

Hälso- och sjukvårdsnämnden

Strategi för Avancerade Terapeutiska Medicinska Produkter (ATMP) i Region Skåne

Ordförandens förslag

1. Hälso- och sjukvårdsnämnden finansierar i sin internbudget totalt 11,6 miljoner kronor årligen för Skånes kliniska utvecklings- och behandlingscentrum för Avancerade Terapeutiska Medicinska Produkters arbete, läkemedelsförsörjningsprocesserna samt driftskostnad för GMP(Good Manufacturing Practice)-facilitet.

Hälso- och sjukvårdsnämnden föreslår regionstyrelsen följande

1. Regionstyrelsen fastställer mål och strategier för Avancerade Terapeutiska Medicinska Produkter (ATMP) inom Region Skåne.
2. Region Skåne etablerar Skånes kliniska utvecklings- och behandlingscentrum för Avancerade Terapeutiska Medicinska Produkter i enlighet med förslaget.
3. Regionstyrelsen beaktar investeringskostnader om 20 miljoner kronor för finansiering av GMP-facilitet i sin internbudget för 2020.
4. Regiondirektören får i uppdrag att förbereda och genomföra förändringen.

Sammanfattning

Läkemedel för avancerad terapi (Avancerade Terapeutiska Medicinska Produkter, ATMP) är en ny klass av läkemedel som har en stor potential att påverka sjukdomsprogression eller funktionshinder vid ett flertal kroniska sjukdomar. Användningen av dessa läkemedel kräver helt nya arbetssätt och strukturer avseende farmaceutisk kompetens och flöden. För att Region Skåne ska bli en framträdande aktör inom Life Science området måste regionen göra det attraktivt för hälso- och sjukvården att forska och delta i produktutveckling.

I ärendet finns följande dokument

1. Beslutsförslag 2019-09-10

Beskrivning av ärendet och skälen för förslaget

Läkemedel för avancerad terapi (Avancerade Terapeutiska Medicinska Produkter, ATMP) är en ny klass av läkemedel som har en stor potential att påverka sjukdomsprogression eller funktionshinder vid ett flertal kroniska sjukdomar såsom Parkinsons sjukdom, hjärtsvikt, muskeldystrofier, cancer med flera. Det finns också en förhoppning om att ATMP produkter kommer att kunna bota eller vända på sjukdomsförlopp som det idag inte finns någon behandling för eller där det enbart finns symtomatisk behandling.

Som ATMP räknas genterapi, somatisk cellterapi, vävnadstekniks produkt och kombinerade produkter och de är enligt det europeiska regelverket läkemedel. I EU finns dessutom ett regelverk för hantering av mänskliga vävnader och celler vid läkemedelstillverkning. Området har stor potential att bidra till Skånes ekonomiska utveckling. För att regenerativ medicin ska bidra till ekonomisk tillväxt och nå ut till våra patienter behöver hälso- och sjukvården få rätt förutsättningar så att den kan stödja och underlätta forskning, produktutveckling och klinisk användning av ATMP läkemedel. ATMP är viktiga:

- De har en växande betydelse för sjukvårdens behandling av genetiska sjukdomar och cancer.
- Det finns idag mer än 100 sjukdomar där man undersöker potentialen för behandling med cell- och genterapi.
- Regulatoriska myndigheter förväntar sig att från 2025 kommer årligen mellan 10 - 20 nya cell- och genterapier godkännas.
- Det finns ett flertal nationella satsningar för att stärka Sveriges position inom området.

Det kommer att finnas olika typer av cell och genterapier, vilket kommer att ställa krav på en systemförändring i hur vi genomför kliniska studier och behandlar patienter från: behandlingsbeslut – produkttillverkning – läkemedelsförsörjning – behandling – långtidsuppföljning. Under 2018 godkändes ett antal ATMPs för användning som läkemedel i Sverige. Exempel på två viktiga indikationer är inom områdena cancer och för behandling av sjukdom som leder till synförlust redan i unga år.

