

# Många utmaningar innan



# avancerade läkemedel når patienten

Avancerade läkemedel som cell- och genterapi utmanar vården som vi känner den. Dag Larsson, sakkunnig på LIF, berättar om arbetet med de regulatoriska frågor som måste lösas för att svenska patienter ska kunna ta del av de nya behandlingarna som nu står för dörren.

**N**är läkemedelsbranschens europeiska branschorganisation EFPIA lät en grupp externa experter analysera vilka av alla de läkemedel som är under utveckling som kommer att leda till större medicinska genombrott, kom cell- och genterapi högt upp på listan.

Cell- och genterapi hör till en grupp av läkemedel som kallas ATMP – Advanced Therapy Medicinal Products, eller avancerade läkemedel i dagligt tal. Gemensamt för dessa är att de är baserade på celler, vävnader eller gener och att genom att dessa modifieras ställs krav på kvalitet, säkerhet och effekt, och de klassificeras därigenom som läkemedel. Gruppen delas in i somatiska cellterapi, genterapi och vävnadstekniska produkter samt kombinationsläkemedel som innehåller avancerade terapiläkemedel.

Dag Larsson är senior sakkunnig och kansliansvarig för LIF:s arbetsgrupp för ATMP. Han är också med i ett SWELife-projekt om affärsmodeller och hälsoekonomi för ATMP som drivs av RISE. Genom att föra samman representanter från akademien, sjukvården och läkemedelsindustrin vill SWELife bygga och tillgängliggöra den kompetens som behövs för processutveckling och kommersiell utveckling inom området och på så sätt säkerställa att svenska patienter får tillgång till dessa behandlingar.

**I årets Almedalsprogram fanns flera seminarier om cell- och genterapi eller andra så kallade nya avancerade läkemedel. Varför är intresset så stort och varför är ATMP aktuellt just nu?**

– Gemensamt för hela det nya området är att det möter medicinska behov för i dag svårbehandlade och ofta dödliga sjukdomar. En engångsbehandling kan komma att ersätta en i dag livslång behandling och medicinering.

– Vinsten för individen är både stor och tydlig men de samhällsekonomiska effekterna är svårare att bedöma och hur läkemedel med dessa effekter ska prissättas är en av utmaningarna som måste diskuteras.

### Hur många godkända behandlingar finns och hur många står inför ett godkännande?

– I dagsläget finns ett fåtal godkända produkter och framför allt ser vi att många patienter i närtid kommer att behandlas inom ramen för kliniska studier – antingen genom läkemedelsprövningar eller genom det så kallade sjukhusundantaget, där tillverkningen inte är rutinmässig och sjukhuset måste få ett godkännande av Läke-medelsverket för att få ge behandlingen.

– Vi har i närtid sett CAR T-behandling godkännas för barn och vuxna med B-cellsrelaterade leukemier och lymfom, sjukdomar där patienterna tidigare haft mycket begränsade möjligheter till ytterligare behandling efter att de fått standardbehandling. Det är en typ av avancerade läkemedel som bygger på att man modulerar och mångfaldigar patientens egna T-celler för behandling av cancersjukdomen.

### Vilka är de största utmaningarna för dagens hälso- och sjukvård och vilka är möjligheterna?

– Avancerade läkemedel innebär att vården, på ett helt nytt sätt, blir medaktör tillsammans med företagen genom att vårdansvaret och ansvaret för kvalitetssäkring av produkten överlappar varandra. Det här är något som regleras genom myndighetskrav i samband med att produkterna godkänns.

– Det finns som sagt ett fåtal godkända läkemedel redan, men den stora majoriteten produkter kommer under de kommande åren testas i kliniska läkemedelsprövningar eller användas för svårt sjuka patienter inom ramen för sjukhusundantaget. En stor utmaning är hur behandlingen ska kunna genomföras på ett säkert och effektivt sätt och i enlighet med GMP, Good Manufacturing Practice.

– Vi skulle vilja att svensk sjukvård både får förutsättningar för och är villiga att genomföra klinisk forskning inom avancerade terapier och att patienterna därigenom ges tillgång till behandling. Ett intressant framtidsscenario vore om dessa förutsättningar också skulle leda till att forskningsbolag i andra delar av världen vill etablera sig här och kanske rentav bygga tillverkningsverksamheter. Det skulle vara bra för både hälso- och sjukvården och den svenska life science-branschen.

### Vilka är problemen kopplade till att hitta hållbara affärsmodeller?

– ATMP-projektet som vi deltar i sätter fingret på ett par angelägna aspekter. Dels behöver vi utveckla dagens tolkning av hälsoekonomin och, inte minst, evidensvärderingen bakom dessa terapeutiska genombrott så att patienterna kan få tillgång till livsavgörande behandling i tid – vi kan inte avvakta, det har inte patienterna "råd" med. Dels behöver

vi bidra till att svensk forskning kan omsättas till livskraftiga företag – det kommer att vara en viktig konkurrensfaktor när större företag överväger var de ska etablera sin forskning. Och forskarna som blir entreprenörer behöver stöd för att utveckla robusta affärsmodeller för att skapa värden. De här två aspekterna har ett ömsesidigt beroende och kan vi, tillsammans med olika intressenter, bidra till goda förutsättningar så hjälper det såväl svensk vård och svensk forskning som svenskt näringsliv.

