

Helsedirektoratet  
Divisjon for spesialisthelsetjenester  
[postmottak@helsedir.no](mailto:postmottak@helsedir.no)

Stab forskning, innovasjon og utdanning

Vår ref.:	Deres ref.:	Saksbeh.:	Dato:
2016/6876	16/7777-1	EBS	4.5.2016
Oppgis ved all henvendelse			

## Høring – nasjonal strategi for persontilpasset medisin i spesialisthelsetjenesten

Vi viser til Helsedirektoratets høringsbrev av 16.3.2016. Oslo universitetssykehus (OUS) har drøftet saken bredt internt og har i sakens anledning etablert en intern referansegruppe som har fulgt det nasjonale arbeidet. I tillegg har saken vært forelagt alle klinikker og sykehusets forskningsutvalg (der Universitetet i Oslo er bredt representert).

### Generelle kommentarer:

Persontilpasset medisin er et viktig område som kommer til å sette preg på den medisinske utviklingen i årene som kommer. Vi er nå i en fase der det er betydelig aktivitet innen feltet allerede, slik rapporten påpeker. **Vi mener det er svært viktig for helsevesenet å forberede seg på den utviklingen som raskt kommer, og at utkastet til strategi er for lite ambisiøst med tanke på tiltak og tid for implementering i helsevesenet.** På denne bakgrunn mener vi det er viktig at Helsedirektoratet snarlig følger opp strategien med konkretiserte handlingsplaner for de enkelte fagområder som berøres, og særskilt for arvelige enkeltgennykdommer, kreft og infeksjonssykdommer.

Vi anerkjenner at pasienter ikke har lovmessig rett til å delta i utprøvende diagnostikk og behandling. Imidlertid har helsevesenet et ansvar for å bidra til ny kunnskap og utvikling gjennom systematisk kunnskapsoppbygging innen et felt som akkurat nå er i svært rask utvikling.

En tydelig strategi for implementering av persontilpasset medisin er viktig for sentrale områder innen helsevesenet. Land som ligger langt fremme på området har derfor definert tydelige nasjonale prosjekter som viktige instrumenter for implementering. Vi mener dette feltet utvikler seg så raskt at det vil være fornuftig å starte med konkrete prosjekter innenfor helsevesenets prioriteringer for tilsvarende områder som det satses på i andre land. Dette ble også fremhevet i den forrige rapporten i regi av RHFene, der de tematiske hovedområdene var kreft, infeksjonssykdommer og arvelige enkeltgennykdommer. I tillegg bør det vurderes om også andre områder kan være aktuelle for oppstart (særlig farmakogenetikk og alvorlige psykiske lidelser). Fordelen med en slik tilnærming er en systematisk uttesting innbakt i helsevesenets apparat og prioriteringer, der dokumentasjon av effekter er en viktig del av

implementeringen av nye metoder og pasientforløp. Denne arbeidsmåten vil gi helsevesenet erfaring, og vi vil være raskere i stand til å ta imot utviklingen som kommer. Alternativet vil, de nærmeste årene, være mer tilfeldige samlinger av prosjekter, krevende finansiering og et fragmentert pasienttilbud på grunn av hovedsakelig søknadsbasert prosjektfinansiering.

Strategien peker videre på et stort behov for normering og standardisering for å sikre likeverdige helsetjenester. Dette er en virkelighetsoppfatning vi deler. Vi synes også mange av tiltakene som foreslås hver for seg er gode, slik som etablering av ulike databaser for genomdata, etablering av kompetansesentre for kunnskapsdisseminasjon og opprettelse av et koordinert forskningsprogram for persontilpasset medisin på tvers av eksisterende finansieringsordninger. Et gjennomgående trekk ved strategien er likevel at den er lite konkret, og den gir i mindre grad enn foregående rapport konkrete føringer for implementering av persontilpasset medisin i helsetjenesten.

