

Remissyttrande 2023-09-28  
Dnr KN2023/03556  
Klimat- och näringslivsdepartementet

## **Barncancerfondens remissvar avseende Förslag på åtgärder för att skapa bättre förutsättningar för kliniska prövningar (DS 2023:8)**

### **Kliniska prövningar är grunden för fler läkemedel godkända för barn**

Tack vare framgångsrik forskning och förbättrat omhändertagande är femårsöverlevnaden idag i genomsnitt 85 procent, jämfört med början av 1980-talet då endast 50 procent överlevde. Trots det är barncancer fortfarande den vanligaste dödsorsaken till följd av sjukdom. Den genomsnittliga överlevnaden för flertalet barncancerdiagnoser har planat ut och behandlingsmetoderna har i stort varit detsamma sedan början på 1990-talet. Samtidigt så får vi alltmer kunskap om de långsiktiga effekterna av barncancerbehandling. Omkring 70 procent av barncanceröverlevare drabbas av sena komplikationer i någon form, varav 30 procent är allvarliga och potentiellt livshotande.

Det är på många sätt tydligt att vi har kommit så långt vi kan komma med de traditionella behandlingsmetoderna. Barncancerfonden ser därför utveckling av nya och skonsamma läkemedel och behandlingar som en nödvändighet för att vi ska säkra både högre och bättre överlevnad bland barn som drabbas av cancer. Samtidigt vet vi att barn idag inte får tillgång till nya cancerläkemedel på samma villkor som vuxna. En färsk genomgång av de 186 cancerläkemedel som godkänts av EMA mellan 1995-2022 visar att:<sup>1</sup>

- Enbart 29 har en pediatrik indikation
- 16 är godkända för nya molekyllära entiteter som förekommer hos barn med cancer efter EU:s barnförordning trädde i kraft 2007
- Hälften av de läkemedel som har fått en pediatrik indikation under perioden riktar sig mot barncancerdiagnoser som står för 5,4 % av barncancerrelaterade dödsfall
- Det tar i snitt 6,4 år innan en indikation för vuxna utökas till att inkludera barn

Det är tydligt att utvecklingen av nya cancermediciner drivs av vuxenmarknaden. Samtidigt så går utvecklingen långsamt för de diagnoser som idag har en hög genomsnittlig dödlighet och där behovet av nya behandlingsalternativ är särskilt stor.

Barns läkemedelsbehandling är ofta "off label", det vill säga att läkemedlet inte har prövats på, och godkänts för barn. Det innebär att läkemedlet inte är licensierat för användning på barn och därför inte omfattas av den trygghet och säkerhet som ett läkemedel som används inom indikationen. Det här omfattar även nya, innovativa läkemedel som idag bara har godkänd indikation för vuxna. Om behandlingen inte ingår i en klinisk studie så är det svårt att dra slutsatser kring behandlingsresultat för kommande barnpatienter. Det är varken optimalt för vården av det aktuella barnet, eller för framtida barn som kommer drabbas av samma sjukdom.

EUs läkemedelslagstiftning och barnförordningen ses just nu över i syfte att underlätta utveckling och tillgänglighet av läkemedel för barn mellan 0 och 17 år genom att företag, där det finns indikationer på att läkemedlet skulle kunna användas inom pediatrik vård, ska testa sin produkt på både barn och vuxna. Att vara med i en klinisk prövning innebär dels att barnet kan få testa de nyaste läkemedlen, dels att det görs under ordnade former samt att data samlas in och långtidsuppföljning möjliggörs. För

---

<sup>1</sup> Gilles Vassal, Teresa de Rojas och Andrew D J Pearson, "Impact of the EU Paediatric Medicine Regulation on new anti-cancer medicines for the treatment of children and adolescents", *The Lancet Child & Adolescent Health* 7, issue 3 (mars 2023), DOI:[https://doi.org/10.1016/S2352-4642\(22\)00344-3](https://doi.org/10.1016/S2352-4642(22)00344-3)

att Sverige ska vara attraktivt för dessa kliniska prövningar är det av största vikt att vi erbjuder ett klimat för forskning i nivå med andra europeiska länder.

