

## Innspill til Helsedatautvalget

I følgende innspill er industriens behov og bruk av helsedata gjennom utviklingsløpet til et legemiddel beskrevet. Helseregistrene omtales ofte som «vår neste olje», men samtidig opplever flere aktører store utfordringer ved å ta i bruk helsedataene til ulike forskningsformål. Det er viktig at Norge tar en proaktiv rolle i forhold til å utnytte det fulle potensiale av våre registre og biobanker på en fleksibel og sikker måte som gagnar pasientene.

LMI ser at det er behov for følgende tiltak for at norske helsedata kan utnyttes bedre og dermed bidra til økt kvalitet i helsetjenesten, riktig legemiddelbruk, nye sammenhenger/targets for behandling avdekkes og bedre forståelse av sykdomsmekanismer bidrar til ny og bedre behandling:

- Etablere én portal for søknader og tilgang: et nasjonalt forvaltningsorgan for tilgang til data, saksbehandling av forespørslers og koblinger av data som skal brukes i forskning og innovasjon. Det er nødvendig at et slikt forvaltningsorgan er adskilt og uavhengig fra etablerte kunnskaps- og forskningsinstitusjoner. Dette er for å sikre lik behandling for alle søkere.

*Forvaltningsorganet bør ha ivareta følgende:*

- *Forutsigbar og effektiv søknads- og godkjenningssprosesser for tilgang til data*
  - *Foreta kobling av data fra ulike kilder/registre*
  - *Innføre konkurransedyktige priser for utlevering av data*
  - *Erstatte forhåndsgodkjenning av enkeltprosjekter i REK og andre instanser med en rammegodkjenning av aktører som skal bruke data til forskning*
  - *Håndtere kontrakter og IP rettigheter*
- Opprettholde god kvalitet på helseregistre
  - Utvidelse av Reseptregisteret med data fra sykehjem/sykehus + Endre krypteringsløsning for Reseptregisteret

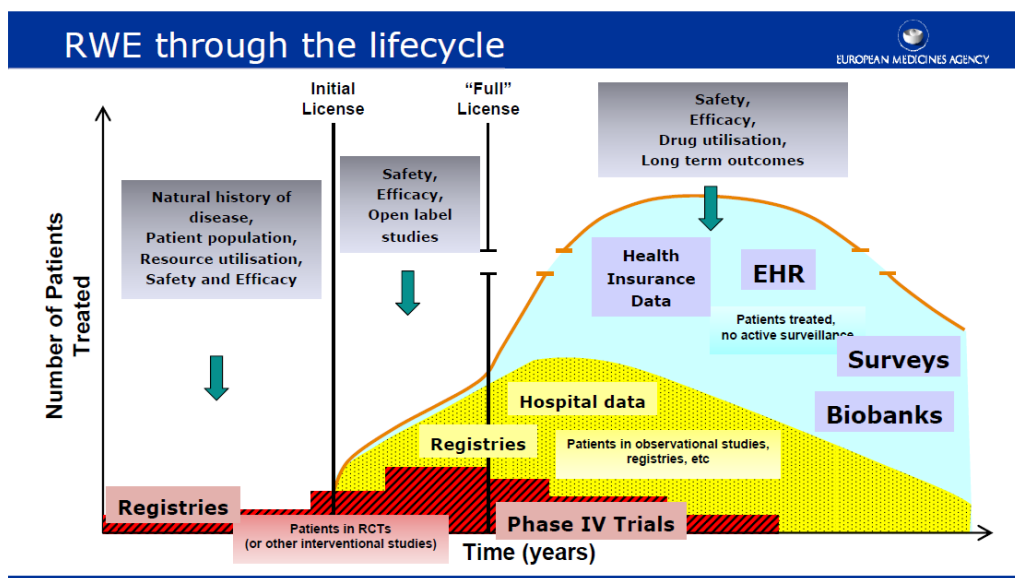
## Innledning

Industrien sitt behov for data fra helseregistre og biobanker er økende gjennom hele utviklingsløpet. Epidemiologiske data fra registre og biobanker kan være verdifullt for forskning på biomarkører og potensielle nye behandlingsmål, insidens av ulike tilstander, komorbiditet, legemiddelbruk, interaksjoner med mer.

