar på BiTE vid behandling av blodcancer.¹⁰
- Ytterligare en snabbt växande grupp av läkemedel, både inom blodcancer och andra cancerformer, är ADC:s (antibody-drug conjugate). Det är en typ av målstyrda läkemedel som binder till specifika molekyler på ytan av cancercellerna. De kan sedan bekämpa cancercellerna via en lång rad olika mekanismer.¹¹ Flera ADC:s finns godkända i Europa och bara sedan januari 2020 har ytterligare tre godkänts för behandling av lymfom, myelom och en viss typ av bröstcancer.¹²

De stora framstegen och de många nya behandlingarna väcker hopp om framtiden för personer som drabbas av någon form av blodcancer. Samtidigt finns det utmaningar. Behandling av blodcancer bygger till den helt dominerande delen på läkemedel och i ökad utsträckning på nya läkemedel som ersätter, eller kompletterar, de traditionella cellgiftsbehandlingarna. Det gör att patienterna blir väldigt beroende av tillgång till nya läkemedel. I dag finns det flera brister på det området. Det gäller både hur introduktionen av läkemedel fungerar i Sverige och möjligheten att delta i kliniska studier.

⁸ Enligt uppgift från SWECARNET (Stephan Mielke)

⁹ Enligt uppgift från SWECARNET (Stephan Mielke)

¹⁰ Zhou, S., Liu, M., Ren, F. et al. The landscape of bispecific T cell engager in cancer treatment. *Biomark Res* 9, 38 (2021). <https://doi.org/10.1186/s40364-021-00294-9>

¹¹ Puregmaa Khongorzul, Cai Jia Ling, Farhan Ullah Khan, Awais Ullah Ihsan and Juan Zhang. Antibody–Drug Conjugates: A Comprehensive Review. *Mol Cancer Res* January 1, 2020 (18) (1) 3-19; DOI: 10.1158/1541-7786.MCR-19-0582

¹² Tong et al., An Insight into FDA Approved Antibody-Drug Conjugates for Cancer Therapy. *Molecules* 2021. PMID: 34641391

Utmaningen med patienters tillgång till nya läkemedel

Vägen för innovativa läkemedel till de svenska patienterna är komplex och svåröverskådlig. Den börjar med att europeiska läkemedelsmyndigheten European Medicines Agency (EMA) utvärderar och godkänner läkemedel utifrån effekt och säkerhet. Nästa steg för att nå patienterna i Sverige, för en dominerande majoritet av dem, är att få ett positivt subventionsbeslut av myndigheten Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV), eller en positiv rekommendation av NT-rådet, Rådet för nya terapier, som ligger under regionerna i samverkan. Centralt i båda dessa processer är den hälsoekonomiska utvärderingen som utförs av TLV, och som analyserar om företagets föreslagna pris är rimligt i relation till effekt och i jämförelse med tillgänglig standardbehandling.

Om det är ett läkemedel som patienten tar hemma, vanligtvis tablett, ansöker läkemedelsföretaget om subvention hos TLV. Om TLV bedömer att läkemedlet inte är kostnadseffektivt finns möjlighet för företaget att direkt förhandla med TLV och regionerna i en så kallad trepartsförhandling. De läkemedel som erhåller subvention, det vill säga anses vara kostnadseffektiva, finansieras av staten genom läkemedelsförmånen som regionerna erhåller.

Om det är ett läkemedel som administreras av vården, till exempel genom infusion, och läkemedlet förväntas ha en stor påverkan på vården, t ex en ökad kostnad, är vägen vanligen genom processen "Nationellt ordnat införande av nya läkemedel" och NT-rådet.¹³ Även denna process startar med en hälsoekonomisk utvärdering utförd av TLV. Om läkemedlet inte bedöms vara kostnadseffektivt, som ofta är fallet vid de innovativa läkemedlen, startar en förhandling mellan NT-rådet och företaget. De läkemedel som rekommenderas av NT-rådet finansieras av regionerna.

Vid ett positivt beslut av TLV, eller en rekommendation av NT, kvarstår implementeringen av rekommendationen i 21 regioner med olika rutiner och ställningstaganden.

Ett problem med den starka medicinska utvecklingen inom hematologi, och inom många andra områden, är att utvecklingen tar så stora steg att befintliga utvärderingsmetoder och system, som utvecklades för ca 20 år sedan, inte hinner med. Det kommer vara mycket svårt att erhålla samma robusthet i utvärderingarna av avancerade läkemedel som vid utvärderingarna av läkemedel mot folksjukdomar utprovade i stora studier med tusentals patienter. Anledningen är att de nya behandlingarna vanligtvis riktar sig till mindre och mer specifika patientgrupper.

De mycket lovande resultaten vi ser för de avancerade läkemedlen innebär ofta att de godkänns tidigare i prövfasen och ibland också utan att jämföras med annan behandling. Det kan till och med i vissa fall inte vara etiskt försvarbart att göra en studie med en klassisk jämförelsearm. Det som därmed borde utgöra fantastiska möjligheter för patienterna blir ett problem när läkemedel som godkänts av EMA fastnar i vår nationella process. I rapporten "Ordning i leden?" konstaterar Myndigheten för vård- och omsorgsanalys att processen kring ett nationellt ordnat införande "är en viktig infrastruktur men det finns brister i transparens och förutsägbarhet, vilket på sikt kan urholka processens legitimitet".¹⁴

¹³ Janusinfo. (Inget år). *Så arbetar vi*.

<https://janusinfo.se/nationellinforandeavlakemedel/saarbetarvi.4.4771ab7716298ed82ba979d4.html>

¹⁴ Myndigheten för vård- och omsorgsanalys. (2017). *Ordning i leden?* (2017:5).

