

## Innspill til revidert strategi for persontilpasset medisin.

LMI takker for muligheten til å gi innspill til departementets arbeid med den reviderte strategien for persontilpasset medisin. LMI er bransjeforeningen for legemiddelindustrien i Norge og har mer enn 60 medlemmer med over 4000 ansatte som utgjør rundt 80% av legemiddelomsetningen i Norge. Våre medlemmer representerer både store globale selskaper, produksjonsbedrifter og mindre biotekselskaper; gjennom kliniske studier, offentlig-privat samarbeid og annen forsknings- og utviklingsaktivitet bidrar våre medlemmer med både forskningsinvesteringer og kompetanseoverføring til det norske helsesystemet og til å bygge norsk helsenæring.

Presisjonsmedisin eller persontilpasset medisin har vært et sentralt fokusområde for næringen over flere år. Legemidler klassifisert som persontilpasset medisin utgjorde rundt en tredjedel av legemidlene som FDA godkjente i 4 av de 5 siste årene. LMI ser derfor veldig positivt på den revideringen som gjøres av Strategien for persontilpasset medisin for å sikre at strategien er i tråd med den medisinske utviklingen. Et blick på pipelineporteføljen til legemiddelfirmaene viser tydelig at vi i fremtiden vil få en videre økning av blant annet avanserte terapier som celle-, gen- og vevsterapier som vi nærmest kan anse som personlige og ikke persontilpasset behandling. Det er også en økende trend at man for flere av de tidligere godkjente persontilpassede legemidlene får godkjent indikasjonsutvidelse eller kombineres med andre persontilpassede legemidler, noe som ytterligere forsterker denne trenden. Innenfor kreftområdet har vi allerede fått de første godkjenningene av tumor agnostiske legemidler, hvor biologien som driver sykdommen er avgjørende og ikke vevet sykdommen oppstod i. Utenfor onkologi ser vi nå persontilpasset behandling bli godkjent for en rekke sykdommer som HIV-1, familiær hyperkolesterolemi, Duchennes muskeldystrofi, Pompes sykdom for å nevne noen. Den diagnostiske utviklingen er tilsvarende, og vi ser i Norge sterke miljøer både innenfor radiofarmasi og bildediagnostikk.

I tråd med hva som er beskrevet i strategiarbeidet ser vi med andre ord at persontilpasset medisin/ presisjonsmedisin blir et reelt alternativ for stadig flere pasientgrupper og stadig tidligere i sykdomsbildet – fra sykdomsbehandling til forebygging. Skal vi evne å utnytte verdien dette gir for pasientene og samfunnet må den reviderte strategien for PM styrke innsatsen på flere områder og vi vil i vårt innspill kommentere spesielt på følgende punkter

- Tydelig og helhetlig ambisjonsnivå
- Styrke kompetansen i alle ledd
- Utvide bruk av helsedata
- Tilgang til innovativ behandling må styrkes
- Styrke offentlig-privat samarbeid

**Ambisjonsnivå** - Persontilpasset medisin er et område preget av høy aktivitet og innovasjonshastighet – derfor er det viktig at en ny strategi ikke blir et statisk rammeverk, men gir mulighet for fleksibilitet og endring. Det er viktig at områder hvor utviklingen har kommet langt, som kreftområdet, får fortsette å videreutvikles i eget tempo men samtidig fungerer som inspirasjon og

etterfølgelse for andre sykdomsområder, samtidig som andre terapiområder utvikles videre fra sitt ståsted.

Generelt bør ambisjonsnivået være høyt for implementering av persontilpasset medisin i Norge. Dette vil bidra til å levere helsetjenester på det nivået vi forventer for fremtiden. For å få til dette er det viktig å se på rammene helsetjenesten opererer under. Med mer persontilpassede løsninger og behandling vil mer behandling og diagnostikk kunne flyttes ut av sykehusene og nærmere pasientenes hjem. Dette vil kunne gi økte kostnader i primærhelsetjenesten, men tilsvarende eller større besparelser i spesialisthelsetjenesten. Det er derfor viktig at det ikke kun settes søkelys på kostnader i en del av helsetjenesten, men at kostnader og besparelser ses samlet for hele helsetjenesten.

