

## National Center for Advancing Translational Science—NCATS

Kongressen godkände i december 2011 skapandet av ett nytt centrum vid NIH, *National Center for Advancing Translational Science* (NCATS)<sup>1</sup>. Inom NCATS kommer själva *pipelinen*, som förmedlar laboratorieupptäckter till behandlingar, att beforskas. Målet är att den ska förbättras och effektiviseras genom att tänka på nya sätt - NIH kallar detta för *disruptive innovation*.<sup>2</sup> Flaskhalsar ska identifieras och elimineras. Detta förväntar man sig sedan ska leda till förbättringar och effektiviseringar av hur man går från idé till behandling inom framförallt läkemedelsutveckling. Nära samarbete med företag och reglerande myndigheter, exempelvis FDA (Food and Drug Administration) och EPA (Environmental Protection Agency), är en av hörnstenarna i initiativet. Enligt Lawrence A Tabak, Principal Deputy Director vid NIH, kommer NCATS att komplettera och inte konkurrera med läkemedelsindustrin och därmed skapa plattformar för samarbeten.<sup>3</sup> Bildandet av NCATS bromsades under hösten 2011 på grund av motstånd från vissa kongressledamöter. Motståndet hade sin grund i att en del andra program på NIH får minskade budgetar samtidigt som NCATS etableras. NIHs chef försäkrar dock att företeelserna inte är kopplade till varandra.<sup>4</sup> I samband med budgetkompromissen i december 2011 godkändes bildandet och NCATS beviljades en budget på \$576 miljoner för 2012, vilket är ungefär hälften av vad man äskat. I NCATS styrelse sitter forskare inom translationell och regulatorisk forskning, liksom representanter från patientorganisationer och privata företag.

Av NCATS budget ska 88 procent bestå av nuvarande Clinical and Translational Science Awards (CTSA). Genom CTSA<sup>5</sup> stöds samarbetsprojekt mellan forskare med olika bakgrund för att möjliggöra studerandet av komplexa medicinska och vetenskapliga problem. Detta för att senare finna metoder så att upptäckterna leder till praktiska lösningar för patienter. CTSA skapades 2006 för att lösa många av de problem den kliniska forskningen ansågs ha och var fortsättningar på tidigare NIH-satsningar på infrastruktur inom klinisk forskning, så kallade *General Clinical Research Centers*. CTSA-programmet stödjer ett konsortium av 60 medicinska forskningsinstitutioner (CTSA's) i 30 olika delstater. Dessa samarbetar och är integrerade med lokala forskningssjukhus för att även engagera det omgivande samhället i klinisk forskning. Samtliga CTSA's har utbildningsprogram som är nationellt koordinerade för att rekrytera, utbilda, träna och uppmuntra utvecklingen av kliniska och translationella forskare inom hälsoområdet. Målsättningen med

<sup>1</sup> <http://ncats.nih.gov/about/budget/2013/justification.pdf>

<sup>2</sup> Dr. Francis Collins, NIH Director, vid *Research!America's Annual Meeting & National Health Research Forum, 120314*.

<sup>3</sup> *Diskussion vid möte mellan Dr. Lawrence A. Tabak, och Minister Jan Björklund 120313*

<sup>4</sup> <http://blogs.nature.com/news/2012/03/nih-director-grilled-over-translational-research-center.html>

<sup>5</sup> <https://www.ctsacentral.org/>

Datum  
2012-05-06

bidragen är att forskningen ska leda till nya behandlingar på ett snabbare och mer effektivt sätt än tidigare. CTSA har fem strategiska mål (där man måste utgå ifrån att det fjärde målet är det huvudsakliga):

- Att bygga nationell klinisk och translationell forskningskapacitet. Här ingår att förbättra alla processer kopplade till kliniska prövningar.
- Att erbjuda utbildning och förbättra karriärmöjligheterna för kliniska och translationella forskare.
- Att uppmuntra till samarbeten över hela konsortiet.
- Att förbättra hälsan i landet och dess samhällen.
- Att göra framsteg inom translationell forskning.

Det nya centret NCATS kommer även att fokusera på nedanstående mål<sup>6</sup>:

- Att utnyttja framsteg inom grundforskning, exempelvis genomik, proteomik, biokemi, farmakologi, klinisk forskning, biostatistik och beräkningsbiologi, för att övervinna hinder i den ovan nämnda *pipeline*.
- Att testa *pipeline*-innovationer i lovande forskningsprojekt.
- Att odla starka samarbeten över discipliner och sektorer. NIH har redan påbörjat samarbeten mellan chefer och experter inom läkemedelsindustrin, myndigheter, akademien och ideella organisationer för att diskutera nya möjligheter och samarbeten mellan NIH och den privata sektorn. Arbete har påbörjats inom *drug rescue and repurposing* (se nedan) och NCATS ser sig som förespråkare av forskning och samarbeten inom området.
- Att öka samarbetet med amerikanska läkemedelsverket, FDA, för att främja och stärka regulatorisk forskning, som NIH definierar som utvecklingen och användningen av nya verktyg, standarder och ansatser för att utveckla och utvärdera produkters säkerhet, effekt och kvalitet.
- Att stödja utbildningsprogram inom innovation och samarbete. NCATS kommer att utveckla nydanande utbildning, såsom praktikplatser inom läkemedelsutveckling för unga forskare och utbildning av läkare och forskare inom industrin, akademien och federala laboratorier.