### **Spesifikke kommentarer:**

De momenter som går igjen i høringsinnspillene fra den interne høringsprosessen i OUS omhandler fem hovedområder: tematisk dekning, organisering av kompetanse og ansvar, registre og databehandling, næringsutvikling samt det allerede omtalte ambisjonsnivå. I det følgende redegjør vi nærmere for disse punktene.

#### **1. Tematisk dekning**

Strategien er svært genomorientert. Vi forstår i noen grad modellverdien og det faktum at genteknologiske metoder - sekvensering i særdeleshet - allerede er i utstrakt klinisk bruk og dermed interessant for helsetjenestefokuset som preger strategien. Det sterke genomfokuset gjør imidlertid at strategien ikke i tilstrekkelig grad omtaler en bredere utvikling i feltet, både medisinskfaglig og metodologisk/teknologisk. Fokuseringen er også i strid med førende dokumenter som refereres innledningsvis (eks. den europeiske utredningen "Personalised Medicine for the European Citizen" (punkt 2.1 på side 15) der det sies: "Take every opportunity to correct the misconception that personalised medicine refers to genomic prediction alone").

##### *A) Manglende metodologisk/teknologisk bredde.*

Med referanse til de europeiske føringene på området (samme referanse som over; «"Genomics, epigenomics, proteomics, metabolomics, lipidomics and other 'omic' technologies, such as analysis of the microbiome, will be required alongside imaging and physiological monitoring to generate biological data."»), er det vanskelig å se hvordan føringene i strategien vil sikre god implementering av annen teknologi enn sekvensering. Dette gjelder både teknologi som allerede er i bruk i helsetjenesten (særlig billeddiagnostikk og molekylærpatologiske metoder), og teknologier som i stor grad forventes å trenge opptak i helsetjenesten innenfor de fem årene som strategien gjør seg gjeldende for (f.eks. RNA-analyser, proteomikk og epigenetikk). Dersom man velger å opprettholde modellaspektet for genomikk, er det uansett behov for en eksplisitt omtale av de underkommuniserte teknikker i egne avsnitt. Det kreves hertil beskrivelse og handlingspunkter knyttet til hvordan strategien ser for seg håndtering av teknologier utover sekvensering, samt en utdypning av sammensetning av kompetansesentre som tar høyde for dette. Det vil sannsynligvis være behov for egne implementeringsplaner for de ulike enkeltområdene (se nedenfor) - i særdeleshet de områder som i strategiutkastet er lite omtalt - et videre arbeid som strategien bør rede

grunnen for.

B) *Manglende medisinskfaglig bredde.*

OUS savner omtale av flere fagmiljøer i strategien. Dette gjelder særlig farmakogenomikk og patologi. Det savnes også en bredere omtale av infeksjonsmedisin og mikrobiologi samt kreftfeltet.

