

Till Socialdepartementet

[sallsyntahalsotillstand@socialstyrelsen.se](mailto:sallsyntahalsotillstand@socialstyrelsen.se)

2024-12-20

## **Remissvar från SwedenBIO avseende förslag till nationell strategi inom området sällsynta hälsotillstånd 13995/2024**

Sweden BIO välkomnar en nationell strategi för sällsynta hälsotillstånd i Sverige. Internationellt är strategier på detta område identifierat som ett ändamålsenligt policyredskap för att utveckla och förbättra hälso- och sjukvården för människor med dessa tillstånd, och EU har efterfrågat nationella strategier sedan 2009.

SwedenBIO framhåller tidig upptäckt, nyföddhetscreening, diagnosticering, jämlik tillgång till behandling samt uppföljning som viktiga delar i strategin.

SwedenBIO betonar vikten av att, precis som det framgår i strategin, den förutsätter ytterligare beslut, exempelvis olika myndighetsuppdrag, mer konkreta aktiviteter etcetera. Förmåga till konkretisering kommer avgöra hur stor betydelse strategin kommer att få.

SwedenBIO noterar att kliniska studier har en undanskymd plats i strategin. Dessa omnämns i dokumentens andra hälft i förbigående vid två tillfällen (sid 24 samt sida 31). Men strategin saknar beskrivningar av:

- varför kliniska studier är speciellt viktiga för sällsynta hälsotillstånd. Det finns 7000 sällsynta sjukdomar men bara cirka 250 godkända mediciner. Stora patientgrupper saknar helt enkelt behandling,
- hur situationen ser ut i dag avseende dessa studier i Sverige eller
- vilka åtgärder som föreslås för att öka antalet kliniska studier i Sverige avseende detta område.

Strategin anger att "data saknas" för att kunna följa upp kliniska studier (sid 30–31, under rubriken Utvecklingsindikatorer). SwedenBIOs analytiska arbete innefattar t ex *Swedish*

Branschorganisationen SwedenBIO arbetar för en konkurrenskraftig life science-industri i Sverige. Vi gör det genom att skapa effektiva kontaktytor mellan sektorns olika aktörer, genom att bygga kunskap och genom att ge branschen en stark röst i samhällsdebatten.

*Drug Discovery and Development Pipeline Report* och vi välkomnar samverkan runt hur data avseende kliniska prövningar för sällsynta hälsotillstånd tillgängliggörs på ett bättre sätt.

SwedenBIO framhåller avslutningsvis att utvecklingen inom detta område är internationell, och flera aktörer efterfrågar nu EU-initiativ inom sällsynta hälsotillstånd, motsvarande EU beat Cancer plan. Det är viktigt att den svenska strategin inte utvecklas som ett svenskt strategidokument, utan som del av internationella processer, med betoning på EU.

Med vänliga hälsningar

Jessica Martinsson

Vd, SwedenBIO