

Initiativ inom precisionsmedicin och  
ATMP i Sverige  
– en orientering

Innehållsförteckning:

1	Precisionsmedicin – en genomgripande modernisering av hälso- och sjukvården .....	4
2	Prioriterade utmaningsområden .....	5
2.1	Implementering av precisionsmedicin och avancerade terapier i hälso- och sjukvården - Exempel.....	5
2.1.1	Precisionsmedicinskt centrum Karolinska .....	5
2.1.2	ATTC i en svensk kontext - delarbete från arbetsgruppen, se också bilaga a.....	6
2.1.3	Precisionsmedicin diagnostisk utveckling .....	6
2.1.4	GMS som nationell och regional struktur .....	6
2.1.5	Analytic Imaging Diagnostics Arena, AIDA .....	7
2.1.6	Lärdomar från samnordisk process – delarbete från arbetsgruppen, se också bilaga b... 8	
2.1.7	Implementering av precisionsmedicin och ATMP kräver välgrundade beslutsunderlag baserade på hälsoekonomiska värderingar - delarbete från arbetsgruppen, se också bilaga c .....	10
2.1.8	Vinnovas finansiering av ATMP-projekt.....	10
2.1.9	Integrerad diagnostik - delarbete från arbetsgruppen, se också bilaga d.....	11
2.1.10	GMS pilot gällande “datasjöar” .....	12
2.1.11	AI-strategi för Region Östergötland.....	12
2.1.12	AI – inom Precision Medicine Task Force.....	13
2.2	Finansieringsmodeller – Exempel .....	13
2.2.1	Finansieringssystem för precisionsmedicin - kartläggning och prioriteringsunderlag - delarbete från arbetsgruppen .....	13
2.2.2	Västerbottens Vitbok “Tillsammans för tillgängliggörande av avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar i Sverige” .....	14
2.3	Prevention.....	15
2.4	Kliniska studier och prövningar – Exempel .....	15
2.4.1	Nationell samordning av kliniska studier och prövningar, se också bilaga e.....	15
2.4.2	Utveckla legala förutsättningar för källdataverifiering vid kliniska studier - delarbete från arbetsgruppen, se också bilaga f.....	16
2.5	Forskningsinfrastrukturer och kapacitet för produktion och logistik - Exempel .....	17
2.5.1	Produktionskapacitet för ATMP i Sverige - delarbete från arbetsgruppen .....	17

Rapporten redovisar det arbetet som den nationella arbetsgruppen för precisionsmedicin/ATMP (eng. Advanced Therapy Medicinal Products) har genomfört från och med hösten 2020 fram till i april 2021. Metodiken har varit att skaffa kunskap om nationella och regionala initiativ i syfte att få en tydligare bild av framgångsfaktorer och hinder samt förslag på lösningar eller till nästa steg/spridning. I sammanhanget har också kunskap om initiativen spridits mellan regional och nationell nivå och mellan olika regioner. De prioriterade utmaningsområdena för arbetsgruppens arbete har varit implementering i hälso- och sjukvården, finansieringsmodeller, prevention, kliniska studier/prövningar respektive forskningsinfrastrukturer och kapacitet för produktion och logistik.

Det hittillsvarande arbete med dess urval av initiativ och iakttagelser behöver i det fortsatta arbetet kompletteras med

- närmare analys av initiativen och iakttagelserna i sig,
- förslag till uppdrag till myndigheter samt förslag inom de områden där staten, regioner och andra aktörer genom partnerskap behöver genomföra insatser.

Initiativen har identifierats genom en s.k. bottom-up-process i arbetsgruppen och representerar därmed en bredd av frågeställningar. Delarbetsgrupperna har haft olika sammansättning. Vissa har haft representation från flera aktörer i systemet, medan andra endast involverat en eller ett fåtal aktörer. Vidare har slutsatser och förslag från delarbetsgrupperna inte analyserats och diskuterats gemensamt i arbetsgruppen och kan därför inte ses som arbetsgruppens samlade ståndpunkt. De initiativ som delarbetsgrupperna har arbetat med är särskilt markerade i rapporten. Syftet med att inkludera även andra regionala och nationella initiativ är att ge en mer heltäckande bild av arbetet med precisionsmedicin och ATMP i Sverige.

En slutsats från hela gruppens arbete är att det finns behov av att i nästa fas

- a. tydligare adressera den faktiska kliniska implementeringen,
- b. förstärka representationen från profession samt strategisk hälso-och sjukvårdsnivå
- c. Identifiera och – om möjligt - lösa organisatoriska utmaningar vid implementering av precisionsmedicin,
- d. etiska perspektiv och frågeställningar samt
- e. förstärka patientperspektivet och involvering av patientföreningar.

Den nationella arbetsgruppen för precisionsmedicin/ATMP består av representanter från viktiga organisationer inom området<sup>1</sup>. S.k. champions för arbetsgruppen från Samverkansgruppen Hälsa & Life Science är Anders Blanck, Lif, och Ole Petter Ottersen, Karolinska Institutet. Den operativa ledningen för arbetsgruppen utgörs av Frida Lundmark, Lif med stöd av Maria Lönn, Karolinska Institutet.

---

<sup>1</sup> Anna Alassaad, TLV; Sofie Alverlind, Sveriges kommuner och regioner (SKR); Karin Båtelson, Sveriges läkarförbund (fr.o.m. februari 2021) Sylvie Bove, Rise; Margareta Haag, Nätverket mot cancer; Malin Hollmark, Swedish Medtech; Johan Hyllner, Sweden Bio/AstraZeneca; Stephanie Juran; Sällsynta diagnoser; Dag Larsson, LIF; Björn Odlander, Healthcap; Lars Palmqvist, Västragötalandsregionen; Anna Sandström, AstraZeneca; Sofia Rydgren Stale, Sveriges läkarförbund (t o m januari 2021); Mia Wadelius, Uppsala universitet

Arbetsgruppen har arbetat nära den nationella arbetsgruppen för hälsodata.

