Svar på skriftligt spörsmål om om rätten till läkemedel som lindrar symtomen för personer med SMA

Till riksdagens talman

I det syfte som anges i 27 § i riksdagens arbetsordning har Ni, Ärade talman, till den minister som saken gäller översänt följande skriftliga spörsmål SS 611/2018 rd undertecknat av riksdagsledamot Anne Kalmari /cent:

> *Kan regeringen främja användningen av ett läkemedel som har visat sig fungera och vara bra hos personer med SMA, dvs. spinal muskelatrofi oberoende av sjukdomstyp och fortskridningshastighet?*

Som svar på detta spörsmål anför jag följande:

Ett läkemedel ska ha ett försäljningstillstånd innan det kan introduceras på marknaden. Syftet med systemet för försäljningstillstånd är att kunna garantera tillgången till högklassiga, säkra och effektiva läkemedel. Systemet för försäljningstillstånd tar inte ställning läkemedlets nödvändighet, dvs. huruvida det redan finns bra läkemedel på marknaden för behandling av samma sjukdom. För erhållande av försäljningstillstånd krävs inte jämförelse med andra läkemedel eller undersökning av läkemedlets effekter i verkliga livet. Jämförelser med andra läkemedel för samma sjukdom, effekter av andra behandlingsmetoder, läkemedlets rimliga pris eller andra kostnader förutsätts inte. Systemet för försäljningstillstånd bedömer därmed inte läkemedlens terapeutiska och ekonomiska värde, dvs. på vilka indikationer det är motiverat att använda ett läkemedel.

För närvarande kommer nya läkemedel ut på marknaden nästan enbart med ett försäljningstillstånd som omfattar hela Europeiska unionen. Besluten om ibruktagande av läkemedel inom den offentligt finansierade hälso- och sjukvården samt ersättningsärenden omfattas av medlemsländernas nationella beslutanderätt. Eftersom lagstiftningen varierar från land till land, varierar även besluten om användningen av olika läkemedel och om de är ersättningsgilla samt ersättningarnas storlek.

Det höga priserna på nya läkemedel har blivit ett problem i alla länder med hög levnadsstandard, i vilka man försöka hitta en balans mellan ett snabbt införande av nya läkemedel och hålla kostnaderna för hälso- och sjukvården under kontroll. Alla nya läkemedel ger inte betydande tilläggsnytta jämfört med tidigare behandlingsmetoder och genast efter beviljandet av försäljningstillståndet kan informationen om läkemedlets effekter och säkerhet vara begränsad.

Tjänsteutbudsrådet inom hälso- och sjukvården (Palko) verkar i anslutning till social- och hälsovårdsministeriet och ger rekommendationer om vilka hälso- och sjukvårdsmetoder som ska ingå vid behandling av ett visst hälsoproblem inom den offentliga hälso- och sjukvården. Från

Svar på skriftligt spörsmål SSS 611/2018 rd

och med 2018 har tjänsteutbudsrådet gett rekommendationer om nya sjukhusläkemedel. Rekommendationerna baserar sig på läkemedelsbedömningar utförda av Fimea. Målet med tjänsteutbudsrådets rekommendationer är att öka jämlikheten genom att förenhetliga utbudet av offentliga hälso- och sjukvårdstjänster. I sista hand fattar sjukvårdsdistrikten besluten om införandet av nya sjukhusläkemedel.

Spinal muskelatrofi (spinal muscular atrophy, SMA) är en sällsynt sjukdom för vilken det inte finns någon botande behandling. Vid de svåraste sjukdomsformerna kan SMA leda till andningsinsufficiens och dödsfall redan i tidig barndom, medan de lindrigare sjukdomsformerna bryter ut först i vuxen ålder med lindrigare symtom eller måttlig muskelsvaghet.

Nusinersen är ett nytt läkemedel avsett för behandling av SMA. Läkemedlet administreras i ryggmärgskanalen genom lumbalpunktion och det beviljades försäljningstillstånd av Europeiska kommissionen i maj 2017. Tjänsteutbudsrådet tog ställning till om läkemedlet ska höra till hälso- och sjukvårdens tjänsteutbud den 15 mars 2018. Tjänsteutbudsrådets rekommendation gäller alla sjukdomsformer av SMA.

Enligt rådets rekommendation bör användningen av nusinersen begränsas till patientgrupperna SMA I–III, där de mest tillförlitliga bevisens på läkemedlets effekt finns utifrån de uppgifter som för närvarande är tillgängliga. Efter att tjänsteutbudsrådet gav sin rekommendation har sjukvårdsdistrikten och läkemedelsföretagen ingått ett avtal om läkemedlets pris och läkemedlet är tillgängligt för de patientgrupper som omfattas av rådets rekommendation.

Ett kontrollerat införande av nya läkemedel inom hälso- och sjukvården, vilket baserar sig på en bedömning av det terapeutiska och ekonomiska värdet av läkemedlen samt tjänsteutbudsrå-dets rekommendationer, främjar regional jämlikhet i tillgången till vård och behandling, riktar de begränsade resurserna och främjar ett rationellt genomförande av läkemedelsbehandlingar.

Rådets ställningstagande baserar sig på den medicinska forskningsinformation som är tillgänglig när det ger sin rekommendation. Inga undersökningar om effekterna av nusinersenbehandling vid sjukdomsformen SMA IV har publicerats. Enligt 78a § i hälso- och sjukvårdslagen ska tjänsteutbudsrådet i sina rekommendationer bland annat beakta forskningsrön och annan evidens. Det skulle inte vara lämpligt att ta i bruk läkemedlet utan tillräckliga bevis på dess effekter och säkerhet. Tjänsteutbudsrådet har förberett sig på att bedöma om det finns be-hov av att uppdatera rekommendationen om ny forskningsinformation publiceras.

Helsingfors 20.2.2019

Social- och hälsovårdsminister Pirkko Mattila