



Dokumentnamn

Beslut

Beslutsdatum

2026-01-12

Diarienummer

3.1-2025-075

Klagande

Karolinska Institutet

Överklagat beslut

Etikprövningsmyndighetens beslut den 26 november, dnr 2025-06246-01, se Bilaga

Projekttitel

CNS-engagemang vid Langerhans cellhistiocytos

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.

Bakgrund

Ansökan gäller ett projekt rörande sjukdomen Langerhans cellhistiocytos (LCH) som är en form av inflammatorisk myeloid dysplasi som kan drabba barn och ungdomar. Förekomsten av sjukdomen varierar betydligt mellan länder. Högst förekomst i världen har rapporterats i en studie från Sverige (2008) där incidensen befanns vara 8,9/100 000 barn < 15 år per år.

Orsaken till sjukdomen är inte fullständigt känd men man vet att drygt hälften av barnen har en mutation i onkgenen BRAF V600E. Sjukdomen var tidigare potentiellt dödlig men efter introduktionen av biologisk behandling med MAPK-hämmare har dödligheten närmast sig noll.

Sjukdomen manifesterar sig i första hand i skelett och hud men ca 40 % får också allvarigare bestående följdverkningar, vanligen av endokrin eller neurologisk art. Cirka 10 % av barnen får progredierande neurodegenerativa komplikationer som kan ge såväl kognitiva som motoriska problem (ND-LCH). Det är inte fullständigt känt vilka barn som drabbas av dessa svåra komplikationer men engagemang i ansiktsskelett och skallbas ökar risken. Det är i dagsläget inte känt vilken behandlingsform som bäst motverkar uppkomsten av de neurodegenerativa komplikationerna.

Det övergripande syftet med det nu aktuella projektet är i första hand att skapa kunskap för att förebygga och behandla ND-LCH, i andra hand att förbättra screening och utvärdering av ND-LCH och i tredje hand att förbättra det internationella samarbetet kring ND-LCH.

Avsikten är att bedriva ett internationellt projekt med deltagande från 10-14 europeiska länder där insamling av data kommer att ske på ett enhetligt sätt. Ansvarig för projektet (PI) kommer från Sverige och databasen kommer att etableras på Karolinska Institutet. Målsättningen är att inkludera barn som insjuknar i LCH under 5 års tid samt att följa sjukdomen under 10 år, vilket innebär att projektet kommer att pågå till och med år 2040. Man bedömer att ca 350 barn kan komma att inkluderas i projektet.

Postadress

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

Besöksadress

Hantverkargatan 11 B

Telefon

08-546 44 000 vxl

E-post

kansli@onep.se

Webbplats

www.onep.se

Dokumentnamn

Beslut

Beslutsdatum

2025-09-29

Diarienummer

3.1-2025-075

De huvudsakliga vetenskapliga frågeställningarna är tre till antalet. För det första önskar man studera vilken behandling som ger minst risk för utvecklingen av ND-LCH, för det andra vilken behandling som ger bäst resultat vid ND-LCH och för det tredje vilken metod för screening och tidig upptäckt som bäst monitorerar uppkomsten av ND-LCH.

I databasen samlas enhetliga data som i sin helhet är hämtade från ordinarie journalmaterial. I projektet vidtas inga åtgärder andra än de som ingår i ordinarie behandling och vårdprogram. All kommunikation med barnen och deras vårdnadshavare sker genom ordinarie läkare. Alla data i databasen kommer att vara pseudonymiserade.

Etikprövningsmyndigheten inleder sitt första beslut med att erinra om att projekt som prövas enligt etikprövningslagen ska vara baserade på avgränsade och preciserade frågeställningar. Vidare får inte fler uppgifter än vad som krävs för att uppnå förväntade resultat samlas in inom projektets ram. Slutligen anges att myndigheten inte kan godkänna ansökan som enbart avser etablerandet av en forskningsinfrastruktur som grund för framtida projekt. Insamling av data som inte är knutet till ett specifikt forskningsprojekt utgör inte i sig forskning och kan därför inte få något godkännande.

Etikprövningsmyndigheten bedömer ansökan vara alltför övergripande och begär tydligare skrivningar om syftet med projektet samt att de vetenskapliga frågeställningarna preciseras bättre.

Klaganden inkom därefter med en ansökan som kompletterats med mer utvecklade vetenskapliga frågeställningar samt tydligare formuleringar av syftet med projektet, särskilt i forskningspersonsinformation.

Etikprövningsmyndigheten avvisar ansökan med hänvisning till avsaknad av en tydlig forskningsfråga. Myndigheten anser att det alltför rör sig om en ansökan om att bygga en databas för framtida forskning och inte ett avgränsat forskningsprojekt vilket lagen kräver.

Klaganden menar å andra sidan att det finns en tydlig forskningsfråga som i överklagandet formuleras på följande sätt; Hur kan man bäst förebygga och behandla neurodegeneration (hjärnsönderfall) vid Langerhans cellhystiocytos (ND-LCH) och hur bör detta tragiska förlopp bäst följas i klinisk rutinverksamhet?

Skäl för beslutet

Av 6 § etikprövningslagen framgår att "ett godkännande ska avse ett visst projekt eller en på något liknande sätt bestämd forskning". I lagens förarbeten (prop. 2002/03:50, s. 195) anges följande: "Ett godkännande ska avse ett visst projekt eller en del av ett projekt eller på annat sätt avgränsad forskning. Ett projekt är oftast avgränsat med avseende på den vetenskapliga frågeställningen, antalet forskningspersoner som ska delta, forskningsledningen, antalet forskare och annan personal som ska ingå i projektet, finansiering och budgetering osv. Den forskning som ska etikprövas måste vara avgränsad i någon mening för att kunna godkännas vid etikprövningen. Några generella,



Dokumentnamn

Beslut

Beslutsdatum

2025-09-29

Diarienummer

3.1-2025-075

principiella godkännanden till att under oöverskådlig framtid få utföra forskning på ett visst material, inom ett visst område eller dylikt kan inte lämnas".

Överklagandenämnden bedömer att föreliggande ansökan handlar om en viss bestämd forskning vad avser syfte och vetenskaplig frågeställning, nämligen hur man bäst förebygger och behandlar ND-LCH.

Överklagandenämnden för etikprovning godkänner den forskning som avses i ansökan.

Överklagandenämndens beslut får enligt 37 § etikprovningsslagen inte överklagas.

Detta beslut har fattats av Anita Linder, Malin Celander, Greger Lindberg, Ingemar Engström (föredragande), Sten-Åke Stenberg, Ulf Ekberg och Mia Nilson. Vid den slutliga handläggningen har dessutom ersättarna Erik Brattgård, Gert Helgesson, Maria Eriksson Baaz, Elisabeth Wärnberg Gerdin och Johan Norell Bergendahl samt kanslichefen Jörgen Svidén och administrativa sekreteraren Katarina Gate Lundgren närvarat.

På Överklagandenämndens vägnar

Anita Linder
Ordförande