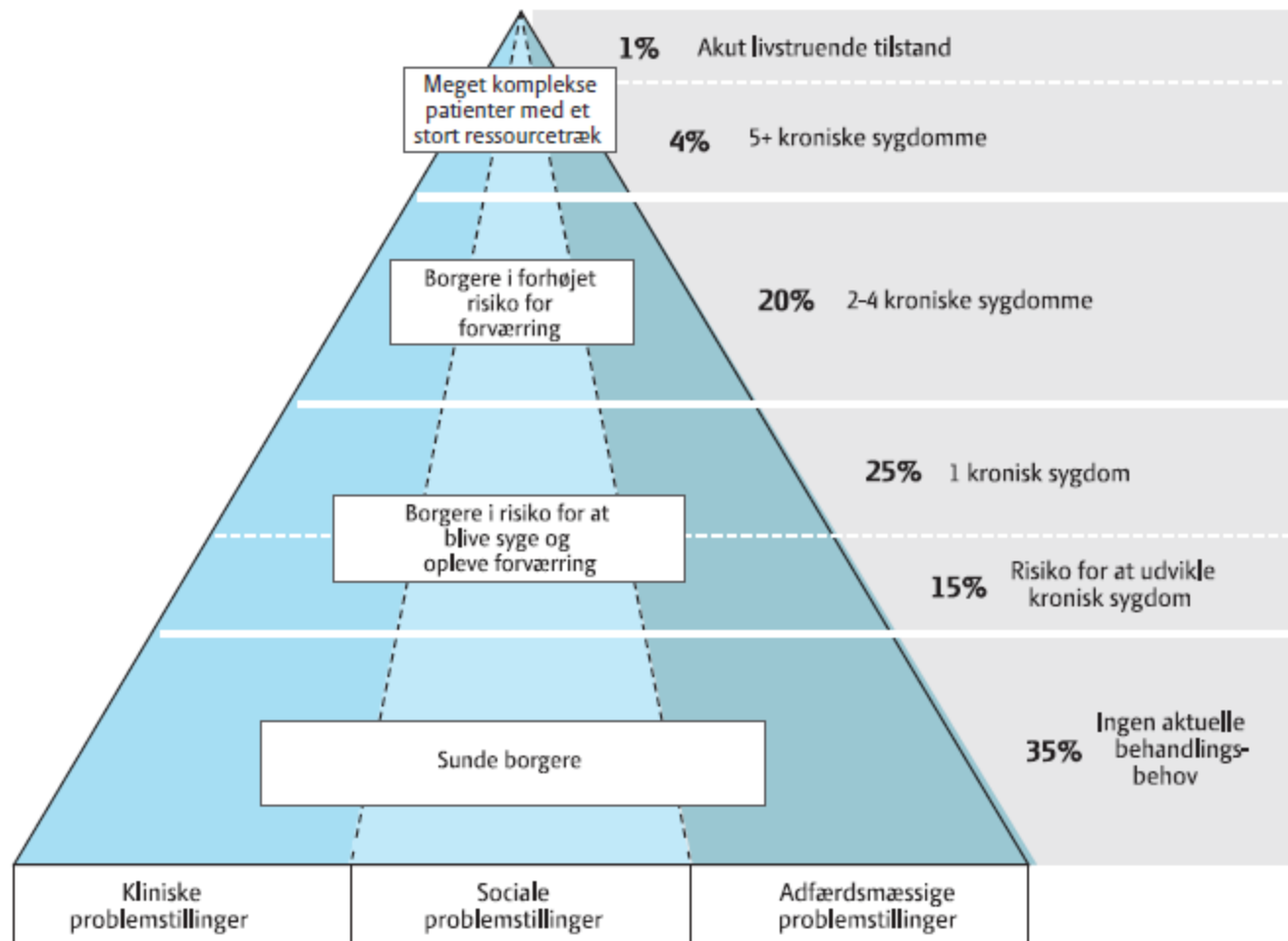


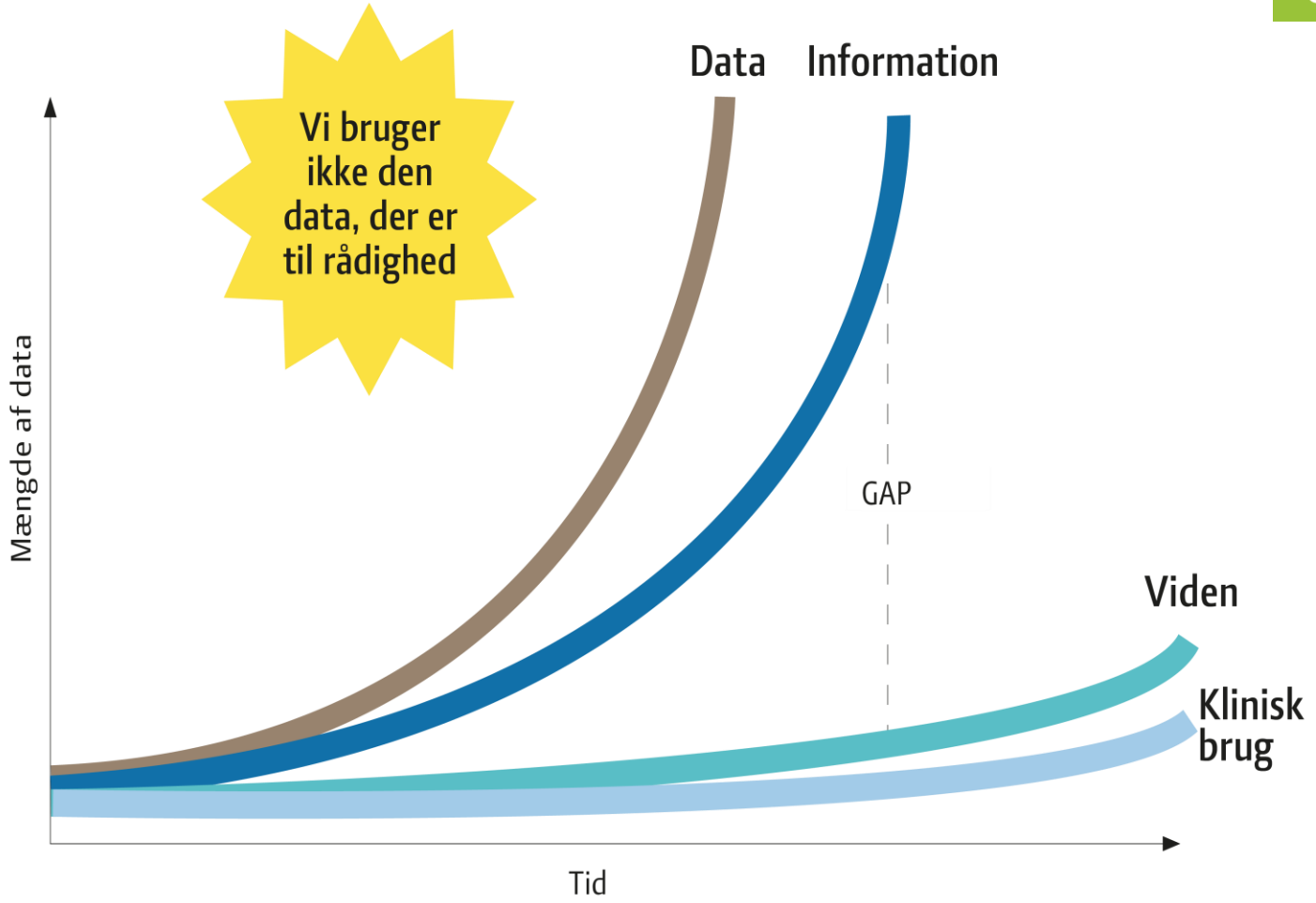


Erik Jylling  
Sundhedspolitisk Direktør

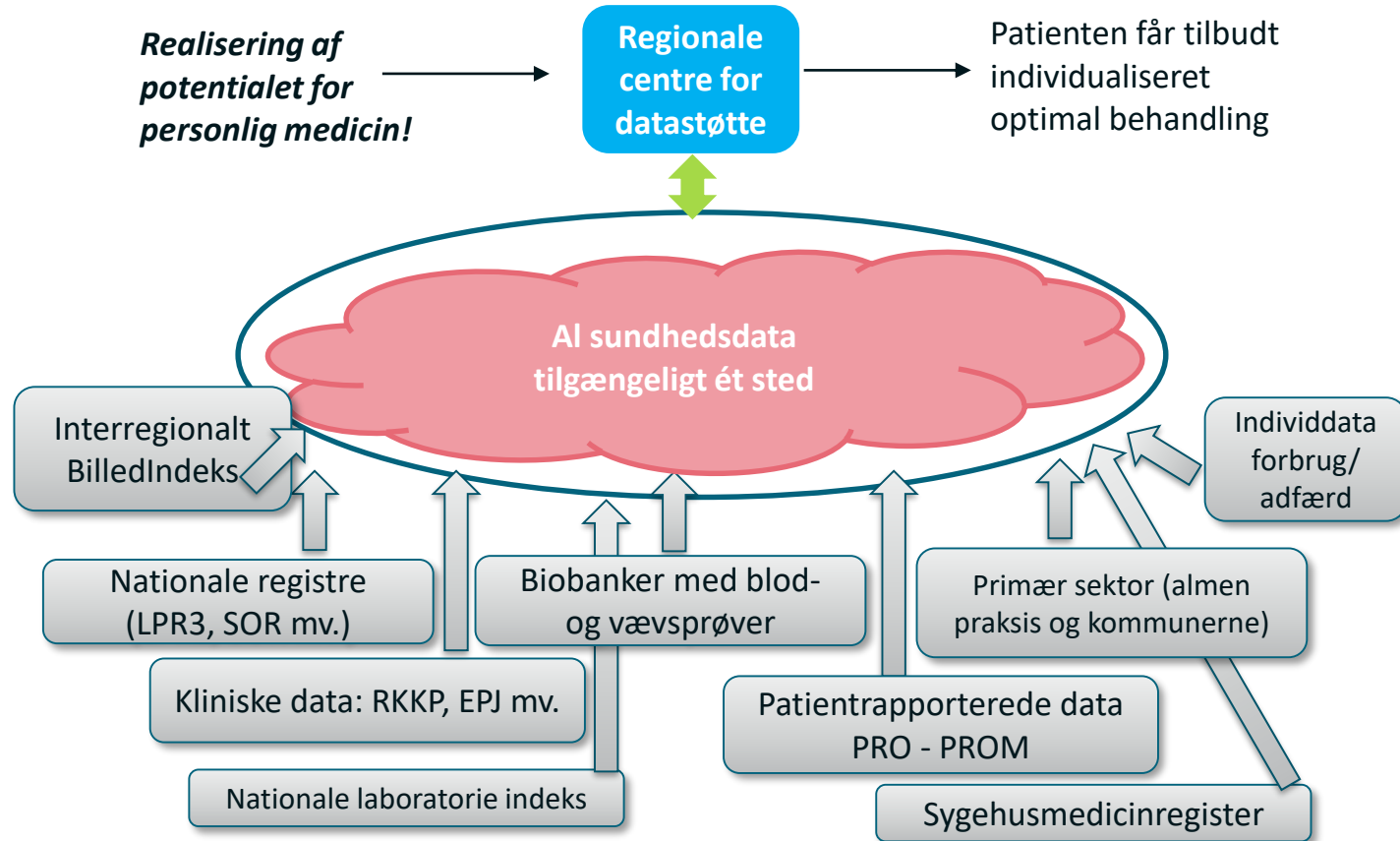
# Den brændende platform for sundhedsvæsenet

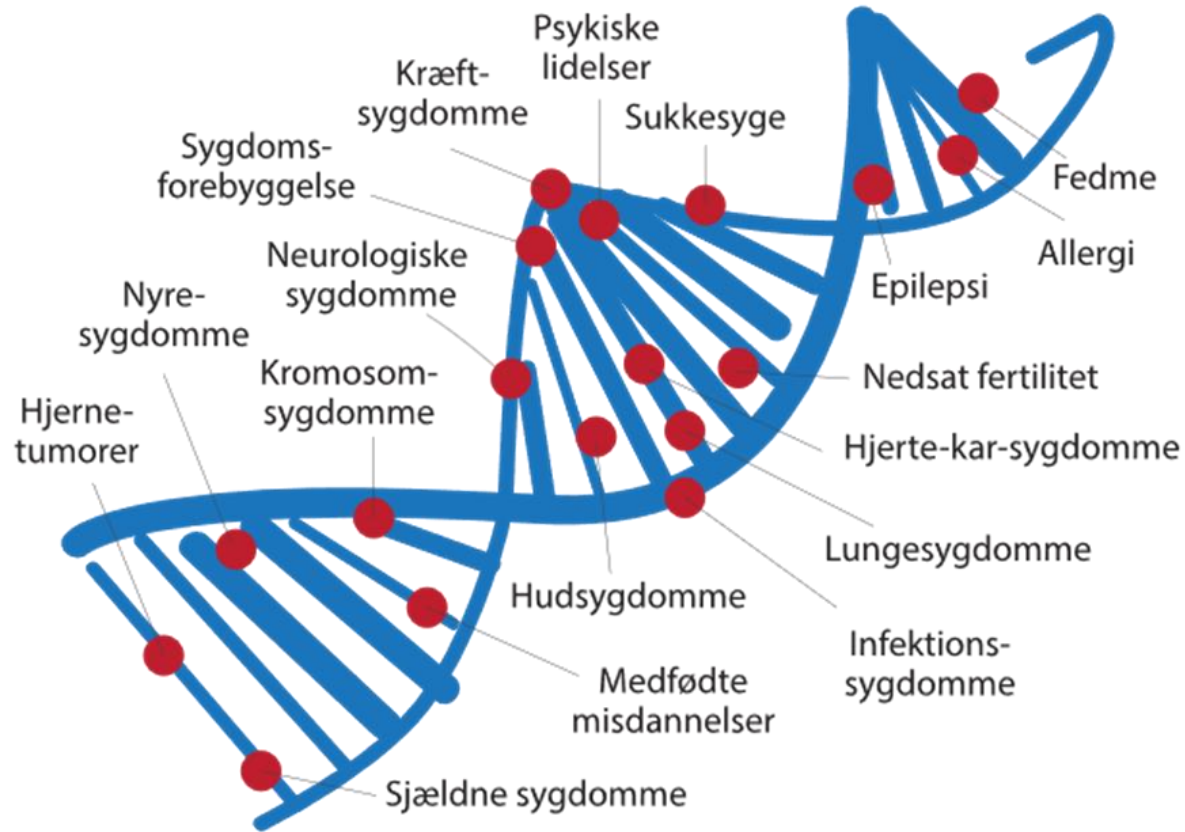
Konference – Er sundhedsvæsenet gearet til fremtidens personlige behandlinger?  
3. maj 2019





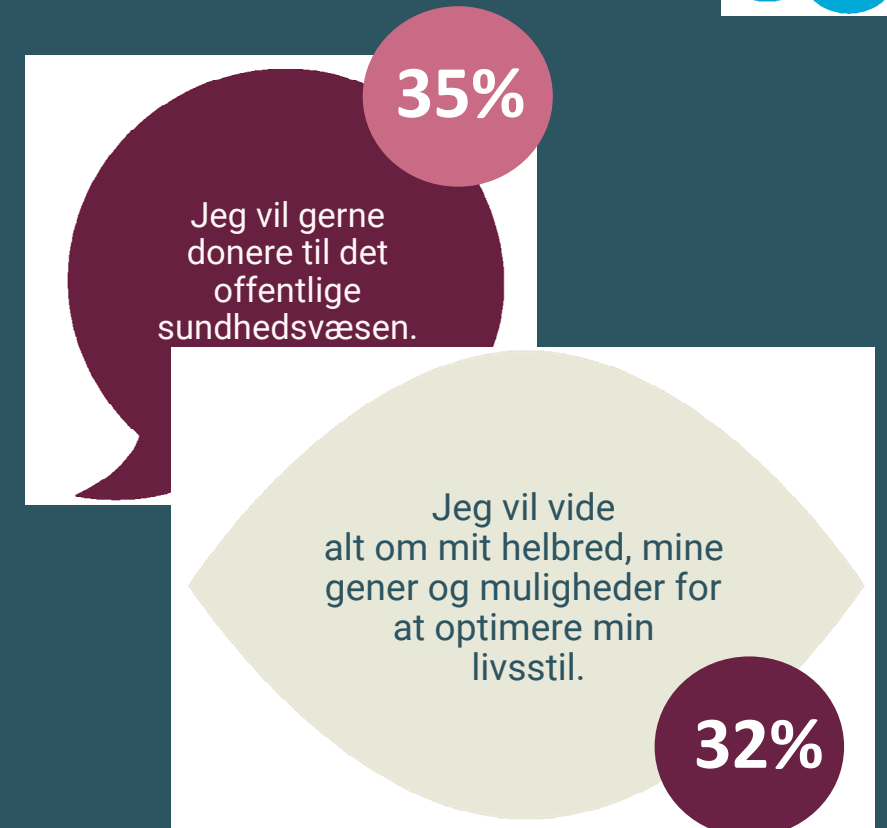
# Én fælles og sikker indgang til sundhedsdata!





