

Precisionsmedicin och precisionshälsa ur ett barncancerperspektiv. Nuläge, utmaningar och vägar framåt.

Detta dokument är en uppföljning av det dialogmöte om precisionshälsa som genomfördes den 9 oktober i riksdagen med fokus på de fyra frågor som ställdes i inbjudan och inleds med en beskrivning av nuläget inom barnonkologin.

Definitionen av precisionshälsa

Inom barnonkologin pratar man oftare om precisionsmedicin än precisionshälsa då det senare begreppet innebär att även prevention inkluderas. Barncancer orsakas inte av livsstilsfaktorer och även om cirka 10 procent kan förklaras av en så kallad nedärvd predisposition, dvs en ökad risk för att utveckla cancer under barndomen så säger man inte heller att barncancer är ärftligt. Därför talar vi inte om prevention på samma sätt som inom vuxenonkologin. Däremot är det relevant att tala om sekundärprevention.

Sekundärprevention handlar om att upptäcka sjukdom tidigt eller förebygga komplikationer hos personer med ökad risk. Den helgenomsekvensering som nu är införd inom barnonkologin kan inte bara avslöja genetiska förändringar som ökar risken för återfall eller sekundära tumörer, utan även identifiera barn som har en genetisk känslighet, till exempel för cytostatika. Denna kunskap gör det möjligt att anpassa behandlingen, förebygga sena komplikationer och ge varje barn en bättre chans till ett långt och hälsosamt liv efter cancer.

Målet - öka överlevnaden och minska de sena komplikationerna

Sverige har en barncancervård i världsklass och 85 procent överlever sin diagnos tack vare möjligheterna till avancerad behandling och god omvårdnad. Men trots det dör ett barn i veckan och tre av fyra överlevare får sena komplikationer som påverkar livet och livskvaliteten. En tredjedel av dessa komplikationer är dessutom allvarliga och till och med livshotande. För att öka överlevnaden och minska de sena komplikationerna så behövs nya behandlingar och läkemedel som mer målriktat kan behandla cancer och på så sätt vara skonsammare mot resten av kroppen. Och här väcker nu både



immunoterapier och precisionsläkemedel stora förhoppningar inom det barnonkologiska området

Barncancer är ett område där medicinska framsteg bokstavligen räddar liv – men där varje framsteg också måste mätas i livskvalitet, långsiktiga effekter och jämlik tillgång till vård. Den senaste tidens molekyllärgenetiska upptäckter öppnar nya möjligheter till individanpassad och målinriktad behandling i form av innovativa läkemedel, ny medicinteknik samt skräddarsydda kombinationer av behandlingar som kan utvärderas tack vare nya biomarkörer. Precisionsmedicin har potential att revolutionera barncancervården genom att erbjuda individanpassad diagnostik och behandling, vilket kan minska sena komplikationer och förbättra överlevnaden.

Status och nuläget för precisionsdiagnostik inom barnonkologin

Sverige har tagit ett viktigt steg mot införandet av precisionsmedicin inom barnonkologisk vård genom införandet av precisionsdiagnostik. Införandet startade som en pilot 2022, och är sedan 2024 är en del av rutinsjukvården. En förutsättning för att precisionsdiagnostik nu ska leda till klinisk nytta inom barncancerområdet är dock att tillgången på precisionsläkemedel för barn ökar.

Piloten och införandet av precisionsdiagnostik kunde genomföras tack vare extern finansiering från Barncancerfonden men också genom statliga medel från Socialdepartementet.

Barncancerfonden har totalt bidragit med 39 miljoner kronor med start 2019 (2019 fick Barntumörbanken ett anslag på 15 miljoner och GMS Barncancer har ett strategiskt anslag på 24 miljoner från Barncancerfonden under fem år, 2022–2026).

Socialdepartementet har finansierat projektet GMS Barncancer med lite över 26 miljoner (8,5 miljoner 2021 samt 7,875 miljoner 2022, och 2023 ytterligare 10 miljoner).

