Uppstart av barnonkologiska studier

Nationell enhet för Uppstart av Behandlingsprotokoll inom Barnonkologi (NUBB)

2025-09-29 Version: 1.0

REGIONALA CANCERCENTRUM I SAMVERKAN

Versionshantering

Version	Datum	Förändring
1.0	2025-09-29	Första version

Rekommendationer utarbetade av nationell arbetsgrupp och fastställda av Regionala cancercentrum i samverkan 2025-09-29.

Beslut om implementering tas i respektive region i enlighet med överenskomna rutiner.

ISBN: XXXXXXXX

september 2025

Innehållsförteckning

Uppstart av barnonkologiska studier **1**
Nationell enhet för Uppstart av Behandlingsprotokoll inom Barnonkologi (NUBB) **1**

Kapitel 1 ..... **4**
Bakgrund och metod **4**

1.1 Introduktion 4
1.2 Bakgrund 4
1.3 Mål och syfte 5
1.4 Metod 5

Kapitel 2 ..... **8**
Resultat **8**

2.1 Workshop barnonkologi 8
2.2 Omvärldsbevakning 9
2.3 Huvuduppdrag – koncept kliniska studier 15

Kapitel 3 ..... **19**
Diskussion **19**

3.1 Workshop barnonkologi 19
3.2 Omvärldsbevakning 19
3.3 Huvuduppdrag – koncept kliniska studier 20
3.4 Framtid 22

Kapitel 4 ..... **23**
Rekommendation och slutsats **23**

4.1 Organisation 23
4.2 Fortsatt arbete 23

Bilaga 1 ..... **25**
Underlag från referensgruppsmöte 1 ..... **25**

Menti-frågor 25
Gruppering av resultat 26

KAPITEL 1

Bakgrund och metod

1.1 Introduktion

Barnonkologin har sedan decennier drivits framåt genom välkoordinerade multinationella kliniska fas 3 prövningar med en enkel randomisering mellan två armar (”behandlingsstudier”), nästan uteslutande med akademisk sponsor. Detta utvecklas nu mot mer komplexa plattformsstudier med fas 2-3 upplägg inkl. nya målinriktade läkemedel, biologiska substudier, QoL studier och möjligheter att addera nya behandlingsarmar efter hand. Kraven på kompetens och resurser för att starta upp dessa på ett koordinerat och effektivt sätt ökar parallellt.

Svensk barncancervård har även kännetecknats av ett långtgående samarbete över landet och viljan att bibehålla detta är stark. Vi har en stark infrastruktur inom avancerad multiomisk diagnostik genom GMS-projekten, men en svagare för kliniska prövningar.

1.2 Bakgrund

Uppdraget att arbeta med kliniska studier ingår som ett delmål i handlingsplanen 2023–2025, Utvecklingsområden inom barncancervården. I detta uppdrag ingår följande punkter:

1. Verka för en jämlik tillgång till precisionsmedicin, nya läkemedel och kliniska studier för barn och unga i hela landet, i samverkan med projekt GMS Barncancer.
2. Verka för jämlika möjligheter för barn att delta i kliniska läkemedelsstudier.
3. Stödja samverkan inom barnonkologins nätverk för kliniska studier samt med gruppen Kliniska Studier Sverige.
4. Ta fram en förtydligad och förenklad arbetsprocess för uppstart av studier vid barncancercentrum i Sverige.

I en workshop 2024-09-03 beslutades att utforska möjligheter att skapa en gemensam administrativ enhet, gärna i form av ett virtuellt kontor, för att stötta uppstart och kliniska prövningar i Sverige. Syftet med en sådan enhet

skulle vara att öppna behandlingsprotokoll och studier på ett effektivare sätt, vilket bl a möjliggör fler inkluderade patienter nationellt men också att huvudansvaret för ett protokoll/studie i större utsträckning kan ligga på ett mindre enheter.

Syftet är även att möjliggöra decentraliserade studier där patienter från hela landet kan delta, antingen på en studiesite eller på en satellitsite som är knuten till ett studie-site.

För att arbeta effektivt med frågan beslutades att skapa en liten arbetsgrupp med tre personer som bereder frågorna. Det beslutades även att skapa en referensgrupp med representation från alla enheter i Sverige.

1.3 Mål och syfte

1.3.1 Effektmål

Syftet med arbetet är att skapa ökade möjligheter för barncancerpatienter i hela landet att delta i kliniska studier och läkemedelsprövningar, bland annat genom att underlätta en snabbare uppstartsprocess

1.3.2 Uppdragsmål

De uppdragsmål som togs fram för arbetet var följande.

- Ge konkreta förslag på hur konceptet med en gemensam administrativ enhet skulle kunna formas.
- Ge specifika förslag på vilka frågor denna gemensamma administrativa enhet skulle kunna arbeta med.
- Ge förslag på vilka kompetenser som skulle behöva ingå i en gemensam administrativ enhet, inklusive anställningsformer.

Dessa mål följs upp i diskussionen.

1.4 Metod

Arbetet har i huvudsak genomförts av en arbetsgrupp bestående av tre personer. Till det har en referensgrupp kopplats där varje barncancerenhet har nominerat in en person från respektive ort. Arbetsgruppen hade en avstämning med styrgruppen vid start av projektet samt i samband med avslut innan slutredovisning för Nationell Arbetsgrupp Barncancer (NAG Barncancer).

