

Mottagare
Socialdepartementet

Yttrande över remiss av EU-läkemedelslagstiftning: Kommissionens förslag på förordning och direktiv om humanläkemedel

Remissyttrande

Härmed lämnar Region Gotland sitt remissyttrande av EU-läkemedelslagstiftning: Kommissionens förslag på förordning och direktiv om humanläkemedel.

Sammanfattning

Kommissionens förslag syftar till att skapa en bättre balans mellan tillgång (availability), tillgängliggörande (access) samt rimliga kostnader och betalningsförmåga (affordability). Ambitionen har också varit att framtidssäkra regelverket genom att ta höjd för den snabba vetenskapliga och teknologiska utveckling som sker inom läkemedelsområdet. I detta ingår förslag om ett stort antal delegerade akter och genomförandeakter. Region Gotland anser att målsättningarna i lagförslaget är bra och att de områden som är i behov av förbättring adresseras. Däremot anser Region Gotland att det lagda förslaget inte är tillräckligt när det kommer till att stärka förutsättningarna för tillgängliggörande av läkemedel hela vägen till patienter som behöver dem, inte heller säkrandet av ekonomisk hållbarhet ur ett betalarperspektiv. Lagförslaget premierar innovationsklimat och konkurrenskraft för industrin framför hälso- och sjukvårdssystemens långsiktiga hållbarhet och patienternas möjlighet till en effektiv och säker behandling. Många av förslagen riskerar att driva kostnader på ett ohållbart sätt. Förslaget bedöms också förstärka den komplexitet som redan idag råder inom det regulatoriska systemet. De många delegerade akterna och genomförandeakterna gör också lagförslaget oöverskådligt och oförutsägbart. Förslaget skulle vinna på att förenklas och förtydligas.

Region Gotlands huvudsakliga bedömning är att lagförslaget behöver:

- tydliggöra och upprätthålla de minimikrav som ska gälla för marknads-godkännande i Europa, samt att processer för godkännandeförfarande behöver vara robusta. Snabba godkännanden till priset av urholkad evidens får inte bli det nya normala.
- en tydligare och mer restriktiv definition av ouppfyllda medicinska behov, med relevanta kriterier som adresserar såväl reell sällsynthet som verkliga behandlingsgap.

- ta bort trösklarna och trappstegsmodellen för beviljande av incitament och konkurrensbegränsande skydd såsom stegvisa bedömningar, accelererade godkännanden, dataskydd samt marknadsexklusivitet. Inför krav som enligt huvudregel ska gälla för ett marknadsgodkännande, för att skapa en tydligare styrning mot jämförande studier, verklig innovationshöjd och demonstrerat kliniskt mervärde.
- en tydlig koppling mellan beviljande av konkurrensbegränsande skydd och EU:s konkurrensregelverk, som definierat i fördraget om Europeiska unionens funktionssätt, för att motverka missbruk av marknadsfördelar på läkemedelsmarknaden.
- skärpta krav för miljömässig hållbarhet i ett läkemedels hela livscykel och med regelverk som utgår från miljörisker för människa och natur samt på substansnivå.
- en tydligare preventiv reglering på EU-nivå för att förhindra bristsituationer av såväl äldre som nyare läkemedel.
- en ekonomiskt mer förutsägbar incitamentsmodell för att möta utmaningarna med antibiotikaresistens än förslaget om överförbara dataskyddskupong (vouchers).

Övergripande synpunkter

Region Gotland välkomnar att kommissionen har presenterat sitt förslag till revidering av EU:s läkemedelslagstiftning och ställer sig bakom de övergripande målen med översynen. Lagstiftningsförslagets ”tre A” är av central betydelse för att läkemedel ska nå hela vägen till patienter som behöver dem: ”Access” (tillgängliggörande), ”Affordability” (rimlig kostnad) och ”Availability” (tillgång). Region Gotlands analys av förslagen är dock att det råder en stor obalans i kommissionens förslag och att fokus har varit på att stimulera och godkänna nya läkemedel.

