

## Svar på skriftligt spörsmål SSS 83/2018 rd

### Svar på skriftligt spörsmål om behandling av och medicinering för sällsynta sjukdomar

#### Till riksdagens talman

I det syfte som anges i 27 § i riksdagens arbetsordning har Ni, Ärade talman, till den minister som saken gäller översänt följande skriftliga spörsmål SS 83/2018 rd undertecknat av riksdagsledamot Mia Laiho /saml:

*Hur främjar regeringen ordnandet av behandling vid sällsynta sjukdomar och*

*hur ämnar regeringen säkerställa att Finland inte släpar efter andra EU-länder när det gäller att ta nya säräkemedel i bruk t.ex. nusinersen?*

Som svar på detta spörsmål anför jag följande:

Med en sällsynt sjukdom avses enligt EU:s förordning om säräkemedel en sjukdom med en förekomst hos högst fem av 10 000 personer. Uppskattningsvis lider över 300 000 finländare av någon sällsynt sjukdom, skada, missbildning eller något sällsynt syndrom. De utgör cirka sex procent av befolkningen och en betydligt större andel av dem som använder hälso- och sjukvårdstjänster. Förordningen om säräkemedel trädde i kraft inom EU i april 2000. Enligt förordningen beviljar Europeiska läkemedelsmyndigheten EMA på ansökan säräkemedelsstatus till tillverkare som utvecklar läkemedel för behandling av sällsynta sjukdomar.

Med stöd av statsrådets förordning om arbetsfördelning och centralisering av vissa uppgifter inom den specialiserade sjukvården (582/2017) som trädde i kraft i början av 2018 har förebyggande, diagnostisering, behandling och rehabilitering vid sällsynta sjukdomar centraliserats till de fem universitetssjukhusen. Dessutom innehåller förordningen bestämmelser om ordnande av behandling av många enskilda sällsynta sjukdomar. Bestämmelserna syftar till en tillräcklig kompetens och en effektiv användning av resurser och därmed ökad behandlingskvalitet och patientsäkerhet. Genom EU:s patientdirektiv har man skapat förutsättningar för att inrätta frivilliga europeiska kompetensnätverk i synnerhet för sällsynta sjukdomar. Nätverken inledde sin verksamhet ifjol och i det första skedet deltog elva olika enheter från Finland i dessa. Direktivet främjar dessutom spridning av information om sällsynta sjukdomar, bland annat med hjälp av databasen Orphanet.

Det höga priset på nya läkemedel har blivit ett problem i alla länder med hög levnadsstandard. Då tvingas man försöka hitta en balans mellan ett snabbt införande av nya läkemedel och att hålla kostnaderna för hälso- och sjukvården under kontroll. Alla nya läkemedel innebär inte en kännbart större nytta än tidigare behandlingsmetoder.

## Svar på skriftligt spørgsmål SSS 83/2018 rd

Särläkemedel är ofta sjukhusläkemedel dvs. administreringen av dem kräver sjukhusförhållanden. Just nu förhandlar kommuner, sjukvårdsdistrikt eller upphandlingsringar dessa bildat i Finland om det faktiska upphandlingspriset med tillverkaren. Förfarandet omfattas av regelverket för allmänna upphandlingar. När ett läkemedel är patentskyddat kan läkemedelstillverkarens vilja att sänka priset vara begränsad. Tillsvidare och finns det ingen lösning för hur man ska genomföra upphandlingen av läkemedel som ska administreras i sjukhusförhållanden och hur man ska rikta kostnaderna för detta efter social- och hälsovårdsreformen.

Utöver det höga priset påverkas beslut om att införa nya läkemedel av att informationen om läkemedlets effekt och säkerhet kan vara begränsad genast efter att försäljningstillståndet beviljats. För att hantera den risk detta medför för köparen har man i olika länder utvecklat riskfördelningsavtal, dvs. avtal om ett kontrollerat införande där man kan komma överens om att det pris som i sista hand ska betalas för läkemedlet kan vara beroende av läkemedelsbehandlingsens effekt eller säkerhet. Då bär även den som marknadsför läkemedlet en del av den ekonomiska risken.

I fråga om läkemedel för öppenvården genomfördes en lagändring från och med ingången av 2017 där Läkemedelsprismyndigheten villkorligen kan godkänna ersättning och partipris för en ny läkemedelsbehandling under förutsättning att ett särskilt medicinskt behov av den nya läkemedelsbehandlingen påvisats men att till exempel kostnadseffektivitet fortfarande inte kan bedömas tillräckligt omfattande. Som en del av beslutet om villkorlig ersättning ska Läkemedelsprismyndigheten och innehavaren av läkemedelspreparatets försäljningstillstånd ingå ett avtal sinsemellan i vilket ansvarsfördelningen för osäkerhetsfaktorerna fastställs.

Social- och hälsovårdsministeriet har beslutat att under 2018 göra en utredning om vilken slags riskfördelningsavtalsmodell som skulle lämpa sig för sjukhusläkemedel och huruvida denna modell skulle förutsätta lagändringar. Inom EU, OECD och WHO pågår utredningar och projekt för att främja att nya läkemedel introduceras på marknaden till rimliga priser. Finland följer internationella aktörers projekt och deltar vid behov. Principerna för hur varje land fattar beslut om att erbjuda ett läkemedel inom den offentliga hälso- och sjukvården bestäms dock nationellt och varierar från land till land.

Tjänsteutbudsrådet för hälso- och sjukvården ger rekommendationer om huruvida en hälso- och sjukvårdsmetod ska ingå i den offentligt finansierade hälso- och sjukvården. Tjänsteutbudsrådet gav den 15 mars 2018 en rekommendation enligt vilken läkemedlet nusinersen som används i behandlingen av sjukdomen SMA kunde höra till tjänsteutbudet inom hälso- och sjukvården för en medicinskt fastställd patientgrupp, förutsatt att läkemedlets verkliga anskaffningspris genom förhandlingar kan fås betydligt lägre än listpriset.

I olika länders avgöranden om nusinersen kan man se en målsättning om att göra läkemedlet tillgängligt för en viss begränsad patientgrupp, men till ett rimligt pris. Till exempel rekommenderar Nederländerna att läkemedelspriset sänks med 85 procent. Det är viktigt att också vi i Finland kan skapa förfaranden för att hantera ekonomiska osäkerheter i samband med

## **Svar på skriftligt spörsmål SSS 83/2018 rd**

införandet av nya läkemedel och med vars hjälp det verkliga priset för ett läkemedel kan ställas i relation till den hälsnytta det ger.

Helsingfors 29.3.2018

Familje- och omsorgsminister Annika Saarikko