



## Vägen till ett djupt behandlingsvar

Blodcancerförbundets slutsatser efter genomförda regionala rundabordsamtal under 2019 – en slutrapport som stakar ut vägen till ett djupt behandlingsvar

**Hur kan vi säkerställa att Sveriges blodcancerpatienter inte ska behöva vänta längre än nödvändigt på att få tillgång till nya livshöjande behandlingar? Det var utgångspunkten i den landsomfattande intressepolitiska satsningen Vägen till ett djupt behandlingsvar som tog fasta i hur vi kan säkerställa att fler blod- och blodcancersjuka kan uppnå djupa behandlingsvar. Till förmån för både patient och samhället i stort.**

Våren 2019 har Blodcancerförbundet genomfört en serie rundabordsamtal under ledning av journalisten Nedjma Chaouche. Det började i [Lund](#), fortsatte i [Umeå](#) och sedan [Stockholm](#) för att så småningom avslutas i [Visby](#) under Almedalsveckan. Vid dessa möten har vi som patientföreträdare samlat regionala och nationella beslutsfattare, tongivande hematologer, hälsoekonomer, företrädare för läkemedelsindustrin och andra intressenter inom blod- och blodcancer vården i syfte att diskutera sig fram till hur man gemensamt kan agera för att fler patienter ska uppnå djupa behandlingsvar.

Det överordnade syftet med satsningen har nämligen sin upprinnelse i betydelsen av att uppnå just ett *djupt* svar vid behandling av blodcancer. Att begrepp som *komplett respons* kommit att omdefinieras i takt med att mätmetoderna blivit bättre. Att man i många fall idag kan konstatera att en patient som för några år sedan skulle ha betraktats som framgångsrikt behandlad, mycket väl kan ha kvarvarande sjukdom i form av ett fåtal cancerceller. Vilket medför att termer som minimal kvarvarande sjukdom (MRD = *Minimal Residual Disease*) blir allt betydelsefullare att lyfta fram och belysa.

När det gäller leukemier och myelom kan skillnaden mellan att vara MRD-negativ (ingen kvarvarande sjukdom) eller MRD-positiv nämligen vara direkt livsavgörande. I andra fall kan ett djupt behandlingsvar innebära att man som patient kan leva ett längre liv utan att sjukdomen förvärras, något som utöver att minska belastningen på hälso- och sjukvården dessutom inte minst har ett stort värde för den enskilda patienten med närstående. Att känna sig "fri" från sjukdom, och kanske till och med stundtals uppleva känslor av att vara botad, är som drabbad oerhört betydelsefullt.

Problemet idag, som vi på Blodcancerförbundet ser det, är att de medlemmar vi företräder inte får tillgång till de bästa behandlingarna i tillräcklig utsträckning. Dels på grund av det omständliga och tidsödande system där ett flertal nationella och regionala instanser ska göra sina egna prövningar av redan godkända läkemedel, dels för att nya behandlingar ofta betingar ett högt pris, som för den enskilda kliniken blir en stor utmaning. Det är dessa faktorer som bland annat har lett till att Sverige ligger efter flera jämförbara länder när det gäller upptag av nya effektiva behandlingar – inte minst när flera läkemedel ska användas i kombination. Förutsättningarna för att uppnå ett djupt behandlingsvar är dokumenterat

bättre om effektiv behandling sätts in i ett tidigt skede och, i förekommande fall, när flera läkemedel med olika verkningsmekanismer kombineras.

Ett av skälen till att kombinationsbehandlingar (med *ett* enda undantag) fastnar i den nationella processen, och därmed inte kommer patienterna till del, är att systemet inte är riggat för att kunna bedöma nyttan och därmed kostnadseffektiviteten av mer än ett patentskyddat läkemedel åt gången. Under samtalen framkom att det till och med finns exempel på när myndigheten Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV) bedömt att en kombinationsbehandling inte är kostnadseffektiv ens om det sist tillagda läkemedlet vore gratis – något som vi anser är ett smärtsamt tydligt exempel på att ett ”moment 22” finns inbyggt i det system. Som egentligen ska säkerställa en snabb, rättvis och hållbar tillgång till nya läkemedel.

