



Svenska  
framtider

# Avancerade terapiläkemedel

En tekniskrapport inom  
Svenska framtider om ATMP



# Innehåll

<b>Förord</b>	4
<b>Sammanfattning</b>	6
<b>English Summary</b>	8
<b>Utgångspunkter i arbetet med ATMP</b>	10
Förutsättningar	11
Avgränsningar i arbetet med teknikrapporten	11
Motivering till att IVA prioriterat en teknikrapport inom ATMP	11
<b>Nulägesbeskrivning av ATMP</b>	14
ATMP är innovativa behandlingar som skiljer sig från traditionella läkemedel	15
Utvecklingsprocess för ATMP	16
Aktörer inom ATMP	16
ATMP i Sverige	18
ATMP styrs av flera regelverk	18
Internationell utblick	20
<b>Utveckling inom ATMP</b>	23
<b>Nyckelfrågor för ATMP</b>	28
<b>Önskad framtida riktning för ATMP</b>	36
Målbild	37
Sex förslag för framtida utveckling av ATMP i Sverige	37
Rekommendationer	50
<b>Appendix</b>	51

# Förord



IVA driver projektet *Svenska framtider* med syftet att formulera en vision för Sverige som ledande inom teknik och innovation år 2035. *Svenska framtider* samlar aktörer från akademi, näringsliv och offentlig sektor för att identifiera möjligheter, utmaningar och strategiska riktningar för framtida konkurrenskraft och hållbar utveckling. Arbetet startades hösten 2025.

Projektet omfattar bland annat arbetsgrupper som snabbt och målinriktat analyserar utmaningar och möjligheter inom olika teknikområden. Grupperna tar fram teknikrapporter med tydligt fokus på respektive område. Rapporterna ger en överblick över nuläge och framtidsutsikter inom området och innehåller konkreta förslag till åtgärder. De fungerar också som viktiga underlag för att forma en övergripande vision för Sverige år 2035.

Denna arbetsgrupp har fokuserat på avancerade terapiläkemedel, ATMP. Detta är en grupp innovativa behandlingar som bygger på användning av gener, celler eller vävnader för att behandla och bota sjukdomar. Gruppens analys visar att ATMP-området kräver satsningar som utgår från en omställning av vården mot en ny medicin, innovativa tekniker, multidisciplinära miljöer och ekonomiskt nytänkande.

Som i alla IVA-projekt har deltagarna medverkat i sin personliga kapacitet och inte som företrädare för de organisationer där de är verksamma. Rapportens analyser och förslag bygger i stor utsträckning på diskussioner inom arbetsgruppen samt på erfarenheter och den kunskap som dess

medlemmar bidragit med. Arbetsgruppen står bakom rapporten i sin helhet, men det innebär inte att samtliga medlemmar nödvändigtvis står bakom varje enskild formulering.

Arbetsgruppen inom ATMP har arbetat från februari till maj 2026.

## Arbetsgrupp

**Maria Anvret** (ordförande), IVA-ledamot

**Kristina Ekberg**, HealthCap

**Thomas Eldered**, Flerie, IVA-ledamot

**Anna Falk**, Lunds universitet

**Anders Hamsten**, IVA-ledamot

**Pontus Holm**, Region Stockholm

**Suzanne Håkansson**, AstraZeneca,

IVAs Näringslivsråd

**Stefan Jovinge**, Region Skåne

**Frida Lundmark**, Lif

**Jenni Nordborg**, Lif

**Johan Rockberg**, Kungliga Tekniska högskolan, IVA-ledamot

**Anna Sandström**, AstraZeneca, IVA-ledamot

**Knut Steffensen**, Karolinska ATMP-centrum

**Anna Wedell**, Karolinska Institutet/

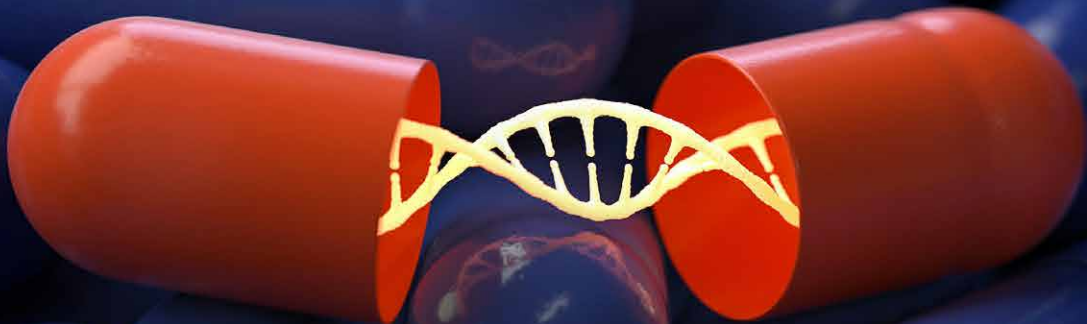
Karolinska universitetssjukhuset, IVA-ledamot

## Stöd till arbetsgruppen

**Lisa Thelin**, projektledare

**Charlotte Hall**, skribent

# Sammanfattning



Avancerade terapiläkemedel (ATMP) är innovativa behandlingar som befinner sig i ett tidigt, men snabbt växande, utvecklingskede globalt.

