

Værdien af bedre adgang til sundhedsdata

Rapportresumé

Juni 2019

Forord

Deloitte har for partnerskabet Data Redder Liv afdækket barrierer, som forskere og virksomheder oplever, når de ønsker at få adgang til danske sundhedsdata i sundhedsdataregistre.

Deloitte har også foretaget en undersøgelse af, hvordan tre lande, der også råder over attraktive sundhedsdata - Norge, Finland og Israel - i disse år har fokus på at gøre deres sundhedsdata mere tilgængelige.

På denne baggrund har Deloitte skitseret en række forslag til at forbedre dataadgangen i Danmark. Det er endvidere vurderet, hvilken samfundsmæssig værdi en bedre dataadgang vil kunne have.

I dette rapportresumé er undersøgelsen sammenfattet.

Undersøgelsen bygger på interview med lægemiddelvirksomheder, forskere og contract research organisations (CRO'er) samt registerforvaltere og eksperter. Blandt lægemiddelvirksomheder er der interviewet flere danske selskaber med forskningsaktiviteter i Danmark samt flere udenlandske datterselskaber, som sælger og markedsfører lægemidler i Danmark. Der er gennemført interview med myndigheder og eksperter i Norge, Finland og Israel.

Fokus i undersøgelsen har primært været på adgangen til data i de nationale sundhedsdataregistre, og der er primært set på de praktisk-administrative barrierer for at få adgang til data. Barriererne, som udspringer af lovgivningen, er afdækket i en separat undersøgelse.

Undervejs er resultaterne kommenteret af Data Redder Liv og partnerskabet.

**Fordelene ved de attraktive danske
sundhedsdata er ved at blive udhulet**

Introduktion: Danmark har attraktive sundhedsdata og en relativt solid, moden datainfrastruktur. Data rummer potentiale til at blive anvendt i større omfang, end de nuværende tiltag understøtter.

Danske registre rummer data af høj kvalitet med stor bredde i lange tidsserier...

De danske sundhedsdata hører – i lighed med registre i de øvrige nordiske lande – til de mest attraktive på verdensplan. Der er en høj datakvalitet i kraft af en god, digitaliseret registreringspraksis og en stor bredde i registre i forhold til sygdomsområder, og der er omfattende og komplette data af hele befolkningen i lange tidsserier. I kraft af CPR-nummeret giver de danske registre endvidere unikke muligheder for koblinger af data på tværs af registre indenfor og udenfor sundhedsområdet.

I mange andre lande er der færre nationale registre, der dækker hele befolkningen, og man har typisk registreret sundhedsdata i en kortere periode. Ofte foretages registreringen af adskilte sygehusorganisationer uden fælles retningslinjer. Samtidig betyder fraværet af unikke id-numre, at data i mindre grad kan sammenstilles.

Overblik: kendetegn ved danske registerdata på sundhedsområdet

| | |
|--|--|
| Høj datakvalitet | Data har høj grad af nøjagtighed, høj dækningsgrad og er relativt komplette med få manglende registreringer. Høj datakvalitet gør det lettere og hurtigere at arbejde med data, ligesom det giver mere valide forskningsresultater. |
| Befolkning som kohorte uden selektion | Samtlige borgere er omfattet af det danske sundheds- og velfærdssystem, og der foretages omfattende registreringer, når borgere er i kontakt med systemet. Idet der foretages registreringer af hele befolkningen, undgås der skævvridning i forhold til eksempelvis social status. |
| Lange tidsserier | Data er indsamlet i registre siden midten af 1900-tallet og foreligger i vidt omfang digitalt. Den lange registreringsperiode er væsentlig, hvis man vil udnytte nye muligheder med eksempelvis genomdata. |
| Stor bredde i registre | Registre dækker tilsammen mange sygdomsområder og giver et fyldestgørende billede af aktiviteter i sundhedsvæsenet. Den store bredde i data muliggør forskning indenfor en lang række specialiserede områder, hvor registre er unikke, oplysninger kan sammenstilles på tværs, og der kan påvises nye sammenhænge. |
| Mulighed for kobling af data på tværs af registre | Cpr-nummeret muliggør, at data kan kobles på tværs af registre og datakilder. Dette giver mulighed for at påvise sammenhænge på tværs af sygdomsområder samt for at påvise eventuelle geografiske og demografiske forskelle. |

... og der er investeret i en national datainfrastruktur og datasikkerhed i betydeligt omfang

Der er over de seneste år investeret betydeligt i en opgradering af den nationale datainfrastruktur i Danmark, herunder især i tilgængeligheden af data for sundhedspersonale og forskere samt styrkelsen af datasikkerheden. Der er også igangsat flere initiativer vedrørende anvendelse af data, blandt andet med strategien for personlig medicin, herunder etableringen af et nationalt genomcenter, jf. listen nedenfor.

Men som det fremgår på de følgende sider, er der ikke, som i andre lande, formuleret et ambitiøst bud på, hvordan sundhedsdata i højere grad kan komme i anvendelse, herunder bane vejen for nye anvendelser af data til gavn for forskning og udvikling af ny medicin og sundhedsteknologi. I den nuværende forvaltning er der praktisk-administrative barrierer og en mindre klar prioritering af brugernes behov. Det er usikkert, hvordan de regionale datastøttecentre kan imødegå barriererne.

Overblik: initiativer, der styrker datainfrastrukturen



Konsolidering og modernisering: Man har opnået en vis konsolidering i nationale registre og forvaltningen af disse - også sammenlignet med andre lande, herunder de øvrige nordiske lande. Der er sket en modernisering af registre, eksempelvis Landspatientregistret, med blandt andet inklusionen af data fra private hospitaler, som sikrer kompletthed og understøtter sammenhæng.



Tilgængelighed af data: Der er investeret i Forskermaskinen, som er en teknisk platform i SDS, der muliggør dataanalyser og i et vist omfang kombination af registerdata med egen data. Planen er, at der via Forskermaskinen også skal gives adgang til for eksempel RKKP-data. Der er også etableret serviceenheder, eksempelvis forskerservice. I regionalt regi er regionale datastøttecentre under etablering af en national bestyrelse for data på sundheds- og ældreområdet. Hensigten med centrene er at yde service til brugere af alle registre.



Datasikkerhed: Der er sket et løft i datasikkerheden, og der er skabt en styrket struktur i adgangsstyring og pseudonymiseringen af data. Sundhedsdatastyrelsen gennemfører også afprøvninger af sikkerhed i løsninger, for eksempel i forbindelse med moderniseringen af eSundhed.



National satsning på personlig medicin: Der er formuleret en national strategi for personlig medicin, og opbygningen af et nationalt genomcenter samt etablering af en genomdatabase er besluttet. Anvendelsen af data i disse enheder skal følge samme bestemmelser som øvrige sundhedsdata i de nationale registre.

I lægemiddelindustrien, i techvirksomheder, i startupmiljøet og i forskningen er der en stor omstilling i gang, som er drevet af data. Mulighederne i danske data risikerer at blive forpasset, hvis adgangen til data ikke smidiggøres.

Sundhedsdata vil få en stigende betydning i både etablerede og nye industrier.....

Sundhedsdata under betegnelsen *real world evidence* (RWE) - herunder registerdata, som er indsamlet ad andre veje end gennem kliniske forsøg - er ved at transformere udviklingen af lægemidler og behandlinger i forskningen og industrien. Udviklingen bliver muliggjort af nye teknologier, herunder kunstig intelligens og avancerede big data-analyseværktøjer.

Centrale anvendelsesområder for sundhedsdata i værdikæden



Kilde: [Deloitte 2019 Global life sciences outlook](#)

RWE kan bidrage til at optimere lægemiddeludviklingen og evaluere sundhedseffekter af lægemidler og behandlinger.

Det er på den ene side de stigende samfundsmæssige omkostninger til sygdomsbehandling og på den anden side de stigende omkostninger til forskning og udvikling af lægemidler, der gør RWE yderst interessant. Brug af RWE sænker omkostninger til forskning og udvikling og understøtter derved udviklingen af ny behandling og personlig medicin.

Den transformation, der er i gang, berører den samlede værdikæde i lægemiddeludviklingen fra forskningen over den kliniske udvikling og test til godkendelsen, markedsføringen og evalueringen af lægemidler, jf. illustrationen. Men transformationen vil også gøre det muligt for nye virksomheder, techvirksomheder, CRO'er og startups at udvikle nye løsninger og sundhedsydelser.

Vi vender tilbage til konkrete eksempler på, hvilke dataanvendelser en bedre adgang til danske sundhedsdata kan understøtte i lægemiddeludviklingen.

...men muligheder for at understøtte forskning og innovation med de danske sundhedsdata kan forpasses

Hvis vilkårene for at få adgang til de danske sundhedsdata er mindre attraktive end i andre lande, er der risiko for, at danske data ikke vil blive anvendt til forskning og udvikling i det omfang, som de kunne.

Barriererne for adgang til data medfører reelt, at sundhedsdata anvendes mindre til forskning og udvikling, end potentialet tilsiger. Samtidig kan de fordele, som Danmark har i kraft af kvaliteten i data, blive udhulet af, at andre lande i disse år tager store spring fremad, herunder i forbindelse med adgangen til data samt rammerne for samarbejde mellem forskere, registerejere og virksomheder.

Lande, der offensivt søger at etablere bedre dataadgang og understøtte offentlige-private samarbejder – uden at kompromittere datasikkerheden i øvrigt - er eksempelvis Finland med Isaacus-projektet, Norge med Helsedataprogrammet, Storbritannien med The 100.000 Genomes Project og Israel med Big Data Health-projektet.

Det er en helt naturlig følge af at tilhøre en global industri, der opererer på markeder verden over, at virksomheder vil investere i at forfølge mulighederne for at gennemføre studier, forskning og innovation, hvor mulighederne for adgang til data er tilstede. På lang sigt vil dette svække det samlede danske økosystem, såfremt data er mindre tilgængelige i Danmark end andre steder.

