



Riksdagshearing om Precisionsmedicin – 26 oktober 2021

Jag vill tacka utskottet för initiativet att anordna en hearing om precisionsmedicin. Det är verkligen hög tid att fundera över hur vi kan stärka insatserna inom ett område som är så oerhört viktigt för patienterna, för utvecklingen av Sverige som en ledande Life Science-nation och för vår framtida internationella konkurrenskraft.

Jag har två roller här idag. Den ena är som representant för Regeringens Samverkansgrupp för Hälsa och Life Science, i vilken jag – tillsammans med rektorn för Karolinska Institutet, Ole Petter Ottersen – har rollen som Champions för Samverkansgruppens Arbetsgrupp för Precisionsmedicin och avancerade läkemedel.

Arbetsgruppen samlar en bred representation och gruppens uppgift är att identifiera behov av utveckling och lämna förslag till åtgärder som kan bidra till att uppfylla målsättningarna i regeringens Life Science-strategi om att Sverige ska vara ett föregångsland för införandet av Precisionsmedicin i hälso- och sjukvården.

Vi arbetar just nu med en Färdplan för införandet av Precisionsmedicin i syfte att löpande kunna lämna förslag till Regeringens Life Science-kontor om åtgärder som behöver vidtas för att nå målen i den nationella strategin. En tydlig målsättning med arbetet är att vi under våren ska kunna presentera en samlad, tydlig och konkret Färdplan för hur Sverige ska kunna vara ett ledande land när det gäller att implementera Precisionsmedicin. Arbetet tar utgångspunkt i patientperspektivet och hur vi ska tillgodose kompetensförsörjningsbehovet och de områden vi jobbar med är breda och omfattar bl.a. frågor om organisation, finansiering, evidens och strategiska partnerskap, allt i syfte att vi ska kunna behålla vår internationella konkurrenskraft. Vår förhoppning är att Färdplanen ska tydliggöra ansvar och mandat för samtliga aktörer och vara ett faktiskt verktyg i det gemensamma arbetet med att implementera precisionsmedicin. Det pågår i nuläget en rad aktiviteter och initiativ på regional och nationell nivå och ambitionen är att synliggöra även dessa ansträngningar i Färdplanen.

Min andra roll är som representant för de forskande läkemedelsföretagen - svenska eller internationella - som har uppgiften att forska fram, utveckla och tillverka avancerade läkemedelsbehandlingar. Dessa avancerade läkemedel är resultatet av mångåriga forsknings- och utvecklingsinsatser för att ta fram individualiserade och skraddarsyddade behandlingar som kan lindra och förhoppningsvis bota sjukdomar som tidigare saknat effektiva behandlingar.

För oss innebär Precisionsmedicin ett paradigmskifte, i och med att tillgången till mer avancerad och integrerad diagnostik ger möjligheter till mer individanpassade och ändamålsenliga läkemedelsbehandlingar. Vi har nu nått fram till att det på riktigt går att tala om rätt läkemedel till rätt patient vid rätt tillfälle.

Precisionsmedicin är en modernisering av hälso- och sjukvården där forskning och behandling är ännu mer integrerad och utgår från den enskilde patientens förutsättningar, vilket innebär att fler patienter på sikt förhoppningsvis helt kan botas och få en tydligt förbättrad livskvalitet. Vi ser att detta är det sätt som den moderna hälso- och sjukvården måste bedrivas på om vi fullt ut ska dra nytta av den medicinska forskningen och utvecklingen, och för att svensk hälso- och



sjukvård och patienter i Sverige inte ska hamna efter i den internationella utvecklingen och konkurrensen.

Implementeringen av precisionsmedicin innebär ett gemensamt ansvar för att säkerställa att nödvändiga diagnostiska metoder finns tillgängliga vid introduktion av nya behandlingar, men också att de patienter som enligt diagnostiken förväntas ha nytta av en särskild behandling ska erbjudas denna eller möjlighet att delta i kliniska prövningar. Det innebär nya arbetssätt men också nya mer tvärfunktionella organisationsstrukturer för att i större utsträckning dra full nytta av digitaliseringsmöjligheterna och möjliggöra en integrerad diagnostik så att behandlande läkare kan välja den mest ändamålsenliga behandlingen.