- a. *Farmakogenomikk* er et felt der det er enkelt å se nytteeffektene, og det er nå flere farmakogenetiske analyser som er anbefalt/påkrevd utført før man behandler med visse kritiske legemidler. Det anbefales å ha farmakogenomikk som et ekstra punkt i strategien. Dette kan kalles «persontilpasset legemiddelbehandling», med en tilhørende spisset og oppdatert omtale av feltet.
- b. *Patologiens* rolle som arbeidsarena for persontilpasset medisin innen kreftfeltet bør eksplisitt beskrives i strategien. Kreftdiagnoser er basert på celle- og vevsundersøkelse utført ved et patologilaboratorium (med unntak av noen hematologiske krefttyper). Hvordan tverrfaglig kompetanse ved patologiske spesiallaboratorier skal involveres og integreres med pasientforløpet i persontilpasset onkologi krever mer utfyllende omtale. Særlig når det gjelder proteinanalyser som supplement til gensekvensering (tilstedeværelse av protein, proteinaktivitet, aktivitet av en signalvei og/eller genuttrykk) innehar patologifaget viktige ressurser. Denne mer sammensatte arbeidsarenaen bør eksplisitt beskrives, sidestilt med omtalen av omics-teknologier innen feltet.
- c. *Infeksjonsmedisin/mikrobiologi* diskuteres for sporadisk til å få en tydelig profil, til tross for at feltet nevnes eksplisitt som målområde for strategien. Eksempelvis bør fagspesifikke aspekter for datalagring og elektronisk pasientjournal for infeksjonsmedisin og mikrobiologi tydeliggjøres. De mikrobiologiske miljøene ser seg ikke ivaretatt innen det foreslåtte kompetansenettverket, som i stor grad omhandler arvelige sykdommer («sjeldenfeltet») og kreftgenomikk (se nedenfor)
- d. *Kreftmiljøene* peker på at genomikdiskusjonen er for ensidig relatert til helgenomanalyser av arvelige genforandringer, og i for liten grad diskuterer særskilte aspekter ved genomikken i kreftdiagnostikk og kreftbehandling (som krever en annen tilnærming, og der genetiske analyser kun vil være en del av et samlet diagnostisk oppmøte). Persontilpasset medisin innen kreft er også i økende grad avhengig av sammenstilling av data fra mange kilder, inkludert avansert billeddiagnostikk, histopatologi, immunhistokjemi, ekspresjonsdata og i økende grad andre molekylærpatologiske kilder (mRNA, miRNA, metyleringsdata, proteomikk etc.). Den utvidete multidisiplinære kompetansen på dette er svært viktig. Genomanalyser ved kreft har økende betydning i diagnostisk sammenheng, men vil aldri stå alene i forhold til en samlet klinisk diagnostikk og ordinær klinisk prediktiv informasjon. Dette må gå tydelig frem i en strategi som nettopp omtaler helsetjenesteperspektivet for persontilpasset medisin.

## 2. Organisering av kompetanse og ansvar

Det gis totalt 11 konkrete anbefalinger (side 24-29). Hver for seg inneholder tiltakene mye bra, men ansvaret for disse tiltakene foreslås delt på en lang rekke aktører (RHFene,

Helsedirektoratet, Folkehelseinstituttet, Universitet- og høyskolesektoren, Direktoratet for eHelse). Fraværet av én koordinerende instans i forslaget kan tyde på at man undervurderer kompleksiteten og hvordan de ulike tiltakene er avhengige av hverandre. En slik organisering, uten en entydig nasjonalt koordinerende ledelse, kan føre til en fragmentering som kan være både kvalitetsforringende, føre til økte kostnader og forsinke implementering. I den finske strategien ([https://issuu.com/sitrafund/docs/finland\\_genomestrategy](https://issuu.com/sitrafund/docs/finland_genomestrategy)) har man erkjent behovet for én enkeltsterk nasjonal koordineringsinstans. Vi anerkjenner den politiske kompleksiteten knyttet til å peke ut en koordineringsinstans, men status i feltet tilsier at dette i en startfase vil være viktig. På sikt vil persontilpasset medisin foregå ved alle helseforetak og på alle nivåer i helsetjenesten, men vi har vanskelig for å se hvordan en nettverksstruktur vil kunne fungere effektivt uten en tydelig nasjonal ledelse innledningsvis.

