

Skriftligt inspel till S 2022:04 Hälsodata som nationell resurs för framtidens hälso- och sjukvård

Bakgrund:

Barncancerfonden överlämnar nu skriftliga inspel till utredningens sekretariat efter ett första Informationshämtande möte den 27 september 2022. Inspelet fokuserar särskilt på barnperspektivet i relation till sekundäranvändning av hälsodata. Presentationen från Barntumörbanken finns som bilaga till dokumentet.

Om barncancer och Barncancerfonden:

Varje dag insjuknar ett barn i cancer i Sverige. Tack vare framgångsrik forskning har femårsöverlevnaden ökat från 50 procent i början på 1980-talet till 85 procent i genomsnitt i dag. Trots denna positiva utveckling återstår svåra medicinska frågor och barncancer är fortfarande den vanligaste dödsorsaken för barn mellan ett och fjorton år.

Av de barn som överlever sin cancer så drabbas 70 procent av sena komplikationer, 30 procent av dessa får svåra besvär. Fysiska och kognitiva funktionsnedsättningar, förvärvade hjärnskador, infertilitet, hjärtsjukdomar, sekundärcancer och psykisk ohälsa är komplikationer som kräver omfattande, ofta livslånga insatser från hälso- och sjukvården. Komplikationerna påverkar i olika grad möjligheten att återgå till skolan och senare ta klivet ut i arbetslivet.

Barncancerfonden är en stöd- och påverkansorganisation som arbetar för att varje barn och familj ska kunna leva ett gott och långt liv. Vi gör det genom att finansiera forskning och viktiga forskningsinfrastrukturer samt stödfunktioner inom vården. Dessutom utvecklar Barncancerfonden verksamheter och testar nya former av stöd till drabbade barn och familjer. Ett särskilt prioriterat område är att stötta forskning som bidrar till utvecklingen av nya, skonsammare läkemedel med fokus på diagnoser som i dag saknar tillfredställande behandling och för att minska sena komplikationer efter barncancer.

Sammanfattning av Barncancerfondens ställningstagande:

Bättre tillgång till hälsodata och möjlighet till sekundäranvändning är avgörande för att svenska barncancerpatienter ska få tillgång till bättre och mer skonsam behandling och vård både i dag och på sikt. Möjligheten att dela och analysera hälsodata nationellt – och internationellt när det är lämpligt – är särskilt viktigt för små patientgrupper, så som barncancerdrabbade.

Sveriges långa tradition av insamling av hälsodata skapar fantastiska förutsättningar att vara ledande i införandet av precisionsmedicin och i omställningen till en datadriven hälso- och sjukvård. I dag finns dock både juridiska och tekniska hinder för att säkerställa optimal användning och maximal nytta från insamlade hälsodata, samtidigt som den tekniska utvecklingen går fort fram. Konkreta exempel som drabbar vår målgrupp är svårigheterna att dela data mellan olika huvudmän samt över region- organisations- och nationsgränser, vilket försvårar både vård av den enskilde och forskning i dag och på sikt.

För att insamlade hälsodata ska skapa värde och nytta för patienter, hälso- och sjukvården, forskare och läkemedelsindustrin, samtidigt som patientens integritet tas i beaktning så krävs:

- En uppdaterad lagstiftning som är tydlig, har ett barnperspektiv och som stärker patientens rättigheter.
- Bättre juridiskt stöd i samband med tillämpning av regelverk och lagstiftning.

- Långsiktig finansiering och kvalitetssäkring av insamlad av både registerdata och egenrapporterade hälsodata.
- Förbättrade möjligheter för medborgare att på egen hand få inblick i hur och till vad deras hälsodata används, samt en möjlighet att avbryta medverkan om så önskas.
- Insatser för att säkerställa motståndskraftiga och säkra plattformar och/eller IT-infrastruktur för hälsodata för att garantera medborgares förtroende och vilja att dela hälsodata i dag och i framtiden.
- Kunskapsstöd till register och andra plattformar som vill utvecklas för att bättre möta dagens och framtidens behov av datadelning och datasäkerhet.

