



# Vad händer inom **Life Sciences** internationellt?

## Nuläge och trender i utvalda länder

**Tillväxtanalys** fick under våren 2012 i uppdrag av Utbildningsdepartementet att beskriva forsknings- och innovationspolitiska trender samt initiativ inom livsvetenskaperna i ett antal utvalda länder. I uppdraget ingick att beskriva hur translation, klinisk forskning och strategiska forskningssatsningar hanteras i det olika offentliga systemen och hur samverkan fungerar mellan olika aktörer.

Dnr 2012/022  
Myndigheten för tillväxtpolitiska utvärderingar och analyser  
Studentplan 3, 831 40 Östersund  
Telefon 010 447 44 00  
Telefax 010 447 44 01  
E-post [info@tillvaxtanalys.se](mailto:info@tillvaxtanalys.se)  
[www.tillvaxtanalys.se](http://www.tillvaxtanalys.se)

För ytterligare information kontakta Martin Wikström  
Telefon 010 447 44 73  
E-post [martin.wikstrom@tillvaxtanalys.se](mailto:martin.wikstrom@tillvaxtanalys.se)

## Förord

Tillväxtanalys fick under våren 2012 i uppdrag av Utbildningsdepartementet att beskriva forsknings- och innovationspolitiska trender samt initiativ inom livsvetenskaperna i ett antal utvalda länder.

I uppdraget ingick att beskriva hur translation, klinisk forskning och strategiska forskningssatsningar hanteras i det olika offentliga systemen och hur samverkan fungerar mellan olika aktörer (företag, universitet, myndigheter, välgörenhetsorganisationer m.m.), samt mellan preklinisk och klinisk forskning.

Länderna valdes ut i dialog mellan departementet och Tillväxtanalys och omfattar: *USA, Kanada, Nederländerna, Schweiz, Storbritannien, Indien och Japan*. Länderna analyserades på olika detaljnivå och situationen i USA och Storbritannien har beskrivits särskilt ingående. Analysen av Japan har fokuserats på situationen för klinisk forskning och prövningar och för Indien på olika initiativ för translation.

Rapporten sammanfattar ett antal centrala observationer från de enskilda landrapporterna.

I projektet har följande medarbetare vid Tillväxtanalys deltagit: Sofie Björling (Washington D.C.), Måns Lindberg (Bryssel), Anders Karlsson (Tokyo), Setsuko Hashimoto (Tokyo), Andreas Muranyi-Scheutz (New Delhi) samt Martin Wikström (Stockholm, projektledare). Kapitlet om Schweiz har tagits fram i samarbete mellan Tillväxtanalys och Sweco.

Rapportens innehåll har tidigare presenterats skriftligt och muntligt till uppdragsgivaren samt vid ett öppet seminarium i maj 2012.

Stockholm, oktober 2012

Enrico Deiacco

Avdelningschef, Innovation och globala mötesplatser

## Innehåll

|          |  |           |
|----------|--|-----------|
| <b>1</b> | <b>Sammanfattning.....</b>   | <b>5</b>  |
| <b>2</b> | <b>Summary .....</b>   | <b>6</b>  |
| <b>3</b> | <b>Life Sciences – ett forsknings- och innovationsområde i förändring.....</b> | <b>8</b>  |
| 3.1      | Uppdrag, syfte och metod .....   | 8         |
| <b>4</b> | <b>Behov av systemreformerings .....</b>                                       | <b>11</b> |
| 4.1      | Systemtänkande eller ”from silos to systems” .....                             | 11        |
| <b>5</b> | <b>Strategiska forskningsinvesteringar och translation .....</b>               | <b>15</b> |
| 5.1      | Strategiska forskningssatsningar.....  | 15        |
| 5.2      | Exempel på initiativ att förbättra translation.....                            | 16        |
|          | Francis Crick-institutet.....  | 16        |
|          | Wellcome Trust Sanger Institute .....  | 17        |
|          | Stevenage Bioscience Catalyst.....   | 17        |
|          | National Center for the Advancement of Translational Science .....             | 17        |
|          | Systems X.....   | 18        |
|          | Centrumbildningar för translation .....  | 18        |
|          | Databaser och tillgång till information.....                                   | 18        |
|          | Delstaten Massachusetts och nyskapande forskningsinstitut.....                 | 19        |
|          | Indiens speciella situation vad gäller translation.....                        | 19        |
|          | Finansiering av translationell forskning och innovation .....                  | 19        |
| <b>6</b> | <b>Klinisk forskning, innovation och prövningar .....</b>                      | <b>20</b> |
| 6.1      | Regulatoriska frågor .....   | 20        |
| <b>7</b> | <b>Avslutande diskussion .....</b>   | <b>23</b> |

# 1 Sammanfattning

Under 2012 har Tillväxtanalys beskrivit hur USA, Kanada, Schweiz, Nederländerna, Storbritannien, Indien och Japan, hanterar utmaningar relaterade till life sciences. Speciellt stor vikt har lagts vid:

- systemaspekter relaterade till forskning och innovation inom life sciences,
- translation d.v.s. bland annat överföring av forskningsresultat till produkter, tillämpningar, terapier m.m.,
- förhållandena för klinisk forskning och kliniska prövningar,
- strategiska satsningar och infrastruktur för forskning.

I samtliga de studerade länderna är life sciences ett betydelsefullt område av tillväxtpolitiska, kunskaps- och hälsomässiga skäl. Samtidigt finns indikationer på att de investeringar som gjorts under senare år inte fullt ut gett de förväntade resultaten. Life science-forskning har blivit alltmer komplex, tids- och resurskrävande och den kliniska forskningens villkor har särskilt varit föremål för diskussion. Sammantaget har detta bidragit till ett reformtryck vilket bidragit till nya forsknings- och innovationssatsningar och metoder, större tonvikt på att förbättra förhållandena för translation, nya samarbetsformer och regulatoriska reformer. Nedan sammanfattas ett antal viktiga trender:

- Ett ökat systemtänkande med ambitionen att bygga ”ekosystem” där grundforskning, näringslivsforskning/innovation, klinisk forskning, vård, utbildning, näringspolitiska åtgärder och marknadsföring är integrerade. Systemtänkande utmärker framförallt Storbritannien.
- Satsningar på strategiska forskningsområden och infrastruktur förekommer i de flesta av länderna. En tydlig ambition är att säkerställa att ansvaret för specifika forsknings- och innovationsområden inte faller mellan de olika myndigheternas ansvarsområden.
- Translation är i fokus för att förstärka överföringen av resultat från forskningen till kliniska tillämpningar, terapier och produkter. Translationsinitiativ inbegriper ofta samverkan mellan aktörer genom nya finansieringsprogram, forskningscenter eller nätverksinitiativ. Dessutom bedömer Tillväxtanalys att antalet samarbeten mellan universitet, företag, myndigheter och NGO:s har ökat.
- Länderna arbetar med att förbättra den kliniska forskningens villkor genom att etablera nya finansieringsinitiativ, kliniska forskningscenter, infrastruktursatsningar och regulatoriska reformer.
- Kopplat till många av de ovan nämnda initiativen ökar inslagen av öppen innovation, fritt tillgängliga data och delade resurser.

Sammantaget sker för närvarande likartade förändringar i styrningsfilosofier samt av de institutionella och organisatoriska formerna för life sciences. Detta bör vara av intresse för svenska aktörer att följa inte minst då motsvarande problematik också diskuterats i Sverige, inte minst för den kliniska forskningen. De är också viktigt att följa och utvärdera hur de nya reformerna som beskrivs i rapporten kommer att påverka den verksamhet som föreligger sedan tidigare.

