

Analys av TLV:s nya modell för att tillgängliggöra fler sär läkemedel i Sverige

Baserat på tolkningar av TLV:s nya kriterier
Av Kommissionen för Innovativa Sär läkemedel

Slutsatser av analysen

Kommissionen för innovativa läkemedel (Alexion, Alnylam, Amicus, BioMarin, Chiesi, Novo Nordisk, Orchard Therapeutics, Roche, Sanofi och Vertex), har prövat att tillämpa TLV:s föreslagna trappstegsmodell på 20 icke-onkologiska läkemedel i syfte att bedöma om förslaget kommer att ge bättre tillgång till läkemedel mot sällsynta hälsotillstånd. **Beräkningarna och slutsatserna bygger på våra hälsoekonomers tolkningar av TLV:s kriterier och är därför enbart preliminära.**

Kommissionens bedömning utifrån 20 teoretiska beräkningar är att det nya förslaget inte kommer att innebära några större förbättringar vad gäller införande av nya läkemedel. I vår provräkning blev utfallet följande:

- Av 20 icke-onkologiska läkemedel som inte används i Sverige idag skulle två (2) kunna nå ersättning med TLV:s nya modell.
- Om NT-rådet tillämpade samma (nya) kriterier och betalningsvilja skulle ytterligare tre (3) sjukhusläkemedel kunna få en positiv rekommendation
- Fyra (4) produkter skulle inte kvalificera sig för högre betalningsvilja pga ett patientantal som överstiger 100, eller skulle falla bort på att sjukdomen inte klassas som "mycket allvariga hälsotillstånd".
- Fyra (4) ytterligare läkemedel, samtliga sjukhusläkemedel, kommer pga hög ICER inte kunna få en positiv rekommendation trots att patientantalet understiger 100 samt avser "mycket allvariga hälsotillstånd"
- Sex (6) läkemedel är svårbedömda och hamnar i kategorin "kanske" på grund av TLV:s fortsatt strikta hållning rörande osäkerhet (låg patientdata).

Baserat på våra räkneövningar ser kommissionen behov av förtydliganden eller revideringar av modellen på fyra områden:

- TLV:s kriterier avseende allvarlighetsgrad och klinisk patientnytta behöver mer detaljerade definitioner eftersom de nuvarande skrivningarna är för övergripande för att kunna ligga till grund för en förhandsbedömning från läkemedelsbolagens sida
- Istället för en trappstegsmodell med skarp tröskeeffekt vid 100 patienter förordar kommissionen en kurva med fallande (hög) betalningsvilja från 1 patient ner till 200 patienter, vilket skulle täcka alla mycket sällsynta (ultra-rare) hälsotillstånd enligt EU:s definition
- Stat och regioner behöver komma överens om att TLV och NT-rådet ska tillämpa samma beräkningsmodell för att skapa förutsättningar för ett verkligt ordnat införande av alla typer av läkemedel i Sverige
- De kvarvarande oklarheterna och skillnaderna i utvärderings- och ersättningsmodeller på den svenska marknaden kommer fortsatt att hämma och försena införandet av nya, innovativa läkemedel för patienter med sällsynta hälsotillstånd

Bakgrund

Bakgrund

Syfte och mål med HTA-analysen av TLV:s nya kriterier

Kommissionen för Innovativa Sär läkemedel främjar en mer transparent, förutsägbar och patientinriktad modell för utvärdering, upphandling och subventionering av läkemedel för personer med sällsynta och ultrasällsynta hälsotillstånd. Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) presenterade i december 2024 en rapport som beskriver en modifierad och (möjligen) förbättrad modell för bedömning av sär läkemedel/ultrasällsynta läkemedel, innehållande nya tröskelvärden och kriterier.

Syfte: Att analysera hur TLV:s nya kriterier bidrar till att tillgängliggöra fler nya läkemedel för patienter med sällsynta hälsotillstånd. Analysen fokuserar på den praktiska tillämpningen av dessa kriterier:

1. Befintliga produkter som tidigare avslagits av TLV
2. Nya produkter som inte ännu har utvärderats
3. Ansökningar som dragits tillbaka av företaget på grund av ogynnsamma preliminära bedömningar

TLV:s nya kriterier

Villkor för att TLV ska acceptera en högre kostnad i förhållande till nyttan

Sjukdomens allvarhetsgrad måste vara mycket hög.

1. Antal förlorade levnadsår.
2. Antal år patienten lever med kraftigt nedsatt livskvalitet.
3. Antal förlorade kvalitetsjusterade levnadsår (QALY) till följd av sjukdomen.

Patientnyttan måste vara kliniskt relevant.