<https://www.vardanalys.se/rapporter/ordning-i-leden/>

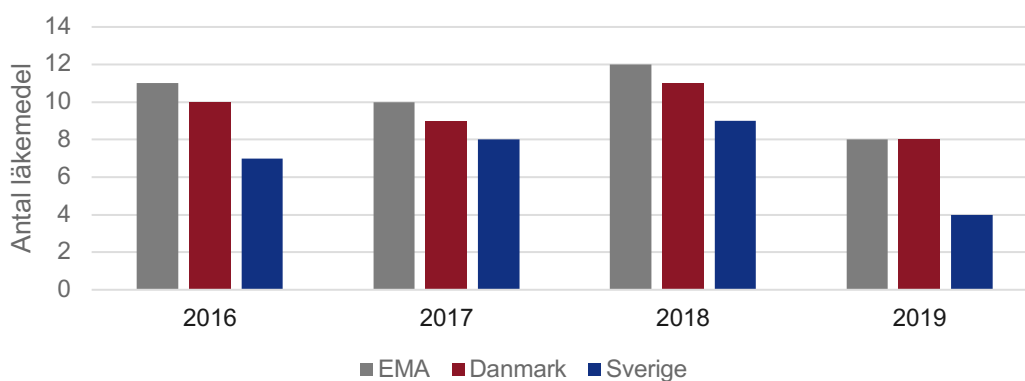
Institutet för Hälso- och Sjukvårdsekonomi (IHE) menar att den värdebaserade prissättning som Sverige historiskt använt stimulerar innovation, och tydliggör vilka val och prioriteringar samhället gör på läkemedelsområdet.¹⁵ Men när nya avancerade läkemedel nu når marknaden, där till exempel en livslång behandling kan ersättas med en möjlig botande behandling vid ett tillfälle, utmanas modellen då tjänstemännen har att förhålla sig till den årliga budgeten som räknats upp en mindre procentsats varje år¹⁶.

Så hur ser det då ut för tillgången till läkemedel? 2020 inkom 59 ansökningar till TLV från forskande läkemedelsföretag för subvention av nya läkemedel.^{17,18} Hälften avlogs eller drogs tillbaka av läkemedelsföretaget. 13 av de 30 NT-processer som genomfördes 2020 resulterade i en negativ NT-rekommendation.¹⁹

Detta mönster återupprepas i den så kallade WAIT-analysen från 2021. Den visade att av de 116 läkemedel som godkändes av EMA 2017–2019, utifrån god effekt och säkerhet, så fanns i december 2020 endast 68 tillgängliga för patienterna i Sverige, det vill säga drygt hälften.²⁰

När det gäller nya cancerläkemedel visar en jämförelse med Danmark att tillgängligheten i Sverige släpar efter.²¹ Skillnaden är störst för nyligen godkända läkemedel, vilket indikerar att skillnaderna i viss mån kan bero på att det tar längre tid att få tillgång till nya behandlingar i Sverige.

Tillgång till cancerläkemedel godkända i EU 2016–2019, i Sverige och i Danmark uppdelat per år för godkännande av EMA



Källa: EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2020 Survey

¹⁵ Persson, U. & Olofsson, S. (2021). *Värdebaserad prissättning av läkemedel – Teori, evidens och utmaningar*. (2021:8). Institutet för Hälso- och sjukvårdsekonomi. https://ihe.se/wp-content/uploads/2021/10/IHE-Rapport-2021_8_.pdf

¹⁶ Gralén, K., Norlin, J. & Persson, U. (2022). *Budget och finansiering inom hälso- och sjukvården – exempel från tre regioner*. (2022:1). Institutet för Hälso- och sjukvårdsekonomi. <https://ihe.se/wp-content/uploads/2022/02/IHE-Rapport>

¹⁷ Folkhälsodalen. (2021). *Det är en fråga om liv – patienter behöver få snabbare tillgång till nya innovativa behandlingar*. https://www.youtube.com/watch?v=Fdj7H7YPa0&t=127s&ab_channel=Folkh%C3%A4lsodalen

¹⁸ Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket. (2020). *Årsredovisning 2020*.

https://www.tlv.se/download/18.16e0aa8a177d2d89df9fa80/1614255314870/arsredovisning_tlv_2020.pdf

¹⁹ Janusinfo. (2021). *Ökat behov av nationell samverkan*.

<https://janusinfo.se/nationellinforandeavlakemedel/nyheter/nyheter/okatbehovavnationellsamverkan.5.1bb154101776389aafb3a25d.html>

²⁰ Quantify. (2021). *Tillgänglighet till nya läkemedel med EMA-godkännande 2017–2019 i Sverige*. [PPT].

https://www.tif.se/globalassets/pdf/rapporter-externa/quantify_tillganglighet-till-nya-lakemedel-2017-2019-2021-03-23.pdf

²¹ IQVIA. (2021). *EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2020 Survey*. [PPT]. <https://www.efpia.eu/media/602652/efpia-patient-wait-indicator-final-250521.pdf>

Riksrevisionen bekräftar bilden i sin granskning av TLV 2021.²² En av slutsatserna de drar är att beslutsmodellen som används av TLV gör det svårt med tillgängligheten för vissa nya läkemedel. Det gäller särskilt läkemedel för sällsynta, kroniska sjukdomar, som ofta har ett upplevt högt pris och en osäker behandlingseffekt enligt TLV.

Dagens systemet är inte heller anpassat för kombinationsbehandlingar. Med tanke på att man ofta behöver kombinera läkemedel ur flera läkemedelsklasser för att nå ett djupt behandlingssvar, för att inte resistent kloner av tumörceller ska uppkomma, är detta mycket olyckligt och utgör ett hinder. Slutsatsen är att det är mycket svårt att få igenom en subvention hos TLV, eller få en rekommendation av NT-rådet, vid kombinationsbehandlingar.

