

6 september 2023

Svar på remiss om Förslag på åtgärder för att skapa bättre förutsättningar för kliniska prövningar

Dnr Remiss: [KN2023/03556](#)

Remissinstans:

Riksförbundet Sällsynta diagnoser, Box 1386, 172 27, Sundbyberg, info@sallsyntadiagnoser.se

Riksförbundet Sällsynta diagnoser representerar 16 000 medlemmar och närmare 200 olika sällsynta hälsotillstånd. Vi arbetar för att alla personer i Sverige som lever med sällsynta hälsotillstånd ska ha tillgång till bästa vård, stöd och behandling.

Sammanfattning

Riksförbundet Sällsynta diagnoser välkomnar regeringens satsning på denna utredning och ser mycket positivt på det gedigna arbete som ligger bakom rapporten.

Vi instämmer med utredningens bedömning att brett samarbete behövs mellan alla: vård, patientrörelsen, forskning, företag och beslutsfattare. Det saknas dock en tydlig prioritering av åtgärder.

Vi anser att betydelsen av samarbete med patientrörelsen inte har kartlagts tillräckligt. Patientföreträdare/patientorganisationer nämns bara på ett fåtal ställen och dessutom med en organisation (EUPATI) som har ett annat syfte. Denna brist resulterar i att även patientföreträdarens ställning i den föreslagna samverkansmodellen är för svag. Det visar sig t.ex. i att patientföreträdare bara är adjungerade i SweTrials styrgrupp.

Dessutom saknas förslag till och resurser för hur en bra struktur ska byggas upp för ett meningsfullt samarbete med patientrörelsen. För en tydlig beskrivning av hur ett jämlikt samarbete bör gestaltas se rapporten "Patient- och närståendesamverkan för bättre forskning och hälso- och sjukvård"¹.

Utöver detta saknar vi en specifik diskussion av de särskilda utmaningar som följer kliniska studier för små patientgrupper och särskilt sällsynta hälsotillstånd. Det behövs eftersom:

- Precisionsmedicinens framgång leder till allt mindre patientpopulationer.

¹ <https://biobanksverige.se/dokument/patient-och-narstaendesamverkan-for-battre-forskning-och-halso-och-sjukvard/>

- Många precisionsmedicinska behandlingar riktar sig till sällsynta hälsotillstånd där t.ex. avsaknad av (kvalitets-)register gör identifikation och inklusion av studiedeltagare extra svårt.

För en analys av små diagnospopulationernas behov och relaterade rekommendationer för ökat antal kliniska prövningar, se rapporten "Clinical trials research needs recommendation"².

För att nå relevant antal patienter som tillfrågas anser vi att de förslagna lagändringarna bör belysas skyndsamt, vid bibehållen datasäkerhet och en hög grad av inkludering av patientperspektivet.

Nedan kommer vi ge konkreta exempel, relaterade till utredningens förslag (sida 211 – 250)

Detaljerat ställningstagande

Ställningstagande SweTrial

Vi ser positivt på förslaget att etablera ett nationellt partnerskap mellan industri och hälso- och sjukvården inom SweTrial. Vi anser dock att patientrörelsens ställning behöver stärkas och vara en ordinarie part i styrgruppen, samt representerad i det nationella kansliet. Patientperspektivet behöver bidra till formulering av målsättning, handlingsplaner, verksamhetsplaner och identifiering av terapinätverk.

Ställningstagande nationella terapinätverk

Vi välkomnar förslaget att organisera nätverkens arbete nationellt inom specifika terapiområden. Vi anser dock att nätverkens handlingsplaner behöver tas fram med tydlig fokus också på patientens behov, och inte bara på industrins och regionernas önskemål och förutsättningar.

Ställningstagande prioriterade satsningar

Vi ställer oss kritiska till att de prioriteringsområden som nämns i utredningen fokuserar på folksjukdomar: cancer, hjärta-kärl och infektionsmedicin. Som vi nämnde i vår sammanfattning medför utvecklingen mot precisionsmedicin stora utmaningar för hela hälso- och sjukvården, inte minst på grund av de allt mindre patientpopulationer och behov av nära samarbete mellan forskning och klinisk verksamhet. Det medföljer även större osäkerhet och svårigheter till jämlik fördelning av expertis och vård över landet. Allt detta är välbekanta utmaningar inom området sällsynta hälsotillstånd och där finns det redan idag stor kunskap och lösningsförslag. Vi anser därför att det vore av stor nytta att utnämna sällsynta hälsotillstånd till ett av de första nationella terapinätverken. Det skulle gynna och kunna gå hand i hand med det pågående arbete kring en nationell handlingsplan för sällsynta hälsotillstånd som regeringen arbetar med.