Sverige har goda förutsättningar att bli ledande inom delar av ATMP-området tack vare stark forskning, klinisk expertis, avancerad sjukvård och ett datadrivet ekosystem. Samtidigt begränsas utvecklingen av bristande nationell samordning, otillräckliga investeringar och behov av tydligare strukturer. Området präglas dessutom av höga kostnader, komplexa processer och krav på nya affärs- och betalningsmodeller för förbättrade förutsättningar att nå kommersiell framgång.

ATMP utgör i dag en liten del av läkemedelsmarknaden, men väntas få ökad betydelse i takt med framsteg inom medicinsk forskning, teknisk utveckling och mer effektiva produktionslösningar. Detta ställer krav på ökad samverkan mellan aktörer, en starkare koppling mellan forskning och klinik samt mer ändamålsenliga tekniska och regulatoriska ramverk. De förslag som lämnas har fokus på teknik, vårdens omställning, supermiljöer, finansiering, regelutveckling och incitament. Genomförandet behöver präglas av hög ambition, offensiv kraft och ett tydligt fokus på samarbete och på att omsätta idéer i konkreta resultat.

Arbetsgruppen lämnar tre sammanfattande rekommendationer som stärker Sveriges konkurrensförmåga och attraktionskraft samt bidrar till en hållbar utveckling. De bidrar även till stärkt nationell

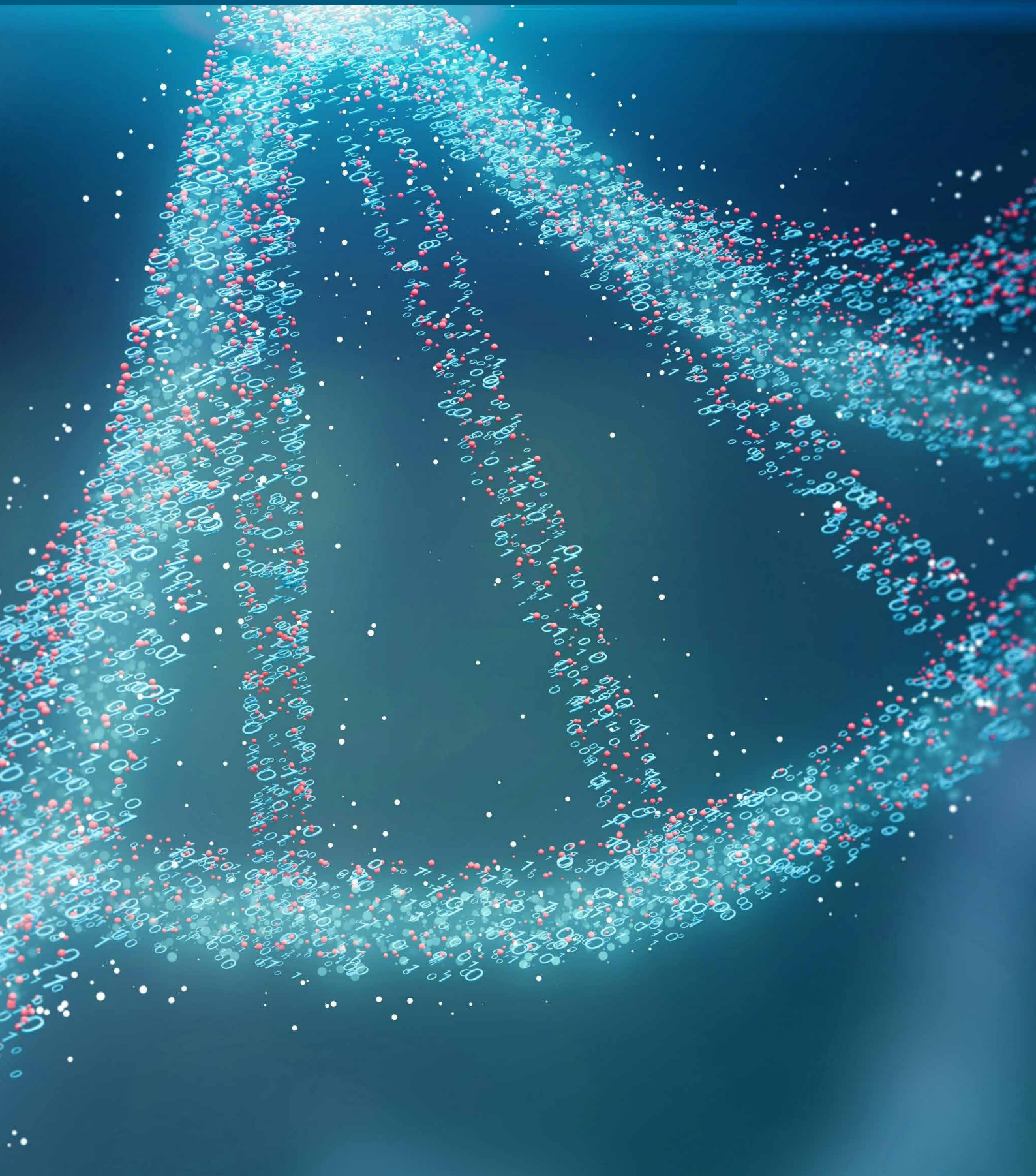
samordning samt till ökad produktion och användning av ATMP, både nationellt och globalt.

Vi menar att rekommendationerna påskyndar utvecklingen och implementeringen av ATMP. De har förutsättningar att på sikt ge samhällsekonomiska vinster genom bättre hälsa, lägre vårdkostnader och mer attraktiva villkor för näringslivets investeringar.

