

**Helse- og omsorgsdepartementet
ved seniorrådgiver Nils Olav Refsdal**

Bergen/Oslo 29.09.2019

Notat til Helse- og Omsorgsdepartementet i forbindelse med handlingsplan for kliniske studier 16.09.2019

Hjernerådet takker for anledningen til å delta i innspillsmøtet om en kommende handlingsplan for kliniske studier.

Hjernerådet representerer så vel brukere og pårørende som forskere og helsepersonell innen feltet hjernehelse og hjernesykdommer, som er i tråd med prinsippene for HelseOmsorg21-strategien. Vi ønsker i det følgende å komme med noen utdypende innspill om utfordringene ved kliniske studier ved sykdommer i nervesystemet.

Hjernesykdommene har ofte en høy grad av alvorlighet og store konsekvenser for både pasienter, pårørende og samfunnet som helhet. For de fleste sykdommene finnes det ingen kurativ behandling, og mange av lidelsene har et progredierende forløp. LMI tall og fakta, publisert i Menorrapporten fra 2017, viser at bare 6 % av legemiddelindustriens kliniske studier i Norge var i feltet "sykdommer i sentralnervesystemet". De norske tallene fra Global Burden of Disease prosjektet viser at hjernesykdom nå rammer 1 av 3 nordmenn i løpet av livet. Hjernesykdommene utgjør 23 % av tapte leveår (YLL), 29 % av leveår med invaliditet (YLD) og 26 % av tapte leveår og år med invaliditet (DALY). En andel på 6 % av industristudier står ikke i forhold til den store sykdomsbyrden hjernesykdom nå utgjør. Hjernerådet vil derfor påpeke et åpenbart behov for å øke antall industristøttede kliniske studier for pasienter i hjernehelsefeltet.

Antallet uavhengige kliniske studier av hjernesykdom, initiert i foretak og akademia, må også økes. Denne typen studier belyser ofte problemstillinger som er mindre aktuelle for industrisamarbeid, men har høy klinisk relevans, eksempelvis relatert til tilgjengelighet av medikamenter med lav kommersiell interesse. Det bør legges til rette for multinasjonale uavhengige studier, gjerne i form av nordisk samarbeid. Dette er spesielt viktig for mindre vanlige hjernesykdommer som multippel sklerose, ALS og genetiske lidelser. Studier for utprøving av medisinsk-teknisk utstyr er relevant ved en rekke hjernesykdommer, eksempelvis stimulatorer ved Parkinsons sykdom og epilepsi og ultralyd teknologi ved slagsykdom.

Hjernesykdommer rammer også barn og unge, men antallet barn som kan være aktuelle for medikamentelle studier er lavt for mange diagnoser. Det bør derfor stimuleres til deltagelse i multinasjonale kliniske studier for denne gruppen, som ellers sjelden vil få mulighet til studiedeltagelse.

Videre vil vi fremheve at det også er behov for kliniske studier av symptombehandling og ikke-medikamentell intervensjon, for eksempel innen forebygging og rehabilitering

med tverrfaglig profil, samt «omsorgsstudier» som eksempelvis legger til rette for at alvorlig syke pasienter kan lengst mulig bo hjemme med familie i egen bolig.

Brukermedvirkning i kliniske studier er spesielt viktig ved hjernesykdom. Kognitiv funksjon og samtykkekompetanse kan være påvirket hos studiedeltagere. Eksempelvis gjelder dette pasienter med demenssykdom. Slike faktorer understreker at brukermidvirkningene må involveres helt fra planleggingsstadiet. God skolering av brukernes representanter i kliniske studier vil øke nytteverdien både for brukere og utprøvere. I tillegg bør helsepersonell skoles i optimal involvering av brukerrepresentantene. Hjernerådet vil derfor oppfordre til at det vurderes å etablere en organisert opplæring for begge grupper. Vi vil også vektlegge at pasientrapporterte data bør inngå i kliniske studier.

Gode IKT-løsninger er spesielt viktig for pasienter med hjernesykdom, hvor nedsatt mobilitet kan gjøre det tungvint eller praktisk umulig å delta i studier med hyppige fysiske oppmøter. Telemedisin, ambulante team og samarbeid med primærhelsetjenesten for oppfølging er løsninger som vil gjøre det enklere for pasienter med funksjonshemming å delta i kliniske studier.

Støttefunksjoner er av vesentlig betydning for muligheten til å drive kliniske studier i helseforetakene. Kognitive symptomer, kommunikasjonsutfordringer og komplekse sykdomsbilder hos studiedeltagerne gjør dette behovet enda større. Vi vil derfor fremheve at en styrking av kliniske studier også vil øke behovet for studiesykepleiere, fortrinnsvis nevrosykepleiere.

Etableringen av Nevro-SysMed er en god og fremtidsrettet strategi for å øke antall kliniske studier for pasienter med hjernesykdom. Hjernerådet vil peke på at det er et behov for å understøtte Nevro-SysMed initiativer slik at aktiviteten i senteret gi synergieffekter slik at en også øker antallet kliniske studier innen en rekke andre sykdommer i hjernen, for eksempel epilepsi, hjerneslag og hodepine.

De siste årene har gitt betydelige diagnostiske fremskritt innen genetik, molekylærbiologi, nevrofysiologi og radiologi, og persontilpasset medisin er allerede en del av den kliniske hverdagen for flere hjernesykdommer. Både bruk av biomarkører og utvikling av nye biomarkører bør inngå i kliniske studier, i samarbeid med translasjonsforskningsmiljøene. Dette gir muligheter for innovasjon. Fokuset på persontilpasset medisin øker også behovet for satsing på translasjonsforskning med tett tilknytning til de kliniske miljøene. Styrking av aksens translasjonsforskning – kliniske miljøer – industri bør derfor inngå i handlingsplanen.

Hjernerådet og våre medlemsorganisasjoner ser frem til det videre arbeidet med en handlingsplan og bidrar gjerne gjennom prosessen.

Med vennlig hilsen

Anette Storstein

Overlege dr med og styreleder i Hjernerådet

Aud Kvalbein

Daglig leder, Hjernerådet