

Dialogmöte om samverkan kring cell- och genterapier 26 mars 2025

Varmt välkomna önskar
Barncancerfonden tillsammans
med föreningen ATMP Sweden
och Nationell samordnings-
funktion för ATMP.



Innehåll

- Välkomna och syftet med mötet
- Presentationsrunda
- Patienternas behov och patientföreningarnas roll
- Vad är cell och genterapier (ATMP), och hur ser utvecklingen i Sverige ut?
- Vad är ATMP Sweden?
- Vilka utmaningar finns för att nya cell- och genterapier som möter patienternas behov ska nå patienterna?
- Avslutande diskussion: vad kan vi göra tillsammans?

Patienternas behov

Nya, skonsamma och botande läkemedel:

Vi känner till ~10 000 – 12 000 mänskliga sjukdomar

- Av dessa har ~5 000 – 6 000 en genetisk orsak (många monogena)
- Endast ~500 – 600 sjukdomar har en FDA/EMA-godkänd behandling
- Hittills 27 godkända behandlingar i Europa baserade på gener, celler eller vävnad (ATMPs, febr 2025)



CANCER

Högrisk neuroblastom

- Ett barn som behandlades vid 4-års ålder med CAR T-celler när alla behandlingsalternativ uttömts lever än idag, 18 år senare
- Fas 1-studie som pågick mellan 2004 och 2009
- Hon är troligtvis den som överlevt sin cancer allra längst efter CAR-T-cellsterapi
- Kvinnan har även blivit mamma till två friska barn



Dagens Medicin
17 februari 2025

Acute lymphoblastic leukemia (ALL)

- Emily Whitehead, diagnos i maj 2010 vid fem års ålder
- Normalt 85% - 90% överlevnad, men efter två återfall, resistent sjukdom
- Experimentell behandling med CAR T-celler i en fas I klinisk prövning vid Children's Hospital of Philadelphia
- I april 2012 blev Emily en av de första barncancer-patienter som fick CAR T-cellsterapi.
- Hon är idag cancerfri

Spinal Muskelatrofi (SMA)

- Genetisk neuromuskulär sjukdom som orsakar tilltagande muskelsvaghet
- Den allvarligaste formen (SMA typ 1) leder ofta till döden inom de första levnadsåren
- Genterapin Zolgensma kan bromsa sjukdomsförloppet och förbättra livskvaliteten för drabbade



Patientföreningarnas roll

Patientförening som aktör:

- Kunskap om hur man som patient/patientorganisation kan delta, och stötta, forskning kring nya avancerade läkemedel
- Skilja seriösa aktörer och godkända läkemedel under utveckling – från oseriösa aktörer som utnyttjar svårt sjuka patienter och deras vårdare.
- Stötta sina medlemmar och påverka beslutsfattare.

Icke godkända läkemedel för avancerad terapi utgör allvarliga hälsorisker

Publicerad: 14 mars 2025

Senast uppdaterad: 14 mars 2025

Kategori: Nyhet



Precis som alla läkemedel måste även ATMP godkännas i EU för att säkerställa att patienter får en tillräcklig nytta av dem och att de har bevisats vara tillräckligt säkra. EU-lag kräver att läkemedelsutvecklare genomför väl utformade kliniska prövningar, som kan utvärdera ett läkemedels fördelar och risker.

Varför engagerar Barncancerfonden sig i föreningen ATMP Sweden?

- Barncancer är inte en diagnos utan många sällsynta varav ett antal fortfarande helt saknar effektiv behandling.
- 85 procent överlever men med skador, sena komplikationer orsakade av behandlingen.
- Barncancerfonden vill vara en stark röst som strategiskt driver utveckling och förändring för att nå våra mål om ökad överlevnad och förbättrad livskvalitet för barn som drabbas av cancer.





