

Särläkemedel/Nya dyra läkemedel – *aktuellt just nu, samverkan, beslutskriterier och framtiden!*

*Maria Landgren
Områdeschef Läkemedel, Region Skåne
Södra regionens representant i NT-rådet*

Vad är sÄrläkemedel?

- I EU betraktas en diagnos som ovanlig (orphan) om förekommer hos högst 5/10 000 individer, men i Sverige anses den som ovanlig om den finns hos färre än 1/10 000.
- Ultra-orphan 1/50 000





Ettåriga Ofelia är ett av de SMA-sjuka barn som fått behandling med Spinraza Foto: Emil Larsson, SVT

Överläkaren: "Barnen blir slagpåsar"

Landstingens läkemedelsråd förhandlar just nu med läkemedelsbolaget Biogen om priset på ett läkemedel som räddar livet på de som drabbats av den ovanliga sjukdomen spinal muskelatrofi (SMA).

Om några veckor kommer NT-rådets beslut och det är de drabbade som står på spel.

Frågetecknen kring när CF-läkemedel blir tillgängligt

Läkemedlet Orkambi anses vara en banbrytande behandling vid cystisk fibros. Men 16 månader efter att det godkännts inom EU är det fortfarande inte tillgängligt i Sverige och ingen kan riktigt säga varför.



Läkemedlet Spinraza kostar drygt 800.000 kronor per spruta. Bilden är tagen i ett annat sammanhang. Foto: TT

Läkemedelsbolaget: Vi är inte giriga

Flera miljoner kronor varje år. Så ser prislappen ut för läkemedlet Spinraza, som räddar livet på de som drabbats av muskelsjukdom spinal atrofi. En rimlig summa, anser bolaget bakom läkemedlet.



Gerd Lärfer, docent, specialitet i inre medicin och hematologi, ordförande NT-rådet och Lars Sandman, professor i hälso- och sjukvårdsetik, Linköpings universitet, Etik rådgivare, Västra Götalandsregionen.

Vi värnar allas behov av effektiva läkemedel

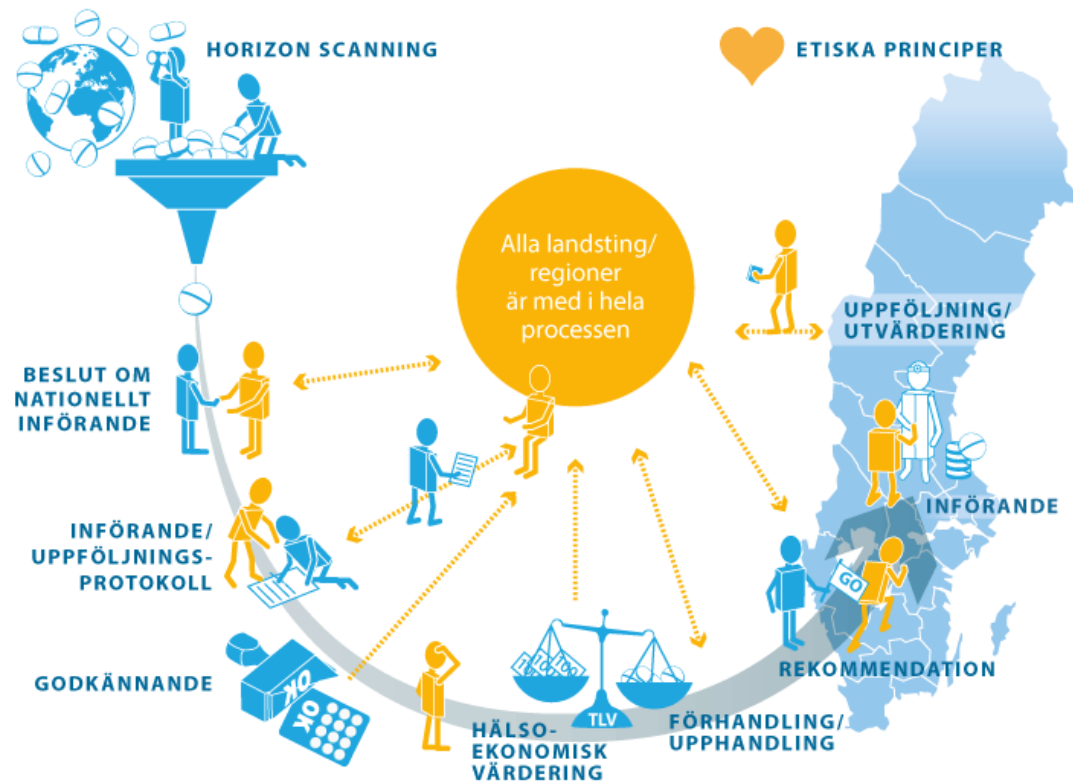
DEBATT När ett läkemedel är orimligt dyrt i förhållande till den effekt som det ger är det vårt ansvar att säga nej till det läkemedlet så att våra resurser kan användas till andra värdefulla insatser inom vården, skriver Gerd Lärfers och Lars Sandman, NT-rådet.

Aktuellt 20/11 ca 23 min in i programmet

Samverkansmodellen

Målet:

Att skapa en mer **jämlik, kostnadseffektiv och ändamålsenlig** användning av nya läkemedel till alla patienter i hela landet



Det här är NT-rådet



Ordförande: Gerd Lärfars,
sjukvårdsregion
Stockholm/Gotland

Koordinator: Sofie Alverlind, SKL

Ordinarie ledamöter

- Johannes Blom, sjukvårdsregion Stockholm/Gotland
- Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen
- Maria Landgren, Södra sjukvårdsregionen
- Anna Lindhé, Västra sjukvårdsregionen
- Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen
- Lars Löof, Uppsala-Örebro sjukvårdsregion
- Gustaf Befrits, hälsoekonom, Stockholms läns landsting
- Lars Sandman, etiker, Högskolan i Borås och Prioriteringscentrum, Linköpings universitet
- Andreas Hager, patientrepresentant

Adjungerade ledamöter

- Jan Liliemark, SBU; medicinsk rådgivare
- Freddi Lewin, ordf Nationella arbetsgruppen för cancerläkemedel (NAC)
- Mikael Svensson, SKL; koordinator förhandling
- Anna Bergkvist Christensen, Region Skåne; koordinator Horizon scanning
- Lena Gustafsson, Västra Götalandsregionen; koordinator marknadsfunktionen
- Kristina Aggefors, Region Stockholm/Gotland; koordinator livscykel funktionen
- Ricard Nergård, ordförande i behandlingsrådet Spinrasa

Den etiska plattformen

Den etiska plattformen har tre principer i hierarkisk ordning, men ska hanteras som en helhet:

- **Människovärdesprincipen** - vården ska respektera alla människors lika värde
- **Behovs- och solidaritetsprincipen** - mer av hälso- och sjukvårdens resurser bör fördelas till dem som har de största behoven, de svåraste sjukdomarna och den sämsta livskvaliteten
- **Kostnadseffektivitetsprincipen** - innebär att en rimlig relation mellan kostnader och nytta, mätt i förbättrad hälsa och höjd livskvalitet ska eftersträvas

NT-rådets rekommendationer – grunder för beslut

Kostnader

Nytta



Rekommendationerna baseras på
- värde jämfört med bästa nuvarande
behandling.

I bedömningen sammanvägs

- tillståndets svårighetsgrad,
- behandlingens effektstorlek,
- tillförlitligheten i det vetenskapliga
underlaget
- tillståndets sällsynthet

QALY

Vissa patienter med SMA kan få läkemedlet Spinraza

Patienter under 18 år med SMA typ 1 och 2 kan under vissa förutsättningar och strikt kontroll erbjudas behandling med läkemedlet Spinraza. Den rekommendationen ger NT-rådet till Sveriges landsting och regioner idag.

Spinraza är ett läkemedel med mycket högt pris som i studier har visat effekt hos patienter med de svåraste formerna av sjukdomen spinal muskelatrofi, SMA. NT-rådet har förhandlat med läkemedelsföretaget om priset och landstingen kommer att teckna avtal med företaget som reducerar kostnaderna för Spinraza.

— Det är ett väldigt dyrt läkemedel. Vi måste därför se till att de patienter som får läkemedlet är de som har störst behov och som får mest effekt av det. Behandlingen ska också avbrytas direkt om den inte har effekt, säger Gerd Lärfars, överläkare i internmedicin och ordförande i NT-rådet.

NT-rådet har därför utsett en arbetsgrupp som tillsammans med patientens specialistläkare ska besluta om behandling kan ske hos enskilda patienter. Behandling kan enbart ske enligt i förväg uppställda medicinska kriterier. Var sjätte månad ska behandlingen av patienten utvärderas. Då ska den också avslutas om den inte visat god effekt.