# Er sundhedsvæsenet gearet til fremtidens personlige behandlinger?

Ida Sofie Jensen, koncernchef, Lægemiddelindustriforeningen



# Fremtidens patientbehandling

- Mere personlig
- Mere digitaliseret
- Mere biologisk
- Endnu mere datadrevet
- Mere effektiv og mere skånsom

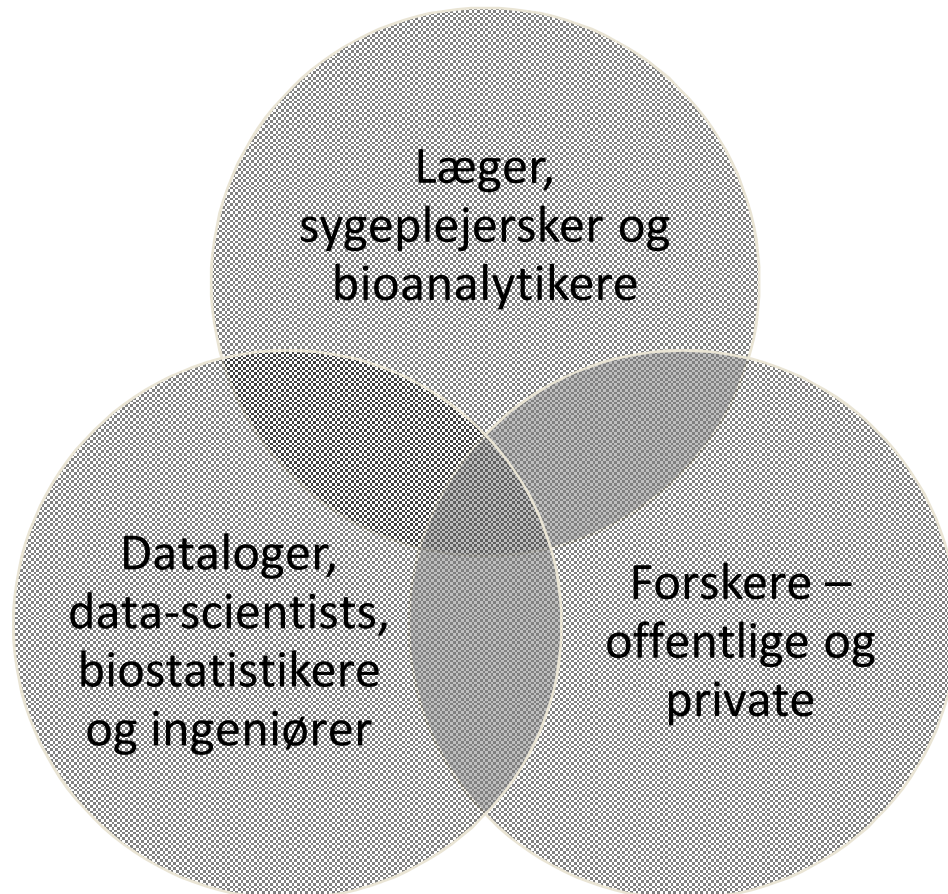
Værdien af lægemidler  
skabes i mødet med  
sundhedsvæsenet

46%

Jeg tager de  
nødvendige  
tests og sender  
resultaterne til  
en læge.

# Fremtidens patientbehandling

- kræver nyt og mere samarbejde





35%  
Jeg vil gerne donere  
til det offentlige  
sundhedsvæsen.

32%

...bruger  
...der vha. et  
billede og kunstig  
intelligens kan stille  
diagnosen med det  
samme.

Se hvad andre har svaret og  
giv dit bud på, hvordan fremtidens  
sundhedsvæsen skal være på

# sundhedsammen.dk



# Personlig Medicin

## Mødet mellem læge og patient

Ledende overlæge Lilian Bomme Ousager, Klinisk Genetisk Afdeling, OUH



# Personlig Medicin – Genetisk rådgivning

## Min baggrund

- Genetisk rådgivning
  - Sjældne sygdomme
  - Syndromudredning
- Center for Arvelige og Komplekse sygdomme
- Forskning



European Journal of Human Genetics (2015) 23, 1423–1426  
© 2015 Macmillan Publishers Limited. All rights reserved 1018-4813/15  
www.nature.com/ejhg

**SHORT REPORT**

### Research participants in NGS studies want to know about incidental findings

Anne Marie Jelsig<sup>\*1</sup>, Niels Qvist<sup>2</sup>, Klaus Brusgaard<sup>1</sup> and Lilian Bomme Ousager<sup>1</sup>

Following the implementation of high-throughput sequencing legal and ethical issues are discussed intensively. The management of incidental findings (IFs) in a research setting have been investigated but there is a lack of literature concerning research



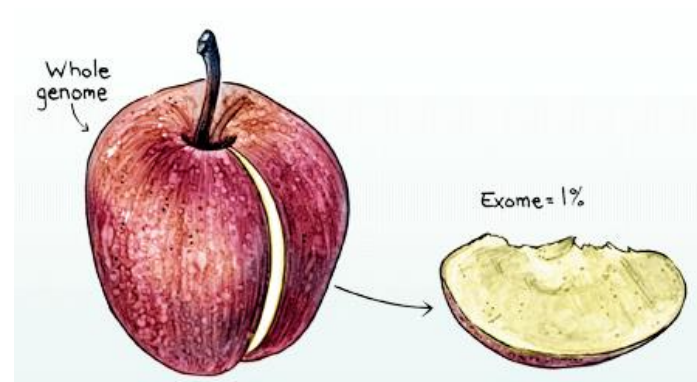
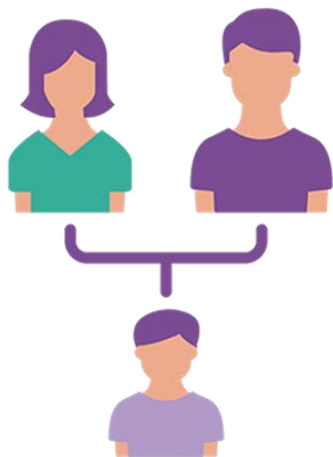
# Hvad er Personlig Medicin?

Brug af bl.a. genetisk information (DNA-analyser) til behandling, der tilpasses den enkelte patients biologiske karakteristika og sygdomssituation

## Klinisk Genetisk Afdeling

- Personlig medicin længe før det blev moderne 😊
  - ‘Vi har hele tiden arbejdet med personlig medicin – altså kigget af den genetiske vej for at forklare sygdom hos den enkelte person.’
  - ‘Det kan dårligt blive mere personligt’ at skulle tage stilling til graviditet eller afbrydelse af samme (genetik ved fosterdiagnostik)...
- Nondirektiv rådgivning – shared decision making
- Exomsekventering som driftsanalyse siden 2016
  - Trioanalyser ved forsinket udvikling og syndrommistanke
  - NGC har udvalgt denne som første gruppe der fokuseres på

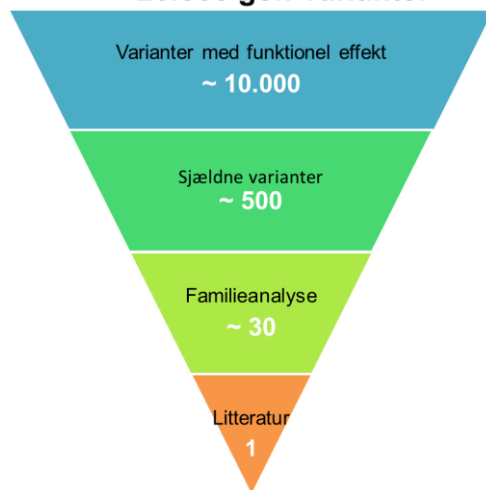
# Exom sekventering – trio



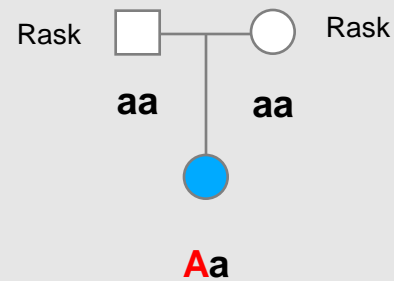
3 Gb

Alle gener  
ca. 20.000 gener, 60 Mb

~ 20.000 gen-varianter



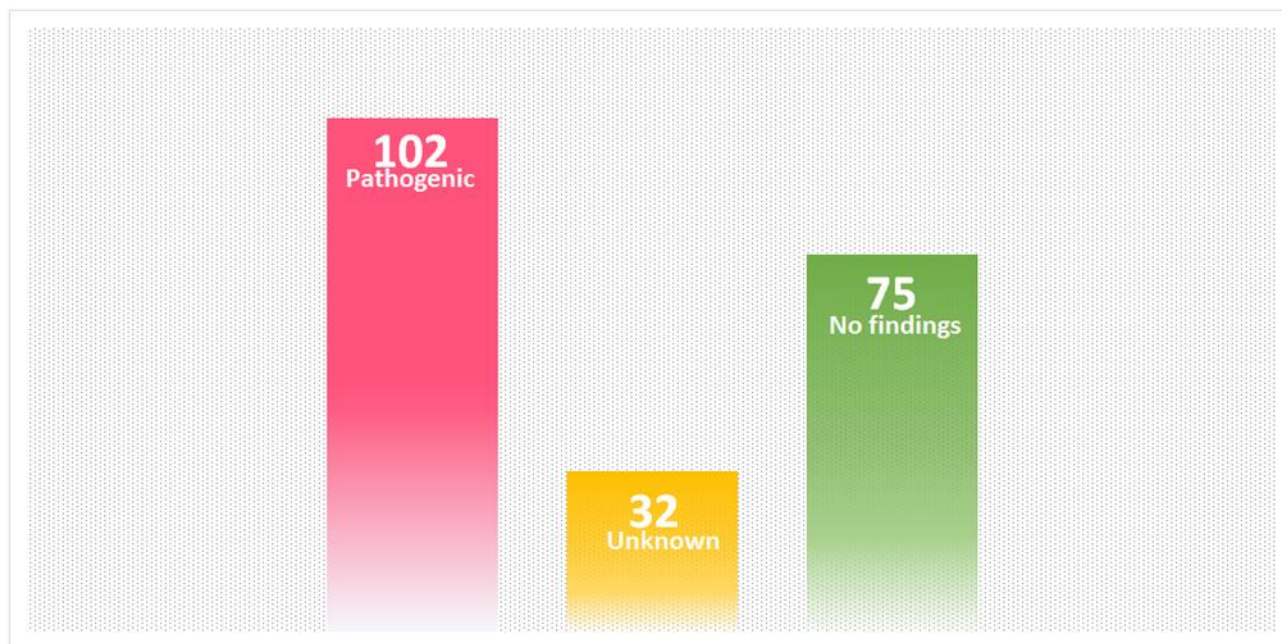
## Trio-analyse



# Exomsekventering – trio

Startede klinisk i nov. 2016 - akkrediteret analyse

- Fund efter de første 200 trioer



## Tilfældighedsfund (ca 1%)

Arvelig bryst og æggestokræft mv

Arveligt betinget forhøjet kolestrol

Bærertilstand for mere hyppige sygdomme (cystisk fibrose)

# Hvad sker der hos os?

## *Før samtalen*

- Barnet henvises og familien kontaktes og der er optegnes stamtræ
- Lægen har forberedt sig
  - Overblik over det kliniske billede over tid
  - Tidl. genetiske analyser og udredning
  - Vurderet muligheder og differentialdiagnoser

## *Samtale barn og forældre – en time afsat*

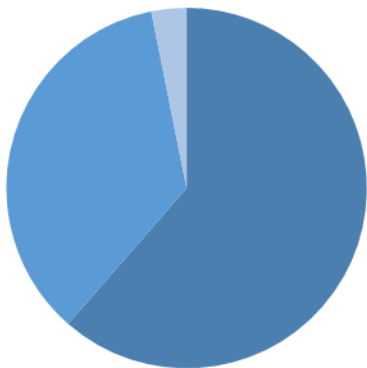
- Baggrund for indkaldelse, ønsker og forventning til udredningen afklares
  - Høje forventninger til viden
    - ‘Ser på det hele’
    - ‘Forklaring og diagnose kan føre til hjælp/behandling’
    - ‘Gør det der kan gøres’
- Patienten gennemgås og indikation for undersøgelse vurderes
- Der tages ofte billeder af patienten
- Forældre (og patient) informeres om analysen

# Ønsker i forhold til sekundære fund

Der indhentes samtykke (fra alle tre) til analysen, hvor der tages stilling til

- Ønsker i forhold til tilfældighedsfund
- Ønskes kontakt ved ny viden
- Må resultat anvendes i forskningssammenhæng
- Må patienten registreres i DECIPHER databasen

Meget og svær information som skal tilpasses den enkelte



- Disclosure of IF (also non-treatable or non-preventable)
- Disclosure of IF associated with treatable or preventable conditions
- No disclosure at all

OUH  
Odense Universitetshospital  
Klinisk Genetisk Afdeling  
5000 Odense C  
Direkte tlf.: 6541 1725  
ode.kga@rsyd.dk

OUH  
Stræber efter kvalitet i alt

Region Syddanmark

## Informeret samtykke til omfattende genomisk sekventering\*

Afdeling \_\_\_\_\_ Familie nr. \_\_\_\_\_

Navn patient	Mor	Far
CPR	CPR	CPR
Adresse	Adresse	Adresse
By	By	By

\*Omfattende genomisk sekventering omfatter hel-genomsekventering, hel-exomsekventering og genpaneler, hvori der indgår gener, der ikke er relevante i relation til persons sygdom.

### Udfyldes af læge

Jeg, \_\_\_\_\_, har informeret denne patient/forælder/værgе om de mulige resultater og begrænsninger ved omfattende genomisk sekventering. Vi har diskuteret de konsekvenser dette kan have og de procedurer, der bruges ved analyse og opbevaring af patientdata og DNA.

### Udfyldes af patient/forælder/værgе

1. Jeg ønsker at DNA fra mig/mit barn/den person jeg er værgе for bliver opbevaret og analyseret for følgende sygdom:

2. Jeg er informeret om, at der ved omfattende genomisk sekventering er en risiko for fund af genfejl, som giver risiko for andre sygdomme, end den undersøgelsen er udført for at belyse.

