

När kostnadseffektivitet blir veto – osäkerhet, tid och välfärdsstatens institutionella gränser

ERIK TRYGGER

Moderna välfärdsstater godkänner i allt högre grad medicinska behandlingar med potential att förändra patienters liv. Genterapier, precisionsläkemedel och andra avancerade behandlingar syftar inte till marginella förbättringar, utan till strukturella skiften i hälsa och långsiktigt deltagande i samhället. Samtidigt begränsas eller fördröjs tillgången när kunskapsläget är ofullständigt och de långsiktiga effekterna svåra att fastställa.

Denna spänning mellan medicinsk potential och faktisk tillgång är väl dokumenterad. EFPIA och Charles River Associates visar att tillgången till nya behandlingar är ojämn i Europa, att flera innovationer aldrig når patienter i vissa medlemsstater och att tiden från regulatoriskt godkännande till pris- och ersättningsbeslut har ökat. För *orphan*-läkemedel är tillgången särskilt låg, med längre väntetider och större variation mellan länder (EFPIA & CRA 2025). Europaparlamentet har också pekat på att dagens HTA-processer är svagt anpassade till behandlingar med begränsad evidens i små populationer (European Parliament 2024).

Problemet är därmed inte begränsat till resursmässigt svaga system, utan framträder också i länder med starka etiska ramverk och hög administrativ kapacitet. Systemen är utformade för jämlikhet och solidaritet, men i praktiken uppstår ett återkommande glapp mellan godkännande i princip och faktisk tillgång. Denna artikel analyserar Sverige som ett illustrativt exempel på en bredare institutionell spänning mellan försäkringslogik, kostnadseffektivitet

och beslutsfattande under osäker evidens.

I Sverige är spänningen normativt särskilt tydlig. Enligt prioriteringsplattformen (Regeringens proposition 1996/97:60) ska människovärdesprincipen och behovs- och solidaritetsprincipen ges företräde framför kostnadseffektivitet. Behandlingar för små grupper med svåra och irreversibla tillstånd bör alltså prioriteras. I praktiken möter just dessa ofta de största begränsningarna när effektutfallen är osäkra. Behandlingar som införs i jämförbara länder fördröjs eller avslås i Sverige, inte främst av regulatoriska skäl utan därför att evidensunderlaget bedöms otillräckligt inom etablerade kostnadseffektivitetsramar (TLV 2023).

Mönstret bekräftas av EFPIA:s Patients W.A.I.T. Indicator. Under perioden 2020–23 var endast en begränsad andel av EMA-godkända *orphan*-läkemedel fullt offentligt tillgängliga i Sverige, och mediantiden till tillgång översteg ett år, vilket placerade landet under flera jämförbara europeiska system (EFPIA 2024).

Resultatet är en institutionell inkonsistens: ett system som normativt ger människovärde företräde producerar i praktiken beslut där kostnadseffektivitet fungerar som bindande begränsning. Frågan är därför inte om den etiska plattformen är sammanhängande, utan varför dess hierarki kollapsar i tillämpningen. Det pekar mot en djupare missanpassning mellan välfärdsstatens beslutsmodeller och den tids- och riskstruktur som präglar modern medicinsk utveckling.

Tidshorisonter, risk och beslutslogik

Offentliga beslutsprocesser präglas ofta av korta tidshorisonter. Budgetar är årliga, politiskt ansvar cykliskt och uppföljning inriktad på kostnadskontroll och regelefterlevnad. I denna miljö ses förutsägbarhet som en dygd, medan osäker-

INLÄGG

Erik Trygger har en MSc i nationalekonomi och finans från Handelshögskolan i Stockholm och har studerat hälsoekonomi vid Uppsala universitet. Han arbetar som dataanalytiker i finans med fokus på komplexa datasystem. erik.trygger@gmail.com

het i beslutsunderlaget blir något som ska minimeras. Beslutssystemen är därför utformade för att hantera variation inom relativt stabila ramar snarare än att absorbera långsiktig risk eller möjliggöra lärande över tid.

De medicinska effekterna av många nya behandlingar utvecklas i motsatt riktning. Genterapier och andra avancerade läkemedel har ofta långsiktiga och kumulativa effekter som förutsätter tidig tillgång och uppföljning under många år. Värdet framträder gradvis och är särskilt svårt att fånga tidigt, inte minst i små patientpopulationer med begränsad uppföljningstid. Denna asymmetri mellan beslutssystem och medicinska effekter är välkänd i den hälsoekonomiska metodlitteraturen och speglas i etablerade utvärderingsmodeller (Drummond m fl 2015; Olry de Labry-Lima m fl 2023).

