Revidering av den nasjonale strategien for persontilpasset medisin

**Delprosjekt forskning og innovasjon**

**Gruppens medlemmer**

|  |  |
| --- | --- |
| ***Institusjon*** | ***Deltaker*** |
| Forskningsrådet *(leder)* | Karianne Solaas  |
| Folkehelseinstituttet | Siri Eldevik Håberg  |
| Legemiddelverket | Helga Haugom Olsen |
| De regionale helseforetakene | Torunn Berge, Helse Sør-ØstKjetil Tasken, Helse Sør-ØstÅsmund Flobak, Helse MidtRune Sundset, Helse NordGunnar Houge, Helse VestRandi Hovland, Helse Vest |
| UH-sektoren | Torstein Baade Rø, NTNU |
| Helse- og omsorgsdepartementet *(observatør)* | Marianne van der Wel  |

**Oppdragsbeskrivelsen**

Delprosjekt forskning og innovasjon skal utarbeide en statusbeskrivelse for forskning og innovasjon innenfor persontilpasset medisin (PM) med utgangspunkt i den eksisterende strategien og handlingsplanen som Norges forskningsråd og de regionale helseforetakene utarbeidet i fellesskap som oppfølging av strategien. Fremtidige behov bør omtales. Delprosjektet bør også ta stilling til om det er ønskelig å videreføre en egen handlingsplan for forskning og innovasjon, eller om temaet bør innlemmes i strategien.

***Gruppen ble bedt om å inkludere følgende temaer i besvarelsen*** *(listen er ikke uttømmende):*

* Kompetansebehov inkludert tverrfaglighet
* Samarbeid og nasjonal koordinering
* Data og infrastruktur, inkludert kunstig intelligens
* Integrasjon av forskning og behandling
* Internasjonalt forsknings- og innovasjonssamarbeid
* Ansvarlig forskning og innovasjon (RRI)

Dette delprosjektet om forskning og innovasjon overlapper med og har og bør ha sterke synergier med de andre delene av arbeidet med å oppdatere strategien. Samtidig må det både avgrenses mot og sees til eksternt pågående strategisk arbeid og nyere strategier, meldinger, planer og større samarbeid regionalt, nasjonalt og internasjonalt, herunder spesielt på nordisk nivå og innenfor de andre nordiske landene. Nordic Health 2030 og Nordic Society of Human Genetics and Precision Medicine (NSHG-PM) er eksempler på nordisk nivå. Nasjonalt gjelder dette arbeidet med nasjonalt genomsenter, 1+ million genomes, Nasjonal handlingsplan for kliniske studier 2021-2025, Nasjonal strategi for sjeldne sykdommer, evaluering og evt. endringer i Nye metoder, Helsenæringsmeldingen (Meld. St. 18(2018-2019)), Regjeringens langtidsplan for forskning og høyere utdanning 2019-2028 og annet. Arbeid med og spesielt innspill fra miljøene til nye planer innenfor forskning, innovasjon og tilhørende infrastruktur kan også gi verdifull innsikt i status og behov i arbeidet med å oppdatere strategien for PM. Konkret gjelder det eksempelvis innspill til oppdatering av porteføljeplaner og nasjonalt veikart for forskningsinfrastruktur i Forskningsrådet.

**Sammendrag**

Arbeidsgruppen i delprosjekt forskning og innovasjon anbefaler å integrere forskning og innovasjon sømløst i den oppdaterte strategien. Den forrige handlingsplanen ble lite synlig sammenliknet med strategidokumentet, og forskning og innovasjon bør være direkte koplet til tjenestetilbudet i årene framover på grunn av den tette koblingen mellom FoI og tjenestene innenfor PM. En del barrierer ligger i dag i skillet mellom behandlingstilbudet og forskning/innovasjon. Næringsutvikling bør også være koplet godt på i den oppdaterte strategien.

Norske forskere har bidratt vesentlig nasjonalt og i internasjonalt samarbeid til å utvikle persontilpasset medisin i løpet av strategiens og handlingsplanens virkeperioder. Imidlertid har forskningen for å utvikle fagområdet kommet ulikt langt innenfor ulike sykdomsgrupper og innenfor bredden fra persontilpasset forebygging, via diagnostikk og behandling til rehabilitering og tilpassede helsetjenester, med diagnostikk og behandling av kreft i front. I dette notatet beskriver arbeidsgruppen i delprosjekt forskning og innovasjon status for PM i Norge i et internasjonalt perspektiv med utgangspunkt i tiltakene i handlingsplanen. Vi har hatt relativt kort tid til rådighet, så statusbeskrivelsen er ikke komplett. Det nasjonale landskapet er eksemplifisert med en konkret sentral stor studie (IMPRESS, CONNECT), et nettverk (ERN) og infrastruktur (PET), mens annet relevant pågående arbeid og behov for å igangsette nytt arbeid er generalisert.

Arbeidsgruppen har begynt på arbeidet med å identifisere framtidige behov for forskning og innovasjon innenfor persontilpasset medisin, og vi foreslår hovedpunkter her. Oppdaterte og nye tiltak for den kommende strategiperioden kan detaljeres og gjøres mer helhetlig i et videre oppdrag til arbeidsgruppen. I tillegg må altså tiltakene for forskning og innovasjon henge godt sammen med resten av tiltakene i den oppdaterte strategien, ikke løsrevet som de p.t. foreligger i dette notatet. Området kan få et vesentlig løft framover hvis det tilrettelegges for full integrasjon mellom forskning, innovasjon og næringsutvikling med tjenestetilbudet innenfor forebygging, diagnostikk, behandling og rehabilitering for alle diagnosegrupper og med gode norske forskningsmiljøer i nordiske og internasjonale samarbeid.

Det er viktig at alle relevante aktører involveres i fase 2 av arbeidet med å oppdatere strategien. Det bør blant annet omfatte alle finansiører av forskning og innovasjon, næringslivet og UH (universitets- og høyskolesektoren) i tilstrekkelig grad.

**Inkludere forskning og innovasjon i den oppdaterte strategien fra 2023**

Forskning og innovasjon var så godt som fraværende i den nasjonale strategien for persontilpasset medisin i helsetjenesten (2017-2021), men et tiltak var å utarbeide en separat handlingsplan med konkrete tiltak for forskning og innovasjon innenfor persontilpasset medisin (2018–2021).

Dagens strategi er vel kjent i miljøene, mens handlingsplanen nok er ukjent selv for mange av forskerne, næringslivet og andre aktører innenfor PM. Dette praktiske aspektet er i seg selv et godt argument for at planene som nå legges for forskning, innovasjon og næringsutvikling heller bør legges som en integrert del av strategidokumentet.

I tillegg er PM faglig sett i forskningsfront med betydelige behov for innovasjoner framover, hvilket innebærer behov for å strømlinjeforme forskning og innovasjon med det kliniske arbeidet for å få implementert resultatene raskt. Ikke minst er det viktig for å få til en mer sømløs overgang organisatorisk, økonomisk, og mht. datahåndtering, samtykkehåndtering, andre infrastrukturelle behov og andre juridiske avklaringer. Det er altså behov for å viske ut skillet vi i dag ser mellom forskningsinfrastruktur og infrastruktur i tjenestene innenfor PM, arbeidet med FAIR data, og det er behov for å se på om noe kan gjøres på den juridiske og etiske siden i skillet mellom forskning og klinikk. Samtidig må man se på om andre økonomiske skillelinjer mellom forskning og klinikk/helsetjeneste kan skape hindre for å utvikle dette området, som er i rivende utvikling i forskningsfronten. Det er vesentlig at forskning og innovasjon og også næringsutvikling går hånd i hånd med tjenestene for persontilpasset forebygging, diagnostikk, behandling og oppfølging framover. Forskningen på feltet bygger evidens og strukturer og må derfor skrives godt inn i strategien på relevante steder, ikke foreligge separat selv om det er innenfor strategidokumentet.

En strategi med full integrasjon av forskning og innovasjon kan i vesentlig grad bidra til mer optimal utnyttelse av eksisterende finansieringsordninger og til en mer helhetlig og bærekraftig utvikling. God tilrettelegging innenfor og i samarbeid mellom relevante finansieringsinstanser, både til forskning og helsetjenesten, kan legge til rette for en videre god kunnskapsutvikling for PM i Norge i en internasjonal kontekst. Begrensede midler til å utvikle PM kan brukes strategisk og koordinert nasjonalt, nordisk, europeisk og globalt for å øke verdien av forskning og innovasjon og gi næringsutvikling på feltet. For å løfte feltet til nødvendig nivå framover er det imidlertid også behov for en styrking med friske midler.

