

Professor og overlege Per Ole Iversen
Avd. for ernæringsforskning
Universitetet i Oslo

Vår ref.: 2014/211

Deres ref.: 2014/376

Dato: 12.11.2014

Genzymes registerstudie over sjeldne sykdommer (Gauchers sykdom)

Prosjektbeskrivelse i henhold til søknad

Gauchers sykdom er en sjelden tilstand som skyldes mangel på enzymet glukocerebrosidase. Redusert aktivitet av enzymet fører til opphopning av sfingolipider i lysosomer, spesielt i mononukleære fagocytter som makrofager, også kalt «Gaucher-celler».

Genzymes register over sjeldne sykdommer inkluderer både Gauchers sykdom, Fabrys sykdom, MPS I og Pompes sykdom. Dette er en pågående langvarig internasjonal registrering av klinisk oppfølging av pasienter med disse sykdommene. Leger legger inn data i registeret, dataene vil være representative for klinisk praksis og behandling av sykdommene på tvers av ulike kulturer, dermed vil disse dataene gi bedre forståelse av naturlig historie og progresjon av sykdommene og klinisk respons for pasienter som har fått behandling for sin sykdom. Målene for Gaucher-registeret er å:

- fremme forståelsen av ulikhet, progresjon og naturlig utvikling av Gauchers sykdom med mål om å kunne gi en bedre veiledning og evaluering av terapeutisk intervensjon
- gi det medisinske miljøet anbefalinger om oppfølging av og resultater av behandling for pasienter med Gauchers sykdom og
- evaluere langtidseffekt av behandlingen.

Saksbehandling i REK

Søknaden ble behandlet av Regional komité for medisinsk og helsefaglig forskningsetikk (REK sør-øst C) første gang i møte 1.4.14.

Komiteen ba om å få vite om det utelukkende var tale om en registeropprettelse, om det er forskning eller om det er en kombinasjon og om en redegjørelse for hva som er forskningsspørsmålet, eventuelt en forskningsprotokoll. Komiteen ba videre om opplysninger om det finnes et nasjonalt register over pasienter med Gauchers sykdom, eventuelt om det er aktuelt å opprette et slikt nasjonalt register. Videre var det ønskelig med en oversikt over status/relasjon til allerede godkjente prosjekter. Det ble også bedt om en endring av samtykkeskrivet. Saken ble utsatt i påvente av søkers tilbakemelding.

Sammendrag av tilbakemelding fra søker (19.5.14)

”Som beskrevet i prosjektsøknaden søkes det om godkjenning for å starte et norsk register over pasienter med Gauchers sykdom som en del av et pågående internasjonalt register over sjeldne sykdommer. Dette er en pågående og langvarig internasjonal registrering av klinisk oppfølging av pasienter med Gauchers sykdom. Leger legger inn data i registeret og dataene vil være representative for klinisk praksis og behandling av sykdommen på tvers av ulike kulturer. Dermed vil disse dataene gi bedre forståelse av naturlig historie og progresjon av sykdommen og klinisk respons for pasienter som har fått behandling. Dette er altså en observasjonsstudie/registerstudie.

Det finnes et internasjonalt register over pasienter med Gauchers sykdom. Genzyme er sponsor for dette registeret. Det er den norske delen av dette registeret det her søkes om å starte.

Registeret ble opprettet i 1991 av Genzyme/ICGG (the International Collaborative Gaucher Group) med mål om å samle informasjon som kunne gi en bedre forståelse av og behandling for Gauchers sykdom. Økonomisk kompensasjon vil tilfalle hematologisk avd. ved OUS-Rikshospitalet. Genzyme støtter også registeret ved å bidra til vedlikehold, datainnsamling, datahåndtering, statistiske analyser og regulatoriske undersøkelser/gjennomgang av registeret.

Et norsk register over Fabrypasienter ble godkjent av REK Vest og har vært i drift siden 2009. Dette registeret er også en del av Genzymes internasjonale register over sjeldne sykdommer (samme protokoll som Gaucher-registeret).”

En ytterligere presisering ble gitt av søker i e-post 3.3.14: *”Vi ønsker altså primært å opprette et register. Det er ingen konkrete forskningsprosjekter/-spørsmål knyttet til dette registeret. Eventuelle forskningsprosjekter vil vi komme tilbake til når disse blir aktuelle.”*

REK behandlet saken på nytt i møte 25.6.14 og fattet følgende vedtak:

”Det fremgår av helseforskningsloven § 2 annet ledd at loven ikke gjelder for etablering av helseregistre. Bestemmelsen må forstås slik at det kun er i de tilfellene hvor helseregisteret opprettes uavhengig av et konkret forskningsprosjekt at etableringen av helseregister reguleres av helseregisterloven. Dette vil eksempelvis gjelde i tilfeller hvor man vil bruke helseregisteret til fremtidige, men ukonkretiserte forskningsprosjekter, eller for helt andre formål.

REK legger til grunn at omsøkte prosjekt utelukkende gjelder opprettelse av et helseregister og således skal vurderes etter helseregisterloven. Prosjektet faller derfor utenfor helseforskningens virkeområde, og komiteen har således ikke mandat til å vurdere søknaden. Datatilsynet er rette instans for søknad om opprettelse av helseregistre, og det kan også være hensiktsmessig å involvere lokalt personvernombud i søknadsprosessen.

Søknaden ble avvist. Vedtaket var enstemmig.”

Prosjektleder påklaget vedtaket 7.8.14.