Barrierer for dataadgang i Danmark kan imødegås

Praktisk-administrative barrierer for adgang til data hæmmer såvel søgeaktivitet som anvendelsen af data

Organisering og procedurer understøtter ikke nem adgang for brugeren

Tilgængeligheden af danske sundhedsdata er påvirket af, hvordan forvaltningen af registrene er organiseret, samt af ansøgningsprocedurer og vilkår for anvendelsen af data, når godkendelsen er opnået. Der er på registerforvalterniveau, for eksempel hos Sundhedsdatastyrelsen og hos regionernes RKKP-databaser¹, sket en vis konsolidering, og det er hensigten med de regionale datastøttecentre at kunne hjælpe ansøgere på tværs. Men overordnet er der på tværs af de nationale registre tale om en siloorienteret organisering.

Organiseringen og ansøgningsprocedurerne, der eksisterer på tværs af registre, er ikke tilrettelagt med brugerne for øje og understøtter ikke brugerne i at få overblik, hjælp og en smidig og nem adgang til data.

Karakteristik af organiseringen, ansøgningsprocedurerne samt vilkår for anvendelse af data

| | |
|--|--|
| Organisering af registerforvaltning | <ul style="list-style-type: none">• Siloorienteret organisering: Trods en grad af konsolidering har de enkelte registeransvarlige fastlagt egne rammer for godkendelser, adgang og videregivelse.• Begrænset tværgående styring eller ledelse: Der er ingen ensretning eller fælles governancemæssigt setup mellem registerforvaltere. |
| Krav til adgang til data | <ul style="list-style-type: none">• Komplex godkendelsesprocedure: Der er op til fire godkendelsesinstanser hos registerforvaltere.• Manglende tværgående koordinering: Parallelle ansøgninger er påkrævet, hvis der søges adgang til flere registre, og der er indbyrdes afhængighed.• Ingen tværgående service: Ansøgere skal selvstændigt manøvrere i ansøgningsprocedurer. |
| Vilkår for anvendelse af data | <ul style="list-style-type: none">• Forskellig regulering: særlovgivning og registerspecifikke vedtægter• Forskellige modeller for kobling af data på tværs af registerforvaltere• Forskellige måder at gøre data tilgængelige for brugere på. |

¹: Se bilag 1 for forkortelser.

Manglende gennemsigtighed og sagsbehandlingstid er kritiske barrierer

Virksomheder og forskere oplever organiseringen af registerforvaltningen samt ansøgningsprocesserne som barrierer i forhold til at få adgang til data. Som det fremgår af de afdækkede barrierer nedenfor, oplever forskere og virksomheder, at det er vanskeligt at få viden og danne sig et overblik, at der er en lang og uforudsigelig sagsbehandlingstid, samt at der er komplekse processer og konkrete begrænsninger i anvendelsesformål.²

Ifølge vores interview begrænser disse barrierer virksomhedernes interesse for at ansøge om adgang til data og dermed anvendelsen af danske sundhedsdata. Især den manglende gennemsigtighed og sagsbehandlingstiden opleves som kritiske barrierer. Konsekvensen er, at studier bliver gennemført i andre lande eller slet ikke bliver igangsat. Registerforvaltere bekræfter, at det er meget få virksomheder, der søger om adgang.

Oplevede barrierer

| | |
|--|---|
| Manglende viden og overblik <ul style="list-style-type: none">• Manglende viden om, hvilke registre der findes, indholdet i de enkelte registre og kvalitet af data i registrene• Manglende viden om, hvad data i det enkelte register må anvendes til | Begrænsninger i anvendelsesformål <ul style="list-style-type: none">• Eksplorative formål anerkendes ikke som gyldige for videregivelse af data.• Ansøgninger om data som input til analysemodeller og behandlingsformål (eksempelvis AI-modeller) anerkendes ikke som gyldige for videregivelse af data. |
| Lang og uforudsigelig sagsbehandlingstid <ul style="list-style-type: none">• Sagsbehandlingstiden er lang.• Det er uigennemsigtigt for ansøgere, hvordan processen foregår. | Uensartede og komplekse ansøgningsprocedurer og krav <ul style="list-style-type: none">• Registre er reguleret af forskellige regler, herunder krav til formålet med projektet og forskellig tolkning og praksis.• Flere led i ansøgningsprocesser• Der er begrænset adgang til vejledning og hjælp i ansøgningsprocessen. |

²: Der er også oplevet tekniske begrænsninger i dataadgangen i forbindelse med, at computerkraften på Forskermaskinen ikke er tilstrækkelig til store datamængder. Dataanalyser er derved begrænset til de muligheder, der er indbygget i Forskermaskinen.




Andre lande med attraktive data arbejder på at forbedre adgangen til og brugen af sundhedsdata

Initiativer i andre lande sigter efter at ændre registerforvaltningen, adgangsvilkårene og formålsbestemmelserne

Norge, Finland og Israel er eksempler på lande, der ligesom Danmark har attraktive sundhedsdata, og som i disse år er ved at gennemføre større ændringer i registerforvaltningen, ansøgningsprocedurerne og rammerne for anvendelsen af data. Mens især Norge og Finland i dag har en mindre moden og mere fragmenteret datainfrastruktur end Danmark, afspejler de aktuelle store satsninger, henholdsvis Helsedataprogrammet i Norge og Isaacus-programmet i Finland, at landene ønsker at skabe rammer for, at sundhedsdata kan udnyttes i langt højere grad, end det sker i dag. Konkret viser landenes planer følgende markante træk i forhold til den danske dataforvaltning:

- En bredere formålsbestemmelse for adgang til data
- En koordineret indgang og governancemodel for administration af ansøgninger, hvor en myndighed har kompetence til at behandle ansøgninger på tværs af registre.
- Et sammenhængende ansøgningsforløb for adgang til forskellige typer af data/på tværs af registre og godkendelser
- En udstillingsplatform med avancerede analyseværktøjer, hvor Danmark har forskellige udstillingsplatforme med simple analyseværktøjer.
- Anvendelse af avancerede teknikker til at sikre anonymisering og datasikkerhed.

Overblik over centrale elementer i Norges, Finlands og Israels aktuelle bestræbelser på at forbedre adgangen til sundhedsdata

| | Norge  | Finland  | Israel  |
|--|---|--|--|
| Organisering af dataudstilling | <ul style="list-style-type: none"> • En ny organisatorisk enhed, der skaber en indgang og muliggør en fælles ansøgning til alle registre. • En fælles udstillingsløsning for alle registre på en fælles digital platform. | <ul style="list-style-type: none"> • En ny organisatorisk enhed, der skaber en indgang og muliggør en fælles ansøgning til alle registre. • En fælles udstillingsløsning for alle registre på en fælles digital platform. | <ul style="list-style-type: none"> • Konsolidering af registre og en ny organisatorisk enhed, der skaber en indgang og muliggør en fælles ansøgning. • En fælles udstillingsløsning på en fælles digital platform. |
| Governance | <ul style="list-style-type: none"> • En central myndighed træffer afgørelse om videregivelse af data, muligvis i dialog med de dataansvarlige for de enkelte registre, da det endnu er uklart, hvor meget kompetence den centrale autoritet får. | <ul style="list-style-type: none"> • En central myndighed træffer afgørelse om videregivelse af data. De underliggende registeransvarlige skal alene vedligeholde og forvalte registre uden beslutningskompetence. | <ul style="list-style-type: none"> • En statslig myndighed træffer afgørelse om adgang til nationale registre. Health maintenance organisation (HMO'er) træffer afgørelse om adgang til egne registre |
| Krav til formål med ansøgning | <ul style="list-style-type: none"> • Krav om, at data skal anvendes til statistik eller forskning • Ønske om at åbne op for eksplorativ forskning med offentlige data, hvilket dog vil kræve lovændringer. | <ul style="list-style-type: none"> • Krav om, at data skal anvendes til forskning, innovation, undervisning, overvågning, styring og planlægning • Mulighed for eksplorative analyser skal afprøves i ny lovgivning. | <ul style="list-style-type: none"> • Krav om, at data skal anvendes til statistik og forskning, herunder til udvikling af ny teknologi og innovationer. • Giver mulighed for eksplorative analyser. |
| Ansøgningsprocedure for adgang til data samt sagsbehandlingstid | <ul style="list-style-type: none"> • Ansøgning om videregivelse af data godkendes af én myndighed, der giver tilladelse til videregivelse af data samt varetager den etiske vurdering, databeskyttelse og licenser til dataadgang. • Myndigheden skal eventuelt indhente tilladelse til videregivelse fra de dataansvarlige for de enkelte registre. • Sagsbehandlingstid: ukendt. Projektet er endnu kun på tegnebrættet. | <ul style="list-style-type: none"> • Ansøgning om videregivelse af data skal godkendes af en central myndighed, som giver tilladelse til videregivelse af data samt varetager databeskyttelse og licenser til dataadgang. • Ansøgning om videregivelse af data godkendes eventuelt af ombudsmandsinstitutionen for databeskyttelse, som sikrer, at etiske krav overholdes. • Sagsbehandlingstid: seks til ni måneder. | <ul style="list-style-type: none"> • Ansøgning om videregivelse af data godkendes af én central myndighed, der giver tilladelse til videregivelse af data og varetager databeskyttelsen (afventer endelig vedtagelse ved lov). • Sagsbehandlingstid: ukendt. Projektet er endnu kun på tegnebrættet. |
| Teknisk udstilling af data | <ul style="list-style-type: none"> • Data udstilles på en fælles digital platform. • Myndigheder stiller statistiske og avancerede analyseværktøjer, inklusive værktøjer til eksplorativ analyse, til rådighed på platformen. • Muligvis kan egne værktøjer benyttes på platformen. • Det er uvist, hvilke data der må trækkes ud. | <ul style="list-style-type: none"> • Data udstilles på en fælles digital platform. • Myndigheder stiller statistiske og avancerede analyseværktøjer til rådighed på platformen. • Egne værktøjer kan muligvis benyttes. • Aggregeret data kan trækkes ud. | <ul style="list-style-type: none"> • Data udstilles på en fælles digital platform. • Det er ikke afklaret, hvilke værktøjer der er tilgængelige, eller om det er muligt at benytte egne analyseværktøjer. • Det er uvist, hvilke data der må trækkes ud. |

Der eksisterer flere løsningsmodeller med forskellig kompleksitet, der kan imødegå de oplevede barrierer.