**Status**

Handlingsplanen ble utarbeidet av en arbeidsgruppe ledet av Forskningsrådet med representanter utpekt av de fire regionale helseforetakene. Planen inneholder en rekke tiltakspunkter for å stimulere til felles løft og bedre samhandling, internasjonalt forskning- og innovasjonssamarbeid, utnytte komparative nasjonale fortrinn og muligheter, økt synlighet, mer tverrfaglighet og bedre koordinering, identifisere barrierer for samhandling, ivareta en pådriverrolle og for ansvarlig forskning og innovasjon. Det ble ikke satt av midler til en egen satsing på PM. Tiltakene i handlingsplanen er derfor ment som retningsgivende for den videre utviklingen innenfor eksisterende budsjettrammer. Foreløpig identifisert status for tiltakene i handlingsplanen er listet i tabell 1 under.

Forskning og innovasjon innenfor PM har hatt en betydelig utvikling fra 2017 til i dag. Faglig er PM spredt langt ut over de tre fokusområdene i strategien (kreft, sjeldne diagnoser og infeksjonssykdommer) og innbefatter også langt mer enn genomiske data og også håndtering av store data fra mange kilder. Overordnet sett har handlingsplanen for forskning og innovasjon innenfor PM 2018-2021 vært vellykket. Det er igangsatt et betydelig antall forsknings- og innovasjonsprosjekter de siste årene som støtter opp under denne utviklingen. En rekke finansieringskilder, både nasjonalt og internasjonalt, offentlige, private og ideelle, er aktuelle for prosjekter innenfor PM. Noen av disse kan spisses direkte mot behov innenfor PM, mens andre er frie, konkurransebaserte arenaer for "bottom-up"-forskning.

Forskningsrådet har gjennom en årrekke finansiert forskningsprosjekter på PM-området i hele bredden fra personlig tilpasset forebygging, via årsaker, diagnostikk, behandling, rehabilitering til persontilpassede tjenester. Et raskt søk viser at begrepet "persontilpasset medisin" først dukket opp for omkring 10 år siden og at vi har finansiert prosjekter betegnet av dette begrepet for anslagsvis en milliard kroner (ikke kvalitetssikret tall). Midler fra Forskningsrådet har gått til flest prosjekter på kreftområdet, men også nevro-området er godt representert og PM forskning finansiert av Forskningsrådet sprer seg nå også til andre sykdomsgrupper og områder. Det samme bildet sees for andre nasjonale og internasjonale finansieringskilder. Søknader knyttet til utviklingen av PM er sterkt voksende, og Forskningsrådet har de siste årene gjennomført flere dedikerte utlysninger nasjonalt og internasjonalt. En betydelig andel av tildelingene er investert i infrastrukturer og senterordninger som har PM som ett av sine satsningsområdet. Gode infrastrukturer er helt avgjørende for å lykkes med PM. Mesteparten av disse aktivitetene knyttet til PM har til nå skjedd med utgangspunkt i Oslo universitetssykehus og universitetene i Oslo, Bergen og Trondheim. Dette breddes nå ut til hele landet og flere sektorer, inkludert primærhelsetjenesten og næringslivet. Forskningsrådet finansierer bare omkring 15 % av norsk helseforskning. Gode norske forskere søker ut i nordiske og europeiske samarbeid og gjør det godt på den internasjonale arenaen. Forskningsrådet har et betydelig internasjonalt engasjement innenfor PM. Særlig gjelder dette ERA (European Research Area)-nettverket for persontilpasset medisin kalt ERAPerMed. I ERAPerMed har det vært årlige utlysninger siden 2018. Vi opplever svært stor interesse for ERAPerMed blant norske søkere og at prosjekter med norsk deltakelse har suksess. EU jobber nå for å etablere større partnerskap på en rekke ulike området, deriblant PM. EP (European Partnership) PerMed vil etter planene starter i 2023/2024.

Norge er i langt framme på forskningsfronten internasjonalt innenfor presisjonsmedisin på kreftområdet. Det gjelder ikke minst offentlig-privat samarbeid. Oslo Cancer Cluster er en viktig sammenslutning for norske kreftselskaper, FoU-aktører på offentlig side og internasjonale farmasøytiske selskaper som viser økende interesse for Norge på kreftområdet. Den siste tiden skjer offentlig-privat samarbeid på kreftområdet i utstrakt grad også takket være CONNECT (Norwegian Precision Cancer Medicine Implementation Consortium), som er et offentlig-privat samarbeid med 28 partnere for å fasilitere samhandling og implementering og observere initiativer som InPreD, infrastruktur som tilbyr nasjonalt tjenestetilbud for molekylær kreftdiagnostikk for å stratifisere pasienter inn i kliniske studier (helsetjeneste, refundert i Norge) og IMPRESS-Norway, en forskerinitiert, nasjonal klinisk studie som bruker en PM-tilnærming for å velge individualisert behandling. IMPRESS-Norway har samarbeid med en rekke farmasøytiske selskaper for å teste kreftmedisiner på enkeltpasienter. IMPRESS-Norway har formelt samarbeid med Drug Rediscovery Protocol ([DRUP](https://www.radboudumc.nl/en/news-items/2021/dutch-nordic-alliance-for-precision-cancer-medicine-launched)) i Nederland, og de har etablert [Nordic Precision Medical Trial Network](https://www.radboudumc.nl/en/news-items/2021/dutch-nordic-alliance-for-precision-cancer-medicine-launched) sammen med Finland, Danmark og Sverige. Det er i tillegg formelt samarbeid mellom DRUP og det nordiske nettverket. Disse samarbeidene er svært viktige for å harmonisere studiedesign endepunkter og for å dele data.

European Reference Networks (ERN) er etablert for å bedre helsetilbudet til pasienter og familier med sjeldne sykdommer. Sjeldne sykdommer er samlet sett vanlig. 5-6 % av befolkningen har en sjelden sykdom. I over 80 % av tilfellene er årsaken genetisk. Det finnes anslagsvis 7000 sjeldne sykdommer, og de fleste er supersjeldne med forekomst under 1 per million innbyggere. Slik sjeldenhet krever internasjonalt samarbeid for å finne ut hvordan man kan bedre diagnostikk, oppfølging og behandling av denne gruppen. ERN-systemet er kjernen i håndteringen av sjeldne sykdommer i Europa, inkludert Norge (se Nasjonal Strategi for Sjeldne Diagnoser fra 2021). ERN-nettverkene har eksistert i fem år, og EU-kommisjonen vil nå styrke den administrative støtten til nettverkene. I Norge har så langt rundt 16-17 av de 24 ERN-nettverkene etablert en norsk node som har krav til nasjonal nettverksdannelse og informasjonsspredning.

Organisatoriske og strukturelle skiller mellom klinikk og forskning hemmer utviklingen av PM. Infrastruktur for pasientnær forskning og juridisk tilrettelegging for å håndtere sensitive stordata, både innenfor sektorene i helsetjenestene og til sekundærbruk, er en av de viktigste utfordringene, og nasjonale løsninger er nødvendig for å øke forskning innenfor dette feltet. I dag må pasientdata avidentifiseres ved utveksling av informasjon mellom helseforetak og mellom sykehus og forskningsgrupper uten at det er etablert nasjonal koblingsnøkkel for å identifisere pasienten. For pasienter som inngår i forskningsprosjekter avidentifiseres de prosjektspesifikke prøvene. I forskningsprosjektene kobles data fra disse prøvene med kliniske og diagnostiske data, og dette må per i dag gjøres manuelt av noen få personer med tilgang til koblingsnøkkel. Det er derfor behov for en rekke juridiske dokumenter inkl. databehandleravtaler, og per i dag er disse ikke resiproke mellom universitet og sykehus. For pasienter i kliniske studier som IMPRESS inngår prosjektspesifikke data i tolkning. Pasienten er avidentifisert i de molekylære multidisplinære team-møtene (mol-MDT-møter; molecular tumor boards). I dag er det selvsagt at pasienter som får behandling på sykehus bidrar til behandlende leges erfaringsgrunnlag, men det er svært krevende å samle erfaringer strukturert.