Kostnadseffektivitetsmodeller bygger på att kostnader och nyttor kan jämföras inom relativt stabila och avgränsade utvärderingsfönster. De förutsätter robusta effektmått och ett hanterbart evidensläge. När dessa antaganden håller fungerar modellerna som beslutsstöd. När de inte gör det uppstår ett mer grundläggande problem: modellerna tappar inte bara precision utan börjar styra besluten i en annan riktning än avsett.

Långsiktiga nyttor diskonteras kraftigt, medan kortsiktiga kostnader fullt ut internaliseras. Ofullständig evidens förstärker denna asymmetri. Effekter som ännu inte kan kvantifieras med hög tillförlitlighet undervärderas, medan omedelbara och budgetrelevanta kostnader får oproportionerligt genomslag. Resultatet blir en strukturell snedvridning till förmån för behandlingar med förutsägbara, kortsiktiga effekter framför interventioner med osäkrare men potentiellt transformativa långtidseffekter. Liknande mönster har dokumenterats i analyser av faktisk tillgång till sällsynta läkemedel och avancerade terapier i

Europa (Olry de Labry-Lima m fl 2023).

En ofta underbelyst del av dynamiken rör hur risk och ofullständig evidens hanteras i praktiken. När behandlingar bygger på små patientpopulationer, begränsade studier och kort uppföljning – vilket är strukturellt ofrånkomligt för många gen- och precisionsläkemedel – tolkas brister i evidensunderlaget ofta som att behandlingen inte passar etablerade modeller. Detta översätts till låg bedömd kostnadseffektivitet och därmed till krav på kraftiga prisreduktioner eller avslag. En analys inom ramen för EU:s HTA-reform visar att traditionella evidenskrav systematiskt missgynnar behandlingar för sällsynta tillstånd, eftersom randomiserade studier och långsiktiga utfall ofta inte går att ta fram (Copenhagen Economics & EEXODI 2023).

Även TLV har uppmärksammat problemet. I slutrapporten från 2024 konstateras att nuvarande metoder har begränsad förmåga att hantera ofullständig evidens vid små populationer och att mer flexibla angreppssätt kan behövas för att möjliggöra lärande över tid (TLV 2024). Samtidigt behandlas ofullständig evidens i den etiska analysen främst som ett tekniskt problem inom kostnadseffektivitetsbedömningen snarare än som en självständig normativ fråga (Sandman 2024).

I praktiken innebär detta att risk ofta neutraliseras genom pris i stället för att hanteras över tid. På en global marknad för medicinsk innovation kan långsiktig osäkerhet inte fullt ut vältras över på företagen, särskilt inte vid små patientgrupper och potentiellt botande engångsbehandlingar. När det offentliga agerar som om hela risken kan bäras av säljaren uppstår en strukturell obalans: innovationer som är tekniskt möjliga men empiriskt ofullständigt belagda blir svåra att införa, inte för att de saknar värde utan för att institutionerna saknar verktyg för att dela risk över tid.

Risk blir därmed ett binärt besluts-kriterium – godtagbart eller inte – snarare än en parameter som kan hanteras genom uppföljning och successiv omprövning. Denna missanpassning är inte tillfällig. Den speglar tidspreferenser som är inbyggda i offentlig finansiering, politisk ansvarighet och administrativ uppföljning. Beslutssystemen är i grunden utformade för att minimera kortsiktiga avvikelser, inte för att maximera långsiktigt värde i miljöer där kunskap utvecklas gradvis.

Myndighetsincitament, agentproblem och systemeffekter

Den systematiska avvisningen av osäkra underlag är inte bara en följd av hur hälsoekonomiska modeller är konstruerade. Den förstärks av incitamentsstrukturerna i de institutioner som använder dem. Myndigheter som beslutar om subvention och införande agerar som agenter för det offentliga, med uppdrag att värna jämlikhet, effektiv resursanvändning och långsiktig samhällsnytta. I praktiken är ansvarsfördelningen asymmetrisk: budgetöverskridanden är omedelbart synliga och sanktionerbara, medan uteblivna framtida nyttor och innovationsförluster är diffusa och svåra att koppla till enskilda beslut.

Under sådana förutsättningar blir försiktighet rationellt institutionellt beteende. Myndigheter optimerar mot det de hålls ansvariga för – kortsiktig budgetpåverkan och regelefterlevnad – snarare än mot långsiktiga värden. Denna logik är välkänd i nationalekonomin: *principal-agent*-relationer tenderar att skapa överförsiktighet när uppdragsgivare och utförare värderar tid och risk olika (Jensen och Meckling 1976). Liknande mekanismer har identifierats i studier av hälso- och sjukvårdssystem (Smith 1995).