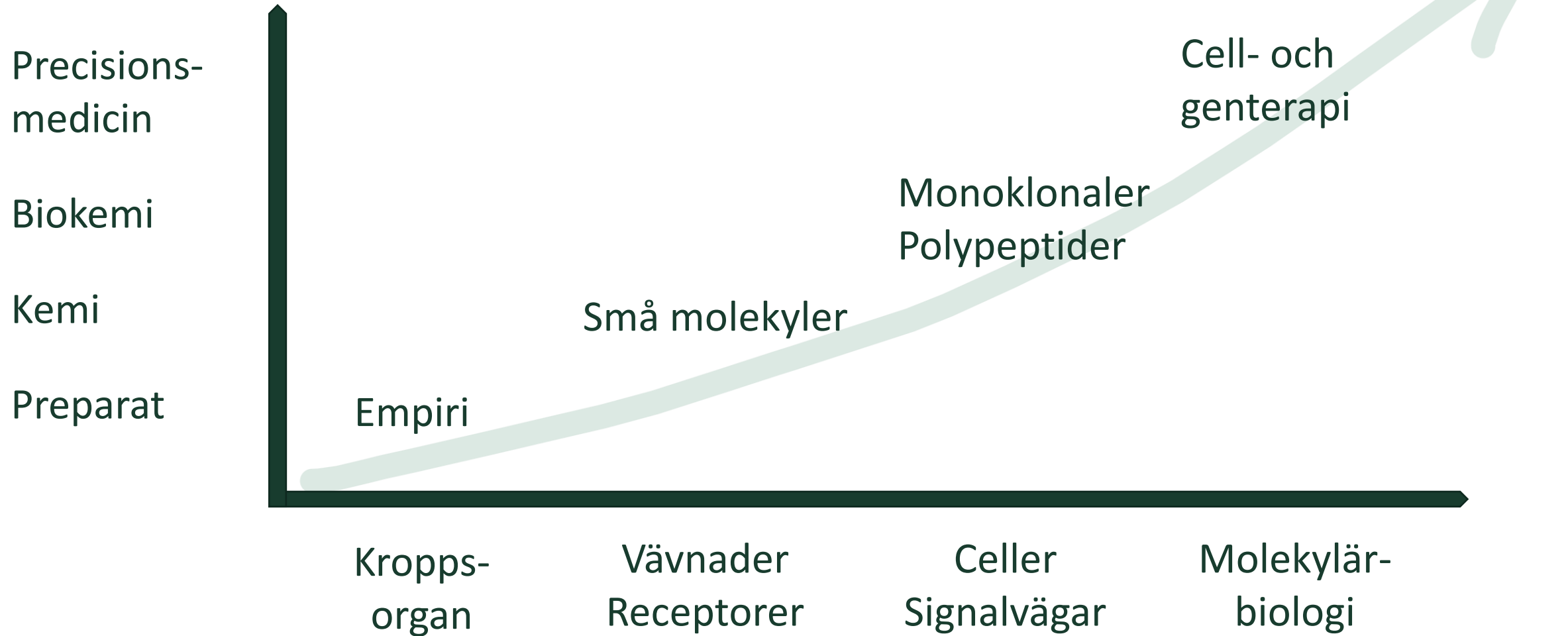
De forskande
läkemedelsföretagen

Vad är ATMP och hur ser utvecklingen i Sverige ut?

Dag Larsson

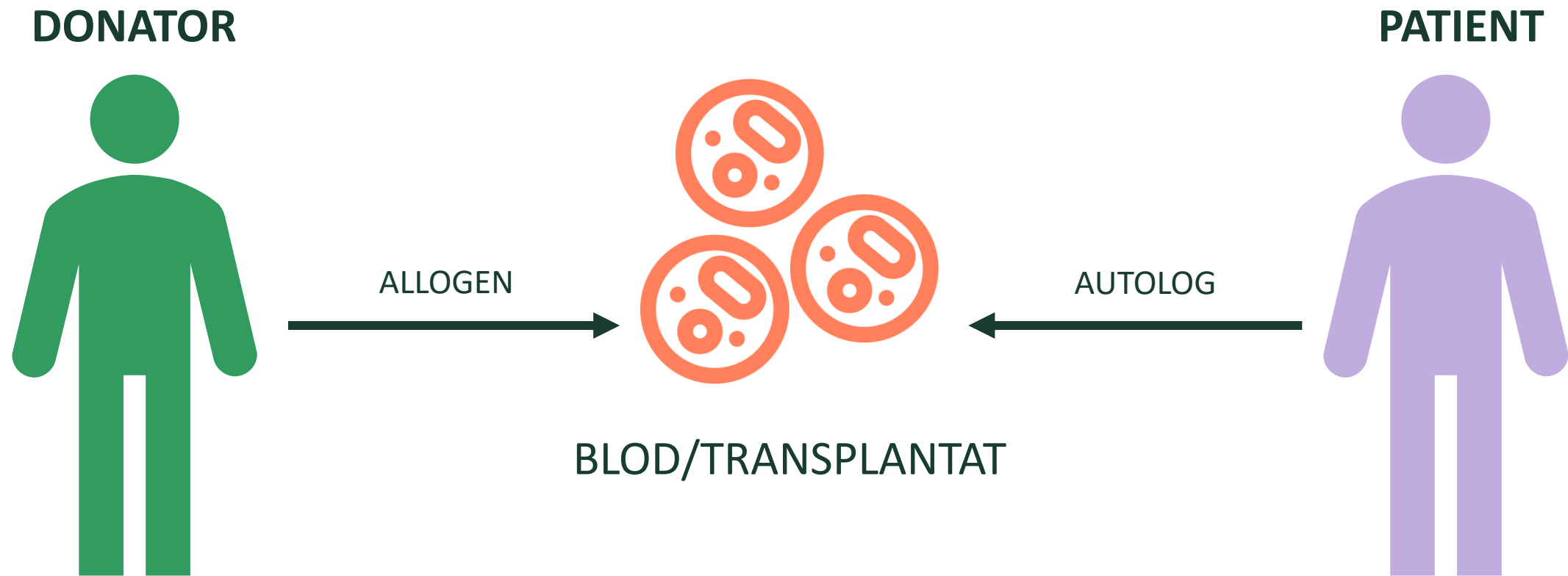
2025-03-26 - patientperspektiven

Farmakologins utveckling följer vår alltmer fördjupade kunskap om hur sjukdom uppstår