Norge har komparative fortrinn innenfor PM. Vi har unik forskningsinfrastruktur med muligheter for å kombinere data på individnivå fra helseregistre og befolkningsundersøkelser. Mange land satser på store kohortundersøkelser som forskningsressurs til PM. Det er behov for store tall for å oppnå presis kunnskap. I Norge har vi flere befolkningsundersøkelser med flere hundre tusen deltagere, med biologiske prøver og detaljert informasjon om miljøfaktorer, helse og sykdomsutvikling. Kohortene er en ressurs for studier innenfor genetikk, ‘omics', ernæring, medikamentbruk, vaksiner og biomarkører. Det er allerede tilgjengelig data om genotyper og andre 'omics'-data i mange av kohortene. Biobank Norge, en nasjonal infrastruktur for humane biobanker, er en betydelig ressurs for forskning innenfor PM ettersom fokus nå er å bygge opp biobank-infrastruktur som ivaretar behovet for biobanking i kliniske studier rettet mot PM. Høy kvalitet på data om helse og eksponering og gener kan gjøre Norge fremragende innenfor forskning på PM. Kohortene kan brukes til et stort antall delprosjekter, kliniske dybdestudier med synergieffekter og gjenbruk av informasjon. Tilgang til data fra flere offentlige kilder (mange helseregistre og utvalgte befolkningsundersøkelser) har blitt enklere og litt raskere med Helsedataservice, men vi vil trenge Helseanalyseplattformen eller et godt alternativ til den for å få det helhetlige økosystemet vi trenger for sekundærbruk av norske helsedata på tvers av kilder.

All innovasjon på legemiddelområdet må gjennom en regulatorisk vurdering før den kan markedsføres og tas i systematisk bruk. Klinisk utprøvning og utvikling av PM er, i likhet med annen legemiddelbehandling, strengt regulert i alle faser av utviklingsløpet for å ivareta pasientenes sikkerhet og prinsipper for forskningsetikk. Reguleringen av legemidler er implementert på europeisk nivå og vitenskapelige og regulatoriske evalueringer av søknader om markedsføringstillatelse og klinisk utprøvning gjennomføres i all hovedsak i det europeiske nettverket der også Norge deltar. Implementering av PM i Norge er dermed avhengig av at dokumentasjonsgrunnlaget oppfyller gjeldende europeiske krav for effekt, sikkerhet og kvalitet. Videre må det kunne dokumenteres at kostnaden av behandlingen står i forhold til mereffekten dersom et legemiddel skal tas i bruk med offentlig finansiering. Statens Legemiddelverk (SLV) tilbyr vitenskapelig og regulatorisk veiledning i alle faser av legemiddelets livsløp. Veiledningen skal sikre at de regulatoriske kravene ivaretas og bidrar til å optimalisere kvaliteten på studiene ved å sikre effektiv studiedesign med relevante utfallsmål. Robust studiedesign vil i sin tur fasilitere en senere prosess for regulatorisk godkjenning. Den vitenskapelige veiledningen skal også optimalisere ressursbruken, slik at vi unngår å binde opp norske pasienter i studier som ikke produserer nyttig evidens.

**Tabell 1.** **Foreløpig identifisert status for tiltakspunktene i *Handlingsplan for forskning og innovasjon innenfor persontilpasset medisin (2018-2021*)**

|  |  |
| --- | --- |
| *Tiltakspunkt* | *Status* |
| Tiltak for å stimulere til felles løft og bedre samhandling• Gjennomføre en felles utlysning av forskningsmidler til persontilpasset medisin med midler fra Forskningsrådet og RHFene (og gjerne UoH-institusjoner, frivillige organisasjoner og næringsliv). Utarbeidelse av utlysningen foreslås gjennomført med bred involvering fra samfunnsaktører og bør ha fokus på nye samarbeidsformer. • Stimulere til forsknings- og innovasjonssamarbeid mellom helsetjenesten og næringslivet gjennom utvikling av finansieringsvirkemidlene. | * Forskningsrådet tok i 2019 initiativ til dialog om en felles utlysning mellom Forskningsrådet og RHF-ene og foreslo at det etableres en strategisk dialogplattform mellom Forskningsrådet og RHF-ene hvor en kunne diskutere felles initiativ. Både etablering av plattformen og forslaget om felles utlysning strandet. RH-ene foreslo at Forskningsrådet inviteres inn i spesielle saker i RHF-enes strategigruppe for forskning. En egen utlysning til PM-feltet med finansiering fra fire RHF-er og Forskningsrådet er krevende mtp. koordinering av prosesser for avsetning av midler. Forskningsmidler i RHF-ene styrebehandles, og det er i utgangspunktet ikke egnede avsetninger som raskt kan settes inn i tiltak som felles utlysninger. RHF-ene, Forskningsrådet og andre finansieringskilder som Kreftforeningen har alle midler som er tilgjengelige for forskningsprosjekter rettet mot PM-feltet.

Se* Det er gjennomført flere endringer i finansieringsvirkemidlene gjennom Forskningsrådet for å stimulere til forsknings- og innovasjonssamarbeid mellom helsetjenesten og næringslivet, deriblant opprettelse av det nye virkemiddelet Pilot helse, som så langt har gjennomført utlysning av både forprosjekter og hovedprosjekter. Ordningen [Pilot Helse](https://www.forskningsradet.no/sok-om-finansiering/pilot-helse/) ble etablert i utgangen av 2020 og skal bidra til bærekraft i helse- og omsorgstjenestene og verdiskaping i norsk helsenæring. Dette er et nytt virkemiddel som er åpent for søkere fra næringslivet og offentlig sektor (men ikke FoU-organisasjoner). Det er krav om samarbeid mellom minst en bedrift og minst en offentlig virksomhet som representerer helsetjenestene. Det ble lyst ut og bevilget midler til forprosjekter og [hovedprosjekter](https://www.forskningsradet.no/utlysninger/2021/pilot-helse-hovedutlysning/) i 2021. To av de fire prosjektene som fikk bevilgning er relevant for PM. Etter er innenfor smerte (Grasp & Grasp Buddy for pain assessment and remote patient monitoring) og ett er innenfor kreft (CaReScreen: A clinical decision support system for cancer rehabilitation).

Våren 2020 ble det lyst ut Innovasjonsprosjekter med offentlig privat samarbeid ([BIA-X COVID19 Helse](file:///C%3A/Users/ikd/Work%20Folders/Documents/www.forskningsr%C3%A5det.no/utlysninger/2020/covid-19-hasteutlysning-innovasjonsprosjekt-privat-offentlig-samarbeid-bia-x/)). Det var en prøveutlysning der bedrifter kunne søke midler til prosjekter i faktisk samarbeid med en offentlig virksomhet som representerte helsetjenesten. Ett av prosjektene som ble finansiert er relevant for PM; Blood test to predict the severity of Covid-19.Et konkret eksempel på felles løst og bedre samhandling innenfor PM er IMPRESS-studien. Den organiserer et nasjonalt initiativ som går i alle helseforetak som har kreftpasienter og innebærer utmerket nasjonalt samarbeid.Forskningsrådet har etablert ordningen Forskningssenter for klinisk behandling (FKB). Hittil er fire sentre finansiert, og alle har mål om persontilpasset behandling for sine pasientgrupper (kreft, hodepine, muskel-skjelett, nevro). Det er betydelig egenfinansiering i sentrene (helseforetak, universitet, andre), og sentrene skal legge til rette for næringsutvikling. |
| Tiltak for å stimulere internasjonalt forsknings- og innovasjonssamarbeid• Forskningsfinansiører skal prioritere å delta i og mobilisere til nordiske samarbeid om finansiering av forskning og innovasjon på persontilpasset medisin som f.eks. NordicPerMed og fremme samarbeid på feltet, særlig innenfor NordForsk. • Forskningsfinansiører skal prioritere å delta på og mobilisere til andre internasjonale arenaer som samarbeider om finansiering av forskning og innovasjon på persontilpasset medisin som f.eks. ERACoSysMed og ERAPerMed. • Forskningsrådet har ulike stimuleringsordninger for deltakelse i H2020. Norske forskere og næringsliv må oppfordres til å utnytte disse mulighetene enda bedre når det utlyses midler til persontilpasset medisin. | * Norge ved Forskningsrådet har deltatt i og mobilisert til nordisk samarbeid om finansiering av forskning og innovasjon på PM gjennom flere fellesutlysninger med NordForsk, deriblant NordicPerMed, men også flere utlysninger som prioriterer de nordiske fortrinnene med helsedata og fremmer kliniske studier. En planlagt nordisk utlysning spesifikt innenfor PM ble omgjort til Covid-19 da pandemien inntraff, men prioriteringen av å bruke helsedata på tvers av de nordiske landene ble beholdt under temaet Covid-19. Det rapporteres også på forskningsaktvitet innenfor PM to ganger årlig til det europeiske initiativet IC PerMed, der det bl.a. er meldt inn eksempler fra norsk side til «best practice»-oversikter fra RHF-siden.
* Norge ved Forskningsrådet har deltatt aktivt i ERACoSysMed og ERAPerMed i hele perioden. I ERAPerMed har vi sett spesielt stor interesse fra norske søkere. Vi har derfor økt midlene for å kunne finansiere alle søknader med norske søkere som nådde opp i konkurransen med de andre landene i alle fellesutlysningene. Norge ved HOD og Forskningsrådet deltar i forberedelsene til et nytt europeisk partnerskap innenfor PM (EP PerMed).
* De nasjonale kontaktpunktene (NCP) mot H2020 (og etterfølgeren Horisont Europa) i Forskningsrådet har spesielt fokus på å stimulere norske forskere og næringsliv til å utnytte mulighetene gjennom stimuleringsordninger og andre tiltak. For universiteter og forskningsinstitusjoner tilbyr Forskningsrådet en rammebevilling for deres posisjonering og søknadsskriving mot Horisont Europa (tidligere H2002), mens industrien må sende en separat PES-søknad for hver posisjonerings- eller EU-søknadsskrivingsaktivitet. Mobiliseringen er generell for alle typer finansieringsmuligheter for helseforskning og -innovasjon. Forskningsrådet har ikke hatt noen spesifikk mobiliseringsordning til utlysninger innenfor PM, men ettersom Horisont Europa dekker PM, så vil det komme finansieringsmuligheter innenfor PM der. Norge var med på å spille inn PM som et element i Horisont Europa.