Hälsoekonomiska modeller förstärker denna dynamik. Genom att översätta osäkra antaganden till tekniska para-

metrar, exempelvis i känslighetsanalyser och tröskelvärden, kan restriktiva beslut framstå som modellstyrda snarare än diskretionära. Verktyg som utvecklats för att stödja informerat beslutsfattande riskerar därmed att bli institutionellt skydd mot ansvar: avsaknad av evidens blir ett skäl för avslag snarare än för uppföljning och lärande.

Konsekvensen är att risk inte hantearas utan förskjuts. I stället för att absorberas kollektivt flyttas osäkerheten till patienter som nekas tillgång, till företag som möter oförutsägbara villkor och till framtida system med svagare innovationsmiljöer. Ett stabilt jämviktsläge uppstår där varje institution minimerar sin kortsiktiga exponering, medan systemet som helhet underinvesterar i området med stor men osäker samhällsnytta.

Effekterna sträcker sig bortom hälso- och sjukvården. När långsiktig risk avvisas snarare än prissätts snedvrids kapitalallokeringen: verksamheter med osäkra men potentiellt höga samhällsvinster underinvesteras, medan kapital söker sig till mer förutsägbara miljöer (Arrow 1963; Cutler och McClellan 2001). Samtidigt faller centrala externaliteter, såsom arbetskraftsdeltagande och anhörigbörda, ofta utanför beslutsramen.

Fragmenterad institutionell utformning förstärker försiktigheten. Ansvar för bedömning, finansiering och klinisk tillämpning är uppdelat mellan aktörer med delvis olika incitament. Ingen kontrollerar hela beslutskedjan. Kostnadskontroll uppstår därför genom fördröjningar och restriktioner snarare än genom samordnad strategi. Resultatet är strukturell återhållsamhet även utan uttrycklig politisk avsikt.

En annan institutionell logik

Det som i dag behandlas som ett särproblem för läkemedel riskerar att bli ett bredare problem för hälso- och sjukvården. I takt med att medicinsk utveckling

rör sig mot precisionsbehandlingar och mindre patientpopulationer blir höga initiala kostnader och osäkra effektfall vanligare snarare än undantag. Utan institutionell anpassning riskerar detta att gradvis urholka vad som i praktiken räknas som standardvård i offentligt finansierade system. Liknande iakttagelser har gjorts på EU-nivå, där analyser pekar på att dagens HTA-ramverk är svagt anpassade till sällsynta tillstånd och avancerade terapier (Copenhagen Economics & EEXODI 2023; EFPIA & CRA 2025).

Problemet är inte bara sektoriellt utan också nationalekonomiskt. När långsiktig risk systematiskt avvisas snarare än prissätts snedvrids kapitalallokeringen: verksamheter med långa tidshorisonter och osäkra avkastningsprofiler underinvesteras, medan kapital söker sig till mer förutsägbara miljöer. Samtidigt utestängs naturliga långsiktiga riskbärare, såsom pensionsfonder och försäkringsbolag, eftersom offentliga betalningsmodeller premierar omedelbar budgetbalans framför dynamisk riskdelning.

Konsekvensen blir en segmentering av ekonomin. Det offentliga behåller exponering mot osäkerhet i utfallen men undviker finansiell risk i beslutsögonblicket. Kapitalmarknaderna sitter samtidigt på stora mängder långsiktigt kapital men saknar institutionella kanaler för att engagera sig i samhällsekonomiskt värdefull risk. Detta är inte ett marknadsmisslyckande i snäv mening, utan ett institutionellt integrationsproblem. Ekonomin rymmer de komponenter som krävs för att hantera risk över tid, men saknar de strukturer som krävs för att koppla samman dem.

Om problemet är strukturellt kan lösningen inte ligga i marginella metodjusteringar. Det kräver en annan institutionell logik för hur osäkerhet och lärande hanteras över tid. Ett första steg är att skilja beslut om tillgång från beslut om betalning. När dessa sammanblandas

blir tillgång beroende av möjligheten att omedelbart fastställa ett pris med hög säkerhet, snarare än av behandlingens långsiktiga värde under ofullständig evidens. Ett andra steg är att ersätta *ex ante*-avslag med *ex post*-ansvar. I stället för att kräva full evidens före införande kan tillgång medges under osäkra förutsättningar, samtidigt som ersättning villkoras av uppföljda resultat. Osäkerhet blir då inte ett veto utan ett incitament till mätning och successiv omprövning. Risk elimineras inte, men omfördelas till aktörer med kapacitet att bära den.

Denna logik är inte unik för sjukvården. I andra delar av ekonomin hantearas långsiktig osäkerhet genom etappvisa åtaganden, långsiktiga kontrakt och riskdelning. Infrastruktur och teknologisk utveckling finansieras sällan under krav på full förutsägbarhet i förväg; osäkerhet erkänns som ett grundvillkor. Inom läkemedelsområdet har flera europeiska länder redan infört utfallsbaserade ersättningsmodeller för behandlingar med osäker evidens. Erfarenheterna visar att sådana arrangemang kan minska systemrisk, men att genomslaget begränsats av administrativa hinder och otydliga principer (EFPIA & CRA 2025; TLV 2024).