Om barnperspektivet och hälsodata:

Stärkta möjligheter till sekundäranvändning av hälsodata är livsviktigt. Det banar väg för livsavgörande forskning och införandet av precisionsmedicin och andra innovationer på bred front i Sverige. Det är särskilt viktigt för de barn som drabbas av barncancerdiagnoser, eller andra sällsynta sjukdomar, som saknar botande behandling och för att minska sena komplikationer efter barncancer. Samtidigt anses personuppgifter om barn vara särskilt skyddsvärda i dataskyddsförordningen.¹

Barncancerfonden ser därför att det är **dubbelsidigt att dela och använda barns hälsodata:**

- Barn *måste* dela sina data för att vi ska kunna utveckla nya, skonsammare och säkra behandlingar.
- Det innebär dock *extra besvärliga etiska perspektiv* när det kommer till datadelning.

Till exempel så sparas ett barns data över längre tid i relation till barnets förväntade levnad, vilket innebär frågeställningar om hur dessa data kan komma att användas på sikt. En uppdaterad lagstiftning behöver därför ta höjd för framtida användningsområden och teknikutveckling, samtidigt som barnets integritet skyddas både i dag och i framtiden.

Enligt Barnkonventionen så ska det som bedöms som **barnets bästa beaktas vid alla åtgärder som rör barnet.**² **Barnet har rätt till delaktighet** utifrån ålder och mognad.³ I praktiken innebär det rätt till anpassad information, rätt att komma till tals och bli lyssnad på samt rätt till inflytande och självbestämmande. Detta bör genomsyra all kontakt mellan vård och omsorg och barnet, inklusive i relation till insamling och hantering av hälsodata inom vården. Två områden som är särskilt värt att belysa är samtycke i relation till insamling och delning av barns hälsodata och rätten till anpassad information:

- I dag sparas och delas barnets hälsodata ofta baserat på medgivande från barnets vårdnadshavare. Barncancerfonden anser att **barnets möjlighet till eget samtycke behöver säkras i dag och i framtiden, särskilt i relation till nya ändamål för sekundäranvändning.** Baserat på barnets mognad, men senast i samband med att barnet når myndighetsålder, bör barnet mycket tydligt informeras om sin rätt att ta tillbaka vårdnadshavarnas samtycken, exempelvis i relation till fortsatt användning av hälsodata för exempelvis forskning, innovation och utveckling. Samma information bör upprepas i samband med vårdkontakter senare livet. För patienter med en historia av barncancer så bör det exempelvis ske i samband med besök hos

¹ Europaparlamentets och rådets förordning (EU) 2016/679. Dataskyddsförordningen. Artikel 6.

² United Nations Children's Fund (UNICEF) (1989). Barnkonventionen. Artikel 3.

³ United Nations Children's Fund (UNICEF) (1989). Barnkonventionen. Artikel 12.

uppföljningsmottagningen för vuxna efter barncancer.⁴

Möjligheten att ge eget samtycke, eller återkalla en vårdnadshavares medgivande, är särskilt viktigt när det handlar om känsliga personuppgifter som kan vara grund för diskriminering på arbetsmarknaden eller i kontakt med banksystemet och försäkringsbolag. Detta är ett prioriterat område inom EUs cancerplan⁵, som nu genomförs i Sverige med Socialstyrelsen som ansvarig myndighet.

- **Tydlig och anpassad information om insamling, hantering och ägandeskap av hälsodata är särskilt viktigt när det gäller barn.** Barnet/ungdomen, och senare som vuxen och före detta barncancerpatient, bör vid lämpligt tillfälle och på ett anpassat sätt få information om hur dennes hälsodata används. Det är viktigt i och med att barns hälsodata har potentialen att lagras över lång tid, samtidigt som teknikutvecklingen går snabbt fram och nya användningsområden för hälsodata kan tillkomma över tid. Förbättrad information har potentialen att dels öka patientens egen delaktighet, dels säkra förtroende och tillit till vården och forskningen i relation till insamling, hantering och användning av hälsodata.⁶ Särskilda insatser bör genomföras för att säkra att även barn omfattas av initiativ som syftar till att stärka patientperspektivet i vidareutveckling av hälsodataområdet.

