

Remissyttrande 2024-07-03
Dnr U2024/01035
Utbildningsdepartementet

Barncancerfondens remissvar avseende promemorian *Hållbar och högkvalitativ läkarutbildning och klinisk forskning – förslag till ett reviderat ALF-avtal*

Inledning:

Barncancerfonden arbetar för en framtid där varje barn som insjuknar i cancer överlever och får möjlighet att leva ett gott liv. Ett liv fritt från sjukdom och de komplikationer som ofta följer barncancer. Barncancerfonden satsar årligen omkring 300 miljoner kronor på forskning och forskningsnära verksamhet och vi är i dag den enskilt största finansiären av forskning och avgörande infrastrukturer inom barncancerområdet.

Tack vare framgångsrik forskning, välfungerade nationellt och internationellt samarbete samt förbättrat omhändertagande är femårsöverlevnaden idag i genomsnitt 85 procent, jämfört med början av 1980-talet då endast 50 procent av de cancerdrabbade barnen var vid liv efter fem år. Trots det är barncancer fortfarande den vanligaste dödsorsaken till följd av sjukdom bland barn mellan 1–14 år.

Den genomsnittliga överlevnaden för flertalet barncancerdiagnoser har planat ut och behandlingsmetoderna har i stort varit detsamma sedan början på 1990-talet. Vi får alltmer kunskap om de långsiktiga effekterna av barncancerbehandling. Omkring 70 procent av barncanceröverlevare drabbas av sena komplikationer i någon form, varav 30 procent är allvarliga och potentiellt livshotande. Fysiska och kognitiva funktionsnedsättningar, förvärvade hjärnskador, hjärt-kärlsjukdomar, infertilitet, sekundärcancer och psykisk ohälsa är exempel på sena komplikationer som kräver omfattande insatser från hälso- och sjukvården. Dessutom påverkas ofta möjligheterna att återgå till skolan, ta klivet ut på arbetsmarknaden och att på andra sätt vara delaktig i samhällslivet.

Vi ser positivt på den snabba tekniska utvecklingen inom målstyrda behandlingar och terapier. Precisionsdiagnostik införs just nu vid landets sex barncancercentra och det väcker hopp om att fler cancerdrabbade barn ska kunna räddas till livet och i mindre grad drabbas av sena komplikationer. Framtiden kommer med stor sannolikhet innebära liknande terapeutiska genombrott. Men för att dess fulla potential ska kunna nyttjas i form av individualiserad behandling med precisionsläkemedel krävs tillgång till hälsodata, nationellt och internationellt. Den svenska hälso- och sjukvården och forskarsamhället behöver få rätt förutsättningar för att vara med och bidra i arbetet, samt stärka förutsättningar för att använda hälsodata för såväl vård, forskning och innovations- och utvecklingsarbete.

Samtidigt anser vi att forskningen inte ensam kan säkerställa nästa stora medicinska genombrott, utan flera delar av samhället, så som näringsliv, hälso- och sjukvård och civilsamhället, behöver samverka för att vi ska nå dit.

Om barncancer:

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

- Andra cancerformer drabbar barn än vuxna. Hjärn- och hjärnstamstumörer (29 %) och leukemi (28 %) är de vanligaste cancerformerna bland barn¹.

¹ Svenska Barncancerregistret, SBCR

- Barncancer är inte livsstilsrelaterad och går därför inte att förebygga på samma sätt som vissa cancerformer som drabbar vuxna. Orsaken till att barn och tonåringar får cancer är oftast okänd men mycket forskning pågår kring möjliga medfödda orsaker.
- Barn måste bedömas utifrån olika utvecklingsfaser. Barnets kropp inklusive känsliga organ som nervsystemet växer och utvecklas, vilket innebär att den påverkas av läkemedel och behandlingar på andra sätt än den vuxna kroppen.

Därför behövs forskning specifikt om barncancer och dess följder. Satsningar krävs för att de diagnoser som enbart, eller i stor utsträckning drabbar barn ska utforskas, samt att behandlings- och läkemedelsutveckling tar barns specifika behov och förutsättningar i beaktning. Den växande individen påverkas på andra sätt av behandling med större risk för sena komplikationer och påverkan av den normala utvecklingen. Det ställer också krav på långtidsuppföljning och behovet ökar i takt med att fler överlever.