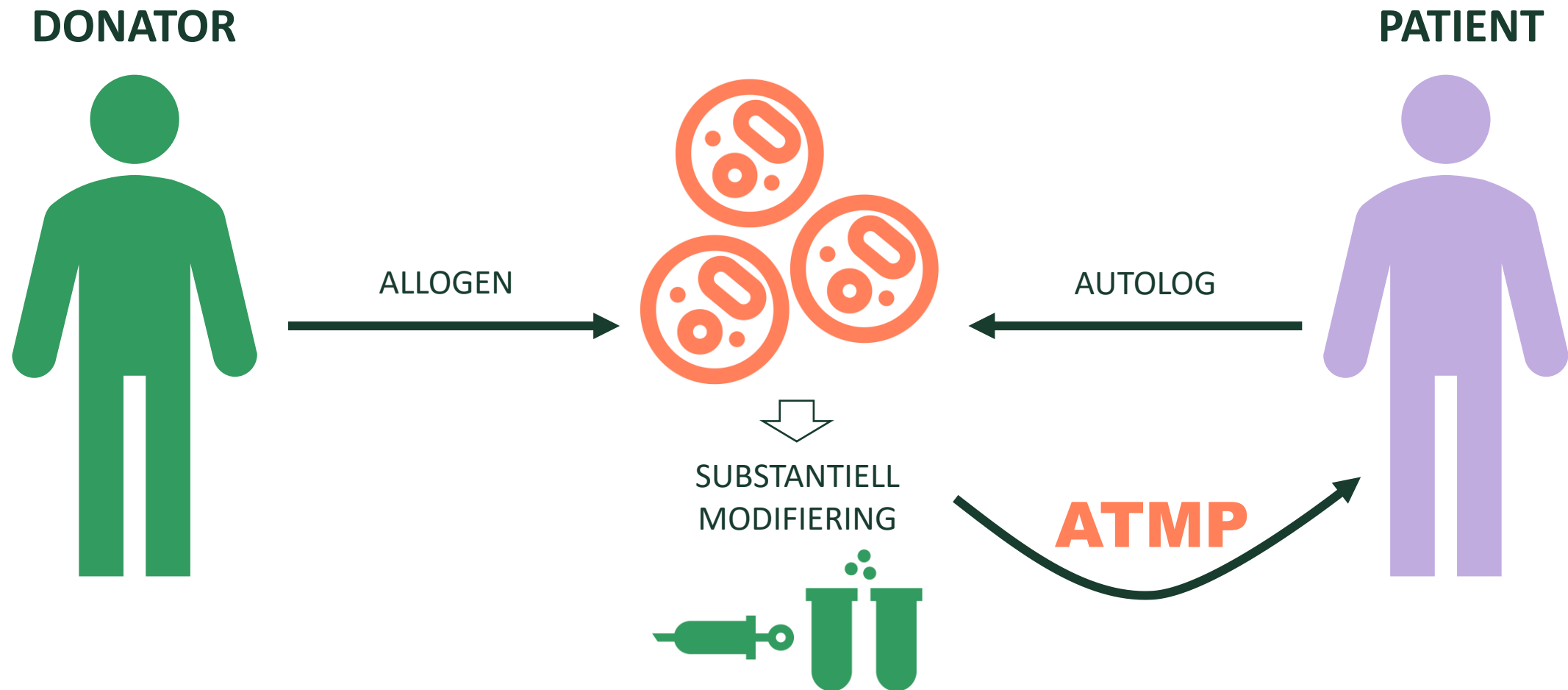




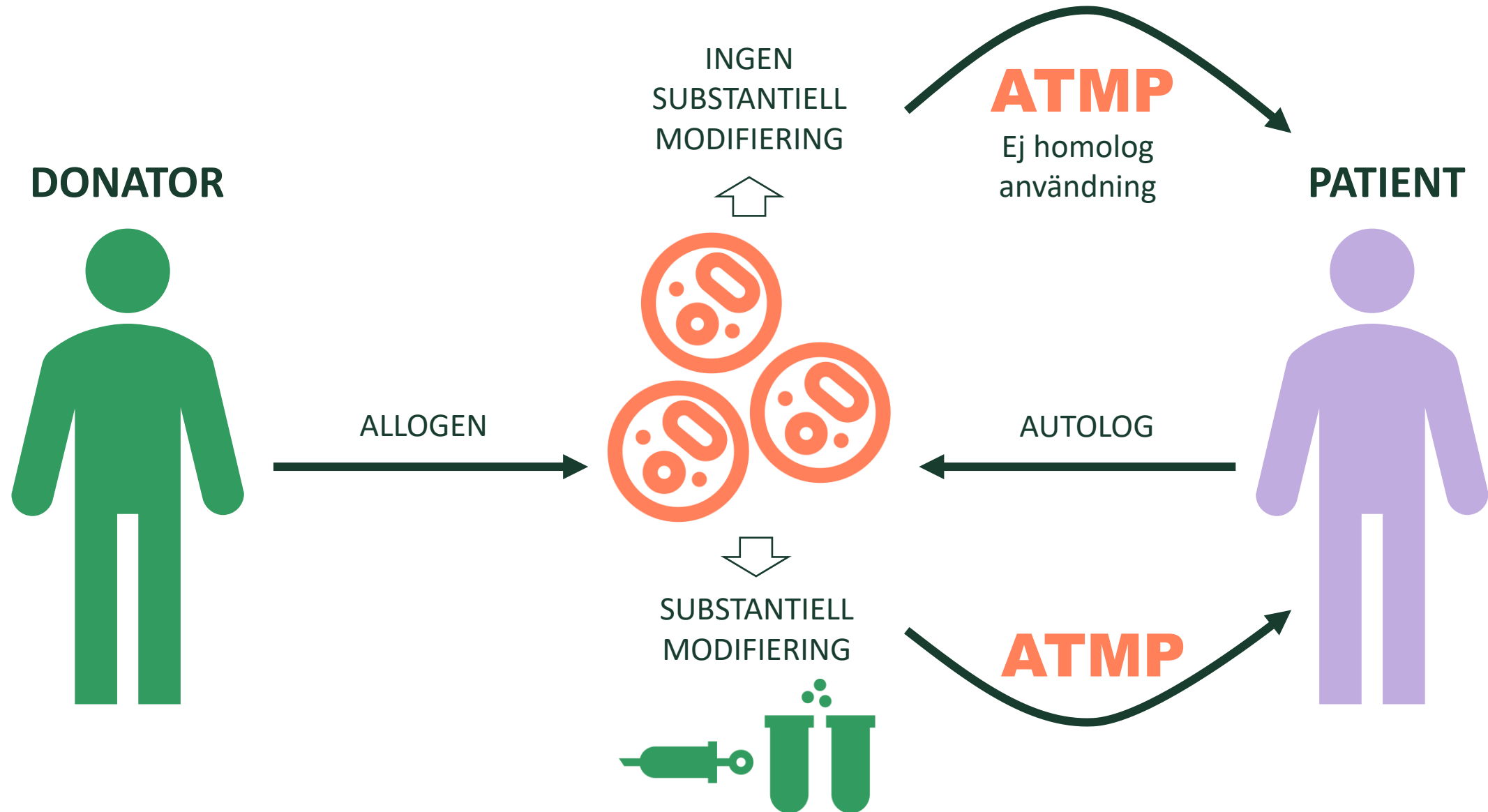
VÄVNAD/CELLER/GENER



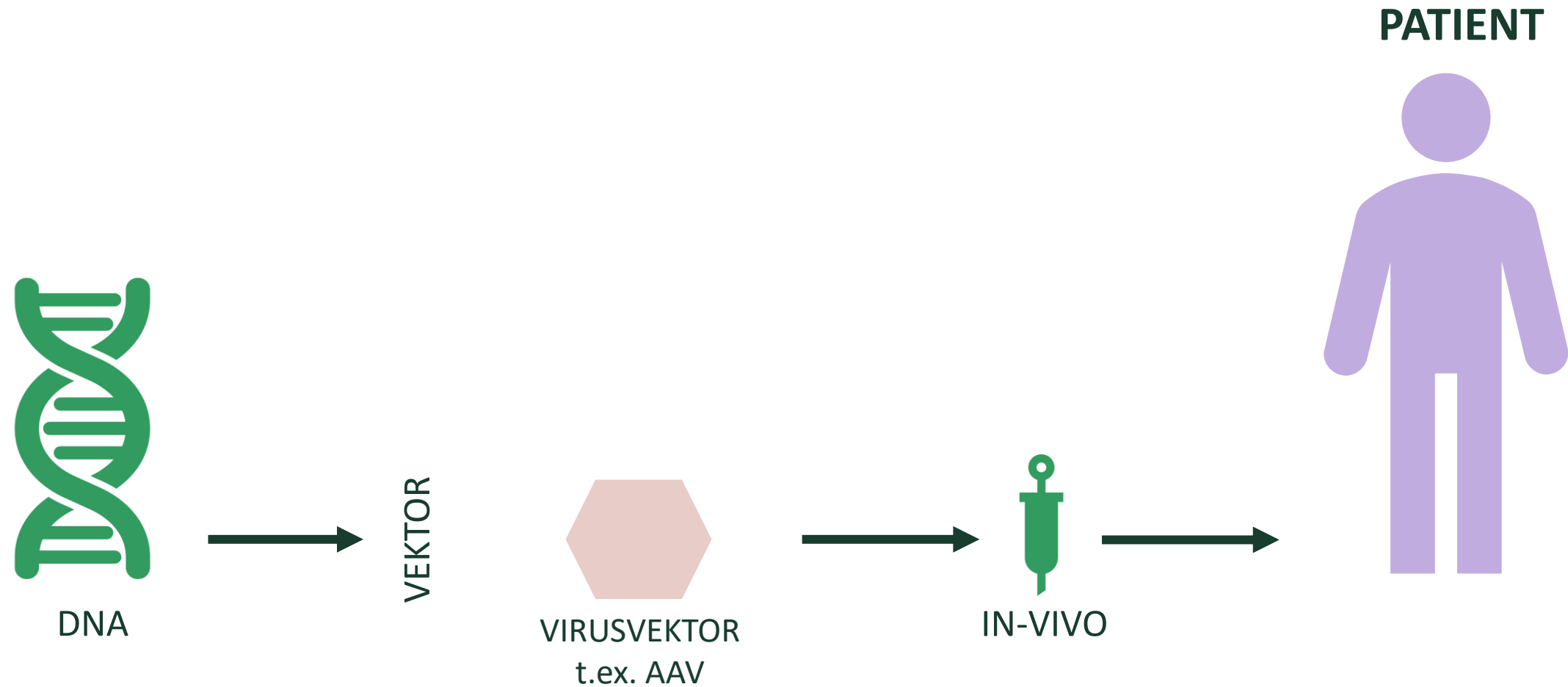
Somatic Cell Medicinal Therapy Product



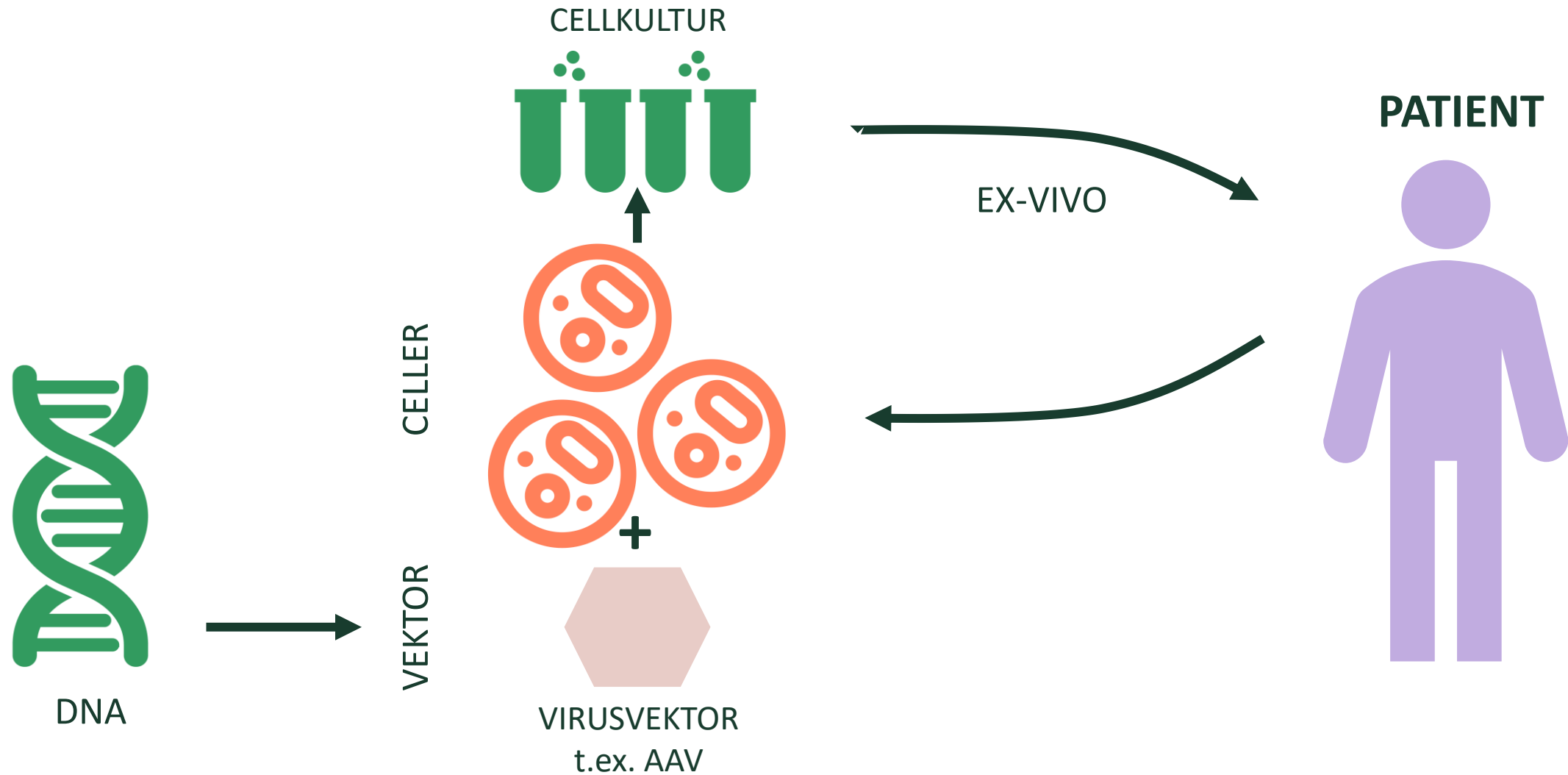
Somatic Cell Medicinal Therapy Product



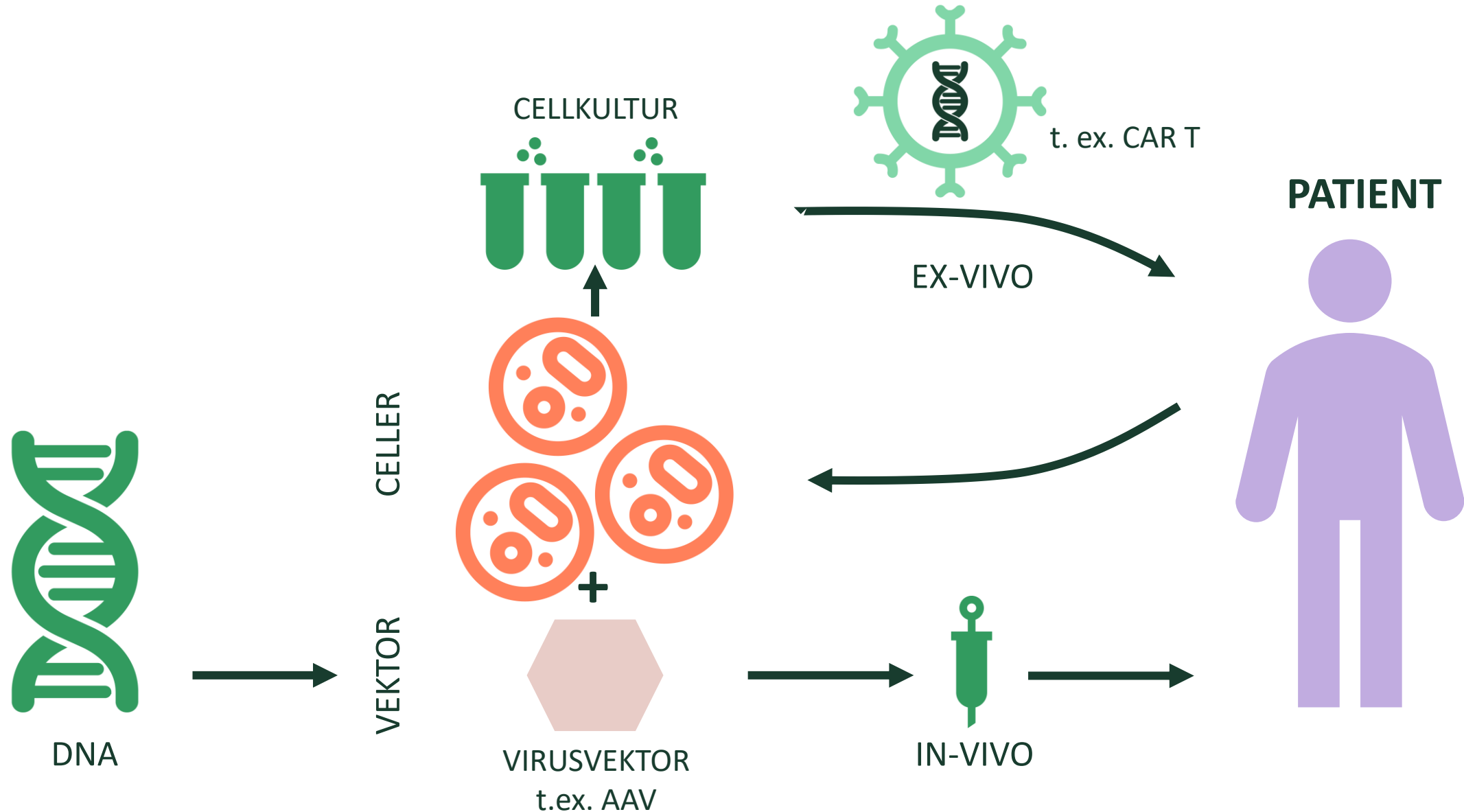
Gene Therapy Medicinal Product



Gene Therapy Medicinal Product



Gene Therapy Medicinal Product



European Medicines Agency, EMA

GEMENSAM EUROPEISK LAGSTIFTNING

Avgör vad som klassificeras som
ATMP

Rådgivning till små- och
medelstora företag

Regulatoriskt godkännande
baserat på ansökan från företag

Säkerhetsövervakning

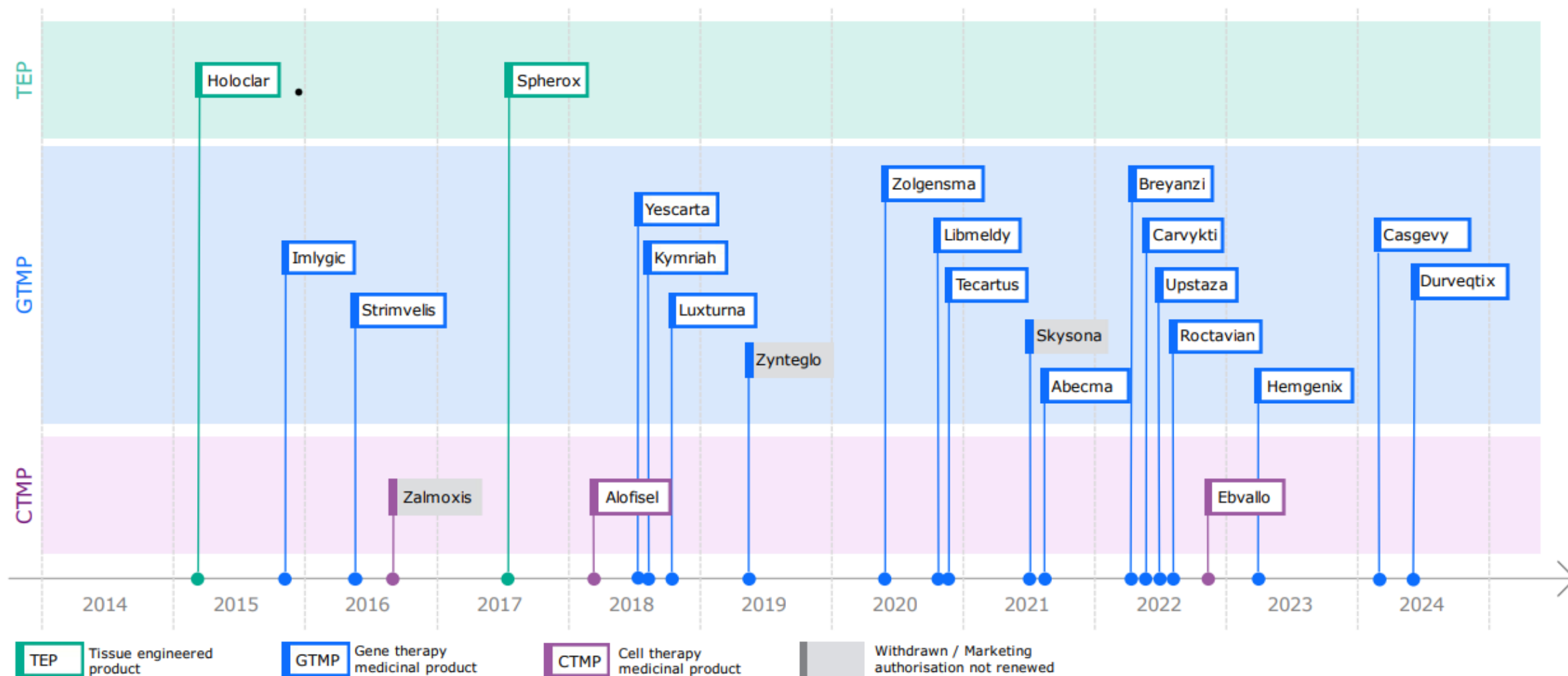


KVALITETSSÄKRING



BALANS RISK OCH NYTTA

The last 10 years of ATMPs



Advanced therapy medicinal products



Gene Therapy Landscape



ATMP i Sverige

The current ATMP landscape of Sweden



Note: SME ATMP companies active as of dec 2023