Tabell 1. Organisation

Roll	Namn	Tillhörighet	Gruppering
Projektägare	Frans Nilsson	NAG Barncancer	Styrgrupp
Projektägare	Cecilia Langenskiöld	NAG Barncancer	Styrgrupp
Projektmedlem, sammankallande	Sofie Holmgren	Umeå	Arbetsgrupp
Projektmedlem	Sofie Garpemo	Stockholm	Arbetsgrupp
Projektmedlem	Torben Ek	Göteborg	Arbetsgrupp
Referensperson	Ulrika Norén Nyström	Umeå	Referensgrupp
Referensperson	Catarina Träger	Uppsala	Referensgrupp
Referensperson	Tomas Bexelius	Stockholm	Referensgrupp
Referensperson	Lisa Törnudd	Linköping	Referensgrupp
Referensperson	Eva-Lena Pommer / Jenny Gustafsson	Göteborg	Referensgrupp
Referensperson	Annika Björne Fors	Lund	Referensgrupp
Processtöd	Helena Elieson	RCC	Adj Styrgrupp, Referensgrupp

Källa: Projektplan Koncept Kliniska Studier

Arbetsgruppen har haft veckovisa avstämningar där arbetet har kunnat stämmas av och till dessa möten har det bjudits in olika personer som kunnat bidra till arbetet för att hjälpa till med framför allt omvärldsbevakningen.

Vid fyra tillfällen under våren har arbetsgruppsmötet bytts ut mot referensgruppsmöte. Där har arbetsgruppen haft möjlighet att stämma av nuläge med referensgruppen samt tillsammans med referensgruppen planerat för väg framåt.

1.4.1 Omvärldsbevakning

Omvärldsbevakningen var en av delarna som specificerades i uppdragsbeskrivningen och delades upp i följande steg.

- Ta vara på erfarenheter från uppstart av studier

- Utforska andra erfarenheter av decentraliserade studier i Sverige, Norden, EU, ITCC-nätverket, övriga barnsjukvården, NOPHO samt vuxenonkologin
- Utforska andra initiativ, exempelvis Läkemedelsverkets uppdrag rörande SweTrial och NASTROS arbete med gemensamma och förenklade mallar och avtal
- Fortsätta dialog med LIF och genom dessa med företrädare för olika läkemedelsföretag.
- Formulera vilka frågor vi ”äger” och vad vi kan göra, samt vilka redan pågående initiativ inom barnonkologin som vi skulle kunna delta i

För att kunna besvara på dessa frågor har arbetsgruppen använt sig av egna tidigare erfarenheter, referensgruppen samt bjudit in externa personer som inom respektive kompetensområde har kunnat svara på frågor kopplade till sitt/sina områden.

KAPITEL 2

Resultat

2.1 Workshop barnonkologi

I september 2024 samlades representanter från alla Barncancerenheter. Bakgrunden till workshopen handlade om hur vi bäst kan organisera oss för att möjliggöra jämlik tillgång till nya läkemedel för barn och unga i hela landet. Intentionen var att skapa samsyn kring vad vi vill åstadkomma inom området och enas om en gemensam syn på hur vi ska organisera oss i Sverige.

Under dagen arbetade man både i mindre grupper och i storgrupp kring frågor om hur man bättre, snabbare och effektivare öppnar behandlingsprotokoll. Utöver det genomfördes en SWOT-analys om centralisering av administrativt uppstartsarbete som redovisas nedan.

Styrkor	Svagheter
• Minskad administrativ börda, effektivisering • Ökad kvalité och samlad kompetens • Snabbare uppstart av protokoll • Fler tillgängliga PI:s	• Stabil finansieringsmodell krävs • Inga gemensamma IT lösningar • Saknar lokal kännedom • Lägre datakvalité vid ovana arbetsuppgifter • Jurist avtal är inte centraliserat
Möjligheter	**Hot**
• Bättre/större vana vid sponsorkommunikation • Horisontell prioritering via PHO och VPG • Minskad transport av patienter mellan sjukhus • Ökad deltagande, fler möjliga studier, ökat antal inkluderande patienter • Compassionate use • Driva strategiska frågor • Samverkansmonitorering	• Samordnad administration kan bli en flaskhals • Tappar lokal kompetens • Ej attraktiva för läkemedelsbolagen, ”besvärliga” • Overload av öppna protokoll

Resultatet av dagen blev att detta projekt tillsattes för att gemensamt formulera vilka frågor vi ”äger” och vad vi kan göra, exv. beskriva konceptet virtuell enhet, ta fram mallar, diskutera med läkemedelsbolagen osv.

2.2 Omvärldsbevakning

En stor del av arbetet har syftat till att genomföra en omvärldsbevakning. Följande personer har intervjuats för att kunna svara på frågeställningarna nämnda i metodavsnittet.

- Ruta Tuckuviene, läkare vid kliniska prövningsenheten för barn och ungdomar, Rigshospitalet Köpenhamn
- Elinor Pejryd, avtalsjurist Karolinska Universitetssjukhuset
- Marja-Liisa Lammi Tavelin, projektledare för Kliniska Studier Sveriges projekt rörande Satellitsites.
- Daniel Öhlund och Linda Gee, huvudansvarig prövare respektive forskningskoordinator för ESPAC-6 som använder sig av satellitsites

Utöver ovan nämnda personer har även referensgruppen och arbetsgruppens tidigare erfarenhet varit till hjälp för att besvara frågorna nedan.

2.2.1 Ta vara på erfarenheter från uppstart av studier

2.2.1.1 Nuläge inom barnonkologin

Deltagande i multinationella kliniska prövningar fas 2-3 beslutas inom barnonkologins nationella arbetsgrupper[1], oftast efter studieförslag från internationella studiegrupper där en svensk barnonkolog är representerad. En svensk koordinerande PI utses, och vidare utses ansvariga prövare vid de barncancerenheter som ska delta i studien. I några fall startas prövningen där en svensk enhet är sponsor, vilket innebär en mycket större arbetsinsats. En nationell genomgång och enkätundersökning gjordes 2020 på initiativ av Barncancerfonden, och resultaten visade att c:a 25 kliniska behandlingsstudier var i aktiv fas i Sverige, varav ungefär hälften var öppna för inklusion. Genomsnittligt var tiden från att en prövning öppnas för inklusion internationellt tills den öppnades i Sverige 3 år. Det betyder att många svenska barn behandlas utanför en studie av många olika skäl.