### Hur arbetar LIF med de olika policyfrågorna och vilka är samarbetspartners?

– Vi ser det som vår uppgift att bidra till ökad kunskap om de utmaningar som de avancerade terapierna ger. Beslutsfattare inom politik och förvaltning bör ges bästa möjliga underlag för resurssättning och organisation så att patienterna får tillgång till de möjligheter som forskningen erbjuder.

– Vi arbetar med frågor som rör tillämpning och tolkning av regelverk, kvalificering av behandlande vårdgivare, logistik och säker hantering, hälsoekonomi med mera.

– Vi anordnar också och deltar i debatt och dialog med företrädare för vården och politiska beslutsfattare där man måste börja se satsningarna på mer avancerade behandlingar som en investering, inte en kostnad. Även om behandlingarna kan leda till ökade kostnader på kort sikt kommer vi att se vinster i andra delar av samhället, genom att fler patienter blir friska och kräver mindre vård och omsorg. Det är ju det här som vården är till för.

### Hur står sig Sverige i förhållande till andra länder när det gäller utveckling och produktion av de nya terapierna? Hur ser den internationella konkurrensen ut?

– Ett övergripande mål för ATMP-arbete är att det ska bidra till att göra Sverige attraktivt som samarbetspartner för internationella projekt liksom placeringsort för läkemedelsföretagens utvecklings- och produktionsverksamhet inom ATMP.

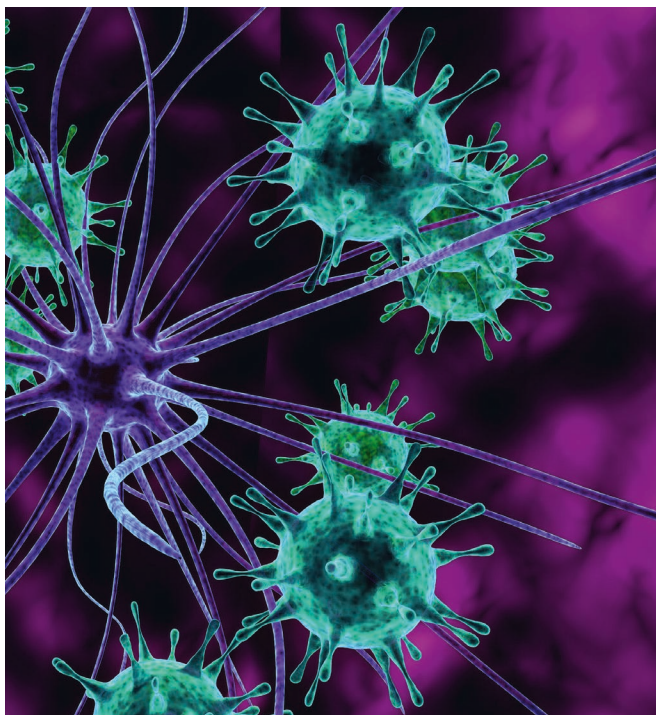
– Det finns stark internationell konkurrens om att vara ledande inom life science generellt och då handlar det inte minst om att dra till sig kliniska studier. För att Sverige ska vara attraktivt i denna konkurrens krävs ett bra forskningsklimat och, inte minst viktigt, att vården är med på tåget.

– Vi kan redan se stora satsningar från andra länder. I till exempel Storbritannien satsar man stenhårt på att utveckla de här nya terapierna, bland annat genom Cell and Gene Therapy Catapult, en infrastruktur där mer än 170 anställda arbetar med att hjälpa bolag från hela världen i arbetet med att ta terapierna från labbet till vården och patienterna, avslutar Dag Larsson.



**ANNAKARÍN SVENNINGSSON**  
Kommunikatör, LIF





#### FAKTA

**Somatiska cellterapi** innehåller celler som bearbetats väsentligt så att deras egenskaper, funktion eller struktur har ändrats och att cellerna därefter ges till patient för att behandla, förebygga eller diagnostisera en sjukdom genom sin effekt.

**Genterapier** definieras av att de innehåller arvs massa (DNA, RNA eller annan nukleinsyrasekvens) och att de ges i syfte att reglera, reparera, ersätta, addera eller ta bort en gensekvens som orsakar sjukdom eller skada.

**Vävnadstekniska produkter** definieras av att de innehåller bearbetad vävnad eller celler för nybildning, reparation eller ersättning av human vävnad.

**Kombinationsläkemedel** som innehåller avancerade terapiläkemedel innehåller även medicintekniska produkter (t.ex. matrix eller stödkonstruktioner).

Källa: Karolinska Universitetssjukhuset

## Experter på rekrytering till fasta tjänster och konsultuppdrag inom Life Science i Norden.



AUKTORISERAT  
REKRYTERINGSFÖRETAG



AUKTORISERAT  
BEMÄNNINGSFÖRETAG

Söker du kompetens till företaget eller nya utmaningar i din karriär?

H&P Search & Interim erbjuder följande tjänster:

- Search – Rekrytering
- Interim – Konsultuppdrag
- Tester och Second Opinion
- Outsourcing

Från chefer på alla nivåer till högspecialiserade befattningar.

Kontakta oss idag!



WWW.HPSEARCH.SE

INFO@HPSEARCH.SE // 08-678 10 80