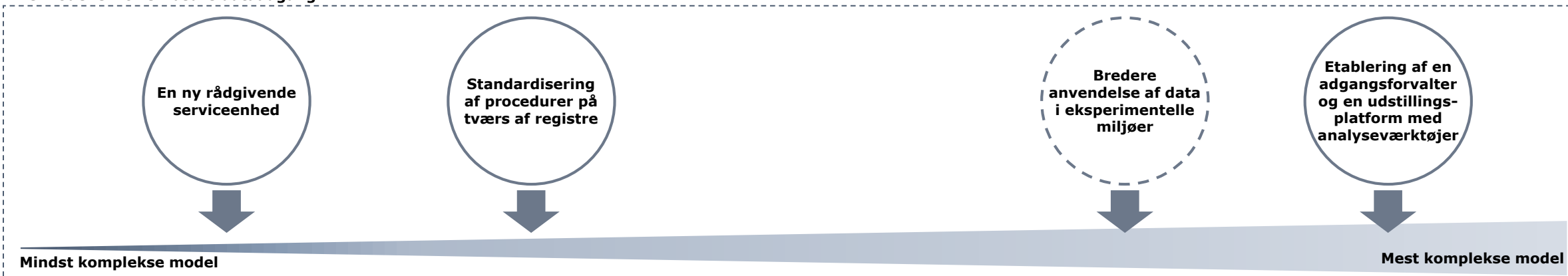
Muligheder i Danmark

Der er flere veje, Danmark kan gå for at imødegå barrierer og udnytte potentialer forbundet med de danske sundhedsdata. I regi af Data Redder Liv er der tidligere fremsat tre løsningsforslag³, som de fire modeller nedenfor bygger videre på. De fire modeller, som er uddybende beskrevet i bilag 2, er:

- **En ny rådgivende serviceenhed** indebærer, at der etableres en serviceenhed, der guider og vejleder brugeren i forhold til adgangen til sundhedsdata. Formålet med enheden er at lette adgangen til data for brugerne ved at give et bedre overblik over tilgængelige data samt vejlede i ansøgningskrav og procedurer for de enkelte registre. Enhedens primære opgave er at vejlede ansøgere om, hvilke data der er tilgængelige, og hvordan ansøgeren bedst søger om adgang til data. Enheden kan understøttes af konkrete værktøjer, for eksempel Copenhagen Healthtech Clusters metadatalandkort. Enheden etableres som en ny organisatorisk enhed, der udelukkende er en rådgivningsfunktion. Enheden har derved ikke beslutningskompetence i forhold til at give adgang til data. Modellen ændrer heller ikke på den underliggende struktur i registerorganiseringen.
- **Standardisering af procedurer på tværs af registre** skal skabe større ensartethed og dermed lette adgangen til sundhedsdata, særligt for brugere, der ønsker adgang til data fra mere end én registerforvalter. Initiativet skal sikre, at fortolkningen af regler for videregivelse af data er ens i alle registre. Desuden skal eksempelvis krav til ansøgninger og tidsfrister harmoniseres, selvom der fortsat vil være yderligere registerspecifikke krav for nogle registre.

- **Eksperimentelle miljøer**, såkaldte datasandkasser, er en mere begrænset løsning, som specifikt skal understøtte eksplorative undersøgelser i data. Formålet er at give ansøgeren hurtig adgang til at afprøve hypoteser samt mulighed for at undersøge datasammenhænge, der kan bruges til hypotesegenerering. I etableringen af denne model foretages en koordineret behandling af ansøgninger. Modellen for eksperimentelle miljøer kan udformes i to varianter: en mindre vidtgående, hvor der indenfor de eksisterende rammer klarlægges, hvilke muligheder der er for at arbejde eksperimentelt med data (for eksempel ved at udstille data i anonymiseret eller syntetisk form), samt en anden mere vidtgående variant, hvor der sker en juridisk præcisering i forhold til det samfundsmæssige formål af anvendelsen af data. I den mere vidtgående variant anvendes en avanceret analyseplatform, der sikrer datasikkerheden.
- **Ny adgangsforvalter-modellen** indebærer, at der etableres en ny autoritet, der modtager og behandler ansøgninger til alle registre. Samtidig oprettes en samlet udstillingsplatform for sundhedsdata. Formålet er at forbedre adgangen til sundhedsdata ved, at ansøgeren sender en samlet ansøgning samt kan tilgå alle data på samme udstillingsplatform. Autoriteten har kompetence til at give tilladelse til videregivelse af sundhedsdata og har ansvaret for, at alle lovgivnings-, etiske og registerspecifikke krav overholdes. Der oprettes en elektronisk udstillingsplatform, hvor data gøres tilgængelige i et sikkert analysemiljø med mulighed for at benytte statiske og avancerede analyseværktøjer.

Fire modeller for en bedre dataadgang



³: Bedre anvendelse af sundhedsdata, Copenhagen Healthtech Cluster, 2018

Potentialet forbundet med bedre dataadgang

Introduktion: Bedre dataadgang kan potentielt understøtte aktiviteter i alle faser i lægemiddeludviklingen

Eksempler på anvendelsesmuligheder illustrerer de muligheder, der ligger i en bedre dataadgang

Hos forskere, lægemiddelvirksomheder, CRO'er og techvirksomheder er der et ønske om at anvende sundhedsdata i højere grad, end det sker i dag. Der er anvendelsesmuligheder for data i både prækliniske og kliniske studier samt i opfølgingsstudier.

På de følgende sider beskrives eksempler på anvendelsesmuligheder for hver af de tre overordnede faser i lægemiddeludviklingen mere i dybden. Efterfølgende vurderes effekterne af en bedre dataadgang.

Øget anvendelse af sundhedsdata til prækliniske studier

Bedre adgang til sundhedsdata vil øge anvendelsen af data til at forstå sygdomme og sygdomsudvikling samt understøtte et højere udbytte af forskningsaktiviteter

Potentiale for kortlægning af sygdomskaraktetika, behandlingsbehov og markedspotentialer

Bedre adgang til sundhedsdata gør det mere attraktivt at gennemføre prækliniske studier, som øger sygdomsforståelsen og afdækker behovet for nye lægemidler i Danmark, herunder markedsmulighederne.

Lægemedelvirksomheder afdækker i den prækliniske fase, om der er potentiale for videre forskning på et givent område. Studierne afdækker den forventede efterspørgsel og giver indikationer på, om der er potentiale til et nyt lægemiddel.

Der kan både være tale om medicinsk forskning, der afdækker eksempelvis biomarkører for udvikling af bestemte sygdomme, eller hvilke virksomme stoffer der formodes at have positive effekter. Desuden udføres der i dette stadie studier, som kortlægger forskellige aspekter vedrørende patienter, sygdomskaraktetika og nuværende behandling. To konkrete typer af studier; henholdsvis studier, der har til formål at give viden om, hvordan og hvorfor sygdomme opstår og udvikler sig, samt såkaldte medical need-studier, er uddybet i boksene til højre.

Overblik over tilgængeligt data og hurtigere adgang gør forskellen

Tid er en afgørende faktor i udviklingen af nye lægemidler. Det gælder således også i den prækliniske fase, hvor virksomhederne ofte har brug for et hurtigt overblik og tydelige indikationer, som kan danne grundlag for hypoteser, som undersøges i mere omfattende studier.

En bedre dataadgang med mulighed for at tilgå data hurtigere vil sikre, at indledende analyser kan foretages indenfor de ønskede tidsrammer. Det vil øge præcisionen i svarene, der kommer til at bygge på data og ikke på det bedste estimat, hvilket i dag er den eneste mulighed for at få et hurtigt svar.

En bedre adgang til data vil gøre det mere fordelagtigt for virksomheder og forskere at gennemføre prækliniske studier baseret på danske data.

Eksempel på anvendelse: bedre sygdomsforståelse

En god forståelse af, hvordan en sygdom opstår og udvikler sig, er afgørende for at forebygge og behandle den optimalt.

Danske sundhedsdata kan øge sygdomsforståelsen ved eksempelvis at hjælpe til at belyse sammenhængen mellem bestemte biomarkører og patientrejser. Genomdata kan sammen med data om patientkaraktetika, biologiske prøver og historiske data om patientforløb bidrage til en bedre forståelse af, hvordan sygdomme opstår og udvikler sig, samt give indsigt i, hvilke faktorer der øger risikoen for at udvikle en sygdom.

Det kan også være muligt at kortlægge årsagerne til, at visse patientgrupper har mildere eller sværere sygdomsforløb.

Med en bedre viden om sygdomme er der bedre forudsætninger for at udvikle lægemidler samt at målrette behandlinger.

Eksempel på anvendelse: medical need-studier

For at vurdere, om det er relevant at arbejde på udvikling af en ny behandling eller et nyt lægemiddel, skal behovet og markedspotentialet (hvor mange patienter, der potentielt kan få gavn af den nye behandling eller lægemiddel) afdækkes.

Ofte udføres sådanne indledende undersøgelser ved at tage kontakt til klinikere, der kan give et estimat af antallet af relevante patienter. Ved at udføre undersøgelser på baggrund af danske registerdata, der indeholder oplysninger om diagnoser, behandling og medicin og derved giver en god indikation af, om patienten er i målgruppen, vil man kunne få mere præcise svar samt undgå at belaste klinikere med spørgsmål, hvortil svarene allerede findes i data.

For at vurdere, om der er behov for et nyt lægemiddel til en bestemt patientgruppe, undersøges det, hvordan den relevante patientgruppe behandles i dag, herunder hvordan behandlingen af gruppen foregår, og hvilken type lægemidler gruppen behandles med. Dette gøres for at kortlægge, om et nyt lægemiddel vil kunne indgå i den allerede eksisterende behandling, og dermed om der er plads til et nyt lægemiddel på markedet. Registerdata indeholder information om diagnoser, ydelser og lægemidler, der kan besvare de ønskede spørgsmål.

