

Dnr U2023/01467  
Utbildningsdepartementet

## **Barncancerfondens inspel till kommande forsknings- och innovationspolitiska proposition**

### **Bakgrund:**

Barncancerfonden kämpar 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 och 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 hos barn.

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.

Samtidigt ser vi positivt på de senaste årens snabba utveckling inom teknik så väl som målstyrda behandlingar och terapier. Vi närmar oss viktiga forskningsgenombrott som kansäkra att fler barn överlever sin cancer och med färre sena komplikationer. Men för att nå dit och för att utvecklingen ska komma barncancerpatienter i Sverige till gagn krävs en kraftsamling för att den svenska hälso- och sjukvården och forskarsamhället ska få rätt förutsättningar för att vara med och bidra i arbetet – både nationellt och genom internationell samverkan. Samtidigt ser vi att forskningen inte ensam kan säkerställa nästa stora medicinska genombrott, utan flera delar av samhället, så som näringsliv, offentlig förvaltning och civilsamhället, behöver samverka för att vi ska nå dit.

Mot den bakgrunden har Barncancerfonden valt att lyfta fram sex utvecklingsområden som vi gärna ser omfattas av den kommande forsknings- och innovationspolitiska propositionen:

1. Tydliggör ansvar och rollfördelning mellan olika typer av forskningsfinansiärer för ökad excellens i forsknings- och innovationssystemet
2. Säkra återväxten av kliniska forskare och behovet av nya kompetenser inom hälso- och sjukvården
3. Förtydliga regionernas forskningsansvar och dimensionera hälso- och sjukvårdens verksamhet för rutinsjukvård och forskning
4. Precisionsdiagnostik och kliniska prövningar specifikt för barn – viktiga steg mot högre överlevnad och bättre livskvalitet efter barncancer
5. Komplettera precisionsmedicinska satsningar med forskning på sena komplikationer
6. Trygga långsiktig och robust finansiering av forskningsinfrastrukturer

## Om barncancer:

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

- Andra cancerformer drabbar barn än vuxna. CNS-tumörer (29 %) och leukemi (28 %) är de vanligaste cancerformerna bland barn.<sup>1</sup>
- 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 även om det just nu pågår mycket forskning kring medfödda orsaker.
- Barn kan inte ses som en homogen grupp, utan måste bedömas utifrån olika utvecklingsfaser. Barnets kropp växer och utvecklas, vilket innebär att den påverkas av läkemedel och behandlingar på andra sätt än den vuxna kroppen.

## Barncancerfondens förslag på prioriterade utvecklingsområden i nästa forsknings- och innovationspolitiska proposition:

### 1. Tydliggör ansvar och rollfördelning mellan olika typer av forskningsfinansiärer för ökad excellens i forsknings- och innovationssystemet

Barncancerfonden ser positivt på mångfalden av finansiärer av forskning och innovation i Sverige och att tillgången till finansiella medel anses som god.<sup>2</sup> Samtidigt innebär detta en utmaning för att säkerställa tydliga prioriteringar och samordnade 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.

För att säkerställa ett resilient system som premierar excellens tillstyrker Barncancerfonden Forskningsfinansieringsutredningens rekommendation att framtida genomlysningar av det svenska forskningsfinansieringssystem bör breddas och inkludera flera typer av finansiärer och som syftar till att identifiera nya typer av samverkansformer.<sup>3</sup> Barncancerfonden, i likhet med Forskningsfinansieringsutredningens ansats, ser ett växande behov av att ett systemperspektiv i arbetet för att stärka det svenska forsknings- och innovationssystemet.

I tillägg till privata forskningsfinansiärer bör även det svenska näringslivets satsning på innovation och forskning omfattas av kommande genomlysning, inte minst kopplat till life science. I detta avseende är det särskilt viktigt att säkerställa att Sverige fortsätter ses som ett attraktivt land för företag och organisationer inom life science-området, för att säkerställa vår internationella konkurrenskraft. I tillägg till att det stärker svenska patienters tillgång till nya läkemedel och behandlingar så innebär detta även arbetstillfällen, forskningsinvesteringar och intäkter som gynnar den svenska ekonomin och samhället i stort.