[1] Svenska barnleukemigruppen(SBLG), Vårdplaneringsgruppen för solida tumörer hos barn (VCTB) och Vårdplaneringsgruppen för CNS-tumörer hos barn (VSTB)

2.2.1.2 Erfarenheter från Rigshospitalet i Köpenhamn

I mars 2025 besökte delar av BCC Stockholm Rigshospitalet i Köpenhamn för att utbyta erfarenheter kring arbete i och kring kliniska studier. Det besöket var givande varför ett digitalt möte mellan arbetsgruppen och Ruta Tuvickiene, barnonkolog i Danmark, genomfördes där Ruta berättade om den danska processen kring uppstart av behandlingsprotokoll.

Danmark bedriver barnonkologiskt arbete vid fyra orter (Köpenhamn, Århus, Odense, Aalborg). I Köpenhamn och Århus behandlas barn med alla typer av cancer medan det i Odense och framför allt Aalborg endast är vissa diagnoser som behandlas. Under sin cancerbehandling görs all behandling på någon av dessa orter, inga patienter behandlas på mindre hemsjukhus.

2020 gjordes en ansökan till danska barncancerfonden för att starta upp en nationell prövningsenhet för det de kallar för ”front line”-behandling, hos oss behandlingsprotokoll. Ansökan görs nu varje år för ekonomiskt stöd till enheten. Prövningsenhetens uppdrag är att utföra allt administrativt arbete kopplat till uppstart av studien inklusive ansökningar men också arbetet med registrering i CRF och annat regulatoriskt studiearbete när studien väl startat. Legalt stöd och budgetarbete ingår inte i enhetens uppdrag men legalt stöd finns via Rigshospitalet i Köpenhamn. Monitorering sker inte heller via den nationell prövningsenheten utan via specifika GCP-enheter runt om i landet.

Vid enheten är två regulatoriska specialister anställda på heltid. Utöver det har enheten en läkare på 25% vars uppdrag är att stödja de regulatoriska experterna i mer övergripande frågor kopplat till prövaransvaret och medicinska frågor men även att stötta innan/under/efter kontakt med utsedd huvudprövare. Enheten är placerad på Rigshospitalet i Köpenhamn där alla även är anställda.

Enheten har möjliggjort fler uppstartade studier i Danmark. När enheten öppnade hade Danmark öppnat 60% protokoll av de möjliga protokollen. Nu 2025 är alla inkomna protokoll öppna nationellt (eller är i pågående öppningsarbete). Upplevelsen är att det går snabbare att öppna studier nu tack vare den nationella prövningsenheten. Det är även fler som kan tänka sig att ta på sig det nationell PI-ansvaret när den administrativa bördan har minskat för den rollen. Tidigare var det oftast prövare vid Rigshospitalet som hade det ansvaret men nu börjar det även fördelas ut till prövare vid övriga orter.

För informationsöverföring och erfarenhetsutbyte har den nationella prövningsenheten månatliga möten med PHO ledning, kvartalsmöte med enheterna vid de övriga orterna samt kvartalsbrev och en årlig, fysisk temadag.

2.2.1.3 Juristarbete

Arbetsgruppen bjöd in Elinor Pejryd, forskningsavtalsjurist på Karolinska universitetssjukhuset, till ett möte för diskussion kring vad som behövs för nationell samsyn kring juridiska frågor kopplade till uppstart av behandlingsprotokoll.

Många gånger kan det legala arbetet fastna kring GDPR och olika sjukhus/regioners inställning till att vara personuppgiftsansvarig vs personuppgiftsbiträde.

I det nationella arbetet med frågor kopplade till ATMP (Advanced Therapy Medicinal Products) finns en grupp där Elinor är med och jobbar fram både nationella och regionala avtal. Även inom samarbetet Kliniska Studier Sverige träffas jurister från Sveriges universitetssjukhus och diskuterar frågor rörande avtal. Juristerna på Karolinska universitetssjukhuset är positiva till att hjälpa till i arbetet med att ta fram förslag på en gemensam mall för samarbetsavtal. Våren 2025 skickade Annie Johansson, jurist på Karolinska, ut ett mejl till andra jurister från samtliga 6 regionsjukhus för att få input kring avtalsmall och så småningom försöka nå konsensus kring hur ett sådant avtal skulle kunna se ut. Här är ännu ingen slutversion nådd. Juristerna vid Karolinska universitetssjukhuset är också positiva till att konsulteras i frågor rörande nationella avtal så länge uppdraget kommer ifrån någon inom organisationen (K).