Utvärdering, och i förekommande fall rekommendation, är gjord eller ska göras av NT-rådet. Förutsatt att dessa terapier fungerar väl även vid en bred klinisk användning, så är fördelarna uppenbara både sett ur ett etiskt och hälsoekonomiskt långsiktigt perspektiv. Ett flertal landsting har redan färdiga eller pågående ackrediteringsprocesser för att kunna påbörja behandlingar (exv. SLL och VGR).

Utvecklingen av kommersiella ATMP:s är en möjlighet för terapeutisk innovation, men utgör även en stor utmaning för hälso- och sjukvården då de ställer höga krav på infrastruktur, logistik, medicinsk och farmaceutisk kompetens samt finansiering.

Förutsättningar

Regiondirektören fastställde december 2014 en utvecklingsplan för Life Science 2030 i Region Skåne. Visionen är att Region Skåne vara en ledare för regionala innovationsinsatser, med hälso- och sjukvården som hävstång för snabb tillväxt och innovation inom Life Science området. För att uppnå visionen har regionen identifierat fokusområden som har en potential att lösa hälsoutmaningar, medicinska behov och som har en framtida marknad. Precisionsmedicin är ett fokusområde i Region Skånes Life Science strategi. Precisionsmedicin syftar till att skräddarsy behandling till enskilda individer. Inom ramen för Life Science strategin beslutade regionfullmäktige (§ 72/15) att ge regiondirektören i uppdrag att bilda ett genterapeutiskt centrum.

Enligt Region Skånes läkemedelsstrategi ska Region Skåne erbjuda en medicinskt ändamålsenlig, säker och kostnadseffektiv läkemedelsbehandling av hög kvalitet till Skånes patienter, till nytta för patient och samhälle. Den enskilde patienten får rätt läkemedel i rätt dos, i rätt tid, på rätt sätt och på rätt vårdnivå.

I nuläget finns ett fåtal godkända ATMP och de är avsedda för ett ytterst begränsat antal patienter, men omfattningen kommer i närtid att öka kraftigt. Förväntningarna på sjukvården är att introduktionen ske snabbt och jämlikt i enlighet med den nationella modellen för ordnat införande av nya läkemedel. Användningen av dessa läkemedel kräver helt nya arbetssätt och strukturer avseende farmaceutisk kompetens och flöden. I den beslutade strategin för framtidens läkemedelsförsörjning finns beslut om att sjukhusbyggnaderna måste ge utrymme för framtida nya beredningsformer (t.ex. ATMP).

Skåne är väl rustat inom Life Science och har förutsättningar att konsolidera och utveckla regenerativ medicin. I Skåne finns den industriella bas, akademiska excellens och kliniska kunskap som är nödvändig för att kunna ta en position inom regenerativ medicin. Region Skåne har en unik position som enda finansär av hälso- och sjukvården i Skåne vilket möjliggör tillgång till patientdata, biobanksprover, och etablerade kliniker.

För att Region Skåne ska bli en framträdande aktör inom Life Science området måste regionen göra det attraktivt för hälso- och sjukvården att forska och delta i produktutveckling

Region Skåne måste därför fastställa mål och strategier inom området Avancerade Terapeutiska Medicinska Produkter. Utgångspunkten för detta är att skapa en ATMP strategi med det uttalade syftet att skapa en effektiv infrastruktur för behandling, forskning, produktutveckling och inom hälso- och sjukvården.

För att utveckla Skåne inom ATMP området deltar Region Skåne tillsammans med Lunds universitet och ett 30-tal andra aktörer i uppbyggnaden av ett nationellt forskningscentrum inom ATMP: CAMP. Centrumet stöds ekonomiskt av Vinnova under en uppbyggnadsfas på sex år

och målet är att Sverige ska bli världsledande på att utveckla produkter inom ATMP området.