Dagens finansiering

Den finansiering av helgenomsekvensering vid barncancerdiagnos som sker idag vid landets sex barncancercentrum (BCC) är endast vid ett fåtal centra inbakad i den ordinarie budgeten för precisionsmedicin. Vid övriga BCC finansieras precisionsdiagnostik fortfarande via från externa medel eller anslag.

Utveckling och finansiering av fler infrastrukturer för precisionsmedicin

Barncancerfonden har länge varit en pådrivande aktör, finansiär av och aktiv samarbetspartner i utvecklingen av precisionsmedicin inom barncancer, till exempel



genom samverkansprojektet [GMS Barncancer](#), innovationsprojektet [BrainChild](#) och forskningsdatabasen [BarncancerBaSe](#).

Nyttan som projektet GMS Barncancer och sedan implementeringen av helgenomsekvensering i rutinsjukvården bidragit med

I oktober 2025 har snart 1000 barn sekvenserats. Den första analysen av en 300-kohort har sedan förstärkt av samma analys av en 500-kohorten (opublicerade data 2021–2024). Enkelt uttryckt visar analyserna att:

- WGST/GMS-analyserna ger klinisk information för över 90 % av patienterna (486/521)
- Man fann information utöver det man fann vid äldre standardanalyser hos cirka 60%
- Man fann ett potentiellt behandlingsmål hos över 30%
- Endast hos 7% ändrade fynden behandling. Att behandlingen inte ändras för fler beror på att det finns för få precisionsläkemedel tillgängliga för barn samt för få kliniska studier där barn kan inkluderas.

Nedan följer svaret på de fyra frågor som skickades inför dialogmötet.

1. Aktuella frågor inom precisionshälsa och framtida utveckling.

Idag erbjuds helgenomsekvensering till alla barn med cancer vid diagnostillfället, ett första och viktigt steg mot precisionsmedicin och precisionshälsa. Genom att kartlägga hela arvsmassan kan sjukvården identifiera genetiska förändringar som påverkar sjukdomsförlopp och behandlingssvar. Kännedomen om specifika genetiska förändringar ökar inte bara möjligheten för barnen att få tillgång till riktad behandling och bättre prognos, utan också möjligheten att delta i relevanta kliniska prövningar. Även avvikelser som till exempel extra känslighet mot cytostatika kan hittas och behandlingen anpassa.

Frågor som behöver hanteras för att säkra införandet av precisionsmedicin inom barnonkologin är:

- **Fortsatt säkrad finansiering av precisionsdiagnostik och följsamhet till ambitionen att alla ska sekvenseras (där så är möjligt)**
Vikten av att alla barn som diagnosticeras med cancer även efter pilotens

avslutande sekvenseras är stor. En så fullständig täckningsgrad som möjligt i biobanker och register behövs, både för fortsatt utveckling av precisionsbehandling och för framtida forskning. De hälsodata som samlas in måste också vara tillgängliga för både primär och sekundär användning.

- **Jämlig tillgång till precisionsläkemedel för patienter i alla åldrar**

En avgörande faktor att precisionsmedicin ska bli verklighet inom barncancervården är att tillgången till fler målinriktade läkemedel ökar.

Nya terapier som är tillgängliga inom vuxenonkologin blir i ökande utsträckning tillgängliga för barn via kliniska läkemedelsprövningar, men inte i den takt som behövs. Endast 29 av 186 cancerläkemedel som godkändes av EMA mellan 1995–2022 har en pediatrik indikation, och det tar i snitt över sex år innan ett läkemedel som godkänts för vuxna utökas till att också inkludera barn. Denna fördröjning är särskilt allvarlig för barn med svårbehandlad cancer och barn som får återfall.

- **Ökat deltagande i kliniska prövningar**

Ett sätt att få tillgång till läkemedel innan de är godkända för användning är att delta i kliniska internationella läkemedelsprövningar. Här behöver Sverige kunna erbjuda förutsättningar som gör att läkemedelsföretagen vill bedriva forskning i landet men också tillåta och finansiera att barn i svensk sjukvård kan få delta i studier utanför Sverige.