Under de rundabordssamtal som hållits på detta tema har diskussionerna varit livaktiga och meningsmotsättningar har ingalunda saknats, men för Blodcancerförbundets del har några avgörande problemområden utkristalliserats som centrala.

### **Systemet för introduktion av nya behandlingar måste effektiviseras**

Tanken med en process för nationellt ordnat införande är god, men som det ser ut idag kan man konstatera att den inte fungerar tillfredsställande. Istället för att säkerställa ”en jämlik, ändamålsenlig och kostnadseffektiv läkemedelsanvändning” med ambitionen att ”värdefulla läkemedel ska nå patienterna utan onödigt dröjsmål” tycks processen ha utvecklats till ett byråkratiskt vidunder. Systemet sysselsätter ett nära nog oräkneligt antal aktörer som alla – säkert med de bästa avsikter – ser det som sin uppgift att göra sin egen prövning av det som redan blivit godkänt i högre instans. Resultatet blir en omständlig och utdragen process som bevisligen varken är bättre eller kostnadseffektivare än i exempelvis Danmark där det går betydligt snabbare samtidigt som de erhåller bättre läkemedelspriser än vi gör i Sverige.

Det är dock inte endast patienter och patientföreträdare som är frustrerade över systemets saktfärdighet och ineffektivitet. En av deltagarna, cancerläkaren och läkemedelsexperten Nils Wilking, menade att stora delar av systemet faktiskt inte behövs.

– Se till att få ut läkemedlen i kliniken och använd dem bara! De nya läkemedel som inte är tillräckligt bra enligt uppföljningen slänger vi ut, var det recept han förordade.

En annan deltagare, Hans Winberg, generalsekreterare för Stiftelsen Leading Health Care, skrädde inte heller orden när han kallade ordnat införande för ”ett kvalificerat slöseri med tid och resurser”. Vidare menade han att Rådet för nya terapier (NT-rådet) med fördel kunde läggas ner.

– Det finns algoritmer idag som kan sammanställa publicerade data och processa fram det som NT-rådet gör fast billigare, bättre och snabbare.

Ur vårt perspektiv som patientföreträdare är det självklart att samhällets resurser måste hanteras ansvarsfullt, men erfarenheterna från de år som passerat med så kallat ordnat införande talar för att systemet i sig är dyrt utan att nämnvärt gynna patienterna. Utöver att processen bör/ska bli mer effektiva och transparent vill Blodcancerförbundet också se en

större jämlikhet över landet. Trots att åtskilliga instanser är involverade i besluten är det till syvende och sist verksamhetscheferna på de respektive cancerenheterna som bestämmer vilken behandling en patient ska få. I det läget kan de ekonomiska förutsättningarna på den enskilda kliniken spela en mycket större roll än vad någon myndighet, nationell eller europeisk, rekommenderat. På så vis blir cancervården ett postkodlotteri vilket är helt oacceptabelt för oss som nationell organisation.

Vi är även av åsikten att uppföljning och utvärdering av nya läkemedel bör prioriteras för att möjliggöra relevanta hälsoekonomiska analyser. Interimslösningar måste kunna tillämpas när data för långtidsuppföljning inte finns tillgängliga. Något som i sin tur ställer högre krav på samverkan mellan olika aktörer. Detta för att säkerställa att läkemedel som inte har avsedd effekt tas bort, för att istället göra plats för nya innovativa behandlingsmetoder.