Det er behov for bedre utnyttelse av Digital Europe-programmene der det også kommer konkrete tiltak rettet mot PM og bred utnyttelse av helsedata. Det er allerede gjennomført utlysninger som understøtter store internasjonale samarbeid, f.eks. 1+MG-prosjektet, der Norge ved Helsedirektoratet deltar (HOD har undertegnet intensjonserklæring). |
| Tiltak for å utnytte komparative nasjonale fortrinn og muligheter• Fortsette arbeidet med Helsedataprogrammet og sikre at utviklingen av helseanalyseplattform er i tråd med forskeres, helsetjenestenes og næringslivets behov for forskning og innovasjon innenfor persontilpasset medisin. • Utvikle nasjonale standarder for kategorier av helsedata som er relevant for forskning innenfor persontilpasset medisin, og harmonisere anvendelsen av personvernlovgivningen på tvers av helseforetakene. | * Arbeidet er gjennomført etter planen i programperioden 2017-2021 inntil Direktoratet for e-helse besluttet å sette utvikling av Helseanalyseplattformen på vent i desember 2021, grunnet juridiske utfordringer som følge av Schrems II-dommen. Helsedataservice er operativ og andre leveranser, som felles søknadsskjema, filoverføringstjeneste for mindre datamengder og samtykkeløsning, er operativt. Det letter oversikten over datakildene og innholdet i disse og det letter tilgangen til og andre praktiske forhold ved sekundærbruk av helsedata. Det arbeides med en midlertidig løsning med at andre datainfrastrukturer for forskning og innovasjon brukes midlertidig som analyseplattform for helsedata overført etter vedtak (snart på plass i forskrifts form) i Helsedataservice.
* Dette krever nasjonalt fokus på tolkning av personvernlovgivningen. Noe av dette arbeidet har Helsedirektoratet ansvaret for bl.a. gjennom sitt arbeid med juridisk og etisk vurdering av bruk av genominformasjon.
 |
| Tiltak for økt synlighet, mer tverrfaglighet og bedre koordinering• Stille krav til søknader som inkluderer kliniske studier om å vurdere eksplorative biologiske markører for stratifisering og kost/nytteanalyser der det er relevant. • Stimulere til gjensidig forskningssamarbeid og utnyttelse av biobankmateriale til eksplorativ biomarkørforskning i forbindelse med industrifinansierte kliniske studier. • Oppfordre til at fremtidige utlysninger med relevans for persontilpasset medisin oppfordrer til og fasiliterer etablering av tverrfaglig samarbeid, spesielt mht. humaniora og jus. • Stille krav til søknader om å vurdere utnyttelse av tilgjengelig teknologi og infrastruktur, og muligheten for næringslivssamarbeid ved utvikling av ny teknologi og oppbygging av infrastruktur. • Oppfordre til prioritering av forskningsinfrastruktur for persontilpasset medisin for å bygge kapasitet for fremtiden. | * I Forskningsrådets utlysning til klinisk forskning i 2019 ble prosjekter om PM prioritert. Kreftforeningen la inn midler til PM-prosjekter innenfor kreft. Det ble etterspurt markører for stratifisering, planer for implementering av PM i helsetjenesten, relevant tverrfaglig samarbeid (medisin-humaniora-jus-teknologi m.m.) og samarbeid mellom forskere, klinikere og helsetjenestene. Prosjektene skulle beskrive aktuelle problemstillinger knyttet til HMS (helse, miljø og sikkerhet), ELSA (etiske, legale og sosiale aspekter) og andre relevante RRI-perspektiver.
* Ingen spesifikke tiltak i form av utlysninger er gjennomført i Forskningsrådet, men i forbindelse med oppfølging av handlingsplanen arrangerte Forskningsrådet en workshop i samarbeid med DNV GL, Kreftforeningen og LMI i januar 2019. Formålet med workshopen var at sentrale aktører fra helse, akademia, næringsliv, finansiører og pasientorganisasjoner møttes for å drøfte handlingsplanens tiltak og konkretisere forslag til implementering gjennom nye samarbeidsmodeller mellom de ulike aktørgruppene. Det ble utarbeidet en oppsummeringsrapport fra møtet og foreslått tre tiltak/aktiviteter som aktørene skulle ta ansvar for: *Digitalt pakkeforløp for persontilpasset medisin*, *Arena for pre-kompetitivt samarbeid* og *Nasjonalt pådrivermiljø for persontilpasset medisin*. Forskningsrådet har ikke vært involvert i det videre arbeidet etter dette. Helse Sør-Øst RHF, som deltok i denne workshopen, oppfattet dette som et krevende format mtp. oppfølging av forslagene. De mener at ingen av de tre tiltakene har bred forankring i institusjonene, og det ble ikke kjørt en prosess for å sikre dette i etterkant. Tiltakene fikk derfor ikke den relevansen som man kanskje kunne ønsket.
* Forskningsrådet har oppfordret og vil fortsette å oppfordre til og fasilitere etablering av tverrfaglig samarbeid, spesielt mht. humaniora og jus, i utlysninger med relevans for PM.
* Forskningsrådet etterspør bruk av nasjonal infrastruktur i forskningsprosjekter der det er relevant. Innenfor PM har Norge flere relevante infrastrukturer, blant annet infrastrukturer for håndtering av helse- og persondata, biostatistikk, biobanker, gensekvensering og kliniske studier i spesialist- og primærhelsetjenesten. Forskningsrådet hadde i 2020 en dedikert utlysning for prosjekter relevante for å bruke leveranser fra Helsedataprogrammet (Helsedataservice, Helseanalyseplattformen, sikker filoverføring, samtykkeløsning, metadata mm).
* Den nasjonale infrastruktursatsingen i Forskningsrådet følger Norsk veikart for forskningsinfrastruktur, som oppdateres med behov for ny infrastruktur til forskning og innovasjon etter innspill fra miljøene innenfor alle fagområder. Strategier og planer som er relevante for forskning ligger til grunn for utvelgelsen av nye prosjekter og oppgradering av eksisterende infrastruktur. Forskningen innenfor alle fagområdet blir stadig mer datadrevet, og det er derfor økende behov for infrastruktur for sikker og bærekraftig datahåndtering. Gjennom infrastrukturordningen er det bevilget midler til mye infrastruktur relevant for PM, så som e-infrastruktur og infrastruktur for å håndtere sensitive helsedata og andre personopplysninger, plattform for gensekvensering, biostatistikk og -informatikk i ELIXIR.NO (norsk node i det europeisk ESFRI-samarbeidet ELIXIR.EU), infrastruktur for kliniske studier i spesialisthelsetjenesten (NorCrin) og primærhelsetjenesten (PraksisNett), en nasjonal infrastruktur for massespektrometri (NAPI) og Biobank Norge, som fungerer som en kjerneressurs for leveranser av både ulike prøvematerialer og data, som vil bidra til å fremme PM-feltet.
 |
| Tiltak for å identifisere barrierer for samhandling• Initiere en utredning av barrierer for tettere integrering av forskning og innovasjon i den kliniske virksomheten, slik at barrierene kan fjernes eller håndteres mer effektivt | * Deler av denne problemstillingen er omtalt i handlingsplanen for kliniske studier; "De som leder og deltar i kliniske studier erfarer at kliniske studier ikke har en sentral plass i sykehusene og at kliniske studier ikke er en integrert del av pasienttilbudet. Det settes ikke av nok skjermet tid og personell til å gjennomføre aktiviteten, og det etterspørres økt lederforankring. Kritiske støttefunksjoner som laboratorier og røntgen har for liten kapasitet, eller er organisert på en måte som gjør at de ikke kan betjene henvendelser raskt nok. Dette er en særlig utfordring med innføringen av PM, hvor tilgangen til avansert diagnostikk er en forutsetning for å bli vurdert for deltakelse i studier. På noen områder understøtter ikke finanseringsordningene godt nok gjennomføring av kliniske studier, og det er usikkerhet knyttet til regelverket." Handlingsplanen inneholder flere tiltak som skal bidra til en bedre integrasjon. InPreD har som formål å bygge nødvendig infrastruktur og tilstrekkelig kapasitet for avansert molekylær diagnostikk innenfor kreftområdet (refunderes som helsetjeneste).
 |
| Tiltak for å ivareta en pådriverrolle• Arbeidsgruppen anbefaler at Handlingsplanen legges frem for HO21-rådet med anmodning om bistand i form av en pådriverrolle. | * Nytt HO21-råd ble oppnevnt i 2020. Hverken dette eller det foregående rådet har blitt forelagt strategien og handlingsplanen for forskning og innovasjon innenfor PM direkte, men rådet skal gi innspill til ny strategi og har fokus på denne i flere sammenhenger.

