

det finansieringssystem som vi har idag. I dessa fall fördelar sig kostnaderna mer jämnt över hela landet, säger Bodil Ericsson.

**Även om det** kommer till stånd en nationell pott för finansiering av behandling med sär-läkemedel, så tror Kerstin Hulter Åsberg i Svenska Läkaresällskapets kommitté för lä-

kemedelsfrågor att det ändå måste till avvägningar för när läkemedel ska användas.

– Avvägningen måste utgå från vilken förväntad nytta en behandling kan ha. Men med en nationell pott behöver det aldrig bli så att dessa patienter måste ställas mot andra patientgrupper av kostnads-skal.

Kerstin Hulter Åsberg an-

ser att det även behövs ett nationellt expertråd och ett speciellt kvalitetsregister för sär-läkemedel.

– Det finns få experter på dessa ovanliga sjukdomar, och med ett expertråd skulle det vara tydligare vart man som behandlande läkare kan vända sig och få svar på frågor om hur effektiv en behandling är, om det finns specifika risker

med behandlingen etcetera. Ett kvalitetsregister behövs för att varje enskilt fall ska kunna följas upp och där det framgår vilka för- och nackdelar en insatt behandling har, säger Kerstin Hulter Åsberg.

Bodil Ericsson på SKL räknar med att förhandlingarna med staten om statsbidrag för läkemedelsförmånen är klara tidigast hösten 2007. ■

## Få svenska företag utnyttjar EU-stöd för sär-läkemedel

**Allt fler substanser klassificeras som sär-läkemedel och får därmed åtnjuta särskilt fördelaktiga villkor, och tiden för klassificeringsbeslutet har kortats betydligt. Men fortfarande svarar svenska företag för endast några få procent av de tillverkare som utvecklar dessa läkemedel riktade mot mycket ovanliga sjukdomar.**

Under 2006 fick den europeiska läkemedelsmyndighetens (EMA) kommitté för sär-läkemedel, Committee for orphan medicinal products (COMP), ta ställning till 104 ansökningar om klassificering som sär-läkemedel. Av dessa höll 81 ansökningar måttet,

vilket i den fortsatta produktutvecklingen innebär stora fördelar i form av bland annat kostnadsfri rådgivning och en reducerad ansökningsavgift när läkemedlet sedan ska godkännas av EMA:s expertkommitté för humanläkemedel, CHMP.

Från år 2000 till våren 2007 har 33 substanser utvecklats till färdiga sär-läkemedel som nu finns tillgängliga på marknaden, med en exklusiv rätt till den europeiska marknaden under tio år oberoende av eventuella patentinnehav. Ett liknande läkemedel får inte godkännas i EU för samma behandlingsindikation, om det inte är överläg-

set det redan befintliga. Den här marknadsexklusiviteten rankas av läkemedelsföretagen som ett av de viktigaste incitamenten för att satsa på utveckling av sär-läkemedel.

**Sedan EG-förordningen** om speciella regler för att stimulera utvecklingen av läkemedel för mycket ovanliga sjukdomar trädde i kraft år 2000, har COMP behandlat 652 ansökningar. 431 av dessa har godkänts. Kommittén har 90 dagar på sig att avge ett yttrande till EU-kommissionen, som fattar det formella klassificeringsbeslutet, men tiden har successivt kortats och är nu endast 57 dagar. För företagen innebär det stora fördelar, menar Kerstin Westermark på Läke-medelsverket, som sedan hösten 2006 är ordförande i COMP.

– Företagen kan snabbare komma igång med det fortsatta utvecklingsarbetet, och ett klassificeringsbeslut innebär också en kvalitetsstämpel som gör det lättare att locka till sig riskkapital, säger Kerstin Westermark.

**För att klassas** som sär-läkemedel ska det rikta sig mot sjukdomstillstånd som har en prevalens på under 5 per 10 000 invånare i varje EU-land, eller ha utvecklingskostnader som är högre än de förväntade intäkterna av läke-



»Som ett litet företag inom bioteknikbranschen tänker man säkert inte alltid att det kan vara en läkemedelskandidat som man arbetar med«, säger Kerstin Westermark, ordförande i den europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för sär-läkemedel.

Foto: Peter Örn

medlet. Dessutom ska de rikta sig mot sjukdomar som är livshotande eller innebär mycket allvarliga tillstånd, där det inte finns några bra behandlingar, alternativt att det nya läkemedlet leder till betydande fördelar jämfört med befintliga alternativ. Kraven har varit oförändrade sedan EG-förordningen trädde i kraft.

– Andelen som godkänns av COMP ökar successivt. Men det beror inte på att vi blivit snällare i våra bedömningar, utan på att ansökningarna

### ■ FAKTA

**Sär-läkemedel som godkändes av den europeiska läkemedelsmyndighetens (EMA) expertkommitté för humanläkemedel, CHMP, under år 2006:**

Läkemedel	Indikation
Myozyme	Pompos sjukdom
Evoltra	Akut lymfoblastleukemi (pediatriska patienter)
Sutent	Maligna gastrointestinala stromala tumörer (GIST), samt avancerad/metastaserande njurcellscancer
Nexavar	Avancerad njurcellscancer
Thelin	Pulmonell arteriell hypertension
Savene	Extravasation av antracyclin
Sprycel	Kronisk myeloisk leukemi, samt Philadelphia-kromosompositiv akut lymfoblastleukemi
Diacomit	Svår myoklon epilepsi hos spädbarn (Dravets syndrom)
Elaprase	Mukopolysackaridos typ II (Hunters syndrom)
Inovelon	Lennox-Gastauts syndrom
Cystadane	Homocystinuri