### 1 Precisionsmedicin – en genomgripande modernisering av hälso- och sjukvården

Precisionsmedicin är skraddarsydd prevention, diagnostik, behandling och uppföljning som baseras på individens unika behov och förutsättningar. Behoven och förutsättningarna ska utvärderas vid beslut som rör patienten. På så sätt säkerställer hälso- och sjukvården rätt behandling till rätt patient vid rätt tidpunkt. ATMP, eller Avancerade terapiläkemedel, är en grupp läkemedel och behandlingar som baseras på celler, vävnader eller gener och som regleras av en särskild lagstiftning på europeisk nivå. Dessa terapier delas in i somatiska cellterapi, genterapi och vävnadstekniska produkter, samt kombinationsläkemedel som innehåller avancerade terapiläkemedel.

För den medicinska vetenskapen och hälso- och sjukvården innebär en förskjutning mot precisionsmedicin och ATMP en genomgripande modernisering. Det ger fördelar för

- **patienterna** då forskningsresultat snabbt direkt påverkar hälso- och sjukvården och möjligheterna till avancerad diagnostik och behandling
- **forskningen** och forskningens möjligheter att generera ny kunskap. Kunskap från hälso- och sjukvården genererar data och hypoteser. Nyttiggörandet av forskningsresultat ökar till följd av minskat avstånd mellan forskning och kliniska implementering
- **hälso- och sjukvården** då forskningsresultat förhållandevis snabbt kan tillämpas i vården. Parallellt med en förmodad ökad effektivitet ökar även kvaliteten i hälso- och sjukvården genom goda möjligheter att optimera en behandling för en den enskilde patienten.
- **Life Science-företagen** genom utvecklings- och affärsmöjligheter kopplade till klinisk forskning, diagnostik, behandling och – inte minst – samverkan.

För att nå framgång inom precisionsmedicin krävs initiala investeringar i infrastruktur och lösningar som möjliggör implementering på bred front. Praktiska och legala möjligheter behöver ges för att möjliggöra en ökad användning av hälsodata. Även betydande forskningsinsatser och kompetenshöjande insatser inom området behöver tillkomma.

Staten och-, regionerna har tillsammans med företagen ett gemensamt ansvar för att skapa goda förutsättningar för precisionsmedicin. Här har alla utmaningar och svårigheter som följt med den pågående pandemin visat att det är möjligt att snabbt ställa om hälso- och sjukvården. Samtidigt har pandemin visat på förbättringsmöjligheter i det svenska systemet. Samma utmaningar är giltiga för precisionsmedicin med en mångfald av aktörer, flera reglerande myndigheter etc.

Den här rapporten presenterar flera av de komponenter som möjliggör den modernisering av hälso- och sjukvården som en bred implementering av precisionsmedicin innebär. Detta avser de krav som behöver ställas och strukturer som behöver komma på plats för att Sverige ska bli en ledande life science-nation, särskilt vad gäller om implementering av precisionsmedicin.

Det tidigare samverkansprogrammet har gjort satsningar som beskrivs i rapporten. Det handlar om AIDA<sup>2</sup>, Analytic Imaging Diagnostics Arena, samt GMS<sup>3</sup>, Genom Medicine Sweden.

## 2 Prioriterade utmaningsområden

### 2.1 Implementering av precisionsmedicin och avancerade terapier i hälso- och sjukvården - Exempel

#### 2.1.1 Precisionsmedicinskt centrum Karolinska

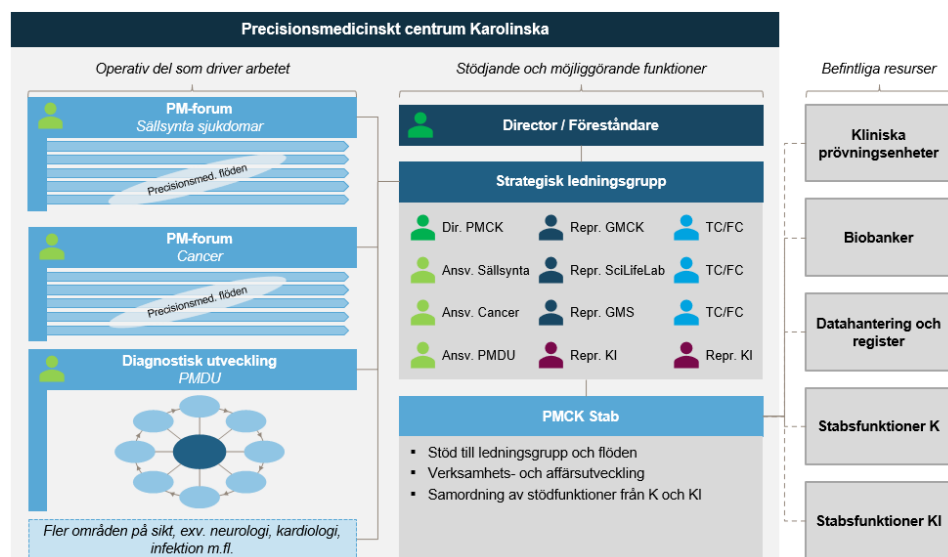
##### Målsättning:

*Bidra till långsiktig och bred etablering av precisionsmedicin vid Karolinska universitetssjukhuset, i samverkan med Karolinska Institutet*

Karolinska Institutet (KI) och Karolinska Universitetssjukhuset arbetar för närvarande tätt tillsammans för att etablera hållbara strukturer för att implementera precisionsmedicin i den kliniska vardagen. Det är nödvändigt med ett sömlöst samarbete mellan akademi och hälso- och sjukvård avseende diagnostik, behandling, utveckling och forskning.

Ett av centrets första uppdrag är att arbeta fram en mer långsiktig organisation och arbetssätt som ska stötta ett accelererat införande av precisionsmedicin i hälso- och sjukvården. En viktig del är att ta fram ett samarbetsavtal mellan Karolinska Universitetssjukhuset och KI som ska förenkla processer som korsar myndighetsgränser. Även flöden inom sjukhuset behöver utvecklas. Ett precisionsmedicinskt forum ska inrättas, initialt inom två fokusområden: sällsynta sjukdomar och cancer. Långsiktigt kommer konceptet att breddas till fler sjukdomsområden.