Det finns tyvärr allt för många exempel på situationer där nya behandlingar når svenska patienter allt för långsamt, eller inte alls. Sverige bör därför sätta tydliga uppföljningsbara mål, till exempel "Sverige ska hamna i topp 7 i Europa för patienters tillgång till nya läkemedel". Vi menar att det måste vara lika viktigt att implementera och använda de innovationer vi forskar fram som det är att forska fram dem. En stark forskning och en snabb användning av innovationer är avgörande för patienterna och bidrar även till att Sverige blir ett relevant land för life science-företag att investera i. Värdet av en samhällsekonomisk positiv investering går alltför lätt förlorad i ett isolerat budgetperspektiv.

²² Riksrevisionen. (2021). *Behov av att öka kostnadseffektiviteten i läkemedelsanvändningen*. <https://www.riksrevisionen.se/om-riksrevisionen/kommunikation-och-media/nyhetsarkiv/2021-05-06-behov-av-att-oka-kostnadseffektiviteten-i-lakemedelsanvandningen.html>

Trots ordnat införande finns det regionala skillnader

För att de läkemedel som har fått en rekommendation om användning inom nationellt ordnat införande ska komma alla patienter till del, krävs att rekommendationen tillämpas av samtliga regioner. Den övergripande slutsatsen i rapporten Ordning i leden? är att den nationella processen för ordnat införande kan bidra till en mer jämlik läkemedelsanvändning genom nationella rekommendationer och avtal, men det finns också flera exempel på att introduktionen i regionerna har dragit ut på tiden.²³ Ur patientens perspektiv är det problematiskt att tillgången till nya läkemedel och behandlingsmetoder kan variera i landet.

Vårdanalys har två tydliga rekommendationer till landets regioner.

- Regionerna behöver arbeta mer proaktivt med att lokalt implementera de nationella rekommendationerna för att utjämna geografiska skillnader i landet och mellan olika patientgrupper. Även för läkemedel som har genomgått ordnat införande finns exempel på att introduktionen av nya läkemedel har dragit ut på tiden med kvarstående skillnader i läkemedelsanvändningen i landet.
- Regionerna spelar en central roll i uppföljningen av nya läkemedel och behöver därför prioritera arbetet med läkemedelsuppföljning i sina verksamheter för att utveckla vården.

Det stora genombrottet med nya läkemedel för multipelt myelom i mitten på 2010-talet är ett exempel både på en långsam introduktion och på tydliga regionala skillnader. NT-rådet publicerade 2020 en uppföljningsrapport av beslut kring fyra nya myelomläkemedel. Rådet

Figur 2 Användning av nya läkemedel vid multipelt myelom i Sverige mätt i DDD (särskilt definierade) över tid (kvartal), justerat för antal 1000 invånare över 50 år, redovisade för enskilda sjukvårdsregioner*. Sjukvårdsregionerna är sorterade baserat på invånarantal, stigande från vänster.



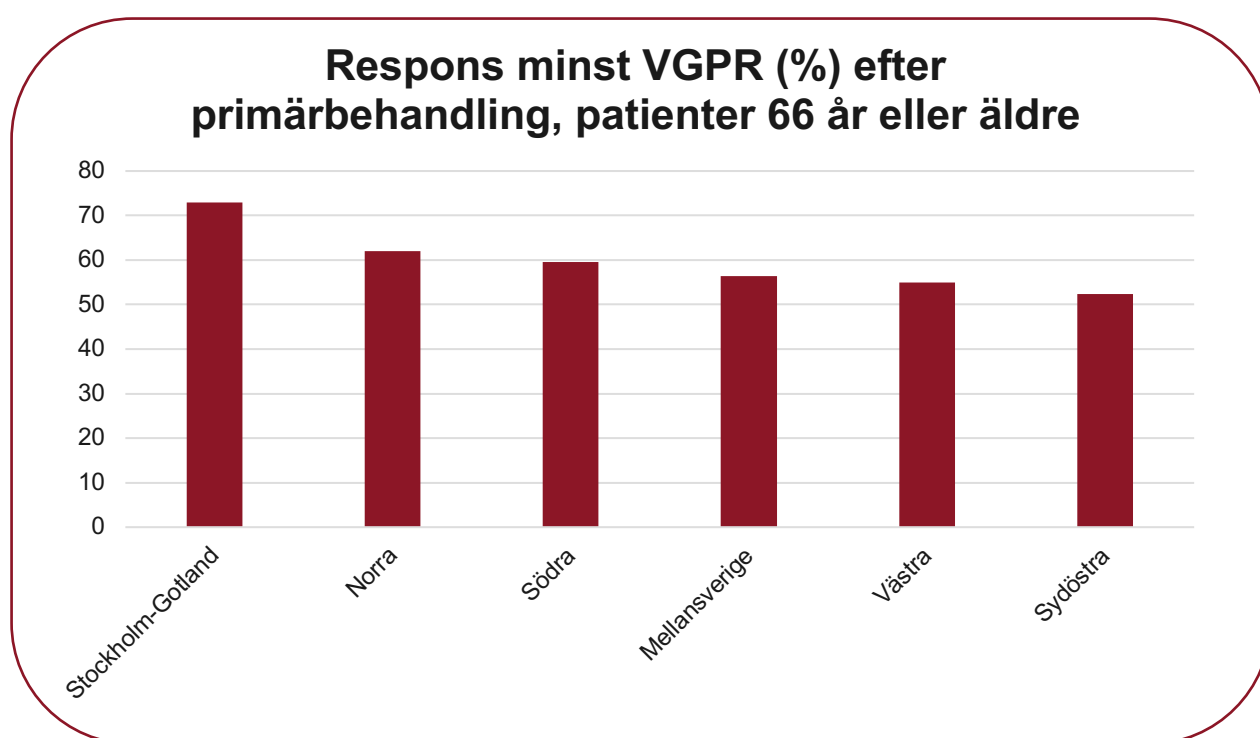
* Data från E-hälsomyndigheten. Uppgifter om försäljning på rekvisition och antal invånare från Blekinge och Dalarna ingår inte i analysen från och med 2016 Q1 respektive 2017 Q3. Halland beräknas som delat mellan Sjukvårdsregion Södra (42 %) och Västra (58%).