Vikten av internationell utblick – särskilt när det kommer till läkemedelsforskning:

Ett område där sekundäranvändning av hälsodata är särskilt viktigt är i utvecklingen av nya och skonsamma behandlingar. Trots stora medicinska framsteg och framgångsrik forskning på barncancerområdet så kvarstår faktumet att 15 procent av de barn som drabbas av cancer dör som följd av sin sjukdom. Dessutom drabbas 70 procent av de som överlever av sena komplikationer, däribland förvärvade hjärnskador, hormonstörningar och infertilitet. Utveckling av nya läkemedel och behandlingar har potentialen att säkra dels högre överlevnad för de diagnoser som saknar tillfredställande behandling i dag, dels bättre livskvalitet och mindre omfattande konsekvenser efter barncancer.

Sverige är ett litet land med ett litet patientunderlag. Det blir ännu mer påtagligt när det handlar om sällsynta hälsotillstånd, däribland barncancer. Stärkta förutsättningar för kliniska läkemedelsprövningar är av yttersta vikt för att säkra att fler svenska patienter omfattas av kliniska studier. Två viktiga steg är att noggrant bevaka utvecklingen på EU-nivå för att förebygga dubbelreglering, samt se över möjligheterna för en sammanhållen infrastruktur för hälsodata på nationell nivå. På samma sätt bör även möjligheten att dela hälsodata över landsgränser, både inom EU och tredje land, ses över. Barncancerfonden ser positivt på att dessa frågor direkt och indirekt adresseras av flertalet pågående utredningar och myndighetsuppdrag.

Likt behovet av ett generellt barnperspektiv i relation till sekundäranvändning av hälsodata, ställs särskilda krav på insamling och användning av hälsodata inom ramen för läkemedelsutveckling när patienturvalet består av barn:

- **Både barnet och läkemedlet behöver följas över lång tid.** När patienten är ett barn så är tidsspannet för när komplikationer kan uppstå längre än för vuxna, vilket ställer särskilda krav på långtidsuppföljning. Uppföljningsprocessen, inklusive insamling, delning och analys av hälsodata, måste anpassas utifrån detta. Ett konkret exempel är

⁴ I dag finns uppföljningsmottagningar för vuxna efter barncancer vid samtliga sex regionala barncancercentra. Mottagningarnas uppdrag är dels att agera kunskapscentrum mot patienter, närstående och andra vårdinstanser, dels samordna patientens långtidsuppföljning, t.ex. genom remittering till specialistmottagningar. Mer information om uppföljningsmottagningarna finns att läsa i Nationellt Vårdprogram för långtidsuppföljning efter barncancer: [Nationellt vårdprogram Långtidsuppföljning efter barncancer \(cancercentrum.se\)](#)

⁵ European Commission (2021), Europe's Beating Cancer Plan, s. 20

⁶ Vinnova (2022), Sammanfattning – Patientens röst om hälsodata, s. 14

de nya ATMP-läkemedlen där långtidsbiverkningarna är i stort sett okända.

- **Rätt data måste samlas in – och i rätt tid.** Vilken data som är relevant att samla in utveckling, uppföljning och utvärdering av läkemedel är i många fall inte densamma för barn och vuxna. Ett barns kropp utvecklas, vilket ofta innebär andra former av biverkningar och komplikationer på både kort och lång sikt. Standardisering av inhämtning av personuppgifter behöver därför ta höjd för barns särskilda behov.

Data behöver även samlas in under läkemedels hela livscykel dels för att undvika dubbelarbete, dels för att säkerställa att nya läkemedel snabbare når patienter. Om långtidsuppföljning planeras i tidigt skede, exempelvis redan i samband med att de första patienterna rekryteras till en tidig studie, så minskar risken för att studier behöver göras om. På så sätt säkerställs även att rätt data och uppgifter finns tillgängliga när regulatoriska myndigheter, exempelvis Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA), kräver dessa för att kunna godkänna ett läkemedel.

- **Behov av ökad harmonisering av regulatoriska myndigheters bedömning av (hälso)data.** I dag bedömer ofta nationella regulatoriska myndigheter och EMA samma data olika. Som följd av att nationella myndigheterna inte bedömer evidensen om tillräckligt hög för att motivera ett högt pris så når inte godkända läkemedel patienter. Det är särskilt påtagligt i samband med nya, innovativa terapier för små patientgrupper. Det bidrar till ojämlikhet mellan EU-länder, samtidigt som patienter – ofta med sjukdomar som saknar tillfredställande behandling – inte får tillgång till potentiellt livsförändrande behandling.
- **Vissa former av uppföljningen kräver att data inte är anonymiserad.** Regulatoriska myndigheter på både EU och nationell nivå är ibland i behov av data som inte är anonymiserad för att kunna utvärdera och följa ett läkemedels effekt och säkerhet. Exempelvis så är det viktigt för att utvärdera om en eventuell biverkning beror på behandlingen i sig, eller en bakomliggande orsak. Det ställer andra typer av krav på informationssäkerhet i delning och lagring av hälsodata. Just nu pågår ett tvåårigt pilotprojekt om rådata från kliniska provningar inom EMA.⁷

