

NOTAT

Til: Nærings- og fiskeridepartementet

Fra: Legemiddelindustrien (LMI)

Dato: 06.09.2017

Legemiddelindustriens innspill til stortingsmelding om helsenæringen

LMI takker for muligheten til å gi innspill til stortingsmelding om Helsenæringen.

LMI har utarbeidet notater knyttet til ulike deler av verdikjeden.

Følgende notater er inkludert:

1. [Ambisjon og retning](#)
2. [LMIs innspill til stortingsmelding om helsenæringen - Kliniske studier](#)
3. [LMIs innspill til stortingsmelding om helsenæringen - Verdiskaping fra helsedata](#)
4. [LMIs innspill til stortingsmelding om helsenæringen - vekstvilkår/kapitaltilgang](#)
5. [LMIs innspill til stortingsmelding om helsenæringen - Industrialisering og produksjon](#)
6. [LMIs innspill til stortingsmelding om helsenæringen – Offentlig anskaffelser og markedsadgang for legemidler](#)

Med vennlig hilsen

Karita Bekkemellem
Adm. Direktør

Monica Larsen
Seniorrådgiver

NOTAT

Til: Nærings- og fiskeridepartementet

Fra: Legemiddelindustrien (LMI)

Dato: 06.09.2017

Ambisjon og retning

Norge trenger en egen melding på dette feltet fordi næringsliv knyttet til helse kan bli en sunn og sterk vekstmotor i norsk økonomi.

Norsk helsenæring, som allerede kan vise til flere internasjonale suksesser, og som allerede står for betydelig verdiskaping¹, kan bli en vekstnæring med globalt potensial. Et næringsliv med sterke og innovative bedrifter som utnytter nyvinninger fra forskningsmiljøene er en forutsetning for et godt helse- og velferdstilbud i fremtiden, samtidig som det gir muligheter for ny næringsutvikling.

LMI har forventninger om at stortingsmeldingen skal peke ut ambisjonsnivå og retning for helseindustrien og legge til rette for gode rammevilkår for bedriftene i Norge. Ambisjonsnivået må være at hele økosystemet - bestående av bedrifter, myndigheter og forskningsmiljøer

7. skal være i det internasjonale toppskiktet,
8. understøtter utvikling av nye og innovative behandlingsmuligheter,
9. løfter menneskers livskvalitet og mestringsevne og derigjennom
10. bidrar til norsk økonomi

Regjeringen har uttalt et ønske i sin regjeringserklæring om at Norge skal være innovasjonsledende. Vi har i «European innovation scoreboard index» beveget oss i positiv retning – fra moderat innovatør til sterk innovatør. Men vi ligger likevel bak Sverige, Danmark og Finland som henholdsvis er på en 2., 3. og 4. plass, mens Norge er på en 12. plass.

En målbevisst satsing på den forskningsdrevne og innovative helsenæringen i hele verdikjeden, kan bidra til å posisjonere Norge i toppen på innovasjonsmålinger, og være ett av områdene hvor Norges konkurransekraft og eksportpotensial styrkes.

¹ Helsenæringens verdi, <http://www.menon.no/helsenaeringens-verdi/>

Skal man lykkes med dette, må ulike sektorer spille på lag. Et godt samspill mellom offentlige og private aktører, er helt avgjørende og må adresseres i meldingen.

For LMI er utvikling av behandlingsmetoder og diagnostikk for behandling, lindring og forebygging av sykdom det sentrale. Denne verdikjeden er kompleks og i sin natur svært forskningsdrevet.

LMI mener det trengs en helhetlig innovasjonspolitik for hele verdikjeden for å bygge en konkurransedyktig næring:

1. Sterke fagmiljøer som stimuleres til innovasjon er avgjørende for næringsutvikling på feltet. Insentiver og meritteringssystemer i UoH-sektoren bør stimulere dette.
2. Helsetjenesten er helseindustriens «demonstrasjonsplattform». Samhandling med helsetjenesten for utprøving og kvalitetssikring av produktene/tjenestene avgjørende. Et innovasjonsmandat for helsesektoren, og mål om konkurransedyktig «vertskapsattraktivitet» er sentralt for at norske og utenlandske selskaper legger forsknings- og utviklingsaktiviteter på norsk jord. Her er infrastruktur for **kliniske studier/testfasiliteter** og muligheten for **sekundærbruk av helsedata** viktige elementer.
3. Gründerbedrifter innen helseindustrien må få gode vekstvilkår. **Tilgang til kapital** er den største flaskehalsen og må adresseres.
4. **Produksjon og industrialisering** av produktutviklingen på norsk jord skaper ikke bare arbeidsplasser, men bidrar til å holde selskapene i Norge når de er klare for det globale markedet. Algeta/Bayer-caset er et eksempel på dette. Stortingsmeldingen bør skissere ambisjoner og retning for helsenæringens produksjonsaktivitet
5. Uten et attraktivt hjemmemarked er det vanskelig å nå globale markeder og bidra med eksportinntekter. **Offentlige anskaffelser** av legemidler og diagnostikk må derfor omtales i meldingen.

LMI vil spille inn konkrete notater som utdyper punkter spesifikt for vår medlemsmasse, og i tillegg delta aktivt i NHO-fellesskapets innspill på vegne av hele helsenæringen.

Vi ser fram til arbeidet, og bistår gjerne med å fasilitere møter og arrangementer under relevante tema dersom det er behov for det.

NOTAT

Til: Nærings- og fiskeridepartementet

Fra: Legemiddelindustrien (LMI)

Dato: 06.09.2017

LMI's innspill til stortingsmelding om helsenæringen - Kliniske studier

Innledning – Det politiske landskap

Politikere, myndigheter, helseforetak og biomedisinsk industri er alle enige om at det er behov for økt klinisk forskningsaktivitet i Norge. Klinisk forskning bidrar til, og er en nødvendig forutsetning for å opprettholde og øke kvaliteten til den kliniske kompetansen i helsevesenet. Videre er klinisk forskning en premisse for at forskningsbasert kunnskap tas i bruk (Helse og Omsorg21). Til tross for tverrfaglig politisk enighet, stortingsmeldinger og nasjonale strategier for å styrke klinisk forskning har andelen industrifinansierte kliniske studier meldt til Statens Legemiddelverk blitt redusert med omlag 50% siden 2000.² Høy forskningsaktivitet innenfor helse er avgjørende for å bygge opp en sterk helseindustri i Norge og en forutsetning for at pasienter skal kunne motta en kunnskapsbasert helsetjeneste av høy kvalitet som er i takt med den seneste utviklingen internasjonalt.¹

Helse og Omsorg21 strategien, Regjeringens tilhørende handlingsplan og Meld. St. 28 (2014-2015) «Legemiddelmeldingen - Riktig bruk – bedre helse» både belyser behovet for å styrke kliniske forskning og foreslår ulike tiltak. LMI har gitt full støtte til dette arbeidet, og har brukt mye tid på tilrettelegging og implementering. LMI mener at det i den kommende helseindustrimeldingen er et stort behov for et tydeligere fokus på næringslivets behov.

I dette notatet omfatter betegnelsen kliniske studier industrifinansierte kliniske studier.

Hva er en klinisk legemiddelstudie?