December 2017

Framgångsfaktorer för en positiv rekommendation

- Innovativt läkemedel med dokumenterad effekt
- Framförhållning och planering
- Hälsoekonomiskt underlag från TLV fanns tidigt
- Möjlighet att hålla behandlingen på "få händer"
- Genom att bejaka användning finns möjlighet till ökad kunskap via register
- Bildandet av expertgrupp genom nominering från landstingen
- Tydliga start- och stoppkriterier
- Superexperter/experters inte en del av gruppen, adjungerade
- Företaget villiga att förhandla, NT-rådet tydliga med vad som skulle uppnås
- Möjlighet att ringa in den patientgrupp som troligen har störst nytta vilket ger en acceptabel kostnad/QALY

Unikt undantag för Soliris

En undantagslösning när NT-rådet säger ja till att det dyra läkemedlet mot den livshotande sjukdomen aHUS används i vissa extra svåra fall.



Dyrt läkemedel kan snart ges till få patienter. Bild: Alexion Pharmaceuticals, Inc.

[NYHETER](#)[HJÄRTA-KÄRL](#)[BARNSJUKVÅRD](#)[KIRURGI](#)

Soliris rekommenderas i oundgängliga fall

Ett särskilt expertråd ska avgöra vilka patienter som kan komma i fråga enligt NT-rådets nya rekommendation.

September 2017

NT-rådets yttrande till landstingen gällande Translarna (ataluren) vid Duchennes muskeldystrofi

NT-rådet rekommenderar landstingen

- Att avstå från nyinsättning av Translarna till dess att en hälsoekonomisk värdering från TLV finns tillgänglig. Företaget som marknadsför Translarna har aviserat att en förmånsansökan planeras.
- Att patienter som ingått i de kliniska studier som avslutades under hösten 2016 kan få fortsatt behandling inom godkänd indikation under noggrann uppföljning. NT-rådet rekommenderar att använda de kriterier för när behandlingen ska avbrytas ("stoppkriterier") som preciserats i [NICE Managed Access Agreement](#)¹:
 - Patienten har förlorat all gångförmåga på grund av sjukdomstillståndet och har inte förmåga att stå utan stöd. I sådana fall sätts behandlingen ut inom 6 månader efter att patienten förlorat all gångförmåga.
 - Patienten kan på grund av compliance-problem eller av andra skäl inte följa planerad behandling och uppföljning på ett sådant sätt att säker nytta av behandlingen kan visas.
- Att de landsting som har patienter i behandling som en följd av avslutade kliniska studier tecknar gemensamt framtaget återbäringsavtal med företaget.

Områden där läkemedelsutveckling har potential att påverka sjukvården

- Säriläkemedel/ultra orphans vid medfödda sjukdomar hos barn
- Blödarsjuka
- Cancerläkemedel
 - Immunterapi PD-1-hämmare och PD-L1-hämmare
CAR T-cellsterapier
nya angreppssätt
monoterapi och kombinationsterapi
- Genterapi och stamcellsterapi
- ”Digital medicin”
- Diagnostiska metoder
- Hepatit C
- Monoklonala antikroppar som förebyggande behandling vid migrän
- Biologiska läkemedel vid inflammatoriska sjukdomar

Sammanfattningsvis - hantering av nya dyra läke



- Svåra beslut!
- För att uppnå jämlik vård och för att undvika undanträngningseffekter är det viktigt att:
 - Viktigt att följa de principer som finns uppsatta i enlighet med den etiska plattformen
 - Viktigt att vara följsamma till den nationella processen
- Utvecklingsarbete pågår!

Kliniska Studier Sverige Forum Söder

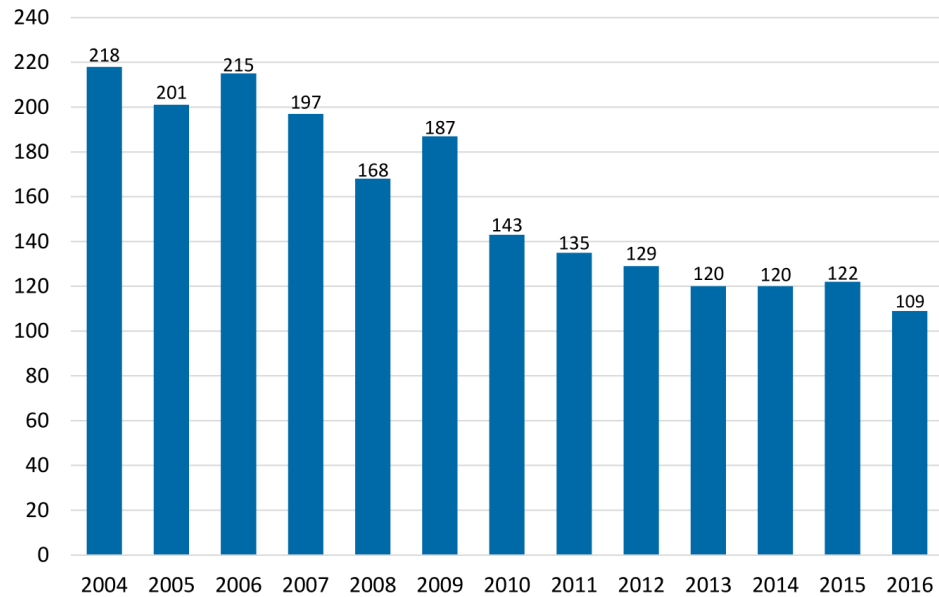
LITE OM KLINISKA STUDIER



24

16. Antalet startade kliniska läkemedelsprövningar halverades mellan år 2004 och 2016.

Antal startade kliniska läkemedelsprövningar

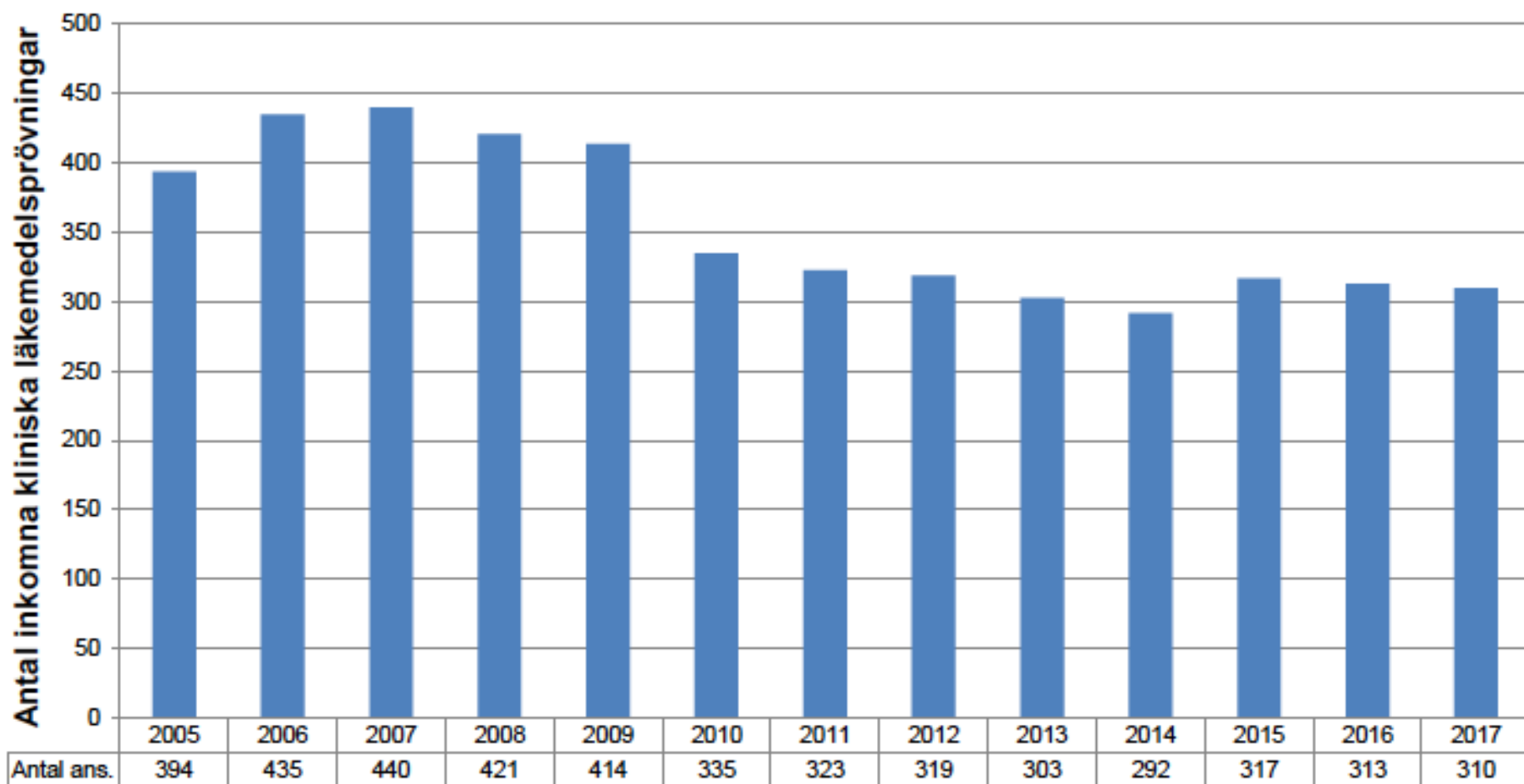


Avser startade kliniska läkemedelsprövningar oavsett fas bland LIF:s medlemsföretag.