Källa: Nya läkemedel vid multipelt myelom - Uppföljning av ordnat införande 2020-02-12

²³ Linnér, L. (2020). Nya läkemedel vid multipelt myelom. Regionernas samverkansmodell för läkemedel. <https://janusinfo.se/download/18.14ebe1f017014ab3c59be5c711581511519031/Uppfoljning-Darzalex-200212.pdf>

konstaterar att "Det tog lång tid mellan att läkemedlen blev godkända till att de fick en slutlig NT-rekommendation." Skulden lade man på höga priser. NT-rådet granskade också hur olika sjukvårdsregioner hanterade de nya behandlingarna och det var uppenbart att skillnaderna var stora. Det var framför allt Stockholm-Gotland som stack ut genom att betydligt snabbare ta till sig en av de nya behandlingarna. Det fanns även en påfallande stor skillnad mellan Sydöstra och Södra regionerna när det gäller en annan av behandlingarna.

Det är värt att notera att just Stockholm-Gotland också sticker ut vad avser goda behandlingsresultat vid myelom. När det gäller äldre patienter är det en markant högre andel som får ett bra behandlingssvar vid första linjens behandling. Jämförelsen nedan täcker de tre senaste åren i kvalitetsregistret (2017–2019) och beskriver hur stor andel som minst uppnått very good partial response (VGPR). Skillnaden är mer än 20 procentenheter mellan Stockholm-Gotland och Sydöstra sjukvårdsregionen. Det finns anledning att tro att Stockholm-Gotlands goda behandlingsresultat korrelerar med deras progressiva behandlingsstrategi med nya myelomläkemedel.



Källa: Myelomregistret 2017-2019

De största regionala skillnaderna uppstår ofta vid införande av nya metoder och behandlingar. Samtidigt är just det ett område där kunskapen om hur det ser ut ofta är begränsad. Kvalitetsregister har ofta fokus på den första behandlingen som sätts in (första linjens behandling) och fångar sällan de nyaste behandlingarna, som vid introduktionen används senare i behandlingsresan. Det register som finns för nya cancerläkemedel har dessutom mycket begränsad täckning, vilket är ett stort problem i sig och vi vet för lite om hur introduktionen fungerar när det gäller nya behandlingar för blodcancer. Det finns också mycket begränsad kunskap om ordningsföljden för olika behandlingar. Det verktyg - individuell patientöversikt (IPÖ) - som skulle kunna visa detta används i mycket begränsad utsträckning²⁴. Bristen på uppgifter gör att ny kunskap inte kommer fram tillräckligt snabbt och att uppföljningen av de nya behandlingarna i klinisk vardag försvåras.

Som en förklaring till Stockholms avvikande mönster när det gäller multipelt myelom lyfter NT-rådet att tidigt deltagande i kliniska prövningar kan ha gjort att läkare där snabbare fått god kännedom om en ny behandling.²⁵ Det är ett bra exempel på betydelsen av kliniska prövningar för patienters tillgång till nya behandlingar.

²⁴ Regionala cancercentrum i samverkan. (2022). *Individuell patientöversikt (IPÖ) i cancervården*. <https://cancercentrum.se/samverkan/vara-uppdrag/kunskapsstyrning/patientoversikter>

²⁵ Linnér, L. (2020). *Nya läkemedel vid multipelt myelom*. Regionernas samverkansmodell för läkemedel. <https://janusinfo.se/download/18.14ebe1f017014ab3c59be5c7/1581511519031/Uppfoljning-Darzalex-200212.pdf>

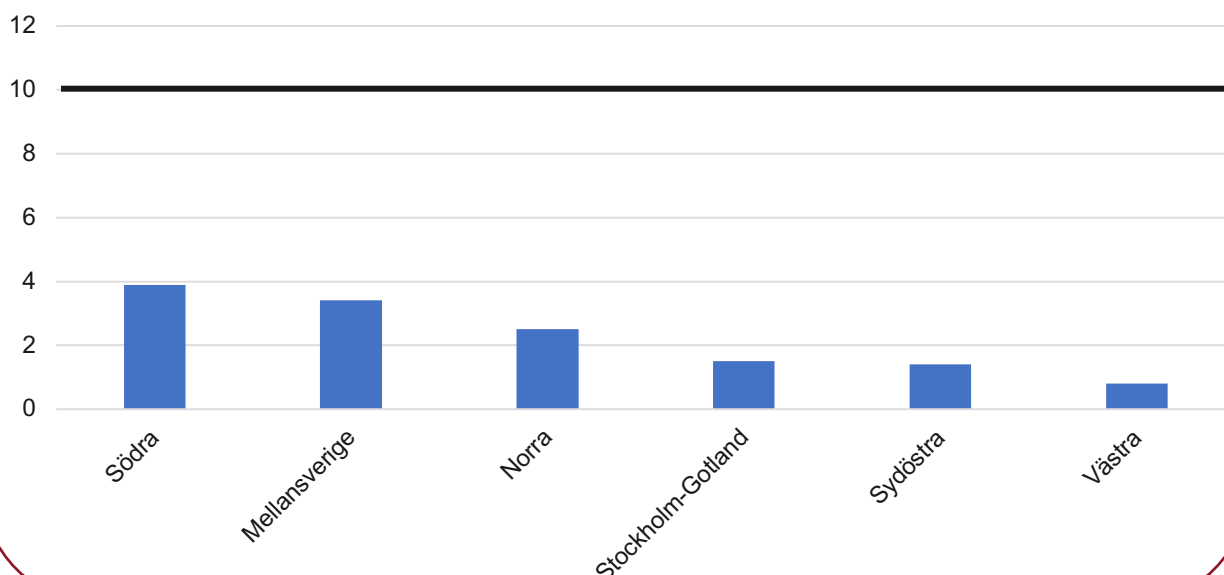
Fler kliniska studier behövs och fler måste få chans att delta