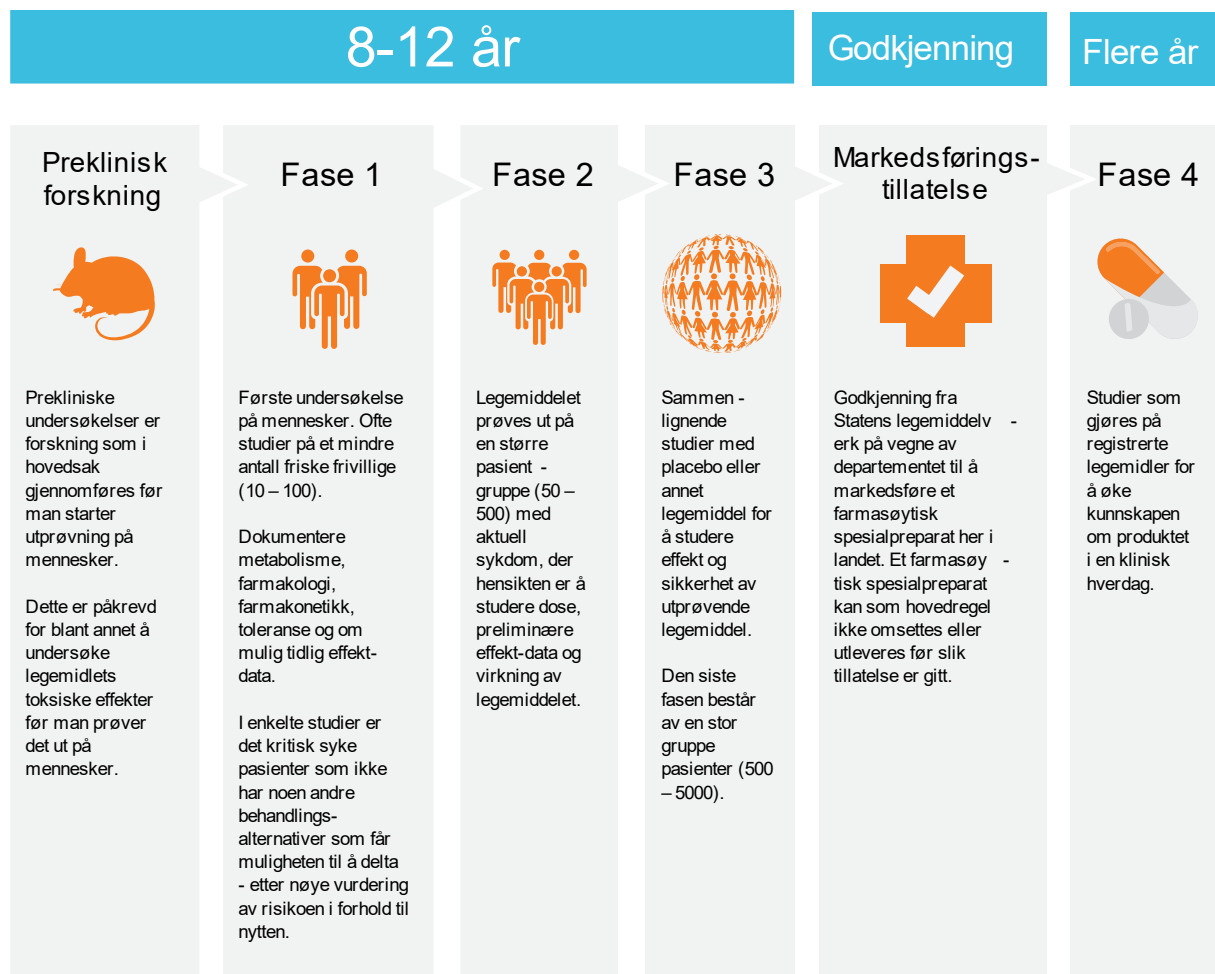
Kliniske studier handler om å dokumentere effekt, sikkerhet og kvalitet av nye behandlingsmetoder i henhold til regulatoriske krav fastsatt av myndighetene. Hensikten med kliniske studier er å undersøke virkningen av nye behandlingsmetoder for å sikre best mulig behandling av pasienter. Videre kan senfase studier benyttes til bekrefte / etterprøve tidligere viten.

Nær 100% av alle nye medisiner og vaksiner forskes frem og utprøves i samarbeid med farmasøytisk industri. Farmasøytisk industri vil samarbeide, først og fremst med helsetjenesten og academia, men også myndigheter og pasienter har en viktig rolle i legemiddelutvikling. Industrien stod for 62% av alle innmeldte kliniske studier til Statens Legemiddelverk i 2016.³ Legemiddelutviklingen foregår i dag

² Verdien av industrifinansierte kliniske studier, Menon Economics

³ FoU Undersøkelsen 2017, LMI

på en global arena, og deltakelse i utviklingen preges av høye krav til kvalitet, leveranse av data og tid for gjennomføring. Utviklingen av et nytt legemiddel er omfattende og svært tid- og ressurskrevende med strenge regulatorisk krav fastsatt av myndighetene. I gjennomsnitt tar det 12-13 år med forskning og utprøving før et medikament når markedet, og det koster i snitt mellom 8 og 12 milliarder norske kroner. Det er stor risiko forbundet med utviklingen av nye legemidler, estimert suksessrate er 9,6% fra preklinisk forskning til et godkjent legemiddel.² Figur 1 illustrerer utviklingsløpet til et legemiddel:



Figur 1: Utviklingsløpet til et legemiddel

Kliniske studier er nødvendig for at forskningsbasert kunnskap skal kommersialiseres, og for å gi beslutningstakere et godt dokumentasjonsgrunnlag for innføring og prioritering av ny behandling. Et høyt antall kliniske studier i Norge styrker pasientbehandlingen ved:

- Leger får kunnskap om ny behandling, samt metode/prosess trening
- Norske pasienter får tilgang til innovative legemidler og ofte nye metoder og nærmere oppfølging
- Legemiddelselskapene får kunnskap og dokumentasjon om kvalitet, sikkerhet og effekt.

Kliniske studier er også et viktig møtepunkt mellom nasjonal/internasjonal industri, forskere, klinikere i helseforetak og pasienter hvor kompetanse utveksles og samarbeid opprettes. Det er stor

global konkurranse om å tiltrekke seg kliniske studier fra industrien, spesielt studier i tidlig fase. Norske utprøvningsenheter konkurrerer med andre enheter internasjonalt om å få tildelt studier, og det er derfor essensielt at den norske helsetjenesten er en attraktiv samarbeidspartner for næringslivet, dersom Norge skal kunne ta en større andel av denne forskningen.