Source: Triathlon analysis

Since 2018, the ATMP field in Sweden has witnessed substantial progress with a rapidly evolving infrastructure and clinical use

ATMP development in Sweden (2018-2024*)

4

ATMP centres inaugurated

39

Started clinical ATMP trials
(2018 – 2024*)

4

New ATMP SME Developers
in Sweden

10+

Active ATMP related initiatives in
Sweden

Samlat engagemang för fler kliniska studier inom ATMP till Sverige och Västra Götaland



Drottning Silvias barnsjukhus startar Nordens första barncentrum för ATMP

Källa: Sahlgrenska Universitetssjukhuset

11 jan 2024

Avancerade terapier, ATMP, är något som håller på att revolutionera möjligheterna att behandla allvarliga sjukdomar. Nu startar Drottning Silvias barnsjukhus Nordens första och enda barncentrum för ATMP samtidigt som sjukvården och akademien stärker sitt samarbete.



All news

Talk to us

Vinnova supports the formation of a Nordic CCRM hub

Regioner satsar på ATMP

Regioner med universitetssjukhus satsar alltmer på att bygga upp ATMP och för att samla klinisk och akademisk forskning kring avancerade beha

Vid ett möte i Lund diskuterades de stora ambitioner Region Skåne har inom områ

Måndag 29 januari 2024

Framtidens medicin

Lund bygger dubbla ATMP-centrum

Intresset för ATMP, läkemedel för avancerad terapi, växer stort i Sverige. Offentliggjordes 2023 stora satsningar vid lärosäten och sjukhus i Stockholm, Uppsala och Skåne. I Lund bygger universitetet och regionen inte bara ett centrum utan var sitt, som ska samarbeta.



Foto: Bild

Nu har även Uppsala fått ett ATMP-centrum

Sök till nya National ATMP Research School!

Av Ageta Garpenlind - publicerad 18 januari 2024

10-year anniversary of CAR T cell[®] treatment in Europe

2024-05-13

Milestone celebrated Monday the 13th of May, 2024 at Uppsala Castle