## 2 Summary

The Swedish Agency for Growth Policy Analysis (Growth Analysis) has, on commission from the Ministry for Education and Research, studied certain aspects of how the United States, Canada, Switzerland, the Netherlands, the United Kingdom, India and Japan, handles challenges relating to the life science field. During the project the following aspects have largely been in focus:

- System aspects relating to research and innovation within the life sciences.
- Translation e.g. the transfer of knowledge and results from research to products, therapies and applications.
- The conditions for clinical research and clinical trials.
- Strategic investments in research as well as in research infrastructure.

The life sciences are deemed to be important in all the studied countries, motivated by to economic growth, knowledge production, disease treatment and health promotion. At the same time indicators suggest that investments in the sector made during later years have not fully resulted in the expected effects. Life science research has become increasingly complex as well as time- and resource-demanding while the conditions for clinical research have been discussed extensively. In all, this has resulted in a reform pressure on the systems level as well as in new and innovative methods for research and innovation, translational initiatives, new ways for collaborations as well as regulatory reforms. Some of the most important trends are listed below:

- An increased focus on systems with an ambition to build life science ecosystems where basic research, corporate research and innovation, clinical research, healthcare, education and market efforts are integrated. Systems efforts appear to be most common in the United Kingdom.
- Initiatives for and investments in strategic research areas and/or research infrastructure are present in all the studied countries. There is a clear ambition to ensure that the responsibility for specific research/innovation areas do not fall between the areas covered by individual government agencies.
- Translational initiatives to strengthen the transfer of knowledge generated by research activities, to clinical applications, therapies and products are abundant. Translational efforts often include collaborative or cooperative efforts between actors through funding programs, new research centers or networks. Connected to this, it is the assessment by GA that the number of collaborations between universities, companies, agencies and NGO:s have increased.
- The number of clinical trials has been reduced in many countries during the last decade and the conditions for clinical research as well as its connections to preclinical research are often deemed to be suboptimal. New mechanisms have been developed to improve the conditions for clinical research through funding programs, clinical research centers, infrastructure initiatives and regulative reforms.
- New types of initiatives and mechanisms for collaborations have emerged in the life science area. Some of these have exhibit components of open innovation, freely available data and shared resources.

All in all a number of similar reforms and changes relating to the life sciences are underway in the studied countries. These relate to many policy-related issues including steering and management as well institutional and organizational forms. The developments should be of interest to Swedish actors not least as similar issues have been discussed in Sweden, not least in relation to clinical research. One central issue is how new reforms and initiatives affect activities that already are present.

### 3 Life Sciences – ett forsknings- och innovationsområde i förändring

#### 3.1 Uppdrag, syfte och metod

De stora förhoppningar som ofta har knutits till forskning och näringsliv inom livsvetenskaperna att ta fram nya läkemedel, förbättra vården och generera nya företag har enligt många bedömare inte tillräckligt hög grad infriats. En rad orsaker till detta har beskrivits i den internationella litteraturen och omfattar alltifrån förlegade affärsmodeller, över bristande samverkan mellan universitet och näringsliv till svaga incitament för unga läkare att bedriva klinisk forskning.<sup>2</sup>

Detta har också bidragit till att existerande modeller och organisationsformer för att främja forskning och innovation har omprövats. Tillväxtanalys har under våren 2012 studerat hur ett antal olika länder hanterar vissa forsknings- och innovationspolitiska aspekter kopplade till life science-sektorn. Fokus för projektet har till stor del legat på att beskriva de nationella insatsernas inriktning, syfte, finansiering och styrning. De länder som av Tillväxtanalys och Utbildningsdepartementet valdes ut för att studeras var *Storbritannien, Schweiz, Nederländerna, Kanada, USA, Indien och Japan*.

Varför är då analyser av dessa länder av intresse för Sverige och svenska aktörer? Ett viktigt skäl är att policykonkurrensen ökar när de olika länderna står inför likartade utmaningar och problem inom livsvetenskaperna. I Sverige, liksom i många av de studerade länderna, diskuteras hur forskningsresultat på bästa sätt kan leda till nya innovationer, tjänster och produkter samt till ett bättre samhälle. Translation, d.v.s. bland annat att föra över forskningsresultat till kliniska tillämpningar och produkter, har varit i fokus under flera år och har ökat i betydelse delvis till följd av de ökande kostnaderna och tidslinjerna för läkemedelsforskning och utveckling. Samtidigt är det kanske den kliniska forskningen som på senare tid diskuterats allra mest i Sverige med ett flertal utredningar och initiativ som ”Klinisk forskning - ett lyft för sjukvården”,<sup>3</sup> ”Delegationen för samverkan inom den klinisk forskning”<sup>4</sup> och utredningen om innovationsupphandling, Frågor om internationellt forsknings-, utbildnings- och innovationssamarbete och Sveriges konkurrenskraft är också aktuella.

<sup>2</sup> Pisano, G, 2006, *Science Business, Harvard Business Press Books* och IBM 2011, *Fade or Flourish? Rethinking the role of life sciences companies in the healthcare ecosystem. IBM Global Business Services. Executive Report*

<sup>3</sup> SOU2009:34, <http://www.regeringen.se/content/1/c6/12/56/78/e10dacba.pdf>

<sup>4</sup> N2007:04, [http://www.nll.se/upload/lg/region/\\_Inbjudningar/Del-klinisk\\_forskning\\_slutrapport.pdf](http://www.nll.se/upload/lg/region/_Inbjudningar/Del-klinisk_forskning_slutrapport.pdf)



### Varför är de studerade länderna intressanta för Sverige?

*Storbritannien* har en framträdande life science-sektor, ett sammanhållet vårdssystem för 60 miljoner invånare, stark akademisk forskning och ett intressant strategiskt förhållningssätt på nationell nivå. Det sistnämnda är delvis ett resultat av landets ekonomiska problem och budgetrestriktioner. Det dominerande motivet bakom de nya strategierna är att forsknings- och innovationsinvesteringarna ska ge bättre avkastning i produkter, tjänster och andra positiva samhällseffekter. I detta är viktiga komponenter en ambition att förbättra vårdsystemets innovationskraft och förhållandena för klinisk forskning och translation.

*Schweiz* är ett av världens starkaste forskningsländer (normaliserat till befolkning) och är dessutom i samma storleksordning som Sverige. Landet rankas högt i olika innovationsindex och har en mycket stark industriell bas inom life sciences, i synnerhet i Baselregionen där ca 900 life science-bolag finns representerade. Samtidigt finns utmaningar till följd av den federala strukturen och vad gäller klinisk forskning. Flera nytänkande initiativ för forskningsfinansiering inom strategiska områden föreligger liksom intressanta initiativ relaterade till kliniska prövningar och translation.

*Nederländerna* är också befolkningsmässigt i samma härad som Sverige och har genomfört flera reformer av intresse, bland annat vad gäller forskningsfinansieringsprinciper och samverkan. Landet pekade 2011 ut life sciences som en av nio identifierade ”toppsektorer” till vilka resurser ska riktas. Även i Nederländerna finns ett stort intresse för translation av forskning och intressanta samverkansformer mellan forskning, vård och utbildning.

I *Kanada* vars struktur är relativt heterogen till följd av landets uppdelning i provinser arbetar man för att harmonisera systemen för kliniska prövningar. Landet har nyligen publicerat en strategi för translation och klinisk forskning och det är tydligt att regeringen vill se en ökad direkt avkastning av de investeringar som görs i life science-forskning.

*USA* är fortfarande den dominerande forskningsnationen inom life sciences som till stor del påverkar den globala agendan och som det är viktigt att förhålla sig till. Samtidigt är landet extremt heterogent med varierande förhållanden och skiftande initiativ. Bland annat till följd av de ekonomiska problemen på federal nivå har USA i ökande grad börjat poängtera vikten av innovationer och bättre avkastning från den livsvetenskapliga forskningen. Samtidigt används innovationsbegreppet i USA på ett bredare sätt än vad som är vanligt i Sverige. Inom livsvetenskaperna har ett ”Bioeconomy Blueprint” formulerats med syftet att stärka innovationsförmågan hos olika aktörer. USA är det enda landet i studien där intervjuade hävdar att det kliniska forskningssystemet fungerar relativt väl.

