



ETISKT UTTALANDE 2023-12-18

Yttrande om prioritering av behandling för sällsynta sjukdomar

Svenska Läkaresällskapetets delegation för medicinsk (DME) etik har tagit fram ett etiskt uttalande om prioritering av behandling för sällsynta sjukdomar.

Tandvårds- och läkemedelsverket (TLV) har på regeringens uppdrag tagit fram rapporten "Stärkt tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd" med tillhörande etisk analys. Bakgrunden är att behandlingar för sällsynta tillstånd blir allt vanligare, trots att läkemedelsbolag i mindre utsträckning kan förvänta sig vinster för behandlingar som riktar sig till få patienter.

I korthet föreslås i rapporten att TLV accepterar högre kostnad i relation till nyttan för vissa läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd, speciellt för särpräglade läkemedel som riktar sig mot tillstånd som är både sällsynta och allvarliga. Motiveringen utgår från att kostnaden för att utveckla läkemedel är hög och ofta delvis oberoende av antalet patienter som läkemedlet riktar sig till.

I enlighet med detta synsätt medför kravet på avkastning efter investeringar i forskning och utveckling av läkemedlet att kostnaden för varje patient är högre för särpräglade läkemedel än för behandlingar för vanliga tillstånd. Samtidigt är förekomsten av en sällsynt diagnos irrelevant för vilken tillgång till behandling som patienten ska erbjudas. Att ha ett tillstånd som är sällsynt snarare än vanligt är inget man som patient kan rå för. För att kompensera för den irrelevanta skillnaden bör samhällets betalningsvilja alltså vara större för sällsynta tillstånd.

TLV:s ställningstagande bygger därmed på den mest grundläggande prioriteringsprincipen i den etiska plattformen: människovärdesprincipen. Människovärdesprincipen är en grundläggande likabehandlingsprincip som innebär att man inte ska behandla patienter och patientgrupper olika, såvida det inte finns en relevant skillnad mellan dem, som exempelvis skillnad i svårighetsgrad eller behandlingseffekt. Svenska Läkaresällskapetets delegation för medicinsk etik står helt bakom TLV:s utgångspunkt; ställningstaganden om prioriteringar ska bygga på principerna i den etiska plattformen och inget annat. Vidare delar DME den etiska ambitionen att ta finansieringen av behandling för sällsynta sjukdomar på allvar; DME anser att TLV:s rapport adresserar ett aktuellt och angeläget problem.

Dock finns det skäl för att hålla diskussionen om policyn att acceptera andra kostnadseffektivitetströsklar för särpräglade läkemedel levande. Som TLV noggrant konstaterar i rapporten finns alltid en alternativkostnad: om resurser läggs på ett ställe kan inte samma resurser också läggas någon annanstans. Om mer resurser läggs på behandling av sällsynta tillstånd, kommer mindre resurser att läggas på vanliga tillstånd som kan vara lika allvarliga som de sällsynta. Vidare kan de faktiska omständigheter som TLV:s resonemang vilar på ifrågasättas. Kostnaden för att utveckla särpräglade läkemedel är i själva verket ofta lägre eftersom dessa inte behöver genomgå regelrätta randomiserade kliniska studier då patientgrupperna är små. Dessutom är kostnaden för forskning och utveckling av särpräglade läkemedel sedan årtionden föremål för ekonomiskt fördelaktigt reglering i OECD-länderna. Det är alltså inte helt klarlagt i vilken utsträckning särpräglade läkemedel systematiskt missgynnas genom att regelmässigt prissätts högre per patient.

Det är vidare långt ifrån säkert att läkemedelsföretag är beredda att ta mindre betalt för behandlingar för vanliga sjukdomar för att frigöra samhällets resurser för sällsynta tillstånd.

Om läkemedelsföretag förhåller sig strategiskt till samhällets betalningsvilja så kan TLV:s föreslagna policy i stället göra samhället till en ofrivillig pengapump.

Samhället och hälso- och sjukvården har en etisk skyldighet att anpassa sina begränsade resurser utifrån patienters behov och behandlingars effekt. Vi efterlyser därför en diskussion av frågan om TLV:s förslag leder till en bättre efterlevnad av denna skyldighet.

2023-12-18 Svenska Läkaresällskapets delegation för medicinsk etik