Status for kliniske studier i Norge

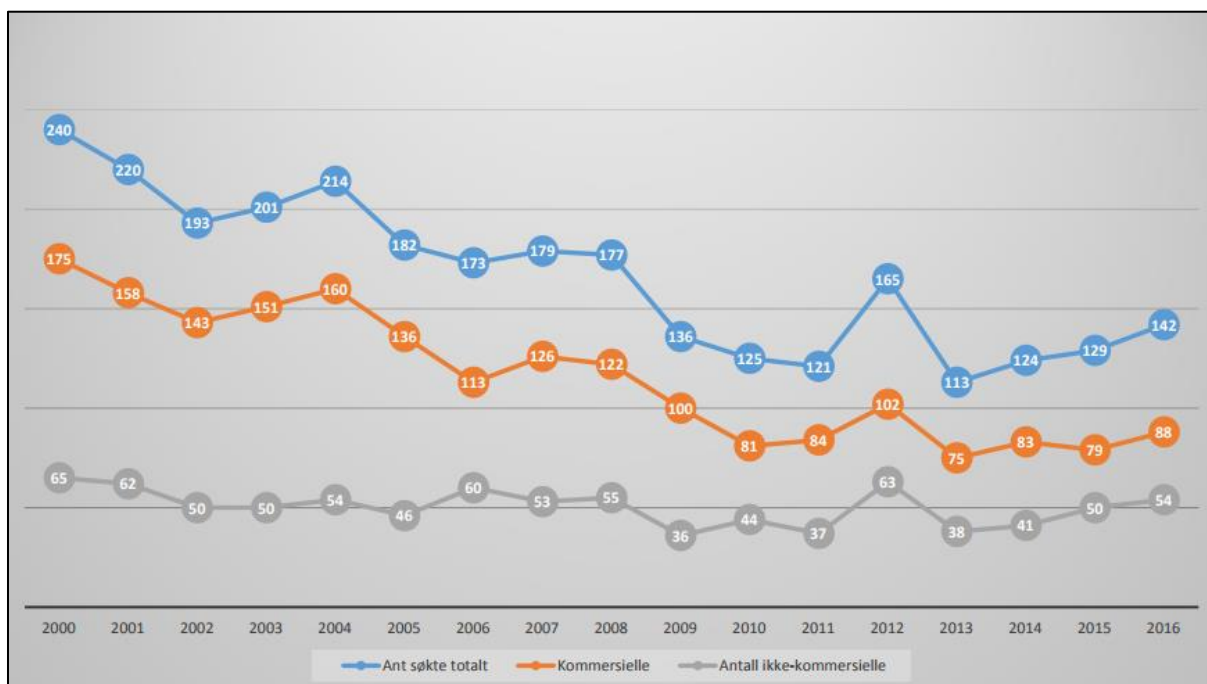
Norge har over lengre tid observert en nedgang i antall kliniske studier. Som figur 2 viser var antall innmeldte kliniske studier fra industrien til SLV i 2000 175 mens i 2016 var dette tallet redusert til 88. Det er flere årsaker til denne drastiske nedgangen, blant annet at flere globale selskaper har flyttet sin forskningsaktivitet ut av Norge, og at andre land har tilrettelagt bedre for gjennomføring av kliniske studier i samarbeid med industrien.

Danmark har en nasjonal strategi som skal bidra til å gjøre landet det foretrukne land for tidlig fase kliniske studier, og har gjennom et offentlig – privat partnerskap National Experimental Therapy Partnership (NEXT) lykkes med dette. National Experimental Therapy Partnership (NEXT) er et samarbeidsprosjekt mellom danske myndigheter og legemiddelindustrien.

Gjennom NEXT har de tilrettelagt nødvendig infrastruktur og dedikerte ressurser til å gjennomføre tidlig fase kliniske studier fra industrien. NEXT-prosjektet var et initiativ nedsatt av regjeringen og spinner ut fra Innovasjon strategien INNO+. Det ble etablert i 2014 og har som mål at Danmark i løpet av 5 år skal være det foretrukne landet for tidlig fase studier. Flere globale legemiddelselskaper er samarbeidspartnere i prosjektet, og det vokser stadig.

Prosjektet er en stor suksess, allerede i 2015 kunne de rapportere om 41 nye meldte fase I studier til Danmark, til sammenligning hadde Norge bare en liten brøkdel av dette. Det er flere fordeler med et slikt prosjekt:

- Sykehusene får mulighet til å være helt i front med utprøving av nye behandlingsmetoder.
- Pasienter får økt tilbud om å være med i en klinisk studie.
- Industrien får en tilrettelagt infrastruktur som er optimalisert for gjennomføring av kliniske studier.



Figur 2: antall søkte kliniske studier fordelt på kommersielle og ikke-kommersielle aktører

Det er stor global konkurranse om å attrahere kliniske studier fra industrien. Konkurransen om deltakelse preges av høye krav til kvalitet og leveranse av data. Tiden for gjennomføring av prosjekter er avgjørende, noe som fordrer god infrastruktur for gjennomføring av kliniske studier i helsetjenesten så vel som forutsigbare og konkurransedyktige søknads og godkjenningsprosesser hos myndighetene.

Legemiddelindustrien som ønsker å legge til rette for kliniske studier i Norge erfarer at det er vanskelig å få helseforetakene til å delta, samt at det mangler infrastruktur på sykehusene for å kjøre kliniske studier. Forskningskompetente klinikere opplever ofte vanskeligheter med å få avsatt dedikert tid til forskning, spesielt med stadig større press på klinisk og administrativ virksomhet. Det er både tid- og ressurskrevende å delta i studier, og helsepersonell opplever at det ikke finnes tilstrekkelig med ressurser eller incentiver for å delta i studier med industrien. Helsepersonell måles ikke på deltakelse i slike kliniske studier, hvilket medfører at ledelsen og avdelingslederne ikke tilfører nødvendige ressurser. For mange klinikere kommer arbeidet med kliniske studier på toppen av vanlig klinisk arbeid som medfører betydelige mengder overtid. Dagens system for kliniske studier er ikke bærekraftig, og hvis ikke målrettede tiltak innføres vil Norge fortsette å tape i den globale konkurransen om å tiltrekke seg flere studier.

Hvorfor skal Norge satse på industrifinansierte kliniske studier?

Kliniske studier tilfører verdier til pasienter, helsepersonell, sykehus og samfunn, dette viser rapporten «Verdien av industrifinansierte kliniske studier» utarbeidet av Menon Economics.¹ Rapporten viser at kliniske studier skaper verdier gjennom fem kanaler:

1. økt kvalitet i behandlingen for pasientene sett i forhold til standard behandling,
2. økt kapasitet i helsevesenet,
3. mer forskning,
4. økt sysselsetting og
5. verdiskaping samt besparelser for det offentlige.

Økt behandlingskvalitet

- Pasienter som deltar i industrifinansierte studier får behandling av høyere kvalitet relativt til pasienter som mottar standard behandling.
- Pasienter som deltar i studier får tilgang på ny behandling opptil 6-7 år før den kommer ut på markedet.
- Tettere oppfølging av pasienter gjennom lengre og flere konsultasjoner som kan bidra til å avdekke andre helseproblemer som ellers ikke ville blitt avdekket.
- Hever kompetansen hos helsepersonell og fører til forbedring av standard klinisk praksis.
- Kliniske studier bidrar til endring av klinisk praksis.

Økt kapasitet i helsevesenet

- 277 millioner kroner overføres til helsevesenet årlig fra legemiddelindustrien som følge av kliniske studier. Dette motsvarer ca. 5 % av offentlige utgifter til FoU i helse.
- Industrifinansierte kliniske studier tilfører viktige ressurser til sykehusene og bidrar til å muliggjøre «egen forskning» på sykehuset.

Kliniske studier gir økt forskningsaktivitet

- Finansieringen av industristudier muliggjør sykehusets egen forskning, ny forskning og/eller fører til etterfølgende forskning innenfor samme terapiområde.

- Styrker norske forskeres posisjon gjennom generering av publikasjoner av vitenskapelig artikler.
- Bidrar til at det norske helsevesenet blir en del av det internasjonale forskningsmiljøet som medfører at helsepersonell får økt tilgang til økt profesjonelt nettverk både i Norden og internasjonalt.

Kliniske studier gir økt sysselsetting og verdiskapning

- Genererer høyproduktive arbeidsplasser som skaper en merverdi for samfunnet
- Legemiddelselskaper med FoU-aktivitet i Norge skaper verdier for 4 milliarder kroner – 2/3 av dette kan knyttes direkte til kliniske studier som bidrar til inntekter til statskassen.

Kliniske studier fører til besparelser for det offentlige

- Legemiddelindustrien finansierer behandling av pasienter i kliniske studier som ellers ville ha mottatt standard behandling finansiert av det offentlige.
- Årlig erstatter kliniske studier standard behandling for 54 millioner kroner.

Hva skal til for at Norge skal være et attraktivt land for kliniske studier?