*Japan* och *Indien* studerades också i projektet men på andra grundvalar än övriga länder. I dessa två länder har analysen enbart berört vissa specifika områden av intresse. Japan är en framstående forskningsnation och har identifierat Life Innovation som ett av tre breda strategiska och prioriterade områden. Samtidigt är ansträngningarna för att förbättra villkoren för läkemedelsutveckling och kliniska prövningar av speciellt intresse och det som behandlats i projektet. Indien är i detta sammanhang det land som i viss mån faller ur ramarna. Fokus för de ökande offentliga investeringarna är till stor del att resultaten ska komma den fattiga delen av befolkningen tillgodo så snabbt som möjligt. Till följd av detta uppvisar Indien vissa nyskapande translationsmetoder värda att studera. Det bör dock också noteras att näringslivets investeringar i life sciences har ökat mycket kraftigt i Indien på senare år.

Projektet har utförts genom en kombination av intervjuer med utvalda aktörer, deltagande i diskussioner och konferenser samt analyser av rapporter och andra relevanta texter. Landrapporterna över *USA, Kanada, Storbritannien, Nederländerna, Schweiz, Indien* och *Japan* beskriver relevanta skeenden i respektive land i mer detalj och har utgjort grund för den här föreliggande sammanfattande rapporten.

Rapporten diskuterar efter de inledande kapitlen först vissa systemreformer (kapitel 3) som utförs, planeras eller övervägs i utvalda länder för att därefter diskutera strategiska forskningssatsningar (kapitel 4.1) och initiativ för ökad translation (kapitel 4.2). I kapitel fem diskuteras klinisk forskning inklusive regulatoriska frågor kortfattat vilket följs av en avslutande diskussion.

## 4 Behov av systemreforming

I alla länder som beskrivs i denna rapport anses life science-forskning och innovation (FoI) vara viktig för att skapa samhällsnytta i såväl hälso- som tillväxtekonomiska termer.

I de nationella och internationella debatterna samt genom olika analyser har flera behovs- och problemområden relaterade till life science-forskning och innovation identifierats. Områdena varierar en del mellan de olika länderna men är ändå relativt likartade. Bland de problem som identifierats återfinns bland annat:

- för svag translation av biomedicinska forskningsresultat till kliniska tillämpningar och/eller produkter,
- för lite multi- och/eller tvärdisciplinärt samarbete,
- alltför svag interaktion mellan grundforskning, näringslivsinnovation, klinisk forskning, vård och utbildning,
- styr- och forskningsfinansieringssystem som inte i tillräcklig grad bidrar till att integrera olika verksamheter,
- svårigheter med att rekrytera patienter till den kliniska forskningen/kliniska prövningar,
- alltför komplicerade regelverk för läkemedelsutveckling, kliniska prövningar och klinisk forskning,
- accelererande kostnader för forskningen bland annat till följd av ett behov av avancerad och dyrbar ny teknologi,
- otillräckliga incitament för forskning inom vården,
- otillräckliga möjligheter för forskare att utföra nyskapande forskning med relativt hög risk,
- otillräcklig forskarmobilitet såväl geografiskt som mellan olika sorters organisationer (universitet, företag, institut m.m.),
- utmaningar som den mer internationaliserade världen innebär vad gäller samarbete, mobilitet, konkurrens och globala värdekedjor.

### 4.1 Systemtänkande eller "from silos to systems"

I samtliga de studerade länderna investeras avsevärda offentliga och privata resurser i life sciences och hälsofrämjande aktiviteter. *Storbritannien* har relativt nyligen (2011) presenterat en strategi för life sciences där industrin och vården till stor del är i fokus. Avsikten är att landet ska vara ett globalt centrum för life sciences där företag, forskare vårdpersonal och patienter förs samman. Detta ska åstadkommas genom att bygga ett sammanhållet ekosystem för livsvetenskaperna med goda förhållanden för näringsliv, vård och forskning. Ett uttalat syfte är att *Storbritannien* ska bli internationellt attraktivt för investeringar inom det biomedicinska området inklusive kliniska prövningar, och att life sciences ska bidra till den ekonomiska tillväxten.

Ett led i det brittiska strategiska arbetet var bildandet av ett speciellt Office for Life Sciences (OLS) inom Department for Business, Innovation and Skills (BIS) och man har in-

fört specifika mekanismer för samordningen av den kliniska och prekliniska forskningsfinansieringen och underliggande policies. Vissa likartade initiativ finns i bland annat *Kanada* och *Japan*. I de brittiska ansträngningarna ingår ett flertal komponenter inklusive:

- forskningsfinansieringsprogram för translation och inom strategiska forskningsområden,
- finansieringsprogram för att stimulera innovation inom life sciences,
- specifika initiativ för translation inklusive multidisciplinära institut,
- satsningar på klinisk forskning och innovation,
- olika incitamentsprogram för innovation inom vårdsektorn,
- riskkapitalsprogram, skatteincitament och andra ekonomiska incitament,
- utbildningssatsningar och program för att attrahera talanger internationellt,
- internationell marknadsföring av landet.

Vad gäller forskningsfinansiering försöker man i *Storbritannien* bland annat minska ”glappet” mellan de olika myndigheternas initiativ och aktiviteter. För ett antal år sedan föreslogs det att det Medicinska forskningsrådet (MRC) och vårdens forskningsorganisation (NIHR) skulle integreras med varandra. Det beslutades att istället hålla organisationerna separata. Detta anser bedömare troligen ha varit ett bra beslut till följd av att logiken bakom den explorativa forskningen å ena sidan och vårdens behov av utveckling å andra sidan kan vara svåra att kombinera inom en och samma myndighet. Grovt sett kan sägas att MRC finansierar forskning fram till fas 2 kliniska prövningar. Detta betyder att MRC finansierar både grundforskning och klinisk explorativ forskning vilket anses effektivt. NIHR har däremot ansvaret när det gäller de senare mycket kostnadskrävande kliniska prövningsfaserna. Detta medför att användningen av offentliga medel för sådana studier kan prövas mot vårdens behov av kunskap. Det anses också rimligt att resultaten från sådana prövningar snabbt ska kunna implementeras i vården om så är lämpligt och möjligt.

Ett annat exempel på en nationell strategi är amerikanska National Bioeconomy Blueprint<sup>5</sup> som President Obama annonserade 2011 och som nyligen publicerades. Fokus i strategin är till stor del på att adressera identifierade samhällsbehov och ”grand challenges” relaterade till hälsa och sjukvård, livsmedel, energiförsörjning och miljö. I princip är drivkraften att man sedan tidigare vet att biologisk forskning kan ge avsevärda positiva ekonomiska effekter (exempelvis gav det stora och världsomspännande Human Genome-projektet (HUGO) upphov till innovationer, arbetstillfällen och företag, se landrapport *USA*) och att man bättre vill ta vara på potentialen. Inom Blueprint-projektet ska bland behov identifieras och målsättningar formuleras för att möta hälsorelaterade utmaningar relaterade till följande områden:

- Investeringar i forskning och teknikutveckling.
- Translation från forskning till marknad.
- Regulatoriska hinder för läkemedelsutveckling.
- Utbildningssatsningar.
- Nya samarbetsformer där den federala staten kan fungera som katalysator.

<sup>5</sup> <http://www.whitehouse.gov/blog/2012/04/26/national-bioeconomy-blueprint-released>

Under den sista punkten nämns speciellt nya former av offentliga och privata samarbeten/partnerskap - en trend som är återkommande i denna rapport. En intressant reflektion är att Blueprint-projektet sannolikt ursprungligen var kontroversiellt då delar av det Republikanska partiet anser att staten inte ska vara involverad i näringslivsrelaterade aktiviteter. Även *Kanada* har nyligen publicerat en ny strategi, Strategy for Patient-Oriented Research (SPOR), som är fokuserad på translation. Avsikten med satsningen är att stärka organisatoriska, regulatoriska och finansiella aspekter av den kliniska forskningen och förbättra förhållandena för kliniska prövningarna. Strategin innehåller såväl nya medel som vissa omprioriteringar.