Kompetansesentrene bør ha en bred faglig sammensetning og inkludere kompetanse fra langt flere fagfelt enn medisinsk genetikk. Innen infeksjonsmedisin må kompetansesentre knytte til seg mikrobiologiske avdelinger ved universitetssykehusene, med kombinert kompetanse innen bioinformatikk og mikrobiologi. I tillegg bør man videreutvikle nasjonalt og internasjonalt samarbeid som er etablert innen forskning på feltet. Dette gjelder både Nasjonalt konsortium for sekvensering og persontilpasset medisin (NCS-PM), som nylig har fått en bevilgning fra Norges forskningsråds program for storskala infrastruktur, og det nasjonale samarbeidet som er etablert innen kreftområdet i National Cancer Genomic Consortium (NCGC). Med bevilgningen til NCS-PM har Norge fått «state of the art» utstyr for human genomsekvensering. Standardisering av DNA sekvenseringsanalyse på tvers av stedene er en av milepælene i dette prosjektet. UiT og UNN har bedt om å bli medlem av konsortiet og vil etter planen bli en del av konsortiet i løpet av det neste halvåret. Konsortiet vil med dette ha medlemmer fra de fire store universitetssykehusene og tilhørende universiteter. NCGC-prosjektet har utført eksomsekvensering av pasientkohorter for flere ulike kreftformer og har etablert et nasjonalt samarbeid, i tett interaksjon med regionale kjernefasiliteter knyttet til storskalaanalyser og bioinformatikk. NCGC har som viktig fokus å etablere den nødvendige kompetansen i helsevesenet, og at denne gjøres tilgjengelig og spres til alle regioner, slik det også påpekes i utredningen. Når det gjelder IKT og utvikling av beslutningsstøtte, har forskningsrådet nylig finansiert IKT Fyrtårn-prosjektet BIGMED. Dette har som formål å utvikle beslutningsstøtte for helsevesenet i bredere forstand og inkluderer genomanalyser og vil kunne være et viktig instrument i det videre arbeidet for de foreslåtte kompetansesentrene. I alle prosjektene står samspillet mellom klinikk og teknologi sterkt, og de praktiske implementeringsprosessene som venter innen helsetjenesten bør aktivt understøtte utvikling av og bygge videre på de erfaringene som gjøres.

### 3. Praktisk aspekter ved implementering

Strategien omhandler i for liten grad klinisk implementering. Den omtaler til dels *hva* som er mulig i dag både innen sjeldne sykdommer og kreft, men sier i liten grad noe om *hvordan* vi skal utvide bruken og sikre lik nasjonal tilgang til persontilpasset medisin. Mangelen på konkrete tiltak kan nok i noen grad være begrunnet i ressursaspektene (mangel på dedikerte tilskudd) ved strategiarbeidet. Sammenligner man med andre lands offensive investeringsprogrammer innen persontilpasset medisin, er dette utgangspunktet såpass oppsiktsvekkende at man burde ha diskutert *hvordan* en implementering uten tilførsel av midler skal være mulig – omprioritering i sannsynlig størrelsesorden virker lite realistisk og svekker strategiens troverdighet. I tillegg til disse generelle kommentarene har ulike fagmiljøer ved OUS spilt inn flere konkrete kommentarer knyttet til implementering:

- a. *Genetikkmiljøet* fremholder særlig mangelen på konkrete anbefalinger når det gjelder organisering av og hvor mange steder ulike aktiviteter bør foregå. I kapittelet om IKT infrastruktur pekes det på en rekke forhold som bør adresseres, ikke bare for IKT, men også for DNA-sekvensering. Hvordan tilbudet etableres og organiseres vil ha stor betydning for hvor lett eller vanskelig det vil bli å få til den standardiseringen og normeringen strategien legger opp til. Forskning innen persontilpasset medisin vil også føre til at en økende andel av forskningsprosjekter vil omfattes av bioteknologiloven. De forskningsetiske komiteene har nylig utarbeidet forslag til hvordan slike prosjekter bør utføres og anbefaler blant annet at tilbakemelding og genetisk veiledning bør skje i samråd med spesialist i medisinsk genetikk (<https://www.etikkom.no/forskningsetiske-retningslinjer/Medisin-og-helse/retningslinjer-for-bruk-av-genetiske-undersokelser-av-mennesker-i-medisinsk-og-helsefaglig-forskning/>). Mens de fleste helseregioner har etablert forskningsstøtteinfrastruktur som hjelper forskere med hvordan tilpasse prosjekter til helseforskningsloven, helseregisterloven, biobankloven og personvernlovgivning, så er det ikke bygget opp tilsvarende støttefunksjoner for forskning som faller inn under bioteknologiloven. For å hjelpe forskere, samt unngå at de medisinsk genetiske avdelingene blir flaskehals for forskning, bør man sette de medisinsk genetiske avdelingene ved universitetssykehusene i stand til å ivareta en forskningsstøttefunksjon for prosjekter som faller under bioteknologiloven.
- b. *Kreftfeltet* understreker den nære relasjon mellom klinisk praksis, forskning og videreutvikling innen persontilpasset medisin. Dette er illustrert i strategiens Figur 2, og gjelder kanskje aller mest innen kreft, der pasientforløpene ofte involverer både klinisk rutine og forskningsdeltagelse. Utviklingen går svært raskt og nye målrettede medikamenter er stadig i utvikling og kommer på markedet. Strategien er imidlertid i for stor grad avgrenset til ren helsehjelp, og bør i større grad omhandle samspillet mellom forskning og behandling. Utviklingen innen kreftfeltet skjer i dag vesentlig i denne grenseflaten. Det etterlyses også mer konkrete beskrivelser av implementeringsaspektene, der det innen onkologien bør legges opp til en trinnvis implementering, der man starter med utvalgte kreftsykdommer («pakker», f.eks. bryst, lunge, colorektal, hematologi) og metodologi («genpanel»), og etter hvert utvider. Som konkret eksempel er det ved flere ledende behandlingstilstander innen kreftfeltet etablert genpaneler som gir svar både mot etablerte behandlingsløp, og *samtidig* dekker opp for gener/varianter som kan åpne for deltakelse i utprøvende behandling. Erfaringer ved OUS fra det NFR-støttede prosjektet "MetAction – actionable targets in cancer metastasis – from bed to bench to byte to bedside" har vist kompleksiteten ved kliniske studier hvor man skal ta behandlingsvalg ved hjelp av høyskala genomisk informasjon. Behandlingsmessige konsekvenser av slike funn må ofte underbygges ved tilleggsanalyser, og integrasjon krever en tverrfaglig tilnærming for å kunne gi et klinisk relevant svar. Man forventer en økende etterspørsel om deltakelse i slike studier, og strategien bør gi helsetjenesten føringer for hvordan pasientene skal høres og møtes i slike sammenhenger.
- c. *Infeksjonsfeltet* er i liten tatt med i de praktiske anbefalingene. Utviklingen går svært raskt og det åpner seg nye muligheter innen påvisning, karakterisering og resistensbestemmelse av både sykdomsfremkallende mikroorganismer og

normalflora, Det etterlyses også for infeksjonssykdommene en trinnvis plan, konferer arbeidet i «Genomics England», der man har valgt å prioritere HIV, tuberkulose og hepatitt. For øvrig omtales ikke betydningen av *mikrobiell variasjon*. Den kraftige økningen av antibiotikaresistens kan i de kommende tiår bli en av den persontilpassede medisins største utfordringer. Rask, persontilpasset kartlegging av resistensgener vil være helt nødvendig for å tilby pasienten optimal behandling. Persontilpasset behandling basert på genomisk forståelse av resistensgener vil i tillegg bidra til å redusere risikoen for resistensutvikling i mikrobepopulasjoner. Videre savnes fokus på betydningen av mikrobiomanalyser innen persontilpasset medisin. Samspillet mellom humane celler og *normalfloraen* på hud og slimhinner synes å være av stor betydning for helse og sykdom. Behandling av mange infeksjonssykdommer medfører en betydelig endring av den enkelte pasients normalflora. Kjennskap til hvordan disse endringene i normalfloraen påvirker helse og sykdom har et stort potensial innen persontilpasset medisin. Pasientene søker seg allerede til kommersielle aktører, som på tynt faglig grunnlag tilbyr «selvtester» av normalflora med avansert genomisk teknologi, og helsetjenesten vil i femårsperioden (som strategien gjør seg gjeldende for) måtte forholde seg til emnet.