## Om barncancer:

Barncancer är ett samlingsnamn för över 70 olika sällsynta diagnoser som drabbar barn från spädbarnsålder till tonåren. Cancerformerna och behandlingarna skiljer sig stort från varandra, liksom vilken utvecklingsfas barnet eller ungdomen befinner sig i vid insjuknande och behandling. Omkring 350 barn insjuknar i cancer varje år i Sverige. Barncancer skiljer sig på många sätt från vuxencancer, bland annat genom att:

- Andra cancerformer drabbar barn än vuxna. CNS-tumörer (29 %) och leukemi (28 %) är de vanligaste cancerformerna bland barn.<sup>2</sup>
- Barncancer är inte livsstilsrelaterad och går därför inte att förebygga på samma sätt som vissa cancerformer som drabbar vuxna. Orsaken till att barn och tonåringar får cancer är oftast okänd även om det just nu pågår mycket forskning kring medfödda orsaker.
- Barn kan inte ses som en homogen grupp, utan måste bedömas utifrån olika utvecklingsfaser. Barnets kropp växer och utvecklas, vilket innebär att den påverkas av läkemedel och behandlingar på andra sätt än den vuxna kroppen.

## Barncancerfondens övergripande inspel:

- Barncancerfonden är övergripande positiv till utredningens ansats och förslag. Det är av yttersta vikt att Sveriges attraktions- och konkurrenskraft stärks avseende förläggning av kliniska läkemedelsprövningar, med syfte att på sikt bibehålla – och i bästa fall öka – antalet kliniska läkemedelsprövningar som förlägs i Sverige.

Detta för att säkerställa att svenska patienter tidigt får tillgång till nya behandlingar som kan ha en positiv effekt på sjukdomen, samtidigt som hälso- och sjukvårdens tillgång till värdefull kunskap och kompetens stärks, liksom förmågan att implementera precisionsmedicin. Mot den bakgrunden ser Barncancerfonden även ett behov av att öka andelen patienter som tillfrågas att delta i kliniska prövningar, samt att även denna utveckling ska kunna följas löpande på nationell och regional nivå genom sammanhållen statistik.

- Barncancerfonden har förståelse för att förslagen ämnar öka antalet företagsinitierade prövningar, men vill samtidigt lyfta vikten av att perspektiv kring akademiskt/icke-kommersiella studier återfinns inom ramen för det nationella partnerskap som föreslås. Barncancerfonden bedömer att det inte är önskvärt att bygga upp parallella system för kliniska prövningar utifrån sponsor, särskilt inte eftersom studierna genomförs av samma personal och inom ramen för samma verksamheter. Den föreslagna uppdelningen riskerar att underminera positiva synergieffekter mellan företags-initierade prövningar och den akademiska kliniska forskningen. Det är särskilt viktigt för att säkerställa att fler patientgrupper gagnas av betänkandets förslag, även inom terapiområden som idag är mindre kommersiellt intressanta för läkemedelsindustrin.

Mot den bakgrunden ställer sig Barncancerfonden frågande till formuleringar om att företrädare från industrin, tillsammans med hälso- och sjukvården, ska prioritera terapi- och diagnosområden. Barncancerfonden ser att flera olika perspektiv behövs i ett sådant prioriteringsarbete, inte minst kopplat till patienters befintliga tillgång till läkemedel och behandling. Vi anser att det annars finns en risk att mindre patientgrupper missgynnas, såsom barn med cancer, till förmån för stora och breda patientgrupper och folksjukdomar som är mer

---

<sup>2</sup> Svenska Barncancerregistret, SBCR

kommersiellt intressanta.

- Målbilden bör vara att skapa ett system som säkerställer att fler patienter får tillgång till nya, effektiva och säkra läkemedel – idag genom tillgång till kliniska läkemedelsprövningar och imorgon genom godkända behandlingar. Det är därför av vikt att olika typer av kliniska prövningar, oberoende av sponsor, får utrymme inom hälso- och sjukvården. Det kan exempelvis handla om typer av studier som företag sällan initierar och finansierar, så som jämförande studier mellan traditionella behandlingar och nya cell- och genterapier, samt "repurposing"-studier för att hitta nya och säkra användningsområden för befintliga läkemedel.

Av samma anledning saknar Barncancerfonden ett helhetsgrepp kring läkemedlets hela livscykel, från grundforskning till godkänt läkemedel och långtidsuppföljning, både i betänkandet samt i ekosystemet som utgör läkemedelsutvecklingsprocessen.