On May 13th, 2014, the first chimeric antigen receptor (CAR) T cell treatment in Europe was administered to a lymphoma patient as part of a clinical trial[®] at Uppsala University Hospital (EudraCT[®] No: 2013-001393-19). The trial was a collaboration between Uppsala University, Uppsala University Hospital and Baylor College of Medicine in Houston, Texas. 15 patients were treated in the first study, that was soon followed by a second study with the same CD19-targeting CAR T cell[®] product at Uppsala University Hospital in 2017. 10 years to the day, this milestone will be celebrated with a program reflecting on the first treatment and developments over the last 10 years.



First infusion of European CAR T

CAR T cells are an immunotherapy[®] that uses the ability of a patient's own immune system, or more specifically T cells, to recognize and kill endogenous cells that have become infected with viruses or transformed into tumour cells. The medicine is produced by patient donating a slightly larger blood sample from which T cells are purified. These cells are then genetically modified to express a new protein on the cell surface – called a chimeric antigen receptor (CAR). This receptor consists of an antibody part (which recognizes the tumour) and parts of the T cell receptor (the receptor by which T cells normally recognize their targets). The cells are then given back to the patient where they seek out the tumour[®] cells in the patient's body and kill them.

Monday the 13th of May, 2024, at Uppsala Castle Gurlika Erstad, Angelica Lönner, Hans



ATMP
Sweden

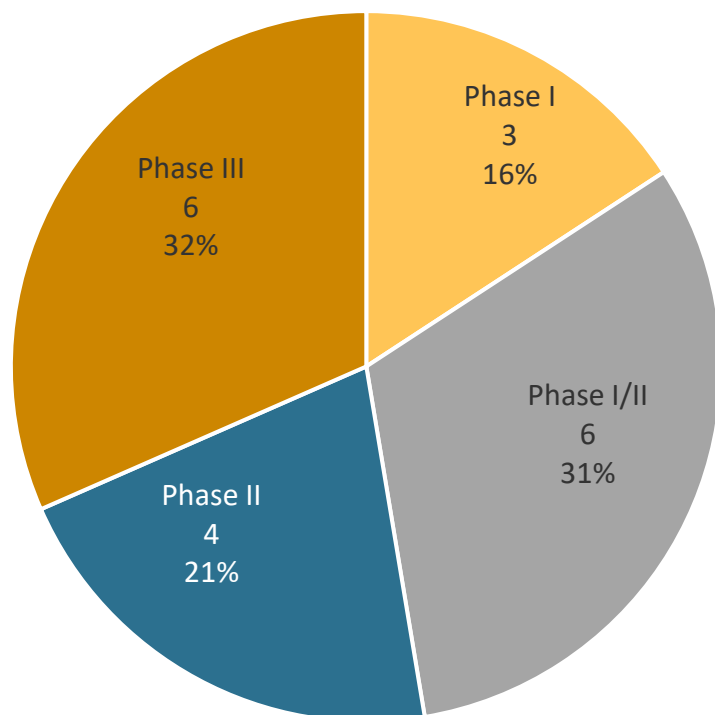


triathlon

Note: *2024 as by September 2024. Initiatives including e.g. CAMP, NextGenNK, SweCARNET, Genenova, Indicell, ATMP national hospital center network, National ATMP PhD School. Full list available at ATMP Sweden website.