Mål och strategier för ATMP i Region Skåne

Övergripande mål för Region Skånes ATMP strategi är att:

- Patienterna inom Södra Sjukvårdsregionen ska kunna delta i klinisk utveckling samt kunna få tillgång till marknadsgodkända ATMP-läkemedel
- Region Skåne ska kunna utföra alla typer av behandlingar med ATMP-läkemedel, både i klinisk prövning och som godkända läkemedel.

Strategier för att nå målen är att:

- Etablera ett kliniskt utvecklings- och behandlingscenter för avancerade medicinska terapier på SUS i Lund
- Etablera centrumet som en portal dit företag och akademi kan vända sig vid forskning och produktutveckling inom ATMP området.
- Att det regionala centrat för ATMP i Region Skåne har ett tydligt mandat, samordningsansvar, befogenheter och resurser för att kunna nå de övergripande målen
- Att utveckla aferes-verksamheten så att det finns kapacitet för materialframställning och terapeutisk intervention
- Att ha lokaler för administration, beredning och tillverkning av ATMP i kliniska studier och klinik.
- Att ta fram en utvecklings/affärsplanplan för hur Regions Skånes infrastruktur inom ATMP området kan användas för utveckling av hälso- och sjukvården samt för forskning, produkt- och tjänsteutveckling
- Att marknadsföra centrumet för forskning och produktutveckling
- Att ta fram en Region Skåne policy för utvärdering av alla icke etablerade/godkända behandlingar inom ATMP området.
- Att Region Skånes läkemedelschef får i uppdrag att bilda en biosäkerhetskommitté
- Att centrumet tillsammans med regionens regionala läkemedelsenhet (Område Läkemedel) tar fram en plan på hur läkemedelsförsörjningsbehoven av ATMP:s för forskning och klinisk rutin säkerställs.
- Att inom ramen för det nationella arbetet med ordnat införande att ta fram en plan för hur patienterna inom södra sjukvårdsregionen ska få tillgång till marknadsgodkända ATMP-läkemedel oavsett var de bor och vem som är deras behandlande läkare.
- Att tillsammans med ansvariga för Region Skånes arbete med ordnat införande av nya läkemedel ta fram ett ATMP-register för uppföljning av effekt och bieffekter av ATMP som även ska kunna

användas för forskning.

Organisation och infrastruktur

Regions Skånes utvecklings- och behandlingscentrum för Avancerade Terapeutiska Medicinska Terapier knyts organisatoriskt till Skånes universitetssjukhus (SUS) genom ett tydligt uppdrag. SUS ansvarar redan idag för de terapeutiska områden som är aktuella och för de kommande områdena för behandling med cell- och genterapi och därför förslås denna förvaltning få behandlings och utvecklingsansvar för ATMP-läkemedel i Region Skåne. Inom SUS finns också de verksamheter som har rätt kompetens för behandlingsbeslut, behandling, vård och uppföljning. Ansvar för att bygga upp en process för läkemedelsförsörjning och kvalitetssäkring i klinisk prövning och klinik läggs hos den regionala läkemedelsenheten (Område Läkemedel).

Ansvar för att myndighetsgodkända ATMP-behandlingar implementeras enligt processen för ordnat införande läggs hos den regionala läkemedelsenheten (Område Läkemedel) med stöd från centrat.

Det finns ingen tvingande lagstiftning om att inrätta en biosäkerhetskommitté men i AFS 2011:2 finns det en rekommendation att större organisationer ska bilda en sådan kommitté för bedömning och rådgivning avseende patientsäkerhet utifrån ett biosäkerhetsperspektiv samt arbetsmiljösäkerheten för personal, i enlighet med svensk lagstiftning.

”Tillverkning” av ATMP:s innefattar preparation av råmaterial och färdig produkt, testning, lagring och distribution samt spårbarhet från givare till patient. För detta behövs ett flertal olika tillstånd från Läkemedelsverket och andra myndigheter samt lokaler som är lämpliga för ändamålet tillverkning och beredning av cell- och genterapiprodukter.