- **Delning av hälsodata för såväl vård som forskning**

Barncancer är över 100 olika diagnoser varav många sällsynta. För att precisionsmedicinsk behandling ska kunna utvecklas behöver hälsodata kunna användas - delas och analyseras - såväl nationellt som internationellt. Populationen av barn drabbade av cancer är för liten för att utvecklingen av precisionsmedicin ska kunna göras inom ett enskilt land och fortsatt utveckling av internationella forsknings- och vårdsamarbeten är av stor vikt.

- **Användning av AI-stödd analys av hälsodata**

För att kunna utveckla precisionsmedicin behövs stora mängder hälsodata – alltså information från journaler, provsvar, diagnoser, behandlingar och register – som kan analyseras och jämföras. Därför är utvecklingen av AI-stödd analys av hälsodata central för arbetet med precisionsmedicin, särskilt inom barncancervård och -forskning, där patientgrupperna är små och varje datapunkt viktig. När data kan samlas och analyseras i större skala går det snabbare att

utveckla behandlingar som räddar liv och minskar risken för sena komplikationer.

Projektet BrainChild, initierat av Barncancerfonden, samlar genetiska, kliniska och bilddata, för att med AI-stödd analys kan förutsäga behandlingssvar, biverkningar och återfall. Genom att i ett första skede koppla samman Barntumörbankens genetiska data med kliniska uppgifter från Svenska Barncancerregistret (SBCR) och barnets journal samt digitala patologi- och röntgenbilder, skapas en helhetsbild av varje barns cancerprofil. I ett senare skede kan samma plattform även användas för genetiska data i Barnleukemibanken. Projektet är i nationell och internationell jämförelse ett långt framskridet exempel på hur en dataplattform kan byggas med stöd av AI och säkra datalager, men är beroende av säkerställd finansiering och rätt kompetensförsörjning.

2. Nationell samordning – behov och möjligheter

Barncancer är ett samlingsnamn för ett stort antal diagnoser, många vilka är sällsynta. För att möjliggöra forskning och jämlik vård krävs nationell samordning men, som tidigare konstaterats, också internationell samverkan. Att barncancerområdet kunnat implementera precisionsdiagnostik beror på att det redan från start finns en nationell samordning, via vårdplaneringsgrupper och nationell multidisciplinär konferens, MDK, och nu under oktober så förstärks denna struktur med en nationell molecular tumour board, MTB. Också andra initiativ som NAG Barncancer och dess arbetsgrupper bidrar till att utvecklingsarbete redan från start görs nationellt. Också de nationella utbildningar som Barncancerfonden finansierar bidrar till jämlik kompetensutveckling.

- **En nationell strategi för precisionsmedicin**

Barncancerfonden menar att Sverige bör inspireras av Danmark som i september 2025 införde sin tredje nationella strategi för individualiserad behandling i Danmark. Den första som infördes 2016 och hade liksom den andra (2021) stort fokus på helgenomanalyser. ([Strategi for personlig medicin 2025 – 2027](#)).

- **Ett nationellt precisionsdiagnostiskt nätverk som inkluderar forskning**

Behovet av ett nationellt precisionsdiagnostiskt nätverk där strategisk forskning integreras (både akademisk och företagsinitierad) är stort. För att ett sådant nätverk ska få verklig effekt, särskilt för patienter med sällsynta sjukdomar, behöver uppdraget - förutom att utgå ifrån vårdperspektivet - även inkludera forskning och samverka med fler aktörer utöver vårdens diagnostiska enheter.



Det är särskilt viktigt att ovanliga diagnoser, som barncancer, lyfts fram så att de kan prioriteras i framtida forskningssatsningar. Satsningen SweTrial behöver också följa utvecklingen inom kliniska prövningar för sällsynta diagnoser och små patientpopulationer såsom barn.

Goda möjligheter till säker och ändamålsenlig delning av data är helt avgörande för att ett nationellt precisionsdiagnostiskt nätverk ska kunna fungera effektivt. Barncancerfonden vill se ett nationellt nätverk som bidrar till att bygga ett nationellt register för genetiska data (så kallade omicsdata). Ett sådant register kan både hjälpa vården att ge rätt behandling till varje patient och vara ett kraftfullt verktyg för forskning, både i Sverige och internationellt.