Detta innebär inte ett avståndstagande från kostnadseffektivitetsanalys, utan en ompositionering. Modellerna är användbara under stabila förhållanden, men mindre lämpade som grindvakter när långsiktig osäkerhet är strukturell. Uppgiften är inte att ersätta modeller med godtycke, utan att inordna dem i institutioner som kan lära över tid.

Slutsats: att styra framtiden under osäkerhet

Kostnadseffektivitetsmodeller utvecklades för att vägleda val mellan alternativ under relativt stabila förhållanden och fyller fortfarande en viktig funktion där. De var däremot inte avsedda att fungera som styrinstrument i miljöer

präglade av långa tidshorisoner, begränsad evidens och snabb teknologisk förändring. När ofullständig kunskap behandlas som ett undantag snarare än ett grundvillkor svarar beslutssystem med att kräva allt mer evidens innan åtgärder tillåts. Fördröjd tillgång minskar lärande, och bristen på lärande används sedan som argument för ytterligare försiktighet. Resultatet är inte återhållsamhet utan beslutsparalys.

Utmaningen för moderna välfärdsstater är därför inte att eliminera osäkerhet – i många medicinska områden är det varken möjligt eller önskvärt – utan att organisera institutioner som kan hantera risk. Beslutssystem måste kunna skilja mellan tillgång och betalning, så att patienter kan få behandling under begränsad evidens samtidigt som finansieringen struktureras över tid. Risk måste fördelas och styras, inte undvikas, och ansvar omfatta långsiktiga utfall snarare än enbart kortsiktig budgetpåverkan.

Frågan är därmed också institutionell och politisk. Under lång tid har konsekvensrika beslut delegerats till tekniska myndigheter utan att mål, mandat och utvärderingsramar prövats mot förändrade förutsättningar. I avsaknad av sådan omprövning tenderar etablerade modeller att få normativ tyngd och i praktiken definiera gränserna för offentligt finansierad vård genom rutinmässig tillämpning snarare än medvetna val.

Alternativet är att fortsätta använda kostnadseffektivitetsmodeller som grundvakter i miljöer de inte är konstruerade för och därmed förväxla metodologisk stringens med frågan om huruvida institutionerna faktiskt uppfyller sina långsiktiga syften.

Det avgörande valet står därför inte mellan försiktighet och ambition, utan

mellan institutioner som kräver säkerhet innan de agerar och institutioner som är utformade för att lära under osäkra förutsättningar.

REFERENSER

Arrow, K J (1963), "Uncertainty and the Welfare Economics of Medical Care", *American Economic Review*, vol 53, s 941–973.

Copenhagen Economics & European Expert Group on Orphan Drug Incentives (EEXO-DI) (2023), *An EU HTA Fit for Rare Diseases, Part 1*, rapport, EEXO-DI, Köpenhamn.

Cutler, D M och M McClellan (2001), "Is Technological Change in Medicine Worth It?", *Health Affairs*, vol 20, s 11–29.

Drummond, M F, M J Sculpher, K Claxton, G L Stoddart och G W Torrance (2015), *Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes*, Oxford University Press, Oxford.

EFPIA (2024), *Patients W.A.I.T. Indicator Survey 2024*, EFPIA, Bryssel.

EFPIA & CRA (2025), *The Root Causes of Unavailability and Delay to Innovative Medicines in Europe*.

European Parliament (2024), *Legislative Resolution of 10 April 2024 on the Union Code Relating to Medicinal Products for Human Use*.

Jensen, M C och W H Meckling (1976), "Theory of the Firm: Managerial Behavior, Agency Costs and Ownership Structure", *Journal of Financial Economics*, vol 3, s 305–360.

Olry de Labry-Lima, A M fl (2023), "Challenges for Economic Evaluations of Advanced Therapy Medicinal Products: A Systematic Review", *Value in Health*, vol 26, s 138–150.

Regeringens proposition (1996/97:60), *Prioriteringar inom hälso- och sjukvården*.

Sandman, L (2024), *Etisk analys – läkemedel för vanliga tillstånd*, Prioriteringscentrum, Linköpings universitet

Smith, P C (1995), "On the Unintended Consequences of Publishing Performance Data in the Public Sector", *International Journal of Public Administration*, vol 18, s 277–310.

TLV (2023), "Uppdrag att analysera och föreslå hur patienters tillgång till läkemedel vid sällsynta sjukdomar kan stärkas", rapport, TLV, Stockholm.

TLV (2024), "Praktiska förutsättningar för stärkt tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd", rapport, TLV, Stockholm.