Legemiddelindustrien kan gjennom sin forskningsaktivitet være en bidragsyter til effektiv, kunnskapsbasert og sikker diagnostikk og behandling i helsesektoren, bidra til kvalitetssikring av legemidler i form av at sikkerhet og effekt kartlegges i ordinær klinisk praksis. Datagrunnlaget kan bidra direkte til ny produktutvikling samt utvikling og kvalitetssikring av eksisterende tjenester.

Det er flere årsaker til den økende interessen for helsedata: regulatoriske behov og endringer, økt kostnadsfokus, legemiddelets merverdi og effektivitet, klinisk studie design, langtidsoppfølging, identifisere biomarkører og riktig legemiddelbruk for å nevne noen.

Som figur 1 viser nedenfor er det både behov for og det genereres data gjennom hele livsløpet til et legemiddel.



Figur 1: RWE gjennom livssyklusen til et legemiddel

Figuren er hentet fra EMA, Update on Real World Evidence Data Collection, STAMP, Peter Arlett (Mars 2016)

Helsedataene kommer fra ulike kilder, og de kobles ofte til ett eller flere andre nasjonale registre. En utfordring for brukerne i dag, er at det er mange dataeiere, med forskjellig forskriftmessige reguleringskrav, samt ulik forvaltningspraksis. Denne fragmenterte eierstrukturen og håndteringen av datautlevering er en flaskehals som det bør komme konkrete løsninger for.

Videre er fremveksten av persontilpasset medisin en viktig pådriver for at interessen rundt norske helsedata har økt. Vi har de siste årene sett hvordan persontilpasset medisin er i ferd med transformere behandlingen av kreftsykdom. Men persontilpasset medisin er bare i sin spede begynnelse og vil i tiden som kommer sannsynligvis også forandre vår måte å behandle vanlige folkesykdommer som f.eks kols, demens og diabetes. Her ligger det et betydelige potensiale i å utnytte nyere omics-basert teknologi koblet opp mot vår mulighet til å bygge longitudinelle dataset via register og journaldata.

#### Forskning og utvikling (pre-marketing)

##### *Helseregistre*

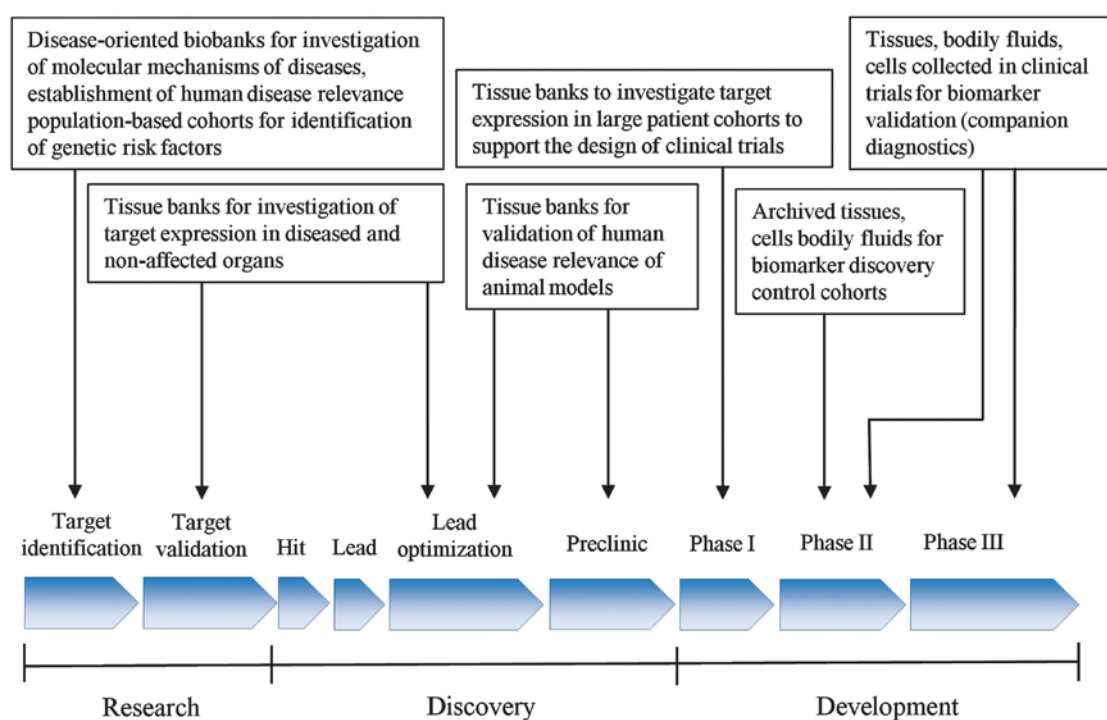
Helseregistre er viktig verktøy i feasibility prosessen, blant annet for å kartlegge størrelsen på pasientpopulasjonen (epidemiologi), effekt av pågående behandlingsterapier og sykdomsutviklingen (for eksempel stadier innenfor kreft) i populasjonen (insidensrapport). Videre kan helseregistre bidra til å effektivisere kliniske studier gjennom å identifisere sub populasjoner, design av studien og