### 2. Säkra återväxten av kliniska forskare och behovet av nya kompetenser inom hälso- och sjukvården

Barncancerfonden ser behov av att ta ett helhetsgrepp kring kompetensförsörjningen inom hälso- och sjukvården. Särskilda satsningar för säkra återväxt och utveckling av klinisk

<sup>1</sup> Svenska Barncancerregistret, SBCR

<sup>2</sup> Forskningsfinansieringsutredningen slutbetänkande (2023), *Ny myndighetsstruktur för finansiering av forskning och innovation* (SOU 2023:59), s. 241

<sup>3</sup> SOU 2023:59, s. 418

forskningskompetens är av vikt i närtid, för att säkra den framtida kompetensförsörjningen. Utvecklingen måste kunna följas på nationell och regional nivå, för att öka förmågan till proaktivt agerande i det fall insatser inte har önskad effekt.

Barncancerfonden efterfrågar konkreta insatser för starka incitament att bedriva klinisk forskning, bättre karriärvägar för kliniskt verksamma forskare och en tydlig struktur i grundutbildningen som motiverar och väcker nyfikenhet hos studenter till att bidra i klinisk forskningsaktivitet. Här ser Barncancerfonden att privata forskningsfinansiärer har en viktig roll att spela, men att samverka med universitet och högskolor samt sjukvårdshuvudmännen krävs.

I takt med införandet av ett precisionsmedicinskt arbetssätt inom hälso- och sjukvården krävs nya typer av kompetenser, så som bioinformatiker, statistiker och systemvetare, samt fler tvärvetenskapliga samarbeten. Satsningar på kompetensförsörjning bör även omfatta dessa yrkesgrupper, med utgångspunkt i långsiktiga behovsanalyser.

### **3. Förtydliga regionernas forskningsansvar och dimensionera hälso- och sjukvårdens verksamhet för rutinsjukvård och forskning**

Hälso- och sjukvården måste dimensioneras så att rutinsjukvård och forskning ryms inom ramen för verksamheten. I dag trängs forskning och utveckling undan för att hälso- och sjukvården ska klara av vårdproduktionen. Detta ser Barncancerfonden bland annat genom att beviljade forskningsanslag inte kan nyttjas. Det måste finnas utrymme i systemet för att både kunna arbeta kliniskt och bedriva forskning.

Ett hälso- och sjukvårdssystem där forskningen har en tydlig roll och är välintegrerad i verksamheten är bättre rustad för att löpande implementera förbättringar genom ny kunskap, samt att utvecklingen snabbare kommer patienten till gagn. Detta är helt avgörande för att kunna bedriva en vård i världsklass, i en tid där avståndet mellan vad som är klinik och vad som är forskning blir allt mindre. Mot den bakgrunden ser Barncancerfonden att regionernas och kommunernas forskningsansvar behöver förtydligas genom en justering av hälso- och sjukvårdslagen.

Barncancerfonden vill särskilt belysa vikten av att förutsättningarna för att kliniska läkemedelsprövningar stärks. Detta 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. Utredningen *Förslag på åtgärder för att skapa bättre förutsättningar för kliniska prövningar* innehåller konkreta insatser och Barncancerfonden understryker vikten av att förslagen skyndsamt bereds.

Mer information om Barncancerfondens syn på utredningens förslag, samt ytterligare information om barncancerpatienters tillgång till beforskade läkemedel finns att läsa i vårt remissvar.<sup>4</sup>

### **4. Precisionsdiagnostik och kliniska prövningar specifikt för barn – viktiga steg mot högre överlevnad och bättre livskvalitet efter barncancer**

En målsättning i den nationella life science-strategin är att Sverige ska vara ett föregångsland för införandet av precisionsmedicin i vården. Viktiga steg har tagits sedan strategin antogs