Barncancerfonden vill särskilt belysa vikten av en sammanhållen internationell infrastruktur för långtidsuppföljning av effekt och säkerhet av nya läkemedel, det vill säga monitorering av läkemedel även efter ett marknadsgodkännande. Detta är särskilt viktigt för nya precisions- och immunoterapier, där långtidseffekter och biverkningar än så länge är okända. Det ställer även krav på internationell samverkan, då enskilda patientpopulationer ofta är mycket små, och datadelning över landsgränser måste standardiseras. En harmoniserad struktur är nödvändig för att möta upp krav från regulatoriska myndigheter för att säkerställa marknadsgodkännande och i sin tur patienters tillgång till säkra och effektiva läkemedel.

- Barncancerfonden ser att utveckling av decentraliserade kliniska prövningar är en åtgärd som skulle både skulle stärka genomförandekapaciteten och säkra jämlik tillgång till kliniska prövningar. Ett prövningsförfarande som i högre utsträckning utgår från patientens behov kan motivera fler patienter att delta i prövningar, samtidigt som avhopp från studier kan förebyggas. Dessutom kan tillgången till likvärdig vård stärkas över landet, då den geografiska närheten till en prövningsenhet blir mindre avgörande.

Viktiga förutsättningar är dock kompetensutveckling av vårdpersonal, möjlighet till viss provtagning i hemmet och/eller på det lokala hemsjukhuset, kvalitetsssäkrade datainsamlingsmetoder och elektroniska samtycken. Barncancerfonden anser därför att Läkemedelsverket, eller annan lämplig myndighet, bör få ett uppföljande uppdrag att ta fram en konkret handlingsplan på hur fler decentraliserade kliniska prövningar ska kunna genomföras i Sverige. Utgångspunkt för uppdraget bör vara den förstudie och pilotprojekt som Läkemedelsverket genomfört. Handlingsplanens syfte bör vara att stärka tillgången till och patienters ställning i kliniska prövningar.

### 13.1 Etablera SweTrial – ett nationellt partnerskap och nationella terapinätverk för kliniska prövningar i Sverige

- Barncancerfonden ser det som nödvändigt att patient- och anhörigföreträdare har en stark ställning inom det nationella partnerskapet SweTrial. Ett genomgående patientperspektiv i handlingsplaner, målsättning och genomförande är att eftersträva och bör säkras genom omfattande samverkan med flera olika patient- och anhörigorganisationer. Barncancerfonden ser exempelvis att förslaget om patientföreträdare som adjungerande i SweTrials styrgrupp som otillräckligt för att säkra ett genomgående patientperspektiv.
- Barncancerfonden vill även understryka vikten av ett särskilt barnperspektiv i förhållande till patient- och anhörigrepresentation. I dag finns stor samsyn kring att barn har rätt till mediciner som är ordentligt beforskade utifrån rätt förutsättningar, det vill säga som är särskilt utvecklade för barns kroppar och kliniskt prövade. Trots det saknas evidens vid läkemedelsbehandling av

barn i många fall och omkring hälften av förskrivningen på sjukhus sker utanför godkänd indikation, så kallad off-label.<sup>3</sup>

Samtidigt innebär inkludering av barn i studier särskilda etiska avvägningar och anpassningar. Det handlar exempelvis om lagstadgade rättigheter så som att bedömning av vad som är bäst för barnet alltid ska beaktas vid åtgärder som rör barnet<sup>4</sup>, samt rätten till delaktighet utifrån ålder och mognad<sup>5</sup>. Men det handlar även om att barn hanterar och upplever smärta och obehag på andra sätt än vuxna och att andra faktorer än de medicinska bör spela in, exempelvis närhet till provningsenheten, hur medverkan kan påverka den palliativa vården samt behov av anpassad information till vårdnadshavare och barnet själv. Det ställer även särskilda krav på långtidsuppföljning av läkemedel, för att upptäcka och bevaka långsiktiga biverkningar av behandlingen.

För att barns intressen ska tillgodoses på ett tillfredsställande sätt är det viktigt att perspektiv och avvägningar särskilda för dessa patienter omfattas i den patientsamverkan som föreslås inom ramen för SweTrial.

### 13.2 Etablera SweTrial – en bas av provningsenheter för stärkt genomförandekapacitet i hälso- och sjukvården

- Barncancerfonden är positiv till förslaget om att etablera genomförandekapacitet genom finansiering av infrastruktur som är nödvändig för att genomföra kliniska provningar i hälso- och sjukvården. Barncancerfonden är också positiv till att insatser kopplat till att stärka genomförandekapaciteten föreslås utgå från befintliga provningsenheter.