Rekommendationerna baseras på en nulägesanalys av Sveriges position inom ATMP, internationella utvecklingstrender samt en genomgång av nyckelfrågor som identifierar hinder och möjligheter för Sveriges fortsatta utveckling. De sammanfattar ett antal förslag och handlingspunkter som redovisas mer utförligt i rapporten.

1. Satsa på multidisciplinära supermiljöer med gemensamma teknikplattformar där akademi, näringsliv samt hälso- och sjukvård utvecklar ATMP och gör effektiv implementering möjlig.
2. Möjliggör för vården att vara en integrerad aktiv del av forskning och innovation så att nya behandlingar snabbare når patienter.
3. Förenkla regler och stärk incitament i Sverige och EU, samt förbättra samspelet mellan offentlig och privat finansiering för att mobilisera kapital och utveckla robusta affärsmodeller.

# English Summary



Advanced therapy medicinal products (ATMPs) are innovative therapies that remain at a relatively early stage of development but are advancing rapidly and gaining momentum globally.

Sweden is well positioned to become a leader in selected areas of the ATMP sector, building on its strong research base, clinical excellence, advanced healthcare system, and data-driven innovation ecosystem. However, progress is constrained by fragmented national coordination, insufficient investment, and the need for clearer governance and support structures. The sector also faces challenges related to high development costs, complex regulatory and implementation pathways, and the need for innovative business and reimbursement models to strengthen commercial viability and long-term growth.

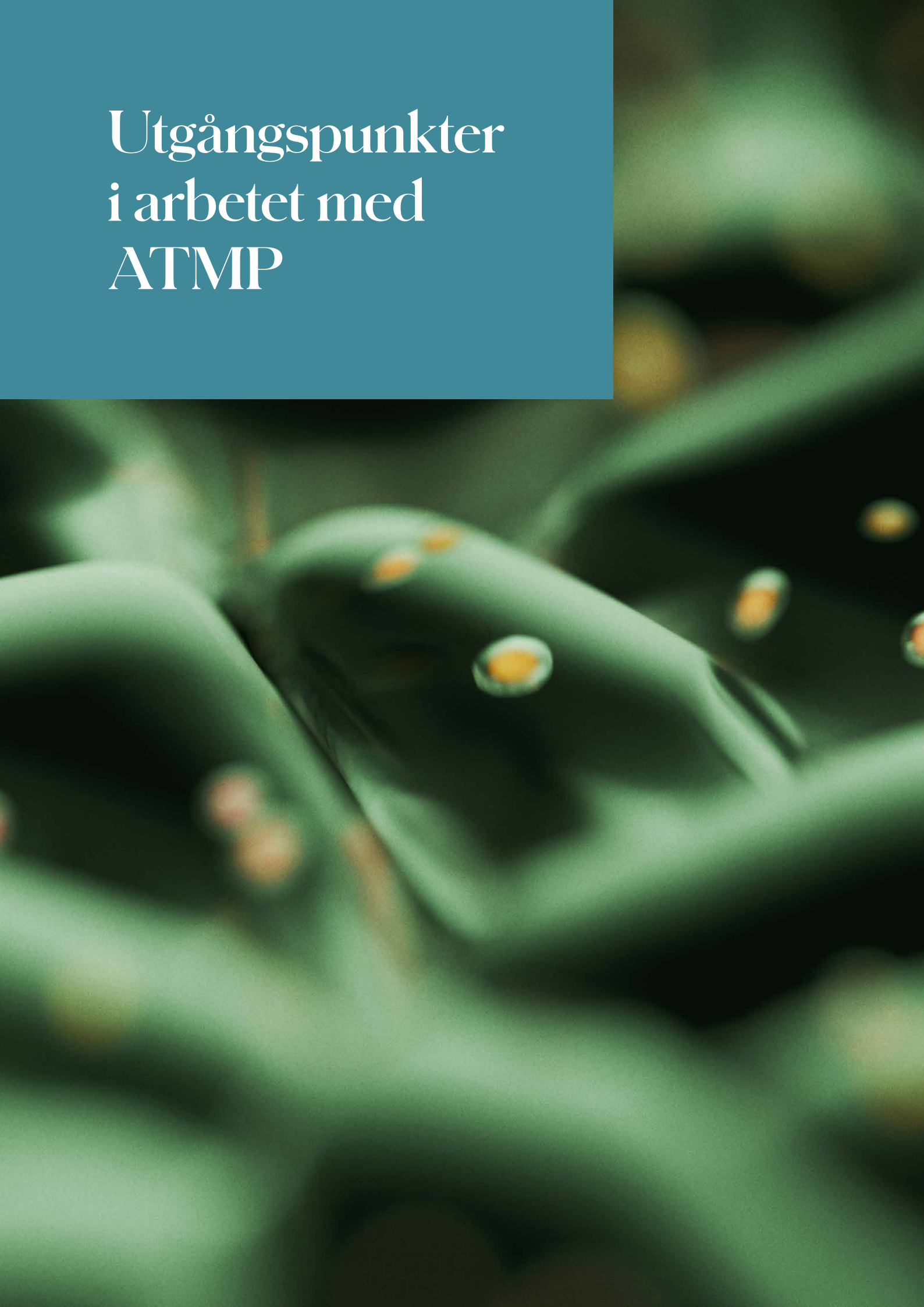
ATMPs currently represent a relatively small share of the pharmaceutical market, but their importance is expected to grow significantly as scientific advances, technological progress, and more efficient manufacturing solutions drive wider adoption. Realising this potential will require closer collaboration across sectors, stronger integration between research and clinical practice, and more enabling technical, regulatory and market frameworks. The proposals presented in this report address six key areas: technology, healthcare transformation, innovation ecosystems, financing, regulatory development and incentives. Their successful implementation will depend on a high level of ambition, strong leadership, and a shared commitment to collaboration and delivery of tangible results.