LIF (2017) FoU-enkät 2017



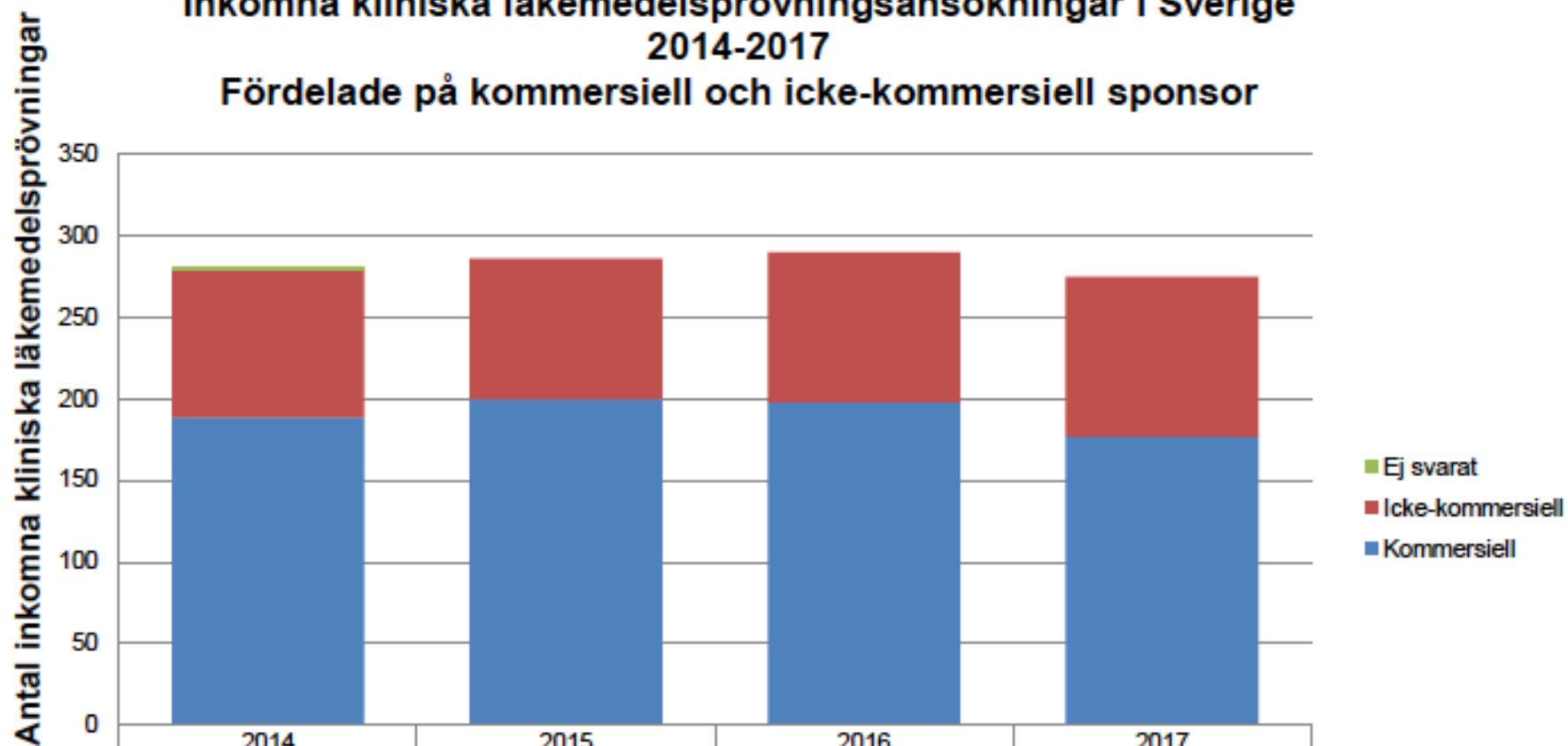
Antal Inkomna kliniska läkemedelsprövningsansökningar i Sverige 2005-2017



Källa: Nationellt ärendehanteringssystem för KP

Inkomna kliniska läkemedelsprövningsansökningar i Sverige 2014-2017

Fördelade på kommersiell och icke-kommersiell sponsor

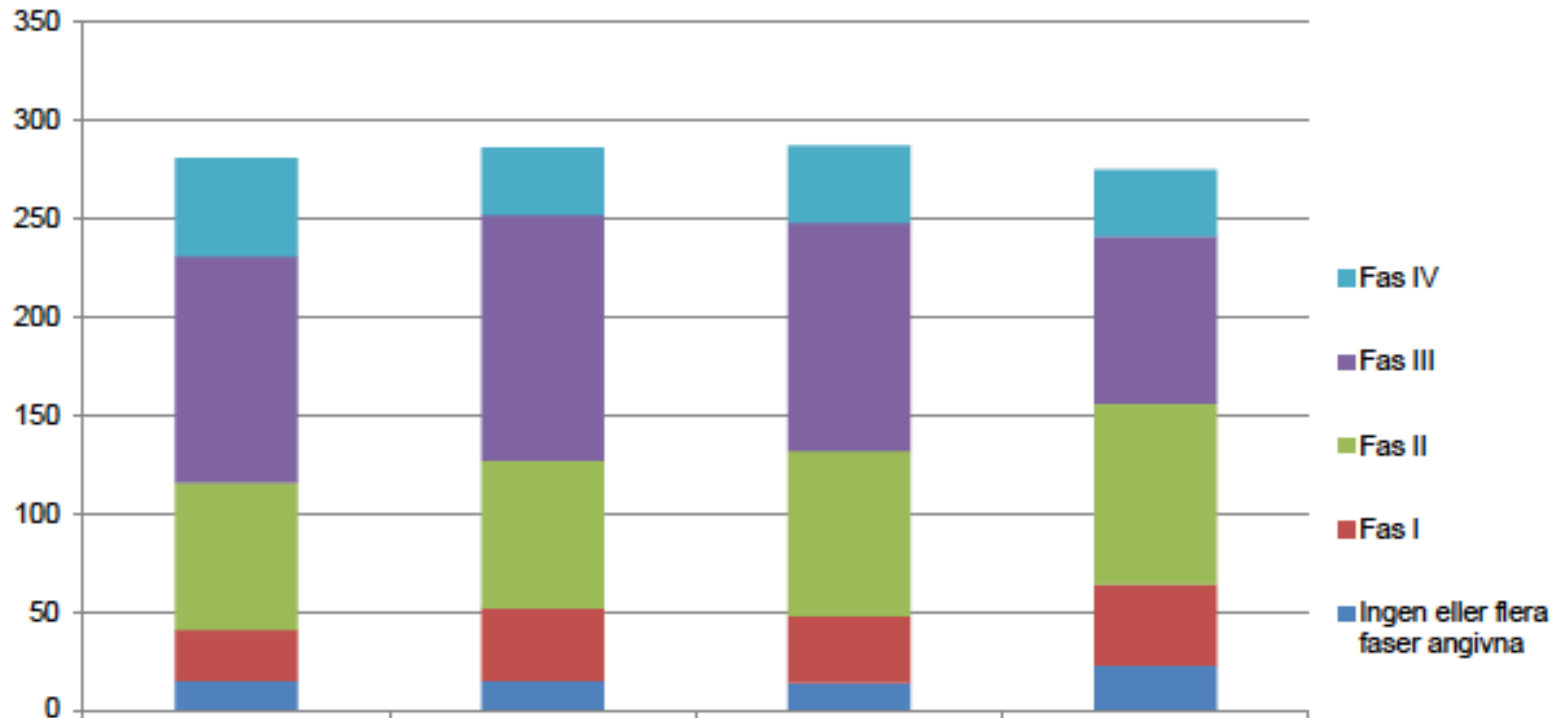


	2014	2015	2016	2017
Ej svarat	1	0	0	0
Icke-kommersiell	91	86	92	98
Kommersiell	189	200	198	177