Øget brug af sundhedsdata til kliniske studier

Bedre dataadgang vil gøre det attraktivt at gennemføre kliniske forsøg i Danmark, da studierne kan igangsættes hurtigere, og resultater kan beriges med eksisterende data

Potentiale forbundet med mere informerede kliniske forsøg

Bedre adgang til data vil gøre det mere attraktivt at gennemføre kliniske studier i Danmark. Det skyldes blandt andet, at det bliver lettere at identificere patienter, der kan indgå i studierne, således at studier kan igangsættes hurtigere. Desuden bliver det i højere grad muligt at indhente supplerende viden om de patienter, der indgår i studiet. Det sikrer bedre muligheder for at forstå og fortolke resultaterne af studiet.

For at få et lægemiddel godkendt til behandling af patienter skal det godkendes af European Medicines Agency (EMA). En sådan godkendelse foretages på baggrund af omfattende kliniske studier. Denne godkendelsesproces står ikke for at skulle ændres, men data kan gøre processen mere smidig samt sikre, at man får mest mulig værdi ud af studierne.

EMA godkender lægemidler til det europæiske marked. For at opnå godkendelse skal lægemidlet afprøves i store kliniske randomiserede kontrollerede forsøg (RCT). Registerdata kan eksempelvis indgå i studierne som placebokontrolgruppe, så man undgår at give en del af patienterne en ikke virksom behandling. Med en bedre adgang til danske data kan det blive mere attraktivt at placere denne type studier i Danmark.

Bedre dataadgang kan løfte kvaliteten af kliniske studier

Kliniske forsøg er forbundet med meget høje omkostninger og en betydelig investering. Det skyldes, at det tager lang tid for virksomhederne at sammensætte et godt studie, rekruttere de rigtige patienter og gennemføre forsøget. Omkostningerne til personale, kliniske procedurer og monitorering er meget høje. Derfor er det af høj interesse at få så meget viden ud af de kliniske studier som muligt samt at inkludere så få patienter som muligt.

Data fra danske registre kan være med til at forbedre de kliniske forsøg samt give nye muligheder for at belyse effekter bedre.

En mere smidig dataadgang forventes at øge antallet af kliniske studier, der gennemføres i Danmark, primært fordi det bliver enklere og hurtigere at komme i gang med forsøget.

Eksempel på anvendelse: bedre rekruttering til kliniske studier

Når medicinalvirksomhederne rekrutterer patienter til kliniske forsøg, kan det være en besværlig og langsom proces, da det typisk foregår gennem klinikere på hospitaler eller praktiserende læger. Registerdata kan benyttes i rekrutteringsfasen, da det er muligt at udpege relevante bruttopopulationer for kliniske forsøg. Derved lettes arbejdet med at sammensætte populationerne, og man kan målrette sin rekruttering efter de inklusions- og eksklusionskriterier, der er opstillet for det kliniske forsøg.

Data kan desuden indgå som forklarende variable for de fund, der gøres i studiet, og kan eksempelvis hjælpe med at belyse årsagen til, at nogle deltagere/patientgrupper oplever bedre effekt af behandlingen end andre. Dette gør det muligt, at studiet genererer mere viden og eksempelvis belyser, hvilke indikationer lægemidlet virker bedst på.

Eksempel på anvendelse: betingede godkendelser af lægemidler til små patientgrupper

En anden anvendelse er at lade data indgå i studier, der drejer sig om godkendelse af lægemidler til små patientgrupper. I nogle tilfælde er en potentiel patientpopulation så lille og heterogen, at det kan være meget vanskeligt at gennemføre traditionelle kliniske studier af en størrelse, der sikrer, at lægemidlet kan godkendes til den ønskede indikation. Ved at inkludere data og følge patienterne efter RCT-studiets afslutning øges studierne's validitet, og lægemidler kan tages i brug under øget observation. Dette vil kunne give betingede godkendelser af lægemidler baseret på mindre forsøgspopulationer end normalt.

Øget brug af sundhedsdata til opfølgingsstudier

Bedre adgang til data vil gøre det mere attraktivt at gennemføre blandt andet effektstudier samt muliggøre, at dyre kliniske studier kan erstattes med registerbaserede datastudier

Potentiale forbundet med studier af virkning af lægemidler og behandlinger

Bedre adgang til sundhedsdata gør det mere attraktivt at gennemføre opfølgingsstudier på baggrund af dansk registerdata. Studierne kan påvise sammenhænge mellem lægemidler og effekter samt bivirkninger. Desuden kan der åbnes op for nye måder at anvende data på, der giver opdateret viden samt mulighed for nye forretningsmodeller, for eksempel innovative prisaftaler.

Når et lægemiddel er godkendt af EMA, skal det godkendes til brug af myndighederne i det enkelte land. Nye lægemidler er ofte dyre, hvorfor der skal foregå en forhandling om prisen, ligesom virksomheden skal vise overfor lokale lægemiddelmyndigheder, at lægemidlets effekt berettiger det til at komme på det nationale marked.

I den forbindelse foretages en række analyser og undersøgelser, som registerdata kan indgå i og øge værdien af. Det drejer sig i høj grad om aktiviteter, der skal vise, at lægemidlet er effektivt og korrekt prissat. Studierne gennemføres for virksomhederne og igangsættes på foranledning af HTA-myndigheder eller lægemiddelvirksomhederne selv. Mere præcise studier vil kunne sikre, at patienter behandles med det mest effektive lægemiddel.

Især en hurtigere dataadgang vil have betydning

Omkostningerne til indsamling af data i eksempelvis opfølgende kliniske studier er høje. Derfor ønsker man i videst muligt omfang at erstatte disse studier med registerbaserede datastudier. Bedre dataadgang kan gøre det lettere at anvende placebokontrolgrupper i effektstudier, udføre rene databaserede effektstudier eller udføre databaserede bivirkningsstudier.

Tidshorizonten og usikkerheden omkring, hvorvidt man kan få adgang til data, resulterer ofte i, at studier, der skal bruges som dokumentation til den lokale lægemiddelmyndighed, fravælges, da de ikke kan udarbejdes indenfor den nødvendige tidshorizont. Det skyldes, at et forsinket studie i værste fald kan resultere i, at lægemidlet ikke godkendes til behandling af patienter. Dermed kan patienter gå glip af en potentiel bedre behandling, og virksomhederne går glip af omsætning.

Bedre adgang til data vil gøre det mere fordelagtigt for virksomheder og forskere at gennemføre opfølgende studier. Studierne kan påvise sammenhænge mellem lægemidler og effekter samt bivirkninger. Disse indsigter kan være med til at sikre, at patienter i højere grad behandles med den mest effektive og skånsomme medicin.

Der er flere typer af studier, der er særligt relevante i den opfølgende fase, efter lægemidlet er godkendt i EMA. Nogle af de væsentligste typer af studier, som der vil blive gennemført flere af i Danmark, hvis dataadgangen forbedres, er nævnt i boksen til højre.

Eksempel på anvendelse: opfølgende, sammenlignende samt gentagne eller løbende effektstudier

Registerdata benyttes i effektstudier til at påvise, hvilke effekter patienter oplever af lægemidler, når lægemidlerne er taget i brug. Det kan være oplysninger om overlevelse, sygdomsprogression og tilbagefald.

Der er flere forskellige typer af effektstudier, der tjener forskellige formål. Opfølgende effektstudier bygger på registerdata og skal verificere, om lægemidlets effekt for de faktiske patienter lever op til resultaterne fra de kliniske forsøg, som lægemidlet er godkendt på baggrund af. På samme måde kan sammenlignende effektstudier belyse effekten af forskellige lægemidler, der gives til den samme patientgruppe. Disse studier skal sikre, at patienterne behandles med det lægemiddel, der er bedst til den konkrete indikation.

Bedre dataadgang kan åbne op for, at der udarbejdes yderligere gentagne effektstudier for det samme lægemiddel, så det samme studie gentages med opdaterede data med det formål at følge op på, om effekten for patienterne fortsat er som forventet.

Eksempel på anvendelse: bivirkningsstudier

Registerdata anvendes desuden i opfølgende bivirkningsstudier. Ved at koble data fra eksempelvis kvalitetsdatabaser og landspatientregisteret kan man registrere både de forventede og ikkeforventede bivirkninger af det undersøgte lægemiddel. Fordelen ved at udføre databaserede studier af bivirkninger er, at de afspejler bivirkninger for de faktiske patienter, ligesom det er hurtigere og mere omkostningseffektivt end opfølgende kliniske studier.

Eksempel på anvendelse: budget impact-studier

Omkostningerne til nye lægemidler spiller en væsentlig rolle i forbindelse med godkendelser af lægemidler eller nye indikationer i Medicinrådet/hos de danske HTA-myndigheder. Registerdata omhandlende diagnoser samt data fra kvalitetsdatabaser og Landspatientregisteret kan sammen med eksempelvis Dream-data bruges til at lave cost of illness-beregninger og andre analyser, der beskriver de nuværende og fremtidige omkostninger ved anvendelse af lægemidlet. I sådanne studier kan man inkludere de samfundsøkonomiske effekter samt effekter såsom forbedret livskvalitet eller gevinster som følge af fastholdelse på arbejdsmarkedet.

