

Datasjöar för att möjliggöra bättre läkemedelsutveckling

Bakgrund

Framtidens sjukvård och läkemedelsindustri står inför stora utmaningar för att möta framtidens ökande vårdbehov. Industrin står återkommande tillväxtutmaningar som handlar om hantering av utgående patent vs. forskning och innovation, vilket kräver utveckling av nya och effektivare behandlingsformer. Detta kräver digitalisering som möjliggör bättre dataanalyser och beslutsstöd genom användning av datasjöar. Datasjöar är ostrukturerad datasamlingar som kan sorteras och analyseras (manuellt eller genom AI) för att skapa ett realistiskt och ett korrekt beslutsstöd. Datasjöarna möjliggör för en mängd av olika applikationer både inom vården och inom läkemedelsindustrin som tillsammans bidrar till att ge en så effektiv och korrekt behandling som möjligt då dessa intressenter får tillgång till bättre beslutsunderlag. Inom vården möjliggörs för applikationer för förbättrad kapacitet till preventiv vård där riskgrupper kan fångas upp innan sjukdom och därigenom minska lidande och vårdbehov för framtiden, vilket även minskar vårdkostnaden. I framtidens vård kan dessa typer av dataanalyser användas för att bättre bemöta det ökade behovet av precisionsmedicin där intressenterna behöver kunna koppla ihop genetiska data med olika typer av vårddata för att få en helhetssyn. I dialog med läkemedelsindustrin så är den närmsta applikationen från datasjöar rent tidsmässigt är möjliggörandet av effektiv och exakt läkemedelsutveckling genom utformning av bättre kliniska studier med hjälp av data från dessa.

De internationella lärdomarna från studier som undersökt kliniska studiers roll och betydelse för samhället pekar ut två gemensamma drivkrafter och två övergripande utmaningar. Goda förutsättningar för kliniska studier gynnar både folkhälsa (a) och ekonomisk tillväxt (b). Detta sker framför allt genom att fler och bättre behandlingar och innovativa produkter snabbare når patienter och tillgodoser medicinska behov – inte bara i det nationella sammanhanget utan även på globala avsättningsmarknader. I dagsläget tar dock vägen från forskaren till patientens sjukhussäng (c) för lång tid och (d) risken för misslyckanden, längs vägen är för stor. Brister i effektivitet och träffsäkerhet, kombinerat med ökande utvecklingstider och risker för utvecklingsmisslyckanden, leder till att mycket höga kostnader överförs på vårdmarknaden och vårdsystemets förmåga att bota svåra sjukdomar eventuellt inte hänger med i utvecklingen av växande vårdbehov och vårdkostnader. Detta följer av att en allt större och växande andel av många länders befolkning nu är äldre och lever längre än tidigare. Tillgång till data och välfungerande digitala strukturer – datasjöar - är nycklar för att hantera dessa utmaningar och möjligheter.

Utan möjlighet till att kunna koppla data från hälso- och sjukvården till läkemedelsutveckling leder till negativa effekter för såväl samhälle som företag som endast kommer förvärras

- Kostnaden för utveckling av läkemedel ökar och uppskattas nu till 3 miljarder USD från idé till marknadsgodkännande. Vilket innebär att antal läkemedel som kan utvecklas per miljarder USD (indexerat för inflationen) halveras vart nionde år.
- Upplägget av kliniska studier har stor risk att bli felaktig då den inte bygger på den verkliga bilden och behovet som finns i hälso- och sjukvården. Detta skapar en felaktig urvalsgrupp som inte reflekterar den verkliga patientgruppen.
- Det skapas problem för den verkliga effekten av olika typer av behandlingar som då medför att rätt läkemedelsbehandling inte ges till behövande patienter.
- Det uppstår bias i kliniska studier för att man endast ser det man söker efter vilket gör att man missar i andra indikationsområden och/eller bieffekter.

Det finns ett stort behov av att få tillgång till data för att möjliggöra dataanalyser och få förbättrat beslutsstöd och effektivare kliniska studier. Samtidigt genereras en stor mängd data inom Region Skåne som omfattar erfarenheter från behandling av patienter med de läkemedel som har använts i de olika kliniska studierna.

En annan besvärande negativ trend som vi ser i världen är en centraliserad globalisering av kliniska studier som drivs av behovet av att få tillgång till ett bra och stort patientunderlag. Läkemedelsföretag är tvingade att förlägga studier i länder och städer som har ett stort patientunderlag vilket medför en ojämnställd behandlingsmöjlighet globalt, nationellt och regionalt. Detta återspeglas i nedåtgående antal kliniska studier i mindre länder och regioner. Idag har vi i Sverige en negativ trend av minskat antal kliniska studier vilket på sikt även leder till minskade investeringar från näringslivet. Antalet kliniska studier har mer än halverats (mellan år 2004 och 2017) och näringslivet inom Life Science investeringar som andel av BNP minskade med hela 22% mellan 2001 och 2018 (källa Forska!, Sveriges rapport 14). För att motverka denna trend av centralisering av studier till länder med stor population så behövs bättre patientunderlag vilket dels möjliggörs av datasjöar som hjälper att identifiera patientgrupper dels genom att erbjuda digitala kliniska studier som ökar patientunderlaget ut till hela regionen, nationen eller till och med hela EU. Detta kommer inte bara minska centraliseringen men på lång sikt även bidra till en mer jämlik behandling för alla oavsett geografisk lokalisering. För läkemedelsindustrin kommer detta möjliggöra snabbare kliniska studier då patientrekrytering- o-inkludering går snabbare samt en mer effektiv hantering av den genererade data som redan finns tillgängligt digitalt. Allt detta leder till minskad kostnad för kliniska studier vilket bryter trenden av ökade kostnader för läkemedelsutveckling. För att möjliggöra digitala kliniska studier så behövs dock datasjöarna som första steg.

