



Läkemedelsbehandling av sällsynta sjukdomar

För närvarande har ungefär 30 miljoner medborgare inom europeiska unionen en sjukdom som kan kategoriseras som sällsynt. Det finns en stor mångfald av sällsynta sjukdomar och man har uppskattat att det beskrivs fem nya sjukdomar i den medicinska litteraturen varje vecka.

Som en följd av den snabba utvecklingen inom genetik har diagnostiseringen av sällsynta sjukdomar preciserats. Tack vare nya metoder kan man i många fall undvika långa dröjsmål då det gäller att fastställa sjukdomsdiagnosen.

För flera sällsynta sjukdomar finns det ingen läkemedelsbehandling. På grund av det har man velat stöda forskningen och utvecklingen av säräkemedel med olika incitament. I Finland är tillgången till säräkemedel relativt god, men läkemedlen är ofta mycket dyra.

En styrgrupp som tillsattes av social- och hälsovårdsministeriet har upprättat ett nationellt program för sällsynta sjukdomar för åren 2014–2017. I programmet konstateras bland annat behovet att trygga tillgången till säräkemedel för sällsynta sjukdomar.

FPA har utrett de läkemedelsbehandlingar som används i vården av patienter med sällsynta sjukdomar och ersättningen av dem i Finland. En av slutledningarna i den utredning som publicerades år 2015 är att det nuvarande systemet för läkemedelsersättning inte i tillräcklig grad beaktar läkemedelsbehandling av sällsynta sjukdomar. Besluten om att ersätta läkemedel grundar sig i huvudsak på läkemedelsföretagens ansökningar och på läkemedlens godkända indikationer, vilka inte alltför ofta inkluderar sällsynta sjukdomar. För en del av patienterna kan kostnaderna bli stora, om man i behandlingen av sjukdomen behöver flera preparat som inte är ersättningsgilla.

Kompetenscentren för sällsynta sjukdomar håller som bäst på att intensifiera samarbetsnäten både i Finland, Norden och inom EU-området. Den nya verksamhetsmodellen gör det möjligt att utnyttja expertis och resurser över förvaltningsgränserna. I det nationel-

la programmet för sällsynta sjukdomar framhävs även betydelsen av psykosocialt stöd. Stödtjänsterna motsvarar inte ännu i tillräcklig grad behoven hos patienter med sällsynta sjukdomar och det finns skäl att satsa mer på att utveckla dem.

Frågor i anslutning till läkemedelsbehandlingarna har tagits upp förutom i den nationella även i den europeiska läkemedelspolitiken. Under den tid Holland var ordförande för Europeiska rådet bereddes och godkändes slutsatser, där man också tog ställning till sällsynta läkemedel. I slutsatserna påpekades att läkemedelsbolagen prissätter sina läkemedelspreparat högt, även om det inte i fråga om alla produkter alltid är klart vilket mervärde de ger. Kommissionen ombesörjer sina åtgärder för att verkställa och strömlinjeforma den nuvarande lagstiftningen om sällsynta läkemedel och för att säkerställa att de gällande bestämmelserna tillämpas ändamålsenligt och att incitament och arvoden fördelas jämnt.

De höga kostnaderna på nya och innovativa läkemedelsbehandlingar skapar problem då det gäller hälso- och sjukvårdens hållbarhet. Som stöd för vårdbesluten behöver vi fortsättningsvis relevant information om behandlingarnas, inklusive läkemedelsbehandlingarnas och läkemedlens terapeutiska och ekonomiska värde. Det uppstår också en fråga om hur de dyra behandlingarna ska finansieras i framtiden. Som ett alternativ har man föreslagit en nationell fond som upprätthålls av landskapen. Det här är en av de saker som man bör dra upp riktlinjerna för när strukturerna reformeras. ●



Päivi Sillanaukee
Kanslichef, SHM