##### Förslag på organisationsmodell



Figuren beskriver den tentativa organisationsmodellen för PMCK.

<sup>2</sup> <https://liu.se/en/research/aida>

<sup>3</sup> <https://genomicmedicine.se/en/>

### *2.1.2 ATTC i en svensk kontext - delarbete från arbetsgruppen, se också bilaga a*

#### **Målsättning:**

*Sverige ska vara världsledande i att tillgängliggöra ATMP för patienter i Sverige*

Målsättningen adresseras i detta exempel konkret genom att föreslå och utveckla en modell där svenska ATMP-centra ska kunna erbjuda koordinering av expertis inom regulatorisk rådgivning, tillverkning, diagnostik, behandling, omvårdnad och uppföljning i världsklass till patienter i Sverige. Detta förutsätter nära samverkan mellan forskning, näringsliv och hälso- och sjukvård samt medinvolvering av patient- och närstående-representanter. En annan grundläggande förutsättning är möjligheten att tillgängliggöra hälsodata från hälso- och sjukvården för forskning, innovation och uppföljning av ATMPs. ATMP kopplar till olika delar av hälso- och sjukvårdens organisation samt till en rad olika professioner. Genom att initialt organisatoriskt samla verksamheten inom ATMP-centra initialt vid universitetssjukhusen och därigenom stärka kompetensen och möjliggöra en kraftsamling ökar förutsättningarna för Sverige att nå målsättningen om att tidigt kunna ge tillgång till ATMP-behandlingar i Sverige.

För att nå målsättningen finns ett tydligt behov av ökad samordning mellan ATMP-centra och ett nära samarbete med företagen. Nulägesbeskrivningen beskriver väl nuvarande strukturer och arbetet med att etablera ATMP-centra i Sverige. Detta utgör också utgångspunkt för det fortsatta arbetet med att ta fram konkreta åtgärdsförslag till Samverkansgruppen för att bidra till att målsättningen om att Sverige ska vara världsledande i tillgängliggörandet av avancerade av avancerade terapier. Åtgärdsförslagen kommer att presenteras för Samverkansgruppen vid mötet den 10 november 2021.

### *2.1.3 Precisionsmedicin diagnostisk utveckling*

#### **Målsättning:**

*Förbättra och effektivisera diagnostiken*

Precisionsmedicin ställer nya krav på en diagnostik som integrerar klinisk verksamhet, laboratorier och olika utbildningsteknologier. Karolinska Institutet och Karolinska Universitetssjukhuset driver därför ett gemensamt initiativ med "proof-of-concept" inom diagnostik som inkluderar prov-, bild- och datahantering. Möjligheter till att utveckla AI och "machine learning" inom diagnostikområdet ingår som en komponent. Initiativet drivs i direkt samarbete med Precisionsmedicinskt centrum Karolinska (se ovan).

### *2.1.4 GMS som nationell och regional struktur<sup>4</sup>*

#### **Målsättning:**

*Implementera precisionsmedicin i Sverige*

Implementering av precisionsdiagnostik och precisionsmedicin är en i allra högsta grad både nationell och regional fråga. Genomic Medicine Sweden (GMS) är ett nationellt

---

<sup>4</sup> <https://genomicmedicine.se/en/>

Samverkansprojekt med den övergripande målsättningen att implementera precisionsmedicin i hälso- och sjukvården, primärt med fokus på avancerad genetisk analys såsom exempelvis helgenomsekvensering, dvs. precisionsdiagnostik. Projektet finansieras av Vinnova tillsammans med regioner och universitet. En prioriterad målsättning är att möjliggöra tillgång till precisionsdiagnostik oavsett var i landet patienterna finns. För att nå målsättningen har man inom GMS skapat en nationell övergripande struktur med regionala noder, Genomic Medicine Centers (GMCs) för att möjliggöra regional tillgång till precisionsdiagnostik. Modellen med regionala GMCs ger goda förutsättningar att regionalt utveckla och förankra implementeringen av helgenomsekvensering i hälso- och sjukvården. På sikt skulle infrastrukturen som nu etableras kring GMS också kunna användas ur ett bredare perspektiv som nationell infrastruktur för implementering också av annan precisionsdiagnostik såsom andra omics-teknologier etc.

Ökad tillgång till precisionsdiagnostik ställer också krav på ökade möjligheter att följa upp diagnoser med såväl tillgängliga behandlingar som möjlighet att delta i kliniska studier och prövningar. En väl utbyggd infrastruktur för implementering av precisionsmedicin är därför av yttersta vikt för att nå målsättningen i regeringens Life Science-strategi om att Sverige ska vara ett föregångsland i implementering och införande av precisionsmedicin.

#### *2.1.5 Analytic Imaging Diagnostics Arena, AIDA<sup>5</sup>*

##### ***Målsättning:***

***Etablera storskalig tillämpning och användning av artificiell intelligens av svensk hälso- och sjukvård***

Implementering av precisionsmedicin i hälso- och sjukvården ställer ökade krav på tillgång till kapacitet och förutsättningar för storskalig analys och möjligheter att utveckla och använda artificiell intelligens (AI) inom hälso- och sjukvården. Utvecklingen inom området under senare år har accelererat och idag finns helt nya förutsättningar för implementering av AI i hälso- och sjukvården. AI är vidare ett viktigt verktyg för att fullt ut implementera precisionsmedicin och realisera regeringens målsättning om Sverige som en ledande nation i att implementera precisionsmedicin i hälso- och sjukvården. Dock har i nuläget få AI-lösningar nått klinisk implementering.

AIDA är en nationell arena för forskning och innovation inom medicinsk bildanalys och ett tvärvetenskapligt samverkansprojekt som syftar till storskalig användning av AI i hälso- och sjukvården. I arenan möts akademi, sjukvård och företag för att omsätta tekniska framsteg inom AI-teknik till patientnytta i form av kliniskt användbara verktyg. Centrum för medicinsk bilddiagnostik och visualisering är värd för arenan som syftar till att hjälpa alla svenska aktörer inom området.