2.2.2 Utforska andra erfarenheter av decentraliserade studier i Sverige, Norden, EU, ITCC-nätverket, övriga barnsjukvården, NOPHO samt vuxen-onkologin

Satellitsites är en typ av decentraliserad studie där ett huvudsite, som tecknar avtal med sponsor, har flera mindre satellitsites kopplade till sig. Inom samarbetet Kliniska Studier Sverige har det genomförts arbete, projektlett av Marja-Liisa Lammi Tavelin, för att definiera satellitsites och hur det kan appliceras i Sverige. Det arbetet har även tagit fram stöddokument som kan hittas på följande länk[1]. Ett satellitsite definieras som ett site som samarbetar med ett huvudsite enligt tydliga avtal och kommunikationsplaner. Ett satellitsite ska ha studiepersonal med erforderlig kompetens för att kunna utföra studierelaterade åtgärder utifrån respektive studies behov.[1] Ett satellitsite ska göra ett begränsat antal studierelaterade uppgifter, de får inte göra allt. Om det gör allt blir det ett regelrätt site. Att använda sig av satellitsite vid en klinisk

prövning kräver att det skrivs in i protokollet så det finns med vid ansökan till myndigheterna. Det kräver även mycket administration från start då avtal mellan huvud- och satellitsite, kommunikationsplan och risk- och konsekvensanalys måste sättas upp för att definiera vem som gör vad och identifiera de risker som kan finnas i prövningen. Administrationen minskar dock vid kommande studier då en hel del av underlagen kan göras generiska och återanvändas.

2.2.2.1 ESPAC-6

En studie som har börjat arbeta med satellitsites är ESPAC-6, en onkologisk studie inom pancreascancer. Det är en akademisk studie med huvudsponsor i Tyskland. Svensk ansvarig prövare är Daniel Öhlund vid Norrlands universitetssjukhus i Umeå och han bjöds in till ett av arbetsgruppens möten tillsammans med Linda Gee som är forskningskoordinator för studien.

Vid tidpunkten för mötet hade endast ett huvudsite öppnats i Sverige, i Umeå. Till det har det kopplats satellitsites i övriga huvudsjukhus i Norra sjukvårdsregionen; Sundsvall, Östersund och Sunderbyn. Tanken är att det även ska öppna ytterligare site i resten av Sverige.

För att det ens ska vara möjligt att starta upp satellitsites så måste protokollet vara skrivet på ett sådant sätt så satellitsites möjliggörs. I praktiken fungerar dessa sjukhus tillsammans som ett site men där studiearbetet görs på flera olika platser med olika juridiska huvudmän. Det gör att själva uppstarten blir administrativt krävande där mycket behöver bli klart innan studien kan startas upp. Därför initierades arbetet med att flera olika avtal och processer sattes upp.

> **Flödesschema**
>
> Protokollet behöver brytas ned för att kunna skapa ett flöde för vem som ska göra vad.

Till Flödesschemat kan sedan instruktioner skrivas för de olika momenten. Personal vid satellitsite har i många fall mindre vana vid studierelaterade arbetsuppgifter varför kompletterande instruktioner för respektive moment kan underlätta. Utifrån flödesschemat avgörs vilka delar som respektive satellitsite kan genomföra och därefter kan avtalen skrivas.

För ESPAC-6 valde de till exempel att:

- Endast huvudsite har tillgång till e-CRF, satellitsite använder sig av pappers-CRF.

- Om AE identifieras på satellitsites meddelar de huvudsite via fax som tar vid och meddelar sponsor samt registrerar i eCRF. Ev SAE meddelas via telefon.

Ansvars- och ersättningsfördelning

Utifrån flödesschemat kan sedan ansvars- och ersättningsfördelning tas fram som är en del av avtalet mellan huvud- och satellitsite. Det reglerar vilket site som ansvarar för vilken uppgift samt vilken ersättningskvot respektive moment bör få. Efter det kan ersättningen till satellitsiten beräknas.

ESPAC-6 hade skapat ett mycket detaljerat underlag rörande ansvar- och ersättningsfördelning. De tyckte att det underlättade vidare arbete men tog tid att ta fram. Avtalet var dock lätt att skriva efter att flödesschema och den detaljerade ansvars- och ersättningsfördelningen redan var skriven.

Kommunikationsplan

För att specificera kommunikationen kopplat till det definierade flödet behöver även en kommunikationsplan tas fram. Den definierar vem som ska kontakta vem och när det ska göras.

Mycket av arbetet bygger på personlig kontakt enligt Daniel och Linda. Det gäller att skapa goda rutiner. Kommunikationsflödet kan vara en del av flödesschemat men det underlättar om det även finns som ett separat dokument. Utöver de tillfällen som definieras i kommunikationsplanen så planerar ESPAC-6 att även ha inplanerade veckomöten med satellitsiten för att enkelt fånga upp behov.

Utöver kommunikationsplanen har en kommunikationslogg tagits fram för att tydligt spåra vilken kommunikation som skett mellan siten.

2.2.2.2 ITCC

ITCC (Innovative Therapies for Children and Adolescents with Cancer) är ett europeiskt konsortium för att starta tidiga kliniska prövningar inom barncancer. I det samarbetet drivs ett delprojekt ”Decentralised clinical trial elements”, som bl a har influerats av erfarenheter från Kanada. Kanada har ett hälsosystem som liknar de europeiska, och en geografi som liknar Sveriges med stora rurala områden och samtidigt större städer. Där har de använt sig mycket av telemedicin för att tillgodose patientens önskemål om vård nära hemmet och har skapat ett regelverk (Canadian Remote Access Framework for Clinical

Trials (CRAFT) Recommendations) med rekommendationer inom åtta delområden för decentraliserade studier:

1. Infrastruktur, personal, system
2. Kostnader och finansiering
3. Studieplanering
4. Riktlinjer för att möta regulatoriska krav
5. Etik
6. Patientintegritet (dataskydd)
7. Avtal
8. Kommunikation och styrning

I enstaka ITCC studier har de försökts inkorporera en plan för decentraliserade element i studiedesignen, men ingen sådan studie är ännu öppnad.