Rådet har vært opptatt av helsedata fra det ble opprettet første gang og har hatt følgende mål i handlingsplanen for 2020 – 2021: *Økt tillit til styring, regulering og forvaltning av helsedata** Økt kunnskap om og bedre samordning av de ulike lover og regulering for eierskap, forvalting og bruk av helsedata
* Være pådriver for enklere innhenting av data fra journal til register og støtte opp om kvalitetshevede tiltak for helsedata fra offentlige kilder
* Økt kjennskap til nytten av helsedata for forskning og bedre folkehelse, behandlingstilbud og helsetjenester

Fokuset på helsedata vil bli videreført i 2022 og 2023.Det nye rådet har levert høringssvar, kronikk og andre nyhetsoppslag om helsedata. Det har også spilt inn til handlingsplanen for kliniske studier og inkludert et kapittel om helsedata (inkl. PM) i det innspillet. Betydningen av helsedata er også fremmet i HO21-rådets innspill til revidert langtidsplan for forskning. I tillegg har HO21-rådet hatt et internseminar om lovreguleringer på helsedataområdet. |
| Tiltak for ansvarlig forskning og innovasjon• Utlysninger innenfor persontilpasset medisin skal fremme RRI som et viktig perspektiv og gi klare forventinger om at søknader skal beskrive hvordan prosjektet skal arbeide innenfor RRI-rammeverket. • Prosjekter som blir finansiert bør tilbys oppfølging og kompetansehevingstiltak som skal hjelpe aktørene med å gjennomføre prosjektet innenfor RRI-rammeverket | * Det stilles krav om ELSA og RRI i alle relevante prosjekter finansiert av Forskningsrådet. Utlysning spesifikt innenfor PM; Nordisk utlysning av innovasjonsprosjekter innenfor PM sammen med NordForsk: [*Innovations in Personalised Medicine: Towards implementation of personalised medicine in health care.*](https://www.nordforsk.org/calls/innovations-personalised-medicine-towards-implementation-personalised-medicine-health-care) Det var krav om at prosjektene var basert på RRI-prinsipper og at prosjektene deltok på arrangementer med RRI-tematikk arrangert av utlysningskomiteen. Andre utlysninger der RRI er et viktig perspektiv (men som ikke spesifikt retter seg mot PM): [Samarbeidsprosjekt](https://www.forskningsradet.no/utlysninger/2021/samarbeidsprosjekt-teknologikonvergens/#sub62177) og [forskerprosjekt](https://www.forskningsradet.no/utlysninger/2021/forskerprosjekt-teknologikonvergens/#sub61787) for teknologikonvergens knyttet til muliggjørende teknologier. Her er det tydelig forventning om hvordan prosjektene skal jobbe innenfor et RRI-rammeverk. Ni av 15 prosjekter finansiert i 2021 er relevant for helse, og minst ett av disse er relevant for PM; "CRISPR-Cas9 corrected T cells for personalized therapy".

Se for øvrig også status for punktet "Stille krav til søknader som inkluderer kliniske studier om å vurdere eksplorative biologiske markører for stratifisering og kost/nytteanalyser der det er relevant." * Utlysningskomiteen i Nordic PerMed arrangerte en workshop for alle prosjektene som fikk bevilging i september 2019 der deler av workshopen omhandlet kompetanseheving innenfor RRI. Det var planlagt oppfølging av workshopen med etablering av nettverk for prosjektene, men dette ble ikke gjennomfør pga. pandemien. Det er planlagt et nytt møte med Nordic PerMed-prosjektene i 2022 der RRI igjen vil bli et av temaene. Prosjekter som får bevilgning i utlysningene for teknologikonvergens knyttet til muliggjørende teknologier (se over) er forventet å delta på nettverk og læringsarenaer. Det vil bli lyst ut ekstra midler til prosjektene for disse aktivitetene. På den europeiske arenaen har Forskningsrådet vært en pådriver for RRI i opplæringsøyemed og som krav i fellesutlysninger (ERA-nettverk).
 |

**Framtidige behov**

Selv om mye har skjedd innenfor forskning og innovasjon på PM-området de siste årene, er vi bare i startgropen av utviklingen. Det er fremdeles behov for å løfte og styrke feltet, og persontilpasningen har kommet ulikt langt innenfor ulike sykdomsgrupper og områder. I årene som kommer er det behov for bredere implementering av PM innenfor flere sykdomskategorier, og også innenfor forebygging og helsefremming og bedre tilpassede tjenester for den enkelte. Helheten vises i bredden av persontilpasning. Vi må ha minst like høye ambisjoner som forventinger til å skulle utvikle bærekraftig PM i hele bredden. Basert på Norges og Nordens forutsetninger bør og kan ambisjonene være svært høye på dette området. For at PM skal bli mest mulig bærekraftig må vi arbeide for å identifisere bivirkninger på lik linje med virkninger og definere pasienter ut av behandlingsløp på linje med inn. Det er derfor viktig at strategien omhandler den enkelte av oss og ikke bare den enkelte pasient. Tillit i hele befolkningen må sikres i utviklingen av PM framover.

Forskningsrådet og andre finansiører ser et stort antall søknader og økende antall prosjekter innenfor PM nasjonalt og i internasjonale samarbeid. Det er stort behov for midler innenfor både forskning og forskningsinfrastruktur på området. For å tilrettelegge best mulig for forskningen på området er det behov for et helhetlig og effektivt infrastrukturlandskap. Det er viktig å legge til rette for samarbeid mellom de ulike aktørene som finansierer forskning innenfor PM, med både offentlige og private midler. Vi må jobbe for bedre samhandling og se på innsatsen nasjonalt mot nordisk, internasjonalt og globalt for å benytte midlene der de får best nytte.

Det er betydelig større potensiale enn i dag for å utnytte komparative nasjonale fortrinn og muligheter. Næringslivet har interesse for PM og ønsker tilgang til helsedata og personopplysninger. Det er imidlertid behov for å legge bedre til rette for tilgang til norske data og utvikle løsninger som kan få næringslivet til å bli interessert i å investere i samarbeid med norske biobanker. Dette kan i vesentlig grad bidra til at Norge får utnyttet våre komparative fortrinn og dermed at Norge blir en vesentlig aktør i internasjonal sammenheng. For at næringslivet skal ønske å delta og for at mulighetene for investeringer og næringsutvikling skal bli identifisert i størst mulig grad, må næringslivet tas med fra tidlig i prosessen og i planleggingen, helt fra strategiarbeidet.