---

<sup>5</sup> <https://liu.se/forskning/aida>

*2.1.6 Lärdomar från samnordisk process – delarbete från arbetsgruppen, se också bilaga b*

**Målsättning:**

*Möjliggöra tidig och jämlik tillgång till läkemedel i de nordiska länderna genom en mer effektiv utvärderingsprocess (målsättning om maximalt 90 dagar).*

FINOSE är ett nordiskt samarbete mellan HTA-myndigheter i TLV (Sverige) läkemedelsverket Fimea (Finland), och Statens legemiddelverk, NoMA (Norge) som initierades 2017 och etablerades under 2018 som en pilot.

Gemensamma hälsoekonomiska utvärderingar skapar förutsättningar för minskade skillnader mellan länderna i vilka antaganden som görs i den hälsoekonomiska analysen och vilka krav som ställs på bevisbördan hos företaget. Vidare behöver företaget skicka in endast ett underlag och komplettera med mindre nationella justeringar. Samarbetet minskade även arbetsbelastningen för respektive myndighet eftersom arbetet fördelades mellan de nordiska myndigheter som ingick i samarbetet. Underlaget från den hälsoekonomiska utvärderingen kan även möjliggöra ett mer effektivt arbete med gemensamma förhandlingar.

Utmaningarna grundar sig i att myndigheternas uppdrag skiljer sig åt. Det har därför varit viktigt att inför utvärderingarna diskutera igenom behoven, med fokus på det specifika ärendet. För Sverige har det innefattat att tydliggöra det svenska systemets skillnader mellan ett subventionsärende och ett klinikläkemedel och vad som är viktigt för klinikläkemedelsprocessen. Andra centrala delar för ett fungerande samarbete har varit att diskutera och tydliggöra roller mellan länderna samt att sätta upp en gemensam tidplan. En öppen dialog med företaget med uppdateringar om bland annat tidplan och preliminära bedömningar har också varit betydelsefullt för ett fungerande arbete.

I takt med att fler gemensamma utvärderingar genomförs inom samarbetet för FINOSE förväntas arbetet bli mer effektiviserat. Bland annat har myndigheterna tagit fram en gemensam mall för underlag för beslut och länderna ska fortsätta att utveckla arbetsätten mellan varandra. TLV, NoMA och Fimea har dessutom genomfört ett antal workshops med syftet att utvärdera och diskutera olika ståndpunkter avseende ett antal ämnesområden:

- Utvärdering av indikationer oberoende av histologi (värd, NoMA, oktober 2018)
- Utvärdering av kombinationsbehandlingar (TLV, december 2018)
- Utvärdering av potentiellt kurativa behandlingar (Fimea, april 2019)
- Användandet av RWD vid beslutsfattande, olika metoder för diskontering (TLV, oktober 2019)

Nordiskt läkemedelsforum etablerades 2015 som ett forum för informell samverkan och dialog kring läkemedelsfrågor. Syftet är kunskaps- och erfarenhetsutbyte, att identifiera möjligheter till samverkan och arbeta för gemensamma nordiska för läkemedel. Sverige, Norge, Danmark och Island medverkar. Gemensamma nordiska förhandlingar är identifierat som ett område att pröva och utveckla. I den aktuella förhandlingen gällande Zynteglo, medverkade även Finland.



NT-rådet har regionernas mandat att fatta beslut om svensk medverkan i nordisk förhandling utifrån ovanstående.

Zynteglo utsågs till nordisk förhandling mot bakgrund av gällande kriterier för den nordiskt gemensamma processen. Viktiga skäl var också den gemensamma hälsoekonomiska värderingen genom FINOSE, som innebar att länderna skulle ha tillgång till samma beslutsunderlag vid en förhandling, och att företaget som marknadsför Zynteglo aviserade att man endast planerade två behandlingscenter för Zynteglo i Norden, vilket innebär att nordiska patienter förväntades kunna behandlas utanför hemlandet. Behandlingen innebär en hög kostnad och en hög angelägenhetsgrad. Företagets vilja att bidra och medverka i detta nya arbetssätt var en viktig faktor.

Sverige och Norge koordinerade förhandlingsarbetet där en förhandlingsrepresentant per land medverkade. I samråd med respektive lands beslutsfunktion – för Sverige NT-rådet - enades länderna om en gemensam övergripande målsättning i förhandlingen ”*ensure equal and timely access and affordability of Zynteglo for patients in all the Nordic countries*”. FINOSE-rapporten utgjorde underlag. Dialogen omfattade bland annat betalningsmodeller.

Förhandlingen resulterade i ett erbjudande som bedömdes ge en högre kostnad än vad respektive land skulle acceptera. Utifrån detta beslutade NT-rådet att inte rekommendera Zynteglo. Motsvarande beslut fattades i Norge. Danmark och Finland har i skrivande stund inte kommunicerat beslut gällande Zynteglo. Den 12 mars 2021 meddelade den europeiska läkemedelsmyndigheten EMA att Zynteglo nu ska omfattas av en särskild säkerhetsuppföljning. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/referrals/zynteglo>

I takt med att fler gemensamma utvärderingar genomförs inom samarbetet för FINOSE förväntas samarbetet bli mer effektiviserat. Bland annat har myndigheterna tagit fram en gemensam mall för underlag för beslut och länderna ska fortsätta att utveckla arbetssätten mellan varandra. Regionerna kommer att inom ramen för sin samverkansmodell för läkemedel att satsa ytterligare på nordisk samverkan. I takt med att allt fler högspecialiserade läkemedel som ATMP, når marknaden är det angeläget att det finns tillräckliga resurser hos TLV att genomföra hälsoekonomiska värderingar, arbeta med metodutveckling, och utveckla samarbetet med grannländerna.

Regionerna anser att det nordiska samarbetet är mycket värdefullt och kan bli ett viktigt stöd i att skapa möjligheter att införa nya behandlingar. Även om Zynteglo-ärendet inte resulterade i en positiv rekommendation om användning i Sverige, är det en framgång att länderna arbetat fram ett gemensamt beslutsunderlag och enats om gemensamma principer i en förhandling. Höga engångskostnader och potentiellt komplicerade avtalsmodeller för ATMP innebär en utmaning för betalarna och genom samarbetet kan länderna stötta varandra i svåra avvägningar. Det kan också underlätta för företagen att endast behöva tillhandahålla ett hälsoekonomiskt underlag för alla länderna och ha en dialogpart för hela den nordiska marknaden.