Källa: EudraCT

Inkomna kliniska läkemedelsprövningsansökningar i Sverige 2014-2017 Fördelade på fas

Antal inkomna kliniska läkemedelsprövningar



	2014	2015	2016	2017
Fas IV	50	34	39	34
Fas III	115	125	116	85
Fas II	75	75	84	92
Fas I	26	37	34	41
Ingen eller flera faser angivna	15	15	14	23

Källa: EudraCT

Statistik och uppföljning av kliniska studier

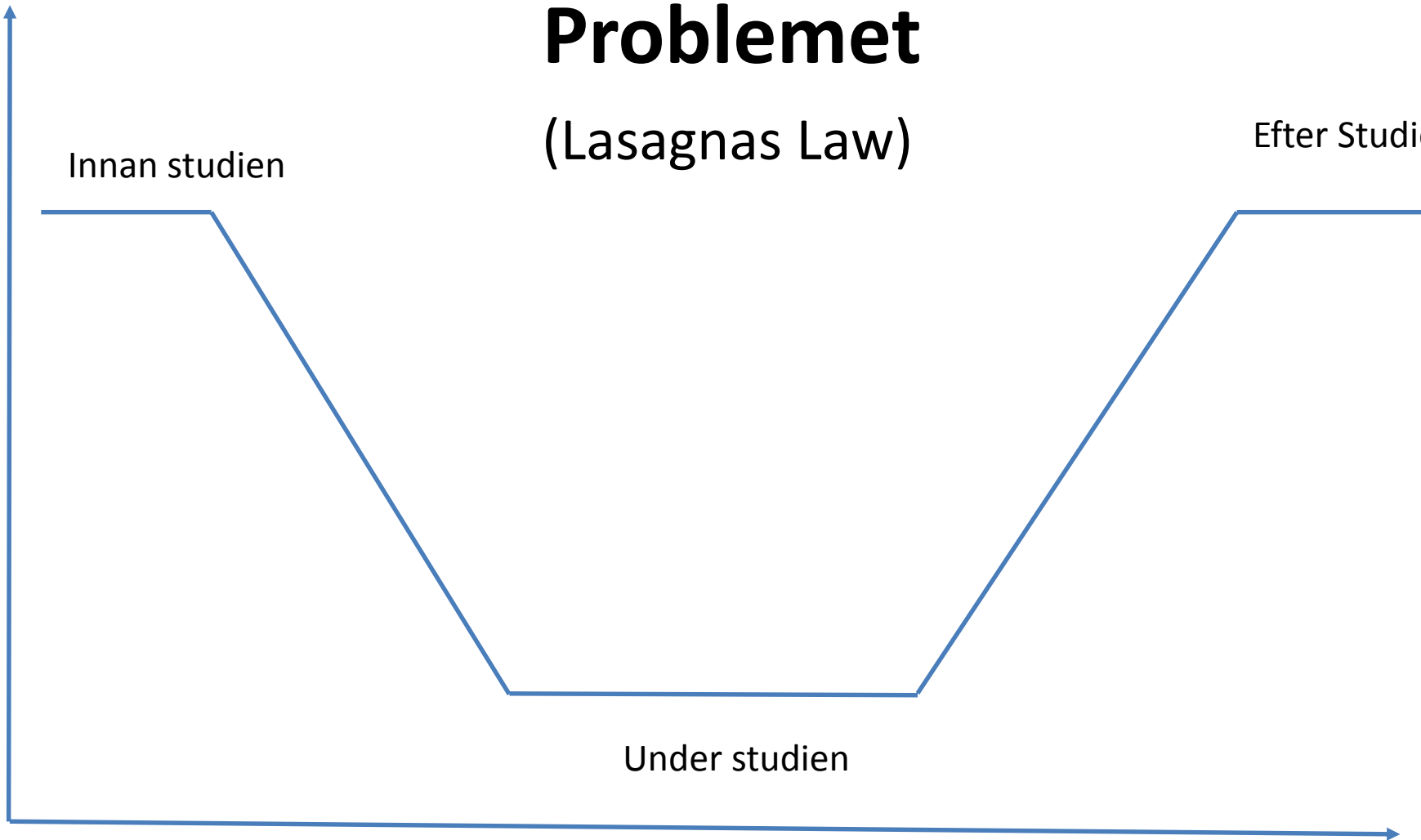
- Utvecklingsprojekt inom Kliniska Studier Sverige
- Syftet är att långsiktigt förbättra tillgången till god och ändamålsenlig statistik samt säkerställa kontinuerliga analyser och rapporter om kliniska studier.
- Målet är att statistik och information om kliniska studier ska användas av alla berörda intressenter.

Huvuddiagnos (Från Patientregistret)	Antal patienter/år	Andel patienter i klinisk prövning (%)
Blodsjukdomar och rubbningar i immunsystemet	41000	1.5
Hjärt- och kärlsjukdomar	348000	1.4
Infektions- och parasitsjukdomar	189000	0.9
Endokrinologi, nutritionsrubbningar och ämnesomsättningssjukdomar	199000	0.6
Sjukdomar i urin- och könsorganen	456000	0.6
Psykiska sjukdomar och beteendestörningar	358000	0.6
Sjukdomar i nervsystemet	192000	0.6
Tumörer	369000	0.5
Andningsorganens sjukdomar	336000	0.4

Patientrekrytering

Problemet (Lasagnas Law)

Antal patienter



Innan studien

Efter Studien

Under studien

Tid

Patientrekrytering – syfte

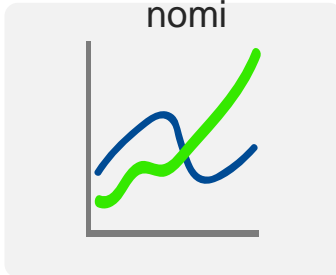
”att utreda de juridiska förutsättningarna för patientrekrytering samt att ta fram en möjlig teknisk lösning.”

Patientrekrytering – begrepp

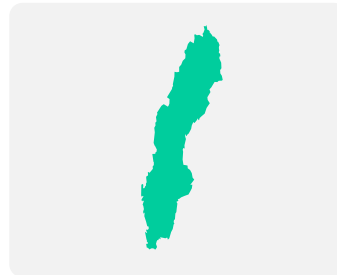
- Antalsberäkning: *”Det arbete som genomförs för att utreda huruvida det finns tillräckligt många patienter för att genomföra en klinisk studie i Region Skåne”*
- Patientrekrytering: *”Patienten ger sitt samtycke till att Region Skåne får titta på deras data om deras ”profil” passar in i de kriterier som efterfrågas i en studieförfrågan. Patienten kan därefter bli tillfrågade om de vill delta och komma för screening besök.*

Patientrekrytering – nyttor

Förbättrad
samhällseko
nomi



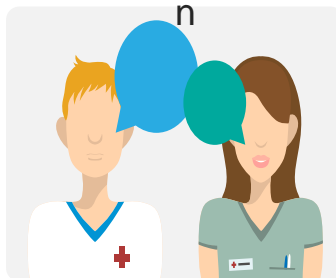
Jämlik vård



Patient
engagemang



Förbättrad
kommunikatio
n



Positiv
"outcome"
från
forskningen



Effektiv tillgång
till
patientgrupper



Patientrekrytering – juridiska aspekter

Juridiska aspekter:

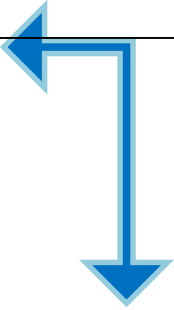
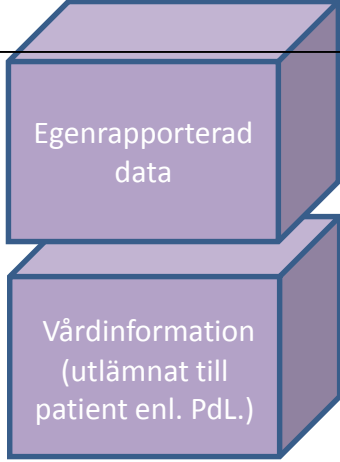
- PDL/GDPR – hantering
- Samtyckets utformning är kärnan
- Data måste lyftas ut från system där det råder PDL-regler

Patient



→
samtycke

- Via en tjänst prenumererar patienten på sin vårdinformation (=utlämnande av vårdgivare)
- Patienten delar, enl. förutsättningar angivet i samtycket, vårdinformation m Region Skåne.
- Patienten delar, enl. förutsättningar angivet i samtycket, egen rapporterad data m Region Skåne.