Om Barntumörbanken:

Barntumörbanken är en nationell provsamlings och forskningsresurs för solida tumörer vid Karolinska Institutet som grundades 2011. Med finansiellt stöd från Barncancerfonden⁸ så samlas tumörvävnad och blodprov från cancersjuka barn i hela Sverige i en gemensam biobank. Även föräldrars blod insamlas. Till en början omfattades hjärntumörer och övriga neurala tumörer som neuroblastom. Övriga solida tumörer, däribland sarkom, tillkom 2015. Barntumörbanken får prover från omkring 90 procent av alla barncancerpatienter med solida tumörer.

Utöver insamling av vävnadsmaterial så utför Barntumörbanken även helgenomsekvensering och ytterligare storskaliga molekylärgenetiska forskningsanalyser av biobanksproverna. Dessa genererade data är av stor betydelse för en rad frågeställning om exempelvis barntumörers biologi, uppkomst, progression, respons på behandling samt ger kunskap för att utveckla nya riktade läkemedel, identifiera nya prognostiska markörer, möjliggör förfinad diagnostik och ökad förståelse för eventuell ärftlig cancer. Alla provgivare samtycker till provinsamling och till provernas (samt kopplade patientuppgifter såsom diagnos) användning för forskningsändamål, i enlighet med Barntumörbankens etiktillstånd.

Karolinska Universitetssjukhuset (K) är huvudansvarig forskningshuvudman och Stockholms medicinska biobank är ansvarig biobank för provsamlingsen. Biobanksproverna och/eller

⁷ European Medicines Agency (2022), [EMA launches pilot project on analysis of raw data from clinical trials | European Medicines Agency \(europa.eu\)](https://www.ema.europa.eu/en/press/news/2022/10/12/ema-launches-pilot-project-on-analysis-of-raw-data-from-clinical-trials)

⁸ Barncancerfondens verksamhetsanslag till Barntumörbanken för 2022 uppgår i 19 miljoner.

analys/patientdata kan delas med andra forskningsprojekt med giltigt etikillstånd efter godkänd ansökan och formell prövning. Med avseende på utlämnade av data innebär det att dessa värdefulla vävnadsprover kan räcka längre, då eventuella "dubbelanalyser" i olika projekt undviks, och att forskningsresultaten kan komma snabbare, samtidigt som det sparar tid och pengar för forskare. Barntumörbanken samarbetar och ger service till flera kliniska studier inom barncancerfältet samt är även en av initiativtagarna till och en grundbult för satsningen på barncancer inom Genomic Medicine Sweden (GMS).

Detta innebär att Barntumörbanken har praktisk erfarenhet av de tillämpningssvårigheter som följer nuvarande lagstiftning, däribland:

- **Avsaknad av tydliga riktlinjer och information gör det svårt att veta hur man gör rätt i de processer som berör sekundär användning av hälsodata** och personuppgiftshandling. Därtill är processen resurskrävande, vilket försvårar ytterligare för mindre verksamheter så som Barntumörbanken.
- **Nuvarande lagstiftning möjliggör skillnader i tillämpning, vilket blir ännu mer påtagligt när projekt omfattar olika forskningshuvudmän.** Samt oklart hur "tertiär användning" av data ska hanteras, aktuellt för de studiedata Barntumörbanken/K kan få utlämnat till sig från en studie/forskningshuvudman och sedan kunna utlämna vidare till ny studie/forskningshuvudman, detta då rörande data härrörande från/kopplat till biobanksproverna.
- Det finns **stora oklarheter vad som gäller när det kommer till att utlämna hälsodata till tredje land och privata aktörer.** Även oklart vilka uppgifter som kan få bli publika och hur det ska göras.