The working group presents three recommendations on how Sweden should focus its efforts to strengthen industrial competitiveness, advance sustainability, and contribute to both national and global security. We believe that these recommendations will help unlock the full potential of ATMPs. In the long term, they can contribute to improved health outcomes, lower healthcare costs, and stronger incentives for private-sector investment and innovation.

The recommendations are based on an analysis of Sweden's current position in the field of ATMPs, international trends, and a review of key issues identifying both obstacles and opportunities for continued development. They bring together a range of proposals and action points, which are set out in greater detail in the report.

- Invest in multidisciplinary super-environments with shared technology platforms where academia, industry and the healthcare sector develop ATMPs and facilitate their effective implementation.
- Enable healthcare providers to play a more integrated role in research and innovation, accelerating patient access to new treatments and improving care outcomes.
- Simplify regulations and strengthen incentives in Sweden and the EU, and improve the interaction between public and private funding to mobilise capital and develop robust business models.

# Utgångspunkter i arbetet med ATMP



## Förutsättningar

I denna rapport används begreppet avancerade terapiläkemedel, som i löptexten förkortas ATMP. Rapporten utgår från den definition som Läkemedelsverket tillämpar i vägledningar och information om ATMP och som bygger på EU-lagstiftningen: "Avancerade terapiläkemedel (ATMP) är läkemedel som omfattar genterapiläkemedel, somatiska cellterapiläkemedel och vävnadstekniska produkter. Dessa läkemedel baseras på gener, celler eller vävnader och används för att behandla, bota eller förebygga sjukdomar genom att återställa, korrigera eller modifiera fysiologiska funktioner."<sup>1</sup>

Inom begreppet ATMP innefattas i den här rapporten cell-, gen- och vävnadsterapi. Cell- och genterapi är internationellt vedertagna begrepp, medan termen ATMP huvudsakligen används inom EU. I flera länder, exempelvis USA, används inte begreppet ATMP.

ATMP är en delmängd av life science-området. I relationen mellan dem är life science den övergripande helheten, medan ATMP utgör en mindre del som representerar de mest avancerade terapierna. ATMP är beroende av ekosystemet kring forskning, näringsliv, regulatoriska processer och hälso- och sjukvård för att utvecklas och nå klinisk användning:

## Avgränsningar i arbetet med teknikrapporten

I denna rapport har följande avgränsningar tillämpats:

- rapporten är avgränsad och fokuserad på ATMP,
- rapporten omfattar inte förutsättningar, villkor och utvecklingsmöjligheter som är generella för hela life science-området.

Med dessa avgränsningar är det samtidigt viktigt att betona att ATMP utgör en integrerad del av life science-området. Det innebär att diskussioner, analyser och förslag kopplade till ATMP i många fall också är relevanta för och påverkar life science-sektorn i stort.

## Motivering till att IVA prioriterat en teknikrapport inom ATMP

IVA har gjort en datadriven analys av patent, vetenskapliga publikationer och startup-investeringar för att kartlägga Sveriges globala position inom 48 strategiskt viktiga teknikområden som har stor betydelse för landets framtida välbefinnande, ekonomiska motståndskraft och nationella säkerhet.<sup>2</sup>

Analysen gav bland annat insikten att Sverige behöver ta ett mer strategiskt angreppssätt för att säkra vår position internationellt. Mot denna bakgrund har IVA valt att göra en fördjupad analys för ATMP och ta fram förslag för önskad framtida riktning inom detta område. Valet utgår från åtta kriterier, se tabell 1.

Sverige har goda förutsättningar att bli ledande inom delar av ATMP, eftersom vi har stark forskning, klinisk expertis, avancerad sjukvård och ett till stora delar datadrivet ekosystem. Samtidigt saknas

<sup>1</sup> Läkemedelsverket. *Avancerade terapiläkemedel (ATMP)*. Baserad på Europaparlamentets och rådets förordning (EG) nr 1394/2007.