1. Det ska inte råda någon tvekan om att läkemedlet eller behandlingen ger en kliniskt relevant patientnytta.
2. Det handlar inte om hur många QALY:s patienten vinner, eftersom detta fångas upp i ICER-beräkningen. Istället handlar det om huruvida det är tillräckligt sannolikt att det finns någon form av hälsovinst för patienten, i form av förbättrad livskvalitet eller förlängd livslängd.
3. Detta är inte detsamma som en "betydande effekt" enligt TLV:s nuvarande praxis för ökad betalningsvilja.

Färre än 100 patienter, enligt ett mått på sällsynthet som kombinerar prevalens och incidens.

1. En sjukdoms prevalens och incidens kommer att beaktas vid bedömning av graden av sällsynthet och vilken nivå av ICER som kan accepteras.

För läkemedel som "kvalificerar" enligt kriterierna 1-3:

Ju mindre osäkerhet, desto högre ICER kan TLV acceptera.



Metod

Analysmetod

- Kommissionen för Innovativa Sär läkemedel har utvärderat hur de nya och befintliga kriterier som TLV presenterade 2024 kan påverka tillgången till sär läkemedel i Sverige.
- Kommissionen har applicerat kriterierna på icke-onkologiska läkemedelsprodukter som antingen planeras att lanseras, tidigare fått ett negativt beslut från TLV eller NT-rådet eller dragits tillbaka av bolagen på grund av ogynnsamma preliminära bedömningar.
- För att upprätthålla anonymitet har produkterna anonymiserats och benämnts enligt A-T. De är kategoriserade utifrån om godkännandeprocessen hanterats av TLV eller NT-rådet.
- Det är viktigt att notera att analysen är baserad på antaganden från läkemedelsbolagen, eftersom TLV:s tillämpning av de nya kriterierna i många fall fortfarande är osäker. Utöver det kvarstår det oklarhet om NT-rådet kommer att revidera sina egna kriterier och tillämpa TLV:s nya kriterier.

Resultat

Resultat

TLV:s nya kriterier tillämpade på icke-onkologiska läkemedel (TLV)

TLV:s nya kriterier tillämpade på icke-onkologiska läkemedel (TLV)

TLV

NT-rådet

		Patientantal under tröskelvärdet (färre än 100)	Allvarhetsgraden är väldigt hög	Kostnadseffektiv till listpris	Har produkten genomgått en HTA-bedömning?	Har produkten godkänts enligt den gamla TLV-modellen?	Kostnadseffektiv till nettopris – enligt den gamla TLV-modellen	Kostnadseffektiv enligt den nya TLV-modellen	Godkännande eller rekommendation av TLV eller NT-rådet
		1	2	3	4	5	6	7	8
Produkt	A	Ja	Nej	Nej	Ja	Nej	X	X	TLV
	B	Nej	Nej	Nej	Nej	Nej	X	X	TLV
	C	Ja	Ja	Nej	Ja	Nej	X	✓	TLV
	D	Ja	Ja	Nej	Ja	Nej	X	✓	TLV
	E	Nej	Nej	Nej	Ja	Nej	X	X	TLV
	F	Ja	Kanske	Nej	Tillbakadragen	Nej	X	N/A	TLV
	G	Ja	Kanske	Nej	Nej	Nej	X	N/A	TLV eller NT
	H	Kanske	Kanske	-	Nej	Nej	X	N/A	TLV
	I	Nej	Nej	-	Ja	Nej	N/A	N/A	TLV
	J	Ja	Nej	-	Ja	Nej	N/A	N/A	TLV
	K	Ja	Kanske	Nej	Nej	Nej	X	N/A	TLV

Resultat

TLV:s nya kriterier tillämpade på icke-onkologiska läkemedel (NT-rådet)

TLV:s nya kriterier tillämpade på icke-onkologiska läkemedel (NT-rådet)

TLV

NT-rådet

		Patientantal under tröskelvärdet (färre än 100)	Allvarhetsgraden är väldigt hög	Kostnadseffektiv till listpris	Har produkten genomgått en HTA-bedömning?	Har produkten godkänts enligt den gamla TLV-modellen?	Kostnadseffektiv till nettopris – enligt den gamla TLV-modellen	Kostnadseffektiv enligt den nya TLV-modellen	Godkännande eller rekommendation av TLV eller NT-rådet
		1	2	3	4	5	6	7	8
Produkt	L	Ja	Kanske	Nej	Nej	N/A	X	X	NT
	M	Ja	Ja	Nej	Ja	Nej	X	X	NT
	N	Ja	Ja	Nej	Nej	Nej	X	✓	NT
	O	Ja	Ja	Nej	Nej	Nej	X	X	NT
	P	Ja	Ja	Nej	Ja	Nej	X	✓	NT
	Q	Ja	Ja	Nej	Nej	Nej	X	✓	NT
	R	Nej	Nej	Nej	Nej	Nej	X	X	NT
	S	Ja	Ja	Nej	Nej	Nej	X	X	NT
	T	Ja	Kanske	N/A	Ja	Nej	X	X	NT