- d. *Kliniske studier* er i dag registreringspliktige på [www.helsenorge.no](http://www.helsenorge.no) for å sikre pasienter lik tilgang til nye behandlingsstudier. I lys av denne utviklingen fremstår det kategoriske i avgrensningen av rett til helsehjelp mot kliniske studier innen persontilpasset medisin som utilstrekkelig begrunnet. I tillegg problematiserer strategien for ensidig at økt detaljert biologisk kunnskap om den enkelte pasients nøkkel-sykdomsmekanismer gjør pasientgruppene små. Dette er imidlertid på mange måter en ønsket utvikling, som konsekvens av økt reell biologisk subgruppering og høyere presisjonsnivå på diagnostikk og målrettet behandling, selv om dette innebærer noe økt statistisk usikkerhet. Spesielt er dette viktig i forhold til pasientene, da en bedre seleksjon i forkant kan identifisere de pasientene som kan ha nytte av en gitt behandling. Man må huske at mange store randomiserte undersøkelser med bredspektrede behandlingstiltak tidligere har gitt sikre statistisk signifikante funn, men i en størrelsesorden som gjør reell klinisk pasientnytte høyst marginal. En målrettet behandling mot sentrale biomarkører i kreftutviklingen (eks Her2 ved brystkreft) vil derimot ofte gi økt effektstørrelse, med påfølgende lavere krav til gruppestørrelse for påvisning av sikker effekt. Denne dreiningen krever endring av design på kliniske studier sett i forhold til utvikling og godkjenning av nye medikamenter, noe som allerede er innført internasjonalt, og som strategien problematiserer heller enn å innse. Se også punkt 5 om næringsutvikling.

### 3. Register og databehandling

Strategien tar ikke i tilstrekkelig grad høyde for de registerbehov som gjør seg gjeldende for persontilpasset medisin. Dette gjelder særlig innen kreftområdet og medisinsk genetikk. OUS støtter generelt forslagene når det gjelder datahåndtering, men vil sterkt påpeke rasjonale for et tett samarbeid med universitetene, slik at det ikke bygges opp to ulike, parallelle systemer for analyse og sikker lagring av store datamengder - ett i helsesektoren og ett i universitetssektoren. Vi mener det er naturlig å bygge videre på TSD-løsningen som er etablert ved Universitetet i Oslo.

Rapporten anbefaler i et tidsperspektiv på 3-5 år å etablere et register (hos Kreftregisteret) over somatiske kreftvarianter. At man implisitt dermed holder det som et alternativ å utføre omfattende "omics"-kartlegginger av kreftsvulster i behandlingsøyemed størsteparten av den perioden strategien gjør seg gjeldende for, uten å lagre dataene for fremtidig korrelasjon og forskning, vil vi sterkt fraråde. Vi er kjent med at dette var et betydelig diskusjonstema under arbeidet med strategien, og forstår at kobling mot andre data må være underlagt nødvendige godkjenninger og evt. samtykker. Dog er det fra vår side hevet over tvil at et slikt register vil være av stor fremtidig forskningsmessig verdi for videreutvikling av feltet, likeledes at dette registeret bør være i Kreftregisterets regi. Dette er av særlig verdi vurdert ut fra Kreftregisterets unike posisjon i Norge (og de andre nordiske land), som gir en komplett befolkningsoversikt over kreftpasientene i landet. Allerede nå lagres spesifikke gendata i kvalitetsregistre, eksempelvis EGFR- og ALK-status for lungekreft, samt RAS-data for endetarmskreft. Inkorporering av et bredt sett av genomikkdata for sarkom i et kvalitetsregister hos Kreftregisteret er nå under vurdering, som en del av det NFR-støttede NoSARC-prosjektet. Det bør tilhørende gis klar støtte til at sekvenseringsdata må sees i sammenheng med eksisterende kvalitetsregistre hjemlet i kreftregisterforskriften.

