

RoL nr 255 mars 2026

Referenser

”The Fast and the Curious” – Om snabbare marknadsstillträde och långsamma svar på effektfrågan

1. National Academies of Sciences E, Division H and M, Policy B on HS, Union C on P to E the S and E of D for RD or C in the US and the E, Shore CK, Worku TL, m.fl. EMA Flexibilities, Authorities, and Mechanisms. I: Regulatory Processes for Rare Disease Drugs in the United States and European Union: Flexibilities and Collaborative Opportunities [Internet]. National Academies Press (US); 2024 [citerad 31 oktober 2025]. Tillgänglig vid: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK609384/>
2. Kunskapsunderlag - Långsiktigt hållbart tillgängliggörande av sällsynta läkemedel i Sverige [Internet]. 2024 Tillgänglig vid: https://www.regionvasterbotten.se/VLL/Filer/Kunskapsunderlag%202024_La%CC%8Aangsigtigt%20ha%CC%8Aallbart%20la%CC%88kemedelssystem_FINAL20241218.pdf
3. laboratory-patient-journey-centrally-authorized-medicine_en.pdf [Internet]. [citerad 30 oktober 2025]. Tillgänglig vid: https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/laboratory-patient-journey-centrally-authorized-medicine_en.pdf
4. Orphan designation: Overview | European Medicines Agency (EMA) [Internet]. 2009 [citerad 30 oktober 2025]. Tillgänglig vid: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/orphan-designation-overview>
5. European Agency for the Evaluation of Medicinal Products. Annual Report 2022: the European Medicines Agency’s contribution to science, medicines and health in 2022. [Internet]. LU: Publications Office; 2023 [citerad 30 oktober 2025]. Tillgänglig vid: <https://data.europa.eu/doi/10.2809/08948>
6. Rare, but ready: Why the future of pharma runs through rare disease [Internet]. [citerad 31 oktober 2025]. Tillgänglig vid: <https://www.zs.com/insights/rare-disease-pharma-innovation>
7. Ramona P. Revision of the EU legislation on medicines for children and rare diseases.
8. Alverlind S. Stärkt tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd – till långsiktigt hållbara läkemedelskostnader.
9. Slutrapport -Praktiska förutsättningar för stärkt tillgång till läkemedel vid sällsynta hälsotillstånd [Internet]. [citerad 04 november 2025]. Tillgänglig vid: https://www.tlv.se/download/18.6eef4347193defb9de261bd1/1738747395537/slutrapport%20-praktiska_forutsattningar_for_starkt_tillgang_till_lakemedel_vid_sallsynta_halsotillstand_00663-2024.pdf