*2.1.7 Implementering av precisionsmedicin och ATMP kräver välgrundade beslutsunderlag baserade på hälsoekonomiska värderingar - delarbete från arbetsgruppen, se också bilaga c*

**Målsättning:**

*Skapa förutsättningar för att kunna implementera metoder inom precisionsmedicin och ATMP genom välgrundade hälsoekonomiska underlag*

En av grundförutsättningarna för implementering av precisionsmedicin och ATMP är möjligheten att bedöma nytta och kostnadseffektivitet av nya metoder och behandlingar. Behandlingar inom precisionsmedicin och ATMP utmanar på flera sätt dagens system för hälsoekonomisk utvärdering, prissättning och implementering. För precisionsmedicin handlar det om att kunna utvärdera kombinationen av diagnostikmetod och efterföljande behandling. Den kliniska dokumentationen för ATMP är ofta begränsad vid marknadsgodkännande och beslut behöver ofta fattas baserat på begränsad klinisk evidens och med stora osäkerheter, framför allt kring varaktighet av effekten. Det krävs också strukturerad uppföljning och utvärdering av de nya behandlingarna i samverkan mellan aktörerna, inklusive patienter, för att successivt öka kunskapen om deras effekt och värde.

Eftersom precisionsmedicin och ATMP generellt används inom slutenvården, görs TLV:s utvärderingar för flertalet av dessa produkter inom ramen för klinikläkemedels- och medicinteknikuppdragen. Det innebär att det är angeläget att TLV har tillräckliga resurser till detta arbete för att möta behovet av hälsoekonomiska värderingar. För närvarande är klinikläkemedeluppdraget endast resurssatt för att klara omkring hälften av de utvärderingar som behövs idag, och behovet väntas öka i takt med att mer komplexa behandlingsmetoder, som ATMP, blir tillgängliga. Inom ramen för delarbetet har TLV och SKR tagit fram en skrivelse till Life Science-kontoret i syfte att stärka TLV:s resurser till att utöka genomförandet av hälsoekonomiska värderingar för läkemedel och medicintekniska produkter och för att utveckla metoder för hälsoekonomiska värderingar för ATMP och precisionsmedicin.

*2.1.8 Vinnovas finansiering av ATMP-projekt*

**Målsättning:**

*Att etablera Sverige som en konkurrenskraftig nation inom ATMP-området*

I Life Science-strategin lyfts utveckling och implementering av ATMPs fram som ett viktigt område för att stärka Sveriges konkurrenskraft och för möjligheten för patienter i Sverige att få tillgång till ATMP-behandlingar. Vinnova finansierar projekt som syftar till att utveckla Sveriges position och potential inom ATMP-området:

- Centre for advanced medical products (CAMP)<sup>6</sup>

---

<sup>6</sup> <https://atmpsweden.se/camp-2/camp/>

- Innovationsmiljön ATMP 2030<sup>7</sup>

De övergripande målsättningarna för dessa projekt är gemensamma, att genom ökad nationell koordinering och samordning såväl nationellt som internationellt bidra till en ökad kapacitet för utveckling och produktion av ATMPs i Sverige.

Inom CAMP ligger ett särskilt fokus på forskning och utveckling för att translatera tidiga ATMP-projekt från preklinisk fas till klinisk implementering, vilket också innebär ett fokus på bioprocessutveckling, GMP-produktion och utveckling av fungerande logistiklösningar på regional och nationell nivå.

Innovationsmiljön ATMP 2030 har ett fokus i att på systemnivå skapa förutsättningar för framgångsrik utveckling och implementering av ATMPs. Visionsmiljön har ambitionen att fungera som en sammanhållande struktur som möjliggör en ökad samverkan mellan relevanta aktörer i systemet. Projektets huvudsakliga målsättningar är ökade förutsättningar för utveckling och tillgänglighet till ATMPs, säkerställa kunskap och kompetens inom området i Sverige och ökad internationalisering och nationell samverkan.

#### *2.1.9 Integrerad diagnostik - delarbete från arbetsgruppen, se också bilaga d*

##### *Målsättning:*

##### *Skapa förutsättningar för att tidig diagnos och tillgång till relevant behandling*

Tillgång till diagnostik är en viktig del i implementeringen av precisionsmedicin i hälso- och sjukvården och förutsättningarna för en datadriven hälso- och sjukvård – där vården anpassas efter individens behov - ter sig alltmer realistisk. Medicinska och kliniska discipliner befinner sig dock idag mer eller mindre i silos i hälso- och sjukvården samtidigt som behovet av en integration av data från olika discipliner ökar. Med utgångspunkt i "front-end" – dvs. hur sammanhållen information delges patient och vårdprofession – kan utmaningar, behov och möjliga lösningar identifieras. En bred bas av kunskap och data skapar de bästa förutsättningarna för optimerade diagnosticerings- och behandlingsmetoder och skapar också förutsättningar att skräddarsy lösningar för enskilda individer. En viktig aspekt att beakta är att det är individen själv som är källan till den data som krävs för att diagnosticera och identifiera en optimal behandlingsmetod. I dagens hälso- och sjukvårdssystem och också inom omsorgen är insamlingen av relevant data distribuerad över såväl olika discipliner som system, som beskriver patientens tillstånd och egenskaper – från olika perspektiv, på olika nivåer, från mikro till makro. Utökade möjligheter att analysera den samlade mängden data på ett systematiskt sätt skapar förutsättningar att realisera den fulla potentialen av de diagnostiska plattformar och teknologier som nu finns tillgängliga, såsom bred genetisk profilering, omics, digitala markörer, patologi, imaging, labresultat, etc. Precisionsdiagnostik ger möjlighet att diagnosticera sjukdomar i tidigt stadium, i vissa fall redan innan symtom uppstår - och att begränsa, senarelägga eller reversera progress av sjukdom. För att realisera målsättningarna i Life Science-strategin förslår delarbetsgruppen

---

<sup>7</sup> <https://atmpsweden.se/atmp-innovation-environment/about-vision-driven-innovation-milleu/>

för "Integrerad diagnostik" att möjligheterna till regionala innovationsinsatser stärks, både inom en enskild region, men också mellan regioner samt att modeller utvecklas för att möjliggöra ett utökat kunskapsutbyte på nationell nivå.