Strategien foreslår at det som et tidlig skritt etableres en anonym variantdatabase som skal gi frekvenser av arvelige genvarianter i den norske befolkning. Diskusjonen om etablering av databaser illustrerer det vi opplever som en manglende synliggjøring av avhengighetene her. Hvordan man utfører sekvensering vil ha betydning for hvorvidt man kan få ut frekvensdata, og en slik database er langt fra triviell å etablere. I lys av at Datatilsynet allerede har gitt konsesjon til Norvariom, hvor OUS får lagre genomdata fra pasienter etter samtykke, synes vi ambisjonene i strategien på dette punktet er svært lave. Det å raskt komme i gang med systematisk innsamling og lagring av genomdata og tilhørende kliniske data er essensielt for både kvaliteten på diagnostikk og videre forskning og næringsutvikling innen persontilpasset medisin. En anonym variantdatabase vil ha langt mindre verdi enn en database à la Norvariom, og man bør vurdere om ikke Norvariom og lignende løsninger ved andre helseforetak bør videreutvikles til å bli et nasjonalt helseregister. Diskusjonen om databaser illustrerer også behovet for å se strategiens anbefalinger i større sammenheng enn hva som nå er tilfelle. I den finske strategien har man valgt en slik løsning: «A national reference database of genomes will be established. Genomic data produced by various organizations will be stored in the database and linking of health data with genomic data will be made possible.» For infeksjonsdata er registre og databehandling svært summarisk omtalt på s 27 (C3), men det regionale aspektet er ikke omtalt. For de andre fagområdene er informasjons- og kommunikasjonsteknologi omtalt i punkt 5.4, og her er de regionale foretakene tildelt ansvar – i motsetning til hva gjelder infeksjonssykdommer.

Hva gjelder juridiske aspekter, støtter vi at man bør se lagring av sekvenseringsdata i sammenheng med planer for en egen forskrift for henholdsvis nasjonale medisinske kvalitetsregistre og populasjonsstudier. Dette vil i så fall være et viktig grep for å sikre harmonisering og forutsigbarhet rundt lagring og sekundærbruk av helsedata i kvalitetsarbeid og forskning. Strategien bør videre inneholde refleksjoner om hvordan man ønsker å følge opp implementeringen av den nye personvernforordningen i EU. HOD, som bestiller av rapporten, i samarbeid med Datatilsynet, kan ha et særlig ansvar her. Vi må unngå å komme i en situasjon der ulike myndighetsorganer fortolker forordningen på forskjellig måte og derav skaper unødige problemer for vår praktiske oppfølging (kfr. tilsvarende

problemstillinger relatert til helseforskningsloven).

Av hensyn til en helhetlig oversikt over regelverk for opprettelse av helseregistre, foreslås at fig. 1 (side 65) oppdateres og slik at helseregistre som inngår i et forskningsprosjekt angis (helseforskningsloven), samt interne kvalitetsregistre iht pasientjournalloven § 6. Det vises videre til fig. 3 på side 67 i boksen «Samtykke/REK-basert variantdatabase – nasjonale (med noder) eller regionale». Selv om det her i all hovedsak er snakk om databaser i forskning, så minnes det om at REK ikke godkjenner etablering av helseregistre. Slike forskningsbaserte variantdatabaser, som er ment å skulle anvendes til fremtidige forskningsprosjekter, vil måtte basere seg på annet behandlingsgrunnlag (konsesjon). Dette i motsetning til generelle forskningsbiobanker som er hjemlet i § 25 tredje ledd i helseforskningsloven. I høringsnotat pkt 8.3.7. vedrørende forskning og innovasjon, problematiseres dette med ulik regulering for lagring og bruk av helseopplysning i forskning og klinikk. Med henvisning til foreliggende signaler om egen forskrift for nasjonale medisinske kvalitetsregistre, så bør en slik forskrift også omfatte forskning for dermed å sikre en mer harmonisert regulering. Dette bør vurderes inntatt i strategien, der anbefaling om mulige løsninger er viktigere enn problematisering.