Sammanfattning av Barncancerfondens synpunkter:

Barncancerfonden välkomnar möjligheten att lämna synpunkter på promemorian "Hållbar och högkvalitativ läkarutbildning och klinisk forskning – förslag till ett reviderat ALF-avtal". I egenskap av den största finansiären av barncancerrelevant forskning och infrastruktur inom barncancerområdet kommer Barncancerfonden i detta remissvar primärt fokusera på de bedömningar förslag för den kliniska forskningen (kapitel 7).

Barncancerfonden är positiva till att ALF-avtalets huvudsakliga syfte behålls. Därtill tillstyrker Barncancerfonden anpassningen av ALF-avtalets namn då detta tydligt speglar att forskning behöver och ska vara en självklar och naturlig del av hälso- och sjukvården.

För att långsiktigt stärka den kliniska forskningen krävs hållbar, robust och stabil finansiering. ALF-ersättningen spelar en avgörande roll för att uppnå detta. Barncancerfonden vill samtidigt belysa vikten av att forskningsfinansiering, där ALF-ersättningen ingår tillsammans med en mångfald av andra satsningar och aktörer såsom stiftelser och näringsliv, ses utifrån ett systemperspektiv. Samtidigt innebär detta en utmaning för att säkerställa tydliga prioriteringar och samordnande satsningar.

Internationell samverkan och ökad internationalisering är avgörande för att säkra medicinska framsteg och forskningsgenombrott, särskilt för små patientpopulationer. Sverige är ett litet land med en begränsad befolkning och samverkan på såväl nationell som internationell nivå krävs för att konkurrenskraftig klinisk forskning ska bedrivas i Sverige, men även för att säkra att svenska patienter inkluderas och ges tillgång till studier av hög kvalitet. Barncancerfonden tillstyrker därför särskilt promemorians förslag för ökad internationalisering.

Barncancerfondens synpunkter kopplat till utredningsförslagen:

5.2 ALF-avtalets namn

- Barncancerfonden tillstyrker förslaget om att begreppet "utveckling av hälso- och sjukvården" ska ersättas av "nyttiggörande av klinisk forskning och ny kunskap i hälso- och sjukvården". Detta speglar tydligt vikten av forskning som en självklar och naturlig del av hälso- och sjukvården.

Ett hälso- och sjukvårdssystem där forskningen har en tydlig roll och är välintegrerad i verksamheten är bättre rustad för att löpande implementera förbättringar, vilket gör att ny kunskap och nya behandlingsmetoder snabbare kan komma patienten till godo och att mindre effektiva metoder kan fasas ut. Mot den bakgrunden ser Barncancerfonden att forskningsansvaret, även utanför universitetssjukhusen behöver förtydligas, systemet behöver dimensioneras för att rymma både vårdproduktion och forskning och patientens möjlighet till medverkan i klinisk forskning behöver stärkas.

7.2 Definitionen av klinisk forskning

- Barncancerfonden, i likhet med flertalet andra remissinstanser så som Cancerfonden och Hjärt-Lungfonden, anser att förslaget till ändrad definition av klinisk forskning skulle innebära icke-önskvärda effekter i form av att vissa former av klinisk forskning inte skulle kunna ta del av ALF-medel. Barncancerfonden avstyrker därför förslaget om tillägg.
- Barncancerfonden vill särskilt framhålla vikten av att förutsättningarna för kliniska läkemedelsprövningar stärks. Kliniska prövningar utgör en begränsad del av den kliniska forskningen, men innebär ett helt nytt hopp om bot eller förbättrad livskvalitet för många patienter och närstående.