2006 godkändes 11 läkemedel som sär-läkemedel av den europeiska läkemedelsmyndighetens (EMA) expertkommitté för humanläkemedel. Men endast en liten andel av ansökningarna till EMA kommer från svenska företag.

håller en allt högre kvalitet. Eftersom det är svårt att genomföra stora kliniska patientstudier för dessa läkemedel – det minsta prospektiva patientunderlaget för godkännande som jag känner till innefattade endast 12 patienter – ställs mycket höga krav på andra delar i forskningen. Exempelvis så är kraven på djurförsök högre än vid utveckling av traditionella läkemedel, säger Kerstin Westermark.

**Omkring 80 procent** av de företag som ansöker om att få en substans klassificerad som sär-läkemedel består av små och medelstora företag. Men av samtliga ansökningar till COMP svarade svenska företag för ett par år sedan för endast 3 procent, det vill säga en relativt liten andel med tanke på Sveriges i övrigt starka ställning internationellt sett inom bioteknik och läkemedelsutveckling. Kerstin Westermark tror inte att det förhållandevis låga intresset beror på att reglerna uppfattas som otillräckligt fördelaktiga.

– Det handlar nog mer om att de speciella regler som gäller för sär-läkemedel inte har blivit tillräckligt kända. Som ett litet företag inom bioteknikbranschen tänker man säkert inte heller att det kan vara en läkemedelskandidat som man arbetar med, och att man dessutom kan få hjälp av de europeiska läkemedelsmyndigheterna i den utvecklingen, säger Kerstin Westermark.

– Det senaste året har uppmärksamheten kring sär-läkemedel ökat, men det har mest varit i termer av höga kostnader, vilket är mycket olyckligt.

**Antalet sär-läkemedel** som godkänns för försäljning av CHMP ökar nu i en allt snabbare takt. Under 2006 var 11 av totalt 51 nya läkemedel som godkändes för humant bruk sär-läkemedel. Kerstin Westermark tror att det de närmaste tre åren kan komma att handla om omkring 10 nya godkända sär-läkemedel per år.

En tredjedel av de sär-läkemedel som idag finns att tillgå har inneburit behandlingsal-

ternativ för svåra sjukdomar där man tidigare inte har haft något farmakologiskt att tillgå. Det gäller främst medfödda sjukdomar, bland annat vissa svåra så kallade inlagringssjukdomar, såsom Hunters sjukdom.

Två tredjedelar av sär-läkemedlen har tillfört betydande behandlingsförbättringar jämfört med de behandlingsalternativ som tidigare funnits. Mellan 50 och 60 procent riktar sig till såväl vuxna som barn. Den största enskilda sjukdomsgruppen för ansökningar om klassificering som sär-läkemedel är onkologiska sjukdomar.

**– Bland de 33 godkända sär-läkemedlen** är bland annat Glivec och Somavert exempel på läkemedel som inneburit en viktig och stor framgång i behandlingssyfte. Glivec används bland annat mot kronisk myeloisk leukemi och Somavert mot akromegali. Även Myozyme, som används som enzymsättningsbehandling till patienter med Pompes sjukdom, har lett till en klart förbättrad överlevnad bland drabbade barn, säger Kerstin Westermark.

En mindre andel av sär-läkemedlen är gamla läkemedel som nu även klassats som sär-läkemedel. Ett exempel är Trisenox för behandling av akut promyeloisk leukemi, vilket är ett läkemedel som under många år använts i cancerbehandling. Bland de senaste tillkomna sär-läkemedlen är Elaprased, godkänt i januari 2007, för behandling av Hunters sjukdom. Hunters sjukdom är en ärftlig typ av mukopolysackaridos och i Sverige finns endast sex barn som har Hunters sjukdom. ■

## Få visioner om sjukvården i vårbudgeten

**Jobben är i fokus i vårbudgeten, sjukvården hamnar i skymundan. Trots en mycket stark ekonomi med en tillväxtsprognois för året med 3,7 procent är det få satsningar för den breda sjukvården som sticker ut i årets budgetproposition.**

Psykiatrin är en av vinnarna. Regeringen satsar i årets budget 500 miljoner kronor extra för att förbättra den psykiatriska vården för de sjuka, bland annat genom att stärka personalens kompetens och prioritera stödet till barn och unga. Lika mycket satsas nästa år och för 2009 avsätts 250 miljoner kronor, enligt regeringens beräkningar.

Dessutom satsas 185 miljoner kronor årligen under 2008–2010 för insatser mot alkohol- och narkotikamissbruk.

IT-arbetet ska stärkas i vården så att patienternas ställning stärks och tillgängligheten förbättras. 175 miljoner kronor går till denna satsning.

Regeringen nämner särskilt det ökade anslaget till att förbättra beredskapen inför en influensapandemi – en miljard kronor avsätts under 2008–2010 för att tillverka vacciner i Sverige samt importera vacciner, vid behov.

Tandvårdsstödet för vuxna ska stärkas och funktionshinder får ökad valfrihet.

I vad regeringen kallar »företagspaketet« nämns också att regeringen vill uppmuntra till kvinnors företagande i till exempel vård och omsorgssektorn för att få ökad konkurrens. ■

streamer-annons