En viktig fråga handlar om evidensgenerering- och värdering. De avancerade läkemedel som nu godkänns av den Europeiska läkemedelsmyndigheten EMA utifrån att de är säkra och effektiva har ett stort medicinskt värde och erbjuder i många fall unika behandlingsmöjligheter för patienter som tidigare saknat effektiva behandlingsalternativ.

Detta är en helt ny typ av läkemedelsbehandlingar där behandlingen ges vid ett tillfälle och effekten förväntas bli lång – i vissa fall väldigt lång. Dessa läkemedel prövas ut på ett annat sätt än traditionella läkemedel. Det betyder att vi har en annan typ av kunskap när läkemedlen blivit godkända och ska börja användas. En återkommande kritik är att dessa läkemedel godkänns för tidigt i utvecklingen och att patientunderlaget i prövningarna är för litet. Detta har visat sig skapa utmaningar i den hälsoekonomiska utvärderingen. Ett annat sätt att se det på är att den godkännande myndigheten bedömt att patienternas behov av att få tillgång till behandling är så stort att de prövningar som gjorts är tillräckliga för att bedöma effekt och säkerhet. Att det sedan uppfattas som att det kvarstår osäkerhet kring läkemedlens ekonomiska värde behöver därför hanteras genom att regionerna som betalare och läkemedelsföretagen samarbetar i att fortsatt dokumentera och generera kunskap om läkemedlen, och under den tid som detta pågår även delar ekonomisk risk genom nya avtals- och betalningsmodeller. Jag återkommer till det.

För att patienter i Sverige ska få tillgång till de avancerade läkemedlen måste det finnas en vilja och ambition att i praktiken använda sig av de behandlingsmöjligheter som de avancerade läkemedlen ger. Här behövs tydliga ställningstaganden från staten och regionerna om vilken ambitionsnivå Sverige ska ha när det gäller att erbjuda patienterna tillgång till avancerade läkemedel, och hur finansieringsansvaret ska fördelas. Sveriges Kommuner och Regioner har i ett Positionspapper från i mars i år uttalat att det behövs ett "system för statlig medfinansiering och att staten behöver ge ekonomiskt stöd i situationer där nya läkemedelsbehandlingar som bedöms som effektiva är förknippade med mycket höga kostnader för både läkemedel och andra vårdinsatser." Vi tycker att det är en tydlig signal som regeringen måste hörsamma och vi ser att staten bör ha en aktiv, strategisk roll för att möjliggöra patienters tillgång till avancerade läkemedel.

En viktig fråga är därför behovet av policyutveckling kring värdering, finansiering och implementering av avancerade läkemedel. Här har regeringen gett ett antal uppdrag till olika statliga myndigheter. Bland dessa kan nämnas Myndigheten för vård- och omsorgsanalys uppdrag att analysera hur utvecklingen av precisionsmedicin har påverkat och kommer att påverka hälso- och sjukvården, och Tandvårds- och läkemedelsförmånsverkets uppdrag om hälsoekonomiska bedömningar och betalningsmodeller för Precisionsmedicin och avancerade läkemedel. Det som återstår är att dessa uppdrag ska leda fram till konkreta resultat som ger förutsättningar för verklig implementering genom att patienter får faktisk tillgång till de avancerade läkemedlen. Där är vi emellertid inte ännu.



För att läkaren ska kunna välja den mest ändamålsenliga läkemedelsbehandlingen måste det vara möjligt att på ett korrekt sätt diagnosticera patienterna. Genom korrekt diagnos går det också att undvika att behandla patienter som inte förväntas få önskvärt resultat. För det krävs en nationell infrastruktur för precisionsmedicin som säkerställer nationell samordning och ger förutsättningar för jämlik tillgång till avancerad diagnostik och rätt behandling. Vi ser att Statens och regionernas gemensamma satsning på Genomic Medicine Sweden utgör grundbulten till en sådan infrastruktur och det måste därför säkerställas att GMS ges långsiktiga organisatoriska och finansiella förutsättningar för att fortsatt driva utvecklingen och implementeringen framåt. Infrastrukturen bör på sikt också breddas till fler discipliner än enbart avancerad genetisk analys för att fullt ut fungera som infrastruktur för precisionsmedicin i Sverige. Viktiga steg i rätt riktning har tagits, men den långsiktiga lösningen är ännu inte på plats.