- **Ett program för jämlikt införande av implementering av precisionsmedicin som inkluderar forskning**

Barncancerfonden vill se ett program för ett samordnat och jämlikt införande av precisionsmedicin genom biomarköranalyser för de patientgrupper som har störst nytta av det, likt det som föreslås i *Bättre tillsammans - Förslag till en uppdaterad nationell cancerstrategi* (Dnr. S2024/02100). Och vi menar att forskning måste inkluderas i ett sådant program.

Det finns flera områden, särskilt inom barncancer, där det idag saknas tillräcklig forskning, evidens eller internationella rekommendationer – trots att vårdbehovet är stort. Om forskning inte integreras i programmet riskerar vi att missa möjligheten att utveckla nya behandlingar och att omicsdata från precisionsdiagnostik inte används fullt ut.

- **Inkludering och synliggörande av barn i offentlig statistik**

Idag saknas tillräcklig statistik för barn med cancer, vilket gör det svårt att följa upp och utvärdera effekterna av viktiga satsningar och initiativ. Detta är ett återkommande problem som vi har påtalat i flera sammanhang, inte minst i samband med uppdateringen av den nationella cancerstrategin. För att kunna göra internationella jämförelser behöver statistiken tas fram och publiceras på samma sätt inom EU.

3. Utmaningar i implementeringen

Trots framstegen inom barnonkologin och den nationella implementeringen av precisionsdiagnostik finns flera strukturella utmaningar och hinder för att den fulla potential som precisionsmedicin innebär kan realiseras:

- **Att helgenomsekvensering kan göras både för forsknings- och vårdbehov – men betalas via olika budgetar**

Hälso- och sjukvården är inte beredd att finansiera helgenomsekvensering enbart för forskningsbehov. Om ett barn inte bedöms ha nytta av resultatet av en helgenomsekvensering menar man att det bör finansieras av forskningsmedel. Om detta inte kan göras riskerar vi att få en lägre och sämre täckningsgrad i de infrastrukturer för forskning som behövs för den fortsatta utvecklingen av precisionsmedicin och uppföljning av insatt behandling.

- **Otillräcklig tillgång till läkemedel för barn**

Uppskattningar visar att nära hälften av de läkemedel som idag används inom barnonkologin inte är utprovade och anpassade till barn (så kallad off-label användning). I många fall används läkemedel som tagits fram för vuxna, i doser som anpassats utifrån klinisk erfarenhet. Incitamenten för läkemedelsindustrin att pröva och utveckla läkemedel för barn behöver utvecklas. Också incitamenten för så kallad repurposing behöver stärkas.

- **Brist på kliniska prövningar och inkludering av barn**

Antalet prövningar fortsätter att minska i hela västvärlden. Det kan innebära att barn i Sverige inte kan ta del av de internationella kliniska läkemedelsprövningar som kan vara ett sätt att få testa de nyaste och mest avancerade läkemedlen. Regeringens satsning på SweTrial för att skapa en struktur för kliniska prövningar är ett viktigt steg, men satsningen, liksom andra initiativ centrala för utveckling och implementering av precisionsmedicin och precisionshälsa, måste inkludera barn.

Incitamentet för att introducera ett läkemedel i ett land där det inte prövats kan också minska och hälso- och sjukvården missar ett viktigt tillfälle att förbereda sig och kompetensutveckla personal för de nya behandlingar som kommer.

- **Hälsodata och juridik**

För att kunna nyttja den fulla potentialen av de nya möjligheter som molekyllärgenetiska upptäckter öppnar upp så måste både vård och forskning kunna dela data på ett ändamålsenligt sätt, både inom landet och internationellt. Juridiska, organisatoriska och tekniska hinder för delning av hälsodata bromsar utvecklingen. Detta är särskilt allvarligt inom barncancerforskningen, där patientgrupperna är små och varje datapunkt viktig.

- **Regional finansiering av läkemedel**

Dagens modell, där beslut om och finansiering av läkemedel ligger på regional nivå, leder till variationer i tillgång till läkemedel och behandling. Något som är tydligt inom vuxencancerområdet. Om nuvarande finansieringsmodell fortsätter att gälla innebär den en risk för att den idag relativt jämlika barncancervården kan gå samma väg, då den nya avancerade terapier som nu forskas fram kommer att betinga högre kostnader än dagens rutinbehandlingar (kirurgi, strålning och cytostatika).