REK har lagt til grunn at det aktuelle prosjektet utelukkende gjelder opprettelse av et helseregister. Dette beror i følge søker på en misforståelse. Prosjektleder viser til sponsors definisjon som impliserer at dette er en registerstudie/observasjonsstudie, dvs. et langtids

internasjonalt observasjonsprogram som skal følge resultatet av den rutinemessige kliniske oppfølgingen av pasienter med sjeldne sykdommer.

Søker påpeker at den forskningsbaserte delen av protokollen er at man vil vurdere langtidseffekten av enzymsubstitusjonsbehandling til de pasientene som får denne behandlingen og basert på epidemiologiske data kunne gi Gaucherpasienter et bedre medisinsk tilbud. Prosjektleder påpeker at sykdommen er så sjelden at sammenslåing av informasjon fra mange pasienter er den eneste måten en kan få gode epidemiologiske data på.

Klagen ble behandlet og endelig avvist av REK sør-øst C i møte 16.9.14 med følgende begrunnelse:

”Komiteen kan ikke se at klagen frembringer nye opplysninger av vesentlig betydning for vurderingen. Det er ikke beskrevet konkrete forskningsprosjekter som skal utgå fra registeret, og etter komiteens vurdering synes målene for registerstudien mer forenlig med formålene for opprettelse av et kvalitetsregister enn forskningsspørsmål.

Fra informasjonsskrivets punkt Hva innebærer prosjektet? siteres: Ettersom din sykdom er en sjelden genetisk sykdom og det er stort behov for økt kunnskap om sykdommen og effekt av eventuell behandling, er det planen at registeret vil pågå i alle fall i 15 år fremover. Ettersom det ikke er fastsatt noen endelig tidsbegrensning på forskningsprosjektets varighet, kan din deltakelse komme til å strekke seg over mange år.

Fra punktet Utlevering av materiale og opplysninger til andre siteres: Forskere fra ulike land kan søke registeret om tilgang til data for forskning om din sykdom. Slik forskning skal godkjennes av registeret og eventuelle relevante offentlige instanser før utlevering av data.

Manglende tidsavgrensning og fravær av konkretiserte forskningsprosjekter er momenter som etter komiteens mening trekker klart i retning av at det utelukkende dreier seg om inkludering i et register. Komiteen bemerker for øvrig at en godkjenning av registerstudien som forskning ville få implikasjoner utover aktuelle sak.

Komiteen fastholder sin vurdering. Klagen oversendes NEM for endelig vurdering.”

NEMs vurdering

NEM tok saken til behandling på komitémøtet 28.10.14. Arvid Heiberg ba komiteen om å vurdere hans habilitet. NEM besluttet at Heiberg var inhabil og han deltok derfor ikke i videre saksbehandling.

NEM viser til sitt tidligere vedtak 2013/197, der komiteen gir en generell gjennomgang av virkeområdene for helseforskningsloven og helseregisterloven for opprettelsen av registre: *”Helseforskningsloven (hfl) tar utgangspunkt i at forskningsprosjekter med tilhørende ”forskningsregistre” skal ha et konkret formål, eller en problemstilling og vare i en avgrenset periode. ”Generelle registre” som skal betjene flere ulike formål og som har lang varighet, regnes ikke som forskningsregistre. Disse skal opprettes etter helseregisterloven, enten etter § 8 ved at de omfattes av en forskrift; eller etter § 5 der Datatilsynet gir en konsesjon.*

REK kan behandle forskningsprosjekter med tilhørende forsknings-/helseregistre, jfr helseforskningsloven § 10 jf. § 33, med et avgrenset formål eller en konkret problemstilling. At registeret ikke kan benyttes til ulike problemstillinger betyr vanligvis at registeret i utgangspunktet kun skal benyttes til ett forskningsprosjekt.

Hfl hjemler ikke opprettelsen av generelle og permanente helseregistre uten tilknytning til et konkret forskningsprosjekt. Tvert i mot forutsetter hfl § 33, jf. § 2 og § 9, at forskningsregistre alltid opprettes i tilknytning til et konkret forskningsprosjekt.”

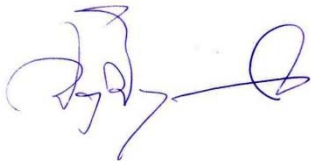
NEM viser til og stiller seg bak REKs begrunnelse for avvisning. Søknaden mangler klart definerte forskningsspørsmål, registeret har ingen sluttdato og søknaden tyder på at forskning ikke er eneste bruksområde. Søker viser til tidligere register som ble godkjent av REK vest i 2009. NEM konstaterer at det har funnet sted en gradvis endring i forvaltningspraksis fra ikrafttreddelsen av hfl 1.7.09 og til d.d.. Etter dagens praksis er det imidlertid ingen tvil om at omsøkte register ikke kan hjemles i hfl. Vi anbefaler søker å kontakte Datatilsynet for veiledning om videre søknadsprosess. Fremtidige forskningsprosjekter på materialet i registeret må søke forhåndsgodkjenning av REK.

Vedtak

Klagen forkastes

Vedtaket i klagesaken er endelig og kan ikke påklages, jf. forskningsetikkloven § 4.

Hilsen



Dag Bruusgaard
Professor dr.med.
leder av NEM



Jacob C Hølen
sekretariatsleder i NEM, PhD

Kopi

REK

Oslo Universitetssykehus HF, Rikshospitalet v Geir Tjønnfjord gtjonnfj@ous-hf.no