

Barncancerfondens remissvar avseende *Ett nytt regelverk för hälsodataregister (SOU 2024:57)*

Barncancerfonden tackar för möjligheten att svara på rubricerad remiss och delar härmed våra ståndpunkter.

Barncancer är en sällsynt sjukdom med många olika diagnoser som dessutom blir allt fler vartefter den molekylära kunskapen växer och undergrupper synliggörs. Behovet av att använda och jämföra hälsodata, nationellt såväl som internationellt, är stort och en förutsättning för fortsatt utveckling av precisionsmedicin. Ett nytt regelverk för hälsodataregister är därför angeläget liksom att detta regelverk tar hänsyn till de speciella behov som finns när patienten är ett barn.

Barncancerfonden instämmer därför i Barnombudsmannens övergripande inspel avseende utredningen om avsaknad av hänvisningar till barnets rättigheter och till barnkonventionen, samt barnkonsekvensanalyser.¹ Detta försvårar analys och ställningstagande till enskilda förslag.

Barncancerfondens övergripande synpunkter:

- Barncancerfonden vill se hänvisningar till barnets rättigheter och till barnkonventionen och anser att barnperspektivet tydligt måste omfattas av de förslag som realiserar, både ur ett integritetssperspektiv men också med hänsyn till barns rätt till hälsa och rehabilitering. Vi vill också understryka de särskilda utmaningarna med och betydelsen av datasäkerhet och integritet för barn och unga. Givet lång förväntad livstid måste datasäkerheten garanteras även på lång sikt, trots att vi idag inte vet vilken data, vilka tekniker eller hur dessa kommer att användas i framtiden. Detta samtidigt som hinder för åtkomst av data inte får hämma forskning och kvalitetsutveckling av vården.
- Barncancerfonden delar fullt ut utredningens syn på betydelsen av att dela hälsodata för både förbättringar och utveckling av vården och för forskningen. Vi ser särskilt positivt på förslaget om ett register för rekvisitionsläkemedel som kommer att få en avgörande betydelse för vård och forskning om det genomförs. Att dela hälsodata från register av hög kvalitet för forskningsändamål, både inom Sverige och internationellt, är särskilt viktigt för ovanliga diagnoser så som barncancer där det ofta är svårt att kunna dra korrekta slutsatser på grund av det begränsade patientunderlaget.
- Barncancerfonden saknar diskussion kring tidsfrister kopplat till Socialstyrelsens utlämnandeverksamhet. I vår dialog med forskare inom barncancerområdet, andra forskningsfinansiärer, forskningsinfrastrukturer samt andra aktörer som på olika sätt arbetar med hälsodata och hälsodataregister, lyfts långa handläggningstider hos Socialstyrelsen som en utmaning. Barncancerfonden skulle därför önska en genomlysning av denna del av Socialstyrelsens verksamhet, med fokus på att säkra mer skyndsam handläggning. Inom barncancerområdet är detta särskilt viktigt i relation till läkemedelsutveckling och långtidsuppföljning efter barncancer, där ett ökat fokus ligger på storskalig dataanalys med utgångspunkt i flertalet olika datakällor. I tillägg ser Barncancerfonden att en sådan insats väl svarar upp på regeringens målsättningar och prioriteringar i den uppdaterade life science-strategin från november 2024.

¹ Barnombudsmannen (2024), Betänkandet Ett nytt regelverk för hälsodataregister (SOU 2024:57), hämtad 17 januari 2025: [barnombudsmannen.pdf](#)

- Vikten av kompatibilitet mellan system, och harmonisering med ex EHDS, framgår tydligt av utredningen. Barncancerfonden vill i detta sammanhang också betona vikten av att resurser knyts till hälsoregistren för att säkerställa kvaliteten på data, och att data registreras regelbundet för att registren ska hållas relevanta och aktuella. Åtgärder måste vidtas för att i möjligaste mån undvika "bias" och "missing data", och instruktioner för vad som ska registreras får inte vara otydliga eller ge utrymme för olika tolkningar.

