

Dokumentnamn

**Beslut**

Beslutsdatum

2026-03-23

Diarienummer

3.1-2026-023

## Klagande

Region Skåne

## Överklagat beslut

Etikprövningsmyndighetens beslut den 28 januari 2026, dnr 2025-07104-01, se Bilaga

## Projekttitel

PNH-registret hos intressegruppen International PNH Interest Group

## 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

Paroxysmal nocturn hemoglobinuri (PNH) är en ovanlig förvärvad sjukdom med hemolytisk anemi. Den förekommer med en incidens i världen på mellan 3,5-5,7 fall per miljon individer. Medianåldern vid diagnos är 30-40 års-åldern, samma för män och kvinnor, men även barn kan drabbas. Sjukdomen orsakas av olika förvärvade somatiska mutationer i phosphatidylinositol glycan class A, PIGA, -genen. Genen är belägen på X-kromosomen (Xp22.2). PNH uppkommer efter den klonala expansionen av röda blodkroppsceller som muterat i benmärgen. Mutationen leder till att drabbade celler får sämre komplementreglerande bindning på cellen, vilket ger hemolys samt även påverkan på andra sorters blodceller. Proportionen av drabbade celler avgör sjukdomens svårighetsgrad. Hemolysen kan bland annat triggas av infektioner och patienten får paroxysmal hemolys, vilket tydligast ger sig till känna som svart morgonurin. Sjukdomen är även associerad med venösa och arteriella trombosor och ökad risk för leukemi och aplastisk anemi. Andra symptom är huvudvärk, feber, glattmuskelpåverkan till exempel i form av sväljningssvårigheter, buk och ryggsmärtor, erektil dysfunktion, lunghypertension, njurinsufficiens och trötthet. Medianöverlevnaden är 10 år efter diagnos, men om man överlever längre ökar även chans för spontanläkning. En variant av sjukdomen orsakas av konstitutionella och somatiska mutationer i PIGT-genen. Behandlingen numera är monoklonala antikroppar som hämmar komplement C5 aktivering, ex ecukizumab eller ravulizumab, som är godkända i Europa sedan 2007 respektive 2019.

Den internationella PNH Interest Group (IPIG) är en icke-vinstdrivande organisation som består av PNH-expert, sjuksköterskor, patientföreträdare och personer som är engagerade i PNH-forskningen. Gruppen söker att optimera behandlingen av PNH och att stötta framtida forskning och tillgång till behandlingen för de som drabbats. Denna intresseorganisation önskar nu skapa en

---

### 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

2026-03-23

Diarienummer

3.1-2026-023

internationell databas för kliniska data som insamlas under patienternas kliniska uppföljning. Studien är företagsinitierad och företagsfinansierad, bland annat av Astra Zeneca, pga. deras långsiktiga satsning på forskning om behandlingen av PNH. Studien är en observationsstudie med dels retrospektiva data om sjukdomen samt dels en prospektiv uppföljning under en femårsperiod, med eventuell förlängning och i så fall efter ny prövning och forskningspersonsinformation. Förutom kliniska data kan personerna besvara elektroniska frågeformulär om livskvalitet och symptom varje halvår, ca 30 minuters svarstid. Studien är rent observationell och målet är att samla in data om 2 000 forskningspersoner från ca 20 olika länder. Från Sverige kan 10 personer rekryteras. Syftet med insamlande av dessa kliniska uppgifter är att få svar på både naturalförlopp av sjukdomen samt mönster för behandling och behandlingens resultat. Man önskar även kunna bedöma säkerheten av de olika behandlingarna, patienternas livskvalitet och vilken sjukvård som nyttjas. Förutom huvudregistret kommer uppgifter läggas in från tidigare läkemedelsstudier i olika "silos" (per tidigare studiedelar), f.n. tre olika. Resultat av studien ska publiceras på olika sätt inklusive på lämpligt språk för lekmän. Forskningspersoner får information och måste samtycka till deltagande, informationer finns för patienter, föräldrar, olika åldersgrupper samt för gravida eller partners avseende insamlande av data för eventuella graviditeter. Behandlande läkare samlar in och registrerar data, alla data registreras kodat och kodnyckel sparas lokalt. Klaganden bedömer att risk-nytta förhållandet är positivt för PNH-gruppen eftersom detta kan fylla ett stort kunskapsgap då större studier saknas medan risken är liten även för integritetsintrång på det sätt studien är planerad.

Etikprövningsmyndigheten beslutade att inhämta komplettering avseende begränsning i tid samt klagöranden i forskningspersonsinformationerna avseende att delta i avgränsat projekt och inte enbart i ett register, justera en formulering om etikprövning, ta bort "inbjudan" till studien samt beskriva hur kodningen går till samt slutligen att det även i samtycket ska framgå att forskningsprojektet är avgränsat.

Efter en komplettering med reviderade forskningspersonsinformationer avvisar Etikprövningsmyndigheten ansökan med motiveringen att det inte tillräckligt tydligt i informationerna framgår att det är ett avgränsat projekt. Därav innebär ansökan enbart uppbyggande av ett register och kan inte prövas enligt lagen.

I överklagan beskrivs ånyo vilka analyser som ska göras av data som insamlas under en femårstid och hur dessa resultat ska spridas. Klaganden inlämnar även ytterligare reviderade informationer till deltagare om syftet med studien och hur resultaten ska spridas i olika sammanhang.

### **Skäl för beslutet**

Denna ansökan gäller en stor multinationell observationsstudie avseende en mycket ovanlig förvärvad sjukdom. Klaganden önskar rekrytera 2 000 deltagare från ca 20 länder, varav 10 i Sverige, och samla in data om sjukdom, behandling, säkerhet av behandling och sjukvårdskonsumtion under en begränsad period. I både ansökan samt i reviderade forskningspersonsinformationer och samtycken framgår att projektet är avgränsat avseende tid och antal deltagare samt med tydliga



Dokumentnamn

**Beslut**

Beslutsdatum

2026-03-23

Diarienummer

3.1-2026-023

syften och plan för hur resultaten ska spridas och nyttjas. Ansökan gäller därför inte enbart uppbyggnad av ett register utan utgör ett avgränsat projekt som avses enligt etikprövningslagen. Nyttan är betydande för att öka kunskapen om denna sällsynta sjukdom medan risken i form av integritetsintrång är låg såsom studien är planerad. Överklagandenämnden för etikprövning godkänner därför den forskning som avses i ansökan.

Överklagandenämndens beslut får enligt 37 § etikprövningslagen inte överklagas.

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

På Överklagandenämndens vägnar

Anita Linder  
Ordförande