Det finns dock ett exempel på ITCC-studie med decentraliserade inslag utan att avtal kring det har skrivits. I ”Biomede 2.0”-studien har Sverige endast ett site öppet till dags dato. Ändå får patienterna sin strålbehandling och annan rutinvård på sitt hemsjukhus och kommer endast till site för inkludering/start av medicinering och därefter en gång/månad. Trots att barnen behandlas enligt protokoll på hemsjukhus så kallas det inte satellitsites. Detta för att sjukhus och personal endast utför den rutinsjukvård som patienten fått även om den inte hade varit med i studien.

2.2.3 Fortsätta dialog med LIF och genom dessa med företrädare för olika läkemedelsföretag.

Trots upprepade försök att nå LIF så lyckades inte projektgruppen få till en avstämning. Punkten har därför utgått från omvärldsbevakningen.

2.2.4 Formulera vilka frågor vi ”äger” och vad vi kan göra, samt vilka redan pågående initiativ inom barn-onkologin som vi skulle kunna delta i

Genom att bryta ned öppnandet av studier i mindre delar så synliggörs att besluten tas på olika nivåer:

Utbud av studier

Företagen bestämmer till stor del själva, men vissa försök till styrning mot mera barnanpassade studier görs på internationell nivå, t ex EMA (European medicine agency), ITCC, SIOP (International Society of

Pediatric Oncology) Europas Clinical Trials Group. Akademiska studier sprids mera brett över hela Europa och det är i många fall så att sponsorn försöker värva olika nationella organistaioner för att få så stort underlag som möjligt.

Förfrågan

Vilka studier som svensk barnonkologi tillfrågas om styrs till en del slumpmässigt. Tillexempel i de fall när barnonkologer sitter i internationella grupper så går frågan ibland till dem först och inte via PHO.

Prioritering av studier

Görs av PHOs arbetsgrupper eller ITCC Sverige

Studieadministration

Att lösa studieadministrationen är oftast det mest krävande steget. Det är i det steget flest studier avbryts innan uppstart. Studieadministrationen kan underlättas genom förslag i den här rapporten.

Genomförande

Sköts genom respektive barnonkologisk enhets prövningsansvariga.

En slutsats är att vi måste utöva mer inflytande tidigt i processen för att öka decentraliserade studiemoment. Detta bör vara ett prioriterat mål för framtida arbete.

2.3 Huvuduppdrag – koncept kliniska studier

Arbetsgruppens och referensgruppens slutsats och rekommendationer baseras på nedan angivna möten och resultaten från dessa.

2.3.1 Referensgruppsmöte 1 – 250205

Uppstartsmötet för projektet skedde tillsammans med styrgruppen den 15 januari 2025. Ett uppdragsdirektiv hade tagits fram (bilaga 1) som sedan låg till grund för den projektplan som arbetsgruppen skapade. Projektgruppen hade då redan startat upp sitt arbete med en workshop i mitten på december 2024 för att definiera arbetsroller och en översiktlig planering för projektet.

Inför mötet ställdes ett antal frågor:

- Vad anser du är de största anledningarna till att det tar tid att starta upp behandlingsprotokoll i Sverige?
- Vilken del av uppstartsprocessen ser ni är viktigast att få hjälp med?

- Hur ökar vi inklusionen i studier för barn i hela Sverige?

Svaren redovisades i ordmoln som finns i bilaga 1. Sammanfattat är det fyra kategorier av utmaningar som referensgruppen ser som anledning till att det tar tid att starta upp behandlingsprotokoll i Sverige. För mer detaljer, se bilaga 1.

1. Läkar-/prövarbrist
2. Juridiska utmaningar
3. Regulatoriska frågor kring framför allt ansökningar
4. Processer och logistik

Vid första referensgruppsmötet redovisades även mötena rörande satellitsites samt ***juridiska frågeställningar*** som nämns i omvärldsbevakningen.

2.3.2 Referensgruppsmöte 2 – 250319

Resultatet från första referensgruppsmötet processades av projektgruppen där punkt 2–4 anses kunna lösas av en central enhet med rätt kompetens och kan på så sätt avlasta prövarna vilket indirekt skulle lösa punkt 1.

Den sammanfattande redogörelsen redovisades och diskuterades. En kommentar från referensgruppen var att det är viktigt att definiera vad virtuell enhet betyder och hur den organiseras.

Vid andra referensgruppsmötet redovisades mötena rörande ESPAC-6, onkologstudien med satellitsites.

2.3.3 Referensgruppsmöte 3 – 250507

Efter referensgruppsmöte 2 påbörjades arbetet i projektgruppen mot ett färdigt förslag. De frågeställningar som ansågs behöva belysas listades och diskuterades. Dessa frågeställningar med en rekommendation på lösning presenterades sedan på referensgruppsmöte 3.

> **Fysisk eller virtuell enhet?**
>
> Om det ska genomföras i egen regi så är virtuell enhet förslaget.

Referensgruppen instämde med förslaget. En fundering som kom fram var om en hybridvariant skulle vara aktuell där olika delar som finns fysiskt på flera ställen sedan bildar en virtuell enhet, som en form av nätverksmodell.

> **Anställa eller hyra in kompetens?**
>
> Driva detta med anställd personal och därmed anställa nya personer.

Referensgruppen instämde med förslaget. Det ger ökad tillgång till barnonkologisk kompetens och ger kortare startsträcka för ny personal.

> **Vilka kompetenser skulle ingå i enheten?**
>
> Alla nämnda kompetenser behövs. Olika personer kan bidra med olika kompetenser.