På amerikansk federal nivå är inte biomedicinsk grundforskning och klinisk forskning separerade i olika myndigheter utan ligger i båda fallen inom National Institutes of Health's (NIH) ansvarsområden. Samtidigt är det viktigt att vara medveten om att NIH består av 27 olika institut och centrubildningar vilka i de flesta fall tilldelas sin budget direkt av kongressen. Koordinationen mellan instituten sker av NIH centrala Office of the Director och också genom den s.k. Common Fund som används för olika former av strategiska satsningar där flera NIH-institut är inblandade. Således går, vid NIH, inte den dominerande skiljelinjen mellan grundforskning och kliniska forskningen utan mellan de olika instituten vilka i allmänhet fokuserar på något eller några forsknings- eller sjukdomsområden. Tilläggas bör att även om klinisk- och grundforskning inte direkt ställs emot varandra vid bedömningar så kan ett instituts ledning göra vissa omprioriteringar. NIH har åtskilliga samarbeten med NGO:s, näringslivet, universitet och andra myndigheter men poängterar ofta att majoriteten av vad de gör är långsiktig grundforskning (54 %, 2012<sup>6</sup>). Olika former av publikt-privata partnerskap har dock blivit vanligare. Intressant i sammanhanget är att det framför allt är grundforskningen som har ett starkt och brett politiskt stöd från båda partierna i kongressen.

*Schweiz* är av speciellt intresse till följd av framstående life science-forskning vid bland annat de federala universiteten; Eidgenössische Technische Hochschule (ETH Zürich) i Zürich och École Polytechnique Fédérale de Lausanne (EPFL, Lausanne) i kombination med betydelsefulla life science-kluster. I synnerhet Baselklustret där *Schweiz* äldsta universitet och cirka 900 life science-företag inklusive Novartis och Roche finns på plats är framgångsrikt. Klustret ansöker om mest life science-patent inom OECD (se landrapport *Schweiz*). Ingen schweizisk nationell övergripande strategi har kunnat identifieras men intressanta satsningar görs bland annat på translation och förstärkt samordning inom den kliniska forskningen. *Schweiz* gör också strategiska forskningssatsningar som exempelvis Systems X inom systembiologi. Programmet syftar bland annat till att stärka samarbetet mellan forskningsinstitut och universitet men även företag kan vara knutna till projektet som anses betydelsefullt för landet. I likhet med *USA* och *Kanada* så har *Schweiz* en federal struktur med de problem och utmaningar detta medför vad gäller exempelvis harmonisering av regelverk för kliniska prövningar och forskningssatsningar m.m. I samtliga dessa länder medför maktindelningen mellan den federala staten och delstaterna/provinserna/kantonerna vissa utmaningar vad gäller samordning av olika program och initiativ.

I såväl *Japan* som *Nederländerna* har regeringen identifierat life sciences som ett prioriterat område. I *Japan* har "Life Innovation" utsetts till en av hörnpelarna i den senaste nationella forskningsstrategin och i *Nederländerna* har life sciences identifierats som en offi-

<sup>6</sup> [http://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/FY13/FY2013\\_Overview.pdf](http://officeofbudget.od.nih.gov/pdfs/FY13/FY2013_Overview.pdf)

ciell ”toppsektor”. I *Nederländerna* har man, kopplat till toppsektorn livsvetenskaper, bildat en styrgrupp med uppgift att genomföra den s.k. toppsektorplanen (se landrapport *Nederländerna*). I samband med detta har ett relativt stort antal färdplaner inom prioriterade områden formulerats. Några exempel på berörda områden är molekylär diagnostik, regenerativ medicin och farmakoterapi. I *Japan* föreligger vissa problem i koordinationen av olika, för den kliniska forskningen och läkemedelsutvecklingen relevanta, myndigheters verksamhet vilket negativt påverkar förhållandena för verksamheten. Detta avses man åtgärda med olika koordinationsinitiativ.

## 5 Strategiska forskningsinvesteringar och translation

### 5.1 Strategiska forskningsinsatser

I stort sett alla länder som studerats här uppvisar någon form av strategiska forskningsinsatser. Dessa kan vara motiverade av samhälleliga behov, ett områdes potentiella ekonomiska effekter, av effektivitetsskäl eller av de vetenskapliga behoven. Strategiska forskningsinsatser kan se ut på många sätt och röra specifika vetenskaps- eller teknikområden (inklusive klinisk forskning eller/och forskningsinfrastruktur) men också vara inriktade på nya sätt att utföra forskning eller innovation. Initiativ för förbättrad translation finns i alla de studerade länderna och behandlas mer utförligt nedan och i landrapporterna. Investeringar i högteknologiska forskningsplattformar, databaser och molekylbibliotek förekommer bland annat i *USA*, *Storbritannien* och *Schweiz*. Exempel är bland annat NIH's olika molekylbibliotek och databaser, det nya Francis Crick-institutet i London och schweiziska Uniprot.<sup>7</sup> Ett generellt intryck är det finns en vilja att bättre tillgängliggöra experimentella resultat och annan information för att effektivisera och kvalitetssäkra offentligt finansierad forskning. Insatser på s.k. ”disruptive innovation”<sup>8</sup>, forskning med hög risk, och unga lovande forskares karriärer är inte ovanliga.

Speciella program finns bland annat i *USA*, *Schweiz* och *Storbritannien* inom områden som anses strategiska. Exempel finns bland annat inom individbaserad medicin<sup>9</sup>, regenerativ medicin, proteomik, syntetisk biologi, systembiologi och stamcells forskning. I *USA* där de federala aktörerna är många och det ibland krävs koordination mellan dem finns ett antal strategiska insatser som spänner över ett flertal myndigheter. Ett exempel här är National Nanotechnology Initiative (NNI) som involverar 25 olika federala myndigheter.<sup>10</sup> *Schweiz* har ett intressant finansieringssystem där nationella program kan skapas inom styrkeområden under begränsad tid. Aktuella exempel finns bland annat inom neurologi och genetik. Dessa program har ofta ett tvärvetenskapligt förhållningssätt och ska utgöra kraftsamlingar över kantongränserna. Ibland är såväl universitet som företag involverade i programmen.

Många av de strategiska forskningsprogrammen kan sägas vara drivna av en medvetenhet om att modern forskning är såväl kostnadskrävande, tekniskt komplicerad och kräver samverkan och utbyte mellan olika forskningsområden. Det är dock inte nödvändigtvis så att det alltid är staten som står bakom initiativen utan insatser görs också av stiftelser, universitet och företag eller i samarbete mellan olika organisationer. I flera länder finns gott om exempel på samarbeten mellan offentliga forskningsfinansiärer, stiftelser och företag. I *Storbritannien* samarbetar exempelvis AstraZeneca med det medicinska forskningsrådet (gemensam utlysning) och GlaxoSmithKline (GSK) med såväl Department of Health som andra organisationer. Amerikanska NIH har åtskilliga industriella samarbeten men poängterar att man inte gör samma saker som företagen. I *Nederländerna* finns ett flertal olika relevanta publikt-privata partnerskap inom livsvetenskaperna.

<sup>7</sup> Många av dessa och likartade initiativ har starka internationella kopplingar, intressenter och delägare.

