

København 01-12-2023

Til folketingets sundhedsudvalg

Jeg deltog i går som borger i mødet vedr personlig medicin og takker for at demokratiet muliggør de åbne døre. Jeg ønsker med denne henvendelse at give udtryk for forhold jeg ikke synes blev trukket tilstrækkelig frem i går:

Jeg er kliniker og arbejder til daglig med behandling af børn og unge med medfødte eller erhvervede alvorlige sygdomme der kræver personlig medicin i form af præcisions behandling (fabriksfremstillede lægemidler med specifik biologisk effekt eks antistoffer, blodstamceller ("knoglemarvstransplantation") og genterapi fra celler (herunder CAR-T). Jeg har anvendt personlig medicin i en årrække og har været i spidsen for den gruppe, der har initieret behandling med CAR-T i Danmark og er således både farvet af og vidende om processen inde fra maskinrummet.

Personlig medicin omfatter foruden genetisk diagnostik og efterfølgende datahøst og analyse af disse, i meget høj grad anvendelse og test af behandlinger der anvendes til allerede velkendte og beskrevne sygdomsenheder foruden naturligvis udvikling og ibrugtagning af nye behandlinger, herunder eks genterapi eller cellebehandling så som stamceller til behandling af vævsskade.

Da mange af disse behandlinger udgør et nyt paradigme, herunder at celler kan være lægemidler der rejser over grænser, skal der nationalt, internationalt og regionalt/lokalt opbygges nye strukturer, herunder opdatering af vævsloven, som aktuelt pågår. Området er stramt reguleret grundet risiko for bla nye kræftformer, som hidtil dog har været begrænsede og færre end ved konventionelle behandlinger, som eks strålebehandling.

Der foregår allerede på nuværende tidspunkt mange lovende men ukoordinerede grundforskningsstudier i både akademiske og farmamiljøer, der bla kan føre til fremtidig behandling med både virus og CRISPR baseret genkorrigerede behandlinger. Der er dog et betydeligt misforhold imellem antallet af nye lovende principper og behandlinger og antallet af behandlinger der kommer i klinisk brug. De barrierer der forhindrer/forsinker dette er ikke (tilstrækkelig) adresseret i dag:

- Tidssvarende betaling af behandlingsydelser på tværs af regionerne og på tværs af landegrænser (der bør eks være en pulje af centrale midler der ikke er regionsstyrede, så en tilfældig lokal ophobning af patienter med særligt behov utidigt belaster den pågældende region)
- Tilstrækkelig kapacitet til at producere celler til medicinsk behandling tæt på patienten (point of care)
- Tilstrækkelig kapacitet på sygehusenes behandlingsafsnit
- Økonomiske beregninger der i højere grad kan tage alle forhold i betragtning ved forståelse af investering i ATMP behandling, herunder sparede udgifter til kroniske sygdom hos patienter med eks seglcelleanæmi
- Smidige initieringsforløb fra dyrestudier til "first in man" studier, herunder ensartede tolkninger af lovgivning på tværs af landet

- Struktureret vidensopsamling efter behandlingerne
- Ét nationalt patientjournal system

For at understrege at der er ting i Danmark der fungerer rigtig godt, vil jeg fremhæve Lægemiddelstyrelsen og de nationale videnskabetiske komiteer, der er hurtige og præcise og løfter opgaven i frontlinjen af udviklingen rigtig godt. De danske datastrukturer herunder landspatientregistret sikrer hurtig og pålidelig datahøst vedrørende epidemiologiske data (men ikke patientære helbredsdata).

Alle klinikere og forskere der i dag arbejder med klinisk behandling med ATMP indgår i både nationale og internationale arbejdsfællesskaber. Det kan slet ikke lade sig gøre at sidde i en lille dansk ø indenfor dette felt, så de store internationale samarbejder, herunder dataregistreringer pågår allerede. Og vi er bagud i Danmark. Det skyldes ikke kun relativt konservative vurderinger i Medicinrådet. Der har i de fleste lande vi omgiver os med været en erkendelse af at området skal sikres både økonomisk prioritering og central organisering med endog meget store offentlige bevillinger, hvilket har løftet området i disse lande markant.

En vision for den nationale strategi for personlig medicin kan derfor være at der etableres ét samlet nationalt center for ATMP behandling, inkluderende både adgange for godkendte lægemiddelbehandlinger og tidlige kliniske studier baseret på både akademiske studier og lægemiddelfirma sponserede studier. På hvert af de behandlende enheder (ie universitetssygehuse eller yderligere centraliseret afhængig af patient volumen) placeres et lokalt ATMP center der sikrer al logistik lokalt. Formålet er ikke bureaukratisering, tværtimod at de mange bureaukratiske opgaver samles og løftes professionelt.

Ovenstående er mine personlige tanker. Jeg arbejder både lokalt og nationalt fra min post på at løfte ovenstående i de netværk der allerede eksisterer.

De bedste hilsner og fortsat god arbejdslyst

Marianne Ifversen

ifversen@dadlnet.dk

Overlæge, PhD

Afdelingen for Børn og Unge

Rigshospitalet