Utvecklingen av nya behandlingar går oerhört snabbt. Inte minst växer kunskapen om betydelsen av genetiska variationer som har stor betydelse för vilken behandling som är bäst för varje patient. Fler kliniska studier där svenska patienter kan delta är en nyckel för att svensk blodcancervård ska kunna hänga med i utvecklingen. Utan möjlighet att delta i studier kan det ta lång tid innan svenska patienter i praktiken får del av de nya framstegen.

Kliniska studier är också viktiga för att svenska läkare och sköterskor ska kunna ligga i framkant med nya behandlingar och få praktisk kunskap om resultat, hantering av biverkningar med mera. I en analys från Vetenskapsrådet från 2017 visade det sig att bara 0,5 procent av alla med cancer deltog i en klinisk studie.²⁶ Det är alldeles för få och trenden går åt fel håll. I synnerhet minskar företagsinitierade läkemedelsprövningar stadigt i Sverige.²⁷

Inom blodcancerområdet finns det också exempel på mål som inte nås. I vårdprogrammet för lymfom från år 2021 lyfts målet att minst 10 procent någon gång ska inkluderas i en klinisk läkemedelsprövning vid första eller senare behandlingar.²⁸ Under den period som finns redovisad i kvalitetsregistret (2013–2020) ligger alla regioner långt ifrån målet när det gäller andel som inkluderats i en klinisk läkemedelsprövning i samband med sin första behandling för lymfom.

Andel som deltar i klinisk prövning vid primärbehandling, målnivå 10% (2013–2020)



Källa: Lymfomregistret

²⁶ Thörn, C. (2017). *Statistik för läkemedelsprövningar ur ett patientperspektiv*. (VR1714). Vetenskapsrådet. https://www.vr.se/download/18.5f55e5e81618e003b7085c85/1555332281635/Statistik-laekemedelsprovningar-ur-patientperspektiv_VR_2018.pdf

²⁷ Quantify. (2021). *Tillgänglighet till nya läkemedel med EMA-godkännande 2017–2019 i Sverige*. [PPT]. https://www.lif.se/globalassets/pdf/rapporter-externa/quantify_tillganglighet-till-nya-lakemedel-2017-2019-2021-03-23.pdf

²⁸ Regionala cancercentrum i samverkan. (2021). *T-cellslymfom – Nationellt vårdprogram*. <https://kunskapsbanken.cancercentrum.se/globalassets/cancerdiagnoser/blod-lymfom-myelom/lymfom/vardprogram/nationellt-vardprogram-t-cellslymfom.pdf>

I december 2021 fanns det 278 kliniska cancerstudier med pågående rekrytering av deltagare. Runt 70 av dessa rörde blodcancer.²⁹ Det behövs ännu fler studier men det krävs också att patienterna får erbjudandet om att delta.

Bättre möjligheter att få delta i kliniska studier är att av de områden som Blodcancerförbundets medlemmar tycker är allra viktigast. 2020 genomförde Blodcancerförbundet en undersökning bland sina medlemmar med hjälp av Novus. 83% av nästan 1 000 drabbade av blodcancer svarade att de var positiva/mycket positiva till att få delta i kliniska prövningar för att utveckla nya behandlingar. Endast 21% av dem hade deltagit, eller deltog, i en klinisk prövning.³⁰ När frågan ställdes till ca 400 politiker i årsskiftet 2021/2022 så trodde en övervägande majoritet av politikerna att en långt större andel av alla patienter deltog i en klinisk studie³¹. Här finns en stor diskrepans.

Det behövs bättre förutsättningar att bedriva studier i Sverige. Kliniska studier tar tid och resurser och sjukvården behöver få förutsättningar för att i högre utsträckning kunna delta i de studier de finner lämpliga. Därutöver ska det vara en självklarhet att de som möter patienterna har ett ansvar för att informera om vilka möjligheter som finns att delta. Det ska inte krävas att patienten själv söker efter studier och driver frågan. Våga sätta uppföljningsbara mål som "I Sverige ska 30 procent av alla blodcancerpatienter erbjudas att delta i en klinisk studie". Ge sjukvården möjligheter att bedriva mer klinisk forskning.

²⁹ Regionala cancercentrum i samverkan. (Inget datum). *Cancerstudier i Sverige*. [Dataset].

<https://cancercentrum.se/samverkan/vara-uppdrag/forskning/cancerstudier-i-sverige/>

³⁰ Novus. (2020). *Medlemsundersökning för Blodcancerförbundet*. (ej publicerad).

³¹ Blodcancerförbundet, enkätundersökning (2022). (Ej publicerad).

Precisionsmedicin, hälsodata och den svenska life science-ambitionen

Blodcancerforskningen ligger ofta i framkant inom hela cancerforskningen. En anledning är att de olika blodcancerformerna, som lymfom och leukemier, ofta har färre mutationer jämfört med många solida tumörer, vilket förenklar forskning och utveckling. En annan är att det är enklare att ta ett blodprov än ett vävnadsprov genom biopsi, som behöver göras vid solida tumörer. Detta märks också inom de delar av forskningen som hamnar under benämningen precisionsmedicin.