På uppdrag av beredningen för framtiden sjukhus, (§ 35/17), har Bitr. Hälso- och sjukvårdsdirektören tagit fram ett förslag på ATMP strategi för Region Skåne. Utifrån den har Kliniska Studier Sverige – Forum Söder, SUS gjort en utredning om ett utvecklings- och behandlingscentrum för ATMP på uppdrag av Bitr. Hälso- och sjukvårdsdirektören och förvaltningschefen SUS. Tre olika delprojekt har identifierats:

1. Kliniskt utvecklings- och behandlingscenter för ATMP.

Centrumet är både en fysisk plats och en virtuell nätverksorganisation inom SUS. Centrumet kommer av och till att behöva tillgång till olika typer av klinisk expertis och andra specialister. För koordinering av centrumets verksamhet kommer det att behövas en medicinskt ansvarig och en koordinator med uppdrag att ansvara för koordinering av centrumets aktiviteter mot externa aktörer och andra verksamheter inom Region Skåne såsom den regionala läkemedelsenheten (Område Läkemedel), Region Skånes biobank, laboratoriemedicin, medicinska fakulteten och olika nationella projekt. Till centrumets kopplas en referensgrupp med kliniska specialister, forskare och specialister inom ATMP-utveckling med uppdrag att bidra med kunskap och kompetens till de olika aktiviteter som centrumet

genomför. Inom centrumet kommer det att behövas kompetenser inom olika områden, den kliniska finns redan inom SUS medan andra kommer att behövas rekryteras, framförallt inom kvalitetssäkring, regulatoriska frågor, GMP-tillverkning samt projektledare.

Centrumet kan bli en nod i nationella ATMP-projekt och få del av nationella satsningar. Med rätt marknadsföring kommer det också få in externa intäkter via uppdragsforskning, både kliniska studier men även materialframtagning för produktutveckling. Om Skåne blir en attraktiv region för Life Science-företagen att lägga sin produktutveckling i, kommer det att ha en positiv bieffekt på aktörerna inom området och andra näringar i Skåne som på sikt kan öka regionens skatteintäkter.

2. Tillverkningsenhet (GMP-facilitet).

Renrum av hög biosäkerhetsklass krävs för att SUS ska kunna tillverka cell, vävnads- och genterapi i tidig klinisk utveckling av nya ATMP. Även i senare kliniska fas III-studier finns det ofta ett eller flera slutsteg i tillverkningsprocessen, vilka måste utföras enligt god tillverkningssed (Good Manufacturing Practice, GMP), i nära anslutning till administreringen av ATMP-läkemedlet till patienten.

Inför administreringen kan det också ingå avancerade dosberedningssteg, som faller utanför ”iordningställande av läkemedel på klinik” och således betraktas som del av GMP-tillverkningen av ATMP-läkemedlet.

För att kunna medverka i kliniska ATMP-studier krävs det därför separata, ATMP-anpassade lokaler på SUS för tillverkning, bredning, kvalitetskontroll, förvaring, farmaceutiskt mottagande, expediering med mera.

Långsiktigt föreslås att ATMP-tillverkningsenheten (GMP-faciliteten) - på samma sätt som aferes och cellhantering (KIT)- ingår i den servicebyggnad som projekteras inom ramen för Region Skånes satsning ”Framtidens sjukvård”.

3. Uppföljning av ATMP.

Det finns ett behov av att över lång tid, livstid, följa upp de patienter som fått behandling med ATMP i klinisk prövning och som marknadsgodkända, för uppföljning av effekt och biverkningar. Det finns ett internationellt register som används sedan 1974 för registrering av patienter som genomgått stamcellstransplantation som kommer att användas av företagen för de två godkända CAR-T cells produkterna. Dock behövs ett lokalt alternativt nationellt läkemedelsregister för godkända och ATMP-läkemedel i klinisk prövning. Det bör utredas vilka krav som ett läkemedelsregister för godkända och ATMP-läkemedel i klinisk prövning ska uppfylla.