Industrifinansierte kliniske studier bidrar med verdier for helsevesenet, pasient og samfunnet, og er en viktig faktor innenfor å bygge en sterk helseindustri i Norge. Resultatene fra Menon rapporten viser tydelig at industrifinansierte kliniske studier skaper positive ringvirkninger i samfunnet og bidrar til å forbedre og utvikle den norske helsetjenesten, som kommer fremtidige pasienter til gode.

Hovedutfordringen for å øke antallet kliniske studier i Norge, som både legemiddelindustrien og helsepersonell er enige om, er mangel på ressurser, incentiver og måleparametere på sykehusene. Sett i lys av verdiene og bidraget kliniske studier medfører er det et paradoks at det ikke er tilrettelagt bedre for kliniske studier i samarbeid med legemiddelindustrien på norske sykehus. LMI mener at det er behov for tydelige politiske signaler som viderebringes gjennom konkrete tiltak i oppdragsdokumentene til helseforetakene.

LMI anbefaler

1. Forbedre og etablere ny infrastruktur
 - a. Sikre dedikerte ressurser (tilstrekkelig med studiesykepleiere og studiekoordinatorer)
 - b. Kliniske studier må bli en integrert del av den kliniske hverdagen
2. Sikre måleparametere for kliniske studier
 - a. Inngå som en del av resultatbasert finansiering
 - b. Inngå i tellekantene til sykehusene. Eksempelvis: sykehuset skal øke sin andel av kliniske studier med en konkret prosentsats.
3. Incentivordninger for deltakelse og inkludering i kliniske studier
 - a. Merittering: aktiv deltakelse i forskningsarbeid knyttet til kliniske studier bør bli meritterende i legers spesialistutdanning

NOTAT

Til: Nærings- og fiskeridepartementet

Fra: Legemiddelindustrien (LMI)

Dato: 06.09.2017

LMI's innspill til stortingsmelding om helsenæringen - Verdiskaping fra helsedata

Analyserte helsedata inngår i hele verdikjeden for utvikling av legemidler, og benyttes videre gjennom hele legemiddelets livssyklus. Legemiddelindustrien er, og vil være en viktig bruker av helsedata for å framskaffe kunnskap med relevans for mer effektiv produktutvikling, riktig legemiddelbruk og kunnskapsgrunnlag for prioritering og implementering av metoder i tjenestene.

Norge har gjennom sine mange helseregistre og mange andre kilder til forskningsrelevante helseopplysninger, forutsetningene for å innta en ledende posisjon innen e-helse, men komplisert regelverk, fragmentert registerforvaltning og tungvinte prosesser for å søke om tilgang gjør det vanskelig og tidkrevende å få tilgang til helsedata. Næringslivet posisjonerer seg i land hvor de lett får tilgang til data for sine analyser eller produktutvikling, og der det er forutsigbare rammevilkår og gode standarder for personvern. Næringslivsaktører vil bidra med kompetanse, investeringer og talenter som både vil bidra til at de nasjonale målene nås fortere, og at nasjonal knoppskyting av gründerbedrifter og leverandører fremmes.

Det er et behov for umiddelbar oppfølging av helsedatautvalgets anbefalinger:

11. Dagens krav om forhåndsgodkjenning fra Datatilsynet og/eller de regionale komiteene for medisinsk og helsefaglig forskningsetikk før det gis tilgang til helsedata avvikles
12. Det etableres en nasjonal tjeneste som ivaretar alle forvaltningsoppgaver for å kunne tilgjengeliggjøre helsedata for forsvarlig sekundærbruk til alle legitime formål
- 13.
14. Første versjon av en helseanalyseplattform realiseres raskt og bygges ut over tid med nye datakilder og analyseverktøy under et strengt kvalitetsgodkjennings- og informasjonssikkerhetsregime
15. Demografiske og sosioøkonomiske data på individnivå gjøres tilgjengelig på en helseanalyseplattform, enten fra SSB eller fra andre kilder i statsforvaltningen.

Norge må handle nå, og raskt komme opp med leveranser fra de mange påbegynte initiativene og utredningene som er gjort på feltet.

Ambisjonen for dette område må være at vi er en ledende nasjon på e-helse innen 2022.

Helsesdata og legemiddelindustrien

Helsesdata benyttes av legemiddelindustrien gjennom hele produktets livssyklus: ved utvikling av nye legemidler, i livsløpsmonitorering av legemidler, rapportering om langtids effekt- og sikkerhetsdata samt vurdering av kostnadseffektivitet.

Legemiddelindustrien kan gjennom sin forskningsaktivitet være en bidragsyter til effektiv, kunnskapsbasert og sikker diagnostikk og behandling i helsesektoren, bidra til kvalitetssikring av legemidler i form av at sikkerhet og effekt kartlegges i ordinær klinisk praksis. Datagrunnlaget kan bidra direkte til ny produktutvikling samt utvikling og kvalitetssikring av eksisterende tjenester.

Det er flere årsaker til den økende interessen for helsedata: regulatoriske behov og endringer, økt kostnadsfokus, legemiddelets merverdi og effektivitet, klinisk studie design, langtidsoppfølging, identifisere biomarkører og riktig legemiddelbruk for å nevne noen.

Norge har allerede i dag et biobank- og helsedatamateriale i stort format med stor internasjonal verdi. Derfor må vi stimulere til, og videreutvikle nasjonalt og internasjonalt samarbeid, for å oppnå optimal utnyttelse av både data, biologisk materiale, kompetanse og ressurser på tvers av regioner og institusjoner. Norge er attraktivt på grunn av sin helhetlige og gode helsetjeneste, sin stabile og oversiktlige befolkning, og gode nasjonale registre og diagnostiske biobanker. I dag brukes dessverre ikke helsedatamaterialet som er tilgjengelig godt nok.

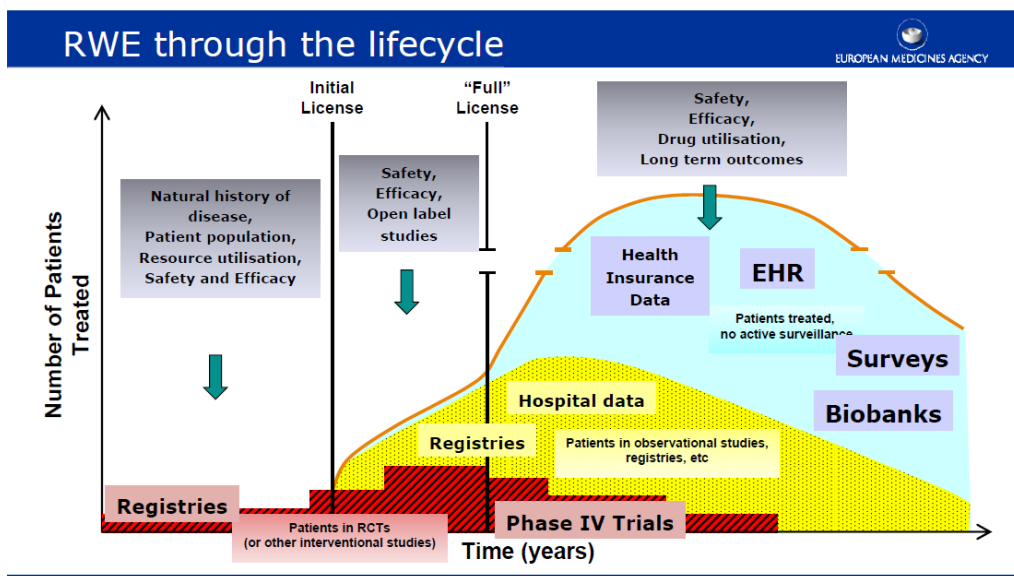
Tilgang til data utgjør et sentralt konkurranseelement for legemiddelindustrien, da helsesektoren og beslutningssystemer knyttet til denne, i økende grad blir datadrevet. Utviklingen går fort, og Norge må raskt få på plass systemer for tilgang og deling av data for å utnytte fortrinnene vi har med våre biobanker og helseregistre.