Vi vil også oppfordre til å se på synergiene mellom strategien for persontilpasset medisin og øvrige strategier, stortingsmeldinger og handlingsplaner som involverer helsetjenesten og samspillet mellom helsetjenesten og private aktører. Strategi for persontilpasset medisin vil være overlappende og ha tilstøtende tematikk og fokus inn mot Helsenæringsmeldingen (2019), Handlingsplan for kliniske studier (2021), Nasjonal strategi for sjeldne diagnoser (2021), Evalueringen av nye metoder med oppfølgingsarbeid (2021), det pågående arbeidet med Folkehelsemeldingen (2022), ny Kreftplan og den kommende Prioriteringsmeldingen. En viktig ambisjon for strategien for PM bør da være å sammenstille og identifisere utestående leveranser som er relevant for persontilpasset medisin og sette en langsiktig retning som kan videreføres i kommende strategier og meldinger.

**Kompetanse** – Vi ser i dag økt bruk av storskala genetiske analyser samt implementering av helsedata og algoritmer inn i behandlingsavgjørelser i kombinasjon med stadig utvikling og tilgjengeliggjøring av nye persontilpassede behandling. Dette krever, og vil kreve bygging av ny kompetanse i teamene involvert i behandlingsavgjørelser. Etter hvert som persontilpasset behandling blir en integrert del av standard behandling i klinisk praksis, og tilgjengeliggjøres i den desentraliserte helsetjenesten vil tilgang på helsepersonell med relevant og god kompetanse bli en utfordring. Det er derfor behov for et styrket fokus på persontilpasset medisin i utdannelsen av helsepersonell og molekylærbiologer, i tillegg til i etterutdanning av helsepersonell som driver med pasientbehandling i dag. Vi ser også at behandlingsteamene utvides med annen kompetanse som ikke tidligere har vært inkludert inn i pasientbehandling. Dette fører til behov for økt helsekompetanse hos f.eks. informatikere som deltar i teamene. Med mulig utvidelse av behandlingsteam til å inkludere nye yrkesgrupper er det viktig å vurdere om lovverk og forskrifter knyttet til helseopplysningsloven og-/eller helsepersonelloven er dekkende eller om det er behov for justeringer eller klargjøring.

Videre vil styrket kompetanse i helsetjenesten være sentralt for å kunne gi pasientene god informasjon og likeverdig helsetilbud. Er ambisjonene våre at pasientene og befolkningen skal ta større ansvar for egen helse og involveres tettere i egen behandling, medfører dette også at vi må øke kompetansen i befolkningen, slik at de kan forstå og nyttiggjøre seg informasjon, løsninger og digitale verktøy relevant for egen helsesituasjon.

**Helsedata** – Persontilpasset medisin krever en helhetlig tenkning rundt hvilke helsedata som skal vektlegges og hvordan disse skal integreres i behandlingsbeslutninger. Det har lenge vært politisk enighet om at helsedata må tilgjengeliggjøres og aktivt tas i bruk i hele økosystemet og langs hele pasientforløpet. Helsetjenesten frembringer data i en størrelsesorden vi ikke tidligere har sett, men dessverre blir alt for lite gjenbrukt i forskning, utvikling og behandling av pasientene. Det anslås at 80%

av data som samles inn aldri blir utnyttet og dette representerer et stort uutnyttet potensial<sup>1</sup>. Det er et tankekors når vi vet at et stort flertall av Europas innbyggere er villige til å dele egne helsedata om personvern og sikkerhet er ivaretatt<sup>1</sup>.

For at helsedata skal bli et integrert verktøy som bidrar til bedre pasientbehandling og økt kvalitet i beslutninger, trenger vi økt satsning på tilrettelegging av infrastrukturen i helsetjenesten som muliggjør bruk av helsedata. Det vil også være viktig med bedre verktøy for å vurdere den enkelte pasients helsedata opp mot tidligere innsamlet informasjon og krav til aktivt bruke helsedata i beslutningsgrunnlag.