#### *2.1.10 GMS pilot gällande "datasjöar"*

##### *Målsättning:*

##### *Etablera nationella standarder för lagring av genomikdata*

I bred samverkan med hälso- och sjukvård, akademi och företag bygger GMS en infrastruktur som möjliggör förbättrad diagnostik, individanpassade behandlingsval och forskning med fokus på implementering av precisionsmedicin. I ett projekt finansierat av Vinnova via det strategiska innovationsprogrammet Swelife arbetar med GMS med att utveckla nationella standarder för lagring av genomikdata inom svensk hälso- och sjukvård samt skapa ett ramverk för sammankoppling av genomik- och metadata till annan hälsodata för analys och visualiseringsändamål. En viktig del i arbetet består också i att identifiera och belysa behovet av lagändringar som måste genomföras för att möjliggöra säker datadelning på nationell och internationell nivå av primärt genomikdata men i förlängningen också annan hälso- och sjukvårdsdata. En nationell standard för genomisk metadata är nödvändig för visualisering av data för sjukvård, akademi, företag och myndigheter samt för utveckling av avancerade realtidsanalyser såsom AI-baserade applikationer och maskininlärning.

#### *2.1.11 AI-strategi för Region Östergötland*

##### *Målsättning:*

##### *Möjliggöra användning av AI inom hälso- och sjukvården*

Region Östergötland har inom ramen för sitt strategiska arbete utvecklat en regional strategi för implementering av AI i hälso- och sjukvården. Målsättningen är att strategin också ska skapa ökade förutsättningar och fungera som ett grundläggande fundament för implementering och uppbyggnad av precisionsmedicin inom regionen. En viktig del av arbetet är att skapa modeller och strukturer för strukturerad data i enlighet med de vanligaste standarderna för lagring och dataöverföring och skapa förmåga att utifrån verksamhetens behov implementera tillgängliga AI-modeller och kapacitet att vid behov utveckla egna modeller. Ytterligare prioriterade områden är att säkerställa en hög juridisk och regulatorisk kompetens inom regionen och säkerställa att dessa funktioner är integrerade i utvecklings- och implementeringsprojekt snarare än att fungera som en rådgivande funktion. En ytterligare målsättning är att genom implementering av AI-strategin skapa en infrastruktur för att möjliggöra en datadriven hälso- och sjukvård och precisionsmedicin.

### *2.1.12 AI – inom Precision Medicine Task Force*

#### ***Målsättning:***

##### ***Etablera effektivare diagnostik och behandling***

Precisionsmedicin innebär, som har konstaterats, en individanpassning av medicinska behandlingsformer. För att skapa en mer anpassad och därmed effektivare diagnos samt behandling, krävs bland annat: grundläggande kompetens och systematisk implementering av kunskap och nya teknologier; tillgång till stora mängder hälsodata samt system som kan hantera olika former av data. Under det senaste decenniet har tillämpning av AI-teknologier inom det precisionsmedicinska fältet ökat kraftigt och används inom områden som diagnos och bildanalys. Under 2021 kommer en arbetsgrupp inom ramen för Karolinska universitetssjukhuset och KI:s Precision Medicine Task Force att fokusera på diagnostisk utveckling där analys av stora datamängder är av kritisk betydelse. Bland annat har en akademisk deltidsanställning kommit till stånd.

## 2.2 Finansieringsmodeller – Exempel

### *2.2.1 Finansieringssystem för precisionsmedicin - kartläggning och prioriteringsunderlag - delarbete från arbetsgruppen*

#### ***Målsättning:***

##### ***Skapa underlag för beslut om insatser och prioriteringar för utveckling och implementering av precisionsmedicin ur ett finansieringsperspektiv.***

Implementering av precisionsmedicin innebär en omställning för hälso- och sjukvården både avseende organisatoriska förutsättningar, men också i hur det kliniska arbetet bedrivs när den nuvarande modellen utmanas och ställer ökade krav på tvärdisciplinärt arbete inom hälso- och sjukvården. Implementering av precisionsmedicin ställer också större krav på integrerade system och modeller för beslutsstöd och dataanalys när stora datamängder från exempelvis olika diagnostiska plattformar ska utgöra ett sammanvägt underlag för beslut i klinisk vardag. Utöver den faktiska implementeringen i hälso- och sjukvården omfattar precisionsmedicin också delar som forskning och innovation, policyutveckling, utveckling av betal- och ersättningsmodeller samt tillgång till relevanta forskningsinfrastrukturer och kapacitet för produktion av exempelvis ATMPs. Utvecklade finansieringsmodeller krävs därför för att möjliggöra omställning och implementering på olika nivåer och idag saknas konkreta underlag för prioritering av insatser för implementering av precisionsmedicin ur ett finansieringssystemsperspektiv, vilket bidrar till att implementeringen går alltför långsamt. En framgångsrik implementering av precisionsmedicin kräver samverkan och utvecklade samverkansmodeller också avseende finansiering.

Arbetsgruppen har inom ramen för utmaningsområdet "Finansieringsmodeller" därför initierat ett projekt i syftet att ta fram en initial kartläggning och beskrivning av systemet för

precisionsmedicin utifrån ett finansieringsperspektiv. Ingående delkomponenter kartläggs avseende omfattning, berörda aktörer och beroenden mellan olika delkomponenter. Jämlik tillgång till hälso- och sjukvård är en grundläggande princip i det svenska hälso- och sjukvårdssystemet och det föreslagna projektet bidrar också till att öka förutsättningarna till en jämlik tillgång till precisionsmedicin genom att tydliggöra behov och utformning av en finansieringsstruktur på nationell nivå i samverkan mellan akademi, regioner och företag. Projektet finansieras av Vinnova via det strategiska innovationsprogrammet Swelife.