Utveckling av nya och skonsamma läkemedel och behandlingar är en nödvändighet för att säkra både högre och bättre överlevnad bland barn som drabbas av cancer. Samtidigt vet vi att barn idag inte får tillgång till nya cancerläkemedel på samma villkor som vuxna. En genomgång² av de 186 cancerläkemedel som godkänts av EMA mellan 1995–2022 visar att:

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

Särskilda satsningar bör därför sjsättas för att stärka Sveriges attraktions- och konkurrenskraft avseende kliniska prövningar. Mot den bakgrunden ställer sig Barncancerfonden övergripande positiv till de förslag som utredaren Peter Asplund presenterade i promemorian "DS 2023:8 Förslag på åtgärder för att skapa bättre förutsättningar för kliniska prövningar" samt det uppdrag som nyligen tilldelats Läkemedelsverket avseende genomförande delar av förslagen. Samtidigt ser Barncancerfonden vissa risker med förslaget om ett separat system för företagsinitierade prövningar, med hänvisning till att kliniska prövningar utförs av samma personal och inom samma system, oberoende av sponsor.³ Barncancerfonden ser att satsningar på kliniska prövningar, oberoende av sponsor, krävs för att säkerställa att svenska patienter tidigt får tillgång till nya behandlingar som kan ha en positiv effekt på sjukdomen, samtidigt som hälso- och sjukvårdens tillgång till värdefull kunskap och kompetens stärks, liksom förmågan att implementera precisionsmedicin.

7.4 Behov inom strategiska områden

- Barncancerfonden tillstyrker delvis förslaget om ALF-avtalets roll i att stimulera forskning inom utpekade områden respektive skapa långsiktiga förutsättningar för klinisk forskning. För att stärka den kliniska forskningens förutsättningar krävs långsiktiga satsningar och stabilitet som möjliggör uppbyggnad av struktur och infrastruktur, utifrån regionala styrkor, utmaningar och behov. I detta avseende är det av särskilt vikt att ALF-regionernas självbestämmande bibehålls.
- Barncancerfonden vill belysa vikten av att forskningsfinansiering, där ALF-ersättningen ingår tillsammans med en mångfald av andra satsningar och aktörer såsom stiftelser

² Gilles Vassal, Teresa de Rojas och Andrew D J Pearson, "Impact of the EU Paediatric Medicine Regulation on new anti-cancer medicines for the treatment of children and adolescents", *The Lancet Child & Adolescent Health* 7, issue 3 (mars 2023), DOI: [Impact of the EU Paediatric Medicine Regulation on new anti-cancer medicines for the treatment of children and adolescents - The Lancet Child & Adolescent Health](https://doi.org/10.1016/S2468-2667(23)00035-5)

³ Barncancerfonden (2023), Barncancerfondens remissvar avseende Förslag på åtgärder för att skapa bättre förutsättningar för kliniska prövningar (DS 2023:8), hämtad 24 juni 2024: [remissvar-fran-barncancerfonden_forslag-pa-atgarder-for-att-skapa-bättre-förutsättningar-for-kliniska-prövningar_diarienummer-kn202303556.pdf](https://www.barncancerfonden.se/meddelanden/remissvar-2023-06-24)

och näringsliv, ses utifrån ett systemperspektiv. Barncancerfonden ser positivt på mångfalden av finansiärer av forskning och innovation i Sverige och att tillgången till finansiella medel anses som god.⁴ Samtidigt innebär detta en utmaning för att säkerställa tydliga prioriteringar och samordnande satsningar.

Barncancerfonden ser att ökad förmåga till samverkan mellan olika typer av aktörer, exempelvis civilsamhälle och näringsliv, är av yttersta vikt för att stärka förmågan att möta nuvarande och kommande samhällsutmaningar, inte minst inom hälsoområdet. Av samma anledning vill Barncancerfonden tydliggöra att den forsknings- och innovationspolitiska propositionen är ett viktigt verktyg för att stärka den kliniska forskningen.⁵

- Barncancerfonden anser det positivt att finansiering av forskningsinfrastruktur diskuteras i promemorian. Barncancerfonden är idag den huvudsakliga finansiären av den forskningsinfrastruktur som finns inom barncancerområdet, så som nationella kvalitetsregister och biobankar men också de två provningsenheter för cancerdrabbade barn som finns i landet. Ambitionen är dels att säkra att fler barn med cancer får möjlighet att delta i kliniska prövningar, dels säkerställa en långsiktig plan för vidareutveckling av populationsbaserade infrastrukturer som är relevanta för barncancerområdet. Detta för att möjliggöra avancerad forskning, samt stärka Sveriges attraktionskraft för framstående barncancerforskare och internationella samarbeten.