Kapitel 5: Utökad insamling av uppgifter från öppenvården

- Barncancerfonden delar utredningens bedömning att fler uppgifter behöver samlas in från öppenvården (5.5.1) och välkomnar de förslag kring hur en sådan uppgiftsinhämtning (5.5.3 och 5.5.4) skulle kunna struktureras. Möjligheten att få en samlad bild av patientens vårdkontakter inom hela den öppna vården skulle, i tillägg till bättre förutsättningar för utvärdering och uppföljning av hälso- och sjukvården, även utgöra ett viktigt underlag för långtidsuppföljning av läkemedel och behandling.

Omkring 70 procent av barncanceröverleverare lever med någon form av sen komplikation, varav 30 procent får svåra, och potentiellt livshotande besvär. Exempel på sena komplikationer till följd av barncancer är sekundärcancer, hjärt-kärlsjukdomar, hormonstörningar och kognitiva funktionsnedsättningar. För många drabbade är slutet på cancerbehandlingen början på en livslång kontakt med hälso- och sjukvården som omfattar såväl öppenvården som specialistvård. Förslaget om utvidgad uppgiftsinhämtning till patientregistret skulle innebära ett mer omfattande underlag för forskning som knyter an till sena komplikationer och långtidsuppföljning för bland annat barncancerdrabbade.

Därtill innebär detta, i kombination med förslaget om ett hälsodataregister för rekvisitionsläkemedel (kap 7), ett bättre underlag för uppföljning av precisionsmedicinska behandlingar och precisionsläkemedel som ställer nya krav på det svenska läkemedelssystemet avseende tillgång och finansiering. Riktade behandlingar och avancerade terapier avsedda för smala patientgrupper, så som olika former av barncancer, innebär högre grad av osäkerhet kring nytta och kostnadseffektivitet samtidigt som de kan utgöra hopp för patienter med svårbehandlade sjukdomar eller där det helt saknas behandlingsalternativ idag.

Detta skulle även kunna stärka Sveriges attraktionskraft inom kliniska prövningar, vilket i förlängningen bidrar till att svenska patienter får snabbare tillgång till potentiellt livsavgörande behandling, ökad kunskap och kompetens inom hälso- och sjukvården och stärkta förutsättningar att löpande implementera förbättringar.

- Barncancerfonden delar utredningens bedömning att insamling av uppgifter om barns och ungas hälsa, inklusive uppgiftsinhämtning från elevhälsan, bör utredas i särskild ordning (5.5.2). I tillägg till utredningens resonemang efterfrågar Barncancerfonden ett genomgående och tydligt barnperspektiv i arbetet, med utgångspunkt i Barnkonventionen. I tillägg till behov av att följa och utvärdera barns och ungas hälsa bör en sådan utredning även utgå från etiska perspektiv på insamling och behandling av hälsodata, så som samtycke, informationsplikt och beroendeställning.

Mer information om barnperspektiv och hälsodata finns i Barncancerfondens inspel till S 2022:04 Hälsodata som nationell resurs för framtidens hälso- och sjukvård.²

² Barncancerfonden (2022), Skriftligt inspel till S 2022:04 Hälsodata som nationell resurs för framtidens hälso- och sjukvård, hämtad 16 januari 2025: [barncancerfonden skriftligt-inspel-till-utredningen-om-sekundanvandning-av-halsodata_13.10.2022.pdf](https://www.barncancerfonden.se/meddelanden/skriftligt-inspel-till-utredningen-om-sekundanvandning-av-halsodata_13.10.2022.pdf)

Kapitel 7: Insamling av uppgifter om rekvisitionsläkemedel

- Barncancerfonden tillstyrker förslaget om inrättandet av ett nytt register över rekvisitionsläkemedel (7.7.8) och delar den behovsbild som framhålls i betänkandet.