Helseregistrene omtales ofte som «vår neste olje», men samtidig opplever flere aktører store utfordringer ved å ta i bruk helsedataene til ulike forskningsformål. Det er viktig at Norge tar en proaktiv rolle i forhold til å utnytte det fulle potensiale av våre registre og biobanker på en fleksibel og sikker måte som gagnar pasientene.

Sekundærbruk av helsedata i legemiddelindustrien

Industrien sitt behov for data fra helseregistre og biobanker er økende gjennom hele utviklingsløpet. Epidemiologiske data fra registre og biobanker kan være verdifullt for forskning på biomarkører og potensielle nye behandlingsmål, insidens av ulike tilstander, komorbiditet, legemiddelbruk, interaksjoner med mer.

Som figur 1 viser nedenfor er det både behov for og det genereres data gjennom hele livsløpet til et legemiddel.



Figur 1: RWE gjennom livssyklusen til et legemiddel

Figuren er hentet fra EMA, *Update on Real World Evidence Data Collection, STAMP, Peter Arlett (Mars 2016)*

Helsedataene kommer fra ulike kilder, og de kobles ofte til ett eller flere andre nasjonale registre. En utfordring for brukerne i dag, er at det er mange dataeiere, med forskjellig forskriftmessige reguleringskrav, samt ulik forvaltningspraksis. Denne fragmenterte eierstrukturen og håndteringen av datautlevering er en flaskehals som det bør komme konkrete løsninger for.

Videre er fremveksten av persontilpasset medisin en viktig pådriver for at interessen rundt norske helsedata har økt. Vi har de siste årene sett hvordan persontilpasset medisin er i ferd med transformere behandlingen av kreftsykdom. Men persontilpasset medisin er bare i sin spede begynnelse og vil i tiden som kommer sannsynligvis også forandre vår måte å behandle vanlige folkesykdommer som f.eks kols, demens og diabetes. Her ligger det et betydelige potensiale i å utnytte nyere omics-basert teknologi koblet opp mot vår mulighet til å bygge longitudinelle dataset via register og journaldata.

Forskning og utvikling (pre-approval)

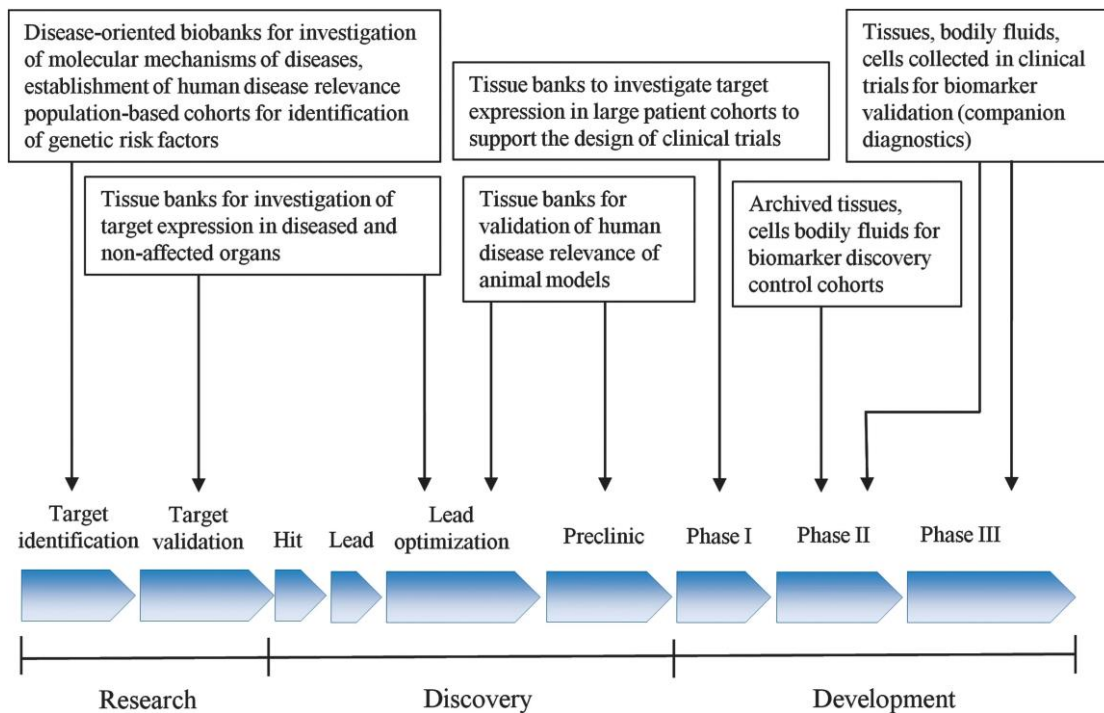
Helseregistre

Helseregistre er viktig verktøy i feasibility prosessen, blant annet for å kartlegge størrelsen på pasientpopulasjonen (epidemiologi), effekt av pågående behandlingsterapier og sykdomsutviklingen (for eksempel stadier innenfor kreft) i populasjonen (insidensrapport). Videre kan helseregistre bidra til å effektivisere kliniske studier gjennom å identifisere sub populasjoner, design av studien og inklusjons og eksklusjons kriterier, som kan bidra til å redusere rekrutteringsperioden. Dette kan være kostnadsbesparende.

Randomiserte kliniske studier erstattes eller suppleres i økende grad av prospektive registerstudier. De regulatoriske legemiddelmyndighetene i Europa (EMA) arbeider med hvordan data fra prospektive registerstudier skal/kan inngå i godkjeningsprosedyrene for nye legemidler.

Biobanker

Legemiddelindustrien har et økende behov for data fra biobanker i tidlig forskning, preklinisk og klinisk utviklingsfase slik som figuren nedenfor illustrerer. Biobankmateriale er en viktig ressurs for å forstå sykdomsmekanismer, og derigjennom avdekke nye molekulære behandlingsmål. Det er også et voksende marked innenfor biomarkører som kan innhente informasjon om effektivitet, individuell effekt og dermed redusere både kostnad og tid i utviklingsløpet.



Figur 2: Bruk av biobank data i utviklingsløpet.

Figuren er hentet fra van Ommen, G.B., 2015. *BBMRI – ERIC as a resource for pharmaceutical and life science industries: the development of biobank-based Expert Centres. European Journal of Human Genetics, 23, 893-900.*

Markedstilgang og betalingsvillighet (post-approval)

Randomiserte kliniske studier (RCT) som skal påvise sikkerhet og effekt til behandlingsmetoden har befestet seg som gullstandarden for å studere ulike terapier. Etersom slike studier gjennomføres under kontrollerte kliniske forhold og med strenge inklusjonskriterier gir resultatene ikke et fullstendig bilde på bruk av behandlingsmetoden i den reelle virkelighet. Det er her innhenting av Real World Data (RWD) og Real World Evidence (RWE) kommer inn. RWD begrepet omfatter effekt og sikkerhetsdata av en behandlingsmetode innsamlet både retrospektivt og prospektivt fra den vanlige kliniske hverdagen.⁴ RWD kan innhentes fra seks ulike kilder: (i) supplement data til tradisjonelle register RCT, (ii) pragmatiske studier, (iii) registre, (iv) administrasjonsdata, (v) helsespørreundersøkelser, og (vi) elektroniske pasientjournaler.¹ RWE er utfallet av RWD analyser og

⁴ Stolk, Pieter. 2015. Briefing note for EFPIA on three regulatory & HTA topics in the context of Science 2.0/Vision 2020

bearbeidelser. RCT supplert med RWD gir et mer fullstendig bilde om effekt og verdi av behandlingsterapien i den kliniske virkelighet.