Därutöver är omfattningen av lagstiftningspaketet bred och ofullständig då en betydande andel av artiklarna föreslås kompletteras med delegerade akter och genomförandeakter. Detta innebär att det i nuläget inte är fullt möjligt att se helheten eller slutresultatet av förslaget. En risk och potentiell konsekvens är att signifikant beslutsfattande flyttas till EU-nivå i jämförelse med tidigare.

1. Tillgänggörande av läkemedel till patienter (access)

Region Gotland anser att det är positivt att minska onödig byråkrati och korta handläggnings-tiderna inom EMA, men det är viktigt att skyndsamt hantering inte sker på bekostnad av robusta utvärderingar av evidens avseende kvalitet, säkerhet och effekt vid beviljande av marknadsgodkännande. Kvalitén i underlagen är av avgörande betydelse för introduktion av nya läkemedel. Regionen vill också påtala att en minskad byråkrati borde leda snabbare introduktion på marknaden och därmed ökade intäktsmöjligheter för företagen, vilket rimligtvis borde skapa utrymme för lägre läkemedelspriser från företagen.

Region Gotland ser positivt på ökad samverkan vid krissituationer och möjligheten till en separat godkännandeprocess i dessa situationer. Intentionen med flera nivåer av godkännande och flexibilitet vid godkännande kan behövas men bör användas mycket restriktivt i undantagsfall.

Region Gotland ser uppenbara risker med alltför långtgående möjligheter till avsteg från krav för nya läkemedel samt flera nivåer av godkännande och bedömer att detta kan komma att undergräva evidenskraven, vilket försvårar snabb introduktion i vården och tillgänglighet för patienter. Detta riskerar även att urholka transparens i och kredibilitet till det regulatoriska systemet. I förlängningen kan detta äventyra invånare och patienters långsiktiga tillit till hälso- och sjukvården, i synnerhet tilliten till läkemedel. Detta gäller även i en krissituation. Utifrån erfarenheter från marknadens agerande under pandemin finns också stor tveksamhet till införande av tillfälliga godkännanden av läkemedel med stor brist på data då långt ifrån alla når ett faktiskt godkännande, något som blev tydligt med antiviraler vid covid-19 som t ex molnupiravir.

Region Gotland tar vidare avstånd från förslaget om regulatoriska sandlådor som ett sätt att främja läkemedelsutveckling och introduktion av nya läkemedel som en del i den aktuella läkemedelslagstiftningen. Det finns idag ett etablerat regelverk för kliniska prövningar som sätter tydliga ramar för läkemedelsutveckling. Region Gotland menar att regulatoriska sandlådor hör hemma inom den lagstiftningen.

Region Gotland ser positivt på förenklade regler för godkännande av generika, biosimilärer och hybrider som baseras på referensläkemedel. Det är positivt då det både stärker utbytbarhet mellan läkemedel och stimulerar konkurrens på marknaden.

Slutligen vill Region Gotland synliggöra den oroväckande trenden med allt högre priser för läkemedel från läkemedelsföretagen, trots svag evidens. Detta har blivit ett växande problem för nationella hälso- och sjukvårdsbetalare. Det är ytterligare avsteg från evidenskrav vid godkännande och kan komma att orsaka allt större ekonomiskt risktagande vid introduktion av nya läkemedel och undanträngning av annan vård och hälsa hos den europeiska befolkningen. Det är därför viktigt att fasen för godkännande säkerställer en tillfredsställande nivå av evidens avseende kvalitet, effekt och säkerhet. Ytterligare ett krav borde vara att produktresumén innehåller information om hur man sätter ut läkemedlet.

Region Gotland stödjer att regelverket kring sällsynta sjukdomar (Orphans) förtydligas och stödjer även införandet av en definition av medicinskt otillfredsställt behov ”unmet medical need” (UMN). Det är dock angeläget att kriterierna för UMN förtydligas och blir ännu mer restriktiva. Läkemedel bör här förstås i ljuset av och i jämförelse med andra tillämpliga behandlingsmetoder. En relevant jämförelse måste inkludera andra behandlingsmetoder som kirurgi, medicinteknik samt off label användning.