För att möta framtidens behandlingsbehov blir därför uppbyggande av datasjöar den centrala pusselbiten som möjliggör för korrektare och effektivare läkemedelsutveckling samt öppnar upp möjligheten att utföra digitala kliniska studier. En sådan realitet möjliggör för ökat antal kliniska studier genom att stoppa och reversera den pågående centraliseringen av kliniska studier som tidigare beskrivits. Genom att tillgängliggöra vårddata och implementera digitala strukturer som datasjöar, förbättras folkhälsan och skapar ökad ekonomisk tillväxt. Ett sådant arbete bygger på trippel helix-samverkan mellan sjukvårdshuvudmän, akademi och life science-bolag.

Datasjöar - framtida möjligheter och utmaningar

Möjligheter

Utveckling av datasjöar kan medföra nedanstående möjligheter för life science-sektorn.

Kostnadsminskning genom att:

- Minska resurserna som används för att samla in och integrera data från flera källor
- Kostnadsminimering för att rekrytera experter för att hantera datalager

Riskminimering genom att:

- Eliminera manuella eller kalkylbladsfel i datahantering
- Automatiserad dataåtkomst och därigenom ta bort manuell dataavstämning

Öka konkurrensfördelar genom att:

- Sätt fast beslutsprocessen (med mer noggrannhet och precision) genom att:
 - Göra resursfördelning på ett smart sätt
 - Skapa en datapool/kunskapsbas för bästa praxis

Skapa obegränsade möjligheter för life science-sektorn genom att:

- Datasjöar är en skalbar och flexibel lagringsstruktur för alla typer av strukturerade, ostrukturerade, externa och interna data. Det ger otaliga möjligheter för Forskning och Innovation inom life science-sektorn.

Omfattande ledningsstrukturer för hälso- och sjukvård genom att:

- Datasjöar tar in en kombination av teknik och analys som kan användas för att skapa effektiv ledning av hälso- och sjukvården. Detta kommer att göra det möjligt för leverantörer att förbättra sina tjänster, fatta exakta beslut, snabba upp vårdprocesserna och skapa hälsosystem av bästa kvalitet.

Bearbetning av enorma mängder data genom att:

- Med datasjöar, oavsett hur mycket nya data som genereras, kan data bearbetas i realtid enkelt och noggrant. Dessutom går data i obearbetat format aldrig förlorade i en datasjö, så det går alltid använda den för mer datautvinning.

Förbättrade förutsättningar för Forskning och Innovation genom att:

- Externa och interna data hålls samman på ett ställe och med enkel tillgång till alla register förbättra forskningen och utvecklingen av nya läkemedel, vårdprocesser och utrustning.

Ökad hastighet för dataåtkomst och frågebehandling genom att:

- Sektorns aktörer kan komma åt data och utföra frågor och få svar med hög hastighet. Datasjöar tar bort redundans, integrerar alla källor och förbättrar frågebehandlingen och svar.

Motverkar centraliserade globaliseringen av kliniska studier

Datasjöar lägger den grundläggande infrastrukturen som krävs för att göra digitala kliniska studier vilket leder till att

- Bättre patientrekrytering-och-inkludering i kliniska studier genom att man minskar påverkan av geografiskt läge för patienten att vara med i studien.
- Lättare för internationellt näringsliv att genomföra kliniska studier utan att dessa aktörer befinner sig fysiskt på plats i Sverige
- Jämställdare behandlingsmöjligheter för alla patienter

Utmaningar

Om vi inte utvecklar datasjöar kan nedanstående utmaningar för life science-sektorn uppkomma:

Patientpopulationer

- Brist på data gör att framtida patientgrupper ej är representerade av studiegruppen i den kliniska studien vilket kan ge osäkra bi- och földeffekter av läkemedlet. Ett exempel är att fel åldersgrupp representeras i studien givet komplexiteten av regional rekrytering. Med digitala studier så kan man rekrytera rätt gruppering utan att vara låst vid en viss geografisk plats där representation kan saknas.

Dyrare läkemedel

- Läkemedel blir oskäligt dyra p.g.a höga kostnader i fas 1 och fas 2 utvecklingen. Detta utgör ett direkt hinder för företagen att växa samt gör att många läkemedel inte når marknaden.