Barncancerfonden ser ett stort behov av löpande uppföljning av implementering av precisionsmedicin, exempelvis svenska cancerpatienters tillgång till precisionsdiagnostik, målstyrda läkemedel och inkludering i kliniska prövningar. För att bevaka utvecklingen på barncancerområdet anser Barncancerfonden att statistiken även ska kunna brytas ned på parametrar så som ålder och diagnos, samt presenteras på både nationell, regional samt internationell nivå när det är möjligt.

Det är idag omöjligt att, på ett samlat och strukturerat sätt, följa hur de nationella satsningarna inom barncancerområdet, men också de nya behandlingsmetoder som nu introduceras, påverkar överlevnad och livskvalitet för barn med cancer. Barncancerfonden finansierar Svenska Barncancerregistret (SBCR), men vi ser att även de nationella registren måste börja redovisa barn som en utbrytbar målgrupp. Utan statistik som är nedbruten på barn kan vi inte utvärdera framsteg eller identifiera brister. Därför önskar vi att Socialstyrelsens uppdrag kring statistik och rapportering förtydligas och anpassas för att redovisa barn som en separat grupp när relevant.

För mer information om Barncancerfondens syn på statistik och barncancer, se vår skrivelse till Socialdepartementet och Utbildningsdepartementet från oktober 2024.³

- I linje med tidigare resonemang kring ökad uppgiftsinsamling från öppenvården (kap 5), utgör ett hälsodataregister för rekvisitionsläkemedel en bottenplatta för utvärdering och godkännande av läkemedel. Detta är av yttersta vikt, inte minst som följd av precisionsmedicinsk läkemedels- och behandlingsutveckling och ökat behov av uppföljning på individnivå även efter initialt marknadsgodkännande. I praktiken innebär det att gränsen mellan klinik och forskning suddas ut, med en större gråzon som följd. Barncancerfonden vill framhålla att detta är av särskild vikt för att garantera att de läkemedel som ges är säkra för barnen och att både akuta biverkningar och potentiella sena komplikationer är kända och kan följas upp på ett adekvat sätt.
- Barncancerfonden är särskilt positiv till att forskning kopplat till off label-användning av läkemedel lyfts som ett specifikt exempel, då detta är vanligt förekommande inom barncancervården. 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. Samtidigt visar en genomgång från 2023 att enbart 29 av 186 cancerläkemedel som godkänts av EMA mellan 1995–2022 har en pediatrik indikation.⁴ Det är tydligt att utvecklingen av nya cancermediciner drivs av vuxenmarknaden. Det här omfattar även nya, innovativa läkemedel.

Införandet av ett register för rekvisitionsläkemedel skulle innebära en möjlighet att säkerställa ett bättre underlag för uppföljning av läkemedel som ges off-label, och i förlängningen fler läkemedel som är prövade och godkända särskilt för barn.

Barncancerfonden vill därför belysa att det är av särskild vikt att följande uppgifter samlas in till hälsodataregistret, i komplement till de uppgifter som omfattas av tabell 7.2 och i avsnitt 7.7.2:

- Patientens ålder i samband med administrering av läkemedlet
- Diagnos inklusive relevanta fynd från genomiska analyser

³ Barncancerfonden (2024), Ett förtydligt uppdrag till myndigheter gällande statistik om barncancer, hämtad 17 januari 2025: [skrivelse_barns-inkludering-i-officiell-statistik_barncancerfonden.pdf](#)

⁴ 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)

- Information om läkemedlet administreras off-label, inom indikation, inom ramen för klinisk studie, inom ramen för sjukhusundantaget eller compassionate use
- Var behandlingen ges (för att identifiera vård/kliniska studier som genomförs i annat land än Sverige).