Adaptive Pathway – behov for helsedata

Flere regulatoriske endringer har påvirket behovet og bruken av helseregistre og ny datainnsamling. Adaptive pathways, en pilot igangsatt av EMA, er ett eksempel på en ny måte for utvalgte legemidler å tilegne seg begrenset markedsføringstillatelse. Bakgrunnen for piloten er at de regulatoriske kravene i større grad må være tilpasset et utviklingsløp med mer gradvis oppbygging av klinisk dokumentasjon, effekt og bruk i vanlig klinisk praksis. Adaptive Pathways har som mål å gi en mer helhetlig tilnærming til godkjenningsprosedyren i den hensikt å gi raskere tilgang til nye lovende legemidler der det er et stort medisinsk behov. Prosessen vil derfor kreve involvering av alle aktørene som har en rolle i beslutningsprosessen om tilgang til legemidler: legemiddelmyndigheter, industri, pasientorganisasjoner, retningslinjeansvarlige, ansvarlige for metodevurderinger (HTA) og betalere.

Adaptive Pathways har til hensikt å gi tidlig markedsføringstillatelse for spesielt viktige medisiner, med tilgang til kun en begrenset pasientpopulasjon. En gradvis oppbygging av dokumentasjon vil kunne utvide markedsføringstillatelsen til å omfatte en større pasientpopulasjon. Den ytterligere datainnsamlingen skjer både gjennom randomiserte kliniske studier, men også gjennom datainnsamling fra «Real Life observasjonsstudier».

«Pay for Performance/value based pricing»

Real world data brukes også innenfor prisforhandlinger og refusjon. En undersøkelse fremstilt av EFPIA viste at 13 av 34 OECD land aktivt bruker RWD i refusjon beslutninger.⁵ RWD og RWE kan bidra til å skaffe tilstrekkelig med data til helseøkonomiske analyser og kvalitetssikre innføringen av nye legemidler. RCT supplert med RWD danner datagrunnlaget for å bevise klinisk behov og verdien av legemiddelet utenfor klinisk praksis på en større pasientpopulasjon. Dette er både viktig og nødvendig data for betalere av nye innovasjoner.

Managed Entry Agreements

Legemidler blir stadig mer spesialiserte, og de testes derfor ut på en mindre pasientpopulasjon. Med en mindre pasientpopulasjon blir dokumentasjonsgrunnlaget snevrere og det knyttes dermed større usikkerhet rundt effekten av legemiddelet. Dette påvirker beslutningsgrunnlaget til myndighetene som skal vurdere om legemidlet er kostnadseffektivt eller ikke. Managed Entry Agreements (MEA) forsøker å adressere usikkerheten knyttet til effekt og budsjettimplikasjoner.⁶ MEA som har likheter med Adaptive Pathways er avtaler hvor et legemiddel for en begrenset pasientpopulasjon får markedsføringstillatelse, men på grunnlag av å innhente RWE til myndighetene for å understøtte effektdokumentasjon. Dette åpner for risikodelingsavtaler og ulike «pay for performance» modeller mellom myndigheter og industri.

Riktig legemiddelbruk

Oppfølgingsstudier/observasjonsstudier kan gi informasjon om hvem som responderer og ikke respondenter. Denne informasjonen kan brukes til bedre å tilpasse legemiddelbruk til enkelte individ.

⁵ Better Science, Better Health: New Healthcare Models Washington, D.C., 27 – 28 October 2015 EVENT REPORT

⁶ Grepstads, Mari Lundebj. 2014. Bærekraftig legemiddelforvaltning? Dagens Medisin Blogg

NOTAT

Til: Nærings- og fiskeridepartementet

Fra: Legemiddelindustrien (LMI)

Dato: 06.09.2017

LMI's innspill til stortingsmelding om helsenæringen - vekstvilkår/kapitaltilgang

Helsenæringene er et helt sentralt svar på omstillingsbehovet i norsk økonomi. Med svært høyt forskningsbidrag og stor eksportandel er det en sektor med stort potensial for verdiskaping og nye lønnsomme arbeidsplasser. Det er bred enighet i Stortinget om at helsenæringen er et satsingsområde, og LMI har med glede merket oss at regjeringen gjentatte ganger har presisert at den har høye ambisjoner om å utnytte potensialet for næringsutvikling innen helse bedre.

Vi har sett en betydelig og positiv styrking av næringsrettede virkemidler for forskningstunge gründere og oppstartsselskap. Likevel er det fortsatt et stort uutnyttet potensiale i denne næringen, og yttelig tilrettelegging kan og bør gjøres for å sikre fortsatt vekst og innovasjon.

Et fellestrekk for helsenæringen er at den har høye investeringskostnader og lange utviklingsprosesser. Derfor er det avgjørende at bedriftene ikke må forholde seg til stadig endrede rammevilkår. Virkemidlene må være preget av forutsigbarhet og kontinuasjon, for eksempel må vi unngå såkorntørker som den vi opplevde for noen år siden. Virkemidlene er viktige for å utløse privat kapital til prosjektene under utvikling.

Den norske stat er i posisjon til å gi risikoavlastning i tidlig fase for etablering av ny, og utvikling av eksisterende, industri. Den store flaskehalsen vi ser i innovasjonssystemer er imidlertid å koble privat kapital til statlige støtteordninger. Norske investorer har generelt vært lite risikovillige når det gjelder investering i nye næringer fordi avkastningen innen olje og gass samt eiendom historisk har vært så god. Dette kan endre seg framover, men for å framskynde endringer i investeringsmønster, bør nye tiltak og insentiver vurderes.

Det er en utfordring for forskningsintensive bedrifter at det er få venturekapitalaktører i Norge som investerer i oppstartsselskap. For bedrifter innen helsenæringen med lange FoU løp er det i dag vanskelig å tiltrekke seg kapital. Det er behov for insentiver for å få fart på selskapsveksten og for å skape nye norske arbeidsplasser. Staten besitter et viktig virkemiddel gjennom Investinor, og kan i tillegg bidra med insentiver som stimulerer privat kapital i høyrisikoprojekter. For å øke tilgangen av risikokapital til forskningsintensive bedrifter i Norge på tvers av sektorene, foreslår LMI følgende tiltak:

1: Videreføre skatteincentiver for investorer i pre-kommersielle FoU-bedrifter ved redusert inntektsskatt.

Vi forstår det slik at KAPITALFUNN vil bli innført i løpet av 2017. Dette er svært bra, men er kun myntet på personlige investorer og kan ikke forventes å ha særlig effekt på privat kapitaltilgang til den kapitalintensive delen av helsenæringen (legemiddel- og bioteknologi-selskaper) hvor profesjonelle investorer må til. Kravene i KAPITALFUNN til investeringsobjektets omsetning og antall ansatte kan godt være strengere enn foreslått så ordningen ikke blir for dyr, men også ikke-personlige skatteyttere bør inkluderes og maksimumsgrensen på 1,5mill/år og selskapsalder på <6 år må heves.

2: Sikre kontinuitet og lik tilgang til såkorncapital.