Ett konkret exempel på hur detta påverkar det dagliga arbetet är att det tog totalt 1,5 år att färdigställa samarbetsavtal och datadelningsavtal mellan de parter som omfattas av pilotprojektet om Barncancer inom GMS. För detta projekt finns också den begränsade svårigheten att inom sjukvården tolka resultaten från de genomiska analyserna då man med nuvarande lagstiftning inte nationellt kan samla information om patientuppgifter/tidigare gjorda kliniska fynd som skulle vara väldigt värdefullt att kunna jämföra mot för bästa förståelse av en enskilds patients sjukdom. Mer information om Barntumörbankens erfarenheter finns i bilaga 1.

För mer information, kontakta:

Sol Engvall
Intressepolitisk expert
E: sol.engvall@barncancerfonden.se
T: 076-721 03 23

Bilaga 1: Powerpointpresentation från Johanna Sandgrens anförande under informationsinhämtningsmöte mellan utredningens sekretariat, Barncancerfonden och Barntumörbanken

Barntumörbanken (BTB) - forskningsresurs för barncancer

- Samordnande långsiktigt forskningsprojekt med etikklisstånd och forskningspersonsinformationer/samtyckesblanketter, vid K/U/K
- Provsamling, och forskningsanalyser (genetiska data - känsliga personuppgifter), för också framtida användning, i etikgodkända projekt
- Forskningsresurs: Tillgängliggöra biobanksprov och genomiska data till forskningsprojekt inom barncancer, efter granskning. Även service/samarbete
 - Vetenskaplig bedömning (och tillgångsbedömning)
 - Medicinska granskning, etikklisstånd - menprövning, beslut av FH för PU, för prover, beslut av ansvarig biobank. Upprättande av avtal

Frågor/roblem/ökligheter:

- Göra rätt i dessa processer om sekundäranvändning av data och personuppgiftshandling - riktlinjer/information. Resurskrävande för liten verksamhet
- Utlämnas data - Menprövning: nu vissa riktlinjer från FH (Karolinska Universitetssjukhuset (K)) - förenligt med etik, ej för omfattande, relevant, vem begär, användning, säkerhetsåtgärder, underifrån, pseudonymiserad, variabelista, patients inställning
 - Bedömningar, avtal - DTA
 - Tog tid (över 2 år) få detta på plats för BTB lokalt, mellan K - K, Uppdragsavtal/PUB/MTA upprättade först efter lyft till hög organisationsnivå. Ansvar och rutin för datautlämningsprocess vid K
- Etikklisstånd - risk/nyta med projekt, information rörande handtering av PU kan vara bristfällig - mer information från FH/EPM mfl vad som behöver finnas med och hur det ska hanteras inom projektet (NBC öra för biobanksprov, för PU/FH)
- Utlämnas PU vidare - BTB (K) får data/uppgifter utlämnade till sig från en studie/FH (framgå i båda etikklisstånden - hur detaljerat?), BTB/K då PU - kan utlämnas vidare till annan studie efter prövning. Skyddslister mot forskningsresurs som samtyckt till ursprunglig studie, map datahantering, Om samtycke dras tillbaka? (viktigt kunna spara vardetult biobanksmaterial och resurser - inte analysera igen utan återanvända data istället, men med hänsyn till personlig integritet)
- Samköra studier/register - BTB och Svenska Barncancerregistret: BTB's service till olika studier - måste också regleras hanterat uppgifter för den studien (etik och PUB) även om samma uppgifter/prover BTB hanterar vid K för egen verksamhet/studie - rör samma forskningspersoner
- Utlämnas till tredje land och privata aktörer
- Feasability /screening- vad gäller vid frågan inför forskningsprojekt och etkans ökan / menprövning - vilka uppgifter kan delas? Bara aggregerade- minst 5 fall?
- Publicering, där finns enskilda uppgifter, så som beskrivet i etkans ökan, men då pseudonymiserat och inte identifierbart
 - rådata till teckrifer/sökbara databaser - Svenska EGÅnnden - BTB dataprojekt för dem
- Lagring av data - Infrastruktur: säkerhet - funktion (dela data) - kapacitet (storskaliga data)
 - Federated- men vem bygger/finansierar, vem får använda? För enskild forskargrupp/enhet svårt
- GMS- behov av varantdatabas för tolkning av genetiska resultat inom sjukvården - För studien: samarbetsavtal och datadelningsavtal, 12 parter - laga över 13 år aldränsställa