Precisionsmedicin är inte ett väldefinierat begrepp. Det begrepp som ger en bättre beskrivning är personalized medicine, individanpassad vård eller skräddarsydd vård. Strategin innebär att man tar reda på så mycket som möjligt om en patient och dennes cancersjukdom för att kunna ställa en så exakt diagnos som möjligt och sedan välja bästa möjliga behandling. I dag är det tekniskt möjligt att undersöka hela arvsmassan, genomet, hos en enskild individ inom loppet av ett dygn om det är bråttom. För precisionsmedicin blir diagnostiken oerhört viktig för att kunna identifiera och diagnosticera sjukdomar och deras karaktäristika utifrån gener, proteinuttryck, tumör-DNA, olika mutationer med mera.

Inom precisionsmedicin integreras sjukvård och forskning på ett sätt vi vanligtvis inte ser i traditionell vård. Samma data används för att diagnostisera och behandla, varpå forskningen tar vid för att ytterligare kunna förfinas behandlingen. Det är ett paradigmskifte till stor nytta för oss patienter. Vid precisionsmedicin blir forskning och klinisk implementering en del av samma helhet.

Precisionsmedicin förväntas öka enormt i omfattning. När IQVIA, ett globalt analysföretag inom hälso- och sjukvård, analyserade framtida precisionsbehandlingar inom cancerområdet 2020 var prognosen att 2030 kan 300 - 400 nya immunterapier, tumörantagonister och målinriktade läkemedel vara godkända.³² Om det genomförs ca 20 000 gensekvenseringar i rutinsjukvården idag kan de komma att vara 20 gånger fler 2030.³³

Under de senaste åren har mängden information, hälsodata, som går att få om en enskild patient ökat enormt mycket och kommer fortsätta att göra så. För att skapa kunskap av all denna hälsodata behöver vi registrera och följa upp hur vi använder läkemedel tillsammans med information om individuella mutationer, sekvenser mm. Då lär vi oss vilka patienter och vilka sorts tumörer som har mest nytta av vilka behandlingar och i vilken ordning. Uppföljning är också nyckeln för att koppla samman medicinskt utfall, värde och pris. Ett mycket lovande verktyg är IPÖ, Individuell patientöversikt, som möjliggör insamling och visualisering av hälsodata för den enskilde patientens vård och behandling. Tyvärr används inte verktyget i den utsträckning som det borde³⁴.

³² IQVIA (2020). Aitken, M & Simorellis, A., Supporting Precision Oncology Targeted therapies, immuni-oncology, and predictive biomarker-based medicines. IQVIA.

³³ Myndigheten för vård- och omsorgsanalys. (2021). *Genväg till ökad precision*. (2021:5). <https://www.vardanalys.se/rapporter/genvagen-till-okad-precision/>

³⁴ Regionala cancercentrum i samverkan. (2022). *Individuell patientöversikt (IPÖ) i cancervården*. <https://cancercentrum.se/samverkan/vara-uppdrag/kunskapsstyrning/patientoversikter>

Det finns ett stort intresse för precisionsmedicin från alla politiska partier. Det var tydligt när Socialutskottet kallade till öppen utfrågning om precisionsmedicin den 26 oktober 2021. Precisionsmedicin, och life science, är inte bara hälsa för ett lands befolkning, vilket är nog så viktigt. Life science är också näringspolitik med arbetstillfällen inom forskning, tillverkning och försäljning. De tre första kvartalen 2021 redovisade SCB en export av läkemedel för ca 72 miljarder kronor och exportnettot var nästan 32 miljarder.³⁵ Läkemedel bör ses som en av Sveriges basnäringar.

Sveriges nuvarande regering har sedan flera år en ambitiös life science-strategi med fokusområden såsom fler kliniska studier, en effektiv process för implementering av nya terapier, nyttiggörandet av hälsodata samt att Sverige ska vara ett föregångsland inom precisionsmedicin.³⁶ Dessa frågor är helt överlappande med de prioriterade frågorna i detta samarbetsprojekt. Vi applåderar life science-satsningen och önskar samtidigt en större involvering av patienternas roll och delaktighet i strategin.

³⁵ SCB. (2021). *Starkare varuhandel i värde än i volym under tredje kvartalet*. <https://www.scb.se/hitta-statistik/statistik-efter-amne/handel-med-varor-och-tjanster/utrikeshandel/utrikeshandel-med-varor/pong/statistiknyhet/export-och-import-av-varor-januari-september-2021kvartal-3-2021-i-lopande-och-fasta-priser/>

³⁶ Regeringskansliet. (2019). *En nationell strategi för life science*. <https://www.regeringen.se/informationsmaterial/2019/12/en-nationell-strategi-for-life-science/>

Patientinvolvering och patientdelaktighet

Patienternas inflytande i vården måste öka. Det gäller framför allt på en övergripande systemnivå, till exempel när beslut om nya läkemedel och behandlingar tas. Vi måste komma bort ifrån att patienterna har biroller till att betrakta dem som medskapare i sin vård.

Blodcancerförbundet vill vara delaktig i de processer som formar vården. Vi menar att Sveriges nationella HTA-organisationer för läkemedel, TLV och NT-rådet, kan lära mycket från HTA-organisationerna i Storbritannien, Skottland och Kanada där man skapat ett aktivt patient- och brukarinflytande.