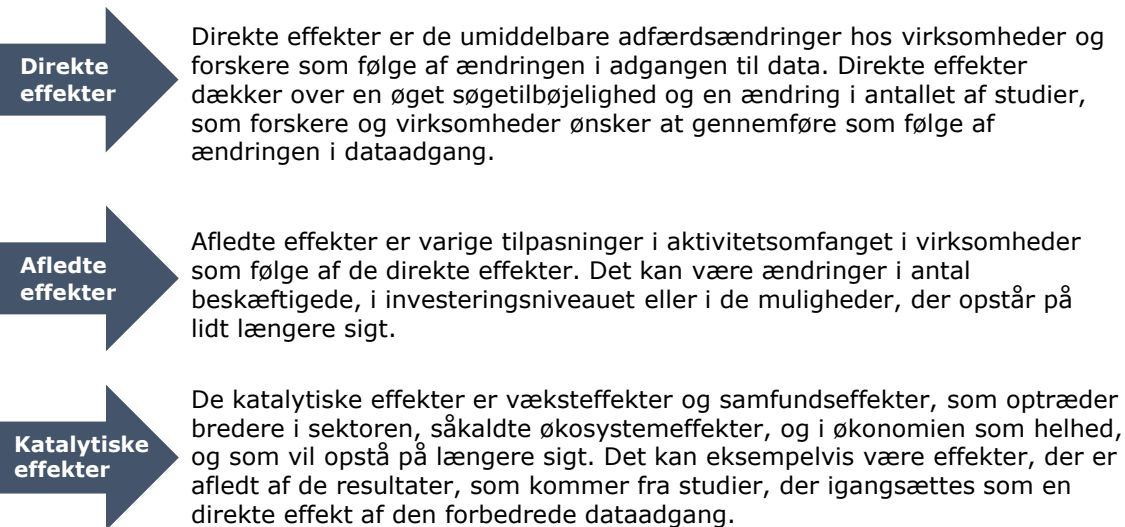
Eksempel på anvendelse: innovative prisaftaler

I tråd med udviklingen mod et værdibaseret frem for et aktivitetsbaseret sundhedsvæsen er der et ønske om at kunne indgå innovative prisaftaler, hvor prisen på et lægemiddel afhænger af den forventede effekt for patienten fremfor en fast pris for alle patienter. Data vedrørende effekten af et lægemiddel for specifikke patientgrupper kan danne grundlag for differentieret prissætning af lægemidler.

Samfundsmæssige effekter af bedre dataadgang

Bedre dataadgang vil give både direkte, afledte og katalytiske effekter. De effekter, der realiseres, afhænger af, hvilken model for bedre dataadgang der implementeres.

Hvis der åbnes for bedre adgang til data og udvidet anvendelse af data vil det medføre forskellige typer effekter, som kan opdeles i direkte effekter, afledte effekter og katalytiske effekter:



Da katalytiske effekter afhænger af størrelsesordener og typer af direkte og afledte effekter, er det vanskeligt at forudsæ, hvorvidt de katalytiske effekter optræder, og i givet fald hvor store de er. De konkrete effekter og størrelsesordenen af disse afhænger af, hvilken ændring der indføres for dataadgangen samt for dataanvendelsen.

Der er gennem interview undersøgt effekter af to typer af forbedret dataadgang:

1. Mere gennemsigtig, strømlinet og hurtigere sagsbehandling
2. Bedre mulighed for anvendelse af sundhedsdata til eksplorativ forskning.

Effekt af mere gennemsigtig, strømlinet og hurtigere sagsbehandling

Undersøgelsen viser, at der isoleret set vil være en betydelig effekt forbundet med en forbedring af ansøgningsprocesserne i form af et øget omfang af markedsadgangs- og effektstudier. Virksomheder rapporterer om en sandsynlig flerdobling af antallet af studier. Baggrunden er, at Danmark i globale lægemiddelvirksomheder vil fremstå som et mere attraktivt sted at gennemføre studier i. Også danskejede koncerner kan foretrække, at danske data i højere grad indgår i de studier, der gennemføres.

En konsekvens af ovenstående kan være, at lægemiddelvirksomheder vil bemande flere funktioner i Danmark med henblik på at gennemføre et større antal studier. Målt på omfanget af studier vurderes effekten at kunne være betydelig. I forhold til det samlede forskningsomfang vil effekten være marginal.

En anden effekt er, at de studier, der gennemføres, bliver billigere, og at visse typer af kliniske studier vil kunne erstattes af billigere, registerbaserede studier.

En afledt, langsigtet effekt heraf kan være, at bedre dataadgang også kan føre til, at lægemiddelvirksomheder vil få øjnene op for mulighederne for at gennemføre andre typer studier i Danmark, herunder prækliniske studier. Der kan også vise sig en bredere interesse for at investere i forskning i Danmark, idet der generelt er en interesse for at investere i forskning i Norden.

Effekt af bedre mulighed for anvendelse af sundhedsdata til eksplorativ forskning

Undersøgelsen viser, at der vil være en øget interesse for at udføre eksplorative studier. Det gælder både interne pilotstudier, der kan bidrage til, at storstudier og kliniske studier bliver mere effektive, men også større studier med henblik på publicering, der retter sig mod at øge sygdomsforståelse og afdække sygdomsmønstre baseret på danske data. Det er usikkert, hvor stor effekten er, men da der i meget begrænset omfang udføres eksplorativ forskning, vil effekten fra et lavt niveau være betydelig.

Undersøgelsen viser også, at en bedre mulighed for at udføre eksplorativ forskning med danske sundhedsdata kan åbne for udviklingen af nye typer af studier og services, som blandt andet CRO'er og andre datavirksomheder vil kunne se et potentiale i.

Mere gennemsigtig, strømlinet og hurtigere sagsbehandling: betydelige effekter på omfanget af markedsadgangs- og effektstudier (I)

Bedre tilgængelighed af data opnået gennem en mere gennemsigtig og hurtigere sagsbehandlingsproces vil betyde, at der vil blive gennemført væsentligt flere markedsadgangs- og effektstudier af lægemidler og behandlinger i Danmark. Det vil indebære større investeringer i forskning og på sigt en opbygning af de udenlandske virksomheders organisationer i Danmark, herunder beskæftigelse af flere projektledere og forskningsfagligt personale. Det skyldes især, at danske afdelinger i internationale lægemiddelvirksomheder internt i den globale koncern vil kunne argumentere for, at Danmark vil være et mere attraktivt sted at gennemføre studier. Den direkte effekt på investeringer i forskning hos lægemiddelvirksomheder, som har forskningsafdelinger i Danmark, er mere usikker. Deloitte's interviewundersøgelser med lægemiddelvirksomheder og CRO'er viser dog, at bedre adgang kan medføre, at studier hjemtages, og at datakøb i udlandet erstattes. Virksomheder estimerer, at de vil kunne flerdoble omfanget af aktiviteter relateret til for eksempel effektstudier.

Virksomhederne understreger at de ansøgningsmæssige vilkår for adgang til sundhedsdata har betydning for omfanget af deres investeringer. Således er det afgørende, at det bliver mere gennemsigtigt, hvilke data der er til rådighed, samt hvilke vilkår der skal opfyldes for at opnå adgang til data, og hvornår det kan ske. Desuden skal sagsbehandlingstiden forkortes. Det er vigtigt, at de proceduremæssige forbedringer sker på tværs af registre, så procedurerne for, hvornår data kan videregives, skal strømlines på tværs af registre.

Direkte effekter: større søgeaktivitet og flere registerbaserede studier

Når servicen og vilkårene omkring ansøgningsprocessen forbedres, nedbringes omkostningerne, tidsforbruget og risikoen forbundet med at ansøge om adgang til sundhedsdata. Tidshorizonten og usikkerheden omkring, hvorvidt man kan få adgang til data, er kritisk i forbindelse med markedsadgangsstudier og til dels også effekt- og følgestudier. Det vil gøre det væsentligt mere attraktivt at gennemføre studier i Danmark, som ellers gennemføres andre steder. For afdelinger af udenlandske lægemiddelvirksomheder i Danmark, der i et vist omfang er i konkurrence med afdelinger i andre lande indenfor den samme koncern, vil det være en vigtig faktor, at der til virksomhedens forskningsafdeling eller hovedkontor kan gives et klarere svar på, hvad der er muligt og hvornår, og at studier kan påbegyndes og effektueres hurtigere.

Virksomhederne forventer på kort sigt at øge særligt antallet af effektstudier vedrørende de produkter, der er på markedet, eller som står overfor en umiddelbar godkendelse, jf. de beskrevne cases i boksen.

Tre lægemiddelvirksomheder med kontorer i Danmark vil flytte studier og øge investeringerne i forskning i Danmark

For et globalt lægemiddelselskab, der arbejder med både generiske og innovative lægemidler, betyder den nuværende dataadgang, at det ikke er muligt/rentabelt at udnytte potentialet i danske sundhedsdata i det ønskede omfang.

Virksomheden er i Danmark løbende i gang med to til tre videnskabelige studier og gennemfører løbende en række markedsadgangsstudier såsom markedsanalyser, kortlægning af patienter og patientrejser og budget impact-studier.

Ved en forbedret rådgivning, øget transparens for ansøgninger og hurtigere adgang til data vil virksomheden på kort sigt kunne fordoble antallet af studier. Det skyldes, at usikkerheden om, hvorvidt studiet kan gennemføres, og om det kan gennemføres indenfor den krævede tidshorisont, fjernes. Fordoblingen af antallet af studier vil i denne virksomheds tilfælde betyde en merinvestering i forskning på et par mio. kr., da omkostningen per studie oftest er omkring en halv mio. kr. Desuden vil virksomheden umiddelbart fordoble eller tredoble antallet af videnskabelige studier. Da disse er lidt mere omkostningstunge, vil det betyde en merinvestering på anslået op til ti mio. kr.

Virksomheden forudser, at bedre adgang til data på sigt vil betyde ansættelse af to til tre medarbejdere og potentielt en fem- eller tidobling af antallet af studier. Virksomheden forudser desuden, at studier baseret på registerdata på sigt vil kunne erstatte nogle typer kliniske studier. Dette vil reducere omkostningen til studier og vil sandsynligvis flytte studier, der på nuværende tidspunkt gennemføres i udlandet, så de i stedet gennemføres i Danmark.

Også for et andet datterselskab af en global lægemiddelvirksomhed begrænser den nuværende dataadgang antallet af gennemførte markedsadgangs- og effektstudier. Under de nuværende forhold gennemføres to til tre studier af gangen. Virksomheden er primært fokuseret på studier, som viser effekter og omkostninger forbundet med sygdomme og behandling, og som er rettet mod købere samt den lokale lægemiddelmmyndighed og Medicinrådet.

Ved forbedret rådgivning, øget transparens for ansøgninger og hurtigere adgang til data vil virksomheden øge antallet af studier markant. Som en umiddelbar effekt forventes antallet af studier at tidobles, hvilket vil medføre en merinvestering på cirka 20-30 mio. kr.

Virksomheden forudser, at bedre adgang til data vil øge den globale interesse for at gennemføre studier i Danmark. Det er afgørende for virksomhedens investeringer i Danmark, at ventetiden, indtil man får adgang til data, bliver så kort som muligt.