Jeg forholder mig således til tilfældige fund (sæt kun ét kryds):

- Jeg ønsker information om fund af sundhedsmæssig betydning, hvor der er mulighed for forebyggelse/behandling.
- Jeg ønsker information om alle fund af sundhedsmæssig betydning, også dem hvor der ikke er mulighed for forebyggelse/behandling.
- Jeg ønsker som hovedregel ikke information om tilfældige fund. Jeg accepterer dog, at der i meget sjældne tilfælde kan være fund af en sådan sundhedsmæssig værdi for mig selv eller min familie, at min læge vil være forpligtet til at informere mig om fundet.

3. Viden om genetiske sygdomme vil sandsynligvis blive større i fremtiden. Jeg har følgende holdning til muligheden for at få yderligere information i fremtiden (sæt kun ét kryds):

- Jeg ønsker at blive kontakret, hvis laboratoriet får kendskab til yderligere information om resultaterne af den omfattende genomiske sekventering.
- Jeg ønsker som hovedregel ikke at blive kontakret, hvis laboratoriet får kendskab til yderligere information om resultaterne af den omfattende genomiske sekventering.

4. Information fra den omfattende genomiske sekventering må bruges til forskning uden navn og CPR (sæt kryds) efter projektgodkendelse ved videnskabetisk komite:

Ja  Nej

Underskrift af patient /forælder/værgе \_\_\_\_\_

Patientens navn med blokbogstaver \_\_\_\_\_

Underskrift af læge \_\_\_\_\_

Dato \_\_\_\_\_

Resultatet af analysen registreres i Dansk Cyto-genetisk Centralregister



# Svar på undersøgelsen

- Sikkert sygdomsrelateret genforandring
- Usikre fund

Betydning for behandlingsvalg, prognose og forventet støttebehov

Betydning af at stille diagnoser

- Ingen oplagte fund
- Tilfældighedsfund/sekundære fund

## Det særlige ved genetik

- Det har ofte betydning for andre
  - Gentagelsesrisiko forældre, søskende, børn og evt andre



# Når Personlig Medicin anvendes mere bredt

## Forventninger

- Viden og afklaring
- Prognose og behandling
- Gentagelsesrisiko og valg
- Men også 'bivirkninger' og bekymringer

## Stor - og svær - informationsopgave

- Uddannelse
- Information

**Behov for at patienten inddrages - at vi hjælper dem til at kunne træffe de - for dem - rigtige beslutninger**

Der kan bygges videre på den viden vi allerede har...



# Personlig medicin

## Mødet mellem læge og patient

Morten Freil  
Direktør

# Personlig medicin

## Potentialer

- Hurtigere behandling
- Færre bivirkninger
- Større effekt
- Tidlig opsporing og forebyggelse

## Opmærksomhedspunkter

- Utryghed - datasikkerhed, sekundær anvendelse
- Mistillid - fx adgang fra arbejdsgiver, forsikring
- Sygeliggørelse - Tilfældige/sekundære fund, fx lille risiko for alvorlig sygdom



# Primære roller/funktioner

	Læge	Genteknologi/ Personlig Medicin	Patient
Før	Diagnostik, udredning og behandling		
Fremtiden			

# Mødet mellem læge og patient

- Hvad vil jeg vide?
- Hvordan ved jeg, hvad jeg vil vide?
- Har viden konsekvenser for familien?
- Hvad er mine muligheder (forebyggelse/behandling)?
- Hvem kan vurdere patientens nytte af information?
  - forskellige præferencer og behov

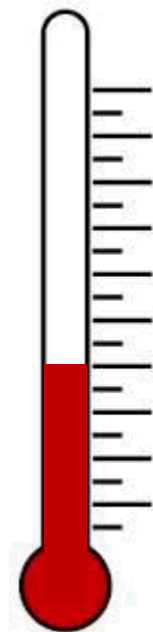
## Table 1: ACMG SF v2.0 genes and associated phenotypes recommended for return of secondary findings in clinical sequencing

From: [Recommendations for reporting of secondary findings in clinical exome and genome sequencing, 2016 update \(ACMG SF v2.0\): a policy statement of the American College of Medical Genetics and Genomics](#)

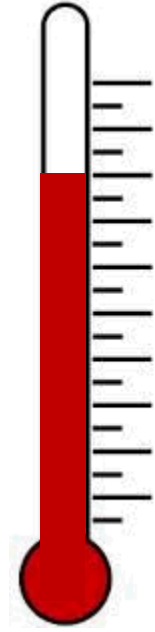
Phenotype	MIM disorder	PMID Gene Reviews entry	Typical age of onset	Gene	MIM gene	Inheritance <sup>a</sup>	Variants to report <sup>b</sup>
Hereditary breast and ovarian cancer	604370 612555	20301425	Adult	<i>BRCA1</i> <i>BRCA2</i>	113705 600185	AD	KP and EP
Li-Fraumeni syndrome	151623	20301488	Child/adult	<i>TP53</i>	191170	AD	KP and EP
Peutz-Jeghers syndrome	175200	20301443	Child/adult	<i>STK11</i>	602216	AD	KP and EP
Lynch syndrome	120435	20301390	Adult	<i>MLH1</i> <i>MSH2</i> <i>MSH6</i> <i>PMS2</i>	120436 609309 600678 600259	AD	KP and EP
Familial adenomatous polyposis	175100	20301519	Child/adult	<i>APC</i>	611731	AD	KP and EP
<i>MYH</i> -associated polyposis; adenomas, multiple colorectal, <i>FAP</i> type 2; colorectal adenomatous polyposis, autosomal recessive, with pilomatricomas	608456 132600	23035301	Adult	<i>MUTYH</i>	604933	AR <sup>c</sup>	KP and EP
Juvenile polyposis	174900	20301642	Child/adult	<i>BMPR1A</i> <i>SMAD4</i>	601299 600993	AD	KP and EP
Von Hippel–Lindau syndrome	193300	20301636	Child/adult	<i>VHL</i>	608537	AD	KP and EP
Multiple endocrine neoplasia type 1	131100	20301710	Child/adult	<i>MEN1</i>	613733	AD	KP and EP
Multiple endocrine neoplasia type 2	171400 162300	20301434	Child/adult	<i>RET</i>	164761	AD	KP
Familial medullary thyroid cancer <sup>d</sup>	1552401	20301434	Child/adult	<i>RET</i>	164761	AD	KP
<i>PTEN</i> hamartoma tumor syndrome	153480	20301661	Child/adult	<i>PTEN</i>	601728	AD	KP and EP
Retinoblastoma	180200	20301625	Child	<i>RB1</i>	614041	AD	KP and EP
Hereditary paraganglioma- pheochromocytoma syndrome	168000 (PGL1) 601550 (PGL2)	20301715	Child/adult	<i>SDHD</i> <i>SDHB</i>	602690 612610	AD	KP and EP KP

The goal was to identify and manage risks for selected highly penetrant genetic disorders through established interventions aimed at preventing or significantly reducing morbidity and mortality.

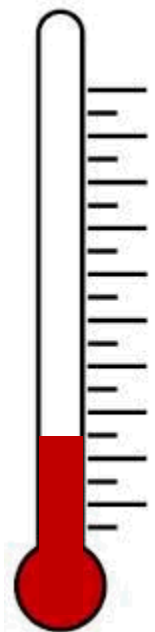
# Præferencer og valg



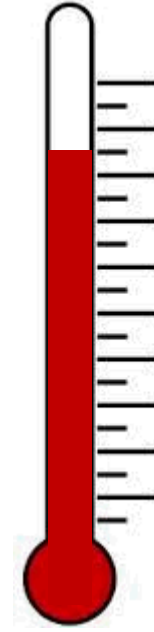
Risiko



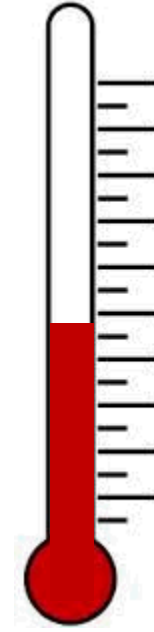
Alvorlig



Effekt



Arvelig



Forebyggelig



# Fælles beslutningstagning

1. Inviter patienten til at deltage
2. Præsenter mulighederne
3. Informer om fordele og risici
4. Lad patienten evaluere mulighederne
5. Faciliter afklaring og beslutningstagning
6. Støt patienten i at gennemføre behandling



# Beslutning

## Identificer patientens behov

<b>Viden</b>	Kender du fordele og ulemper/risici ved hver mulighed?	<input type="checkbox"/> Ja	<input type="checkbox"/> Nej
<b>Værdier</b>	Ved du hvilke fordele og ulemper/risici der betyder mest for dig?	<input type="checkbox"/> Ja	<input type="checkbox"/> Nej
<b>Støtte</b>	Har du nok støtte og rådgivning til at træffe en beslutning?	<input type="checkbox"/> Ja	<input type="checkbox"/> Nej
<b>Vished</b>	Føler du dig sikker på, hvad der er det bedste valg for dig?	<input type="checkbox"/> Ja	<input type="checkbox"/> Nej

# Konklusion

- Inddragelse af patienter i udvikling (organisatorisk)
- Inddragelse af patienter i beslutning (individuel)
- Uddannelse og kompetenceudvikling af sundhedsprofessionelle (nye roller)

Standardbehandling?



# Hvordan er regionerne med til at sikre, at der er de rette kompetencer til arbejdet med personlig medicin?

Charlotte Hess, Enhedschef – enhed for kompetenceudvikling og uddannelse af sundhedsprofessionelle, Center for HR i Region Hovedstaden



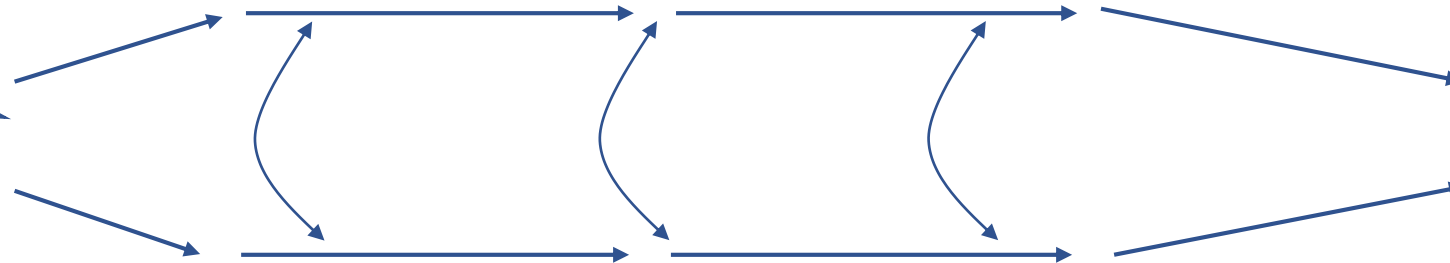
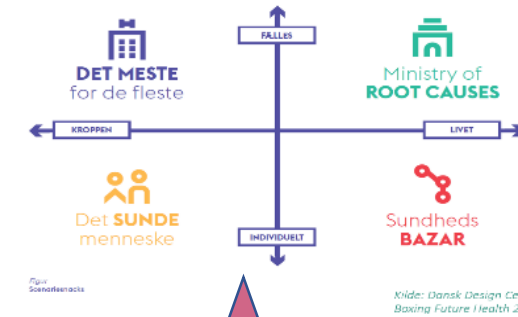
# Uddannelsesstrategisk indsats: Fremtidens kompetencer

Hvad skal vi kunne?

Hvordan får vi det lært?



**VEDVARENDE UNDERSØGE OG FORHOLDE SIG TIL FREMTIDEN – VIA SAMSKABELSE**



**DEN STRATEGISKE BEVÆGELSE: INITIATIVER OG SAMARBEJDER DER ER MED TIL AT LØSE UDFORDRINGERNE OG INDFRI AMBITIONEN**



- Drift >> udvikling/uddannelse
- Ro i klinikken >> uddanne flere (gunduddannelse + livslangt)
- Den fjerne(re) fremtid >> behovene i dag og i morgen
- Fagtradition/siloer >> arbejde mere på tværs
- Eksisterende uddannelsesinfrastruktur >> fremtidens behov

Eksempler:

- Udvikling af prognosemodel
- Fremtidens Akuthospitaler > kompetenceudvikling for alle faggrupper
- Personlig medicin



# Personlig medicin - kompetencebehov

- Teknologiforståelse - kritisk og konstruktiv anvendelse, understøttelse og udvikling (hvad skal de nye teknologier kunne?)
- Organisatoriske kompetencer ift. at kunne se, hvordan arbejdsgange kan digitaliseres
- Prøvetagning og sekventering
- Klinisk genetisk rådgivning
- Bioinformatik, datahåndtering og IT-sikkerhed
- Sundhedsdatajura og etisk praksis
- Og ikke mindst sociale kompetencer og evne til dialog med patienter og pårørende



# Behov for opkvalificering og uddannelse af mange faggrupper

## Aktiviteter og aktører ved helgenomanalyse

	Hos læge Før rekvistion	Henvises til hos- pital/speciallæge Rekvistion	Samtale og samtykke Prøvetagning	Præparation		Sekventering	Variant kald	Lagring af sekvens	Tolkning af varianter	Svar til klinik	Svar til patient	Klinisk aktion	Opfølgning
Bioanalytikere			X	X		X	X						
Bioinformatikere Dataloger Ingeniører Statistikere						X	X	X	X				
Molekylærbiologer Biologer Pharmaceuter				X		X	X	X	X				
Kliniske genetikere		X								X	X		
Lægeseekretærer													
Praksislæger	X		X										X
Sygeplejersker			X										
Øvrige læger	X	X	X								X	X	

Øvrige aktører: Social- og sundhedsassistenter og laboranter, der arbejder i sundhedsvæsenet. Andre sundhedsfaglige professionsbachelorere, fx. jordmødre. Jurister med ekspertise i sundhedslov og data.



# Perspektiver på udvikling af kompetencer

## Uddannelsesinstitutioner

- Koble til den grund- og efteruddannelse, der allerede foregår
- Nye relevante kombinationer af eksisterende uddannelser
- Generiske løsninger, der kan anvendes af flere faggrupper

## Kompetenceudvikling i dagligdagen

- Særligt fokus på nye roller og funktioner i det tværfaglige samarbejde
- Nye faglige profiler som kan bidrage til ændring i arbejdsgange
- Have fokus på "end to end"-processen med inddragelse af borger og patient





# Samarbejde om kompetenceudvikling og uddannelse er nødvendigt

- Regionerne imellem
- Hospitaler, klinikker, afdelinger
- Almen praksis
- Uddannelsesinstitutioner
- Faglige organisationer
- Biotek-virksomheder
- Osv.



**HVILKE PERSONALEGRUPPER KOMMER TIL AT FÅ  
EN ÆNDRET ROLLE I BRUGEN AF MÅLRETTET  
BEHANDLING?**

**SKAL FLERE PERSONALEGRUPPER HAVE ADGANG  
TIL PATIENTENS DATA?**

Martin Bøgsted, Professor

Klinisk Institut, Aalborg Universitet



# HVAD ER SUNDHEDSPERSONALE?

- Lov om autorisation af sundhedspersoner og om sundhedsfaglig virksomhed
  - § 1. Lovens formål er at styrke patientsikkerheden og fremme kvaliteten af sundhedsvæsenets ydelser gennem autorisation af nærmere bestemte grupper af sundhedspersoner, hvor andres virksomhed på det pågældende virksomhedsområde kan være forbundet med fare eller særlig fare for patienter.