De nämnda kompetenserna var, utan inbördes ordning: Tillgång till juridisk kompetens, kunskap om barnonkologi och dess utmaningar, person duktig på den regulatoriska processen (helst redan kunna, annars administrativt stark och snabbt kunna förstå dessa flöden), duktig på att projektleda, ta ansvar för arbetsuppgifterna och driva frågor framåt, tillgång till kompetens kring biobanksfrågor, prövarkompetens på deltid för mer allmänna frågor där inte Nationell PI behöver kopplas in (likt Danmark), kunskap kring apoteksavtal, kunskap kring budgetplanering.

Referensgruppen instämde i förslaget. Tillägg till kompetenser var kunskap om CTIS samt rutiner kring biobanksansökningar.

> **Vilka frågor ska enheten arbeta med? Gränsdragningar**
>
> Enheten ska vara en del av de arbetsuppgifter (utifrån Nationell PIs önskemål) som hör till uppstartsfasen och som i nuläget hamnar på Nationell PI.

Referensgruppen instämde med förslaget. Viktigt att nationell PI uppmärksammas vad som ska göras i samband med uppstart av studie då det är en sällanuppgift som är svårt att få rutin i. Förslag att ta fram en checklista att jobba utifrån de förlagor som redan finns inom barnonkologin för att definiera arbetsuppgifter och vem som ansvarar för vad. Forskningskoordinatorernas nätverk bör också engageras i tidig fas.

> **När i processen kommer enheten in?**
>
> Ju tidigare enheten vidtalas desto bättre, därefter kontinuerlig kommunikation med vårdplaneringsgrupper om när reell arbetsbelastning kommer ske.

Referensgruppen instämde med förslaget.

> **Hur många personer bör bemanna enheten?**
>
> 2–3 personer med rätt kompetens, tillägg av prövarkompetens och juridisk kompetens.

Referensgruppen instämde med förslaget. Svårt att definiera vilken prövarkompetens som behövs och hur stor del av tjänst det behöver vara. Här belystes också vikten av att personerna har en spridning över landet för att få olika perspektiv på hur vården är organiserad.

2.3.4 Referensgruppsmöte 4 – 250618

Till det fjärde referensgruppsmötet hade arbetsgruppen satt samman ett första utkast till en projektrapport som alla i referensgruppen ombads läsa till mötet. Då halva referensgruppen saknades i mötet blev inte diskussionen så djupgående men det som togs med var:

- Frågan hur enheten kan lösa jämlik tillgång till studier diskuterades och då även om fas II-studier ska inkluderas i detta som egentligen inte var en del av uppdraget. Önskemål från referensgruppen att även det togs till diskussionen.
- Diskussion kring organisation av enheten. Ingen konsensus nåddes utan de olika för- och nackdelarna belystes. Mer om det i diskussionen. Klart är dock att enheten behöver organiseras inom en region, Regionala cancercentrum i samverkan (RCC) kan inte stå som arbetsgivare.
- Stående arbetstid förordas av referensgruppen så inte arbetsuppgifter ”på hemmaplan” tar över.

KAPITEL 3

Diskussion

Arbetet med att definiera en gemensam administrativ enhet för uppstart av barnonkologiska studier har präglats av och kommer även vidare att behöva innefatta stort samförstånd och vilja att tillsammans uppnå resultat.

3.1 Workshop barnonkologi

Det uppstartsarbete som gjordes i och med workshopen i september 2024 underlättade för arbetsgruppens arbete. SWOT-analysen som genomfördes låg till grund för fortsatta arbetet och kommer även diskuteras nedan kopplat till det förslag som tagits fram.

3.2 Omvärldsbevakning

Omvärldsbevakningen som genomfördes var även den värdefull. En omvärldsbevakning kan göras väldigt omfattande men valdes att hållas relativ begränsad i det här arbetet för att spara på arbetsgruppens tid. De delar som dock belystes gav stort värde för det fortsatta arbetet. Två avstämningar gav extra stort värde till arbetet.

- Samtalet med Ruta Tuvickiene, representant för den nationella prövningsenheten i Danmark gav en bra inblick i hur det ser ut i Danmark som redan genomfört samma arbete som planeras att göras i Sverige. Att se att det fungerar och vilket mervärde det skapar var värdefullt för arbetsgruppen.
- I samtalet med prövare och forskningskoordinator för ESPAC-6 fick arbetsgruppen stor insyn i hur arbetet med att starta upp decentraliserade studier. Det gav en förståelse för hur omfattande uppstartsarbetet är men också vilka fördelar det ger. Det var också värdefullt att förstå hur mycket material som kan återanvändas varför en nationell enhet med relativ stor genomströmning av studier kan använda sig av dessa mallar för flera typer av studier.

Vad gäller det exempel som lyftes med en studie inom ITCC där det finns ett site och hemsjukhusen genomfört de åtgärder som är kopplade till rutinsjukvård finns mycket intressant att hämta. Det här upplägget har

godkänts av sponsorerna för studien och därmed fullt möjligt att genomföra. Viktigt att tänka på i dessa fall är att det ändå måste ske en utlämning av data för den vårddata från hemsjukhusen som sedan ska användas i forskningssyfte. Det här är dock ett bra komplement till satellitsites som egentligen inte är applicerbart när hemsjukhusen inte genomför några procedurer som inte är kopplade till rutinsjukvård.

En del av omvärldsbevakningen utgick, delen om fortsatt dialog med LIF och genom dessa med företrädare för olika läkemedelsföretag. Detta tror vi saknar betydelse av två skäl. Först för att de flesta studier som omfattas av enhetens arbete är akademiska och därför har mindre eller ingen koppling till forskande läkemedelsföretag. Sedan för att arbetet med en central enhet till största del kommer minska arbetsbördan för företag i och med en större nationell samsyn. I kartläggningen av hur uppstart av kliniska studier går till så är det tydligt att tidigt inflytande är viktigt. Detta för att tidigt bli informerad om kommande studier och på så sätt ha möjlighet att anmäla intresse för att bli huvudprövare, men ävenför att i tidigt skede kunna inkorporera decentraliserade studieelement. Det är av vikt att decentraliserade delar tas med redan i skrivningen av protokollen för att kunna genomföras i praktiken sedan.