Ledning, uppdrag och mandat.

ATMP-centrumet placeras organisatorisk hos Skånes universitetssjukhus och leds av en medicinsk chef som under sig har en operationellt ansvarig ATMP-koordinator.

Centrum för Avancerade Terapeutiska Medicinska Produkter ("ATMP-centrum") vid Skånes universitetssjukhus har till uppdrag och mandat:

- i. Att kvalitetssäkra alla kliniska ATMP-projekt som genomförs vid Region Skånes sjukhus;
- ii. Att i samarbete med berörda verksamhetsområden, centrala enheter och servicefunktioner koordinera genomförandet (med avseende på tid, personella resurser och budget) av godkända ATMP-projekt, dvs. de projekt som ATMP-centrat rekommenderat;
- iii. Att samordna och höja ATMP-kompetensen inom hälso- och sjukvården i Region Skåne.

ATMP-centrum har Region Skånes mandat att utvärdera och prioritera ATMP-projekt inom Skånes sjukhus, dvs. att rekommendera vilka som får tillgång till resurser och support. Region Skånes sjukhusapoteksfunktion inom Område Läkemedel erfordras för delar av verksamheten och arbete kommer då att ske i samverkan med denna funktion. ATMP-centrum ska även fungera som en oberoende rådgivande och kvalitetssäkrande funktion, men formellt har verksamhetschefer det slutliga ansvaret för aktiviteter inom sin egen verksamhet.

Alla nya ATMP-projekt (dvs. projekt där patienter ännu inte behandlats eller som innebär användning av icke-etablerade behandlingar), vilka tar Skånes universitetssjukvårds resurser i anspråk, måste utvärderas av ATMP-centrum. Redan initierade projekt med ATMP-behandling som ges under det s.k. sjukhusundantaget bör utvärderas och strategiskt beslut tas om sådan behandling ska tillåtas. (För behandlingar som ges under sjukhusundantaget gäller andra försäkringsförhållanden och farmakovigilanskrav än vid klinisk prövning.)

Ekonomiska konsekvenser och finansiering

Region Skåne föreslås genomföra en satsning på en årlig driftskostnad om 3,7 miljoner för ett Kliniskt utvecklings- och behandlingscentrum för ATMP och 1,3 miljoner till Område läkemedel i årlig driftskostnad för kvalitetssäkring av läkemedelsförsörjningsprocesserna för ATMP samt 2 miljoner kronor i projektkostnader som en engångskostnad.

Dessutom behövs en satsning på 20 miljoner i investeringskostnader för en GMP facilitet med en årlig driftskostnad på 6,6 miljoner kronor.

Den utökade finansieringen beaktas i budget för 2020, där HSN finansierar driftskostnader och regionstyrelsen investeringskostnader.

Juridisk bedömning

Det finns en särskild lagstiftning kring vävnader och läkemedel och Region Skåne följer redan idag gällande lagstiftning inom områdena.

Miljökonsekvenser

Ett ordnat införande av nya läkemedel är positivt ur miljöhänsyn.

Samverkan med berörda fackliga organisationer

Samverkan/MBL-förhandling slutförs på regional nivå.

Uppföljning

Uppföljning sker genom att mäta måluppfyllelse för strategin

Övergripande mål för Region Skånes ATMP strategi är att:

- Patienterna inom Södra Sjukvårdsregionen ska kunna delta i klinisk utveckling samt kunna få tillgång till marknadsgodkända ATMP läkemedel.
- Region Skåne ska kunna utföra alla typer av behandlingar med ATMP, både i klinisk prövning och med godkända läkemedel.

Gilbert Tribo
Ordförande

Pia Lundbom
Hälso- och sjukvårdsdirektör