### Premiera kliniska studier

Efter de genomförda rundabordssamtalen står det också klart att kliniska studier är av avgörande betydelse för patienters möjlighet att få tillgång till de behandlingar som kan leda till ett djupt behandlingssvar. Kliniska studier är värdefulla både för patienterna som får snabbare tillgång till nya behandlingar och för vården som får kortare startsträcka om och när behandlingarna ifråga blir godkända och ska introduceras. Detta var vi förstas medvetna om på Blodcancerförbundet sedan tidigare, men under rundabordssamtalen har vi fått ta del av en rapport som med all önskvärd tydlighet visar att patienter i regioner som deltagit i kliniska prövningar av nya läkemedel har en klart bättre och snabbare tillgång.

Till vår stora besvikelse har det under rundabordssamtalen därtill framkommit att det finns de politiker och myndighetsföreträdare som uppfattar kliniska studier som ett instrument för läkemedelsföretagens marknadsföring. Visst kan det finnas en sådan aspekt, men det är djupt olyckligt om beslutsfattarens beröringskräck tillåts bidra till att ytterligare kringskära blodcancerpatienters tillgång till moderna behandlingar.

Vi på Blodcancerförbundet menar att patienter i regioner som inte bedriver kliniska studier ska remitteras och uppmuntras att delta i de kliniska studier som erbjuds – oavsett var i landet de bedrivs.

### Lyssna på *alla* experter

Blodcancerförbundet har länge arbetat för ett ökat patientinflytande, och på senare tid har vi också argumenterat för patientföreträdare som är experter på sitt sjukdomsområde. Detta då en mer generalistiskt lagd patient svårligen kan ha tillräckliga kunskaper för att företräda andra patientgrupper än sin egen på ett tillfredsställande sätt. Men trots att detta borde vara en självklarhet är det vanligt att patientföreträdare i olika sammanhang sitter med som något slags alibi i diskussioner om sjukdomsområden som de inte alls behärskar. Under rundabordssamtalen framkom synpunkter såsom ”det viktiga är att få med patientperspektivet på gruppnivå snarare än patienter som agerar lobbyister för sitt specifika område”.

Som företrädare för landets blod- och blodcancersjuka har vi inga invändningar mot att det ibland kan finnas tillfällen då ett mer allmänt hållet patientperspektiv är tillräckligt, men i

många fall, exempelvis när det handlar om djupa behandlingssvar, kan en väl påläst expertpatient med ett internationellt kontaktnät bidra betydligt mer. Det är enligt ordförande Lise-lott Eriksson hög tid att börja se patientföreträdare som en resurs att nyttja, samt att ge dem inflytande på riktigt.

– Vi är övertygade om att sjukvård med inflytande från utbytbara *expertpatientföreträdare*, som besitter specialistkunskap från ett specifikt terapiområde och därtill har en övergripande systemkunskap, resulterar i bättre och mer verkningsfulla behandlingsmetoder. Givet att vi också får reella möjligheter till påverkan med inflytande i direkta beslutsprocesser.

## Kampen går vidare

Blodcancerförbundet vill tacka alla dem som medverkat vid rundabordssamtalen i satsningen Vägen till ett djupt behandlingssvar. Trots meningsskiljaktigheter har diskussionerna varit givande och vi ser det som en framgång i sig att vi har lyckats få betydande företrädare från politiken, myndigheter, läkemedelsindustrin och även sjukvården att lyssna på oss – och på varandra! Det är vår övertygelse att vägen till ett djupt behandlingssvar kräver bred samverkan där alla involverade parter kan sitta vid samma bord och utifrån sin unika kompetens adressera viktiga problem som i sista hand handlar om att förlänga och rädda liv.

Tid är inte en lyx som många blodcancerpatienter har.

Lise-lott Eriksson

Ordförande

Blodcancerförbundet

*Vägen till ett djupt behandlingssvar genomfördes i samverkan med AbbVie, Amgen, Bristol-Myers Squibb (BMS), Celgene, Janssen, Novartis, Pfizer, Roche och Takeda*



# BLODCANCERFÖRBUNDET

Detta är en argumenterande text av Blodcancerförbundet.

De åsikter som uttrycks är Blodcancerförbundets egna.