Nordisk samarbeid, nettverksbygging og mer sømløs nordisk infrastruktur, spesielt innenfor helsedata og kliniske studier, kan bli spesielt viktig for å raskere oppfylle målene innenfor PM i årene som kommer. For andre problemstillinger er det behov for europeisk og globalt samarbeid. Nordic Health 2030 tar inn over seg at hele befolkningen må med for at vi skal få til bærekraft og helhet i helse og tjenestetilbudet. Svært sentralt i deres framtidsscenarie står "There is a need for a fundamental shift from sick care to preventive health to ensure the longevity of our healthcare systems and improved quality of life. The Nordic Health 2030 Movement can drive this transition. By connecting and activating people across the Nordics to work together towards sustainable solutions, inclusive partnerships, and holistic thinking around health, the Nordic Health 2030 Movement can lead to healthier individuals and communities." EU-kommisjonen og fellesutlysninger mellom forskningsråd i Europa etterspør også i økende grad forskning på persontilpasset forebygging.

De norske nodene av ERN-nettverkene bør drive pasientnær forskning i samarbeid med ERN-nettverkspartnere i Europa, men det finnes ikke øremerkede midler til dette. P.t. er ikke ERN-nettverkene i Norge finansiert i det hele tatt. De forutsetter innsats i tillegg til de arbeidsoppgavene deltakerne allerede har i sitt daglige virke. En oppfordring til å søke om forskningsmidler til ERN-relaterte prosjekter vil både stimulere nasjonalt og internasjonalt samarbeid, og det vil være helt i tråd med satsingen på presisjonsmedisin i Norge.

Ansvarlig forskning og innovasjon må ivaretas samtidig som det juridiske landskapet må følge forskningsfronten bedre for å løse unødvendige hindre på dette viktige området. For gjennomførbar og mer effektiv forskning og innovasjon bør det legges føringer for og arbeides for økt forståelse for regulatoriske prosesser i hele forsknings- og innovasjonsløpet. I noe forskning og for utvikling av visse typer forskningsinfrastruktur kan det også være vesentlig å ha god dialog med Datatilsynet. Det gjelder eksempelvis ved etablering av tjenester for sensitive data. Regulatorisk har de antatt utilsiktede begrensningene GDPR medført en utfordring for godt samarbeid både nasjonalt og ikke minst internasjonalt. Det foreligger også begrensninger i nasjonal lovgivning når det gjelder f.eks. sambruk av analyseinfrastruktur mellom UH-sektor og helseforetakene. Et eksempel på dette er ulike innkjøpsordninger og krav om fakturering/merverdiavgift ved bruk av felles utstyr mellom sektorene.

Det er gjort mye deskriptiv forskning på biomarkører og kobling til sykdom og utfall. I fremtiden forventer vi økende forskning på mer komplekse biomarkører og ulike former for funksjonell testing i presisjonsmedisin (f.eks. drug sensitivity screening, farmakogenomikk, immunfunksjonstesting m.m.) som bør utvikles videre, slik at også slike metoder kan brukes til å stratifisere pasienter til ulike former for behandling. En del av disse analysene som nå gjøres i forskningslaboratorier bør over på plattformer hvor diagnostikken standardiseres og valideres for kunne stratifisere pasienter inn i kliniske studier. For å redusere tiden fra forskning til diagnostikk bør det framover etableres tettere samarbeid. Det bør legges til rette for og stimuleres til at man utnytter denne kunnskapen til å agere på slike data og intervenere i kliniske studier med presisjonsmedisinsk tilnærming. På kreftområdet er det ønskelig å flytte intervensjoner etter PM-tilnærming fremover i behandlingslinjene og lete etter optimale kombinasjoner av behandling (prediksjon av synergi m.m.). De samme behovene vil antakelig komme innenfor andre sykdomsgrupper. Vi vil også trenge studier av og systemer for hvordan agere på data i slike sammenhenger (hvordan måle og håndtere usikkerhet i dataene, hvordan håndtere bivirkninger, interaksjoner, toksikologi m.m.). Genterapi, somatisk CRISPR-genredigering og celle-genterapi innebærer individualisert behandling med en presisjonsmedisinsk tilnærming og vil i økende grad komme framover. Det bør stimuleres til utvikling frem mot intervensjonsstudier innenfor dette området. Det bør legges til rette for at kliniske studier kan gå på tvers av land eller til parallelle studier med data-aggregering ettersom det blir små grupper av pasienter innenfor PM og behov for å samle inn effektdata i store pasientpopulasjoner. Det bør også legges til rette for at norske pasienter kan delta i studier i utlandet og *vice versa*.

Det er behov for forskning på studiedesigns, hvordan man lager kontrollkohorter, f.eks. fra real-world-data i registre, forskning på helseøkonomi og refusjonsmodeller og forskning på etikk, lovverk og dataregulering m.m. Datagrunnlag for helseøkonomiske studier og effektdata bør samles inn på en slik måte at det kan gjøres uavhengige vurderinger av kost-nytte og at data er tilgjengelige for etter-analyser. Det er generelt viktig at nye medisinske og teknologiske fremskritt følges av forskning på konsekvenser for helsetjenestene (økonomi, personell, kompetanse både hos ansatte og pasienter) og hva samfunnet har mulighet til å tilby og ønsker å prioritere. Spørsmål som bør stilles er hvordan prioriteringer skal gjøres, hvem som skal bestemme og hvordan vi kan unngå å øke helseulikheten som vi står i fare for å øke.

Forskning og innovasjon innenfor PM må bli mer tverrfaglig og kompetansen må styrkes både innenfor og mellom profesjoner og annen ekspertise. Med bakgrunn i erfaringer gjort i ulike implementeringsprosjekter (bl.a. på kreftområdet), typer data det er aktuelt å analysere og agere på i individualisert behandling (genomikkdata, proteomikkdata, komplekse biomarkørdata, billeddiagnostikkdata og funksjonelle data) vil det framover være behov for betydelig mer kompetanse innenfor bioinformatikk, biostatistikk, og modellering/maskinlæring til arbeid innenfor diagnostikk. Det vil videre være behov for molekylærbiologisk tolkningskompetanse og oppbygning av molekylærpatologi i hele landet. Dette er høyspesialisert kompetanse som utdannes i forskningsmiljøene. Det vil være behov for gode frontlinje-forskningsmiljøer som er over kritisk masse og som utdanner slike fagpersoner (ny karrierevei) framover. Det samme gjelder for klinikere med tilstrekkelig kompetanse og for radiologer. Tilsvarende gjelder for nukleærmedisin hvor molekylær avbildning med PET og etablering av nye PET-radiofarmaka medfører økende grad av presisjon. Dette fagområdet vil bidra til sikrere seleksjon av pasientgrupper og til raskere oppfølging av behandlingsrespons og tilbakefall. Produksjon av PET-radiofarmaka gjøres ved de store PET-sentrene i Norge; i Oslo, Bergen, Trondheim og Tromsø. Ved alle lokalisasjoner foregår forskning, utvikling og implementering av nye og mer spesifikke radiofarmaka som bidrar til økende presisjonsdiagnostikk. Radiofarmasøytisk industri har en sterk posisjon i Norge og Norge kan raskt bli en ledende nasjon i utvikling av radioaktive legemidler, ikke bare til diagnostikk ved bruk av PET, men også til radioaktiv behandling, dersom man stimulerer til samarbeidsprosjekter mellom industri og de store universitet/universitetssykehus som har bygd opp gode infrastrukturer for radiofarmaka-produksjon og tilhørende preklinisk testing. En stimulering til nasjonale samarbeidsprosjekter vil bidra til et robust og tverrfaglige kompetansenivå som samlet kan konkurrerer om internasjonale forskningsmidler.

Det er behov for god støtte til klinisk forskning. Det blir sentralt å etablere nasjonale løsninger for både samtykker og deling av pasientdata på tvers av regionale skillelinjer for å legge til rette for den kliniske forskningen. Noen av disse og andre behov er utredet og foreslått løst gjennom handlingsplanen for kliniske studier. Sentralt for PM er erkjennelsen av at vi ikke ser forskjell på 1) individer før de får sykdom - etter at diagnosen er stillet er jo forskjellen åpenbar, 2) pasienter før de får behandling - etter behandling ser vi at noen har effekt og noen ikke har effekt, men målet er å kunne se forskjell på pasientene før behandling så vi kan gi riktig behandling til riktig pasient. Forskningsfronten gir muligheter til å studere forskjeller på friske og pasienter, f.eks. ulike genmutasjonsprofiler, genuttrykk, proteinstatus og annet. Det er hensiktsmessig at strategien for PM er eksplisitt på hvordan observasjoner fra klinisk hverdag skal føres tilbake til forskningsfronten for å få en mest mulig effektiv framdrift i PM. Dette innebærer behov for implisitt bredt, dynamisk samtykke for alle som får diagnostikk og behandling ved norske sykehus, med reservasjonsrett, framfor dagens løsning med svært mange og til dels snevre samtykker. Nye muligheter til å måle nye biomarkører gir også mulighet for så presist stratifiserte diagnosegrupper at samarbeid nasjonalt og internasjonalt er avgjørende.