- a. Kontinuitet: Ad hoc bevilgninger med mange års mellomrom har historisk skapt flerårig såkorntørke for helseindustrien i perioden mellom eksisterende fond er fullinvestert og nye fond er etablert og investeringsklare. Løsningen: Bevilge såkornmidler årlig over statsbudsjettet på samme måte som andre incentiver som BIA, Skattefunn, mm
- b. Lik tilgang: IN får som mandat å selektere såkornforvaltere med god «track record» innen sitt felt. Av historiske grunner finnes det mange slike miljøer som retter seg mot andre bransjer enn helseindustri, men kun 1-2 innen helse/livsvitenskap. Det er flere forvaltere for IN å velge blant innen for eksempel IKT med den konsekvens at helsebransjen står et stykke bak i køen når nye fond skal tildeles. Dersom man skal bygge en ny næring er det offentlige tvunget til å tenke nytt og staten må selv stimulere til at vi får minst ett nytt forvaltningsmiljø med helsekompetanse i Norge. Et instrument til å få til dette kan være Argentum. (Se nedenfor). Feltet har den senere tid vært i rivende utvikling med økt profesjonalisering og sterk klyngevirksomhet (OCC, NNC, RadForsk, LMI, etc) og en rekke oppstartselskaper som har gått på børs. I forbindelse med denne utviklingen er det i Norge i dag en rekke enkeltpersoner og miljøer med gode forutsetninger for å skape flere forvaltningsmiljøer med helsekompetanse, men dagens tildelingskriterier er til hinder for nyetablering av fond og er til hinder for omstilling fra gårdsdagens situasjon.

3: Endre Investinors mandat slik at de kan bidra til å forløse privat kapital

I dag investerer Investinor kun i bioteknologiselskaper dersom en spesialisert, helst utenlandsk, ventureinvestor investerer sammen med dem. Når norske selskap har nådd det stadiet at de tiltrekker seg slik kapitaler de imidlertid allerede på vei ut av dødens dal og følgelig i stand til å skaffe privat kapital uten bidrag fra Investinor. For norsk næringsutvikling ville det vært langt større gevinst dersom Investinor selv kunne ta en «lead investor» rolle med egen gransking av selskapene som andre private investorer så kan få innsyn i. Dette krever et mandat om å bidra til at helseindustrien i Norge skal lykkes samt et spesialisert team med investeringserfaring fra sektoren.

4: Endre Argentums oppdrag / mandat

Argentum har som samfunnsoppdrag å bidra til et mer velfungerende kapitalmarked for unoterte bedrifter. Til i dag har Argentum hatt minimal/ingen rolle for norsk helseindustri. Dette er det fullt mulig å gjøre noe med. Flere erfarne internasjonale VC fond har sagt seg villig til å etablere tilstedeværelse i Norge samt allokere deler av sine fond til norske selskaper som motytelser for investeringer fra Argentum. Mange tilsvarende statlige fond-i-fond i andre land har denne type krav/mekanismer, men ikke Argentum. Vårt forslag er at Argentum får som sitt oppdrag å bidra til norsk Helseindustri spesifikt og at det innføres noen enkle krav til minsteinvestering i norske selskaper samt bidrag til oppbygging av kompetent forvaltningsmiljø i Norge.

5: LMI støtter Abelia/NVCAs forslag til mer gründervennlig opsjonsbeskatning med følgende

justeringer for å ta høyde for stort kapitalbehov i bransjen. Forslaget legger opp til en avgrensning der selskaper med en omsetting eller egenkapital på under 100 millioner faller utenfor ordningen. LMI støtter forslaget når det gjelder omsetting, men advarer om at kravet til egenkapital på <100 millioner vil ekskludere legemiddelutviklingselskaper for tidlig i utviklingsløpet. LMI foreslår primært at det kun settes maksimalkrav til omsetning, og subsidiært at kravet til egenkapital settes til <500 millioner.

6: Formueskatten må fjernes. Den rammer Norske helsegründere spesielt hardt. Den tekniske risikoen i bransjen er spesielt høy og ikke sjelden må en moderat betalt gründer betale formueskatt i årevis for en formue som til slutt aldri lar seg realisere.

7: Innovasjon Norge: I motsetning til Forskningsrådet, hvor livsvitenskap utgjør en stor del av porteføljen, synes kun en liten del av IN's midler å nå frem til bransjen. IN har selv påpekt at det kan være kriterier i deres virkemidler som ikke er godt nok tilpasset bransjens særegenheter. Det foreslås å utrede nærmere hvordan IN i større grad enn i dag kan bidra til utviklingen av Norske Helsenæring.

NOTAT

Til: Nærings- og fiskeridepartementet

Fra: Legemiddelindustrien (LMI)

Dato: 06.09.2017

LMI's innspill til stortingsmelding om helsenæringen - Industrialisering og produksjon

Ambisjon må være at Norge skal tiltrekke seg investeringer i produksjon og kompetanse, både gjennom at norske aktører satser og investerer, og gjennom at internasjonale selskaper legger sin virksomhet til Norge.

Industrialisering og produksjon skaper jobber og bevarer kompetansen, og sørger for at vi til slutt får eksportinntekter. Det er derfor avgjørende hvis vi skal bygge en bærekraftig helsenæring at det tilrettelegges for produksjon.

I dag må mange norske selskaper som utvikler fremtidens medisiner ty til utenlandske miljøer først når de skal produsere til sine studier og senere for kommersiell produksjon. Dette er selskaper som har sitt utgangspunkt i offentlig finansiert forskning, og som således har spilt på lag med det norske virkemiddelapparatet hele veien. Når produksjonen ender opp utenfor Norge, betyr det i praksis at norske skatte kroner finansierer utvikling av infrastruktur og kompetanse i land som Sveits og Tyskland. Vi må få disse kronene hjem, og samtidig må vi gjøre oss attraktive for utenlandske investeringer. Om produksjonen starter i det små ute, blir den med stor sannsynlighet også værende ute. Det er derfor viktig å ha en infrastruktur som legger til rette for utvikling og produksjon i Norge. I land med sterk biotekindustri, som f.eks. Sverige og Storbritannia, har man møtt dette behovet ved å etablere delvis offentlig finansierte sentre med anlegg og utleietjenester som sikrer at selskapene kan utvikle sine produkter lokalt.

Legemiddelproduksjon preges i dag av følgende trender:

- Økende fokus på bærekraftig produksjon globalt som i Norge. Endrede krav til produksjon og produksjonsprosesser preget av økende miljøbevissthet vil føre til strengere krav til kvaliteten og større krav til miljøvennlig produksjon.
- Mer persontilpasset, biologisk legemiddelproduksjon vil også føre til større behov for nærhet til forskningsmiljøer og markedet der behandlingen skal benyttes. Et resultat vil være økt behov for nisjeproduksjon, og produksjonsplattformer for småskalaproduksjon.
- En ny bølge av innovasjonsselskaper vil stå for morgendagens behandlingsteknologi. Etterspørsele etter ny teknologi er enorm – drevet av demografiske endringer og økt press på helsetjenestene i alle deler av verden

Fortrinn/Muligheter for legemiddelproduksjon i Norge:

Norges allerede høye miljøkrav og miljøbevissthet kan være et komparativt fortrinn i den neste bølgen av utvikling og produksjon av legemidler. Politisk stabilitet og forutsigbarhet er en viktig faktor som det tas hensyn til når store investeringer i fabrikkbygg skal gjøres. Videre krever Legemiddelproduksjon høykompetent arbeidskraft som Norge er kjent for å ha.

Vi har 10 etablerte produksjonsselskaper innen legemiddelindustri i Norge som bidrar med mesteparten av helseindustriens eksport på 21,5 mrd/år⁷ og besitter en betydelig og avgjørende kompetanse. Potensialet for økt eksport og flere arbeidsplasser er enormt: Et stort antall gründerbedrifter preger helsenæringen, og disse skal industrialisere produktene sine. Vi må tilrettelegge for at det skjer i Norge.