I et tredje globalt lægemiddelselskab betyder de nuværende muligheder for adgang til danske sundhedsdata, at danske data kun i begrænset omfang indgår i fælleseuropæiske studier, eksempelvis effektstudier. For den danske afdeling betyder adgangen, at der gennemføres færre studier, end de ønsker. Konsekvensen er, at der investeres mindre i forskning i Danmark, og dermed, at der opsamles mindre viden om danske patienter. Ved bedre dataadgang vil man gennemføre flere studier, der inkluderer danske data, hvilket øger investeringerne i Danmark. Det vil også øge interessen for, at virksomheden i højere grad vil undersøge, hvordan de kan anvende data på nye måder.

Mere gennemsigtig, strømlinet og hurtigere sagsbehandling: betydelige effekter på omfanget af markedsadgangs- og effektstudier (II)

Da de pågældende udenlandske lægemiddelvirksomheder ikke selv har forskningsafdelinger eller forskere ansat og i høj grad gennemfører registerdatastudier i samarbejde med CRO'er eller forskere på hospitaler og universiteter, vil virksomhederne kunne mærke den umiddelbare effekt af en øget efterspørgsel efter at gennemføre studier. Således forventes en stor del af stigningen i antallet af gennemførte studier at komme via en stigning af studier gennemført af samarbejdspartnere.

Det er en væsentlig forudsætning for, at virksomhederne øger antallet af studier, at særligt tidshorisonten for, hvornår de kan forvente at få svar på deres ansøgning, samt hvornår data kan udstilles, er kendt på forhånd og overholdes.

Afledte effekter: højere investeringsniveau i forskning og potentiel tiltrækning af nye typer forskning og nye forretningsmuligheder for CRO'er og andre datavirksomheder

Når det bliver mere attraktivt at gennemføre markedsadgangs- og effektstudier baseret på danske registerdata, og antallet af gennemførte studier øges markant, er den sandsynlige varige effekt, at dette medfører et højere investeringsniveau samt mere personale til at varetage opgaver knyttet til studierne. Det drejer sig i første omgang om flere ansatte til at lede og administrere projektporteføljen. Desuden vil der være en øgning i antallet af medarbejdere, der arbejder med at gennemføre studierne hos de tredjeparter (CRO'er og forskere), som virksomhederne samarbejder med.

De interviewede lægemiddelvirksomheder har også påpeget, jf. boksen med eksempler på forrige side, at de muligheder, der er forbundet med anvendelse af danske registerdata, vil betyde, at danske data kommer på radaren hos de internationale koncerner. Det kan betyde, at de danske afdelinger også vil kunne byde ind med, at der kan gennemføres andre typer af studier med anvendelse af danske sundhedsdata, for eksempel prækliniske studier. I denne forbindelse vil det også spille ind som et vigtigt parameter, at den danske afdeling kan give en større grad af vished om adgang og tidshorisont for projektets gennemførelse.

Bedre dataadgang vil også påvirke danske lægemiddelvirksomheders omfang af markedsadgangs- og effektstudier. Også i disse virksomheder vil Danmark være en stærkere kandidat til for eksempel europæiske studier. Det er dog mere usikkert, hvilken betydning bedre dataadgang vil have for forskningen i nye lægemidler. Generelt er de danske lægemiddelvirksomheder orienteret mod det globale marked, og de henter data fra de geografier, hvor deres lægemidler skal afsættes, eller hvor der er videre muligheder for at få adgang til data samt betale for adgang til data, blandt andet USA. Interview med danske virksomheder, jf. boksen nedenfor, indikerer dog, at de danske virksomheder vil hjemtage den forskning, de gennemfører i udlandet, og at de vil orientere sig mod de anvendelsesmuligheder, der kan opstå i forhold til for eksempel gennemførelsen af prækliniske studier med anvendelse af danske sundhedsdata.

Dansk lægemiddelvirksomhed vil hjemtage studier og erstatte køb af data i udlandet med danske sundhedsdata

For en dansk lægemiddelvirksomhed betyder de nuværende muligheder for adgang til danske sundhedsdata, at lægemiddelselskabet gennemfører to typer af studier. Ved eksplorativ forskning, hvor hypoteser afprøves, køber virksomheden udenlandske databaser, da det enten er umuligt eller alt for besværligt at benytte danske registerdata. Til formelle databasestudier, eksempelvis effektstudier, samarbejder virksomheden med tredjeparter, der står for hele processen omkring ansøgning og behandling af data.

Hvis dataadgangen forbedres, så virksomhederne får mulighed for at ansøge om data uden inddragelse af tredjeparter, vil virksomheden hjemtage eksempelvis effekt- og bivirkningsstudier samt sygdomsbyrdestudier (COI), der nu gennemføres af tredjeparter. Da omkostningerne til det enkelte studie falder, vil virksomheden øge antallet af studier, der gennemføres.

Ved forbedret dataadgang vil virksomheden yderligere gennemføre en række pilotstudier i Danmark, der skal sikre forbedret planlægning og gennemførelse af store internationale studier.

Flere studier giver mere viden om sygdomme. Det gør, at virksomheden i højere grad kan målrette lægemiddeludviklingen og i sidste ende udvikle nye og bedre lægemidler. Desuden bliver det lettere at planlægge studier, hvorved sandsynligheden for forbedrede resultater øges. Den forbedrede dataadgang vil på sigt betyde investeringer i form af flere ansatte til at gennemføre det øgede antal studier.

Mere gennemsigtig, strømlinet og hurtigere sagsbehandling: betydelige effekter på omfanget af markedsadgangs- og effektstudier (III)

Det er fremgået i de udførte interview, at globale koncerner foretager investeringer i forskning i forskellige geografier i verden, hvor koncernerne har markeds-mæssige interesser, og hvor der er potentiale i at investere i forskning.

Der er lige nu eksempler på, at koncerner er interesserede i at investere i forskning i Norden. Nogle af de parametre, der spiller ind, er kvaliteten af registerdata i Norden og adgangen til unikke sundhedsdata, jf. boksen herunder.

Interesse i investeringer i større forskningssatsninger i Norden kan blandt andet være drevet af adgangen til attraktive sundhedsdata

Globale lægemiddelvirksomheder, både danske og internationale, viser stor interesse i danske og nordiske registerdata på sundhedsområdet. Således er der på nuværende tidspunkt investeringer eller overvejelser om investering i projekter fra en række virksomheder, der skal gøre det lettere at bruge de nordiske sundhedsdata. Det er blandt andet afspejlet i støtte til oprettelse af Danmarks Nationale Biobank og Nationalt Genom Center og ikke færre end ni globale lægemiddelselskabers investeringer i det finske FinnGen-projekt. Der er også andre investeringer på tegnebrættet i forskning på nordisk plan.

Når adgangen til data forbedres, vil det også forbedre CRO'ernes og andre datavirksomheders forretningsmuligheder i forhold til nye kunder. Potentielt kan en bedre dataadgang også åbne for, at nye forretningsområder bliver rentable, hvorved der kan tilbydes nye og flere services. For CRO'er og datavirksomheder drejer det sig om mulighederne for at udvikle og levere avancerede datamodeller på baggrund af eksplorativt arbejde med store datasæt. Vi uddyber dette på de følgende sider, hvor vi ser på perspektiverne i bedre muligheder for at udføre eksplorativ forskning baseret på danske sundhedsdata.

Størrelsen på de indirekte effekter afhænger af størrelsen af de direkte effekter. Desuden vil øgningen i antal ansatte og investeringer også afhænge af, hvilke typer af studier der gennemføres efter ændringen af dataadgangen. De samlede indirekte effekter i Danmark vil formentlig være marginale set ud fra det samlede forskningsomfang på området i Danmark, men i forhold til den investering, som udenlandske selskaber foretager, kan de blive påvirket betydeligt.

Der er særligt stor usikkerhed om størrelsen på effekterne i forhold til omfanget af prækliniske og kliniske studier samt omfanget af vækst i nye forretningsområder.

© Deloitte 2019

Katalytiske effekter: højere værdiskabelse og gevinster for forskningsmiljøer og behandlinger

Bedre adgang til sundhedsdata understøtter, at en række katalytiske effekter kan realiseres.

Når tidsforbruget, og dermed omkostningerne, til at gennemføre registerdatastudier falder, bliver det muligt for virksomhederne at gennemføre flere studier for de samme ressourcer. Det betyder en højere værdiskabelse (produktivitet) og potentielt nye og bedre lægemidler og behandlinger til gavn for patienterne.

Desuden vil der opstå nogle bredere økosystemeffekter, da de øgede investeringer har en positivt afsmittende effekt på forskningsmiljøer, ligesom investeringerne giver vækst hos CRO'er, datavirksomheder og andre leverandører.

Som en væsentlig katalytisk effekt kan en bedre adgang til sundhedsdata resultere i bedre behandlinger for patienter og derigennem forbedret folkesundhed. Denne effekt opstår, såfremt studierne giver bedre indsigt i, hvordan patienterne behandles bedst, eller hvis de fører til nye typer af behandling eller forbedrer ressourceforbruget i sundhedsvæsenet, så det bliver muligt at behandle flere patienter.

Det er vanskeligt at forudsige størrelsesordenen af de katalytiske effekter, da de afhænger både af de direkte og afledte effekter, samt hvad de nye studier viser, og hvad de afledte konsekvenser af dette er.

Bedre mulighed for brug af sundhedsdata til eksplorativ forskning: reducerede omkostninger til studier og potentiale for Danmark som testland

En anden måde at forbedre dataadgangen på er at åbne op for, at data kan benyttes i eksplorativ forskning. Virksomheder efterspørger både mulighed for at gennemføre både mindre studier i form af forstudier og mere omfattende eksplorative studier.

Direkte effekter: øget anvendelse af data i forstudier eller forskning i sygdomsforståelse

Hvis der gives mulighed for at benytte data til studier, hvor mulighederne tidligere har været stærkt begrænsede, vil der i højere grad blive ansøgt om adgang til data til anvendelse for mindre forstudier eller pilotstudier. Her vil data blive anvendt til at undersøge, hvad man skal gå videre med i egentlige storskalastudier eller kliniske studier.