# SUNDHEDSPERSONALE MED AUTORISATION

- Bandagist
- Bioanalytiker
- Ergoterapeut
- Fodterapeut
- Fysioterapeut
- Jordemoder
- Kiropraktor
- Klinisk diætist
- Klinisk tandtekniker
- Kontaktlinseoptiker
- Læge
- Optiker
- Optometrist
- Osteopat
- Radiograf
- Social- og sundhedsassistent
- Sygeplejerske
- Tandlæge
- Tandplejer
- Hospitalsfysikere  
(myndighedsgodkendelse)



# EKSEMPLER PÅ MÅLRETTET DIAGNOSTIK OG BEHANDLING

- Udredning af genetiske syndromer
- Targeteret kræftbehandling
  - Det multidisciplinære tumor-board
- Real time analytics (implementering af AI, machine learning og beslutningsstøtte)
  - Lymphomapredictor.org
  - Knæ- og hoftealloplastik
  - Overbehandling i cancer



# PERSONALEGRUPPER MED ÆNDREDE ROLLER

- Mange forskellige faggrupper varetager helt centrale roller indenfor målrettet behandling – molekylærbiologer, bioinformatikere, statistikere
- Deres arbejde har direkte betydning for patienternes diagnose og behandling og de kan gå under fælles betegnelsen Kliniske Akademikere
- Den nystiftede forening Dansk Selskab for Kliniske Akademikere (DSKA) arbejder bl.a. for formaliseret efteruddannelse på tværs af specialer som på sigt med mere speciale specifikke uddannelser kan udmønte sig i en autorisation eller lign.
- De specialefaglige selskaber, der allerede har EU anerkendte uddannelsesforløb (DSMG og DSKB) er i dialog med Sundhedsstyrelsen og SUM om behovet for sikring af de Kliniske Akademikers kompetencer samt mulighed for at have den adgang til patientdata, der er nødvendig for deres arbejde
- Gruppen af Danske Kliniske Bioinformatikere holder deres først møde ultimo maj (NEXT Bioinformatik)



# KLINISKE AKADEMIKERES BRUG AF SUNDHEDSDATA

	Behandling	Kvalitetssikring og planlægning	Kontrol, tilsyn og administration	Forskning og statistik
Kliniske laboratorie genetikere				
Specialister i klinisk biokemi				
Bioinformatikere				
Statistikere				
Ingeniører				
•••				



# OPSAMLING

- Er der personalegrupper, der får ændrede roller?
  - Ja
- Skal flere personalegruppe have adgang til patientens data?
  - Ja
- Skal nye personalegrupper have autorisation/myndighedsgodkendelse og givet fald hvorfor?
  - Uddelegering af ansvar

*Versus*

- Kontrol med aktiviteter
- Oversigt over aktiviteter
- Ligeværdige medspillere i sundhedsvæsenet







## **Bioinformatisk opkvalificering af bioanalytikere Klinisk Genetisk klinik, Diagnostisk Center, Rigshospitalet.**

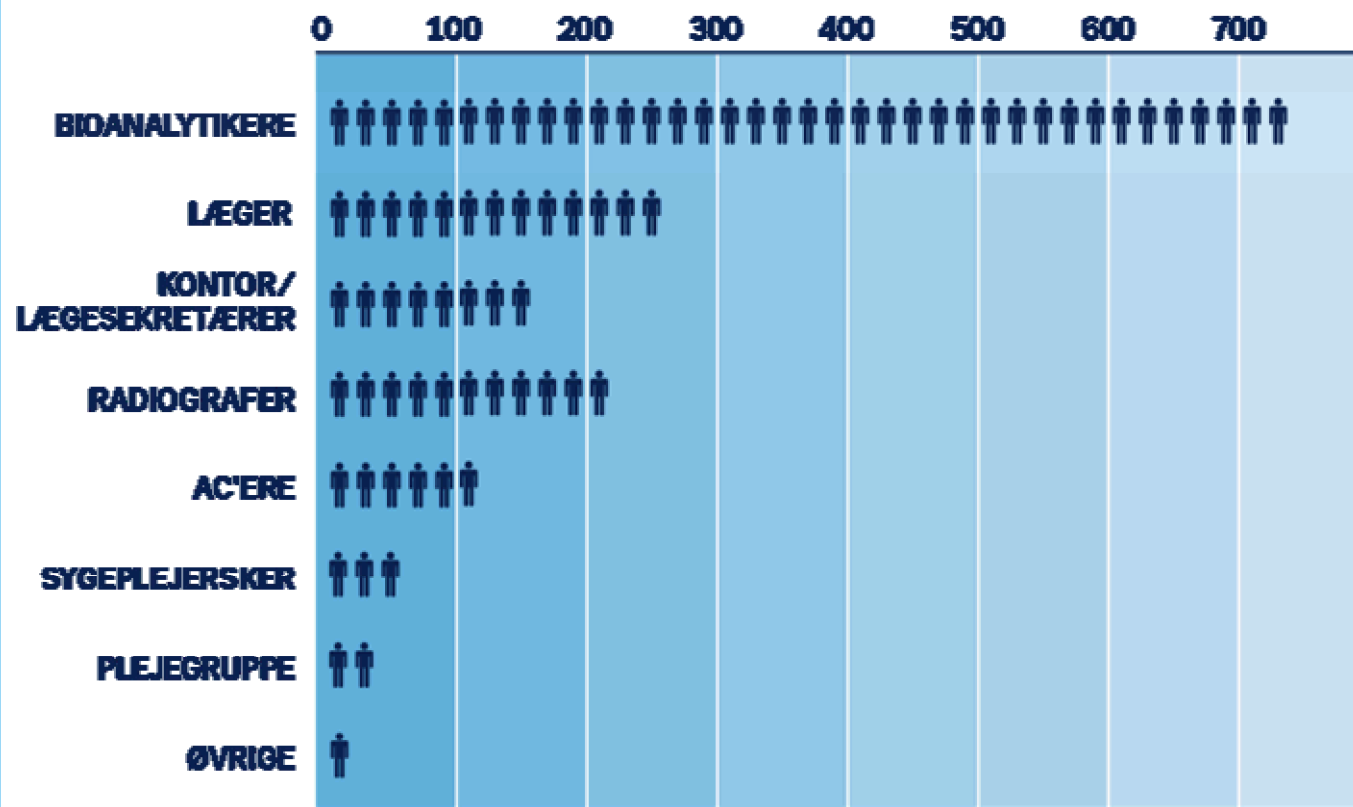
Er sundhedsvæsenet gearet til fremtidens personlige behandlinger?

## Uddannelsen til professionsbachelor i bioanalytisk diagnostik

- Formålet: varetagelse og sikring af bioanalytiske opgaver og kvalitet inden for det laboratoriemedicinske, diagnostiske og sundheds- og informationsteknologiske område til gavn for borgeren, patienten og samfundet.
- Laboratoriespecialer:
  - Klinisk Biokemi
  - Klinisk Fysiologi og Nuklearmedicin
  - Klinisk Immunologi
  - Klinisk Mikrobiologi
  - Klinisk Neurofysiologi
  - Patologisk Anatomi



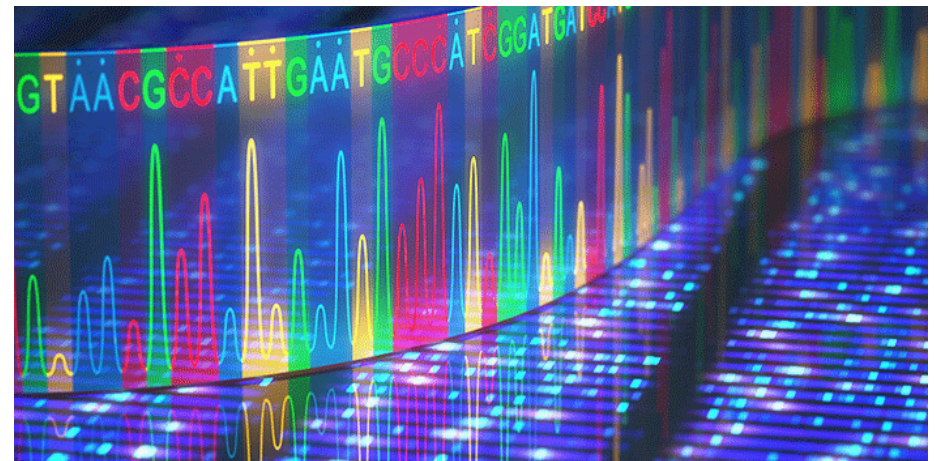
## Personalesammensætning i Diagnostisk Center



### Klinikker

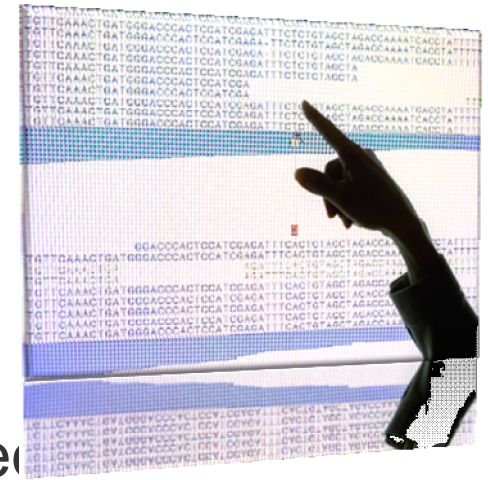
- Genomisk Medicin
- Klinisk Biokemisk Afdeling
- Klinisk Genetisk Klinik
- Klinisk Immunologisk Afdeling
- Patologiafdelingen
- Klinisk Mikrobiologisk Afdeling
- Klinik for Klinisk Fysiologi, Nuklearmedicin og PET

# Teknologi forandrer professionen



## Ansøgning om specialiseringsmulighed

- Grunduddannelsen er bred
- Bioanalytikere med flere års erfaring savner mulighed for at dygtiggøre sig yderligere
- I dag findes få muligheder for at specialisere sig som bioanalytiker
- Uddannelse og specialisering er en forudsætning for, at borgerne også i fremtiden har adgang til højt specialiseret diagnostik og behandling
- Bevilling fra Uddannelsesfagligt Råd (UFR), Region Hovedstaden





## Er sundhedsvæsenet gearet til fremtidens personlige behandlinger?

- Ja, bioanalytikerne er gearet- stor erfaring med teknologisk udvikling
- Ønskes:
- Fleksibel uddannelse der smidigt kan tilpasses efter nye behov ( nye moduler ind, andre måske tilpasset eller ud)
- Specialistuddannelse modulopbygget, gerne med byggeklodser fra nuværende uddannelser og gerne tværfaglige.
- Formål: øget tværfagligt samarbejde, minus siloer og blindgyder

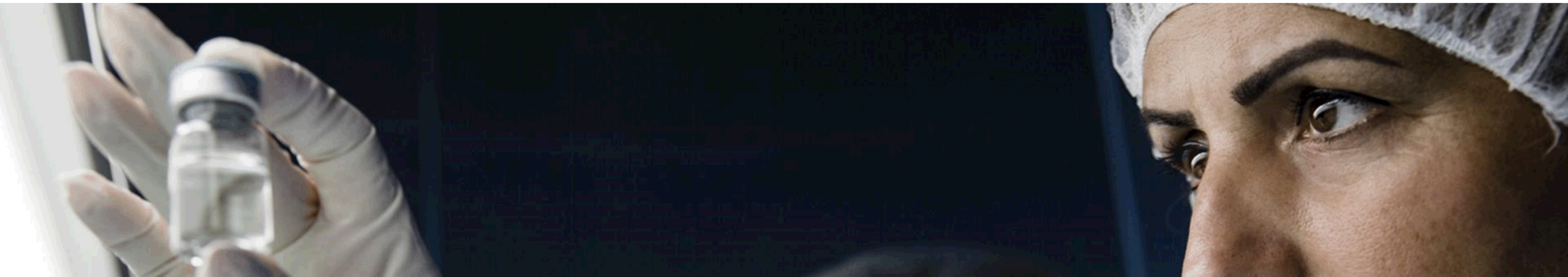


# **Sammen om udviklingen af nye behandlinger**

*Richard Wright, adm. direktør, Roche*

*Martin Hutchings, overlæge, Hæmatologisk Klinik og Fase 1 Enheden,  
Rigshospitalet*

*3. maj 2019*





# Fælles vision: At bringe innovation til patienter og samfundet

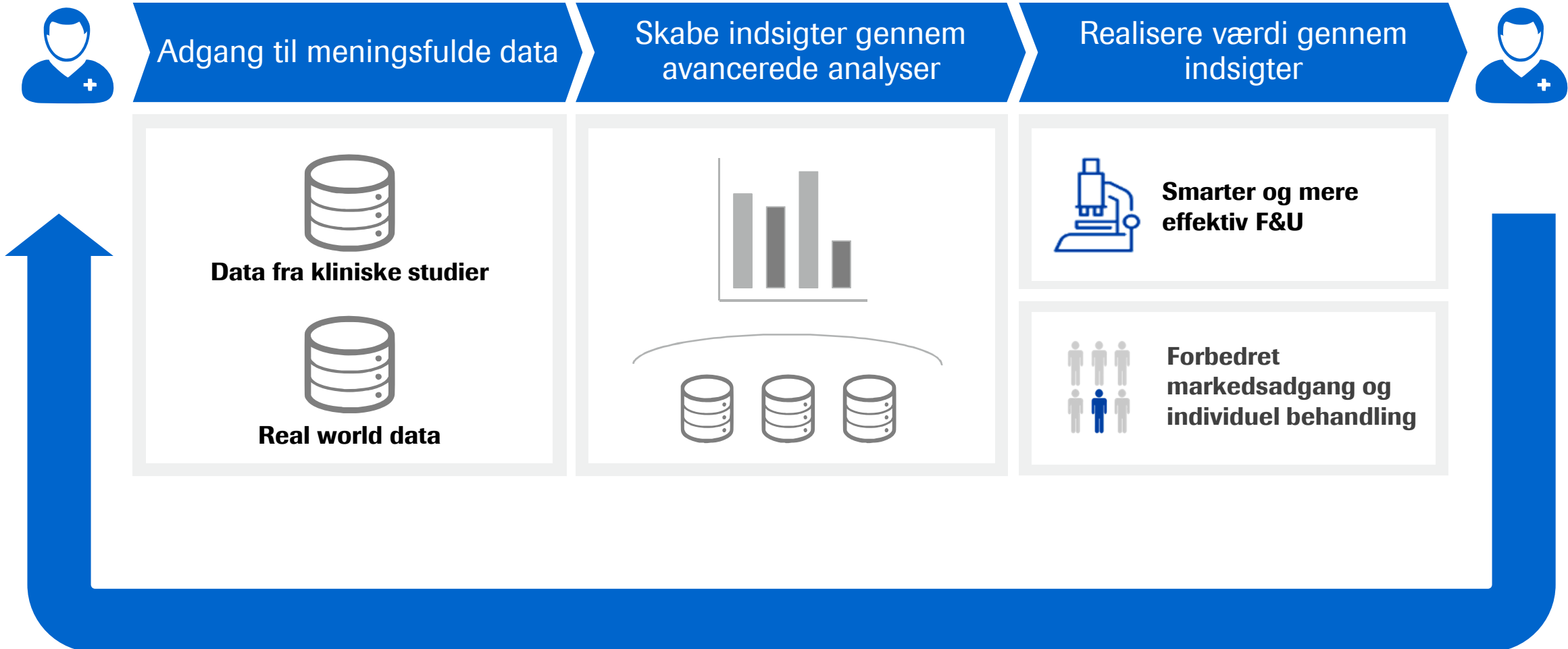
1 Samarbejde mellem klinikere og lægemiddelindustrien er afgørende for at skabe ny innovation til gavn for patienter og vores samfund