I det viktige samspillet mellom UH-sektoren, private næringsliv og helsesektoren må en del utfordringer løses. En sentral utfordring er tilgjengelige og sikre plattformer for analyse av data fra helseforetak/registre og biologiske data. Man må ivareta hele behandlingskjeden fra hvordan data genereres i laboratoriet og i helseforetak, overføring til egnede plattformer for analyse og deretter tilbakeføring til helseforetak, med muligheter for langsiktig lagring i etterkant. Data fra eksterne kilder som befolkningsundersøkelser eller helseapper vil også være viktig å integrere i dette. Anonymiserte datasett generert fra helsedata til bruk for maskinlæring kan være viktig for både UH-sektor og det private næringsliv, og man må i de neste årene legge bedre til rette for mulig bruk av maskinlæring og kunstig intelligens (KI) som verktøy for analyser og PM. Framtidige satsinger på kliniske studier bør også inkludere bruk av eksisterende helsedata fra ulike kilder (registre, tidligere studier, befolkningsundersøkelser mm).

Det er behov for mer forskning og kunnskap om KI og stordata for å utnytte det store potensialet som ligger i helsedata og personopplysninger. KI kan blant annet bidra til langt bedre tolkning av bilder og kan gi god beslutningsstøtte ved diagnostisering og valg av behandling, slik at pasienten får en mer tilpasset og spisset behandling. KI vil kunne gi helt nye muligheter innenfor PM og bedre bruk av kunnskap i praksis. Det er allerede i dag identifisert vesentlige behov for infrastruktur for forskning og innovasjon på området, og behovet og kapasitetsutfordringene vil bli mer synlig i årene framover. Viktig forskning og innovasjon kan hindres av manglende infrastruktur for samtykkehåndtering, datahåndtering, begrenset analysekapasitet m.m.

Forskningsrådet har gjennomført en virkemiddelevaluering av [Nasjonal satsning på forskningsinfrastruktur](https://www.forskningsradet.no/siteassets/publikasjoner/2021/infrastruktur-evalueringsrapport.pdf). Basert på resultatene fra evalueringen vil det bli utviklet et mer prioriterende veikart som i et 15-årsperspektiv tar inn over seg internasjonale trender, behovet for nye investeringer og oppgraderinger av eksisterende forskningsinfrastrukturer. Ifølge [Verktøy for forskning – Nasjonal strategi for forskningsinfrastruktur (2018-2025)](https://www.forskningsradet.no/siteassets/sok-om-finansiering/nasjonal_strateg_for_forskningsinfrastruktur20182025.pdf) er hovedformålet med det nasjonale veikartet å synliggjøre Norges behov for oppdatering av forskningsinfrastruktur i tiden fremover, innenfor en realistisk budsjettramme. Veikartet er sentralt i utvelgelsen av prosjekter ved tildelingene, og Forskningsrådet oppdaterer veikartet i forkant av hver utlysning i dialog med forskningsmiljøene. Det er fortsatt store udekte behov for forskningsinfrastruktur nasjonalt. Et mer langsiktig og prioriterende veikart skal bidra i prosessen med å oppnå en god balanse mellom å investere i oppgradering av eksisterende infrastrukturer som fremdeles er viktige for fremtidig forskning og samtidig ha rom for å investere i nye infrastruktur. I tillegg må forskningsinfrastruktur og annen infrastruktur sees på som en helhet og videreutvikles i takt.

Forskning og innovasjon innenfor PM må bli mer synlig og bedre koordinert og resultatene må tas i bruk. Det kan være behov for ett eller flere organer som fungerer som pådriver og ser til koordineringen av området. HO21-rådet ble pekt på i forrige handlingsplan. I dag har vi flere organer å spille på innenfor PM. Eksempelvis kan Fagrådet for PM bidra til synlighet og peke på aktørene som har ansvar for å gjennomføre nødvendige tiltak på riktig tidspunkt. NorPreM (Nasjonalt kompetansenettverk innenfor PM) kan være en annen mulig aktør. Framover vil det være behov for å gjennomgå effekten av forskning og innovasjon innenfor PM, altså om midlene kommer pasientene og deres behandlere til gode i form av mer presis diagnostikk og behandling og økende grad av persontilpasset forebygging, rehabilitering og tjenester, slik at vi skaper mest mulig helse for investeringene.

Behovet for å integrere forskning og innovasjon sømløst i utviklingen av PM-feltet kan tilsi at det ikke skal være egne tiltakspunkter for forskning og innovasjon. Likevel bør noen tiltak skreddersys for dagens finansieringsordninger og strukturer innenfor forskning og innovasjon, men i tett kjennskap til og i tråd med utviklingen av feltet både i tid og innhold. Våre foreløpige forslag til tiltak i tabell 2 under er naturlig nok p.t. separat fra helheten fordi arbeidet er inndelt i delprosjekter, men i fase 2 av arbeidet med å utvikle en ny strategi må tiltakene videreutvikles i tråd med helheten og integreres i andre tiltak. Forskningstiltakene må støtte godt oppunder tjenesteutviklingen.

**Tabell 2.** **Foreløpig** **forslag til oppdaterte tiltakspunkter for forskning og innovasjon innenfor persontilpasset medisin (2023-)**

|  |  |
| --- | --- |
| ***Tiltakspunkt*** | ***Ansvarlig aktør*** |
| **Tiltak relatert til regulatoriske forhold** * Stratifisering av pasienter basert på biomarkører leder til små pasientpopulasjoner. Pasientgrunnlaget for ulike sykdomsgrupper vil på nasjonalt nivå i all utstrekning være for lite til å generere tilstrekkelig data for en nytte-risiko-vurdering. Internasjonalt samarbeid vil dermed være avgjørende for å sikre data av tilstrekkelig god kvalitet for regulatoriske beslutninger.
* Ved bruk av eksterne kontroller/registerdata bør dette planlegges tidlig i utviklingsforløpet og det bør oppfordres til interaksjon med regulatoriske myndigheter på et tidlig tidspunkt slik at det sikres (prospektiv) innsamling av data av tilstrekkelig god kvalitet for bruk i regulatoriske beslutningsprosesser. Internasjonalt samarbeid vil også her være avgjørende for å sikre et datagrunnlag av tilstrekkelig størrelse. Pågående initiativer i regi av EMA/kommisjonen bør utnyttes (f.eks. DARWIN EU).
* Ved utlysninger av midler til forskning på persontilpasset legemiddelbehandling bør det oppfordres til interaksjon med Statens Legemiddelverk slik at en regulatorisk strategi etableres tidlig i prosjektfasen. Det kan gis veiledning både for klinisk utprøvning, markedsføringstillatelse og metodevurdering mht. prosess og krav til dokumentasjon.
* Prosjekter med en helhetlig plan for utviklingsløpet bør prioriteres for tildeling av forskningsmidler og finansiering.
* Regulatorisk kompetanseheving blant forskingsinstitusjonene bør økes da dette er en forutsetning for effektiv gjennomføring av en innovasjonsprosess.
 | * Samarbeid mellom SLV\* og forskningsfinansiører**˃**
* Samarbeid mellom SLV\* og HDS (i Direktoratet for e-helse)
* Samarbeid mellom SLV\* og forskningsfinansiører
* Samarbeid mellom SLV\*, HDS (i Direktoratet for e-helse) og forskningsfinansiører
* Samarbeid mellom SLV\* og forskningsinstitusjoner