Inom ett område som precisionsmedicin där forskning och utveckling är nära kopplad till hälso- och sjukvården utgör företagsinitierade kliniska läkemedelsprövningar en viktig del i såväl utvecklingen som införandet. Därför är det viktigt att säkerställa att Sverige har de bästa förutsättningarna för att attrahera och genomföra kliniska läkemedelsprövningar. De kliniska läkemedelsprövningarna ger patienter i Sverige tidig tillgång till nya behandlingar och bidrar till att modernisera hälso- och sjukvården. Kliniska läkemedelsprövningar är därför av central betydelse för Sveriges möjlighet att nå målsättningen att vara såväl en ledande Life Science-nation som ledande inom precisionsmedicin. Samtliga aktörer behöver gemensamt ta ansvar för att förbättra förutsättningarna så att fler företagsinitierade kliniska läkemedelsprövningar förläggs till Sverige.

Som jag nämnt, behöver vi nya avtals- och betalningsmodeller för de avancerade läkemedlen. De flesta länder erbjuder idag företagen möjlighet att ingå olika typer av avtal när nya läkemedel introduceras. Riskdelningsmodeller där hälso- och sjukvården betalar för de patienter där behandlingen fungerat är konceptuellt tilltalande men sådana modeller förutsätter att vi har tillgång till bra data som kan avgöra utfallet. I SKRs Positionspapper pekar de på behovet av att driva utvecklingsarbete kring nya avtals- och betalningslösningar, något vi också påtalat behovet av. Här pågår arbete hos TLV och i regionerna, men vi behöver öka takten och vi måste gå från ord till handling. Och vi måste göra detta i samverkan mellan alla berörda parter.

Det är angeläget att snarast få till stånd en nationell och samordnad uppföljning av ny diagnostik och nya behandlingar. Utveckling av ett mer digitaliserat uppföljningssystem, som inkluderar såväl automatiserad registrering av data som möjlighet att i realtid använda data i t.ex. beslutsstöd skulle bidra till att stärka Sverige ur ett Life Science-perspektiv. Tillgång till detaljerade uppföljningsdata är av vikt för såväl myndigheter, hälso- och sjukvård, akademi som företag och patienter och är också viktigt för att attrahera kliniska läkemedelsprövningar till Sverige. En nationell struktur för strukturerad uppföljning efter kliniska läkemedelsprövningar och vid introduktion av nya läkemedel skapar förutsättningar och incitament för företag att bedriva forsknings- och utvecklingsaktiviteter i Sverige.

En strukturerad uppföljning gör det möjligt att tillgängliggöra nya behandlingar tidigt eftersom det då går att i realtid utvärdera användningen av läkemedlen och effekterna av behandlingarna. Med tillgång till uppföljningsdata kan de hälsoekonomiska analyserna anpassas till ny typ av evidens och det blir möjligt att utveckla nya innovativa avtals- och



betalningsmodeller. Uppföljningsdata är också ett viktigt verktyg för att säkerställa att patienter i Sverige får jämlik tillgång till precisionsmedicin.

Det är därför positivt att regeringen under senaste året gett ett flertal regeringsuppdrag till Socialstyrelsen, E-hälsomyndigheten och Vetenskapsrådet för att öka tillgången till hälsodata på flera sätt liksom den nationella strategi för datadelning som presenterades så sent som i förra veckan. Viktiga delar är nu under utredning men vi behöver säkerställa att vi når hela vägen och att uppdragen omsätts till praktik och med en samordning mellan statliga myndigheter och regioner.

Så – sammanfattningsvis – för att komma vidare med implementeringen av precisionsmedicin och avancerade läkemedel så behövs:

- en gemensam Färdplan som tydliggör ansvar, mandat och resurser för samtliga aktörer,
- långsiktiga organisatoriska och finansiella förutsättningar för att fortsätta diagnostikutvecklingen framåt.
- åtgärder för att öka antalet företagsinitierade kliniska läkemedelsprövningar,
- tydliga ställningstaganden från staten och regionerna om ambitionsnivån vad gäller att erbjuda patienterna tillgång till avancerade läkemedel, och gemensamma finansieringslösningar,
- utveckling av värderings- och betalningsmodeller för avancerade läkemedel
- och, i alla dessa delar behöver vi stärka och snabba på arbetet med att göra data tillgängliga för uppföljning.

Vägen framåt är samarbete, något som också Riksrevisionen pekat på i sin rapport från maj i år om statens subvention av läkemedel. Vi behöver utveckla systemet tillsammans.

Tack för att ni lyssnat!

Anders Blanck, vd Lif – de forskande läkemedelsföretagen