Barncancerfonden anser att det finns ett värde i att samla kompetens på ett färre antal provningsenheter och säkra tillgången genom satsningar för att möjliggöra decentraliserade kliniska provningar genom nationell och regional samverkan.

- Barncancerfonden ställer sig frågande till vilka provningsenheter som kommer uppfylla de minimikrav som partnerskapet ämnar att formulera, givet förslaget kring hur prioritering av terapi-/diagnosnätverk ska gå till. Barncancerfonden vill understryka vikten av att den struktur som föreslås byggas upp, inklusive förslag kring finansiering, inte exkluderar terapiområden där läkemedelsindustrin idag visar ett mindre intresse. Detta perspektiv måste ingå i arbetet med de minimikrav som provningsenheterna ska uppfylla för att få finansiering enligt betänkandets förslag.

Provningsenheter som riktar sig mot små patientgrupper, däribland barn med cancer, har idag svårigheter att finansiera sin verksamhet enligt rådande praxis så som finansiering via företag som sponsrar provningar. Förslaget kring basersättningen är därför bra, men aktivitetsersättning utifrån inkluderade patienter kan innebära att provningsenheter med inriktning på mindre patientgrupper kan missgynnas. Ersättningsmodellen bör också ses som en möjlighet att skapa incitament för att säkerställa att svenska patienter deltar i studier av hög kvalitet. Barncancerfonden ser även ett behov av en långsiktig finansieringsmodell för att säkra att infrastrukturen förvaltas på längre sikt.

---

<sup>3</sup> Janusinfo (2018), "ePed samlar information om läkemedel till barn", *Region Stockholm*, senast uppdaterad 14 februari 2023, hämtad 13 september 2023: [ePed samlar information om läkemedel till barn - Janusinfo.se](https://janusinfo.se)

<sup>4</sup> United Nations Children's Fund (UNICEF) (1989). Barnkonventionen, Artikel 3.

<sup>5</sup> United Nations Children's Fund (UNICEF) (1989). Barnkonventionen, Artikel 12.

### 13.3 Investera i kompetensförsörjning och vidareutbildning av klinisk forskningspersonal och forskningsstödande yrken i hälso- och sjukvården

- Barncancerfonden ser positivt på förslagen kopplat till investeringar i kompetensförsörjning av både klinisk forskningspersonal och forskningsstödande yrken inom hälso- och sjukvården. Barncancerfonden ser positivt på förslaget om att ta fram en harmoniserad och nationell utbildning för att säkra återväxten av kompetens, men även för att långsiktigt stärka förutsättningarna för både kommersiella och akademiska kliniska prövningar.
- Barncancerfonden ser samtidigt behov av att ta ett helhetsgrepp kring kompetensförsörjning och den kliniska forskningen inom hälso- och sjukvården, samt att verksamheter dimensioneras för att rymma både rutinsjukvård och forskning. Detta är helt avgörande för att kunna bedriva en vård i världsklass i en tid där avståndet mellan vad som är klinik och vad som är forskning blir allt mindre. Det handlar till exempel om insatser och utvecklingsarbete för att förebygga och motverka mer omfattande undanträngningseffekter än vad som är kännbart idag, men även satsningar som syftar till att öka den kliniska forskningskompetensen inom hälso- och sjukvården, så som stärkta möjligheter att kombinera kliniskt arbete med forskning genom hela karriären.

### 13.6 Ett utökat uppdrag för information och statistik över kliniska studier i Sverige

- Barncancerfonden är positiv till förslaget om ett utökat uppdrag till Etikprövningsmyndigheten avseende statistik och information om planerade och pågående kliniska studier i Sverige. Förslaget om att även kommunala och regionala initiativ ska omfattas är särskilt glädjande och Barncancerfonden instämmer i att det är av vikt att statistik och information tillgängliggörs så snart det går.
- Barncancerfonden anser att den statistik som tillgängliggörs måste kunna brytas ned utifrån ålder, diagnoskod, typ av studie samt sponsor. Detta för att på mer detaljerad nivå kunna mäta utvecklingen över tid, samt bedöma hur insatser påverkar forskningsintensiteten inom olika terapiområden.
- Sammanhållen information om aktiva studier och prövningar innebär även en möjlighet att säkerställa att svenska patienter ges tillgång till studier av hög kvalitet, samt för att undvika att parallella studier genomförs. Barncancerfonden skulle gärna se att en nationell plattform kompletteras med ett internationellt perspektiv och vägledning, för att säkerställa att patienter och vårdprofessionerna har en översyn över de internationella studier som pågår.