2 Tæt samspil er nødvendigt for at skabe fremtidens behandlinger og sikre et mere bæredygtigt sundhedsvæsen

3 Vi er en lægemiddelvirksomhed, og samarbejdet med klinikere omhandler bl.a. udvikling af ny medicin



# Samarbejde om udvikling af personlig medicin og individuel behandling kan fremtidssikre sundhedsvæsenet

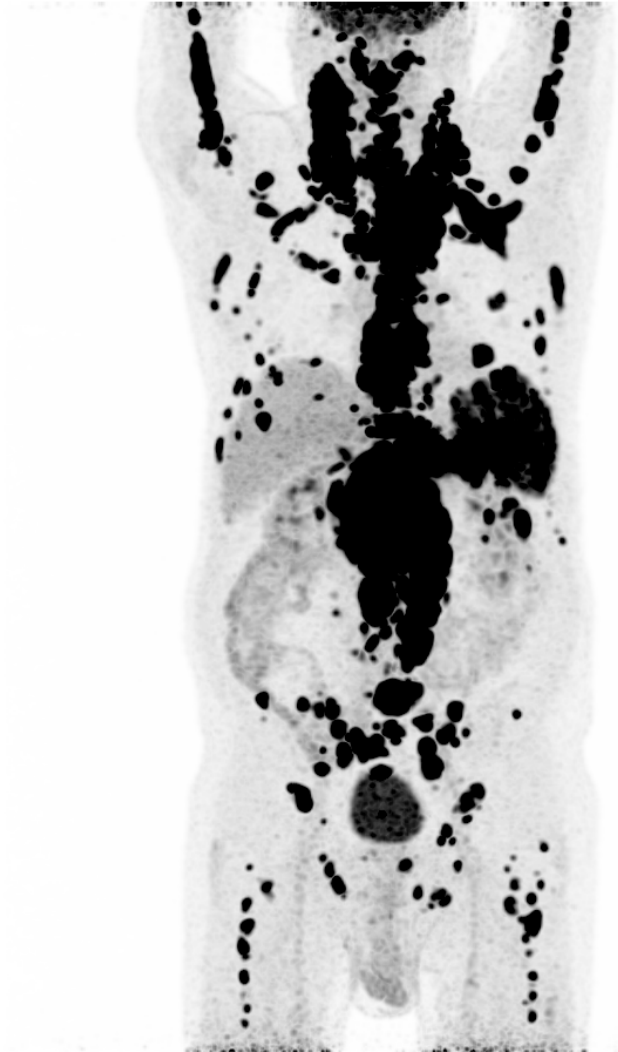


# Afgørende at vi fortsat sikre et stærkt samarbejde mellem klinikere og lægemiddelindustrien i fremtiden

## Vores erfaring viser:



H



R

H



# *Samarbejdet fra klinikerens perspektiv – hvad motiverer dette samarbejde?*



- Det er et samarbejde med tre partnere, som har forskellige men dog overlappende formål med samarbejdet:
  1. Patienterne og deres pårørende
    - **Vil gerne have adgang til nye og effektive behandlinger med færre bivirkninger**
    - Kan også være drevet af ønsket om at hjælpe andre, fremtidige patienter
  2. Kliniske forskere og forskningspersonale
    - **Vil gerne kunne give patienterne nye og effektive behandlinger med færre bivirkninger**
    - Samtidig akademisk/videnskabeligt motiveret
  3. Lægemiddelvirksomhederne
    - **Ønsker at udvikle nye og effektive behandlingsmuligheder med færre bivirkninger**
    - Ønsker viden om effekt, bivirkninger, dosis, farmakokinetik, mhp. strategi for lægemidlet
    - Ønsker om at øge indtjeningen

# *Hvordan kan det lade sig gøre i Danmark?*



Rigshospitalet



- Vi kan i Danmark tiltrække og udføre tidlige kliniske studier i en grad, som vores størrelse egentlig ikke berettiger til. Hvorfor?
  - Vi er hurtige til at godkende og implementere eksperimentelle behandlingsstudier
  - Vi har et sygehusvæsen med højt niveau af specialisering og centralisering
  - Vi er relativt godt organiserede med udbredt nationalt og internationalt samarbejde
  - Vi har en høj grad af tillid og indbyrdes hjælpsomhed mellem de deltagende parter
  - Vi har velinformerede og tillidsfulde patienter
  - Vore patienter har generelt en stor tillid til videnskab og til ildsjæle med stor ekspertise

# Hvad får vi ud af samarbejdet?

- Uden samarbejde mellem lægemiddelindustrien og klinikere på hospitalerne:
  - Ingen udvikling af nye lægemidler på dansk jord
  - Færre midler til klinisk forskning, inkl. akademiske studier
  - Dårligere behandlingsmuligheder for patienterne
  - Større udgifter for samfundet
- Involvering i de tidlige studier giver:
  - Tidlig, dyb indsigt og stor indflydelse på den videnskabelige proces
  - Tidlig erfaring med nye behandlingsprincipper
  - Adgang til nye behandlingsmuligheder adskillige år inden evt. godkendelse
  - Tidlig erfaring med personlig, targeteret behandling
  - Tidlig erfaring med *companion diagnostics* mhp. præcis selektion af patienter med størst chance for gavn af behandlingen, mhp. monitorering af effekt og beslutninger om behandlingsvarighed

# *Hvad kan der gøres politisk for at styrke samarbejdet til gavn for patienterne?*



Rigshospitalet



- Nedbryde unødige hindringer og undlade at opstille nye barrierer
- Etablere klare og ensartede nationale regler for befordring af patienter på tværs af regioner
- Etablere en aftale med de andre nordiske lande om hindringsfri adgang til eksperimentel behandling, i de tilfælde hvor en behandling ikke er tilgængelig i hjemlandet
  - Inkl. dækning af transportomkostninger og basale, ikke studierelaterede hospitalsudgifter
- Fortsat adgang til hurtig sagsbehandling i de godkendende myndigheder (VEK, LMS)
- Arbejde for single-entry godkendelsesprocedurer
- Undgå urimeligt høje overheads til hospitalerne, der reelt er slet skjulte driftstilskud fra industrien
- Øge finansieringen af kliniker/forsker delestillinger
- Undgå en diskurs der underminerer tilliden til ekspertise, til videnskab og solid evidens



Det er afgørende, at vi har de rette rammer for fortsat at sikre et åbent og transparent samarbejde mellem klinikere og lægemiddelindustri

---

Samarbejdet er afgørende for fortsat udvikling af ny innovation. Samtidig sparer det penge til medicin og styrker sundhedsforskningen

---

Klinikere og lægemiddelvirksomheder generelt har et godt fagligt samarbejde. Det er en afgørende årsag til at så mange Fase 1 forsøg placeres i Danmark

---

*Doing now what patients need next*

# Personlig Medicin til gavn for Danmark og det danske sundhedsvæsen: Er sundhedsvæsenet gearet til fremtidens personlige behandlinger?

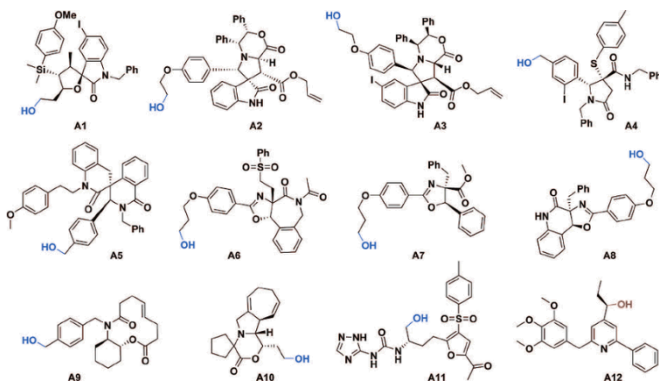
Danske Regioner / LIF konference 3. maj 2019

Thomas Senderovitz, direktør Lægemiddelstyrelsen



# Fra

- Små molekyler  
antistoffer
- Behandling af  
sygdom



# Til

- Avancerede terapier
- Tidlig intervention
- Biosystem modifikation



# *Fra*

- *One size fits all*



# *Til*

- Præcisionsmedicin

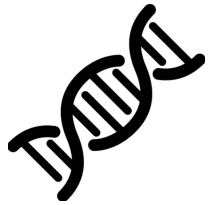


# Personlig medicin

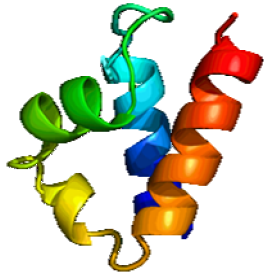


# Præcisionsmedicin

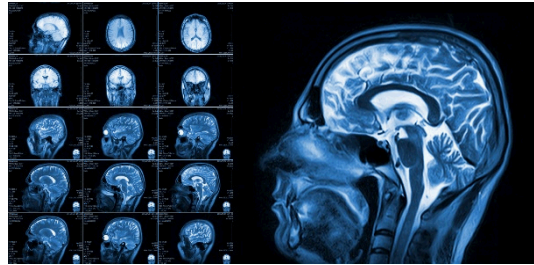
# Præcisionsmedicin



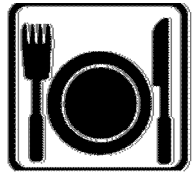
Genomics



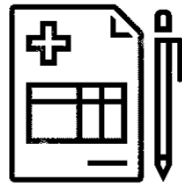
Proteomics



Billeder



Behavioromics



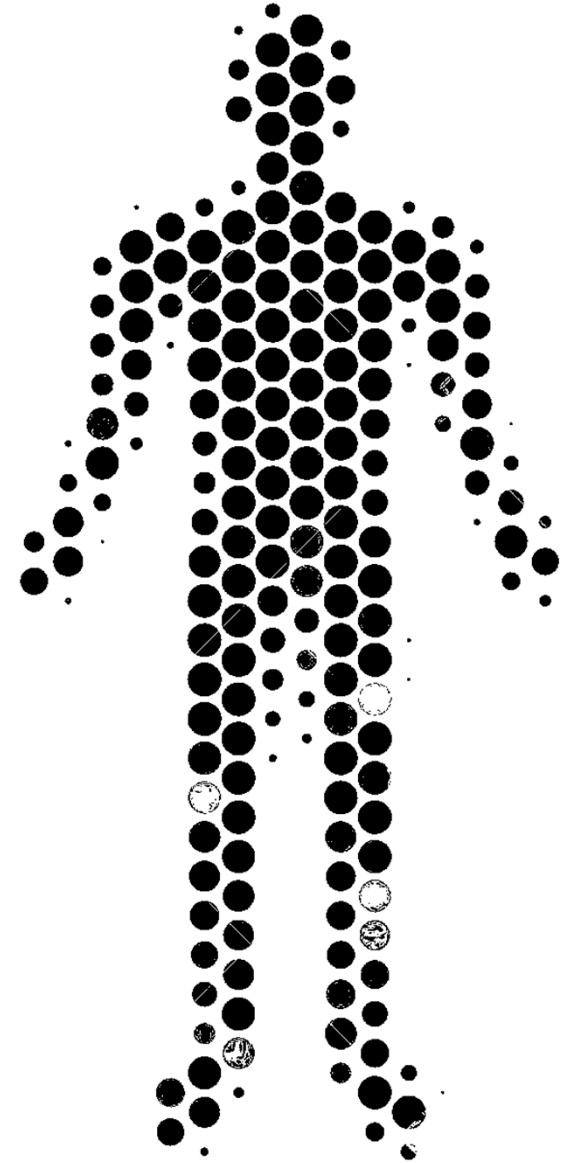
Kliniske data



Wearables



SoMe data



- **Advanced Therapy Medicinal Products**

- *Genterapi*
- *Vævs engineering*
- *Celleterapi*





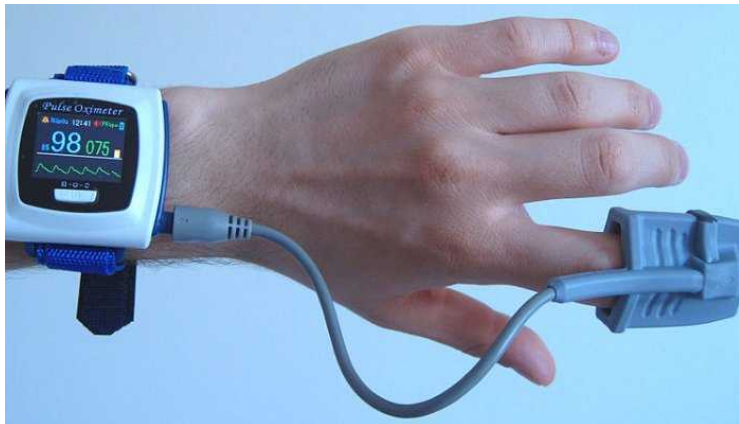
- 3D print – medicin og medicinsk udstyr
- Augmented / Virtual reality
- Robotter
- Nanotech



# 3D printed medicin



- Wearables / nanosensors /remote sensors
- Mobile health / sundhedsapps



- Telemedicine
- Homecare
- Patienten som “sundhedsforbruger”



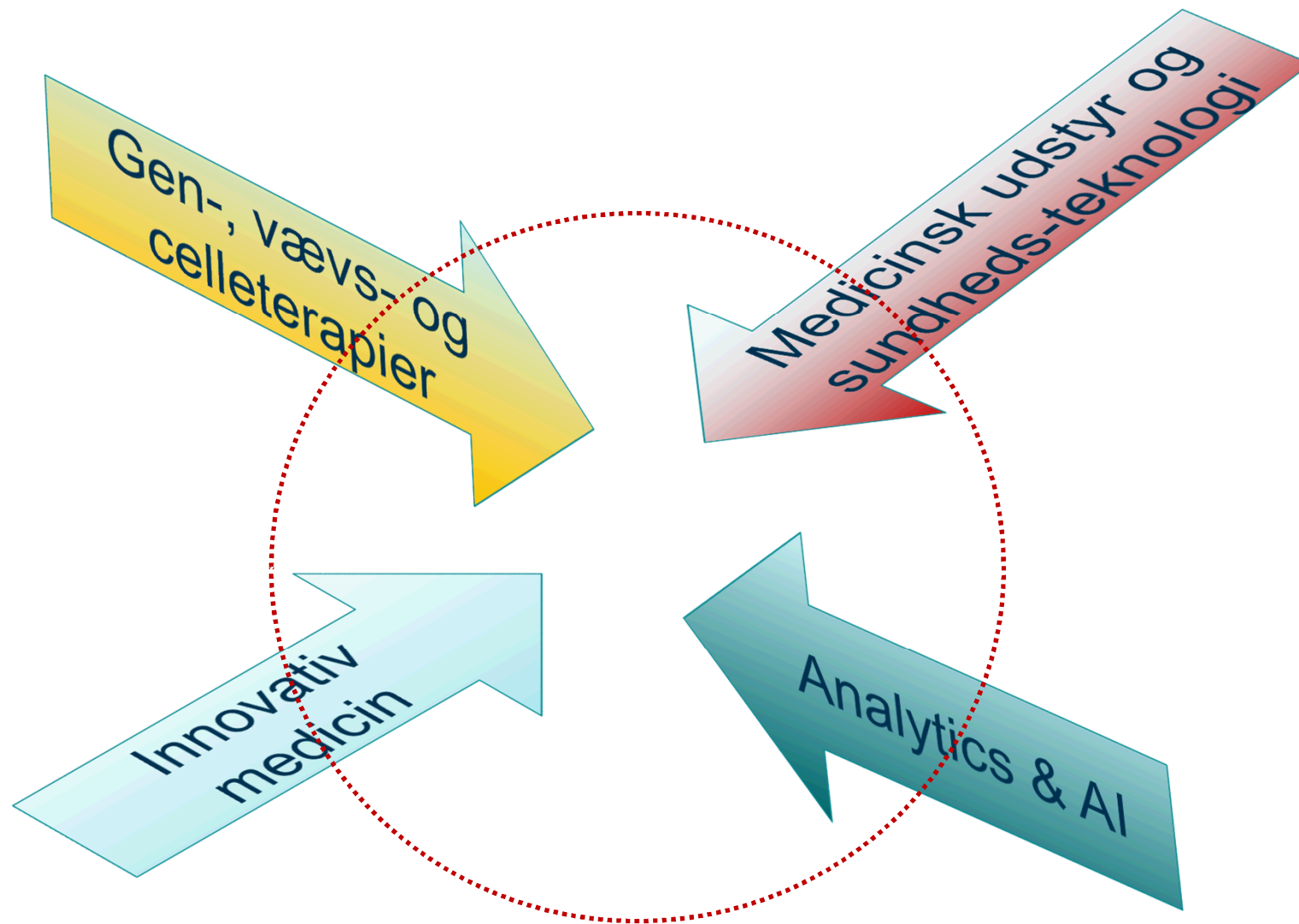
- Connected health
- Internet of Things



# Big Data Analytics Kunstig Intelligens



# Konvergens – mulighed og udfordring

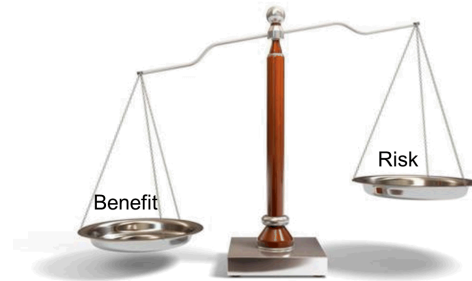


# Ny medicin

- Lægemiddeludvikling dyr, kompleks og langvarig
- Baseres (stadig) på gennemsnitsbetragtninger for en population
- Kontrollerede kliniske forsøg – ikke tilrettet den enkelte patient i ”virkelige verden”
- Bivirkninger oftest ikke forudsigelige
- Godkendelses- og overvågningsproces ikke tidssvarende