**Tilgang og finansiering** - I forbindelse med revisjonene av nasjonal strategi for persontilpasset medisin har Helse- og omsorgsdepartementet gjort en avgrensning mot Nye metoder og vurderingene som gjøres der i forhold til denne strategien. Vi anerkjenner at det er en egen prosess for evaluering og videreutvikling av Nye metoder, men vi ser det som vanskelig å se helt bort ifra innføring av legemidler og diagnostiske metoder som en utfordring for en reell mulighet for å tilby persontilpasset diagnostikk og behandling i Norge.

Norge ligger bak flere andre land når det gjelder godkjenning og tilgjengeliggjøring av nye innovative legemidler, spesielt innenfor kreft- og sjeldenfeltet, der flere kategoriseres som persontilpasset medisin. Den europeiske legemiddelmyndigheten (EMA) har utviklet et eget regulatorisk løp for nye legemidler hvor det er et udekket medisinsk behov for å sikre raskere tilgang og tilgjengeliggjøring for pasienter. Dette er en «fast track» prosess for godkjenning av markedsføringstillatelse (MT) for slike behandlinger, en såkalt EMA PRIME-ordning.<sup>1</sup> Flere av legemidlene som går igjennom et slikt løp er persontilpasset medisin og/eller legemidler for små pasientgrupper. Dette har vært vellykket og man ser nå at det utvikles behandlinger innenfor sykdomsområder hvor man tidligere ikke har hatt tilgjengelig sykdomsmodifiserende behandling. Derimot blir ikke denne ordningen videreført ved vurdering av offentlig finansiering i Norge, dette medfører at de gode initiativene ikke blir ivaretatt for norske pasienter og det medfører forsinkelser fra MT til tilgjengeliggjøring i Norge.

Etter et legemiddel er godkjent for finansiering i Norge er det ikke nødvendigvis at det automatisk gir klinikerne mulighet til å tilby behandlingen for sin pasient. Flere av legemidlene som blir godkjent i Spesialisthelsetjenesten anskaffes gjennom anbud, der både eldre og nye innovative legemidler grupperes og rangeres på pris. Pasienter må i hovedsak prøve rimeligste legemiddel først og vil nødvendigvis ikke få den beste behandlingen for sin sykdom fra et medisinsk behov. Dette medfører en begrenset verktøykasse av legemidler og begrenser muligheten kliniker har til å tilpasse behandlingen til den enkelte pasient. Med andre ord vil et slikt anbudsverktøy være til hinder for den ønskede utviklingen ved persontilpasset medisin. Det å ha et bredt utvalg av behandlinger tilgjengelige og hvor kliniker kan gjøre individuelle tilpasninger er sentralt hvis man skal få en reell implementering av persontilpasset medisin. Ved å ta i bruk persontilpasset medisin har man et potensiale for å utnytte

---

<sup>1</sup>Rapport fra EFPIA, «It's time to power up health systems- a vision for future-proof health systems», 2022 <https://www.efpia.eu/media/636465/its-time-to-power-up-health-systems.pdf> (besøkt 30.05.2022)

ressurser bedre og unngå ressursbruk på behandlinger som har liten eller ingen effekt på pasientens helsetilstand.

Evalueringen av Nye metoder viser at det er flere årsaker som fører til forsinket tilgang til nye legemidler i Norge, og det vil med det være behov for flere endringer i dagens praksis ved innføring, godkjenning og tilgjengeliggjøring. Blant annet må en se på løsninger som håndterer usikkerhet for behandlinger som blir godkjent med begrenset dokumentasjon, hvordan legge til rette for bruk av RWE-data og se på nye former for pris og betalingsløsninger. LMI mener at det er viktig at en i fellesskap finner løsninger som tilrettelegger for tilgjengeliggjøring av persontilpasset medisin. Mye av dette arbeidet skal følges opp i oppdragsdokumentene for utviklingen av Nye metoder, derimot er det viktig å ha en strategi som sees i sammenheng med utviklingen av Nye metoder og sikre at prosessene er koordinerte.

