



Dokumentnamn

Beslut

Beslutsdatum

2023-08-28

Diarienummer

Ö 42 - 2023/3.1

Klagande

Region Stockholm

Överklagat beslut

Etikprövningsmyndighetens beslut den 26 april 2023, dnr 2023-00446-01, se Bilaga

Projekttitel

ELEVATE, ett globalt, observationellt, longitudinellt, prospektivt register över patienter med akut hepatisk porfyri (AHP)

Saken

Prövning enligt lagen (2003:460) om etikprövning av forskning som avser människor (etikprövningslagen)

Överklagandenämndens beslut

Överklagandenämnden för etikprövning godkänner den forskning som avses i ansökan med villkor att forskningspersoninformationen ändras så att otillbörlig påtryckning tas bort.

Bakgrund

Akut hepatisk porfyri (AHP) är en familj av sällsynta ärftliga sjukdomar som orsakas av brist på enzymer som medverkar vid bildandet av det röda blodfärgämnet hem. I hela Europa uppskattas prevalensen av AHP till 1/100 000. Sjukdomen är dock mycket vanligare i Sverige och prevalensen av AHP, som är den vanligaste porfyriformen i Sverige, uppskattas till 10/100 000 (SoS 2016). Porfyriattacker utlöses ofta av yttre faktorer såsom läkemedel, stress, könshormoner, fasta eller infektioner. Attackerna karakteriseras av akuta symtom från buken i form av illamående, kräkningar och svår smärta. Man ser också symtom från nervsystemet och blodtrycket stiger. Långtidskomplikationer är högt blodtryck, njurskador, kronisk smärta och levercancer. Givlaari (givosiran; Alnylam Pharmaceuticals Inc., USA) är det första läkemedel som godkänts för att behandla och förebygga porfyriattacker. I Sverige är Givlaari indicerat för behandling av akut hepatisk porfyri (AHP) hos vuxna och ungdomar från 12 års ålder. Då resultat inte har rapporterats från längre uppföljning än ett år, har effekten på kroniska symtom av AHP inte kunnat utvärderas. För att förbättra bedömningen av säkerhetsprofilen, framför allt efter längre tids användning, har företaget ålagts att genomföra flera studier efter godkännandet (<https://www.lakemedelsverket.se>).

Målet med studien är att karakterisera den långsiktiga säkerheten och effekten av givosiran hos 150 givosiranbehandlade patienter med alla typer av AHP prospektivt, inkl. dem med nedsatt lever- och/eller njurfunktion, ungdomar 12–18 år, äldre (>65 år) samt gravida eller ammande kvinnor. Som

Postadress

Överklagandenämnden för etikprövning
c/o Vetenskapsrådet
Box 1035
101 38 Stockholm

Besöksadress

Hantverkargatan 11 B

Telefon

08-546 77 610 vxl

E-post

kansli@onep.se

Webbplats

www.onep.se



Dokumentnamn

Beslut

Beslutsdatum

2023-08-28

Diarienummer

Ö 42 - 2023/3.1

kontrollgrupp ska ett okänt antal obehandlade ingå. Inom ramen för studien ska även naturalförloppet och den kliniska monitoreringen av patienter som diagnostiserats med AHP beskrivas. Alla patienter ska följas i minst tre år. Tanken är att regelbundet överföra kodade data från 150 patienters medicinska journaler till en internationell databank. Alnylam Pharmaceuticals ska därefter sammanställa behandlingsresultaten. Information till forskningspersoner lämnas i samband med ordinarie läkarbesök. Samtycken inhämtas därefter, antingen vid läkarbesök eller telefonledes.

Etikprövningsmyndigheten begärde en komplettering av informations- och samtyckesblanketterna till forskningspersoner, utformade enligt anvisningarna i stödmallarna som finns på myndighetens hemsida. Ansökan avslogs med motiveringen att klaganden inte hade kompletterat forskningspersonsinformation i de avseenden som myndigheten efterfrågat och även efter kompletteringen hade informationen sådana brister att den inte kunde godkännas.

Klaganden anförde att Etikprövningsmyndigheten saknar stödmallar för vissa av de samtyckesformulär som krävs för studien och att man därför skapat formulär baserade på projektets studiemallar. Vilka delar som saknades efter kompletteringen var klaganden frågande till.

Överklagandenämnden för etikprövning begärde en komplettering i vilken informationen till forskningspersoner och tillhörande samtyckesblanketter, såväl för den aktuella studien som för framtida forskning, reviderats enligt de stödmallar som finns på Etikprövningsmyndighetens hemsida. Nämnden efterfrågade även en redogörelse för på vilket sätt de forskningspersoner som inte får Givlaari ska ingå i studien och informeras om den.

Skäl för beslutet

Studien utgör forskning som syftar till att samla in data om hur AHP utvecklas över tid, utan att ändra den givna vården som följer klinisk rutin. Tanken är att också att dokumentera den långsiktiga säkerheten och effekten av läkemedlet givosiran/Givlaari när det förskrivs i enlighet med rutinmässig vård. De forskningspersoner som inte får Givlaari informeras följaktligen på samma sätt som övriga forskningspersoner. Data som samlas in för studien är rimlig och välmotiverad. Klaganden har reviderat informationen till forskningspersoner, men i den information som avses för minderåriga finns en otillbörlig påtryckning ("Detta innebär att Alnylam Pharmaceuticals, Inc. tillhandahåller pengar till de sjukhus och läkare som arbetar med denna studie") som ska tas bort. Överklagandenämnden finner att projektets vetenskapliga värde är större än den risk för integritetsintrång som finns och att det efter den komplettering som inkommit kan godkännas med villkor att informationen till forskningspersoner revideras enligt ovanstående.

Överklagandenämndens beslut får enligt 37 § etikprövningslagen inte överklagas.



Dokumentnamn

Beslut

Beslutsdatum

2023-08-28

Diarienummer

Ö 42 - 2023/3.1

Detta beslut har fattats av Eva Lindeblad, Yvonne Lundberg Giwercman (föredragande), Kjell Asplund, Ingemar Engström, Sten-Åke Stenberg, Ulf Ekberg, och Camilla Lif. Vid den slutliga handläggningen har dessutom ersättarna Lars Dahlstedt, Gert Helgesson, Johan Fritzell, Johan Norell Bergendahl och Stina Holmlund Kelly samt kanslichefen Jörgen Svidén och administrativa sekreteraren Katarina Gate Lundgren deltagit.

På Överklagandenämndens vägnar

Eva Lindeblad
Ordförande