inkludering og eksklusjons kriterier, som kan bidra til å redusere rekrutteringsperioden. Dette kan være kostnadsbesparende.

Randomiserte kliniske studier erstattes eller suppleres i økende grad av prospektive registerstudier. De regulatoriske legemiddelmyndighetene i Europa (EMA) arbeider med hvordan data fra prospektive registerstudier skal/kan inngå i godkjenningsprosedyrene for nye legemidler.

### Biobanker

Legemiddelindustrien har et økende behov for data fra biobanker i tidlig forskning, preklinisk og klinisk utviklingsfase slik som figuren nedenfor illustrerer. Biobankmateriale er en viktig ressurs for å forstå sykdomsmekanismer, og derigjennom avdekke nye molekulære behandlingsmål. Det er også et voksende marked innenfor biomarkører som kan innhente informasjon om effektivitet, individuell effekt og dermed redusere både kostnad og tid i utviklingsløpet.



Figur 2: Bruk av biobank data i utviklingsløpet.

Figuren er hentet fra van Ommen, G.B., 2015. *BBMRI – ERIC as a resource for pharmaceutical and life science industries: the development of biobank-based Expert Centres. European Journal of Human Genetics, 23, 893-900.*

### Markedstilgang og betalingsvillighet (post-marketing)

Randomiserte kliniske studier (RCT) som skal påvise sikkerhet og effekt til behandlingsmetoden har befestet seg som gullstandarden for å studere ulike terapier. Ettersom slike studier gjennomføres under kontrollerte kliniske forhold og med strenge inkluderingskriterier gir resultatene ikke ett fullstendig bilde på bruk av behandlingsmetoden i den reelle virkelighet. Det er her innhenting av Real World Data (RWD) og Real World Evidence (RWE) kommer inn. RWD begrepet omfatter effekt og

sikkerhetsdata av en behandlingsmetode innsamlet både retrospektivt og prospektivt fra den vanlige kliniske hverdagen.<sup>1</sup> RWD kan innhentes fra seks ulike kilder: (i) supplement data til tradisjonelle register RCT, (ii) pragmatiske studier, (iii) registre, (iv) administrasjonsdata, (v) helsespørreundersøkelser, og (vi) elektroniske pasientjournaler.<sup>1</sup> RWE er utfallet av RWD analyser og bearbeidelser. RCT supplert med RWD gir et mer fullstendig bilde om effekt og verdi av behandlingsterapien i den kliniske virkelighet.