Region Gotland anser också att en modern och framtidssäkrad lagstiftning är mer restriktiv i sin definition av sällsynthet, då den vetenskapliga och teknologiska utvecklingen går mot precisionsmedicin och alltmer individanpassade behandlingsmöjligheter. Den föreslagna prevalensen per indikation för att definiera sällsynthet bör därför begränsas från dagens 5/10 000 invånare, vilket motsvarar 5 000 patienter i Sverige, till ett framtida 1/10 000 invånare. Gränsen 5/10 000 kan i stället tillämpas som ett maxtak för läkemedlet som helhet, dvs. den samlade prevalensen för läkemedlets alla godkända indikationer.

Kommissionens förslag till förordning innehåller framför allt bestämmelser om förfarandekrav för barnläkemedel, medan allmänna krav för godkännande och förmåner kopplat till barnläkemedel har inkluderats i kommissionens förslag till direktiv om humanläkemedel. Region Gotland anser att det är välbehövligt med stimulansåtgärder för utveckling av läkemedel till barn då en stor del av läkemedelsanvändningen till barn är off-label dvs. utanför indikation. Det är dock angeläget att dessa mekanismer styr mot verkligt ouppfyllda medicinska behov och inte enbart blir kostnadsdrivande. Region Gotland ser även positivt på EMAs uppdrag att sätta samman ett europeiskt nätverk med pediatrikt fokus för att stödja framtagande av relevanta läkemedel där behandling idag saknas. Detsamma gäller förslaget om att studier på barn som genomförs i tredje land bör föras in i den europeiska kliniska prövningsdatabasen.

Region Gotland stödjer en generell förkortning av skyddstiderna. Regionen anser att införandet av en trappstegsmodell skapar osäkerhet kring när skyddstider faktiskt löper ut och riskerar bli hindrande för konkurrens och introduktion av utbytbara läkemedel såsom generika. Vidare är Kommissionens föreslagna trösklar för trappstegsmodellen väldigt låga vilket i praktiken innebär hög sannolikhet för att maxtiderna kommer nyttjas till fullo av företagen. Eftersom patenttiderna dessutom inte påverkas av förslaget är det dessutom ytterst tveksamt om det kommer att innebära någon skillnad för tillgången på konkurrerande läkemedel då endast ca 18 % av alla läkemedel har ett marknadsskydd som är längre än patenttiden. I syfte att tydliggöra skyddsperiodernas löptid bör EMA bör få uppgiften att etablera, uppdatera och förvalta en publik databas med tydlig redovisning av beviljade marknadsskydd för humanläkemedel med marknadsföringstillstånd i Europa, samt utgång av skyddstider för att skapa tydlighet avseende när olika patent löper ut.

Region Gotland delar kommissionens bild av att det är angeläget att säkerställa tillgång till läkemedel i alla EUs medlemsstater. Detta bör hanteras på annat sätt än i en trappstegsmodell dvs. inte kopplas till extra dataskydd och marknadsexklusivitet. Dessutom så behöver begreppet lansering tydligt definieras. Ett förslag att utveckla vidare kan vara att ställa krav på företagen att säkerställa tillgång till de läkemedel som medlemsstaterna anger att de har behov av och att lanseringen av dessa åtföljs av en pris- och subventionsansökan.

2. Rimlig prissättning (affordability)

Kommissionens lagförslag omfattar ett antal åtgärder som syftar till att bidra till rimligare priser på läkemedel bland annat snabbare marknadsstillträde för generiska läkemedel och biosimilarer. Priser, subventioner och upphandlingar är nationella angelägenheter men höga priser utmanar hållbarheten i ländernas hälso- och sjukvårdssystem och påverkar patienternas tillgång till läkemedel. Region Gotland bedömer att det är tveksamt om förslagen i realiteten kommer att bidra till rimligare prissättning i medlemsländerna i det hela taget, framförallt då Bolar-undantagets positiva effekter till viss grad begränsas genom patentskydd och upphävs genom förkortade och förenklade förfarandena för godkännande som innebär tidigare introduktion på marknaden i kombination med mycket generösa och omfattande konkurrensbegränsande skyddsmekanismer. Även om prissättning och subvention räknas som nationell kompetens anser regionen att det finns goda styrningsmöjligheter i lagstiftningen som i ökande grad bör användas för att bidra till överkomliga läkemedelspriser i medlemsländerna – något som bättre bör framkomma i det slutliga lagförslaget.