Utfordringene:

Mangel på politisk eierskap og helhetlig satsing:

Helsenæringens verdikjede faller inn under flere departementer og sentrale elementer i en helhetlig verdikjede for næringsutvikling blir fragmentert og uoversiktlig. Det mangler en samlet politikk for å utvikle helsenæringen.

Hvis vi skal gripe industrialiseringsmulighetene som ligger i legemiddelproduksjon, må det arbeides målrettet med å opprettholde og videreutvikle industriell og farmasøytisk kompetanse, og det må satses betydelig på industrialisering av forskningsresultater gjennom etablering og drift av pilotanlegg.

Mangel på virkemidler:

Teknologiutviklingsprosjekter vil ofte kreve betydelige midler til pilot- og demonstrasjonsanlegg. Virkemiddelapparatet som det er i dag, er rettet inn mot forskning og innovasjon, men i liten grad til industrialisering av resultatene. NFR, IN og SIVA har møtt initiativet med velvilje, men aktørene har ingen midler til å understøtte testfasiliteter/pilotarenaer.

Forskningsrådet og Innovasjon Norge gir kun støtte til prosjekter, mens SIVA bygger bygg. Ingen av virkemiddelaktørene finansierer utstyr eller den øvrige infrastrukturen som kreves for innovasjon/næringsutvikling. Forskningsrådet bevilger store beløp til forskningsinfrastruktur, men disse midlene er ikke tilgjengelige for søknad om infrastruktur nødvendig for næringsutvikling.

Kapitalvirkemidler og Norsk eierskap:

Ny industribygging fordrer sterke og forutsigbare rammevilkår for kapitalinnsprøytning og eierskap. En tydelig politikk på dette området etterlyses.

Anbefalinger:

- Hele verdikjeden innen innovasjon må støttes: forskning, pilotering, utvikling og kommersialisering
- Det må innføres bedre ordninger for pilotering og demonstrasjon av ny teknologi. Det nye virkemiddelet «katapult» kan være løsningen på «gapet» vi ser i virkemidlene og at bevilgningene til dette styrkes.
- Det er viktig at de industrielle plattformene knyttes tett til kunnskapsinstitusjonene da interaksjonen mellom forskning, produksjon og klinikk stadig blir tettere.

⁷ <http://www.menon.no/helsenaeringens-verdi/>

- Det må tilrettelegges for at den eksisterende industrielle kompetansen innen legemiddelproduksjon benyttes i utvikling av nye tiltak og plattformer.
- Det bør utarbeides en strategi for offentlig-privat samarbeid rundt eksisterende produksjonsfasiliteter i Norge, der etablerte virkemidler inkluderes.
- Produksjonsutstyret på Folkehelseinstituttet, som ble avhendet 1. juli 2017, må komme til nytte i det videre arbeidet med å bygge helseindustri i Norge. Utstyret for biofarmasøytisk produksjon bør samles og anvendes til pasientbehandling, næringsutvikling, produksjon og nye arbeidsplasser her i landet.

NOTAT

Til: Nærings- og fiskeridepartementet

Fra: Legemiddelindustrien (LMI)

Dato: 06.09.2017

LMI's innspill til stortingsmelding om helsenæringen – Offentlig anskaffelser og markedsadgang for legemidler

Det er helt avgjørende at det finnes marked for nye helseinnovasjoner slik at de blir tatt i bruk. Markedet for legemidler er i all hovedsak det offentlige. Det betyr at det offentliges innkjøpsordninger er av stor betydning for om nye legemidler blir tatt i bruk eller ikke.

Nye legemiddelpolitiske mål må føre til endringer i offentlige anskaffelser av legemidler

I 2016 ble det vedtatt nye legemiddelpolitiske målsetninger i forbindelse med Stortingets behandling av Legemiddelmeldingen:

- Sikre god kvalitet ved behandling av legemidler
- legemidler skal ha lavest mulig pris
- likeverdig og rask tilgang til effektive legemidler
- legge til rette for forskning og innovasjon

De nye elementene er *rask* tilgang til effektive legemidler samt at legemiddelpolitikken skal legge til rette for forskning og innovasjon. Stortinget understreket at alle disse målene er likeverdige og må sees i sammenheng.

De siste årene har det vært en tendens til at flere og flere legemidler blir finansiert av helseforetakene – enten ved at finansieringsansvaret overføres dit fra Folketrygden eller at de blir plassert der direkte når legemidlene kommer på markedet.

Framover vil alle nye legemidler bli metodevurdert, herunder følger det også prisforhandlinger mellom leverandøren og Sykehusinnkjøp HF. Dernest blir legemidler som skal finansieres av helseforetakene som regel inkludert i et anbud. Anbudene gjennomføres av LIS som er en divisjon i Sykehusinnkjøp HF. Antall anbud er økende og det er for tiden flere

enn 20 ulike anbudskonkurranser. Med ett unntak er pris i dag eneste kriterium i anbudskonkurransene. I tillegg kommer rabattavtaler knyttet til enkeltlegemidler.

Politiske føringer fra Stortinget må hensyntas

I forbindelse med behandlingen av Legemiddelmeldingen fremmet Stortingets helse- og omsorgskomite følgende enstemmige merknad:

«Nye legemiddelpolitiske målsettinger tilsier at også andre kriterier enn lavest mulig pris må vektlegges ved sykehusenes innkjøp av legemidler»

Oppfyllelse av denne merknaden er helt avgjørende for at legemiddelpolitikken blir innovativ ikke bare i målformuleringer, men også i praksis. Det innebærer at de regionale helseforetakene, i kraft av sitt eierskap i Sykehusinnkjøp HF, må ta initiativ for å endre dagens legemiddelanbud. Skal man premiere innovasjon, gir det liten mening i å samgruppere nye legemidler med legemidler som har vært på markedet lenge. Hvis man konsekvent gjør slike samgrupperinger og har pris som eneste kriterium, blir det vanskelig å fremme innovasjon gjennom offentlige anskaffelser, slik Regjeringen ønsker at man skal. LMI ønsker derfor at flere kriterier benyttes i anbud. Anskaffelsene må også ta hensyn til leveringssikkerhet.

LMI vil også peke på at offentlige anskaffelser ikke alltid nødvendigvis må være det samme som anbud. Forhandlinger med leverandører er også en anskaffelsesform som både kan gi innkjøper rabatter og samtidig sørge for at helseforetakene kan ta i bruk innovasjoner. Det er i det hele tatt et behov for å koordinere og se de ulike virkemidlene i sammenheng. Etter vår mening kan dette gjøres gjennom å utarbeide en nasjonal strategi på legemiddelområdet som sikrer en helhetlig tilnærming og som ser de ulike prosessene som virker inn på tilgang til og finansiering av legemidler i sammenheng.

Oppsummert mener LMI at offentlige anskaffelser på legemiddelområdet bør:

- Støtte opp om helsepolitiske og næringspolitiske ambisjoner om rask og likeverdig tilgang, pasienten i sentrum samt forskning og innovasjon.
- Bidra til riktig legemiddelbruk, både medisinsk og økonomisk.
- Sikre pasienter og behandlere et bredt terapeutisk tilbud med muligheter for individuell tilpasning.
- Verdsette legemidler som en innsatsfaktor i helsevesenet, og ha et samfunnsperspektiv på kost-nytte av legemidler.
- Ha høy forutsigbarhet og transparens og følge lov om offentlig anskaffelser.