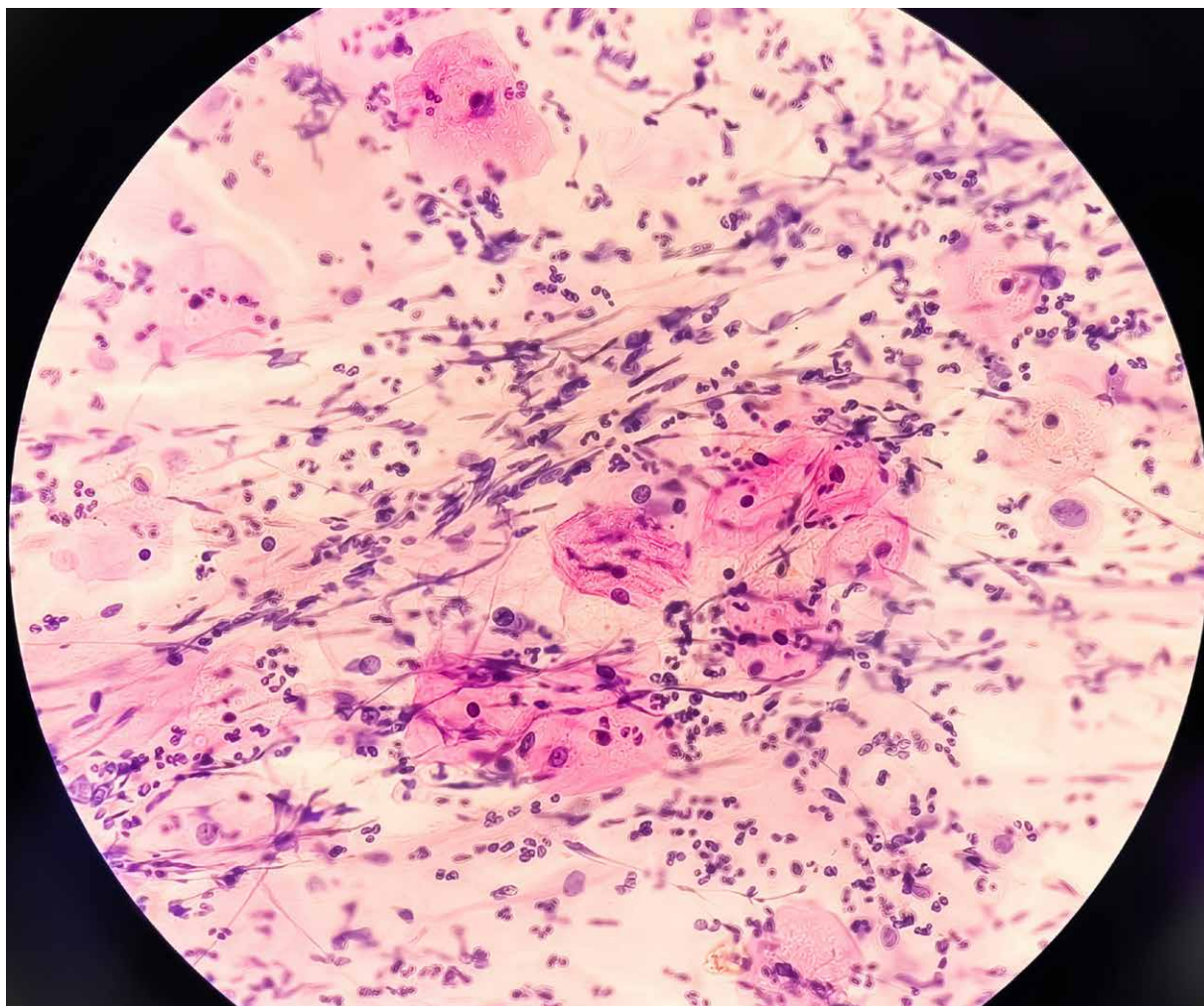
<sup>2</sup> IVA (2025). *Sveriges position inom strategiskt viktiga tekniker. Investeringsprioriteringar, styrkor och utmaningar*.

**TABELL 1:** IVAs val att genomföra en teknikrapport inom ATMP utgår från åtta kriterier.

<b>KRITERIUM</b>	<b>ATMP I SVERIGE</b>
<b>Globalt ledarskap</b>	Stark forskningsposition och god klinisk kapacitet, men inte global ledare i hela värdekedjan.
<b>Turn around (möjlighet att vända rådande utveckling)</b>	God möjlighet att stärka positionen tack vare befintlig kompetens, infrastruktur och pågående initiativ, men för att vända rådande utveckling krävs bland annat samordning och investeringar.
<b>Positionsförflyttning</b>	Möjlig inom utvalda nischer (till exempel kliniska prövningar, data, precisionsmedicin), men den internationella konkurrensen är hård.
<b>Möjliggörande teknologi</b>	Tekniska plattformar och produktionskapacitet är viktiga eftersom framtidens läkemedel kommer att produceras och kontrolleras på nya sätt, där teknik och industriella system blir avgörande.
<b>Internationellt</b>	Väl integrerat i internationella samarbeten, men tappar investeringar och kliniska prövningar till större marknader.
<b>Megatrender</b>	ATMP ligger i linje med globala trender som precisionsmedicin, individualiserade behandlingar och biologiska läkemedel.
<b>Geopolitik</b>	Stabil och attraktiv miljö för forskning och innovation, men liten marknad.
<b>Hett område</b>	Väcker stort intresse genom potentialen att förändra behandlingen av allvarliga och tidigare svårbehandlade sjukdomar.

i dag tydlig nationell samordning, strategi och tillräckliga investeringar. Utvecklingen går snabbt internationellt och ATMP kommer att förändra hur sjukdomar behandlas.