² <https://www.eurordis.org/rare-disease-moonshot/>

Ställningstagande nationell referensgrupp

Vi välkomnar förslaget att inrätta en nationell referensgrupp där representanter från SweTrial och Kliniska Studier Sverige träffas regelbundet för presentation av respektive organisations handlingsplaner, målsättningar, resultat och utvärderingar. Vi anser att patientperspektivet behöver ingå i referensgruppen samt att redovisning och uppföljning behöver omfatta huruvida patienternas behov bemöts av insatser inom respektive terapinätverk. Det yttersta målet bör inte vara att höja antalet kliniska prövningar, utan att öka stöd för de kliniska prövningar som leder till mätbara förbättringar hos patienten.

Ställningstagande uppdrag för information och statistik över kliniska studier i Sverige

Vi välkomnar förslaget att ge Etikprövningsmyndigheten i uppdrag att sammanställa information och statistik om kliniska prövningar, både som beslutsstöd för verksamheten och som informationsportal mot medborgare, patienter och vårdprofessionen. Även här efterfrågar vi en stark patientmedverkan för att säkerställa att det resulterande verktyg är användarvänlig och möter individens behov.

Ställningstagande författningsmässiga hinder

Vi välkomnar utredningens genomlysning av författningsmässiga hinder, lagar och regelverk. I detta sammanhang vill vi återigen lyfta betydelsen att aktörer från patientrörelsen och civilsamhället inkluderas i arbetet så tidigt som möjligt. En tydlig roll- och uppdragsbeskrivning är av stor vikt liksom ett tydligt mandat för gruppen. Det berör framför allt följande förslag:

- Lagligen utsedd ställföreträdare för icke beslutskompetenta personer i forskningen
- Behandling av personuppgifter vid antalsberäkning inför klinisk forskning
- Nationellt prövningsregister och digitalt samtycke

Gällande Patientdatalag.

Utredningen (s. 245) har identifierat behov av ändring av "Patientdatalagen 2008:355". I dagsläget är en vårdgivare mycket begränsad i sina möjligheter att kontakta patienter med erbjudande att delta i en klinisk prövning. Det får endast göras om vårdgivaren (läkaren) har en pågående vårdrelation till patienten, dvs. om patienten har en pågående behandling.

På s. 205 hänvisas till en lagändring via ett PM (Dnr U2022/04089) som ska träda i kraft 1 jan 2024. Detta PM gör det möjligt för vårdgivare att göra antalsberäkningar och söka i journaler vilka patienter som uppfyller specifika inklusions- och exklusionskriterier för ett studieprotokoll utan deras samtycke och utan att ha en direkt vårdrelation till dem.

Det som inte möjliggörs för vårdgivare är att sedan kunna kontakta lämpliga patienter utan att ha deras samtycke att bli kontaktade för erbjudanden om deltagande i klinisk prövning. Därför föreslår utredningen en ytterligare ändring.

SÄLLSYNTA "DIAGNOSER RARE DISEASES SWEDEN

En mycket viktig pusselbit som saknas i detta sammanhang är de befintliga svenska kvalitetsregistren över diagnoser. Förekomsten av dessa kvalitetsregister förhöjer kraftigt värdet av de andra föreslagna insatserna. Om forskare och kliniker får möjlighet att direkt kontakta patienter via dessa register skulle det kunna vara en snabb och smidig väg för patienter att få tillgång till nya läkemedel och delta i kliniska prövningar.

Om utredningens förslag till ändring gällande samtycke även skulle kunna omfatta kvalitetsregistren vore detta en stor fördel för Sverige.

Med vänliga hälsningar



Maria Westerlund
Förbundsordförande

maria.westerlund@sallsyntadiagnoser.se