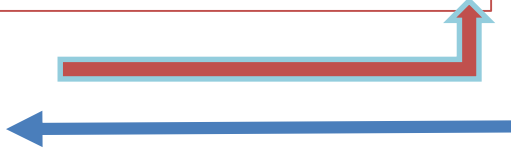
"att insamlade personuppgifter får användas för antalsberäkning"

"att insamlade uppgifter får användas för att kontakta individen med förfrågan om att delta i klinisk studie"

Region Skåne ställer frågan "hur många patienter uppfyller kriterierna X, Y & Z" Mot databasen och får svaret

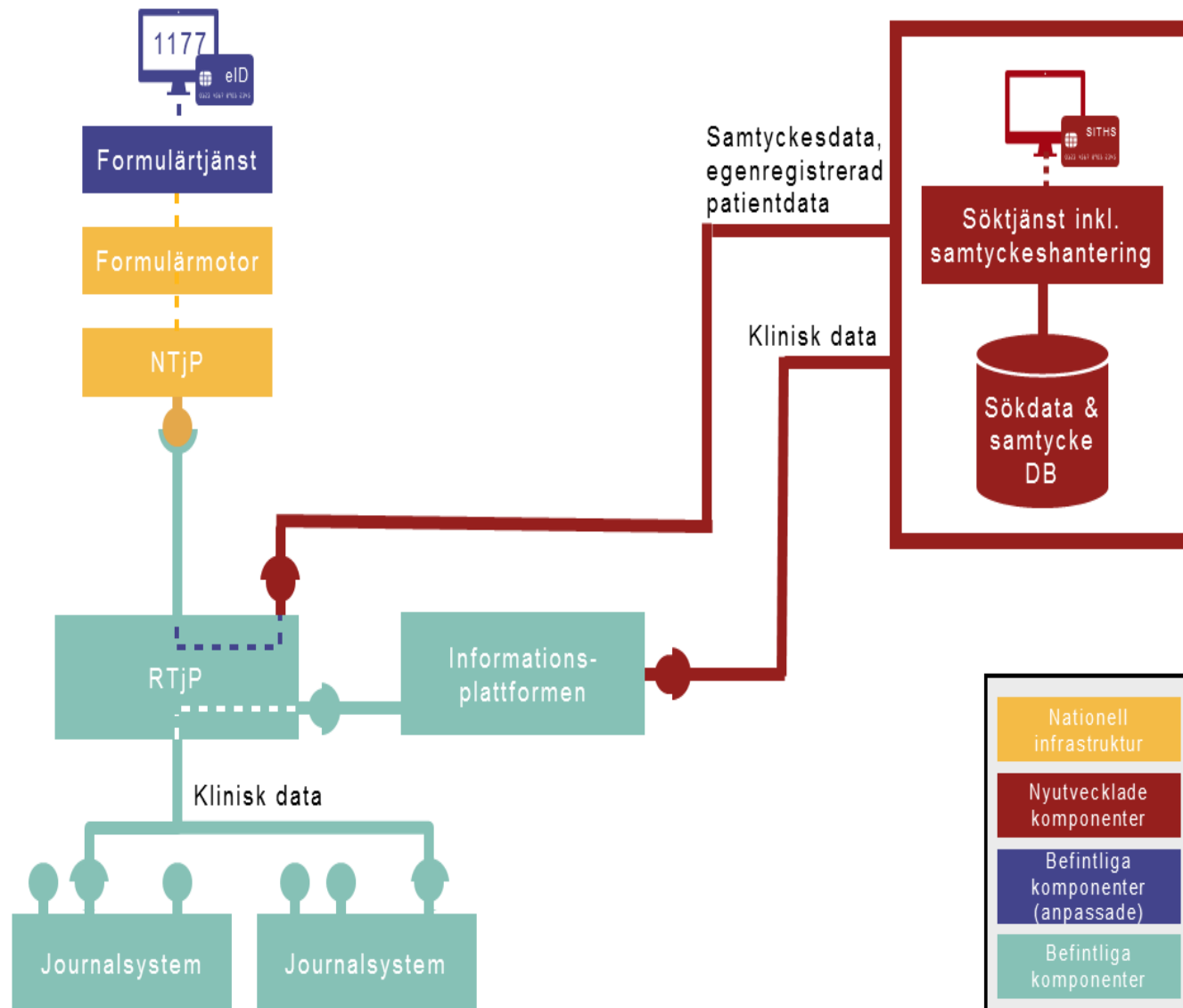


"Hur många patienter uppfyller kriterierna X, Y & Z?"



Region Skåne svarar frågeställaren med uppgiften "5"

Patientrekrytering – lösningsförslag



Patientrekrytering – var står vi idag?

Rekommendation:

- Pilotprojekt i Region Skåne:
 - Utforma samtycken
 - Skapa formulär i formulärtjänsten
 - Utveckla ny söktjänst
 - Kontakt med INERA
- Forskning läggs till i styr- och förvaltningsmodellen

Avancerade terapi läkemedel (ATMP)

ATMAD - godkända av EMA

Name	Develeoper	Indication	Approved	Status
Alofisel	TiGenix	Fistulas Crohn´s	MARCH 2018	APPROVED
Spherox	CO.DN	Cartilage defects knee	MAY 2017	APPROVED
Zalmoxis	MolMed	Stem cell transplantation in high risk blood cancer	JUNE 2016	APPROVED
Strimvelis	GSK	ADA-SCID	APRIL 2016	APPROVED
Imlygic	Amgen	Melanoma	OCTOBER 2013	APPROVED
Holocar	Chiesi	Severe limbal stem cell deficiency in the eye	MARCH 2015	APPROVED
Provenge	Denreon	Metastatic prostate cancer	OCTOBER 2013	WITHDRAWN

There's a possible cure for 'bubble boy' disease



GlaxoSmithKline has developed what looks like a cure for a rare and deadly disease, and it's going to cost \$665,000 for a single dose.

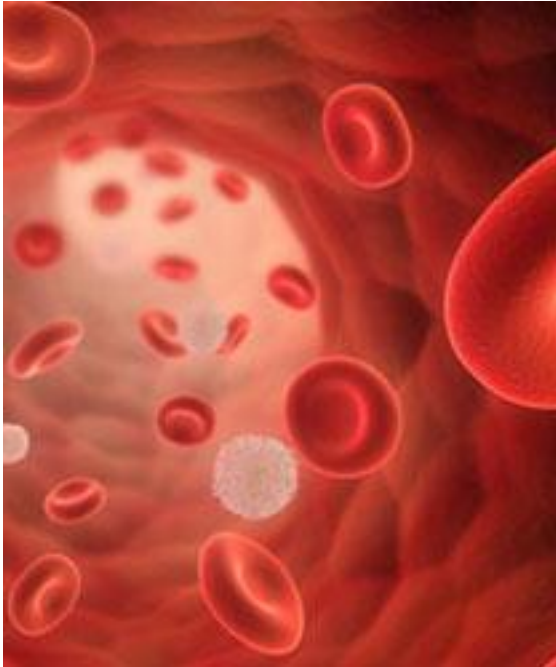
That sky-high price tag — more than twice the [average price of a house](#) — [is likely to stir what's already a long-simmering debate in health care: How much should curative therapies cost, and how should society pay for them?](#)

Novartis Sets a Price of \$475,000 for CAR T-Cell Therapy

Tony Hagen [@oncobiz](#)

Published Online: Wednesday, Aug 30, 2017

Novartis' just-approved chimeric antigen receptor (CAR) T-cell therapy tisagenlecleucel (Kymriah) is going to be introduced on the market at a price of \$475,000 for a single infusion, an amount that is within the range anticipated by oncologists and that Novartis characterized as well below a price level that could be justified on cost.



“While both external and Novartis’ quantitative assessments of these values indicate that a cost-effective price could be \$600,000 to \$750,000, we recognize the importance of this paradigm-shifting therapy and are setting the price at \$475,000 for this one-time treatment,” Dana Cooper, a spokesman for Novartis, said in an interview with OncLive.