ATMP är identifierat som ett strategiskt område på EU-nivå och lyfts fram inom EU:s bioteknikakt (eng. European Biotech Act) som ett prioriterat område för att stärka Europas biotekniksektor genom snabbare

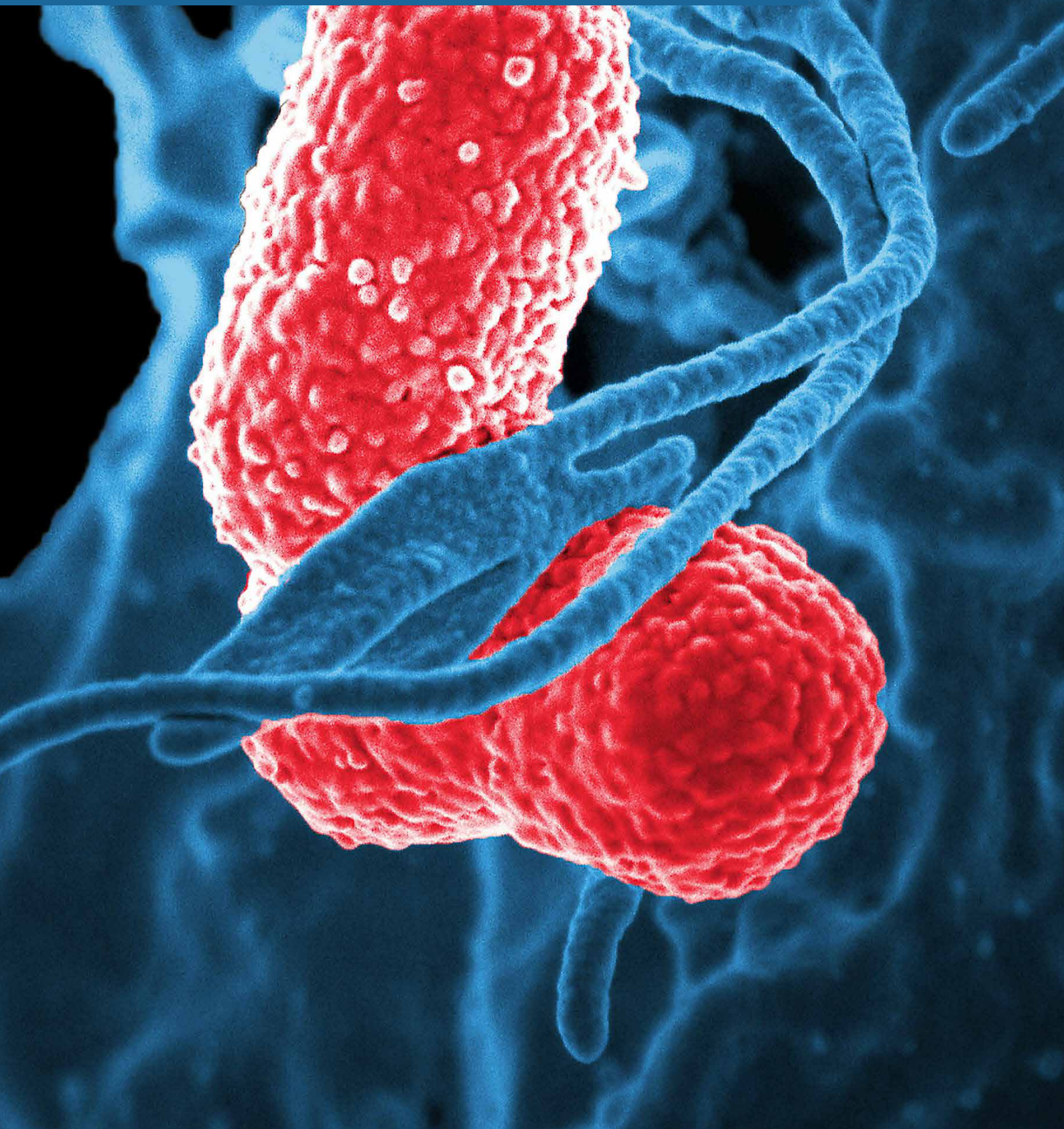


innovation, förenklade regelverk och förbättrade möjligheter för kliniska prövningar, produktion och marknadstillgång.<sup>3</sup> Området är även högt prioriterat i Kina<sup>4</sup> och USA.<sup>5</sup> De satsningar som gjorts i flera delar av världen har bidragit till expansionen av initiativ för att främja utvecklingen av ATMP.

För att området ska få attraktionskraft måste hela svenska life science-systemet stärkas. Om Sverige inte agerar nu finns en stor risk att vi hamnar efter inom ett område som är viktigt för framtidens vård och ekonomi.

- 
- 3 European Commission. (2025). *European Biotech Act*. 2025/0406(COD) 16/12/2025. European Commission. (2020). *Pharmaceutical strategy for Europe*. European Medicines Agency. (2017). *Guideline on advanced therapy medicinal products (ATMPs)*. European Parliament and Council of the European Union. (2007). Regulation (EC) No 1394/2007 on advanced therapy medicinal products.
  - 4 State Council of the People's Republic of China. (2015). *Made in China 2025*. State Council of the People's Republic of China. (2016). *The 13th Five-Year Plan for Economic and Social Development of the People's Republic of China*.
  - 5 U.S. Food and Drug Administration. (2019). *Framework for the regulation of regenerative medicine products*.

# Nulägesbeskrivning av ATMP



## ATMP är innovativa behandlingar som skiljer sig från traditionella läkemedel

ATMP är en grupp innovativa behandlingar som bygger på användning av gener, celler eller vävnader för att behandla och bota sjukdomar.<sup>6</sup> Behandlingar som bygger på ATMP verkar direkt på de bakomliggande orsakerna till sjukdom.