Kapitel 8: Ett nytt regelverk för hälsodataregister

- Barncancerfonden tillstyrker förslaget om att förtydliga syftet med hälsodataregistren i lag (8.6.2). I egenskap av forskningsfinansiär ser Barncancerfonden att det skulle vara fördelaktigt att tydliggöra forskningens roll i kunskapsgenerering för att utveckla och förbättra hälso- och sjukvården, i tillägg till att detta omnämns som ett ändamål för hälsodataregistren.
- Barncancerfonden delar utredningens bedömning avseende att behandling av personuppgifter i hälsodataregister ska vara obligatoriskt, och att det inte ska införas möjlighet för den enskilde att motsätta sig behandling eller få sina uppgifter raderade (8.4).

Barncancerfonden anser att resonemang kring insamling av uppgifter ur ett patientperspektiv är tillfredställande (3.3.2). Det gäller även för betänkandets avvägningar kring proportionalitet i ansträngning avseende åtgärder för att stärka den enskildes rätt och möjlighet till insyn i hur ens uppgifter behandlas.

Barncancerfonden vill samtidigt tydliggöra vikten av att de insatser som föreslås i avsnitt 8.13.3 genomförs, då vi ser att det kan bidra till bibehålllet förtroende från allmänheten. Detta är av särskild vikt och helt avgörande för den precisionsmedicinska utvecklingen, samt övergången till en alltmer datadriven hälso- och sjukvård. I tillägg ställs höga krav på vårdens IT-system för att möjliggöra effektiv överföring av uppgifter från journalsystem till hälsodataregistren för att minimera risken för läckage och känsliga uppgifter samt obehörig åtkomst. Även dessa åtgärder bör omfattas av myndighetens informationsuppdrag.

Stockholm 2025-01-29

Ola Mattsson, generalsekreterare

Kerstin Sollerbrant, senior forskningsexpert

För mer information går det bra att kontakta
Ebba Hemmingsson, intressepolitisk expert
ebba.hemmingsson@barncancerfonden.se
070-482 90 85

BILAGA

Barncancerfonden – en integrerad del i utveckling och drift av barncancervård och -forskning

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 över 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 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, sekundär cancer 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 utvecklingen inom teknik såväl som målstyrda behandlingar och terapi. Precisionsdiagnostik är nu klinisk rutin vid landets sex barncancercentrum och det väcker hopp om att fler cancerdrabbade barn ska kunna räddas till livet och i mindre grad drabbas av sena komplikationer. **Men för att dess fulla potential ska kunna nyttjas i form av precisionsläkemedel och skraddarsydd behandling 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 – och stärkta förutsättningar för att använda hälsodata för såväl utveckling av hälso- och sjukvård som forskning och innovations- och utvecklingsarbete är en viktig pusselbit.

Samtidigt ser 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.

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 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 nationell provsamling med vävnad och molekylärgenetiska data från barncancerpatienter. Genom stöd från Barncancerfonden är nu både nytt och historiskt material helgenomsekvenserat vilket gör banken unik i sitt slag.
- **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 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. Under 2024 övergår analyserna till klinisk rutin och regional finansiering.

Utöver forskningsanslag och finansiering av kritisk infrastruktur stöttar Barncancerfonden årligen Sveriges sex regionala barncancercentrum och Lilla Erstagården, Sveriges enda palliativa klinik för barn och unga, med omkring 45 miljoner kronor årligen. 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 barncancervården 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 Barnleukemibankbanken 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.

Om barncancer

Barncancer är ett samlingsnamn för många olika sällsynta diagnoser som drabbar barn från spädbarnsålder 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.

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 barn.⁵
- 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. Det pågår mycket forskning kring möjliga medfödda orsaker.
- Barn är inte 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.

Därför behövs forskning specifikt om barncancer. 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 på barnets normala utveckling. Det ställer höga krav på långtidsuppföljning, och behovet ökar i takt med att fler överlever.

⁵ Svenska Barncancerregistret, SBCR