3.3 Huvuduppdrag – koncept kliniska studier

Under resultatdelen har de möten som genomförts presenterats och förslaget presenters under arbetssätt och rekommendationer längre fram.

Att en referensgrupp deltagit i arbetet har varit väsentligt för att kunna få in alla barnonkologiska enheters syn på arbetet under dess gång. Tyvärr har det varit svårt att få full uppslutning på mötena vilket bidragit till att diskussionerna inte alltid nått hela vägen fram. Men trots det har mötena varit bra för att testa förslag på andra personer utanför gruppen.

Till referensgruppsmöte tre tog arbetsgruppen fram grundläggande förslag på hur en administrativ enhet skulle kunna arbeta samt organiseras. Innan detta hade en hel del diskussioner förts i arbetsgruppen för att väga för- och nackdelar med olika alternativ. Nedan följer några av dessa.

- Fysisk eller virtuell enhet?
  - Finns för och nackdelar med båda. Modernt med en virtuell grupp, mycket som går att göra virtuellt, ger en flexibilitet och utrymme för många personer att vara med. Ger också en möjlighet att handplocka kompetenser. Ger också ett bredare nätverk när man även figurerar i

andra sammanhang på olika orter. Ger input från olika ställen. Förankring underlättas i och med brett nätverk vilket även kan ge kortare beslutsvägar då man har fler beslutsfattare nära genom att täcka fler orter.
  - Traditionellt sätt att arbeta fysiskt, förläggs troligen på den enhet med flest Nationell PI och då finns all kompetens på plats. Danmark har valt den modellen, vilket kan bero på att nationell PI är mera koncentrerat till Köpenhamn.
  - En administrativ enhet underlättar att få den geografiska spridningen av nationell PI, oavsett om den är fysisk eller virtuell.
- Anställa eller hyra in kompetens?
  - Svårt för redan anställda att hitta tiden initialt att jobba på en sådan enhet men kommer genom enheten bli en minskad arbetsbörda lokalt om arbetsuppgifter lyfts till enheten.
  - CRO-bolag (Clinical Reaserach Organisation, bolag som sysslar med uppstart och genomförande av studier på uppdrag av de forskande läkemedelsföretagen) ofta duktiga på processen men kan inte sakfrågan barnonkologi på samma sätt.
  - Barnonkologisk personal har ämneskompetens men kanske inte spetskompetens inom uppstartsfasen.
  - Vet inte alltid vad man får med CRO, ibland mycket kompetenta personer, ibland inte lika bra. Går det ställa krav på att alltid få samma personer?
  - Kostnadsaspekten måste hanteras.
  - Arbetsbelastningen, svårt att reglera mot ett CRO (men även internt). Gäller att bygga för att kunna lägga undan arbetsuppgifter när arbetstoppar inträffar.
  - Vilka personer skulle vi kunna hitta internt som skulle kunna jobba med detta? Finns en del tänkbara personer men inte utrymme i tid. Behöver då anställa för de personernas nuvarande arbetsuppgifter.

Som synes ovan finns det många olika aspekter att ta hänsyn till för att lämna ett bra och genomtänkt förslag för en ny administrativ enhet.

Utöver detta har arbetsgruppen också belyst den SWOT-analys som genomfördes i september 2024. Efter det här arbetet så ser arbetsgruppen att styrkorna fortfarande verkar vara styrkor. Det bör bli minskad administrativ börda per site och leda till en effektivisering, kvalitén bör öka när kompetensen samlas, protokoll bör kunna starta upp snabbare och när det går att få mer hjälp med det administrativa arbetet bör vi kunna få fler intresserade PIs.

Under möjligheter finns en del saker som vi redan nu kan lyftas till styrkor istället. Enheten kommer få en stor vana till sponsorkommunikation vilket kommer underlätta detta, vid fler satellitsites kan transporter mellan sjukhus minska och det här bör ge ett ökat deltagande genom att fler studier öppnar och att fler patienter kan inkluderas. Andra delar av möjligheterna håller arbetsgruppen med om även om fördelarna lär komma längre fram. Det rör prioriteringsarbete på ett tydligare sätt, frågor kopplade till compassionate use, samverkansmonitorering samt hur enheten kan bli en naturlig del av strategiska frågor inom barnonkologin. Svagheten och hoten finns till viss del kvar medan andra delar inte ses som samma svaghet/hot längre. Att det skulle bli lägre datakvalité vid ovana arbetsuppgifter tros kan motverkas, likaså att lokal kännedom/kompetens saknas eller försvinner. Arbetsgruppen tror inte heller att den samordnade administrationen ska bli en flaskhals, åtminstone inte mer än hur det kan se ut idag. Som läget ser ut nu så bör inte Sverige heller bli oattraktiva från sponsorhåll då enheten kommer kunna bidra med en samlad kompetens och att fördelana med satellitsite kan se överväga eventuella nackdelar. De svagheter och hot som finns kvar är att en stabil finansiering behöver lösas, se över om olika IT-system kan hindra arbetet, se till att juridiska frågor inte blir en stoppkloss samt att det inte blir en ”overload” av öppna protokoll. Det sistnämnda kan dock lösas genom ett strukturerat prioriteringsarbete i vårdplaneringsgrupperna över vilka studier som bör öppnas i Sverige.