Region Gotland stödjer kravet på att industrin ska redovisa offentlig finansiering under forskning och framtagande av produkt men ifrågasätter om förslaget är genomförbart med tanke på långtgående sekretess för affärshemligheter samt oklarheten av definition av direkta ekonomiska stöd kontra indirekta.

3. Tillgängliga läkemedel (availability) – förhindra bristsituationer

Region Gotland välkomnar ett tydligare europeiskt samarbete gällande kritiska restsituationer som kan säkerställa en stabil och kontinuerlig läkemedelsförsörjning och därmed en hög vårdkontinuitet och -kvalitet för den europeiska befolkningen. Förslaget innebär en ambitiös organisatorisk och kommunikativ struktur för att identifiera, rapportera och hantera kritiska läkemedelsbrister men Region Gotland är tveksamma till att förslagen fullt ut kommer att bidra till den ambitiösa målsättningen. I vissa delar förefaller åtgärderna tandlösa.

Region Gotland vill betona vikten av att balansera sanktionerande åtgärder med incitament och förutsättningar för företagen att behålla sortimentsbredd på marknaden, inte minst för mindre och medelstora företag. Förslagen får inte äventyra tillgången på viktiga men kanske mindre lönsamma äldre läkemedel. Till exempel har flera viktiga antibiotika avregistrerats de senaste åren. För nyare läkemedel är det dock viktigt att beviljande av konkurrensbegränsande skydd används varsamt som ett sätt att säkerställa diversifierad tillgång på konkurrerande utbytbara läkemedel och liknande läkemedel inom samma terapiområden.

Förslaget om elektroniska bipacksedlar (som kommissionen har placerat under miljöpåverkan) bidrar också till större möjlighet för företagen att tillgängliggöra läkemedel vilket Region Gotland välkomnar.

Tydliggörande av läkemedelsföretagets ansvar för produktens tillgänglighet och uppkomna bristsituationer välkomnas. Inrapportering av planerade och temporära brister av en produkt till EMA eller nationell läkemedelsmyndighet är en förutsättning för hälso- och sjukvårdens fungerande. Region Gotland anser att det är viktigt att säkerställa att parallellimportörer omfattas av samma regelverk. Däremot anser Region Gotland att förslaget är otydligt när det gäller kopplingen mellan ansvar och konsekvenser samt eventuella sanktioner om företagen brister i sin information eller upprättande av planer för att förebygga och hantera bristsituationer.

4. Miljömässig hållbarhet

Region Gotland ställer sig positiv till att ett flertal förslag till miljömässiga förbättringar lyfts fram i det nya förslaget till humanlagstiftning och ser att de kommer att ha positiva effekter på både miljö och folkhälsa. Region Gotland menar dock att förslagen inte är tillräckliga och att det krävs mer för att uppnå de mål om en giftfri miljö, hälsa och rent vatten som finns på såväl global, europeisk som svensk nivå.

5. AMR - Hantera antibiotikaresistens

Region Gotland instämmer i att det är viktigt att satsa på EU-gemensamma åtgärder mot AMR. Region Gotland saknar dock stimulansförslag som innebär att viktiga antibiotika stannar kvar på marknaden. Region Gotland är vidare skeptisk till förslaget om överförbara vouchers för dataskydd då det både är mycket osäkert om detta verkligen kommer leda till fler prioriterade antibiotika samt bedöms vara förknippat med stor oförutsägbarhet vad gäller de ekonomiska konsekvenserna ur ett betalarperspektiv. Ett alternativ till vouchers är den så kallade "Netflixmodellen" som har testats och utvärderats av Folkhälsomyndigheten (FHM). Detta är en modell där den ekonomiska ersättningen till läkemedelsbolagen delvis är frikopplad från företagets intäkter vid försäljning av antibiotika. Läkemedelsföretagen garanteras en årlig ersättning per produkt i utbyte mot att de håller ett definierat säkerhetslager och garanterar leverans av antibiotikaprodukter till sjukhus inom ett dygn efter beställning.

Hälsa- och sjukvårdsnämnden

Filip Reinhag
Ordförande hälsa-och sjukvårdsnämnden

Marie Loob
Hälsa- och sjukvårdsdirektör