Barncancerfonden ser ett stort behov av långsiktig finansiering för de infrastrukturer och basfunktioner som är avgörande för framgångsrik forskning, införandet av precisionsmedicin och för att bidra till nyttiggörandet av hälsodata inom forskning och vård. Det ger även upphov till strategiska diskussioner kring vad som bör åläggas privat forskningsfinansiering och vad som bör ses som den regionala och statliga finansieringens uppdrag, inte minst för de infrastrukturer som är av vikt för både behandling av den enskilda patienten och forskning, utveckling och innovation. I detta avseende vill Barncancerfonden särskilt uppmärksamma vikten av finansieringslösningar utformas på ett sätt som även tillgodoser behovet hos nationella forskningsinfrastrukturer inom smalare forskningsfält, så som barncancerområdet.

7.5.2 Förslag om och fördelning av en ökning av ALF-ersättningen

- Barncancerfonden tillstyrker förslaget om att staten ska öka satsningen på klinisk forskning vid ALF-regionerna. För att stärka den kliniska forskningens förutsättningar krävs långsiktiga satsningar och stabilitet som möjliggör uppbyggnad av struktur och infrastruktur.

Ett hälso- och sjukvårdssystem där forskningen har en tydlig roll och är välintegrerad i verksamheten är bättre rustad för att löpande implementera förbättringar, vilket gör att ny kunskap och nya behandlingsmetoder snabbare kan komma patienten till gagn och mindre effektiva metoder kan fhasas ut. En allmän höjning av ALF-ersättningen är därför en viktig insats, men bör kompletteras med andra nationella satsningar exempelvis inom ramen för kommande forsknings- och innovationspolitiska proposition.

- Barncancerfonden är medveten om att citeringsgenomslag är en vedertagen metod för att mäta forskningens kvalitet. Barncancerfonden vill, i egenskap av forskningsfinansiär samt stöd- och påverkansorganisation som verkar för en till antalet liten patientpopulation, framhålla att citeringsgenomslag riskerar att missgynna små

⁴ Forskningsfinansieringsutredningen slutbetänkande (2023), Ny myndighetsstruktur för finansiering av forskning och innovation (SOU 2023:59), s. 241

⁵ Mer information om Barncancerfondens inspel till kommande forsknings- och innovationspropositionen finns att läsa här: [barncancerfondens-inspel-till-kommande-forsknings--och-innovationspolitiska-proposition.pdf](#)

forskningsområden såsom barncancer. Barncancerfonden undrar därför om det är möjligt att komplettera med andra typer av kvalitetsmått, exempelvis genomslag av forskningens resultat för patienter och för sjukvården.

7.6 Behov av nationell och internationell samverkan inom klinisk forskning

- Barncancerfonden tillstyrker promemorians bedömning att incitament krävs för att säkra och stärka nationell och internationell samverkan inom klinisk forskning. Detta är särskilt viktigt inom områden med begränsade patientunderlag, bland annat barncancer, där regionerna inte utgör en tillräcklig forskningsarena.
- Inom barncancerområdet finns redan idag ett välutvecklat nationellt samarbete samt internationella sammanslutningar som stärker och tillför ny kunskap till den svenska barncancer vården. Samverkan har vuxit fram som följd av de särskilda utmaningar som små patientpopulationer kan innebära ur ett kunskaps- och behandlingsperspektiv, och utgör idag en unik, och på många sätt föredömlig, modell inom såväl barn- som vuxensjukvården, på hur utveckling och uppföljning kan bedrivas över regionala gränser.

Samtidigt ser Barncancerfonden att Sverige har potentialen att ta en större roll på den internationella arenan, exempelvis genom att initiera och leda internationella studier i högre grad än idag. Dagens utmaningar kopplat till bland annat kompetensförsörjning, möjlighet att kombinera kliniskt arbete med forskning och utrymme för att bedriva forskning inom hälso- och sjukvårdssystemet är försvårande faktorer för att detta ska kunna uppnås och behöver vara föremål för åtgärder och insatser på regional och nationell nivå.