# Nuværende regulatoriske paradigme



Benefit/risk



- Lægemiddeludvikling  
~ 10 år

Post approval overvågning

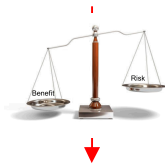


**Godkendelse**

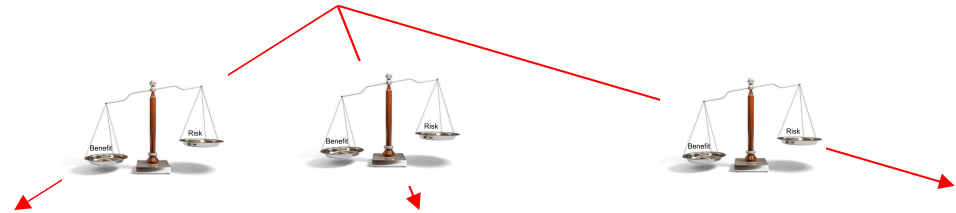
# Fremtidens regulatoriske paradigme?

Tidlig B/R

begrænset/konditionel  
godkendelse



"Kontinuerlig" B/R og  
evt. godkendelses-ændringer



RCT-baseret  
udvikling  
RWD inkl. +/-

*Gentagne scientific advice*

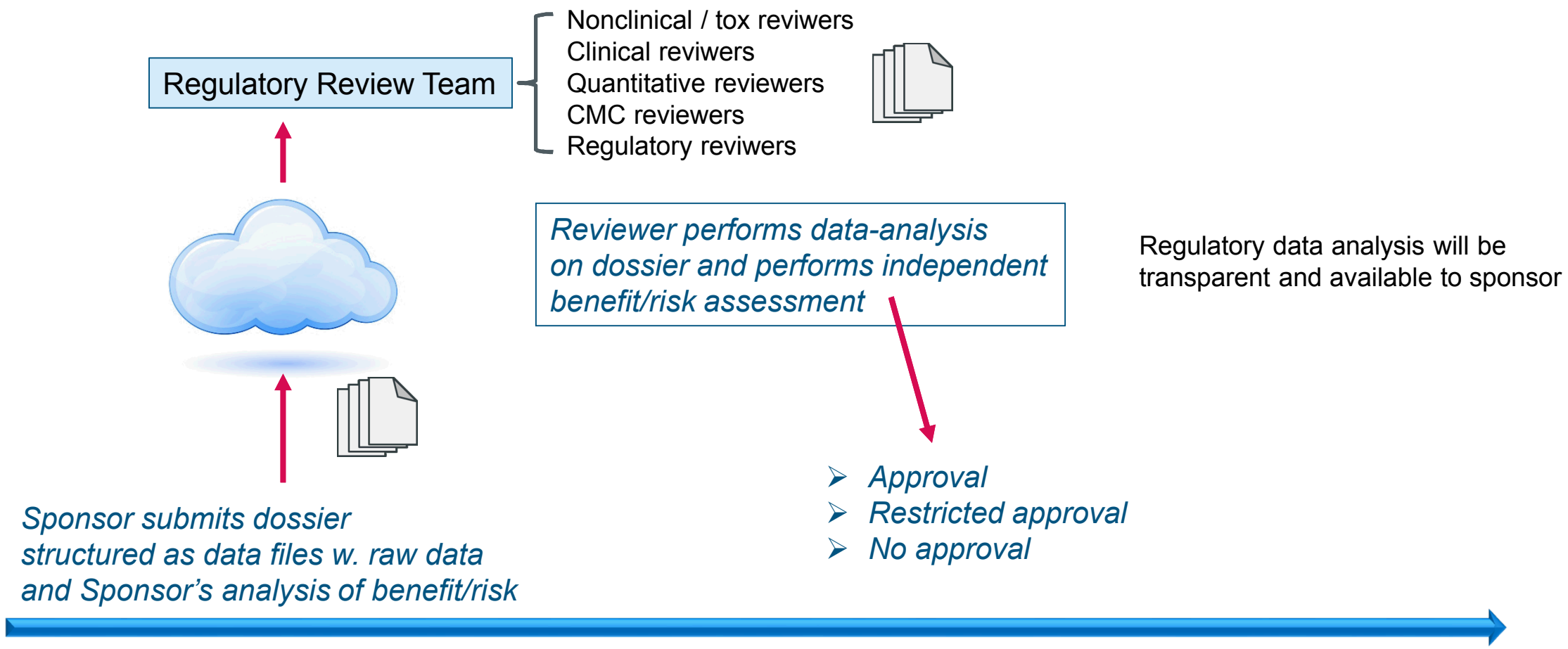
Kontinuerlig RWD analyse  
RCT inkl. +/-



# Lægemiddelstyrelsens Dataanalycecenter (DAC)

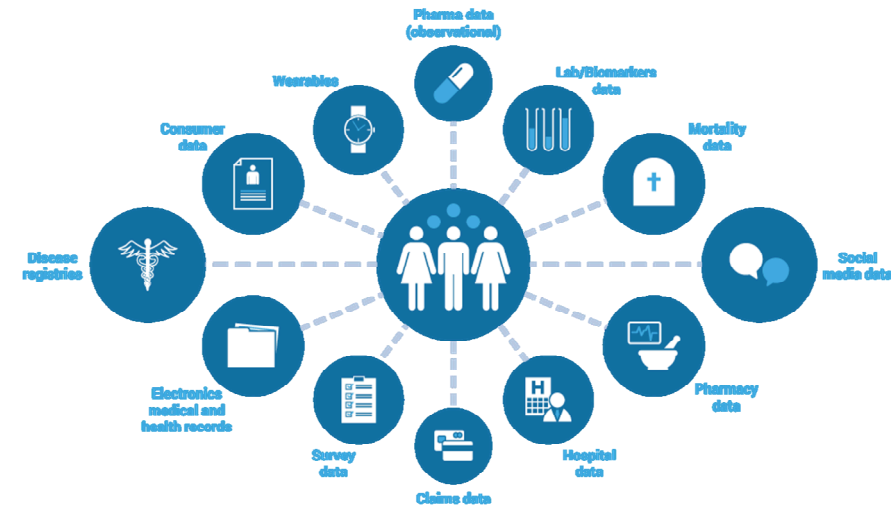
- Ny konstruktion i Lægemiddelstyrelsen – og i EU
- *Analyse af lægemidlers virkninger og bivirkninger - samt sikkerheds-analyser af medicinsk udstyr - baseret på rå-data fra multiple datakilder*

- Centret forankres i Lægemiddelstyrelsen
- Bliver det første af sin art i EU
- Tæt samarbejde med andre styrelser i EU samt i SUM

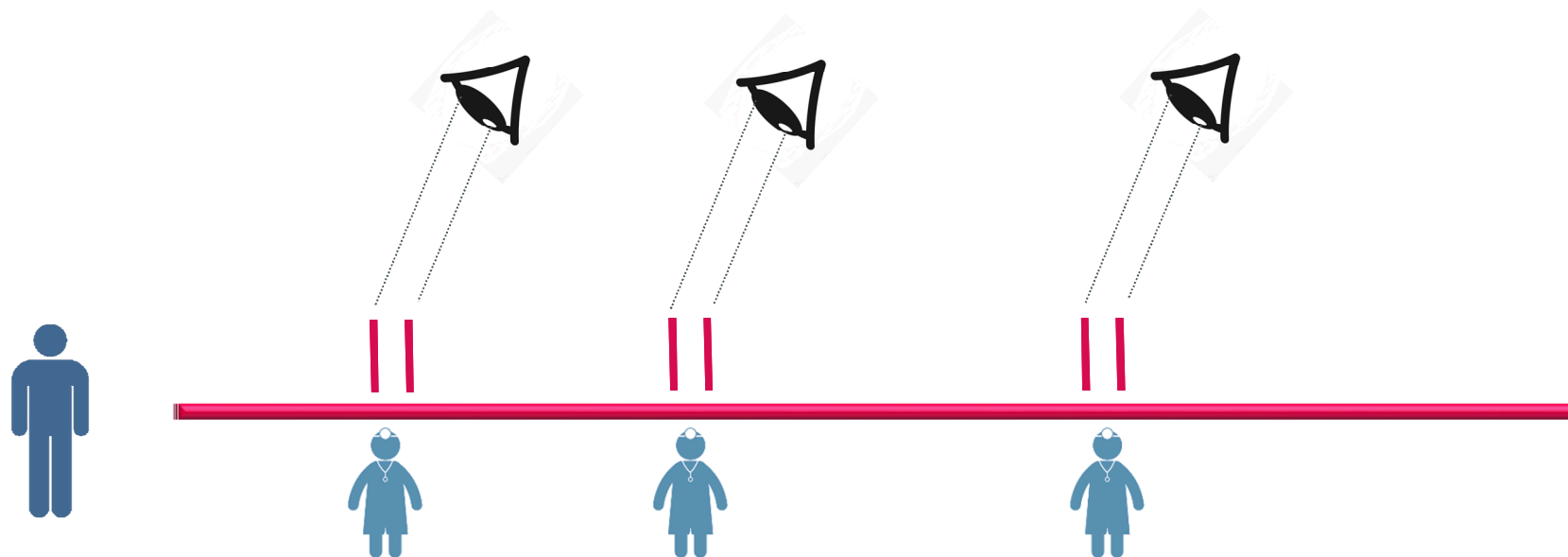


# ”Varekatalog” – hvad skal centret lave?

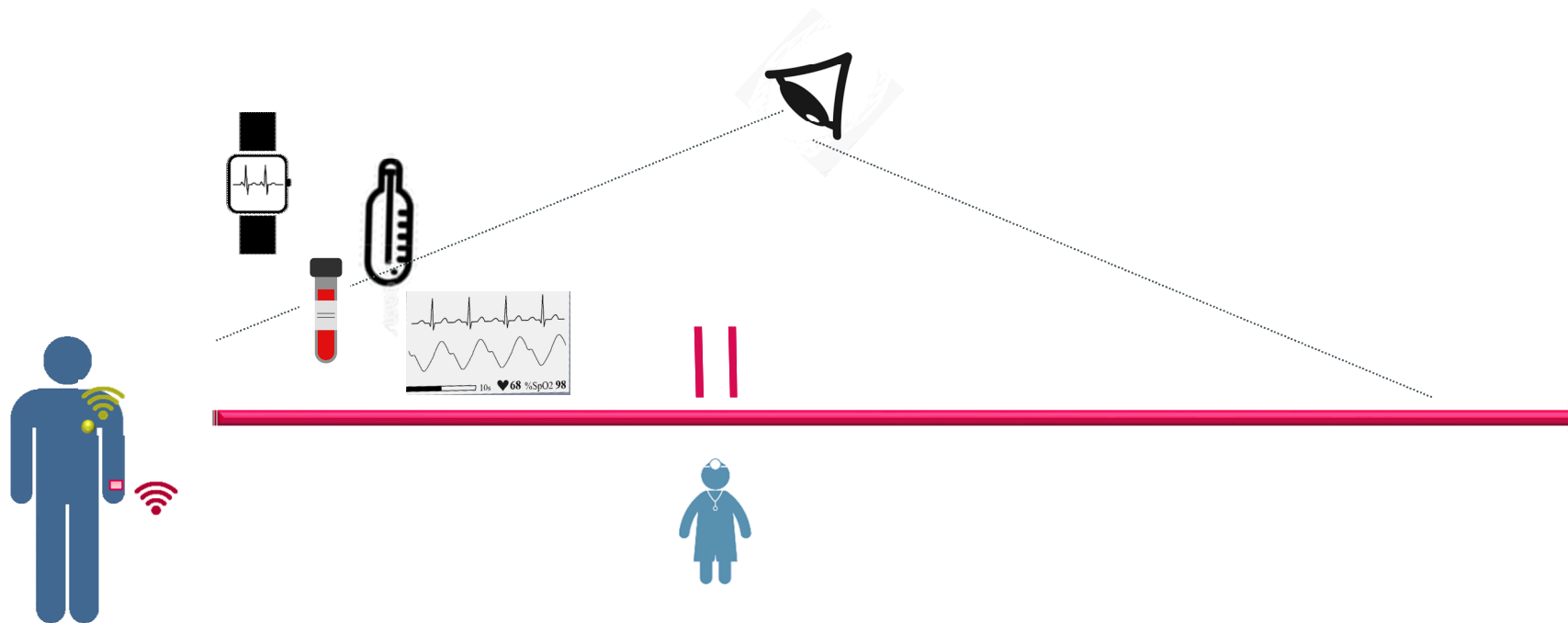
- Pre-approval dataanalyser af nonkliniske og kliniske forsøg
  - Biostatistiske analyser
  - PK/PD analyser
  - Klinisk Forsøg Simulationer (Monte Carlo simulations)
- Benefit/risk assessment af totalt dossier
- Post-approval analyser
  - Post approval Benefit/risk assessment m RWD
  - Signaler / risikoanalyser / særlige populationer mv.
- Medicinsk udstyrs hændelses-analyser