- **Kompetensförsörjning**

Den precisionsmedicinska utvecklingen och den snabba utvecklingstakten förutsätter tillgång till en bred kompetensbas i hela hälso- och sjukvårdssystemet, liksom inom barnonkologin specifikt. Förutsättningarna behöver stärkas. Resurser för att möta ambitionsnivån inklusive bemanning av rätt kompetenser och sakkunskap samt utbildning och kompetensutveckling är avgörande.

- **Stöttande infrastrukturer**

Idag betalar Barncancerfonden samtliga infrastrukturer som är viktiga för forskning och utvecklingen av precisionsmedicinsk behandling inom barncancerområdet. Det innebär finansiering av bägge biobankerna (leukemi respektive solida tumörer) samt kvalitetsregistret för barncancer. Det är inte lämpligt att dessa strukturer är helt beroende av extern finansiering.

Rekommendationer till regeringen och berörda aktörer

För att föra fältet framåt och säkerställa att barn inkluderas i utvecklingen av precisionshälsa föreslår vi följande:

- **Säkerställ finansieringen av precisionsdiagnostik.**
Bör ingå i regionernas ordinarie budget.
- **Säkerställ långsiktig finansiering av infrastrukturer för precisionsmedicin**
Förutom de infrastrukturer som Barncancerfonden finansierar är SciLife Lab och Genomic Medicine Sweden, GMS viktiga resurser för fortsatt utveckling av precisionsmedicin.
- **Accelerera arbetet med delning av hälsodata**
Barncancerfonden efterlyser ett tydligare samlat grepp kring delning av hälsodata accelerering av politiker på både nationell och regional nivå och en accelerering av arbetet. Det kan rädda liv och ge barn med cancer en bättre framtid.



Barncancerområdet kan utgöra pilot för säker internationell datadelning, i linje med EU:s mål att främja datadelning för sällsynta sjukdomar.

➤ **Nationell finansiering av (precisions)läkemedel**

Om vi ska ha en jämlik vård för Sveriges patienter inklusive barn med cancer måste alla ha samma tillgång till livsavgörande behandlingar – oavsett var de bor. Barncancerfonden vill därför se ett ökat statligt ansvarstagande för, om inte för all läkemedelsfinansiering, så för avancerade terapier och behandlingar där enskilda regioner inte ensamt klarar att bära fineringsansvaret. Vår utgångspunkt är att den modell som bäst kan ta hand om små populationer och sällsynta diagnoser ska förordas.

➤ **Säkerställ nya läkemedel och behandlingar för barn med cancer**

När det gäller tillgången till nya och godkända behandlingar så ligger barnonkologin efter vuxenonkologin. Barncancerfonden vill se tydliga målsättningar kring klinisk barnonkologisk forskning generellt, och kliniska läkemedelsprövningar som inkluderar barn och säkerställer att barn inte exkluderas från innovationsdriven forskning specifikt.

➤ **Regeringen bör verka för en uppdatering av EU Pharma Package**

Viktigt är att säkerställa att ett barnperspektiv finns med så. Ett exempel är att läkemedel som godkänts för vuxna snabbare kan omprövas för användning för barn genom så kallad repurposing.

➤ **Fler kliniska prövningar – öka Sveriges attraktivitet som prövarland**

Om vi har anpassat våra infrastrukturer för fler internationella samarbeten, såväl akademiska som företagens så kan vi öka vår attraktivitet som samarbetspartner.

➤ **Förtydliga statistikuppdraget för berörda myndigheter**

Det gäller Socialstyrelsen, Läkemedelsverket och Etikprövningsmyndigheten men också TLV bör följa utveckling och introduktion av läkemedel för barn (oavsett diagnos). SweTrial behöver också ta fram och utvärdera statistik över pediatrika området.

Stockholm den 23 oktober 2025

Kim Ramme, forskningschef

Vid frågor, vänligen kontakta:

Annakarin Svenningsson, intressepolitisk expert

annakarin.svenningsson@barncancerfonden.se