7.7 Uppgifter och funktion för en nationell grupp för uppföljning och nationell samverkan (GUNS)

- Barncancerfonden tillstyrker förslaget om ett omtag kring styrgrupp för ALF-avtalet, samt dess uppdrag och mandat. Förtydligande kring uppföljning av avtalet, utvärdering av klinisk forskning och mandat att föreslå justeringar är särskilt positiv, med syfte att långsiktigt stärka förutsättningarna för och kvaliteten på den kliniska forskningen i Sverige.

Barncancerfonden ser att förslaget går i linje med vår efterfrågan kring ett utökat system- och helhetsperspektiv i insatser för att stärka innovations- och forskningssystemet där ALF-avtalet utgör en viktig roll i relation till klinisk forskning.

- Barncancerfonden, i likhet med Cancerfonden, efterlyser inkludering av patientrepresentation i den nationella styrgruppen. Detta för att säkerställa ett genomgående patientperspektiv i arbetet, både i form av planering av framtida insatser såväl som i utvärdering och uppföljning. Det är av särskild vikt för att säkerställa jämlika förutsättningar och möjligheter för patienter att delta i kliniska studier, oberoende av geografi eller diagnosområde.

7.9 Utvärderingar i ALF-avtalet

- Barncancerfonden tillstyrker förslaget om fortsatt utvärdering av den kliniska forskningen inom ramen för ALF-avtalet. Barncancerfonden delar bedömningen att detta utgör ett viktigt underlag för bedömning av kvalitet och förutsättningar, samt styrkor och svagheter inom respektive ALF-region.

Detta bör även nyttjas som underlag för insatser och åtgärder, utifrån de brister och styrkor som identifieras. Dessa behöver nödvändigtvis inte införlivas inom ramen för ALF-avtalet, utan kan vara föremål för andra nationella satsningar.

- Barncancerfonden vill särskilt lyfta vikten av att nationella utvärderingar sätts i relation till omvärlden, för att löpande utvärdera hur Sverige står sig i internationella jämförelser.

Stockholm 2024-07-03

Britt-Marie Frost
Forskningschef

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

Om Barncancerfonden:

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

Sedan 1982 har Barncancerfonden satsat mer än 4 MDSEK på forskningsnära verksamhet och vi är i dag den enskilt största finansiären av barncancerrelevant forskning och avgörande infrastruktur, såsom:

- **Svenska Barncancerregistret** – ett populationsbaserat kvalitets- och forskningsregister som är en resurs för att både kvalitetssäkra vården för barn och ungdomar som drabbas av cancer och för att möjliggöra barncancerforskning av hög kvalitet. Registret har utvecklats över tid och innefattar nu registrering av samtliga barncancersjukdomar.
- **Barntumörbanken** – en populationsbaserad nationell provsamlings med vävnad och molekylärgenetiska data från barncancerpatienter. Både nytt och historiskt material har helgenomsekvenserats .
- **Två kliniska prövningsenheter för barn** – HOPE-ITCC-enheten på Karolinska Universitetssjukhuset och Barncancercentrums forskningsenhet Göteborg vid Drottning Silvias barn- och ungdomssjukhus. Tack vare att Sverige är med i det internationella konsortiet ITCC kan barn i Sverige få ingå i kliniska prövningar från hela Europa som drivs av både läkemedelsföretag och ITCC.
- **GMS Barncancer** – Ett nationellt projekt mellan Sveriges sex barnonkologiska centra och sex universitet som möjliggör kartläggning och analys av cancerdrabbade barns gener genom helgenomsekvensering i samband med barnets insjuknande och eventuella återfall. Sedan 1 maj 2024 har analyserna övergått till klinisk rutin och huvudsakligen regional finansiering.

Barncancerfondens riktade finansiering till Sveriges sex barncancercentra

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

Genom finansieringen säkerställer Barncancerfonden hög kvalitet i de kvalitetsregister som utgör en viktig resurs i kvalitetssäkring av barncancer vården och som är helt avgörande för svensk barncancerforskning. Samtidigt underlättar vi deltagande i fler kliniska projekt och

studier, inklusive läkemedelsprövningar. Målet är heltäckande, populationsbaserade kvalitetsregister som är grunden för barncancerforskning av hög kvalitet i Sverige och som gör Sverige intressant för internationell forskning.

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