<sup>4</sup> Barncancerfonden (2023), Barncancerfondens remissvar avseende Förslag på åtgärder för att skapa bättre förutsättningar för kliniska prövningar (DS 2023:8), hämtad 24 oktober 2023: [remissvar-fran-barncancerfonden\\_forslag-pa-atgarder-for-att-skapa-battre-forutsattningar-for-kliniska-provningar\\_diarienummer-kn202303556.pdf](https://www.barncancerfonden.se/medlemsomradet/2023/10/24/remissvar-fran-barncancerfonden-forslag-pa-atgarder-for-att-skapa-battre-forutsattningar-for-kliniska-provningar-diarienummer-kn202303556.pdf)

2019 av dåvarande regering, men vi har lång bit kvar tills att målet är uppfyllt. Barncancerfonden önskar därför fortsatt fokus på life science i regeringens forsknings- och innovationspolitik, med särskilt fokus på precisionsmedicin och implementering i hälso- och sjukvården.

Barncancerfonden ser utveckling av nya och skonsamma läkemedel och behandlingar som en nödvändighet för att vi ska säkra både högre och bättre överlevnad bland barn som drabbas av cancer. I dag finns stor samsyn kring att barn har rätt till mediciner som är ordentligt beforskade utifrån rätt förutsättningar, det vill säga som är särskilt utvecklade för barns kroppar och kliniskt prövade. Samtidigt vet vi att barn idag inte får tillgång till nya cancerläkemedel på samma villkor som vuxna. En färsk genomgång av de 186 cancerläkemedel som godkänts av EMA mellan 1995–2022 visar att enbart 29 har en pediatrik indikation.<sup>5</sup>

Sedan 2019 finansierar Barncancerfonden GMS Barncancer – ett pilotprojekt som ger nationell tillgång till precisionsmedicin för cancerdrabbade barn. Som följd erbjuds alla barn med cancer helgenomsekvensering i samband med insjuknande, vilket i praktiken innebär tillgång till mer förfinad diagnos. Genom nya tekniker helgenomsekvenseras barnets och tumörens DNA vilket innebär en mer korrekt diagnos och möjligheten att ge en skräddarsydd behandling. Kännedomen om specifika genetiska förändringar stärker möjligheten att anpassa behandlingen, men även deltagandet i relevanta kliniska prövningar speciellt utformade för barn. Tillgång till precisionsdiagnostik kan därför ses som en grundläggande struktur för att svenska patienter ska kunna ingå i kliniska prövningar.

Satsningar på precisionsmedicin är viktiga steg för att dels hitta fungerande behandlingar för de diagnoser som är obotliga idag, dels för att minska onödiga biverkningar och sena komplikationer bland de barn som överlever sin cancer. I detta avseende vill Barncancerfonden särskilt framhärda vikten av stärkta förutsättningar för internationell samverkan, inte minst för att stärka mindre patientgruppers tillgång till kliniska studier samt för att säkerställa att svenska patienter omfattas av studier av hög kvalitet. Inom barncancerområdet finns ett väletablerat samarbete genom ITCC (Innovative Therapies for Children with Cancer), ett internationellt konsortium som koordinerar tidiga läkemedelsprövningar, men det finns andra typer av hinder som försvårar internationell medverkan, inte minst kopplat till juridiska förutsättningar för delning av hälsodata.

Mot den bakgrunden ser Barncancerfonden att det är skyndsamt att tekniker såsom helgenomsekvensering och andra molekyलगenetiska metoder implementeras i rutinsjukvård. Inom barncancer vården skulle det innebära ett viktigt första steg i bredare implementering av precisionsmedicin, men även stärkta förutsättningar för att svenska barncancerpatienter ska kunna inkluderas i internationella kliniska prövningar. Därtill efterfrågar Barncancerfonden en övergripande och långsiktig struktur för införandet av precisionsmedicin i den svenska hälso- och sjukvården. Förslagsvis bygger detta vidare på pågående och väletablerade nationella initiativ, så som Genomic Medicine Sweden.

## **5. Komplettera precisionsmedicinska satsningar med forskning på sena komplikationer**

I dag finns över 12 000 barncanceröverlevare i Sverige. I takt med att allt fler barn överlever sin cancer har de långsiktiga konsekvenserna av barncancer och den tuffa behandlingen uppdagats. 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, sekundärcancer och

<sup>5</sup> 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:[https://doi.org/10.1016/S2352-4642\(22\)00344-3](https://doi.org/10.1016/S2352-4642(22)00344-3)

psykisk ohälsa är exempel på sena komplikationer som kräver omfattande insatser från hälso- och sjukvården.