\*SLV har ikke mulighet til å stå som ansvarlig aktør for disse punktene ettersom dette ligger utenfor deres rolle som regulatorisk myndighet, men de ønsker å bidra med regulatorisk veiledning og vil gjerne involveres på et tidlig tidspunkt i utviklingsforløpet. |
| **Tiltak for å stimulere til felles løft og bedre samhandling nasjonalt og internasjonalt*** Gjennom dialog og samarbeid mellom finansiørene av forskning og innovasjon innenfor PM, bidra til at midlene utnyttes til beste for området.
* Stimulere til de mest relevante forsknings- og innovasjonssamarbeidene gjennom utvikling av finansieringsvirkemidlene.
* Prioritere å delta i og mobilisere til nordiske og europeiske samarbeid om finansiering av forskning og innovasjon på PM og stimulere norske forskere til å utnytte mulighetene innenfor PM i EUs rammeprogram.
 | * Forskningsfinansiører
* Forskningsfinansiører
* Forskningsfinansiører
 |
| **Tiltak for å identifisere og løse barrierer for samhandling og gjennomføring*** Arbeide for sømløs og helhetlige rammebetingelser og infrastruktur mellom forskning og klinisk arbeid i helsetjenesten.
* Legge til rette for god integrasjon mellom forskning og helsetjenesteutøvelse ved å løse organisatoriske, juridiske, tekniske og økonomiske barrierer.
* Forenkle logistikk for samtykke til forskning for de som skal inn i standard behandlingsløp og i behandlingsstudier ved å
	+ etablere nasjonal elektronisk samtykkeplattform
	+ gi mulighet for brede samtykker i nasjonal elektronisk samtykkeplattform
	+ arbeide for implisitt samtykke ved behandling på universitetssykehus
* Løse ytterligere barrierer med tiltak fra handlingsplanen for kliniske studier.
 | * HOD, RHF-ene, universitetene
* HOD og RHF-ene
* Helsedirektoratet og/eller Direktoratet for e-helse?
* Relevante aktører
 |
| **Tiltak for å utnytte komparative nasjonale fortrinn og muligheter*** Arbeide for at næringslivet skal bli interessert i å satse på investeringer i norske kohorter; humant biologisk materiale fra befolkningsundersøkelse, sykdomsbiobanker og andre store studier.
* Fullføre målbildet i Helsedataprogrammet (nå videreført i Helsedatasatsingen i Direktoratet for e-helse) på mest hensiktsmessige og gjennomførbare måter for å sikre at utviklingen er i tråd med forskeres, helsetjenestenes og næringslivets behov for forskning og innovasjon innenfor persontilpasset medisin.
* Arbeide for en nasjonal plattform for utveksling av pasientdata som ivaretar pasientsikkerheten. En felles løsning vil lette arbeidet i nasjonale kliniske studier. Det er viktig å etablere en plattform for utveksling av data som er fleksibel for sluttbrukeres (som behandlende leger og sykepleiere) behov, og ikke tvinger sluttbrukere inn i bestemte formater som ikke kommer ut fra sluttbrukerbehov, og å utvikle en nasjonal koblingsnøkkel for avidentifisering og identifisering av pasienter som kan brukes i usikrede kanaler for ikke å lage ytterligere flaskehalser og bremseklosser i implementering av persontilpasset medisin.
* Legge føringer for at gode offentlige helsedata brukes til forskning og innovasjon på PM-området framfor at nye data innhentes til bruk i enkeltstudier.
 | * Biobank Norge kan tenkes å ønske å lede an i samarbeid med næringslivsklynger, HOD og finansiører av forskning og innovasjon i næringslivet
* HOD, Direktoratet for e-helse, eiere av forskningsinfrastrukturer
* Nasjonalt genomsenter
* Forskningsfinansiører
 |
| **Tiltak for økt kvalitet og kapasitet, mer tverrfaglighet og bedre koordinering^*** Stille krav til søknader som inkluderer kliniske studier om å standardisere og validere og der det er relevant å
	+ forske på komplekse biomarkører og gjennomføre funksjonell testing
	+ gjennomføre behandlingsforskning og forarbeid til slike
	+ gjennomføre studier på tvers av landegrenser
	+ samle inn effektdata og sikre at data er tilgjengelig for etter-analyser
	+ gjennomføre kost-nytteanalyser og forske på/utvikle alternative refusjonsmodeller
	+ forske på og ivareta etikk, lovverk, dataregulering o.l. i forsknings- og innovasjonsprosjekter
* Legge til rette for at norske pasienter kan delta i kliniske studier i utlandet.
* Stimulere til offentlig-privat samarbeid om innovasjonsløp som bidrar til en bærekraftig utvikling av helsetjenestene på PM-området ved å utvikle gode løsninger som raskt kommer ut til pasienter og innbyggere og samtidig gir verdiskaping i norsk helsenæring.
* Oppfordre til at fremtidige utlysninger med relevans for PM etablerer tverrfaglig samarbeid som gir kompetanseoppbygging og kultur for samhandling.
* Fortsette å stille krav til søknader innenfor forskning og innovasjon om å bruke tilgjengelig teknologi og infrastruktur, og muligheten for næringslivssamarbeid ved utvikling av ny teknologi og oppbygging av infrastruktur.
* Etablere helhetlig og sømløs forskningsinfrastruktur som tilrettelegger for utvikling av persontilpasset medisin for å bygge kapasitet for fremtiden i nasjonale og internasjonale nettverk.
 | * Forskningsfinansiører
* HOD og RHF-ene
* Forskningsfinansiører
* Forskningsfinansiører
* Forskningsfinansiører
* Forskningsinstitusjoner som spiller inn til nasjonalt veikart for forskningsinfrastruktur, utarbeider egne strategier og sender søknader i tråd med dette
 |
| **Tiltak for ansvarlig forskning og innovasjon*** Utlysninger innenfor PM skal stille krav til at prosjektene gjennomføres i tråd med ELSPI (Ethical Legal, Social and Policy Implications) / RRI (Responsible Research and Innovation).
* Prosjekter bør følges opp og tilbys kompetansehevingstiltak som skal hjelpe aktørene med å gjennomføre prosjektet i tråd med alle deler av ELSPI/innenfor RRI-rammeverket.
 | * Forskningsfinansiører
* Forskningsfinansiører, forskningsinstitusjoner og helsenæringen
 |
| **Tiltak for å ivareta en pådriverrolle*** Identifisere ett eller flere nasjonale og evt. regionale organer som kan bidra til at strategiens tiltak blir satt på dagsorden og fulgt opp av relevante aktører.
 | * HOD og deretter organet/-ene som blir identifisert
 |

**^**Det er overlapp med tiltak i handlingsplanen for kliniske studier som ennå ikke er gjennomført. Dette må avstemmes.

**˃**Med forskningsfinansiører i tabellen over menes alle relevante finansiører av helseforskning og -innovasjon, så som Forskningsrådet, RHF-ene, Innovasjon Norge og private ideelle.

**Ytterligere informasjon og anbefalinger om videre prosess**

Gruppen anbefaler at forskning og innovasjon integreres i strategidokumentet. Det vil bli viktig at forskning og innovasjon og også næringsutvikling ivaretas gjennomgående der det er relevant og ikke ligger som separate avsnitt uten kopling til helheten. Dette er begrunnet i notatet.

Det er behov for å få full oversikt over relevant strategier, meldinger, planer og veikart og pågående arbeid med slike, både for å avgrense strategien for PM og for å skape synergier og et helhetlig landskap. Gjennom flere av prosessene som nylig er gjennomført eller pågår i 2022 får man viktig kunnskap fra forsknings- og innovasjonsmiljøene som kan gjenbrukes i de neste fasene av arbeidet med å oppdatere strategien for PM. I tillegg kan HelseOmsorg21-monitor brukes til å få et nasjonalt bilde over finansiering av helseforskning og annen relevant statistikk, og hver forskningsfinansiør har statistikk over egen portefølje.

I det videre arbeidet med å utforme strategien er det behov for å trekke inn flere aktører, så som næringslivet, private og ideelle finansiører av helseforskning og alle offentlige finansiører av forskning og innovasjon på helseområdet, inkludert Innovasjon Norge. Det er viktig både for å få kjennskap til status, behov og muligheter og for at alle skal få et eierskap til strategien og oppfølgingen av den. I tillegg må UH-sektoren trekkes inn i sterkere grad. UH-sektoren vil bidra med å utvikle feltet ved at de ivaretar relevant infrastruktur, gjennomfører en god del av forskningen med høy kvalitet, relevans og nytte for PM, og de vil tilby relevant videre- og etterutdanning som gir nødvendig kompetanse svarende til den internasjonale forskningsfronten.

Dette notatet ble skrevet ila. relativt kort tid etter ett møte og skriftlige innspill fra hvert enkelt medlem av gruppen. I møtet var alle aktørtypene representert med unntak av UH, som ble koplet på for sent. Alle gruppens medlemmer står ikke nødvendigvis inne for alt innholdet i notatet.