**Offentlig-privat samarbeid** - Innføringen og utviklingen av persontilpasset medisin i Norge må være sterkt forankret i den offentlige helsetjenesten, men det er viktig at det tilrettelegges for forskning og innovasjonsutvikling i samarbeid med næringslivet. Ambisjonsnivået for persontilpasset medisin må gjenspeiles i hele økosystemet. Målsetningen bør være å stimulere til innovasjon, næringsutvikling og bedre pasientbehandling gjennom optimal innføring av persontilpasset medisin. I punktene under fremhever vi noen av de områdene hvor vi mener det er et potensiale for styrking av det offentlig-private samarbeidet, noe som er et sentralt element i innføringen av persontilpasset medisin.

- Økt bruk av helsedata: Mange av de registrene vi har i dag tar i liten grad hensyn til de variablene vi ønsker og som det er behov for i dag og fremover, spesielt knyttet opp mot behandlingsvalg, biomarkørdata, pasientrapporterte utfallsmål, behandlingsmål og sekundærendepunkter. Videre vil økt bruk av strukturerte data i helsetjenesten (e.g. i EPJ) gjøre det enklere å automatisere uttrekk av data til registrene. Å videreutvikle registrene er sentralt for å tilrettelegge for en effektiv innføring og oppfølging av nytte og effekt av persontilpasset behandling. Norge har vist gjennom INSPIRE prosjektet at samarbeid på tvers av aktørbildet mellom helseregister, helsetjenesten, pasientforening og industrien gir merverdi og bidrar til å løfte både kvalitet og attraktivitet av våre registre. Dette er et eksempel som kan brukes til etterfølgelse også for andre registre og terapiområder.
- Radiofarmasi: Norge har vært en pioner innenfor diagnostikk og strålebehandling. Institutt for energiteknikk (IFE) har i mer enn 65 år vært produsent, importør og distributør av radiofarmaka og besitter en betydelig kompetanse. Flere selskaper produserer radiofarmasøytiske produkter i Norge, og Norge har blitt et kraftsentrum for diagnostikk og strålebehandling bestående av mange bedrifter, myndigheter og offentlige initiativer. Det norske økosystemet innen radiofarmasi i Oslo-regionen er verdensledende innen dette området, både for terapi og diagnostikk, takket være et unikt samarbeide mellom akademia, forskningsinstitutter, universitetssykehus, start-up, investorer og etablert industri. Radiofarmasøytisk produksjon er en nisje Norge kan posisjonere seg innenfor gitt vår betydelige kompetanse og tradisjon.
- Incentiver for flere kliniske studier til Norge: Strategien for PM bør støtte opp under den nasjonale handlingplanen for kliniske studier skal Norge ha mulighet for å nå sine ambisiøse mål om å doble antall kliniske studier i perioden 2021 til 2025, og øke andelen pasienter i spesialisthelsetjenesten som inkluderes i kliniske studier innen 2025. Norge har gjennom sterke

fagmiljø, f.eks. innen kreftområdet klart å tiltrekke seg både tidligfase studier der nye behandlingsprinsipper utprøves i menneske for første gang til typisk presisjonsmedisin studier på tross av en begrenset pasientpopulasjon. Et sterkt offentlig-privat samarbeid sammen med satsning på handlingsplanen for kliniske studier og helsedata kan fronte Norge som et attraktivt marked for studier innen persontilpasset medisin. Etableringen av NorTrials som var et svar på oppfordring fra Helseministeren er et viktig element, men det alene vil ikke øke antall studier i Norge. Blant annet er det viktig å erkjenne at studiene blir mer komplekse og at det er et økende behov for kompetansebygging, samt at relevant sammenlignende behandling brukt i kliniske studier må være tatt i bruk av det offentlige helsevesenet. Videre går også klinisk forskning foran med å undersøke ikke bare nye medisiner med nye behandlingsprinsipper der administrasjonsvei, behandlingssted eller oppfølging skal undersøkes. Slike kliniske studier med et ikke- tradisjonelle oppsett utfordrer ofte etablert praksis og tidligere erfaring. Derfor er tett dialog mellom offentlige beslutningstagere og private aktører viktig for å effektivt adressere nye utfordringer og muligheter i samarbeid og Norge som et lite land kan fronte dette.