Barncancerfondens forskningsfinansieringsstrategi innehåller satsningar på områden som förväntas bidra till kliniskt viktiga genombrott, däribland minskad toxicitet och sena komplikationer och förbättring av forskningsinfrastrukturer, såsom biobanker och register. Ambitionen är dels ökad och förbättrad överlevnad genom nya, skonsamma behandlingar för morgondagens barncancerpatienter, dels att hitta sätt att lindra och förebygga sena komplikationer bland de patienter som genomgår och redan har genomgått behandling.

Barns läkemedelsbehandling är ofta "off label", det vill säga att läkemedlet inte har prövats på, och godkänts för barn. Det innebär att läkemedlet inte är licensierat för användning på barn och därför inte omfattas av den trygghet och säkerhet som ett läkemedel som används inom indikationen. Det saknas i många fall evidens vid läkemedelsbehandling av barn i många fall och omkring hälften av förskrivningen på sjukhus sker utanför godkänd indikation, så kallad off-label.<sup>6</sup> Det här omfattar även nya, innovativa läkemedel som idag bara har godkänd indikation för vuxna. Om behandlingen inte ingår eller har prövats inom ramen för i en klinisk studie så är det svårt att dra slutsatser kring behandlingsresultat för kommande barnpatienter.

Barncancerfonden har länge efterfrågat ett helhetsgrepp kring läkemedlets hela livscykel, från grundforskning till godkänt läkemedel och långtidsuppföljning. Barncancerfonden vill särskilt belysa vikten av en sammanhållen internationell infrastruktur för långtidsuppföljning av effekt och säkerhet av nya läkemedel, det vill säga monitorering av läkemedel även efter ett marknadsgodkännande. Detta är särskilt viktigt för nya precisions- och immunterapi, där långtidseffekter och biverkningar än så länge är okända. Det ställer även krav på internationell samverkan, då enskilda patientpopulationer ofta är mycket små, och datadelning över landsgränser måste standardiseras. En harmoniserad struktur är nödvändig för att möta upp krav från regulatoriska myndigheter för att säkerställa marknadsgodkännande och i sin tur patienters tillgång till säkra och effektiva läkemedel.

Barncancerfonden ser därför att kommande satsningar på precisionsmedicin även bör omfatta krav på långtidsuppföljning, samt kompletteras med forskningssatsningar på sena komplikationer.

## 6. Trygga långsiktig och robust finansiering av forskningsinfrastrukturer

Barncancerfonden har bidragit med finansiellt stöd till utveckling och drift av nationella forskningsinfrastrukturer i över 40 år. Vi har bland annat stöttat utvecklingen av ett nationellt kvalitetsregister inom barncancerområdet, det svenska barncancerregistret (SBCR), ett antal diagnosbaserade forskningsregister och biobanker. Barncancerfonden är idag den huvudsakliga finansiären av forskningsinfrastruktur inom barncancerområdet i Sverige. Under perioden 2015 till 2023 har Barncancerfonden bidragit med över 47 miljoner kronor till dessa, register samt över 174 miljoner kronor till de två biobankerna inom barncancerområdet.

Satsningar på infrastrukturer är en del i Barncancerfondens forskningsfinansieringsstrategi. Syftet 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 är stolt över organisationens bidrag till utveckling av forskningsinfrastruktur inom barncancerområdet i Sverige. Dessa register och biobanker ligger till grund för den behandlingsutveckling som skett inom barncancerområdet och som lett till den höga

<sup>6</sup> Janusinfo (2018), "ePed samlar information om läkemedel till barn", Region Stockholm, senast uppdaterad 14 februari 2023, hämtad 27 oktober 2023: [ePed samlar information om läkemedel till barn - Janusinfo.se](https://janusinfo.se/ePed-samlar-information-om-lakemedel-till-barn)

genomsnittliga femårsöverlevnaden för barncancerpatienter. Utvecklingen inom barncancerområdet har tydligt visat på behovet av proaktivitet och uthållighet när det gäller utveckling av forskningsinfrastrukturer. Dessutom innebär dessa forskningsinfrastrukturer att Sverige har en unik konkurrensfördel som kan nyttjas för att attrahera både näringslivsaktörer och framstående forskare till Sverige.