*2.2.2 Västerbottens Vitbok "Tillsammans för tillgängliggörande av avancerade terapier och innovativa läkemedelsbehandlingar för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar i Sverige"<sup>8</sup>*

**Målsättning:**

*Öka patienters tillgång till effektiva, säkra och kostnadseffektiva behandlingar samt att möjliggöra för Sverige att inta en ledande position i implementering av nya innovativa behandlingar*

Den medicinska forskningen har under de senare åren gjort banbrytande vetenskapliga upptäckter vilka har lett fram till utvecklingen av helt nya typer av behandlingar inom såväl cancerområdet som inom behandling av sällsynta sjukdomar. Dessa nya innovativa behandlingar ger i flera fall möjlighet till bot och i andra fall möjlighet till en avsevärt ökad livskvalitet med bibehållen livslängd. Trots dessa nya möjligheter till behandling finns det utmaningar i att implementera och tillgängliggöra dessa behandlingar för patienter i Sverige på ett för regionerna långsiktigt hållbart sätt. I Region Västerbotten har utmaningarna särskilt tydliggjorts genom godkännandet av nya läkemedel för *Skelleftesjukan*, en sjukdom med hög prevalens i Region Västerbotten och där de nya läkemedlen är betingade med en relativt hög kostnad. För att öka möjligheterna att tillgängliggöra dessa nya behandlingar till patienter har därför Region Västerbotten tagit fram en "vitbok" vars syfte är att öka patienters tillgång till effektiva, säkra och kostnadseffektiva behandlingar. Inom ramen för arbetet har man kartlagt utmaningarna utifrån ett implementerings- och betalarperspektiv men också tagit fram förslag som bedöms bidra till att nå målsättningen i Life Science-strategin om att Sverige ska vara ett föregångsland i implementeringen av precisionsmedicin. Fem rekommendationsområden har identifierats i arbetet:

- Ett regulatoriskt system som säkerställer tillgången på såväl äldre som nyare effektiva, säkra och kostnadseffektiva behandlingsalternativ
- Ett adaptivt pris- och ersättningssystem för läkemedel som sänker trösklarna för implementering av nya terapier i klinisk vardag och tillgängliggörande till patienter med sällsynta och svåra sjukdomar

---

<sup>8</sup>[https://www.regionvasterbotten.se/VLL/Filer/RV\\_Vitbok%20Tillsammans%20f%C3%B6r%20tillg%C3%A4ngligg%C3%B6rande\\_20210228\\_HIGH.pdf](https://www.regionvasterbotten.se/VLL/Filer/RV_Vitbok%20Tillsammans%20f%C3%B6r%20tillg%C3%A4ngligg%C3%B6rande_20210228_HIGH.pdf)

- En statlig finansieringsmekanism för nya terapier för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar som stimulerar tidig implementering och evidensgenerering från läkemedelsanvändning i klinisk vardag.
- Ett nationellt grepp om förutsättningarna för att samla in, lagra, hantera, använda och dela tillförlitlig och relevant hälso-, vård- och kostnadsdata från läkemedelsanvändningen i Sverige – på ett informations- och integritetssäkert sätt
- Att gemensamt prioriteringsarbete mellan stat och region, för horisontella prioriteringar i hälso- och sjukvården – inklusive betydelsen av tidig implementering av nya terapier för patienter med sällsynta och svåra sjukdomar

### 2.3 Prevention

Området är prevention kopplat till precisionsmedicin är förhållandevis utforskat och det finns därför i nuläget få etablerade initiativ. Precisionsprevention har dock en betydande roll att spela inom precisionsmedicin och det förebyggande arbetet för “den friska människan i linje med “P4-medicin”, dvs. preventive, predictive, participatory och personalized. För att bidra till utvecklingen har Vinnova etablerat ett program inom området - “hållbar precisionshälsa”. Det handlar om att skapa mer träffsäkra och jämlika metoder för att främja hälsa och välbefinnande, samt att förebygga, diagnostisera och behandla sjukdom.

För att lösa angelägna utmaningar som ojämlik hälsa, ökande livsstilssjukdomar och växande kostnader för sjukvård och omsorg behöver innovationsarbetet sträva mot ett sammanhållet perspektiv på hälsa och välbefinnande. Ny teknik, tillgängliggörande av data, ändamålsenliga regelverk och utvecklade incitamentsstrukturer är hörnstenar i utvecklingen. Arbetsgruppen har därför för avsikt att följa arbetet i olika initiativ som skapar förutsättningar för bred prevention enligt precisionshälsa, till exempel PKU-biobankens pågående digitaliseringsarbete.

### 2.4 Kliniska studier och prövningar – Exempel

#### *2.4.1 Nationell samordning av kliniska studier och prövningar, se också bilaga e*

##### **Målsättning:**

*Bidra till att fler kliniska studier och prövningar genomförs i Sverige och att målsättningen i Life Science-strategin om att fler företagsinitierade kliniska studier ska genomföras i Sverige.*

Under 2020 har Region Skåne tillsammans med Forsknings- och innovationsrådet i Skåne (FIRS) initierat ett arbete för att öka fokuset på kliniska prövningar och med en specifik målsättning om att öka antalet företagsinitierade kliniska prövningar som genomförs i regionen. För att kartlägga och identifiera prioriterade områden att adressera för att nå målsättningen har regionen tillsammans med Vinnova via det strategiska innovationsprogrammet Swelife finansierat en förstudie som genomförts och sammanställt av konsultföretaget Sirona. Rapporten baseras på ett stort antal intervjuer med intressenter från tex myndigheter, branschorganisationer, forskande läkemedelsföretag och regionala

noder, för att klargöra hinder och identifiera relevanta och konkreta insatser. I rapporten sammanställs förslag på åtgärder på nationell och regional nivå för att öka antalet kliniska läkemedelsprövningar i Sverige. En målsättning som är angelägen ur ett patientperspektiv utifrån möjligheten till bättre hälso- och sjukvård för patienter i Sverige, men också för att stärka svensk Life Science. För att patienter ska få tillgång till nya behandlingsmetoder krävs insatser från intressenter på alla nivåer. I rapporten lyfts fem huvudsakliga områden fram:

1. Uppdrag, mål och uppföljning – Skapa mål i hälso-och sjukvårdens uppdrag för att kliniska läkemedelsprövningar ska bedrivas och inkludera målet i hälso-och sjukvårdsnämndernas avtal. Specificera även konkreta mål för kliniska läkemedelsprövningar på nationell, regional och vårdenhetsnivå och säkra strukturer för uppföljning
2. Finansiering och ersättningsmodeller – För att kunna finansiera mjuk infrastruktur och ersättningsmodeller för kliniska läkemedelsprövningar bör resurser omfördelas och den svenska Life Science-strategin kopplas till finansiella medel
3. Förutsättningar för mjuk infrastruktur – Skapa initiativ för att stärka närvaron av forskningssjuksköterskor och annan forskningsstödjande personal.
4. Marknadsföring och profilering – Samverka med aktörer för att marknadsföra Sverige utanför Norden, öka profileringen genom tillhandahållande av marknadsförings- och informationsmaterial.
5. Initiativ för utökad studiepopulation – Möjliggör effektiva processer och modeller också för komplexa feasibilitystudier och utöka samarbetet med patientorganisationer och ökad nordisk samverkan.

*2.4.2 Utveckla legala förutsättningar för källdataverifiering vid kliniska studier - delarbete från arbetsgruppen, se också bilaga f*

**Målsättning:**

*Skapa legala förutsättningar för källdataverifiering vid kliniska studier*

Genomförandet av kliniska läkemedelsprövningar sker i enlighet med ett strikt regelverk. I Sverige är Läkemiddelverket ansvarig myndighet för att ge tillstånd till att starta kliniska läkemedelsprövningar. Läkemiddelverket har också tillsynsansvaret för att prövningen genomförs i enlighet med såväl internationella som nationella lagar, regler och föreskrifter. Ett centralt regelverk för kliniska läkemedelsprövningar är "Good Clinical Practice (GCP)". GCP är en internationell kvalitetsstandard som utgår från att etiska och vetenskapliga aspekter är tillgodosedda när en klinisk läkemedelsprövning på människa utformas, genomförs, dokumenteras och rapporteras.

Den pågående Covid-19 pandemin har aktualiserat behoven av att kunna genomföra kliniska läkemedelsprövningar i enlighet med GCP och övriga regelverk avseende säkerhet och kvalitet, samtidigt som det måste ske på ett smittsäkert och resurseffektivt sätt. Detta innebär bland annat att i så stor utsträckning som möjligt genomföra kliniska läkemedelsprövningar utan icke nödvändiga personliga kontakter med hälso- och sjukvården.



Som en del i detta ansvar ingår ett moment som kallas *källdataverifiering*. Det innebär en kontroll av att de uppgifter som finns i prövningens dokumentation och som utgår från patientens journaluppgifter, är korrekta och rätt överförda till prövningsdatabasen. Källdataverifiering genomförs i form av stickprov, både schemalagt och händelsestyrt. Förutsättningarna för att källdataverifiera mot patientjournal, regleras i Sverige av Patientdatalagen (PdL) respektive Offentlighet- och sekretesslagen (OSL). Tillsynsmyndigheten för PdL är Integritetsskyddsmyndigheten (IMY). I såväl domar som tillsynsbeslut har det fastslagits att PdL inte medger källdataverifiering genom utlämnande av data i form av direktåtkomst till journal.

För att adressera frågeställningen och identifiera möjliga lösningar har arbetsgruppen formulerat ett förslag till Kommittén för teknologisk innovation och etik (KOMET) inom ramen för KOMETS insamling av regelhinder för utveckling och implementering av precisionsmedicin.

## 2.5 Forskningsinfrastrukturer och kapacitet för produktion och logistik - Exempel

### *2.5.1 Produktionskapacitet för ATMP i Sverige - delarbete från arbetsgruppen, se också bilaga g*

#### **Målsättning:**

***Skapa förutsättningar för produktionskapacitet av ATMP samt ökade investeringar inom området***

Majoriteten av företag i Sverige aktiva inom ATMP-området, såväl små- som medelstora företag, har sitt ursprung från akademiska forskningsprojekt vilka bolagiserats och projekten har överförs till nystartade företag för att möjliggöra ytterligare utveckling och framtida kommersialisering. Utvecklingen är beroende av tillgång till såväl riskkapital från internationella investerare men också tillgång till relevanta stödfunktioner och infrastrukturer. Förutsättningarna för att fullt ut utveckla, producera och kommersialisera ATMPs i Sverige för dessa typer av företag är begränsade vilket innebär att utvecklingsaktiviteter och investeringar istället ofta förläggs utomlands. Detta är något som i sin tur innebär att Sverige inte får full avkastning av sina forskningsinvesteringar såvida inte tillgång till nödvändigt stöd för ATMP-utveckling, tillverkning och kommersialisering erbjuds. Etablering av denna typ av infrastruktur för ATMP-utveckling och produktion skulle också bidra till ökade möjligheter för Sverige att etableras som ett attraktivt land för ATMP-utveckling ur ett internationellt perspektiv och skulle också ge förutsättningar för såväl SMEs som globala företag att förlägga investeringar inom ATMP-området till Sverige.

I arbetet delarbetsgruppen "Produktionskapacitet för ATMP i Sverige" har arbetet utgått från det arbete som nu bedrivs inom ramen för det Vinnovafinansierade projektet "Sverige ledande inom avancerade terapier 2030" i att ta fram underlag och behovsanalys för en svensk utvecklings- och produktionsanläggning med *Centre for Commercialization of Regenerative Medicine (CCRM)* i Toronto, Kanada som utgångspunkt. Målsättningen är att

etablera en nationellt tillgänglig infrastruktur för att stödja utveckling, tillverkning och kommersialisering av ATMP och relaterad teknik och därmed motsvara identifierade utvecklingsbehov i det svenska systemet och komplettera övriga redan etablerade funktioner och initiativ inom ATMP-området. För att utveckla förslaget vidare föreslås ett samverkansprojekt mellan relevanta intressenter för att konkretisera en etablering av CCRM.