ATMP används i nuläget främst för ovanliga och allvarliga genetiska eller livshotande sjukdomar där etablerade behandlingar ofta är otillräckliga. Ett exempel är hemofili, där genterapi kan ersätta eller korrigera bristande koagulationsfaktorer. Ett annat exempel är sickelcellanemi, där genredigering eller cellterapi med modifierade stamceller används. Inom det neuromuskulära området behandlas spinal muskelatrofi och Duchennes muskeldystrofi och inom ögonsjukdomar rör det sig främst om ärftliga näthinnesjukdomar. ATMP i form av CAR-T-cellterapi används också vid hematologiska cancerformer (leukemier och lymfom) och vid sällsynta genetiska sjukdomar där specifika mutationer kan korrigeras. Vidare omfattas också metabola sjukdomar som påverkar ämnesomsättningen samt neurologiska sjukdomar som Parkinsons sjukdom och andra tillstånd som är kopplade till centrala nervsystemet. ATMP tillämpas även inom behandling av hjärtsjukdomar, där vävnadstekniska behandlingar används för att reparera skadad vävnad i hjärtat.

En viktig egenskap hos ATMP är att de ofta ges som engångsbehandlingar med potentiellt långvarig eller permanent effekt. Många behandlingar är dessutom individanpassade, särskilt så kallade autologa terapier där patientens egna celler används.

### OLIKA TYPER AV BEHANDLINGAR

ATMP omfattar främst tre typer av behandlingar. Den första är *genterapier* som förändrar eller tillför genetiskt material i celler. Den andra är *somatiska cellterapi* där levande celler används för att reparera eller ersätta skadad vävnad. Den tredje typen är *vävnadstekniska produkter* som syftar till att återskapa eller ersätta biologiska strukturer, till exempel hud eller brosk.

Det gör att produktion, logistik och kvalitetskontroll är mer komplexa än för andra läkemedel. ATMP kräver specialiserad tillverkning och avancerad klinisk infrastruktur som säkerställer spårbarhet genom hela processen, från tillverkning till behandling av patienten. Behandlingarna kräver dessutom noggrann och långsiktig uppföljning av patienterna.

Utveckling och användning av ATMP skiljer sig också från andra läkemedel genom att de vetenskapliga och regulatoriska kraven ofta behöver anpassas. Till exempel är traditionella djurmodeller inte alltid relevanta. Kliniska studier och prövningar kan vara svåra att genomföra i stor skala, särskilt vid sällsynta sjukdomar där patientgrupperna är små.

ATMP:s komplexitet och potentiella risker skapar nya utmaningar för sjukvården, bland annat avseende regelverk och finansiering. De förbättrar samtidigt möjligheterna att behandla vissa sjukdomar och kompletterar andra behandlingsformer. De driver också behovet av fortsatt innovation, till exempel för att lösa produktionsutmaningar och minska risker som kan uppstå vid behandling. Sådana utmaningar

<sup>6</sup> Texten i detta avsnitt bygger på en svensk översättning av denna artikel: Van Eldere J, Aiuti A, Lluesma S et al. (2026). *A roadmap for supporting the development of advanced therapy medicinal products in a European framework*. The Lancet Regional Health – Europe, 2026; 66.

## Nulägesbeskrivning av ATMP

och risker kan vara både specifikt kopplade till ATMP och av mer generell karaktär, liknande dem som förekommer för andra typer av läkemedel.

Vården är en nödvändig del av innovationskedjan. Implementeringen av ATMP i vården ger effekter som sprider sig genom hela systemet. På kort sikt innebär det ökade kostnader, men på längre sikt finns en förväntan om lägre kostnader både för behandlingen och för samhället i stort, i linje med frågor om hållbara företag och ekonomiskt nytänkande. Detta behöver beaktas för att ATMP ska kunna införas brett och på ett hållbart sätt.

Den kliniska utvecklingen och tillgång till hälso- och sjukvårdens infrastruktur är en förutsättning för framgångsrik utveckling och användning av ATMP, men det behövs även framsteg inom industriell utveckling och produktion.

## Utvecklingsprocess för ATMP

ATMP går från idé till klinisk användning genom en utvecklingsprocess som omfattar flera olika steg med bland annat studier och prövningar, godkännande och införande i vården.

## Aktörer inom ATMP

I Europa finns flera olika aktörer som på olika sätt arbetar med utveckling och användning av ATMP.<sup>7</sup>

Regulatoriska myndigheter granskar kvalitet, säkerhet och effekt hos ATMP. Inom Europa är den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) viktig,

medan ansvaret i Sverige ligger på Läkemedelsverket. De regulatoriska processerna omfattar bland annat godkännande av tillverkning samt granskning och godkännande av kliniska studieprotokoll för akademiska studier och företagsfinansierade kliniska prövningar. Myndigheterna ger också vetenskaplig rådgivning genom hela utvecklings- och godkännandeprocessen.

För kommersiella läkemedel som har godkänts av EMA sker den hälsoekonomiska utvärderingen i Sverige vid Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV), medan rekommendationer om användning inom hälso- och sjukvården lämnas av en nationell samverkansfunktion inom Sveriges regioner (Rådet för nya terapier, NT-rådet). NT-rådets beslut är inte juridiskt bindande, men har i praktiken stor betydelse eftersom regionerna gemensamt brukar följa rekommendationerna för att säkerställa en likvärdig och kostnadseffektiv läkemedelsanvändning i hela landet.