Cellterapi

- Allogen
 - Scale up
 - Similar to biotech today
- Autolog
 - Scale out
 - Manufacturing highly customized

Globalt

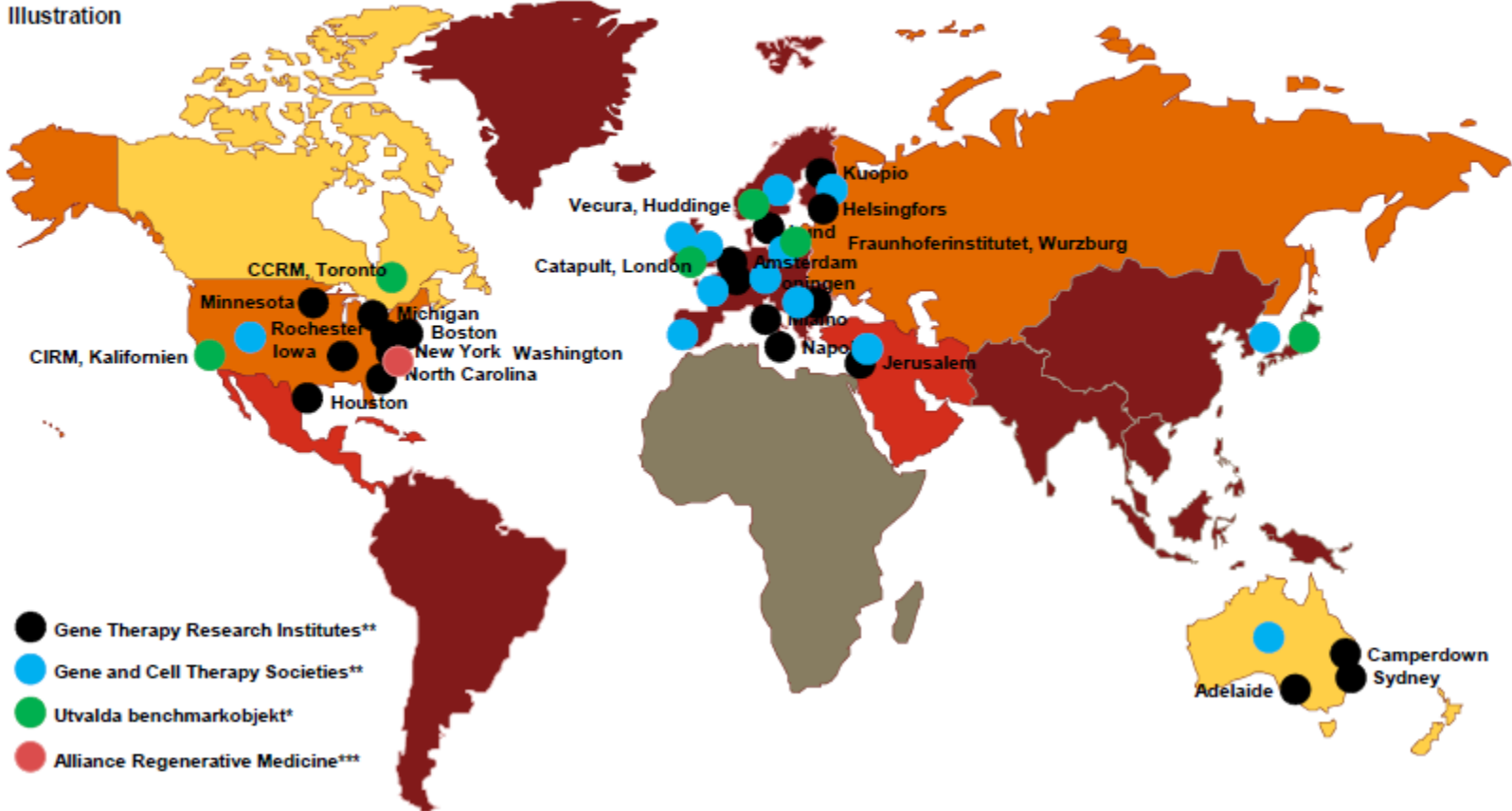
Ca 735 bolag som genomför 801 kliniska studier.

Fas	Genterapi Genmodifierad cellterapi	Cellterapi	Vävnader
I	161	160	6
II	233	330	12
III	31	43	2
Totalt	425	533	20

Internationell överblick (urval) av gen-/cellterapi centers/föreningar

Urvalet pekar på ett 25-tal gen- och cellterapicenters samt ett 15-tal sammanslutningar, fördelat på i huvudsak USA, Europa och Australien. I tillägg till detta har ett antal internationella större centra valts ut, bl.a. CIRM (USA), CCRM (Kanada), Catapult (England), Fraunhoferinstitutet (Tyskland) samt Vecura (Sverige) för vidare benchmark. Se även bilaga 3

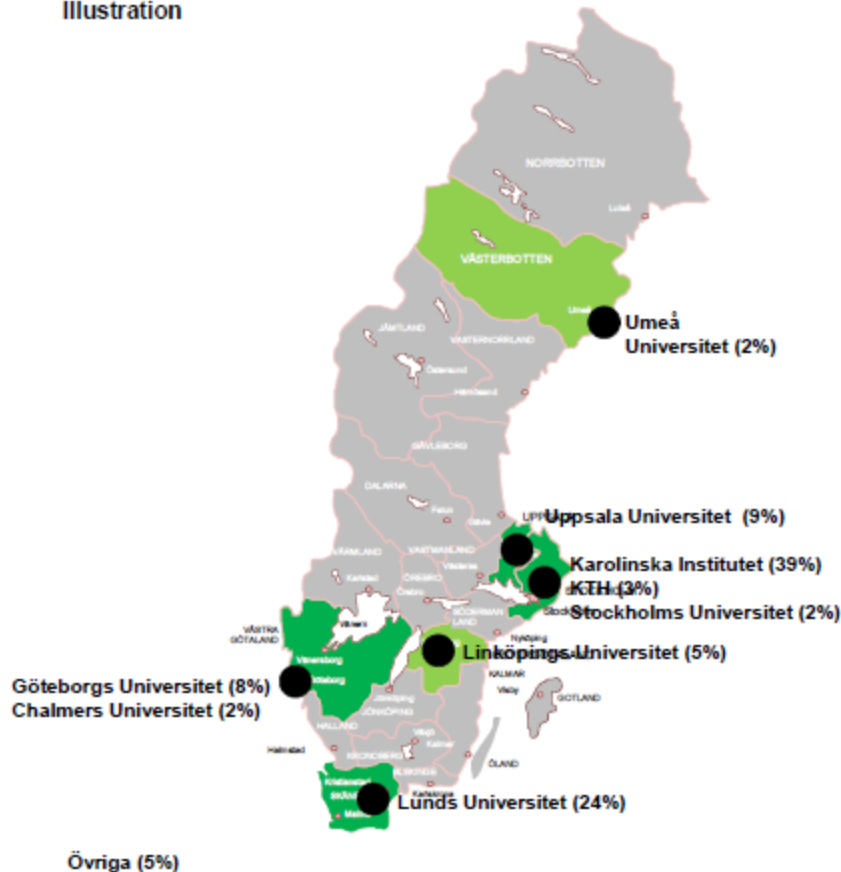
Illustration



Nationell överblick (urval) av pågående forskningsprojekt 1(2)

Av all forskning relaterat till teknikerna/nyckelorden (cellterapi, genterapi, regenerativ medicin), står KI och Lund för den absoluta merparten (ca. 63%) och Göteborg, Uppsala, Linköping (ca. 20%) samt att ett 10-tal övriga står för mindre än ca. 17%. Merparten förväntas vara slutförda inom en två års period. Analysen omfattar ca. 250 bidragsfinansierade projekt

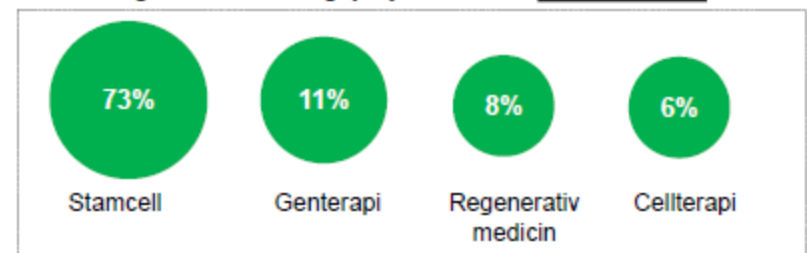
Illustration



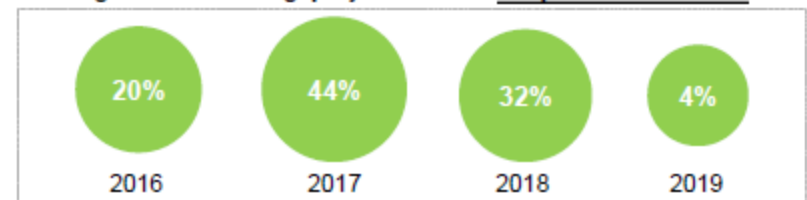
Pågående forskningsprojekt fördelat per intressent*