Sverige är ett litet land, med ett litet patientunderlag. I takt med att den molekylärbiologiska kunskapen ökar så kan allt fler sjukdomar delas in i fler undergrupper, vilket minskar patientunderlaget ytterligare avseende inkludering i kliniska läkemedelsprövningar. Det här är särskilt påtagligt inom precisionsmedicinska studier. Nationell tillgänglig statistik och internationell samverkan är därför av vikt för att undvika att flera studier konkurrerar om samma patienter och att svenska patienter omfattas av studier av högkvalitet. Det skulle även bidra till det forskningspolitiska målet om Sverige som en ledande forsknings- och kunskapsnation.

#### Om Barncancerfonden:

Barncancerfonden kämpar för en framtid där varje barn som insjuknar i cancer överlever och får möjlighet att leva ett gott och långt liv. Ett liv fritt från sjukdom och de komplikationer som ofta följer barncancer. Det gör vi genom att tillsammans med våra sex regionala föreningar erbjuda akut såväl

som långsiktigt stöd, samt satsa på världsledande forskning och utveckling av forskningsinfrastrukturer.

Sedan 1982 så har Barncancerfonden satsat mer än 3,5 MDSEK på forskningsnära verksamhet och vi är i dag den enskilt största finansiären av barncancerrelevant forskning och avgörande infrastruktur, såsom:

- **Svenska Barncancerregistret** – ett kvalitets- och forskningsregister som är en resurs både för att kvalitetssäkra vården för barn och ungdomar som drabbas av cancer och för att möjliggöra barncancerforskning av hög kvalitet. Registret har utvecklats över tid och innefattar nu registrering av samtliga barncancersjukdomar.
- **Barntumörbanken** – en nationell provsamling med vävnad och molekyलगenetiska data från barncancerpatienter. Genom stöd från Barncancerfonden är nu både nytt och historiskt material helgenomsekvenserat vilket gör banken unik i sitt slag.
- **Två kliniska prövningsenheter för barn** – HOPE-ITCC-enheten på Karolinska Universitetssjukhuset och Barncancercentrums forskningsenhet Göteborg vid Drottning Silvias barn- och ungdomssjukhus. Tack vare att Sverige är med i det internationella konsortiet ITCC kan barn i Sverige få ingå i kliniska prövningar från hela Europa som drivs av både läkemedelsföretag och ITCC.
- **GMS Barncancer** – Ett nationellt pilotprojekt mellan Sveriges sex barnonkologiska centra och sex universitet som möjliggör kartläggning och analys av cancerdrabbade barns gener, bland annat genom helgenomsekvensering i samband med barnets insjuknande. Ett bakomliggande argument till projektet är att barn sällan ingått i kliniska studier.

## **Barncancerfondens riktade finansiering till Sveriges sex barncancercentra**

Utöver forskningsanslag och finansiering av kritisk infrastruktur stöttar Barncancerfonden årligen Sveriges sex regionala barncancercentra med omkring 45 miljoner kronor. Under 2023 är 19,7 miljoner öronmärkta för basresurser för att möjliggöra forskning och forskningsinfrastruktur. Dessa medel används bland annat för tjänster som forskningssjuksköterskor och forskningskoordinatorer.

Genom finansieringen säkerställer Barncancerfonden hög kvalitet i de kvalitetsregister som utgör en viktig resurs i kvalitetssäkring av barncancer vården och som är helt avgörande för svensk barncancerforskning. Samtidigt underlättar vi deltagande i fler kliniska projekt och studier, inklusive läkemedelsprövningar. Målet är heltäckande, populationsbaserade kvalitetsregister som är grunden för barncancerforskning av hög kvalitet i Sverige och som gör Sverige intressant för internationell forskning.

Basfinansieringen i kombination med medel till infrastrukturer så som Svenska Barncancerregistret, Barntumörbanken och Barnleukemibiobanken utgör en avgörande roll i vidareutveckling av barncancer vården. Inte minst införandet av precisionsmedicin i Sverige samt i uppföljning och utvärdering av nya läkemedel och behandlingar.

---

Stockholm 2023-09-28  
Ola Mattsson  
Generalsekreterare

För mer information går det bra att kontakta  
Sol Engvall  
Intressepolitisk expert  
sol.engvall@barncancerfonden.se  
076-721 03 23