Adgangen til at udføre eksplorativ forskning med anvendelse af sundhedsdata vil også anspore til at udføre større forskningsmæssige studier med henblik på publicering, hvor fokus er på en bedre sygdomsforståelse eller på sygdomsmønstre, effektstudier eller bivirkningsstudier.

Der ses allerede en tendens til at arbejde eksplorativt med data i lægemiddelvirksomheder, og en bedre adgang til at anvende offentlige sundhedsdata vil accelerere denne tendens, jf. nedenstående boks.

Bedre mulighed for adgang til data til eksplorativ forskning vil accelerere den eksplorative forskning i virksomheder

For et globalt lægemiddelselskab, der allerede arbejder med eksplorativ forskning baseret på egne data, vil bedre muligheder for benytte dansk sundhedsdata eksplorativt føre til øget flere forskningsaktiviteter. En eksplorativ tilgang er vigtig for virksomhederne, da de sammenhænge, man leder efter i data er komplekse og vanskelige at forudsige. De er derfor svære at teste ud fra prædefinerede hypoteser. En eksplorativ tilgang kan bidrage til, at det bliver lettere at finde nålen i høstakken, og man vil efterfølgende kunne udføre traditionelle studier, der undersøger de fundne sammenhænge til bunds.

Afledte effekter: bedre kvalitet i studier, reduktion i omkostninger til studier samt muligheder i nye forretningsmodeller for CRO'er og andre datavirksomheder

Gevinstmæssigt vil bedre muligheder for at udføre eksplorativ forskning baseret på sundhedsdata betyde, at der er en større sandsynlighed for, at studierne bliver succesfulde. Dette vil på sigt kunne øge hitraten i studierne, og man vil kunne spare store omkostninger til at gennemføre studier, hvor der ikke er sammenhænge at spore. Pengene kan i stedet anvendes til at gennemføre studier, der med større sandsynlighed medfører gennembrud for udviklingen af nye behandlinger og lægemidler.

Virksomheder vil også kunne opnå fordele ved forbedret adgang til sundhedsdata til eksplorative formål, idet de således kan reducere omkostningerne til køb af data i andre lande.

For CRO'er og andre datavirksomheder kan bedre muligheder for at udføre eksplorativ forskning medføre, at der opstår nye forretningsmuligheder. Virksomheder, der er tilstede i Danmark, har således også betydelige interesser i anvendelse af modeller baseret på kunstig intelligens og data. I Storbritannien er der blandt lægemiddelvirksomheder og CRO'er stor interesse i at deltage i projekter relateret til den britiske genomsatsning The 100.000 Genomes Project, der blandt andet skal understøtte opbygningen af en genom-baseret industri i Storbritannien. Det samme er tilfældet i det finske FinnGen-projekt. En tilsvarende udvikling kan understøttes i Danmark.

Katalytiske effekter: Danmark som testland

Færre omkostninger til studier samt en større effektivitet i de studier, der udføres, vil alt andet lige bidrage til en højere værdiskabelse i virksomheder.

Yderligere kan bedre muligheder for at udføre eksplorativ forskning med anvendelse af sundhedsdata kunne understøtte, at Danmark vil kunne fungere som testland for mindre pilotstudier, før lægemiddelvirksomheder går i store markeder for at lave effektstudier.

BILAG

Anvendte forkortelser

CHC – Copenhagen Healthtech Cluster

COI – Cost of illness

CRO - Contract research organisation

EMA - European Medicines Agency

F&U – Forskning og udvikling

HMO - Health maintenance organisation

HTA - Health technology assessment

RCT - Randomised controlled trial (randomiserede kontrollerede forsøg)

RKKP - Regionernes Kliniske Kvalitetsudviklingsprogram

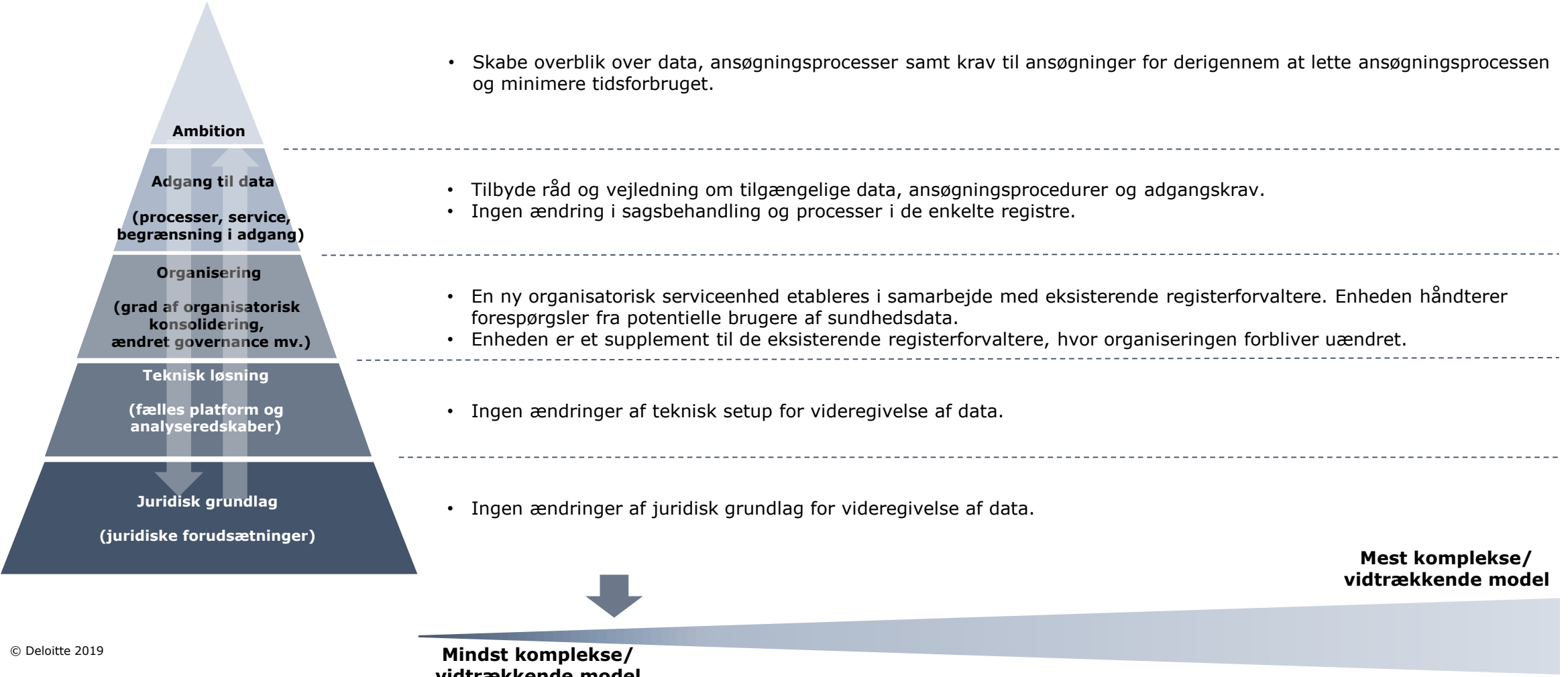
RWE - Real world evidence

SDS - Sundhedsdatastyrelsen

En ny rådgivende serviceenhed

Der etableres en serviceenhed, der guider og vejleder brugeren i forhold til adgang til sundhedsdata. Formålet med enheden er at lette adgangen til data for brugerne ved at give et bedre overblik over tilgængelige data samt vejlede i ansøgningskrav og procedurer for de enkelte registre. Enhedens primære opgave er at vejlede ansøgere om, hvilke data der er tilgængelige, og hvordan ansøgeren bedst søger om adgang til data. Medarbejderne skal have dybdegående kendskab til indholdet i de nationale registre og kende til begrænsninger i adgang både i forhold til adgangskrav, regulering og fortolkningen af reglerne i de enkelte registre.

Serviceenheden etableres som en ny organisatorisk enhed, der udelukkende er en rådgivningsfunktion og derved ikke har beslutningskompetence i forhold til at give adgang til data.

- 
- Skabe overblik over data, ansøgningsprocesser samt krav til ansøgninger for derigennem at lette ansøgningsprocessen og minimere tidsforbruget.
 - Tilbyde råd og vejledning om tilgængelige data, ansøgningsprocedurer og adgangskrav.
 - Ingen ændring i sagsbehandling og processer i de enkelte registre.
 - En ny organisatorisk serviceenhed etableres i samarbejde med eksisterende registerforvaltere. Enheden håndterer forespørgsler fra potentielle brugere af sundhedsdata.
 - Enheden er et supplement til de eksisterende registerforvaltere, hvor organiseringen forbliver uændret.
 - Ingen ændringer af teknisk setup for videregivelse af data.
 - Ingen ændringer af juridisk grundlag for videregivelse af data.