Pågående forskningsprojekt fördelat per nyckelord*



Pågående forskningsprojekt fördelat tidsperiod och slutår*



Regional överblick (urval) av forskargrupper inom cell- och genterapi 1(5)

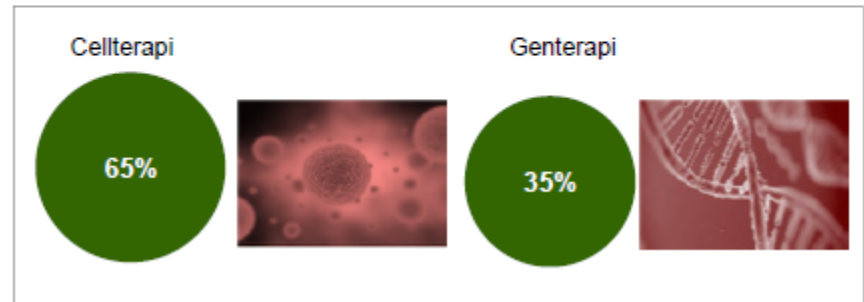
Inom regionen har ett knappt 20-tal forskningsgrupper identifierats med huvudsakligt fokus inom cellterapi (65%) och genterapi (35%) och av dessa är ca 65% i preklinisk fas och 35% befinner sig nära gränslandet mellan preklinisk fas och klinisk fas. Vi har varit i kontakt med samtliga forskarlag för att identifiera deras behov av GMP produktion samt i vilken fas de befinner sig i

Illustration

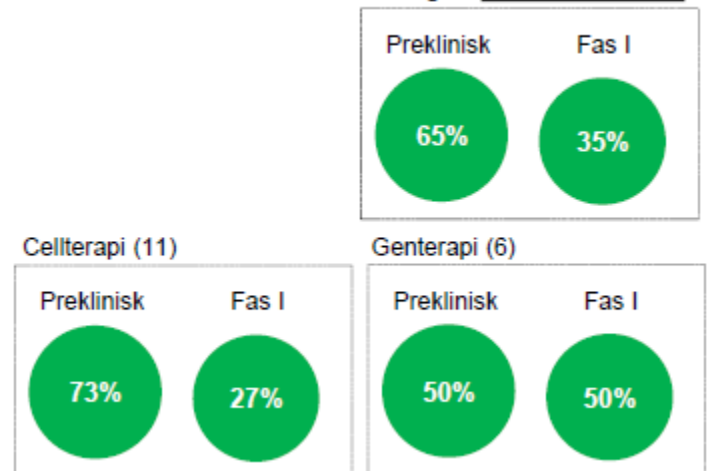


LUNDS UNIVERSITET

Pågående forskningsprojekt inom RS/LU, fördelat per område*



Indikativ fördelning av produktportföljen*



Centre for Advanced **Therapy** Medical Products (CAMP)

“Cure the incurable”

Centret är en ingång till "know how", infrastruktur och patienter

Industri – stora företag



- "Industriellt kunnande"
- "Skarpa pilotprojekt som genererar generisk kunskap"

Industri – SME



- "Enklare och snabbare tillgång till expert-kompetens, infrastruktur och patienter"



VÄSTERBOTTENS LÄNS LANDSTING



Vävnadsrådet

Nationella rådet för organ, vävnader, celler och blod



Kliniska Studier Sverige



Region Örebro län



Region Uppsala



Stockholms läns landsting



VÄSTRA GÖTALANDSREGIONEN



Region Östergötland

Akademi



- "Från laboratoriet till patienten"



- "Erbjuda patienter bättre vård"