Arbetet kommer att organiseras inom de fem följande områdena:

1. Klinisk och translationell forskning inom, bland annat, redan etablerade CTSA's.
2. Sällsynta sjukdomar. För endast 250 av de 6000 sällsynta sjukdomar som upptäckts finns behandling. Fältet lider extra mycket av bristen på translation eftersom det finns lite intresse från industrin för att investera på området. NIH har två existerande relaterade program: Programmet för behandling av sällsynta och försummade sjukdomar och Kontoret för forskning inom sällsynta sjukdomar. Dessas kommer att inkorporeras in i NCATS verksamhet.

---

<sup>6</sup> <http://ncats.nih.gov/about/budget/2013/justification.pdf>

3. Omstrukturering av translationell forskning där nya och innovativa tillvägagångssätt kommer att utvecklas. Här ingår utveckling av molekylbibliotek och bildbehandlingsmetoder.
4. Cures Acceleration Network. Av NCATS beviljade medel kommer \$10 miljoner att användas inom Cures Acceleration Network (CAN). CAN är en del av den omdebatterade sjukvårdsreformen och har ett starkt stöd från de flesta aktörer. Samtidigt har CAN stått utan medel sedan reformen godkändes våren 2010. Målet med satsningen är att stärka utvecklingen av *high need cures* och minska olika hinder mellan upptäckt och kliniska prövningar inom områden där industrin inte satsar. CAN är tänkt att vara innovationsdrivande genom att förutse behov som ligger långt in i framtiden och utveckla lösningar för dessa. Programmet kommer arbeta på ett liknande sätt som Defense Advanced Research Projects Agency (DARPA), vilket är en starkt innovationsdrivande del av försvarsforskningen. Inom DARPA arbetar man inom alla nivåer av forsknings- och utvecklingsprocessen, från grundforskning till fullskaliga teknikdemonstrationer. DARPA satsar på riskforskning, det vill säga forskning som har stor risk att misslyckas, men har hög genomslagskraft om den lyckas.<sup>7</sup> Flera initiativ kommer att ingå i CAN, bland annat:
  - *Integrated Microsystems for Drug Screening Initiative (IMDS)*. Inom IMDC kommer NCATS, i samarbete med FDA och DARPA, att utveckla ett chip uppbyggt av specifika mänskliga celler. Chippet ska användas för att testa hur läkemedelskandidater interagerar med friska och infekterade celler, för att bedöma dessas säkerhet och/eller effektivitet mot sjukdomar. Om utvecklingen av chippet fungerar kan det användas på ett tidigt stadium i läkemedelsutvecklingen. Enligt Dr. Lawrence A. Tabak har detta potentialen att förkorta pipelinen med flera år då systemet skulle kunna eliminera vissa kostliga, komplicerade och etiskt problematiska djurförsök.<sup>8</sup>
  - *Target Validation*. NCATS kommer att utveckla processer för *Target Validation* i samarbete med läkemedelsindustrin. Ambitionen är att utveckla mer strategiska och homogena angreppssätt som minskar duplicering. Detta kan ske genom att skapa ett konsortium av företag som prekompetitivt (tidigt i *pipelinen*) utarbetar en analytisk plattform innehållande genetisk, fenotypisk och bioinformativ information om de substanser som undersökts. Inom denna plattform kan läkemedelsföretag dela med sig av lärdomar från experiment som inte har lett till utveckling av någon produkt.
  - *Drug Rescue and Repurposing Initiative*. NCATS kommer att arbeta tillsammans med läkemedelsindustrin för att utveckla nya processer för omprövning av läkemedel. Det kan innebära omprövning av ett icke godkänt preparat för att se om det visar terapeutisk förmåga för en annan sjukdom eller symptom än vad som först avsågs (*drug rescue*) och undersökning av ett läkemedel som redan har godkänts som behandling för att se om det har ytterligare tillämpningsområden (*drug repurposing*).

---

<sup>7</sup> <http://www.darpa.mil/>

<sup>8</sup> Diskussion vid möte mellan Dr. Lawrence A. Tabak, och Minister Jan Björklund 120313

Datum  
2012-05-06

NCATS arbetar tillsammans med FDA för att utveckla en databas med godkända läkemedel och läkemedel under utredning.

5. Forskningsresurser för att ge stöd till NIH-forskare inom NCATSs ansvarsområden. Här finns ännu inga detaljer om innehållet.

Det är med stort intresse många, i USA såväl som internationellt, följer den fortsatta utvecklingen av NCATS.