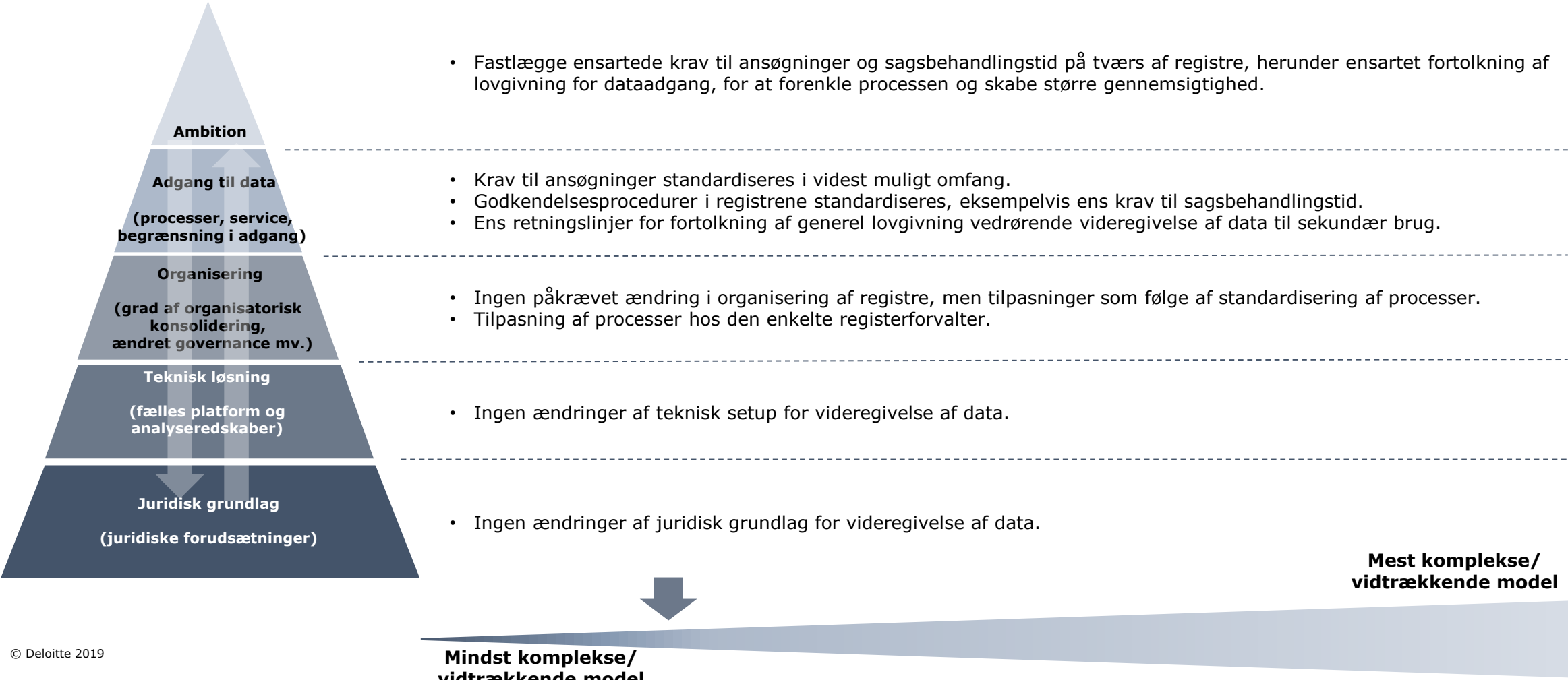
**Mest komplekse/
vidtrækkende model**

**Mindst komplekse/
vidtrækkende model**

Standardisering af procedurer hos eksisterende registerforvaltere

Processer for ansøgning og behandling af ansøgninger standardiseres på tværs af registre. Formålet er at skabe større ensartethed og dermed lette adgangen til sundhedsdata for særligt brugere, der ønsker adgang til data fra mere end én registerforvalter.

Initiativet skal sikre, at fortolkningen af regler for videregivelse af data er ens i alle registre. Desuden skal eksempelvis krav til ansøgninger og tidsfrister harmoniseres, selvom der fortsat vil være yderligere registerspecifikke krav for nogle registre.

- 
- Fastlægge ensartede krav til ansøgninger og sagsbehandlingstid på tværs af registre, herunder ensartet fortolkning af lovgivning for dataadgang, for at forenkle processen og skabe større gennemsigtighed.
 - Krav til ansøgninger standardiseres i videst muligt omfang.
 - Godkendelsesprocedurer i registre standardiseres, eksempelvis ens krav til sagsbehandlingstid.
 - Ens retningslinjer for fortolkning af generel lovgivning vedrørende videregivelse af data til sekundær brug.
 - Ingen påkrævet ændring i organisering af registre, men tilpasninger som følge af standardisering af processer.
 - Tilpasning af processer hos den enkelte registerforvalter.
 - Ingen ændringer af teknisk setup for videregivelse af data.
 - Ingen ændringer af juridisk grundlag for videregivelse af data.

Eksperimentelle miljøer: datasandkasser (to varianter)

Der etableres eksperimentelle miljøer, såkaldte datasandkasser, der kan anvendes til eksplorative undersøgelser af data. Formålet er at give ansøgeren hurtig adgang til at afprøve hypoteser samt mulighed for at undersøge datasammenhænge, der kan bruges til hypotesegenerering. I etableringen af denne model foretages også en koordineret behandling af ansøgninger.

Modellen for eksperimentelle miljøer kan udformes i to varianter: **en mindre vidtgående**, hvor der indenfor de eksisterende rammer klarlægges, hvilke muligheder der er for at arbejde eksperimentelt med data, og en anden **mere vidtgående variant**, hvor der sker en juridisk præcisering i forhold til det samfundsmæssige formål af anvendelsen af data. I den mere avancerede variant anvendes en avanceret analyseplatform, der sikrer datasikkerheden.

-
- Give mulighed for eksplorative undersøgelser samt hypotesegenerering og hurtig afprøvning af hypoteser i den tidlige projektudviklingsfase.
 - Krav til ansøgninger standardiseres gennem klargøring af, hvilke forudsætninger der skal være opfyldt.
 - Krav til sagsbehandlingstid fastsættes.
 - Projektspecifik organisering hvor et fælles forum med deltagelse af relevante repræsentanter fra registre koordinerer og varetager sagsbehandling og godkendelse af ansøgning.
 - Det eksperimentelle miljø er et supplement til de eksisterende ansøgningsmuligheder og udstillingsløsninger, hvor organiseringen forbliver uændret.
 - Data udstilles på samme platform uafhængigt af registre.
 - **Mindst vidtgående variant:** Data behandles på udstillingsplatformen med analyseværktøjer, der stilles til rådighed af myndigheden.
 - **Mest vidtgående variant:** Data eksporteres til analysemiljøer med avancerede analyseværktøjer.
 - **Mindst vidtgående variant:** Gøre det klart hvilke betingelser, der skal opfyldes, for at der kan gives adgang til at gennemføre eksplorative undersøgelser indenfor eksisterende rammer.
 - **Mest vidtgående variant:** Justere fortolkning af krav til samfundsmæssige formål samt eventuelt gennemføre ændring af lovgivning eller samtykke fra patienten, hvis data skal indgå i et eksperimentelt miljø.
 - Kræver afklaring af, hvorvidt brug af syntetiske data muliggør, at kravene for, hvem der kan tilgå data og til hvilke formål, kan lempes.

**Mest komplekse/
vidtrækkende model**

**Mindst komplekse/
vidtrækkende model**

En adgangsforvalter og en udstillingsplatform med analyseværktøjer

Der etableres en ny myndighed, der modtager og behandler ansøgninger til alle registre. Samtidig oprettes en samlet udstillingsplatform for sundhedsdata. Formålet er at forbedre adgangen til sundhedsdata ved, at ansøgeren kan sende en samlet ansøgning samt tilgå alle data på samme udstillingsplatform. Autoriteten har kompetence til at give tilladelse til videregivelse af sundhedsdata og har ansvaret for, at alle lovgivnings-, etiske og registerspecifikke krav overholdes.

Der oprettes en elektronisk udstillingsplatform, hvor data tilgængeliggøres i et sikkert analysemiljø med mulighed for at benytte statistiske og avancerede analyseværktøjer.

- Etablering af en samlet, integreret forvaltning af adgangen til danske sundhedsdata med henblik på at sikre ensartet, hurtigere og mere gennemsigtig sagsbehandling samt forbedrede analysemuligheder .

Ambition

Adgang til data
(processer, service, begrænsning i adgang)

- En samlet ansøgning om adgang til sundhedsdata.
- En adgangsforvalter, der varetager sagsbehandlingen og giver samlet tilladelse eller afslag på adgang til data.
- Data tilgængeliggøres samlet på en udstillingsplatform.

Organisering
(grad af organisatorisk konsolidering, ændret governance mv.)

- Myndigheden oprettes som en ny organisatorisk enhed.
- Myndigheden træffer afgørelse om videregivelse af data og stiller data til rådighed på en analyseplatform.
- Myndigheden erstatter funktioner hos registerforvalterne, der træffer afgørelse om videregivelse af data.
- Myndigheden erstatter funktioner i Datatilsynet, Videnskabsetisk Komité, Styrelsen for Patientsikkerhed og Lægemiddelstyrelsen, der godkender forskningsprojekter.

Teknisk løsning
(fælles platform og analyseredskaber)

- Data udstilles på en analyseplatform, der giver adgang til statistiske og avancerede analyseværktøjer.
- Udstillingsplatformen erstatter nuværende udstillingsplatforme og metoder.
- Den organisatoriske placering af registre forbliver uændret, selvom beslutningen om videregivelse af data flyttes til den nye myndighed. De nuværende registerforvaltere varetager fortsat drift og vedligehold af registre.

Juridisk grundlag
(juridiske forudsætninger)

- Tiltaget kræver ændring af lovgivning, der giver autoriteten ansvaret for de godkendelser, der nu er placeret i Datatilsynet, Videnskabsetisk Komité, Styrelsen for Patientsikkerhed og Lægemiddelstyrelsen.
- Kræver ændring af lovgivning eller ændring af dataansvar, der giver myndigheden kompetence til at godkende ansøgninger om videregivelse af data.

**Mest komplekse/
vidtrækkende model**

**Mindst komplekse/
vidtrækkende model**



Om Deloitte

Deloitte leverer ydelser indenfor revision, consulting, financial advisory, risikostyring, skat og dertil knyttede ydelser til både offentlige og private kunder i en lang række brancher. Deloitte betjener fire ud af fem virksomheder på listen over verdens største selskaber, Fortune Global 500®, gennem et globalt forbundet netværk af medlemsfirmaer i over 150 lande, der leverer kompetencer og viden i verdensklasse og service af høj kvalitet til at håndtere kundernes mest komplekse forretningsmæssige udfordringer. Vil du vide mere om, hvordan Deloitte omkring 286.000 medarbejdere gør en forskel, der betyder noget, så besøg os på Facebook, LinkedIn eller Twitter.

Deloitte Touche Tohmatsu Limited

Deloitte er en betegnelse for en eller flere af Deloitte Touche Tohmatsu Limited ("DTTL"), dets netværk af medlemsfirmaer og deres tilknyttede virksomheder. DTTL (der også omtales som "Deloitte Global") og alle dets medlemsfirmaer udgør separate og uafhængige juridiske enheder. DTTL leverer ikke ydelser til kunderne. Vi henviser til www.deloitte.com/about for nærmere oplysninger.