Hälsa- och sjukvård

Global context



Centre for Commercialization of Regenerative Medicine



UNIVERSITY OF GOTHENBURG



Karolinska Institutet



LINKÖPING UNIVERSITY



LUND UNIVERSITY



Umeå University



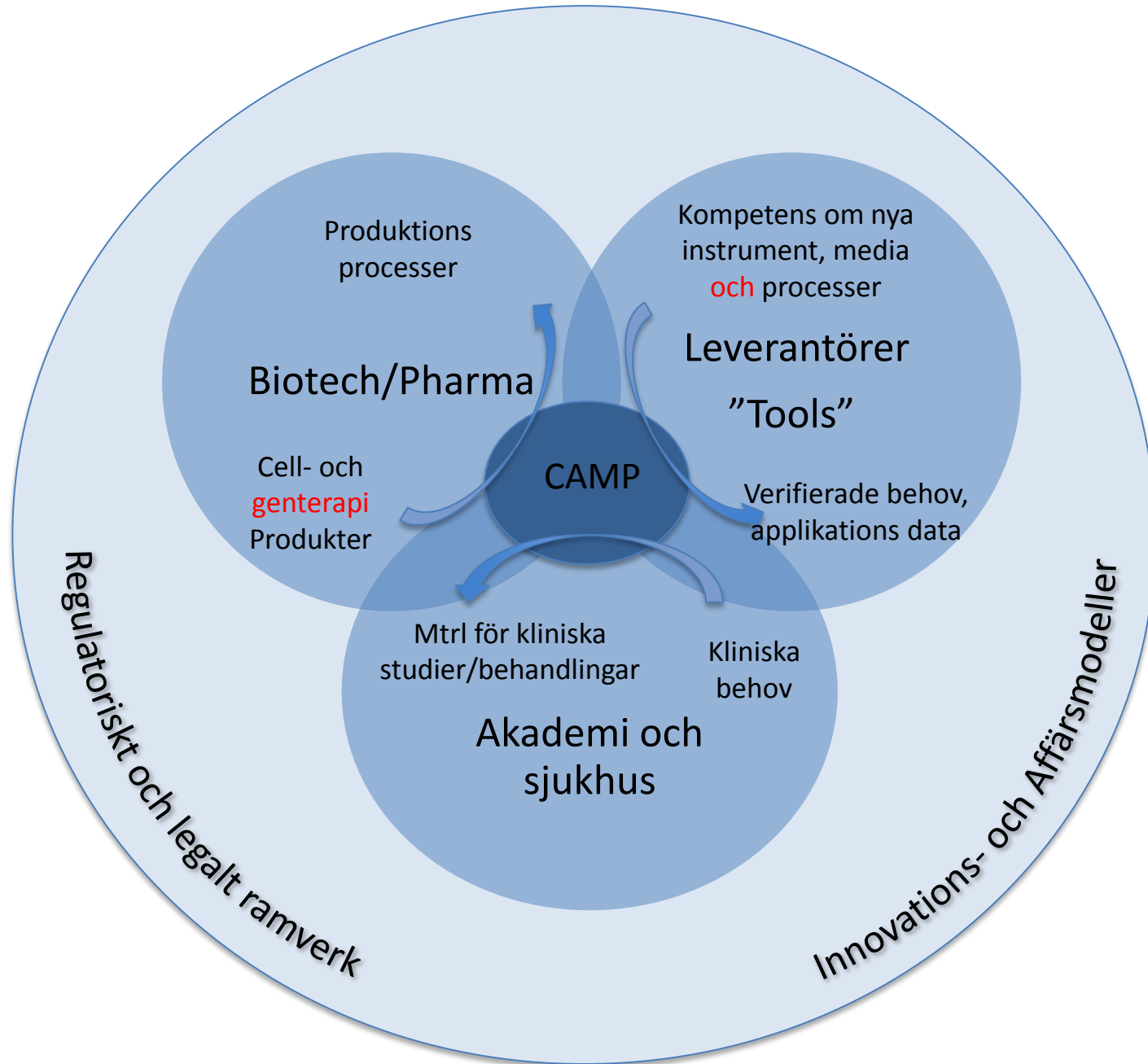
UPPSALA UNIVERSITET



ÖREBRO UNIVERSITY

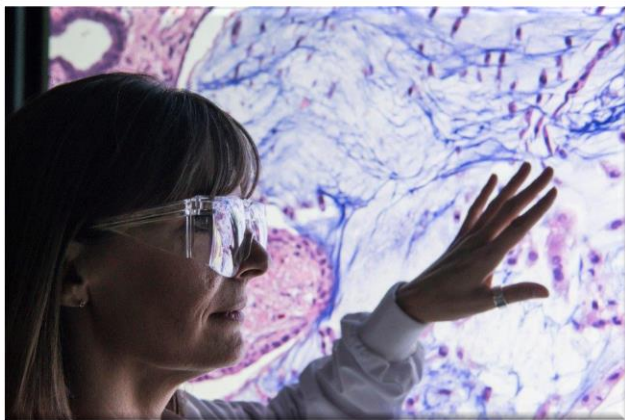


Ekosystem med nationella och internationella partners



Centre for Advanced Therapy Medical Products

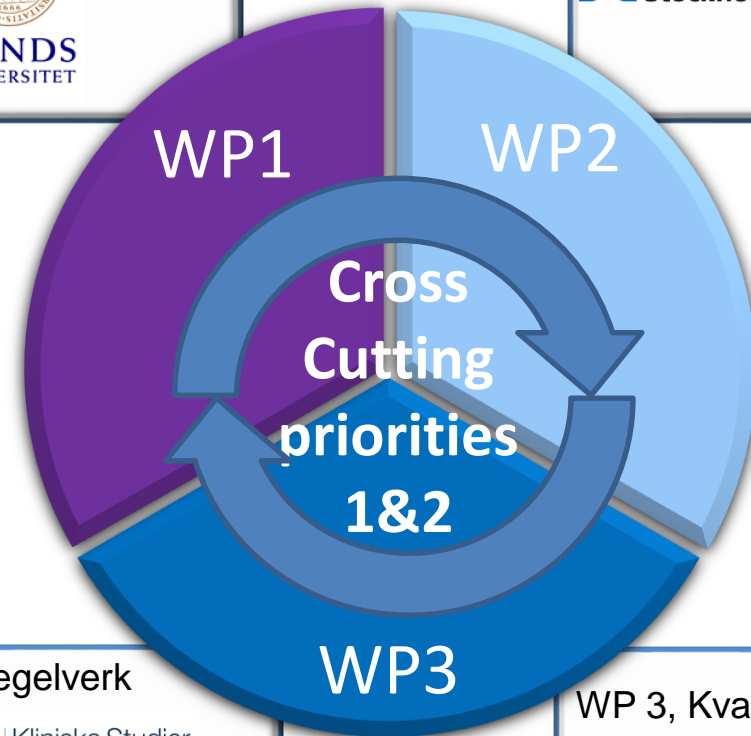
- ❑ Tre arbetspaket inom teknik-utveckling och två inom affärsutveckling
- ❑ Företag, akademi och hälso- och sjukvård samverkar i olika konstellationer inom FoU-projekten



WP1, **Processutveckling**



WP 2, GMP produktion



CCP1, Regelverk



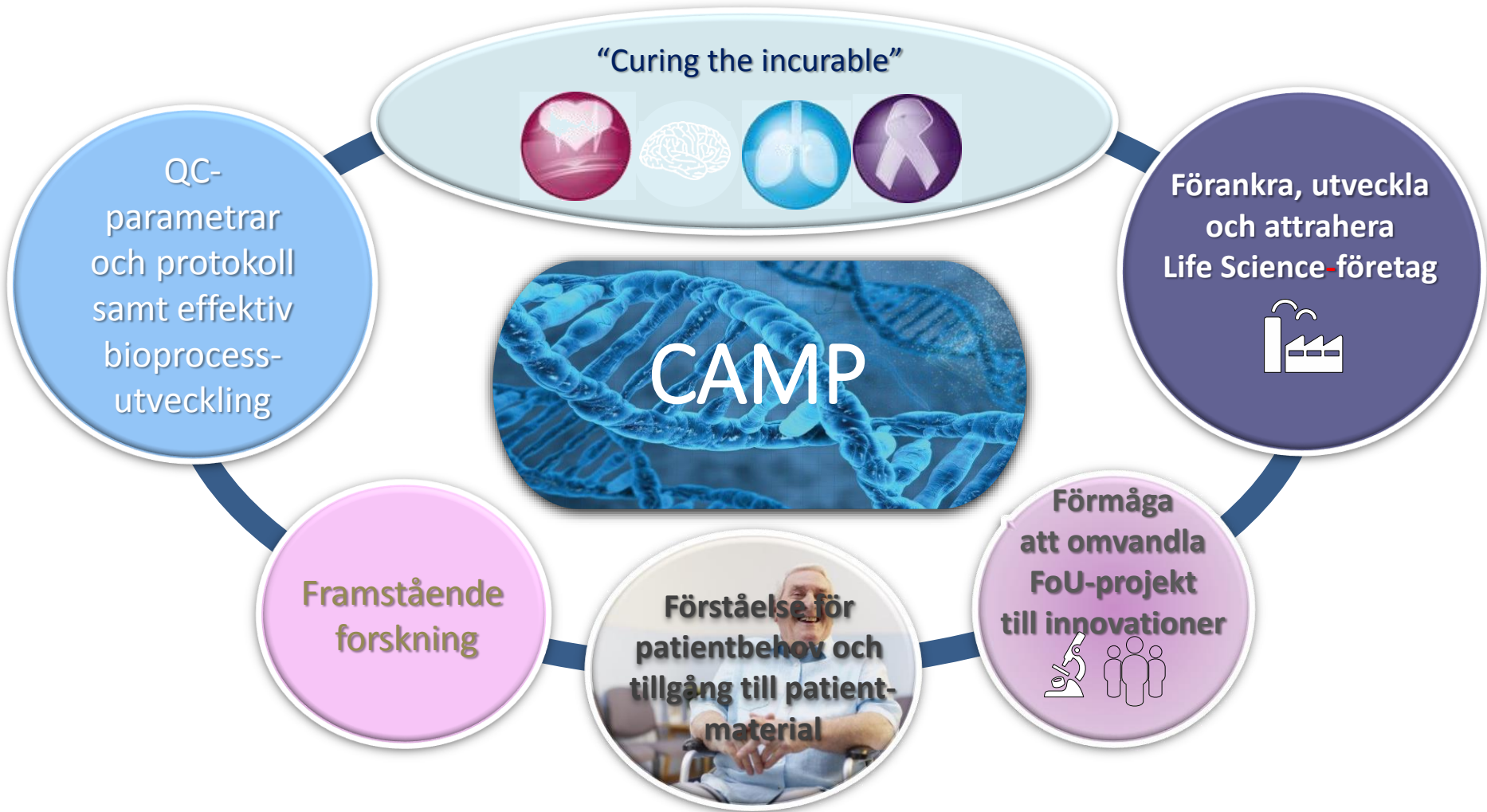
CCP2, Affärsutveckling i samverkan **SWElife**

WP 3, Kvalitetskontroll



Patient- och affärsnytta

Samverkande pusselbitar som ger genomslagskraft



CAMP Mål:

- Sverige internationellt erkänt inom området, rankad bland top **10** i världen
- Leverera en kunskapsplattform och portal med en ingång för nationella och internationella samarbeten
- Målinnehållare att skapa ett nätverk av kliniska och akademiska experter som kan bidra till att förstå patientbehov och tillgång till patient-material



CAMP

**Utveckla ATMP i
Nationell Samverkan**



Vad har vi gjort inom Forum Söder.



Enheten
Kliniska
Studier
Sverige vid
Vetenskapsrå

Regional nod Forum Söder

Nodföreståndare
(Ulf Malmqvist)
Nodkontor

*kontaktyt
or*

Exv. Regionalt
cancercentrum (RCC),
Regionalt
biobankscentrum,
Läkemedelsenheten Region
Skåne, LUDC, Medeon, Life

Central stödfunktion Forum Söder (SUS)

Verksamhetschef, Ledningsgrupp

Regional
samordn

Regionalt nätverk Forum Söder

Regional samverkansgrupp
(Nodföreståndare , FoU-chefer)
Regional nodsamordnare

Region Skåne

Region Halland

Lokal stödfunktion
Region Kronoberg

Lokal stödfunktion
Landstinget
Blekinge

Klinisk
Prövningsenhet
Enheten för Kliniskt
prövningsstöd
Enheten för medicinsk statistik och
epidemiologi

- Etablerat regional samverkansgrupp
- Påbörjat uppbyggnaden av regionalt nodkontor –
 - Tillsatt regional nodsamordnare
 - Tillsatt lokal nodsamordnare som tillträder september 2018
- Utarbetat organisation- och samverkansmodell samt projektmodell
- Definierat roller, ansvar, mandat.
- Inventerat tjänste- och utbildningsutbud och behov inom den regionala noden.
- Implementerat gemensamt elektroniskt projekt- och samverkansverktyg.
- Etablerat en regional process för feasibility.
- Leder nationella utvecklingsinsatsningen om EDC
- Deltar i ett flertalet av de nationella utvecklingsinsatningarna/projekten.
- Marknadsför/ informerar om regionala noden till interna och externa intressenter
- Dialog med företag m fl intressenter kring behov av utveckling av infrastruktur för kliniska studier
- Driver infrastrukturprojekt kring förbättrad patientrekrytering till kliniska studier
- Startat planeringen av nationell konferens klinisk forskning februari 2019 på Malmö Live.
- Skapat gemensam websida för regional nod Forum Söder på södra regionvårdsnämndens webbplats