<sup>8</sup> Innovationer eller ett innovationssätt som skapar en ny marknad genom att skapa nya värderingar och som med tiden tränger ut en existerande marknad. [http://en.wikipedia.org/wiki/Disruptive\\_innovation](http://en.wikipedia.org/wiki/Disruptive_innovation)

<sup>9</sup> I *Storbritannien* ”personalized medicine”, I *USA* ”personalized medicine”

<sup>10</sup> <http://www.nano.gov>

## 5.2 Exempel på initiativ att förbättra translation

Translation av life science-forskning är i fokus i så gott som alla länder. Translationsinitiativ i de olika länderna kan vara institutionella, ske genom finansieringsprogram eller genom att stimulera till samverkan eller samarbete. De kan dessutom ha huvudmän från såväl privat som offentlig sektor och visa på nya sätt att bedriva forskning och innovation. Nedan beskrivs flera exempel på initiativ för förbättrad translation vilka ofta innehåller komponenter som:

- ökad samverkan och utbyte mellan grundforskning, klinisk forskning, vård, utbildning och innovation,
- multi- och interdisciplinära initiativ,
- teknikplattformar för utveckling och tillhandahållandet av nya forskningsverktyg,
- specifika finansieringsinitiativ för translationell forskning,
- samarbeten mellan myndigheter, universitet, institut, välgörenhetsorganisationer,
- nya forsknings- och innovationssätt ibland med inslag av öppen innovation,

Sätten att förbättra translationen är flera och inkluderar bland annat initiativ där exempelvis forskningsråden, vårdsystemet och privata aktörer som stiftelser och företag samarbetar för att undvika att onödiga ”gap” uppstår. Detta kan exempelvis ske dels i gemensamma eller koordinerade forsknings- och innovationsfinansierande program eller genom att skapa nya institut.

Bland annat som en konsekvens av de höga kostnaderna och den långa tid som ofta krävs vid utvecklingen av nya läkemedel och terapier så har det på senare år uppkommit allt fler initiativ inom life science-området med drag av ”öppen innovation”<sup>11</sup> eller fritt tillgängliga data. Kopplingar kan dessutom finnas till områden där läkemedelsbolagen har svårt att nå lönsamhet (exempelvis antibiotikaresistens). Fenomenet är inte begränsat till translation utan förekommer även inom andra life science-relaterade områden. Samtidigt är trenden är sannolikt starkast på translationsområdet då samverkan och delning av data, verktyg och andra resurser är av stor betydelse. Open Innovation-liknande initiativ har länge förekommit inom IT-sektorn med exempelvis laboratorium med både universitet och företag som huvudmän.<sup>12</sup> På senare tid har dock flera stora läkemedelsföretag börjat dela med sig av en del experimentella resultat och även låta mindre företag och forskare få tillgång till tekniska resurser. Detta sker ibland i samarbeten med myndigheter men också tillsammans med vårdsystemet välgörenhetsorganisationer och universitet. Några relevanta exempel på initiativ för translation ges nedan.

### Francis Crick-institutet

Francis Crick-institutet<sup>13</sup> i London syftar till att främja nyskapande forskning, innovation och utbildning samt skapa avancerade teknikplattformar (bl.a. inom systembiologi, kemisk

<sup>11</sup> [http://openinnovation.berkeley.edu/what\\_is\\_oi.html](http://openinnovation.berkeley.edu/what_is_oi.html)

<sup>12</sup> <http://tillvaxtanalys.se/tua/export/sv/filer/publikationer-arkiv/itps/arbetsrapporter/2008/information-technology-in-the-united-states-environments-initiatives-and-trends-08.pdf>

<sup>13</sup> Förväntas öppnas 2015. <http://www.crick.ac.uk/the-institute>



biologi, stamceller och modellering) nödvändiga för modern biomedicinsk forskning. Institutet planeras arbeta med såväl den grundläggande förståelsen av de biologiska processer som underliggör ohälsa som sätt att förebygga och bota sjukdomar. Det bör innebära att verksamheten blir sant translationell. Institutets grundare och finansiärer inkluderar Medical Research Council (MRC), Cancer Research UK (CRUK), Wellcome Trust, University College London (UCL), Imperial College London och Kings College London. Totalt sett investerar dessa organisationer ca 650 miljoner GBP för att etablera institutet där grundforskare, kliniska forskare, läkare, IT-experter, ingenjörer och andra kommer att samarbeta. Den årliga budgeten bedöms bli ca 100 miljoner GBP efter att institutet öppnat 2015. Det mest intressanta med initiativet är kanske att det ska sammanföra experter från olika discipliner och skapa en multidisciplinär miljö. Viss infrastruktur kommer att finnas tillgänglig för institutet genom de ovan listade huvudintressenterna.

### Wellcome Trust Sanger Institute

Ett annat initiativ som är av intresse som och illustrerar hur forskningsinstitut arbetar med öppen tillgång till data är Wellcome Trust Sanger Institute som är ett samarbete mellan MRC och Wellcome Trust. Verksamheten är inriktad på genomisk forskning och institutet spelade en viktig roll under HUGO-projektet. Det som i detta sammanhang dock är av störst intresse är att forskningsresultat, experimentella data och verktyg i hög grad görs tillgängliga via institutets hemsida. Detta är i sig inte ovanligt och många universitet och andra organisationer arbetar på likartade sätt. I fallet Sanger-institutet är dock omfattningen ovanligt stor.

### Stevenage Bioscience Catalyst

Ett exempel som visar på hur företag samarbetar på nya sätt är det ”open innovation”-liknande Stevenage Bioscience Catalyst (SBC) i *Storbritannien*. SBC ligger på GlaxoSmithKlines (GSK) campus och avsikten är att ge mindre företag aktiva i bioteknologi-branchen tillgång till resurser som tidigare varit tillgängliga endast för ”Big Pharma”. Enligt den brittiska life science-strategin ska företagen ha möjlighet att samarbeta fritt trots att de ligger på GSK’s campus. Intressenter i initiativet som är nystartat är bland annat GSK, Wellcome Trust, BIS, TSB och East of England Development Agency (EEDA). Exemplet är ytterligare en illustration av den ökande förekomsten av samarbeten mellan offentliga aktörer, välgörenhetsorganisationer och företag.

### National Center for the Advancement of Translational Science

Ett annat initiativ som delvis är kontroversiellt är det nybildade NIH-centret National Center for the Advancement of Translational Science (NCATS) som ska bedriva forskning om hur ”pipelinen” för att utveckla nya terapier och läkemedel kan förbättras. NCATS bildades efter relativt mycket debatt och visst motstånd. Några av anledningarna till detta var att det bildades parallellt med att NIH som helhet fick en reducerad budget. Speciellt fokus för NCATS är på samarbete med olika aktörer från näringslivet, universitet och myndigheter (inklusive de regulatoriska myndigheterna) samt att identifiera hinder för translation. Verksamheten kommer att organiseras i ett antal olika fält inklusive sällsynta sjukdomar, nya och innovativa metoder för translation (exempelvis molekylbibliotek, bildbehandling, teknikplattformar och Cures Acceleration Network (CAN). CAN är en del av sjukvårdsreformen och syftar till att stärka utvecklingen av nya behandlingsformer för sjukdomar och syndrom där behovet är speciellt stort. Till skillnad från många andra delar av den amerikanska sjukvårdsreformen så åtnjuter CAN ett relativt brett politiskt stöd.

NIH's Clinical and Translational Science Awards (CTSA, se landrapport USA) kommer åtminstone till en början utgöra majoriteten av NCATS verksamhet. Det nya institutet kommer att samarbeta med bland annat FDA, Environmental Protection Agency (EPA) och näringslivet.

## Systems X

Deltagarna i det schweiziska initiativet för systembiologi, Systems X, består av nio universitet och tre forskningsinstitut. Det finns dock en ambition att även knyta företag till programmet, åtminstone indirekt. Avsikten är till stor del att stimulera till mer samarbeten mellan aktörerna och stärka ett område där *Schweiz* anses ha en stark internationell konkurrenssituation. System X åtnjuter ett federalt anslag om ca 760 miljoner kronor under perioden 2008-2011 men bygger också på att deltagarna medfinansierar olika delar av projektet.