Barncancerfonden ser ett stort behov av långsiktig finansiering för de infrastrukturer och basfunktioner som är avgörande för forskning i världsklass och införandet av precisionsmedicin. Exempelvis saknas idag en långsiktig och robust finansieringsplan för den grundläggande strukturen som behöver finnas på plats för att bland annat kliniska läkemedelsprövningar ska kunna genomföras. Det ger även upphov till strategiska diskussioner kring vad som bör åläggas privat forskningsfinansiering och vad som bör ses som den offentliga finansieringens uppdrag, inte minst för infrastrukturer som är av vikt för både behandling av den enskilda patienten och forskning, utveckling och innovation.

Mot den bakgrunden är Barncancerfonden positiv till regeringens ambition att se över statens ansvar för de strukturer som är avgörande för forskning och implementering av precisionsmedicin inom den svenska hälso- och sjukvården. Samtidigt vill Barncancerfonden uppmärksamma vikten av finansieringslösningar utformas på ett sätt som även tillgodoser behovet hos nationella forskningsinfrastrukturer inom smalare forskningsfält, så som barncancerområdet. Här vill även Barncancerfonden belysa samverkan med näringslivet, i vårt fall läkemedelsindustrin, som ett viktigt steg i att hitta hållbara finansieringslösningar för forskningsinfrastrukturer.

## Om Barncancerfonden:

Sedan 1982 har Barncancerfonden satsat mer än 4 MDSEK på forskningsändamålet och vi är i dag den enskilt största finansiären av barncancerrelevant forskning och avgörande infrastruktur inom barncancerområdet, så som:

- **Svenska Barncancerregistret** – ett kvalitets- och forskningsregister som är en resurs både för att 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 nationell provsamlings med vävnad och molekyllärovetiska data från barncancerpatienter med solida tumörer. Genom stöd från Barncancerfonden är nu både nytt och historiskt material helgenomsekvenserat vilket gör banken unik i sitt slag.
- **NOPHO Leukemia Biobank** – en nordisk biobanksinfrastruktur som innehåller celler från blod och benmärg som insjuknat i blodcancer. Proverna har samlats in sedan början av nittioalet och är idag en resurs för barncancerforskning i hela Norden.
- **Två kliniska prövningsenheter för barn** – Hematologisk Onkologisk PrövningsEnhet (HOPE) på Karolinska Universitetssjukhuset och Klinisk prövningsenhet (KPE) Barnonkologi vid Drottning Silvias barn- och ungdomssjukhus. Tack vare att Sverige genom de två prövningsenheterna är med i det internationella konsortiet Innovative Therapies for Children with Cancer (ITCC) kan barn i Sverige få ingå i kliniska prövningar från Europa som drivs av både läkemedelsföretag och ITCC.
- **GMS Barncancer** – ett nationellt pilotprojekt mellan Sveriges sex barnonkologiska centra och sex universitet som möjliggör kartläggning och analys av cancerdrabbade barns gener, bland annat genom helgenomsekvensering i samband med barnets insjuknande. Ett bakomliggande argument till projektet är att barn sällan ingått i kliniska studier.

## 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. Under 2023 är 19,7

miljoner öronmärkta 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 kvalitetsregistret som utgör en viktig resurs i kvalitetssäkring av barncancer vården och som är helt avgörande för svensk barncancerforskning. Samtidigt underlättas deltagande i fler kliniska projekt och studier, inklusive läkemedelsprövningar. Målet är ett 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 barncancer vården. Inte minst införandet av precisionsmedicin i Sverige samt i uppföljning och utvärdering av nya läkemedel och behandlingar.

---

Stockholm 2023-10-31

Ola Mattsson  
Generalsekreterare

För mer information går det bra att kontakta  
Sol Engvall  
Intressepolitisk expert  
[sol.engvall@barncancerfonden.se](mailto:sol.engvall@barncancerfonden.se)  
076-721 03 23