

”Vi behöver en kraftfull strategi för sällsynta sjukdomar”

Det krävs en tydlig ansvarsfördelning och långsiktiga åtaganden från olika samhällsaktörer, skriver politiker från Västerbotten samt patientföreningen mot Skellefte sjukhus, Famy.

Publicerad: 30 maj 2023, 08:17



Anna-Lena Danielsson, Håkan Andersson, Kjell Bäckman, Kenneth Lång och Nils Lundgren.

Foto: Jan Lindmark

Sverige får äntligen en nationell strategi för sällsynta sjukdomar. Vi välkomnar detta nationella grepp kring frågan och ser det som en chans för Sverige att sätta en realistisk och kraftfull strategi i verket – en strategi som säkerställer handling för stärkt tillgängliggörande av diagnostik och behandling och som blir konkret märkbar för patienter som lever med sällsynta och svåra sjukdomar. Här presenterar vi konkreta förslag för arbetet med strategin.

Sedan nya läkemedelsbehandlingar godkändes för den genetiska och sällsynta sjukdomen Skellefte sjukhus 2018 har Region Västerbotten arbetat aktivt med att stärka tillgängliggörandet av nya behandlingar för patienterna. Med över 60 år av forskning kring diagnostik och behandling har patienter och profession i regionen,

tillsammans med akademi och industri, bidragit till utvecklingen av de flesta nu godkända läkemedlen. 2021 tog vi de första stegen mot en engångsbehandling för sjukdomen, genom deltagande i en världsunik klinisk studie med den nobelprisbelönade – på Umeå universitet upptäckta – gensaxen.

Läs mer: [Till slut – Sverige tar fram nationell strategi för sällsynta sjukdomar](#)

Vi vet vilken skillnad de vetenskapliga framstegen kan göra – inte minst för patienter som tidigare saknat effektiv diagnostik och behandling. Samtidigt har vi i praktiken upplevt de utmaningar som svensk hälso- och sjukvård står inför i detta teknologiska skifte. Att omsätta forskning, utveckling och innovation i ny klinisk praxis är inte alltid en enkel sak. 2021 lanserade Region Västerbotten därför vitboken Tillsammans för tillgängliggörande för att visa på de utmaningar som hälso- och sjukvårdssystemet nu ställs inför. Konkreta förslag som kan stärka patienters förutsättningar för behandling i Sverige presenterades också.

När arbetet med den nationella strategin för sällsynta sjukdomar nu börjar ta form önskar vi göra följande medskick kring vad som behövs:

En strategi med helhetsperspektiv. Detta kan säkerställas genom tidig dialog med och medverkan av olika samhällsaktörer. Mot bakgrund av de många gånger väldigt komplexa tillstånden behöver detta – förutom det självklara patientperspektivet – innefatta staten, regionerna, kommunerna, akademien och industrin. Då klinisk forskning, diagnostik, behandling och uppföljning till stor del kommer att ske inom vården är det av särskild vikt att regionerna bjuds in som aktiva parter i framtagandet av strategin.

En strategi som är praktiskt genomförbar. Här behövs en tydlig och förankrad roll- och ansvarsfördelning samt långsiktiga åtaganden från olika samhällsaktörer. Vi vill verka för en strategi som uppmanar till konkret handling snarare än en som utgår från fina ord. Frågan om hur vårdens ändliga resurser ska prioriteras behöver också lyftas.

Incitament för akademisk och klinisk forskning om sällsynta tillstånd på svenska sjukhus. Detta är ett sätt att säkerställa att Sverige är i framkanten av forskning och utveckling av nya metoder och ny teknologi, samtidigt som vi bygger kunskap inför framtida implementering i vården. Klinisk forskning innebär också möjligheter för patienter som vill vara en del av utvecklingen av framtidens diagnostik och behandling.

Utforskande sätt att arbeta med införande av ny diagnostik och behandling. I vitboken presenterades bland annat ett förslag på modell som utgår från redan etablerade strukturer för införande av läkemedel, men där prioriterade behandlingar introduceras stegvis och med utgångspunkt i ett gemensamt åtagande och ansvar från stat, region och företag vad gäller finansiering och evidensgenerering. Denna modell skulle kunna vara tillämpbar även för diagnostiska metoder. Detta skulle minska de ekonomiska riskerna för enskilda samhällsaktörer samtidigt som vi tillsammans bygger kunskap och säkerställer att relevanta, effektiva, säkra och kostnadseffektiva metoder och teknologier fasas in. Slutsatser från bland annat TLV:s regeringsuppdrag

liksom Sveriges Kommuner och Regioners, SKR:s, och regionernas pågående utvecklingsarbete med nya betalningsmodeller bör också beaktas.

Tydliga juridiska förutsättningar inom dataområdet. Vi kämpar i dag med en fragmenterad tolkning och tillämpning av regelverken på dataområdet. Detta undergräver nödvändiga samarbeten mellan samhällsaktörer. Ett gemensamt ramverk kring datafrågan är av central betydelse – inte minst när det gäller personuppgifter för personer med sällsynta sjukdomar, där fullständig avidentifiering och anonymitet visat sig utmanande inom ramen för dagens tillämpning. Det juridiska lapptäcket måste bort.

En strategi för ett Sverige i världen. Sverige är ett litet land. Inom området sällsynta sjukdomar är patientunderlaget litet, kompetenserna och resurserna begränsade, och marknaden marginell ur ett globalt perspektiv. Vi behöver därför en strategi som säkerställer gränsöverskridande läranden, erfarenhetsutbyten och samarbeten på flera nivåer. Särskilt relevant är samarbete med de övriga nordiska länderna och länder inom EU som liknar Sverige i termer av hälso- och sjukvårdssystemens struktur, omfattning och finansiering.

Vi tror att tiden är mogen för att Sverige ska gå från ord till handling inom detta område och ser arbetet med strategin som en möjlighet att ena samhällsaktörer, för ett stärkt tillgängliggörande av diagnostik och behandling för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar. Patientrepresentanter och profession är ovärderliga spetskompetenser i arbetet framåt, samtidigt som det bredare vårdperspektivet är viktigt för att strategin ska bli verklighetsförankrad och långsiktigt hållbar. Vi står redo att bidra som konstruktiv part runt bordet och hoppas att fler ska vilja göra detsamma.

Anna-Lena Danielsson (S), regionråd och ordförande i hälso- och sjukvårdsnämnden, Region Västerbotten

Håkan Andersson (C), 1:e vice ordförande i hälso- och sjukvårdsnämnden, Region Västerbotten

Kjell Bäckman (V), 2:e vice ordförande i hälso- och sjukvårdsnämnden, Region Västerbotten

Kenneth Lång, styrelseordförande, patientföreningen mot Skelleftesjukan, Famy Norrbotten

Nils Lundgren, styrelseordförande, patientföreningen mot Skelleftesjukan, Famy