Ojämlik vård

- Ojämlig vård med en fortsatt ökad trend av centralisering av kliniska studier där geografisk placering påverkar möjlighet till bästa behandlingsform och senaste innovationen. Detta lever även till bristande samarbete mellan privat och offentlig sektor p.g.a. geografiska restriktioner. Digitala studier möjliggör samarbete oavsett vart i världen olika aktörer befinner sig. Detta innebär bl.a. att Sverige kan attrahera kliniska studier från en ny position.
- Minskade investeringar
- Minskat antal nationella investeringar i infrastruktur för forskning inom kliniska studier givet en smal målgrupp som endast nås regionalt och/eller nationellt. Genom digitala kliniska studier går det att nå en större målgrupp (ej låst till geografi), vilket leder till en ökad investeringsvilja.

Förutsättningar gällande data

Användning av data i datasjöar ska inte kompromissa med integriteten och därför kommer pseudonymiserade data vara centralt för detta projekt. Samtidigt möjliggör detta att man minskar den snedfördelning som data kan få om man endast kan se på data som har patientgodkännande. Vid en lyckad pseudonymisering av individuella data kan individen inte knytas till de data som den genererat men data från en och samma individ kan korreleras till den individens parametrar men ej individen i sig själv. Patientgodkännande ger inget integritetsskydd i sig men ger data som inte representerar populationen (s k snedfördelning). Med andra ord kan man inte använda dessa data för artificiell intelligens (AI) eller mer avancerade analyser.

Inom hälsodataområdet finns lagar som hindrar pseudonymisering. Detta är exempelvis EUs dataskyddslagstiftning, General Data Protection Regulation (GDPR), som är en ramlag där gränserna för omfattningen är oklar och där det finns ett stort behov av att skapa tekniska/legala lösningar hur man skall kunna använda stordata men samtidigt skydda patientens dataintegritet. I dagsläget klassas Pseudonymiserad data som personuppgifter enligt GDPR och omfattas av patientdatalagens begränsningar. Justitieombudsmannen (JO) har i ett fall kritiserat datadelning med pseudonymiserade data med argumentet att även denna typ av data är att betrakta som personuppgifter.

Därmed finns ett behov av att utveckla en pseudonymiseringsstrategi för patientdata som förhåller sig till GDPR i syfte att skapa ökade möjligheter för datadelning genom utveckling och etablering av datasjöar.

Syfte och målsättning

Syftet med projektet är att etablera datasjöar i Region Skåne för att möjliggöra dataanalyser för bättre läkemedelsutveckling genom att möta behandlingsbehov samt behov av digitala kliniska studier. Detta kommer att a) stärka industrins möjligheter att effektivisera läkemedelsutvecklingen/ användningen, b) förbättrad hälso- och sjukvård genom att skapa säkrare användning av läkemedel för patienterna, c) bidra till att Skåne utvecklas till ett centrum för mer avancerad läkemedelsutveckling, d) bidra till ekonomisk tillväxt.

Projektets övergripande målsättning är att genom etablering av datasjöar i Region Skåne ändra den nedgående trenden av antalet läkemedelsstudier genom att förbättra läkemedelsutvecklingen med vårddata som reflekterar realistiska behandlingsbehov samt möjliggöra digitala kliniska studier.

Aktiviteter

För att uppfylla projektets syfte och mål kommer projektet att inbegripa tre arbetspaket.

Arbetspaket A: Beslutsstruktur

Bygga en beslutsstruktur av medicinsk, IT och legal expertis för att kunna hantera en skapad struktur av datasjöar. För att få en fungerande datasjö måste behov och begränsningar från alla intressenter (hälso- och

sjukvård, IT, nationella lagar, patient, läkemedelsföretag, etc) kartläggas och krav för behovsuppfyllelse definieras.

Arbetspaket B: Pseudonymisering

Utveckla en pseudonymiseringsstrategi av patientdata som medger arbete på data fortlöpande i dessa datasjöar med bibehållet integritetsskydd/anonymitet för individen från de data den genererat.

Arbetspaket C: Teknisk utveckling

Utveckla teknisk lösning och infrastruktur för att etablera datasjöar av de kliniska data vi har tillgängliga inom Region Skånes sjukvårdsdata.

Nästa steg

Med etableringen av datasjöar så har vi den tekniska möjligheten att skapa digitaliserade kliniska studier där tekniken kan användas för att mer effektivt samla in den data som digitala kliniska studier genererar.

Projektorganisation (Under formering)

Projektägare: Stefan Jovinge, Forskningschef Skånes universitetssjukhus

Projektledare: Invest in Skåne

Projektdeltagare: Region Skåne: Skånes universitetssjukhus, avdelning forskning och utbildning, Digitalisering, IT, MT, VO Utveckling och gemensamma funktioner, Koncernkontoret, enheten juridik.
Övriga deltagare: SmiLe incubator, LIF – de forskande läkemedelsföretagen, Sweden bio.

Projektfinansiering

Totalbudget: 20-25 milj sek.

Eruf: 8-10 miljoner sek

Medfinansiering: In-kind: Region Skåne (3-6 milj sek/år). "Cash": RUN: 1-2 milj sek/år, Invest 1 milj sek.