# Besøg hos lægen giver glimtvis info om sundhedstilstand



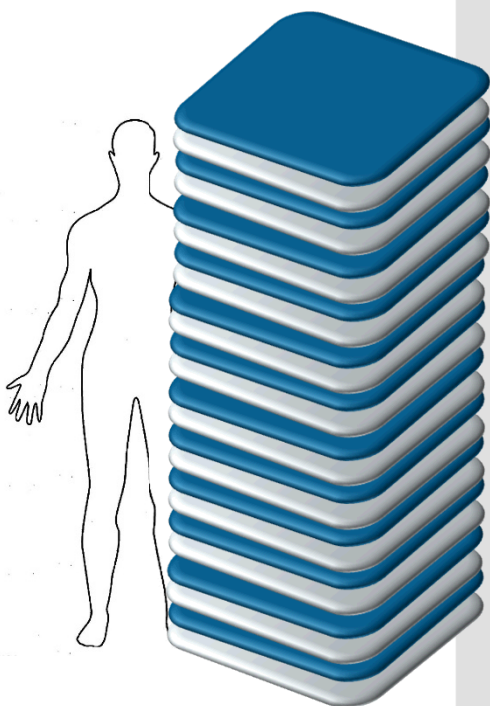
# Kontinuerlig read-out fra multiple datakilder giver helhedsbillede og grundlag for præcisionsmedicin



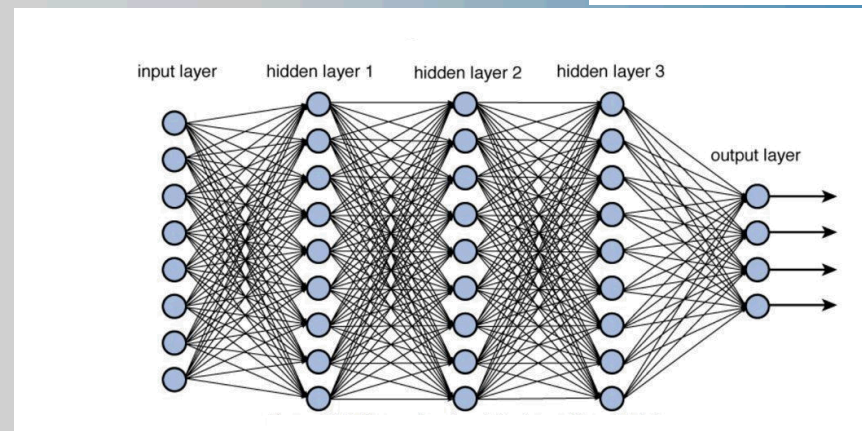


# Artificial Intelligence og præcisionsmedicin

Input



Social, behavioral  
Genomics and –omics  
Biosensors  
Immune system  
Gut microbiome  
Anatome  
Environmental  
Phys. activity, sleep, nutrition  
Medicine  
Alcohol, drugs, tobacco  
Labs,  
Family history  
Communication  
State of mind  
Medical literature



Ouput



# Følg os



Snapchat: @laegemiddel

Twitter: @ThSenderovitz @LMSTdk

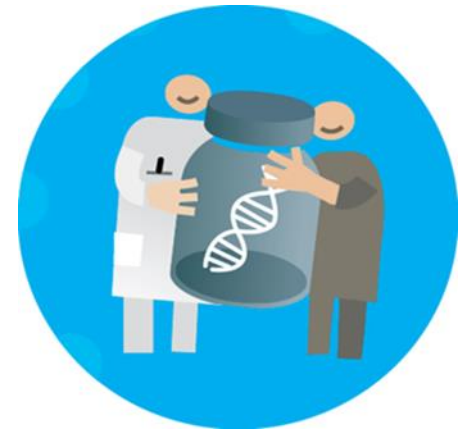
Facebook, Youtube og LinkedIn: Lægemedelstyrelsen



Leif Panduro Jensen

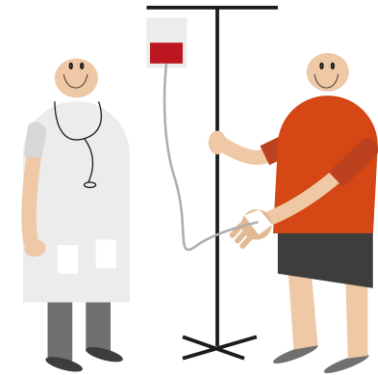
Formand for Regionernes Bio- og GenomBank, formand for Østdansk Infrastruktur for Personlig Medicin og næstformand for den nationale bestyrelse for Personlig Medicin

## Bedre brug af sundhedsdata – til gavn for patienten



# Agenda

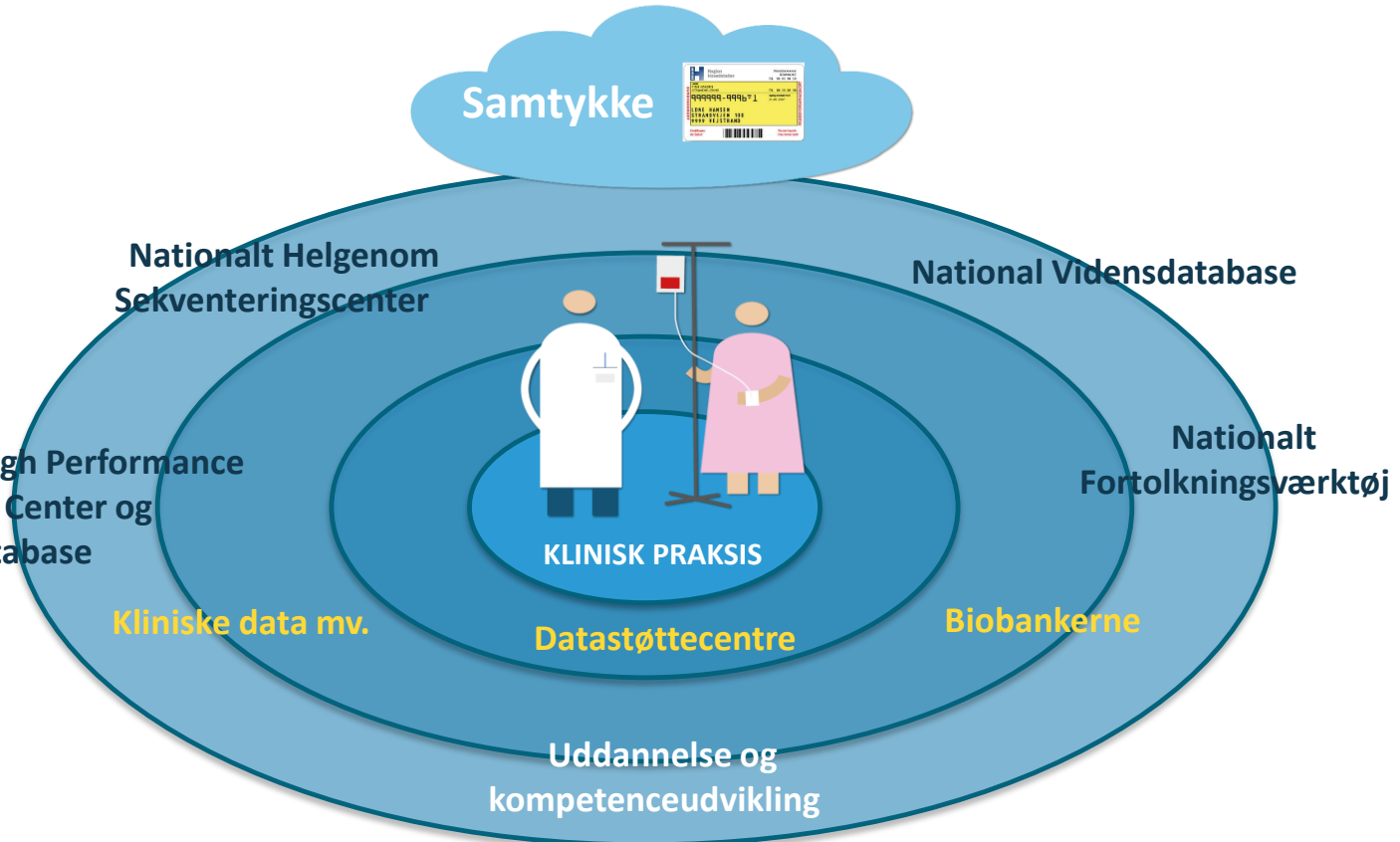
- 1 • Vi bruger data for lidt
- 2 • Vision og sammenhæng
- 3 • Regionale Datastøttecetre
- 4 • Biobankerne
- 5 • Kliniske data, registerdata og mange flere data
- 6 • Afrunding



# Visionen for datainfrastrukturen



National High Performance Computing Center og Genom Database



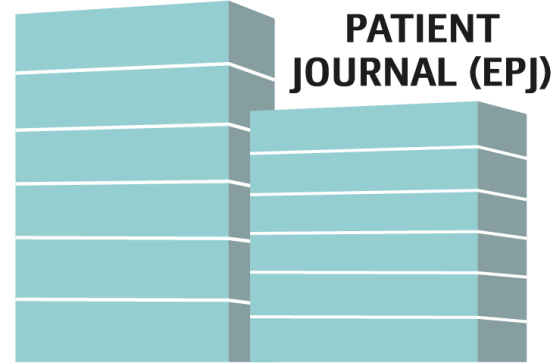
NATIONALT  
GENOM  
CENTER



DATASTØTTE  
CENTER

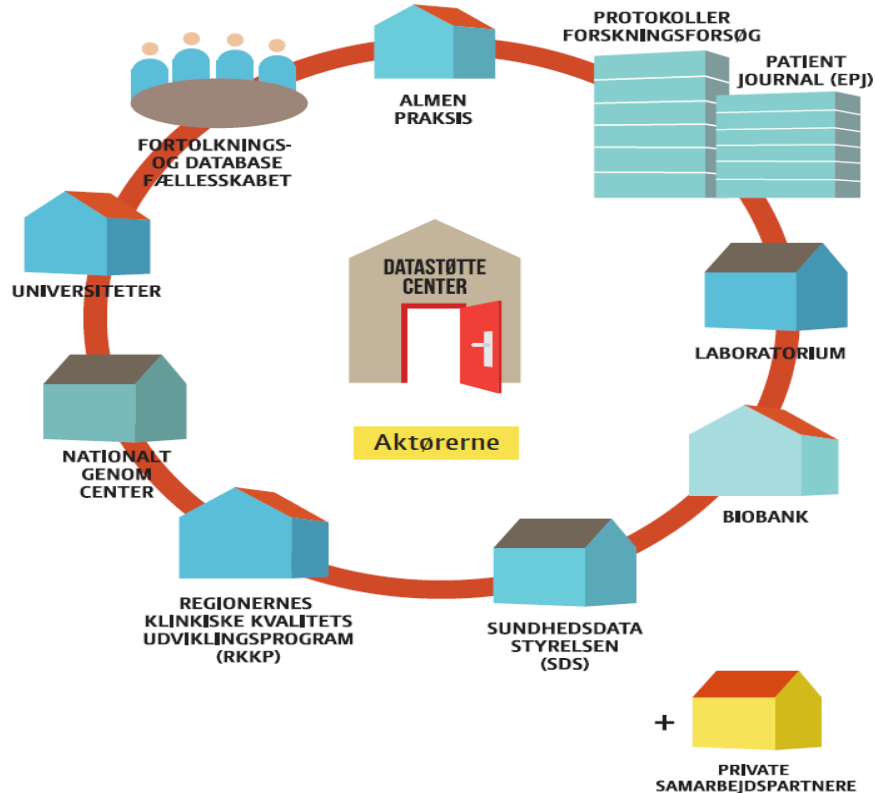


PROTOKOLLER  
FORSKNINGSFORSØG



PATIENT  
JOURNAL (EPJ)

# Sammenhæng i sundhedsvæsenet



# Datastøttecentre – Én indgang

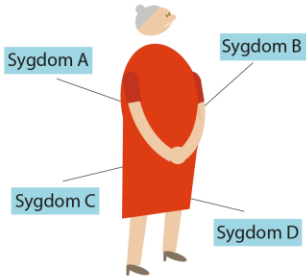
- Understøtte udbredelsen af Personlig Medicin i klinisk praksis
- Være en guide til sikker, fortrolig og smidig adgang til brug af sundhedsdata
- Understøtte at sundhedsdata i højere grad kommer patienten til gavn
- Udgøre én ensartet, sammenhængende og transparent adgang til rådgivning, service og støtte for diagnostik, behandling, forebyggelse, forskning og kvalitetsarbejde i brugen af data
- Datastøttecentre skal ikke opbevare data
- Data opbevares i den kommende nationale teknologiske løsning
- Datastøttecentre er under fælles governance hos sundhedsdirektører og sundhedsdekaner



# Hvordan gavner datastøttestre centre patienten?

## Patientbehandling - med og uden datastøttestre centre

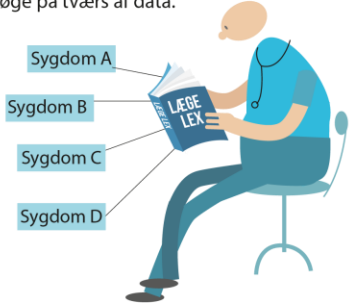
Dorthe har det skidt.  
Hun lider af:



Hun får taget en prøve hos lægen.



**I dag** henter lægen viden om hver enkelt lidelse, men har dårlige muligheder for at søge på tværs af data.



Dothe får den bedst mulige behandling.



**I fremtiden** vil lægen kunne kontakte et datastøttestre centre.

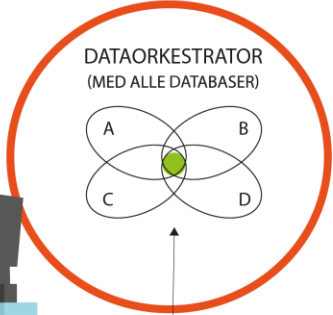


Datastøttestre centre henter ekspertise fra mange forskellige faggrupper.



Datastøttestre centre vil hjælpe lægen med at få adgang til relevante databaser, som er samlet i en dataorkestrator.

Lægen kan nu søge i al tilgængelig viden om Dorthes lidelser - også på tværs.



● Viden om patienter, der lige som Dorthe lider af både sygdom A, B, C og D ("patients like me")

Dothe får nu en mere målrettet behandling.

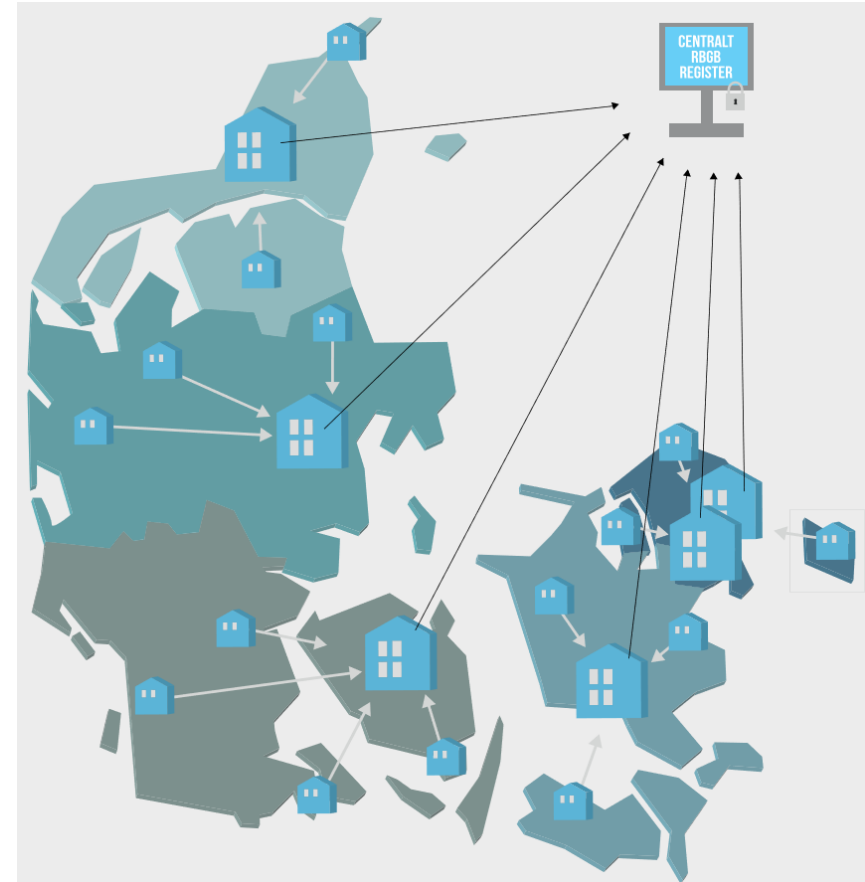


# Regionernes Bio- og GenomBank

- Fælles model for indsamling, registrering og opbevaring af biologisk materiale
- Murstensløst nationalt samarbejde mellem hospitalsafdelinger
- I dag fællesbanker med blod, væv og andre materialer inden for kræft, gigt, genetik, bloddonorer og patologi

## Biobankområdet i Danmark:

- Den Nationale Biobank (SSI)
- Regionernes Bio- og GenomBank
- Lokale biobanker

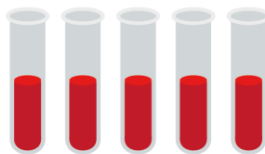


# Hvordan gavner en styrkelse af Personlig Medicin i regi af RBGB patienter, klinikere og forskere?



## Fremtidsperspektiv

En styrkelse af biobankområdet byder på mange fordele, både for patienten, den sundhedsprofessionelle og forskeren.