EUPATI, European Patients' Academy on Therapeutic Innovation, är ett EU-projekt med syfte att utbilda patienter/brukare till effektiva förespråkare och rådgivare inom läkemedelsutvecklingsprocesser. I vägledningsdokumentet "Guidance for patient involvement in HTA" presenterar EUPATI ett förslag på en samverkansmodell med patientinflytande i HTA-processer.³⁷ Syftet är att öka kunskapen hos patient- och brukarföreträdare för att medverka i HTA-processer på ett meningsfullt sätt. Blodcancerförbundet ser en stor möjlighet med detta projekt och dess verktyg.

Blodcancerförbundet menar att ett aktivt patientinflytande i HTA-processerna bör implementeras i Sverige på ett sätt som passar den svenska kontexten. Det är ju om oss patienter besluten handlar. Vi är experter på vår diagnos och vi förstår att vi ska ta gruppens perspektiv, och inte vårt personliga perspektiv, vid en medverkan i en HTA-process.

För oss som patienter i vården finns också mycket att förbättra. Den befintliga patientlagen trädde i kraft 2015 med syftet att stärka och tydliggöra patientens ställning samt främja patientens integritet, självbestämmande och delaktighet. Sedan dess har Myndigheten för vårdanalys vid två tillfällen granskat hur lagen efterlevs. Bilden som målas upp är dyster och inga stora förbättringar skedde mellan de två granskningstillfällena.^{38,39} Blodcancerförbundet ställer sig bakom Vårdanalys rekommendationer; ett förtydligande av ansvaret för lagens efterlevnad, en förstärkt uppföljning med fokus på lärande och tydligare incitament och ansvarsutkrävande.

Agenda 2030 antogs av FN:s medlemsstater 2015 och innehåller 17 globala mål för en ekonomiskt, socialt och miljömässigt hållbar utveckling. God hälsa & välbefinnande är det tredje målet inom vilket hela denna rapport landar. God folkhälsa och livskvalitet bland befolkningen är en oerhörd styrka för ett samhälle och gynnar dess utveckling. Det sista delmålet, genomförande och globalt partnerskap, är förutsättningen för att de övriga 16 globala målen ska kunna nås. Här menar vi att vi måste samarbeta närmre. Vi har så mycket att vinna på det. Prata inte om oss - prata med oss.

³⁷ Hunter, A. et al. (2018) EUPATI Guidance for Patient Involvement in Medicines Research and Development: Health Technology Assessment. *Frontiers in Medicine*.

<https://toolbox.eupati.eu/resources/guidance-for-patient-involvement-in-hta/>

³⁸ Myndigheten för vård- och omsorgsanalys. (2017). *Lag utan genomslag*. (2017:2). <https://www.vardanalys.se/rapporter/lag-utan-genomslag/>

³⁹ Myndigheten för vård- och omsorgsanalys. (2021). *Ett lag som kräver omtag*. (2021:10). <https://www.vardanalys.se/rapporter/en-lag-som-kraver-omtag/>

Politiken är långt borta från läkemedelsfrågan

”En innovation är ingen innovation om den inte kommer patienterna till del.”

– Lise-lott Eriksson, ordförande Blodcancerförbundet

Vi har tidigare i rapporten redovisat utmaningarna med dagens system för innovativa läkemedel att nå patienter med stora medicinska behov. Det här kan väl inte vara politikens önskan?

2020 genomförde det forskande läkemedelsföretaget Janssen en omfattande kartläggning av politikens närvaro i läkemedelsfrågan. Den visade sig att politiken i princip lämnat hela läkemedelsfrågan till statliga och regionala tjänstemän trots den stora medicinska betydelse detta har för medborgarna.⁴⁰ Det hänger troligtvis samman med att frågan blivit så komplex och att tjänstemännen har ett stort kunskapsövertag.

Det finns flera politiska initiativ de senaste åren som tyder på att en förändring kan vara på väg. I SKR:s positionspapper om läkemedel från mars 2021, ”Sverige behöver ett modernt regelverk för läkemedel”, samlar SKR sina viktigaste ställningstaganden kring läkemedel. Man lyfter bland annat önskan att staten ska förbereda ett nytt system för finansiering och kostnadsansvar för läkemedel och efterlyser ett system för statlig medfinansiering av vissa utmanande och ofta kostsamma terapier.⁴¹

I slutbetänkandet från Läkemedelsutredningen ”Tydligare ansvar och regler för läkemedel” (SOU 2018:89) konstateras att förutsättningarna ändrats mycket under de dryga 15 år sedan tillkomsten av systemet för finansiering, subvention och prissättning av läkemedel sjösattes. Utredningens slutsats är att dagens system är både komplext och svåröverskådligt och bör därför ses över. Man pekar på att regionernas kostnadsansvar för läkemedel som administreras inom vården, och statens kostnadsansvar för receptbelagda läkemedel, kan påverka valet av behandling. Man menar att finansieringen av läkemedel behöver ändras, ansvarsfördelningen behöver förtydligas och statligt bidrag för nya effektiva läkemedel behöver tas fram genom en långsiktig överenskommelse. Utredningen lyfter också att staten och regionerna i slutändan har samma uppdragsgivare – patienterna och medborgarna.⁴²

Region Västerbotten kom i början av 2021 med sin ”Vitbok – Tillsammans för tillgängliggörande av avancerade terapier och nya innovativa läkemedelsbehandlingar för

⁴⁰ Folkhälsodalen. (2021). *Vem bär ansvar för att nya innovativa behandlingar tillgängliggörs – tjänstemän eller politiker?* <https://www.folkhalsodalen.se/play/vem-bar-ansvar-for-att-nya-innovativa-behandlingar-tillgangliggors>