## Centrumbildningar för translation

En övergripande trend för förbättrad translation är sammanförandet av grundforskning, klinisk forskning och vård. Stora samverkansinitiativ mellan klinisk forskning och grundforskning har prövats med gott resultat i bland annat *USA* och *Nederländerna* och ökar i antal även i andra länder. Några exempel är de universitetsmedicinska centrumen i *Nederländerna*, de olika Academic Health Science Centers (AHSC) och Biomedical Research Centres/Units i *Storbritannien* samt olika samverkansinitiativ i *Schweiz*.

En ytterligare faktor som ofta integreras i satsningarna för bättre translation och klinisk forskning är utbildningssatsningar. I allmänhet anses det fördelaktigt om utbildning på samtliga nivåer (grundutbildning, fortbildning och forskarutbildning) är i nära kontakt med forskningen. I vissa fall sker också en dialog med potentiella arbetsgivare inom näringslivet om relevansen av olika biologiska högskoleutbildningar. Externa parter som vetenskapliga organisationer används i vilka fall för att ackreditera högskoleutbildningar inom biologi och kemi.

### Universitetsmedicinska centrum

De åtta nederländska universitetsmedicinska centrumen (UMC, Se underlagsrapport landrapport om *Nederländerna*) är en intressant modell för samverkan. Utmärkande för dessa är närheten mellan klinisk vård, translationell forskning, innovation och utbildning. Såväl akademisk forskning som företag är ofta involverade. Centrumbildningarna kan vara mycket stora och exempelvis UMC Utrecht har ca 10000 personer anställda. Vidare samarbetar UMC's vad gäller dyrbar forskningsinfrastruktur där man kompletterar varandra.

## Databaser och tillgång till information

En relaterad trend av betydelse för forskning och innovation är uppbyggnaden av olika typer av databaser och register vilka ofta är fritt tillgängliga. Ibland utgör sådana databaser strategiska satsningar och kan behandla patientdata (anonymiserat), vara molekyl-databaser eller röra forskningsresultat. Ett exempel är de databaser som NIH tagit initiativ till och vilka exempelvis är kopplade till cancerforskningen. Idag har Sverige delvis ett försprång vad gäller patientregister men bland annat *Storbritannien* har ambitionen att bygga upp fler register och databaser och också bygga upp kohorter av frivilliga patienter och friska individer för kliniska studier vilka kan kallas in vid olika tillfällen.

## Delstaten Massachusetts och nyskapande forskningsinstitut

Massachusetts och i synnerhet Boston framstår som en extremt stark forsknings-, utbildnings- och innovationsregion som har samlat flera toppuniversitet med bra sjukhus, nyskapande forskningsinstitut, forskande företag och riskkapital (se vidare landrapporten om USA). Detta är också kombinerat med ett tydligt engagemang för life sciences från politisk nivå i delstaten som bland annat investerat i en life science-fond om ca 1 miljard USD. Närvaron av många olika aktörer har också medfört att Boston av många forskare ses som speciellt attraktivt.

I Boston finns flera enskilda multidisciplinära eller interdisciplinära institut av speciellt intresse. Dessa inkluderar bland annat David Koch Center for Integrated Cancer Research som är en del av MIT och som sammanför forskare med olika specialiseringar. Institutet samarbetar i relativt hög omfattning med industriella partners. Broad Institute och Whitehead Institute är andra organisationer inom life science-fältet som uppvisar nya metoder för forskning och innovation. Samtliga dessa initiativ kännetecknas av ett okonventionellt sammanförande av olika typer av forskning och utbildning. Det är inte ovanligt att exempelvis forskare vid Broad Institute också har en hemmainstitution vid MIT eller Harvard.

## Indiens speciella situation vad gäller translation

Indien har, med sin starka fokus på translation för att ge den fattiga befolkningen tillgång till kvalitativ sjukvård en särställning bland de länder som studerats under detta projekt. Landet har utvecklat flera intressanta och nyskapande metoder för translation som, även om de inte är direkt överförbara till den svenska verkligheten, ändå bör vara av intresse för svenska aktörer. Detta både som inspirationskälla för hur translation kan stimuleras och också med tanke på de ökande forsknings- och innovationssamarbetena mellan Indien och Sverige. Vid ett flertal universitet finns s.k. translationsceller och om ett projekt blir identifierat som ett viktigt translationellt projekt så kan det medföra tillskott av medel. Vidare bygger man upp ett nytt translationsinstitut med hjälp av MIT och Harvard och hämtar inspiration från dessa och andra utländska lärosäten.

## Finansiering av translationell forskning och innovation

Flera av länderna uppvisar specifika forskningsfinansieringsprogram som relaterar till translation och som ibland kan drivas av myndigheter, företag och välgörenhetsorganisationer tillsammans. Ibland är dessa inriktade på att binda ihop prekliniska forskningsaktiviteter med kliniska aktiviteter, att stimulera till samarbete mellan olika aktörer eller att överbrygga finansieringsgap i forsknings- och innovationsprocessen. Ett intressant initiativ är brittiska Biomedical Catalyst Fund som nyligen startade sin verksamhet (se landrapport om Storbritannien). Fonden avser att hjälpa små och medelstora företag samt akademiska forskare att utveckla lösningar inom hälsoområdet. Ett annat intressant exempel är det samarbete som skapats mellan AstraZeneca och det brittiska medicinska forskningsrådet (MRC) där AstraZeneca ger forskare tillgång till vissa av deras molekylära entiteter. Intressant är att det i flera länder verkar bli vanligare med flermyndighetsinitiativ för att koordinera aktiviteter inom områden som translation eller där exempelvis ett vetenskapsområde berör flera myndigheter och anses vara strategiskt viktigt. En intervjuad hävdade att det vore *oacceptabelt* om viktiga verksamhetsområden föll ”mellan stolarna” bara för att flera finansörer arbetar inom angränsande områden.

## 6 Klinisk forskning, innovation och prövningar

Klinisk forskning, innovation, och translation är tätt sammanflätade och initiativen för områdena överlappar därför. Således berör de flesta av de exempel på initiativ för translation som getts ovan eller som finns i denna rapports landrapporter, klinisk vård, forskning och innovation direkt. Detta då sådan verksamhet är en del av de translationella processerna. Klinisk forskning isolerat kan dock inte enskilt anses vara translationell.

Flera länder försöker att förbättra incitamenten för klinisk forskning och innovation i vården samt skapa en organisation som gynnar sådan verksamhet. Ett led i detta är bland annat att *Storbritannien*, delvis med *USA* som modell, skapat kliniska prövningsportföljer som drivs av det offentliga systemet och i vilka aktörer kan ansöka om att få sina prövningar inkluderade. I *USA* anser bedömare att det tidigare förelåg avsevärda problem inom klinisk forskning och innovation men att situation har förbättrats och idag är relativt god. En anledning anses vara olika storskaliga samverkansinitiativ som Academic Health Science Centers och satsningar på translationell medicin (se ovan samt landrapport *USA*). I *USA* är det dessutom inte ovanligt med universitetsmedicinska kliniker i direkt anslutning till universiteten vilket sannolikt utgör en positiv strukturell faktor. En ytterligare anledning är de nätverk för kliniska prövningar inom specifika områden (exempelvis cancer) som föreligger och som nu inspirerat till liknande initiativ i andra länder. I *Nederländerna* anses de tidigare nämnda universitetsmedicinska klinikerna (se ovan och landrapport *Nederländerna*) vara av stor betydelse för såväl klinisk forskning som translation. Även i *Schweiz* byggs det upp olika samarbetsinitiativ för att förbättra förhållandena för klinisk forskning och translation, inte minst kopplat till federala universitet som EPFL (se även landrapport *Schweiz*).