3.4 Framtid

De arbetsuppgifter som presenteras i förslaget och som skulle ingå i den nationella enhetens uppdrag är som synes omfattande. Dock har det framkommit ytterligare arbetsuppgifter som behöver adresseras och som skulle skapa nytta för arbetet med barnonkologi i Sverige. Om de ska ligga under den nationella enheten eller vara fristående arbeten är inte något arbetsgruppen tagit ställning till. Dessa arbetsuppgifter är följande:

- Vi borde kanske även även fånga tillfället och skapa ett svenskt nätverk för decentraliserade kliniska prövningar inom barnonkologi.
- Hur kommer akademisk förankring av studier ske?
- Kan enheten hjälpa till at utarbeta ett nytt behandlingsprotokoll för en svensk PI?

KAPITEL 4

Rekommendation och slutsats

4.1 Organisation

Följande organisation och struktur rekommenderas för den centrala enhet som ska arbeta med nationell uppstart av kliniska behandlingsprotokoll inom barnonkologin.

Enheten, med namnet ”Nationell enhet för Uppstart av Behandlingsprotokoll inom Barnonkologi (NUBB)” ska bestå av ett virtuellt kansli där medarbetarna kan sitta på olika platser i Sverige. 2–3 heltidsanställda personer bemannar enheten som arbetar med hela processen, från att vårdplaneringsgrupper får kännedom om en ny studie tills startmöte har genomförts hos alla deltagande enheter och studien är i gång.

Enheten arbetsleds av utsedd person (som även är chef beroende på vilken arbetsmodell som bestäms). Enheten arbetar enligt tydligt nationellt uppdrag med bestämd arbetsbeskrivning.

4.2 Fortsatt arbete

Projektet rekommenderar följande steg för att implementera förslaget i rapporten. Start är godkännande av leveransen vilket görs vid överlämningsmöte med NAG barncancer 29 september 2025.

Efter godkännande av leveransen behöver en ny projektgrupp, med tillhörande projektledare, sättas upp för att starta en pilotperiod. Tillskillnad från nuvarande projektgrupp bör den nya gruppen bestå av personer som har den kompetens som efterfrågas i NUBB. Projektledare kan undantas från detta kompetenskrav.

Innan pilotperioden startas upp av den nya projektgruppen behöver en del ledningsbeslut fattas.

- Beslut rörande arbetsgivarorganisation. Inom vilken organisation ska NUBB ligga och hur ska personer kopplade dit vara anställda.
- Beslut av arbetsbeskrivning. Här kan nuvarande projektgrupp vara behjälplig.
- Finansiering av NUBB. Här bör det nyetablerade partnerskapet SweTrial närmas då de troligen kommer utlysa medel till just denna typ av satsningar[2].

Pilotperioden bör inte begränsa sig till en studie utan för att samla in så mycket data och kunskap som möjligt bör den i stället pågå under en viss period. NUBB skulle då kunna ta ansvar för helt nya studier men även följa de studier som startat upp med regional hantering för att kunna utvärdera vilka delar som helt eller delvis kan övergå till nationell hantering.

En bit in i pilotperioden behöver beslut tas rörande fortsättning av NUBB. Personer behöver anställas, både chef/arbetsledare och medarbetare. Förslagsvis görs detta innan pilotperioden är helt avslutad för att få en möjlighet till inskolning av nya medarbetare.

[2] https://www.linkedin.com/posts/swedish-medical-products-agency-lakemedelsverket_genom-swetrial-ska-vi-positionera-sverige-activity-7368189457512009728-Nhxt?utm_source=share&utm_medium=member_desktop&rcm=ACoAABDm8TQBrMHT4Qtc1_Qfp-W4dW2zoEEcbxQ

BILAGA 1

Underlag från referensgruppsmöte 1

Menti-frågor

Vad anser du är de största anledningarna till att det tar tid att starta upp behandlingsprotokoll i Sverige?

20 responses

Vilken del av uppstartsprocessen ser du är viktigast att få hjälp med?

18 responses

Hur ökar vi inklusionen i studier för barn i hela Sverige?

19 responses

Gruppering av resultat

Klinik – läkar/prövarbrist

- Nationell PI-tidsbrist
- Stor klinisk börda
- Ett återkommande problem är tidsbrist för PI:s.
- Prioriteringsrådet.
- Information om studier
- Nationell samverkan,
- Det måste vara lätt att hitta rätt studier.

Juridiska utmaningar

- Krånglig juridik, krångel med avtal
- Avtal
- Juridik
- Avtalsfrågor
- juridiska, hjälp med avtal,
- regulatorisk samordning

Regulatoriska frågor kring framför allt ansökningar

- Patientinformation/samtycke m.m.
- Samtycken på olika språk

- Centralisering
- Öppna satellit platser

Processer och logistik

- Decentraliserat system
- Logistik
- Processbeskrivning och projektledning av process
- avtalsfrågor Stort värde om det finns en juridisk grupp som hjälper till att ta fram avtal.
- Vi behöver definiera vilka moment som kan effektiviseras.
- Sponsorerna har olika krav, vilket innebär att det kan vara svårplanerat. Vi behöver ta höjd för olika krav i planeringen och i det interna/lokala
- En samordnad ”färdplan” kan underlätta planeringen.
- vad som kan samordnas
- Bra om det virtuella kontoret kan ha en kontinuerlig kontakt med sponsorn, för att kunna vara mer proaktiv. Även ha en översikt av projektet.
- Jämlik finansiering av resor.

REGIONALA
CANCERCENTRUM
I SAMVERKAN

Regionala cancercentrum – regionernas nationella samverkan inom cancervården.
Med patienter och närstående för hela människan, i dagens och framtidens cancervård.
www.cancercentrum.se