Mange blodprøver

I dag

- Mange blodprøver for forskellige sygdomme
- Mangelfuld udveksling af data på tværs af sygdomme



En blodprøve

I fremtiden

- Færre konsultationer med blodprøver
- Tidlig opsporing af sygdom



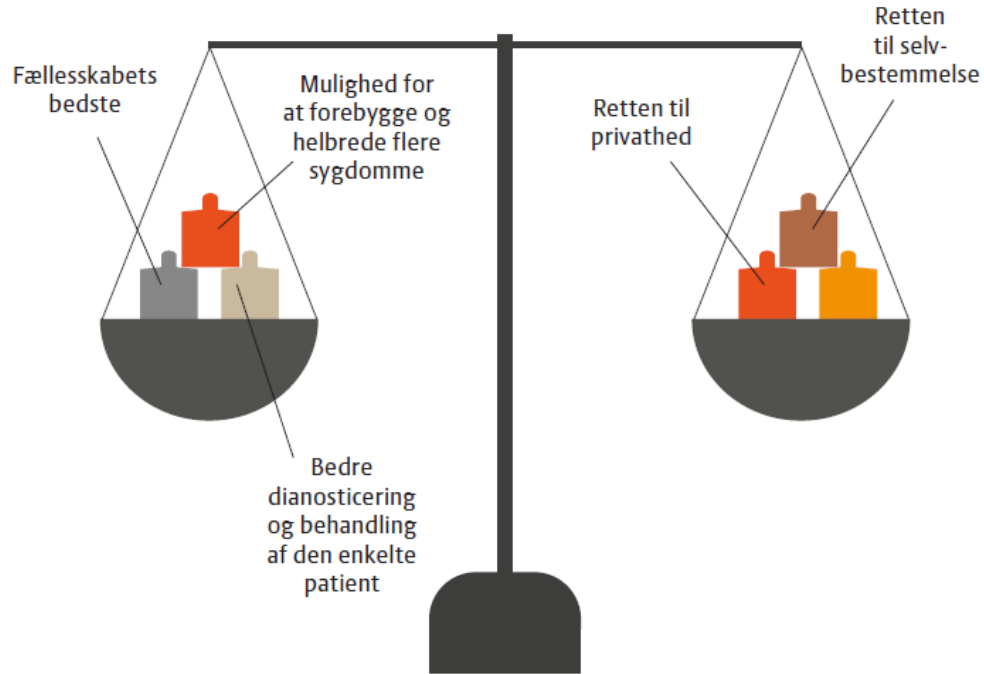
regionernes kliniske kvalitetsudviklingsprogram



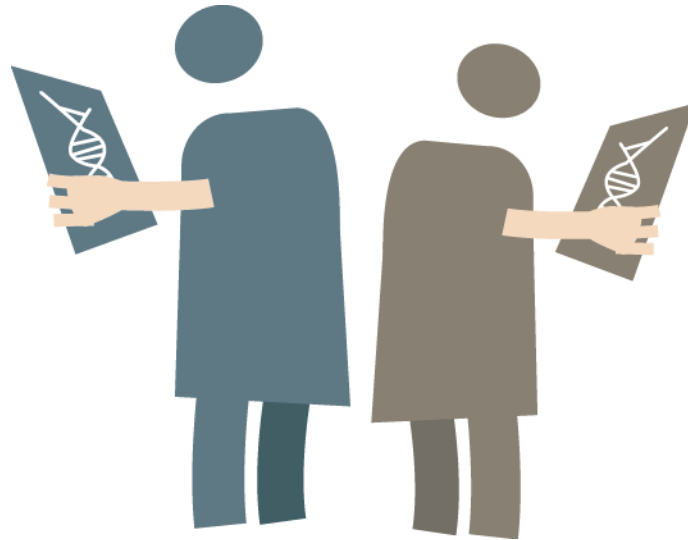
# Viden til et bedre sundhedsvæsen

RKKP strategi 2019-2022

# Etik i anvendelsen af store datamængder



# Tak for opmærksomheden!



<https://www.regioner.dk/sundhed/tema-personlig-medicin>

Tony | Fabry Disease | Denmark



Tekniske krav og forudsætninger brugen af nye personlige lægemidler stiller til (den genetiske) diagnosticering og opfølgning på behandling.

Astrid Heide Petersen, PhD  
Nordic Baltic Medical Lead, Rare Diseases, Medicinsk Afdeling,  
Sanofi Genzyme, Sanofi A/S, Danmark

SANOFI GENZYME 

GZDK.GZ.19.04.0125



**Klinisk Viden  
& Erfaring**

**Biokemiske Analyser**  
Sygehuslaboratorie eller hos  
industripartner

**Genetiske Analyser**  
Sygehuslaboratorie eller hos  
industripartner



# Sanofi Genzyme Specialty Care

I Sanofi Genzyme fokuserer vi på forskning i og behandling til sjældne sygdomme, multipel sclerose, immunologi og onkologi. Genzyme blev etableret i 1981 og blev en del af Sanofi i 2011.



Gaucher

1:40.000-100.000  
og 1:800 i den  
ashkenazijødiske  
befolkning

Fabry

1:40.000

Pompe

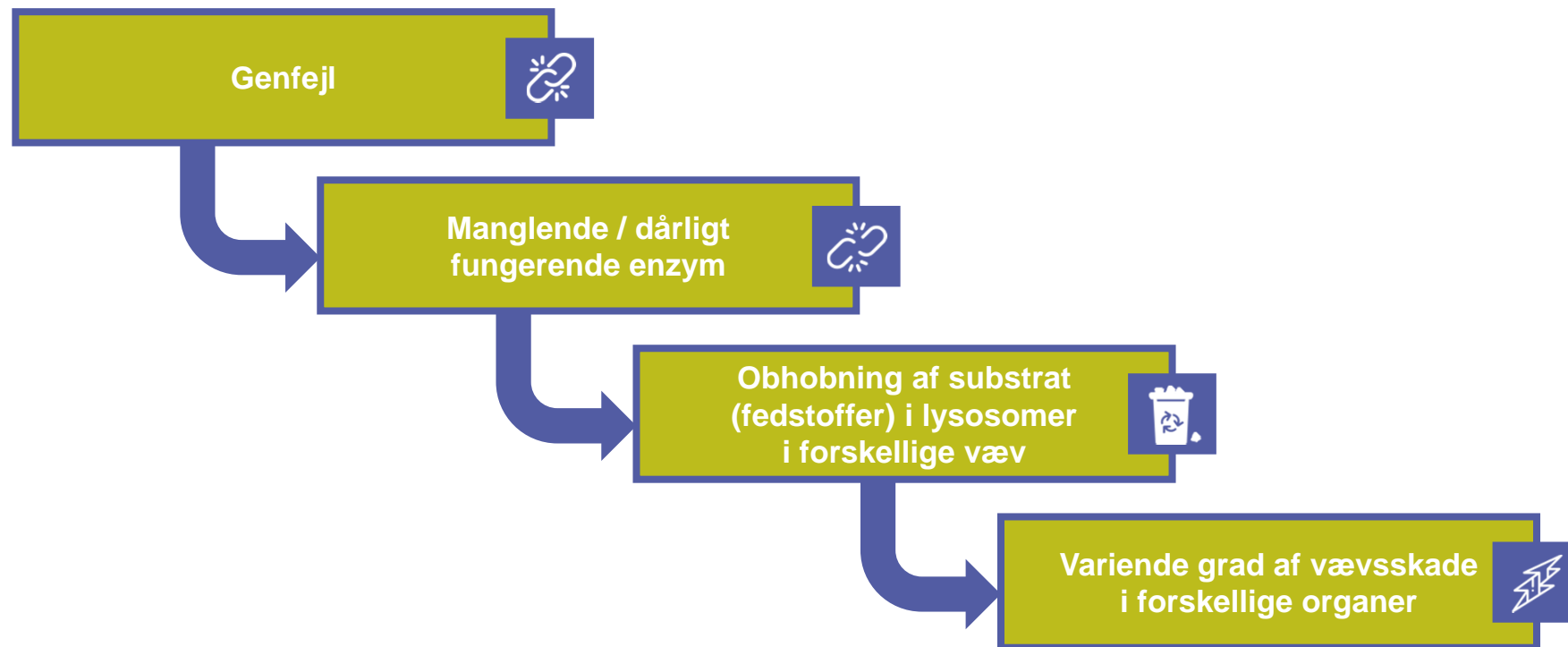
1:40.000  
og 1:14.000 i den  
afroamerikanske  
befolkning

MPS I

1:100.000

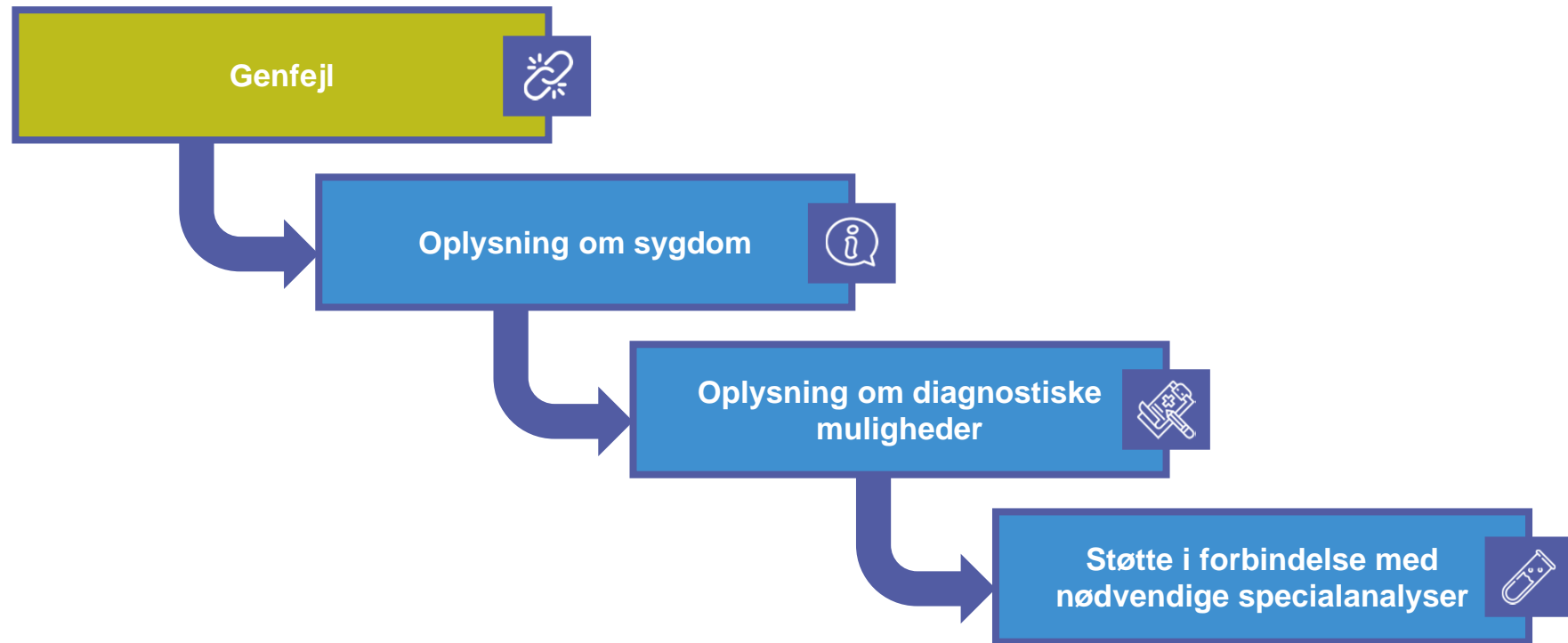
# Sjældne genetiske sygdomme

---



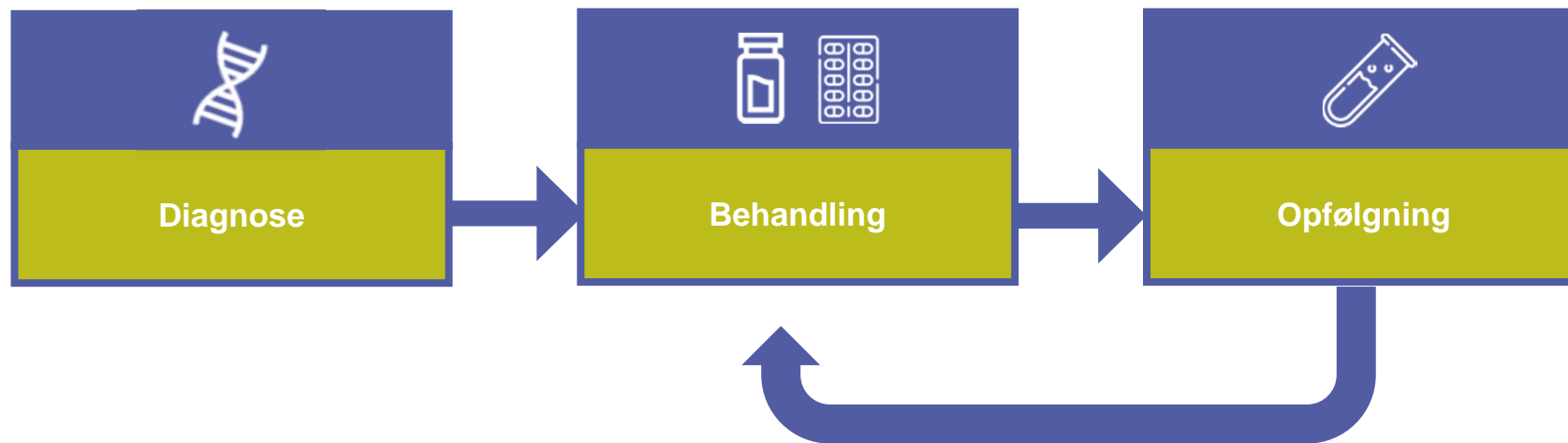
# Fokus

---



# Sjældne genetiske sygdomme

---





**Klinisk Viden  
& Erfaring**

**Biokemiske Analyser**  
Sygehuslaboratorie eller hos  
industripartner

**Genetiske Analyser**  
Sygehuslaboratorie eller hos  
industripartner

Maria | Gaucher Disease | Denmark



SANOFI GENZYME 

Tak

GZDK.GZ.19.04.0125