#### *Adaptive Pathway – behov for helsedata*

Flere regulatoriske endringer har påvirket behovet og bruken av helseregistre og ny datainnsamling. Adaptive pathways, en pilot igangsatt av EMA, er ett eksempel på en ny måte for utvalgte legemidler å tilegne seg begrenset markedsføringstillatelse. Bakgrunnen for piloten er at de regulatoriske kravene i større grad må være tilpasset et utviklingsløp med mer gradvis oppbygging av klinisk dokumentasjon, effekt og bruk i vanlig klinisk praksis. Adaptive Pathways har som mål å gi en mer helhetlig tilnærming til godkjenningsprosedyren i den hensikt å gi raskere tilgang til nye lovende legemidler der det er et stort medisinsk behov. Prosessen vil derfor kreve involvering av alle aktørene som har en rolle i beslutningsprosessen om tilgang til legemidler: legemiddelfmyndigheter, industri, pasientorganisasjoner, retningslinjeansvarlige, ansvarlige for metodevurderinger (HTA) og betalere.

Adaptive Pathways har til hensikt å gi tidlig markedsføringstillatelse for spesielt viktige medisiner, med tilgang til kun en begrenset pasientpopulasjon. En gradvis oppbygging av dokumentasjon vil kunne utvide markedsføringstillatelsen til å omfatte en større pasientpopulasjon. Den ytterligere datainnsamlingen skjer både gjennom randomiserte kliniske studier, men også gjennom datainnsamling fra «Real Life observasjonsstudier».

#### *«Pay for Performance/value based pricing»*

Real world data brukes også innenfor prisforhandlinger og refusjon. En undersøkelse fremstilt av EFPIA viste at 13 av 34 OECD land aktivt bruker RWD i refusjon beslutninger.<sup>2</sup> RWD og RWE kan bidra til å skaffe tilstrekkelig med data til helseøkonomiske analyser og kvalitetssikre innføringen av nye legemidler. RCT supplert med RWD danner datagrunnlaget for å bevise klinisk behov og verdien av legemiddelet utenfor klinisk praksis på en større pasientpopulasjon. Dette er både viktig og nødvendig data for betalere av nye innovasjoner.

#### *Managed Entry Agreements*

Legemidler blir stadig mer spesialiserte, og de testes derfor ut på en mindre pasientpopulasjon. Med en mindre pasientpopulasjon blir dokumentasjonsgrunnlaget snevrere og det knyttes dermed større usikkerhet rundt effekten av legemiddelet. Dette påvirker beslutningsgrunnlaget til myndighetene som skal vurdere om legemidlet er kostnadseffektivt eller ikke. Managed Entry Agreements (MEA) forsøker å adressere usikkerheten knyttet til effekt og budsjettimplikasjoner.<sup>3</sup> MEA som har likheter med Adaptive Pathways er avtaler hvor et legemiddel for en begrenset pasientpopulasjon får markedsføringstillatelse, men på grunnlag av å innhente RWE til myndighetene for å understøtte

---

<sup>1</sup> Stolk, Pieter. 2015. Briefing note for EFPIA on three regulatory & HTA topics in the context of Science 2.0/Vision 2020

<sup>2</sup> Better Science, Better Health: New Healthcare Models Washington, D.C., 27 – 28 October 2015 EVENT REPORT

<sup>3</sup> Grepstads, Mari Lundebj. 2014. Bærekraftig legemiddelforvaltning? Dagens Medisin Blogg

effektdokumentasjon. Dette åpner for risikodelingsavtaler og ulike «pay for performance» modeller mellom myndigheter og industri.

### *Riktig legemiddelbruk*

Oppfølgingsstudier/observasjonsstudier kan gi informasjon om hvem som responderer og ikke responderer. Denne informasjonen kan brukes til bedre å tilpasse legemiddelbruk til enkelte individ.

### Konklusjon

Analyserte helsedata inngår i hele verdikjeden for utvikling av legemidler, og benyttes videre gjennom hele legemiddelets livssyklus. Legemiddelindustrien er, og vil være en viktig bruker av helsedata for å framskaffe kunnskap med relevans for de ulike formålene.

Det er et behov for transparente, forutsigbare og standardiserte forvaltningsprosesser for industriens tilgang til og bruk av norske helsedata. Tilgjengeliggjøring og utnyttelse av norske helsedata kan bidra til økt kvalitet i helsetjenesten, riktig legemiddelbruk, ny forskning ved at nye sammenhenger/targets for behandling avdekkes og gi bedre forståelse av sykdomsmekanismer og et mer effektivt utviklingsløp.