En relativt spridd uppfattning är att det finnas en kultur inom vården som inte tillräckligt främjar och premierar individers deltagande i forskning och innovation. Bland annat *Storbritannien* arbetar därför med att införa olika incitament för vårdpersonalens deltagande i forskning, skapa en innovationsfond för vården, skapa flera samverkansprojekt mellan preklinisk och klinisk forskning, ökad offentlig innovationsupphandling och krav på att nya standarder snabbt implementeras på kliniken (se landrapport *Storbritannien*).

### 6.1 Regulatoriska frågor

Regleringar för klinisk forskning, prövningar och läkemedelsutveckling är av mycket stor betydelse för att säkerställa att krav på etik, patientsäkerhet och miljösäkerhet uppfylls och att framtagna läkemedel och medicinskt-tekniska produkter har de avsedda effekterna. I flera länder anser dock bedömare från myndigheter, vårdsystem, näringsliv och akademisk forskning att regelverken och processerna som omgärdar klinisk forskning, prövningsverksamhet och läkemedelsutveckling är alltför komplicerade, tidskrävande och inte alltid tillräckligt väl avpassade till den associerade risken (med den aktuella produkten). Detta ses som hinder för effektiv forskning, innovation och för investeringar från utlandet vilka blivit allt viktigare i en mer globaliserad värld. En indikation på problematiken är att antalet ansökningar till amerikanska Food and Drug Administration (FDA) om godkännanden av nya läkemedel är vid ett 20-årslägsta (se landrapport *USA*). En ytterligare drivkraft för regulatoriska och stödjande reformer handlar om att accelerera framtagandet av läkemedel riktade mot patologiska tillstånd som kan vara samhällskritiska (exempelvis antibiotikaresistens), där enbart små patientgrupper berörs och där det är svårt för företagen att nå lönsamhet. Således är en vanligt förekommande åsikt att det finnas ett behov av regulatoriska

reformer på såväl nationell nivå som regionalt (cf. exempelvis Innovative Medicines Initiative<sup>14</sup> inom EU). I problematiken ingår att bibehålla de viktiga säkerhetskontrollerande funktionerna samtidigt som systemet reformeras för att bli effektivare, mindre komplicerat och bättre standardiserat än tidigare.

I tillägg till regulatoriska förändringar så arbetar många länder med att utveckla de system som både ställer krav på och agerar stödjande för företagen (i synnerhet små och medelstora företag) och forskningen. Stödet kan ske exempelvis genom rådgivning, offentliga nätverk för kliniska prövningar, offentliga prövningsportföljer och olika incitament inklusive accelererad behandling av ansökningar om godkännanden.

Länder som uppvisar dessa typer av utmaningar inkluderar bland annat *Storbritannien*, *Nederländerna*, *Kanada*, *Schweiz*, *USA* och *Japan* (se motsvarande landrapporter) vilka alla försöker möta problematiken proaktivt. Problemen är dock inte exakt identiska i alla länder och exempelvis *Japan* uppvisar ett relativt komplicerat och strikt regelverk för kliniska prövningar och godkännanden av nya produkter samt en heterogen myndighetsstruktur som inte alltid fungerar samordnat. Det görs därför, i *Japan*, avsevärda ansträngningar att skapa ett mer integrerat system medan det i *USA* och *Storbritannien* blir allt vanligare med olika initiativ för s.k. regulatorisk forskning (se nedan).

I bland allt *USA* används uttrycket ”Regulatory Science” vilket definieras som en tillämpad vetenskap för att ta fram nya verktyg, standarder och angreppssätt i akt och mening att utveckla säkra, effektiva och högkvalitativa läkemedel och terapier (se landrapport USA). Bland områden där åtgärder anses behövas för att förbättra situationen finns toxikologisk forskning, teknikutveckling, IT-system, kvalitetssäkring och effektivisering av kliniska prövningarna och läkemedelssäkerhet. Det i *USA* pågående programmet för att öka användandet av IT-system inom vården är här speciellt viktigt. För att utveckla den regulatoriska situationen samarbetar FDA ofta med såväl andra myndigheter som företag och universitet. Ofta använder man olika former av publikt-offentliga partnerskap där dock FDA ofta är en passiv partner.

Även i *Storbritannien* sker eller planeras olika åtgärder varav vissa är kopplade till den år 2011 publicerade offentliga life science-strategin (se landrapport Storbritannien). National Office for Clinical Research Infrastructure (NOCRI) är ett kontor inom NIHR som bland annat underlättar partnerskap mellan olika aktörer och som utvecklar modellkontrakt för klinisk forskning. Flera forum och såväl statliga som privata aktörer (inklusive akademierna) arbetar för att utveckla infrastruktur, koordination, utbildning och reglering av den kliniska forskningen för att förbättra kvalitet och kostnadseffektivitet. Den regulatoriska myndigheten Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) planerar en översyn av det nu gällande regelverket i ljuset av kommande utmaningar för exempelvis nya läkemedel avsedda för mer individbaserad medicinering (stratifiering). Health Research Authority inom NHS ska underlätta godkännanden och tillgång till personlig information relaterad till av hälsoforskning på ett etiskt sätt.

Även i andra länder som *Schweiz* planeras nya lagar för forskning på människor. Bland annat vill man skapa en enklare och snabbare ansökningsprocess där de olika instanser som ska yttra sig får göra detta parallellt istället för sekventiellt. *Nederländerna* liksom även *Kanada* lider idag av att tillståndsansökningarna och processerna inte är väl harmoniserade vilket man nu planerar att åtgärda så långt möjligt. Det land som dock i denna studie verkar ha mest problem är *Japan* där godkännandesystemet anses vara relativt långsamt och dess-

<sup>14</sup> <http://www.imi.europa.eu/#&panel1-3>

utom striktare än i andra länder. Detta har enligt japanska uppgifter medfört att tiden för ett godkännande av ett nytt läkemedel är längre än i *USA* eller *Europa*.

## 7 Avslutande diskussion

Life sciences är ett betydelsefullt område i samtliga de länder som Tillväxtanalys studerat och framhålls som centralt för den samhällseliga utvecklingen av tillväxtpolitiska, kunskaps- och hälsomässiga skäl. Samtidigt pågår en intensiv diskussion om att de investeringar som gjorts på området inte gett de förväntade effekterna i termer av nya företag, arbetstillfällen och hälsoeffekter. Bidragande orsaker, anses av de som intervjuats och i den internationella litteraturen<sup>15</sup> samt med vissa variationer mellan länderna, bestå i följande:

- att forskning och innovation inom life sciences blivit alltmer komplex och därmed mer tids- och resurskrävande,
- ett ökande behov av stora datamängder och dyrbar forskningsinfrastruktur,
- ett större behov av multi- och interdisciplinaritet,
- otillräckliga villkor för den kliniska forskningen,
- alltför svaga kopplingar mellan preklinisk och klinisk forskning och innovation,
- för svagt samarbete och samverkan mellan universitet, vård och näringsliv.

Det är slående hur stora likheter som finns i problemställningar och tillvägagångssätt mellan de olika länderna även om Indien, med sitt fokus på hälsoeffekter för den fattigare delen av befolkningen, i viss mån skiljer ut sig. Att life sciences och hälsa anses vara ett prioriterat område kan observeras både genom att studera budgetfördelningar i en för många länder pressad ekonomisk situation, och också då vissa länder (Japan och Nederländerna) direkt pekat ut livsvetenskaperna som ett centralt område bland annat av tillväxtpolitiska skäl.

En utmaning är emellertid hur offentliga investeringar i life science-forskning och innovation kan leda till samhällsnytta på såväl *kort* som *lång* sikt. Exempelvis i Storbritannien är man i den s.k. life science-strategin (2011) självkritisk och anser att landet inte tidigare fullt ut lyckats utnyttja den goda forskning, det vårdssystem och den infrastruktur som finns i landet. Vidare ställer den ökande internationella rörligheten av kapital, företag och specialister större krav på länderna att vara attraktiva för investeringar och individer.