⁴¹ Eklund, S. et al. (2021). *Sverige behöver ett modernt regelverk för läkemedel*. Sveriges Kommuner och Regioner. [https://skr.se/download/18.71b542201784abfbf7a64099/1617274774884/WEBB-13-20-00249-SKR-Positionspapper-lakemedel-2021%20\(2\).pdf](https://skr.se/download/18.71b542201784abfbf7a64099/1617274774884/WEBB-13-20-00249-SKR-Positionspapper-lakemedel-2021%20(2).pdf)

⁴² Läkemedelsutredningen. (2018). *Tydligare ansvar och regler för läkemedel. Slutbetänkande*. (SOU 2018:89). <https://data.riksdagen.se/fil/53B8A1BC-256E-4D2A-AC6E-E50FFA23F39A>

patienter med sällsynta och svåra sjukdomar i Sverige”. Vitboken kom som en respons på deras erfarenheter med Skelleftesjukan. Västerbotten anser att finansieringen av nya terapier måste utjämnas mellan stat och region för att balansera den snedvrida kostnadsbelastning som kan uppstå när vissa regioner har många invånare med sällsynta och svåra sjukdomar. Man lyfter de många nya avancerade läkemedelsbehandlingar som är på väg och där kostnadsansvaret vanligtvis hamnar på regionerna. Region Västerbotten önskar därför stimulansåtgärder för tidig implementering av nya terapier. Det gäller också vid insamlande av hälsodata, som är nödvändig för att bygga kunskap om många av de nya behandlingarna.

Det finns en tydlig samsyn hos SKR, Läkemedelsutredningen och Region Västerbotten om ett stort behov av en omfattande reformering av finansieringen av läkemedel för lika vård i Sverige.

Blodcancerförbundet instämmer. Vi behöver system och regler som främjar tydlighet, långsiktighet och progressivitet för patienter med medicinska behov. Med de nya, avancerade läkemedlen är det dags att ta ett omtag. Här måste politikerna kliva fram och tydliggöra vad som gäller för medborgarna.

”Dagens system för läkemedelsfinansiering illustrerar problemet att det i en förhandlingssituation lätt uppstår en mentalitet av att ”vinna” eller ”förlora” för de som förhandlar. I själva verket finns det bara två grupper som egentlig mening kan vinna eller förlora och det är patienterna och medborgarna/skattebetalarna. Vår uppfattning är att staten och landstingen i slutändan har samma uppdragsgivare. Det är viktigt att försöka skapa ett system som gör det möjligt för staten och landstingen att arbeta med att lösa gemensamma problem och tillsammans hantera utmaningar som i grunden är ömsesidiga.”

Läkemedelsutredningen. (2018). Tydligare ansvar och regler för läkemedel. Slutbetänkande. (SOU 2018:89).

Blodcancerförbundets budskap till politiken

”Ska Sverige nå målet om att bli en ledande life science-nation krävs resurser, men också handlingsvilja och bättre samordning mellan sjukvårdens aktörer. Vi är övertygade om att patientorganisationerna har en betydande roll i allt detta.”

– Lise-lott Eriksson, ordförande Blodcancerförbundet

- Eftersom läkemedelsbehandling är den dominerande behandlingsformen för blodcancerpatienter, då kirurgi och strålning spelar liten roll, är snabb tillgång till nya läkemedel och kombinationer av läkemedel mycket viktigt. Politikerna behöver tillsammans - nationellt, regionalt och över blockgränserna - tydliggöra sin ambitionsnivå till tjänstemännen och tilldela resurser för måluppfyllelse.
- Svensk cancersjukvård är ojämlik och måste få en mer central styrning så att alla kan få samma läkemedel och behandling – oavsett bostadsort. Detta kan göras genom att ställa tydligare krav på myndigheter i form av regleringsbrev eller andra styrdokument, men också genom ett direkt inflytande och kostnadsfördelning av resurser. Uppföljning och utvärdering av nya läkemedel bör skötas av en central myndighet och ett heltäckande register för dyra cancerläkemedel bör införas, så att man tidigt kan mäta effekter och kostnader.
- Patienterna vill medverka i kliniska studier för att utveckla nya behandlingar, men då behöver de också erbjudas möjlighet att delta i kliniska prövningar. Politikerna behöver tillsammans, nationellt och regionalt, säkerställa att Sverige är ett land där läkemedelsindustrin vill och kan lägga kliniska studier. För detta krävs bland annat att vårdgivarna ges resurser och incitament att bedriva studier vid sidan av rutinvården. Man behöver också tydliggöra vårdens ansvar att erbjuda patienter möjlighet att delta i kliniska studier när så är möjligt. Genom kliniska studier och forskning ökar också kunskapen hos vården om de nya behandlingarna, vilket förbättrar förutsättningarna för snabb tillgång regionalt och lokalt när beslut och rekommendationer är utfärdade nationellt.
- Patienterna vill medverka och vara delaktiga i sin egen vård men också i processerna som formar den. Det gäller framför allt på en övergripande systemnivå, till exempel när beslut om nya läkemedel och behandlingar tas. Vi måste se patienterna som medskapare till sin vård och inte som biroller. Blodcancerförbundet önskar därför ett ökat genomslag för patientlagen samt en stärkt patientmedverkan vid de nationella HTA-processerna för läkemedel.

Vi behöver blocköverskridande beslut när det handlar om att rädda liv. Blodcancerförbundet står redo och vill bidra till att hitta vägar fram för större medverkan av patienter i kliniska prövningar, snabbare tillgång till nya behandlingar, mer jämlik vård och en stärkt patientdelaktighet.



Denna rapport är en del av projektet "Dagens forskning – morgondagens behandling" som genomförs av Blodcancerförbundet i samarbete med AbbVie, Amgen, Bristol Myers Squibb, GSK, Janssen, Pfizer, Roche och Sanofi.