#### 4. Næringsutvikling

Det er et gjennomgående trekk i høringsinnspillene i OUS at strategien bør bli tydeligere på hvordan man kan involvere næringslivsaktører i en implementering av persontilpasset medisin. Dette er viktig både for en effektiv implementering og for næringsutvikling innen dette området i Norge. Flere land, deriblant England, har valgt en annen tilnærming der teknologiapplikasjonene (genomikk) fremstilles som en stor positiv mulighet for pasienter og industri og legger nasjonal informasjon opp deretter ("dette er bra for både pasienter og England"). Kommersielle samarbeidspartnere vil også utover næringsutvikling kunne gi samfunnsøkonomiske gevinster, siden nye forretningsmodeller for legemiddelindustrien innen persontilpasset medisin kan gjøre eksisterende godkjenningsordninger for legemidler og finansieringsordninger for behandling utilstrekkelige. Heller enn å unngå den betydningen tidlige kliniske studier har innen flere deler av persontilpasset medisin (særlig innen onkologien), bør strategien ta mål av seg å beskrive hvordan kostnadsaspektene i denne gråsonen best bør håndteres – i samarbeid med impliserte næringsaktører.

Mer fundamentalt er det en økende forutsetning for deltagelse i utprøvende kreftbehandling at pasienter selekteres på biomarkører identifisert ved hjelp av genanalyser. En relativt sett svak satsning på persontilpasset medisin vil derfor redusere norske pasienters muligheter for deltagelse i utprøvende behandling. Gitt utydigheten i nåværende fremstilling av kliniske studier, har det blitt tydelig i høringsprosessen at det trengs en egen strategi for implementering av persontilpasset diagnostikk og behandling av kreft i Norge. Ideelt bør tilsvarende implementeringsplaner også utarbeides for de andre fagområdene som berøres i strategien. Dette vil også være i tråd med øvrig utvikling nasjonalt, f.eks. NorCRIN som har mottatt 50 mill. kroner fra forskningsrådet, og der en arbeidspakke er øremerket industrisamarbeid, samt Helse Sør-Østs satsning på industrisamarbeid og oppdragsforskning.

Spørsmål om bruk og tilgang til helseregistre og biobank i industrielt samarbeid er viktig. Det er imidlertid samtidig viktig at det ikke danner seg en oppfatning av at helseregistre og biobank som sådan er gjenstand for kommersialisering. Dette gir et skjevt bilde av virkeligheten, i det kjøp og salg av helseopplysninger og biologisk materiale ikke er tillatt. Det sentrale er at gode kvalitetsregistre og biobanker vil stimulere til industrisamarbeid, og



resultatene av samarbeidet kan gi grunnlag for innovasjoner og kommersialisering.

## 5. Ambisjonsnivå

Alle innspill som er kommet i høringsprosessen i OUS uttrykker bekymring for det man opplever som et svært lavt ambisjonsnivå i strategien. Det å ha som forutsetning at implementering av persontilpasset medisin i helsetjenesten i Norge ikke vil kreve ekstra finansiering, vil gjøre det krevende å henge med i den rivende utviklingen som foregår på feltet internasjonalt. På sikt forventer man imidlertid kostnadsbesparelser som følge av investeringen som nå kreves, gjennom at pasientutvelgelsen for behandlingsmodaliteter blir mer presis, med høyere effektivitet, mindre bivirkninger og færre unødvendige behandlinger som resultat. Alle aktører i høringsprosessen ved OUS mener også at tidsrammene for de ulike tiltakene bør forkortes, noe som også vil føre til at effektene og kostnadsbesparelser vil gjøre seg gjeldende raskere.

Norge og Norden har mange fortrinn når det gjelder implementering og næringsutvikling innen persontilpasset medisin sammenlignet med andre land og vi har nå en mulighet vi ikke må miste. Hovedinnholdet i rapporten bør i større grad beskrive konkret hva som skal gjøres for å implementere persontilpasset medisin i helsetjenesten i Norge - raskt, systematisk og likt - på en måte som samtidig utvikler kunnskap gjennom pågående forskning.

Med hilsen

Erlend B. Smeland  
Direktør forskning, innovasjon og utdanning

Terje Rootwelt  
kst. viseadministrerende direktør medisin,  
helsefag og utvikling

*Brevet er elektronisk godkjent og ekspedert og derfor ikke signert.*