Ovanstående och andra skäl har lett till vissa omprövningar och förändringar av politikens riktning, styrning och arbetsformer. Dessa kan grovt delas in i fyra områden: i) styrningsideologi, ii) nya institutionella former, iii) nya organisatoriska former och iv) experiment med nya policyinstrument.

De nya styrningsidealerna yttrar sig bland annat i en vilja att skapa mer sammanhängande ekosystem som arbetar för att undvika onödiga glapp mellan de forsknings- och innovationsfinansierande myndigheterna och för att, genom åtgärder relaterade till forskning, innovation, vård, kompetensförsörjning, näringspolitik och marknadsföring öka den totala samhällsnyttan. Det är tydligt att man i exempelvis Storbritannien anstränger sig mycket för att inte verksamhet ska falla mellan de forsknings- och innovationsfinansierande myn-

<sup>15</sup> Pisano, G, 2006, *Science Business*, Harvard Business Press Books och IBM 2011, *Fade or Flourish? Rethinking the role of life sciences companies in the healthcare ecosystem*. IBM Global Business Services. Executive Report.

digheternas ansvarsområden och att man därför inrättat gemensamma myndighetsöverskridande program. En tydlig trend i flera länder är att skapa mer sammanhängande initiativ för preklinisk och klinisk forskning och innovation.

Behovet av systemlösningar har inneburit att vissa nya institutionella former skapats, ofta i tillägg till de som förelåg sedan tidigare. Investeringar i dyrbar forskningsinfrastruktur och satsningar på prioriterade forskningsområden blir vanligare. I vissa fall kan infrastruktur-satsningar vara distribuerade över flera institutioner med avsikten att dessa ska samverka och att resurserna ska vara tillgängliga för alla inom systemet. I andra fall kan det vara fråga om resurser (exempelvis databaser) vilka går att nå över internet. Translationsinitiativ finns av många olika sorter men involverar ofta nya former av fysiska eller virtuella samarbeten och inter/multidisciplinaritet. Av vikt i sammanhanget är hur olika initiativ för translation påverkar grundforskningen och vården. Grundforskningen anses i allmänhet som avgörande för den långsiktiga utvecklingen och ett alltför stort fokus på translation anses av vissa bedömare kunna medföra risker för ett mer kortsiktigt agerande inom den samma.

Genomgången visar vidare på nya instrument för att öka innovationsförmågan. Exempelvis ökar antalet forsknings- och innovationssatsningar med inslag av s.k. ”öppen innovation”. Dessa omfattar exempelvis att företag delar med sig av resurser, öppen publicering, data-tillgång, gemensamma program eller anläggningar. Till detta kommer att antalet samarbeten mellan myndigheter, universitet, vårdsektorn, NGO:s och näringslivet ökar med gemensamma forskningsinstitut, delade resurser och forskningsfinansieringsprogram. Sådana samarbeten kan innehålla många komponenter inom forskning, innovation, vård och utbildning vilka ska befrukta varandra.

Förhållandena för den kliniska forskningen anses vara av stor betydelse i alla de studerade länderna. Åtgärder görs inte minst för att förbättra resurs- och stödsystemen för företag, universitet och andra organisationer som vill utföra forskning på människor. I detta ingår bland annat utveckling av kliniska forskningscentrum (bl.a. genom partnerskap mellan universitet och sjukhus), forsknings-, vård- och utbildningscentrum där expertis och resurser från olika discipliner sammanförs, nätverk för kliniska prövningar och olika incitament för forskning inom vården.

Inom de regulatoriska systemen samt inom stödsystemen för företagen anses det finnas behov av reformer för att underlätta, förenkla och accelerera skapandet av nya läkemedel, terapier, medicinskt-tekniska produkter och tjänster, samt för att stimulera klinisk forskning, prövningar och translation. En av anledningarna till detta är att flera av de studerade länderna under senare år sett ett minskande antal kliniska prövningar. Bland åtgärderna återfinns bland annat förenklingar av ansökningsförfaranden, rådgivning, standardisering och krav på att vårdssystemet blir en mer proaktiv beställare. Regulatorisk forskning för att stärka och accelerera den kliniska forskningen, läkemedelsutvecklingen och utvecklingen av medicintekniska produkter samtidigt som patientsäkerheten är säkerställd, blir allt vanligare och inte minst FDA är aktivt inom området. Vad gäller villkoren för den kliniska forskningen så anser viss internationell expertis att USA idag ha kommit längre i förbättringsarbetet än flera av de andra länderna.

Länderna prioriterar arbetet med att säkerställa kompetensförsörjningen till life science-relaterad forskning och innovation inom såväl offentlig som privat sektor. Återigen finns ett stort antal initiativ och man arbetar med att förbättra den inhemska kompetensförsörjningen genom utbildnings-satsningar och certifieringar av utbildningar (Storbritannien). Vidare marknadsför länderna sig själva som attraktiva att arbeta i. Detta relaterar också till



ansträngningarna att attrahera investeringar och etableringar till respektive land vilket görs på många sätt. Bland annat genom att peka på egen stark akademisk forskning, synergiefekter med inhemsk forskning, finansieringsprogram och andra incitament som exempelvis skatteavdrag för forskningsinvesteringar.

Sammanfattningsvis visar analysen på betydande omprövningar i de forsknings- och innovationspolitiska styrningsätten och arbetsformerna för life sciences. En slutsats från analyserna är att problembeskrivningarna och åtgärderna liknar varandra. När utmaningarna tenderar att se ut på samma sätt över geografiska gränser ökar policykonkurrensen och därmed behovet av att kontinuerligt identifiera och ta bort flaskhalsar, experimentera med arbets- och samarbetsformer samt vässa alla delar och aktörer i de livsvetenskapliga ekosystemen. Detta inte minst för att öka den internationella attraktionskraften.

**Tillväxtanalys, myndigheten för tillväxtpolitiska utvärderingar och analyser, är en gränsöverskridande organisation med 60 anställda. Huvudkontoret ligger i Östersund och vi har verksamhet i Stockholm, Brasilia, New Delhi, Peking, Tokyo och Washington D.C.**

**Tillväxtanalys ansvarar för tillväxtpolitiska utvärderingar, analyser och internationellt kontaktskapande och därigenom medverkar vi till:**

- stärkt svensk konkurrenskraft och skapande av förutsättningar för fler jobb i fler och växande företag
- utvecklingskraft i alla delar av landet med stärkt lokal och regional konkurrenskraft, hållbar tillväxt och hållbar regional utveckling

**Utgångspunkten är att forma en politik där tillväxt och hållbar utveckling går hand i hand. Huvuduppdraget preciseras i instruktionen och i regleringsbrevet. Där framgår bland annat att myndigheten ska:**

- arbeta med omvärldsbevakning och policyspaning och sprida kunskap om trender och tillväxtpolitik
- genomföra analyser och utvärderingar som bidrar till att riva tillväxthinder
- göra systemutvärderingar som underlättar prioritering och effektivisering av tillväxtpolitikens inriktning och utformning
- svara för produktion, utveckling och spridning av officiell statistik, fakta från databaser och tillgänglighetsanalyser
- tillhandahålla globala mötesplatser och främja internationellt kontaktskapande inom tillväxtpolitiken

#### **Svar Direkt:**

Här redovisar Tillväxtanalys de uppdrag myndigheten får i dialog med våra uppdragsgivare och som ska redovisas med kort varsel.

#### **Övriga serier:**

Rapportserien – Tillväxtanalys huvudsakliga kanal för publikationer.

Statistikserien – löpande statistikproduktion.

Working paper/PM – metodresonemang, delrapporter och underlagsrapporter är exempel på publikationer i serien.