19 active clinical ATMP trials in Sweden

Phase division of clinical ATMP trials



Clinical trial number	Phase	Start year	City(ies)	ATMP class	Status
NCT04896853	Ib	2020	Örebro	TEP	Recruiting
NCT04118556	I/II	2021	Lund, Uppsala	sCTMP	Recruiting
NCT03876769	II	2021	Stockholm, Göteborg	GTMP	Recruiting
NCT05881408	III	2022	Göteborg	GTMP	In planning/set-up
NCT05608187	Iia	2022	Lund, Uppsala	GTMP	Recruiting
2020-003908-14	II	2022	Uppsala	GTMP	Trial now transitioned
2020-004520-42	I/II	2022	Uppsala	TEP	Recruiting
NCT04503278	I/Iia	2023	Stockholm	GTMP	In planning/set-up
NCT05635409	I/IIa (FiH)	2023	Lund	sCTMP	Recruiting
NCT04486378	II	2023	Lund	GTMP	Recruiting
NCT05257083	III	2023	Göteborg, Lund, Uppsala	GTMP	Recruiting
NCT05549609	I/II	2023	Göteborg, Lund	sCTMP	Recruiting
NCT04812470	I	2023	Göteborg		Recruiting
NCT05933577	III	2023	Göteborg, Lund	GTMP	Recruiting
2019-001462-15	III	2023	Stockholm		Ongoing
NCT05727904	III	2024	Göteborg	sCTMP	Recruiting
NCT06002659	I/IIa (FiH)	2024	Uppsala	GTMP	Not yet recruiting
NCT06239636	I (FiH)	2024	Uppsala	GTMP	Not yet recruiting
NCT04923893	III		Göteborg, Lund	GTMP	Recruiting



ATMP
Sweden

Vad är då ATMP Sweden?

ATMP Sweden

– a community platform for extending patient's life and improving quality of life



Föreningen ATMP Sweden

- Både svenska och internationella medlemmar
- 60 organisationer
- 160+ individuella medlemmar
- 7400+ följare LinkedIn

Medlem	Exempel
Patient organisationer (ingen medlemsavgift)	Barncancerfonden
Andra icke-vinstdrivande organisationer	Universitet, ATMP center, regioner
Företag	Mikro, små, medium/stora
Personliga medlemskap	Forskare, allmänhet

Partners i Nationell samordningsfunktion ATMP



STEERING GROUP

Dag Larsson, Lif, chair
Martin Bergö, Karolinska institutet
Eva Tiensuu Janson, Uppsala universitet
Stefan Jovinge, Skånes universitetssjukhus, Region Skåne
Jan Holgersson, Sahlgrenska sjukhuset, Västra Götalandsregionen
Christina Herder, Herder Consulting

Coordinative support

Ewa Ellis, Karolinska sjukhuset

COORDINATION GROUP

University Hospitals /Regions

Kristina Levan, VGR, chair
Pontus Blomberg, Region Stockholm
Anna Göthlin Eremo, Region Örebro län
Gisela Helenius, Region Skåne
Hannah Karlsson, Region Uppsala
Lars Skagerlind, Region Västerbotten
Marcus Söderberg, Region Östergötland

Universities

Per Dannetun, Linköpings universitet
Gunilla Enblad, Uppsala universitet
Mia von Euler, Örebro universitet
Paul Kingham, Umeå universitet
Jenny Nyström, Göteborgs universitet
Martin L Olsson, Lunds universitet
Matti Sällberg, Karolinska institutet

Industry

Petter Björquist, Verigraft
Lindsay Davies, NextCell Pharma
Per Hammer, Cytiva
Anna Sandström, AstraZeneca
Jessica Martinsson, SwedenBio
Charlotte Schönbeck, Getinge
Fredrik Wessberg, CCRM Nordic

CONSULTED PATIENT ADVOCACY GROUPS

Margareta Haag, Nätverket mot Cancer
Stephanie Juran, Riksförbundet Sällsynta diagnoser

Utmaningar där vi önskar stärka patientperspektiven kring de möjligheter som cell- och genterapier för med sig

- Politikens/förvaltningens/myndigheters kunskap kring möjligheter och behov
- Förutsättningar för grundforskning, kliniska studier innovationssatsningar och produktutveckling som syftar till regulatoriskt godkännande
- Hälsoekonomisk utvärdering av vad som ofta är engångsbehandling med förväntan på långvarig effekt – indirekta jämförelser, otillräckliga uppföljningsdata
- Implementering i sjukvården där det behövs budget, kompetens och faciliteter samt lika förutsättningar för tillgång till behandling oavsett bostadsort

Diskussion

Vad kan vi göra tillsammans?