Akademiska centra och universitetssjukhus bedriver forskning, genomför prekliniska studier och genomför kliniska prövningar. De samarbetar ofta med många olika aktörer, till exempel inom näringslivet.

Bioteknik-, läkemedels- och medicintekniska företag omfattar ett brett spektrum av företag från små startups till globala koncerner. Dessa företag bedriver forskning, kliniska prövningar, utvecklar tillverkningstekniker och kommersialiserar ATMP. CDMO och CRO samt andra typer av specialistleverantörer bidrar med expertis och produkter inom forskning, kliniska prövningar, GMP-tillverkning, kvalitetskontroll och produktion.

Utveckling av ATMP finansieras bland annat av statliga forsknings- och innovationsfinansiärer,

---

<sup>7</sup> Texten i detta avsnitt bygger delvis på följande underlag: European Medicines Agency (EMA). *Advanced therapy medicinal products overview* och European Commission. *Advanced therapies*.

**FIGUR 1:** Figuren visar en schematisk översikt av utvecklingsprocessen för ATMP.

<b>Grundforskning och idéfas</b>	Identifiera biologiska mekanismer och möjliga terapeutiska mål för att behandla en sjukdom.
<b>Proof of concept</b>	Första experiment för att testa att idén fungerar i celler eller djurmodeller.
<b>Preklinisk utveckling</b>	En kandidatprodukt testas för säkerhet, effekt och biologiska egenskaper.
<b>GMP/ processutveckling</b>	Utveckling av en kontrollerad och reproducerbar tillverkningsprocess som följer de kvalitetskrav som gäller för läkemedel.
<b>Regulatorisk rådgivning</b>	Dialog med myndigheter för att säkerställa att utvecklingen följer regelverken.
<b>Klinisk fas I</b>	Produkten testas för första gången på människor. Fokus ligger på säkerhet och dosering.
<b>Klinisk fas II</b>	Behandlingens effekt och lämplig dos utvärderas i en större patientgrupp.
<b>Klinisk fas III</b>	Större studier genomförs för att bekräfta effekt och säkerhet, jämfört med standardbehandling.
<b>Granskning inom EMA</b>	Den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) granskar data och lämnar en vetenskaplig rekommendation.
<b>Formellt beslut</b>	EU-kommissionen fattar det juridiskt bindande beslutet om läkemedlet får marknadsföras i hela EU.
<b>HTA/prisförhandling</b>	Nationella myndigheter bedömer kostnadseffektivitet och förhandlar om pris och införande i sjukvården.
<b>Implementering i vården</b>	Sjukhus och andra aktörer inom vården bygger upp rutiner, utbildning och logistik för att kunna ge behandlingen.
<b>Patientbehandling</b>	Patienten får ATMP-behandling under noggrann klinisk övervakning.
<b>Långtidsuppföljning</b>	Alla patienter som fått ATMP-behandling följs över tid för att utvärdera långtidseffekt och eventuella sena biverkningar.

forskningsstiftelser, läkemedelsföretag och riskkapital. En rad faktorer påverkar attraktiviteten för investeringar såsom immaterialrättsligt skydd, affärsmodeller, efterfrågan, betalningsvilja, regulatoriska och försäkringsrelaterade frågor. Eftersom ATMP-området har en särskilt hög riskprofil är det extra svårt att hitta finansiering för tidiga projekt inom ATMP. Se även nyckelfrågan om hållbara företag och ekonomiskt nytänkande.

Vårdssystem och patientorganisationer spelar en viktig roll i att definiera kliniska behov, påverka prioriteringar och säkerställa en hållbar implementering.

Patientorganisationer bidrar bland annat genom att integrera patientperspektivet i beslut som annars ofta präglas av kliniska, ekonomiska och organisatoriska faktorer. De gör det genom att identifiera vilka behov som är mest angelägna ur patienters vardag (till exempel symtom, livskvalitet och tillgång till behandling) och därmed påverka vilka sjukdomsområden eller insatser som uppfattas som mest prioriterade ur patienternas perspektiv. I praktiken sker det ofta genom deltagande i rådgivande grupper, remissvar, samverkan med myndigheter och regioner samt representation i olika forum för prioriteringar och beslut. Patientorganisationer kan också bidra

med erfarenhetsbaserad kunskap som kompletterar klinisk evidens, till exempel kring vilka behandlingar som faktiskt gör störst skillnad i patienternas liv eller var vården brister i tillgänglighet och jämlikhet.

Tillsammans skapar alla dessa aktörer ett integrerat ekosystem som stödjer innovation, reglering, produktion och tillgång till ATMP. Detta innebär att ATMP omfattar ett helhetsperspektiv som spänner över hela området från utbildning och forskning till finansiering, produktion och marknad.

## ATMP i Sverige

Sverige har ett flertal olika aktörer inom ATMP-området.<sup>8</sup> På nationell nivå har företrädare för akademi, universitetssjukvård och näringsliv bildat intresseorganisationen Cell and Gene Therapy Sweden (CGT Sweden) som fungerar som en representant för aktörerna inom fältet. Ett annat exempel är föreningen ATMP Sweden som är en medlemsbaserad förening för främjandet av ATMP i Sverige.

Universitetssjukhus och akademiska centra inom medicin och teknik spelar en central roll i både forskning och kliniska prövningar inom området. Huvudaktörer är de sju universitetssjukhusen och deras ATMP-centra. Exempelvis har Stockholm fokus på genterapier och cellterapier och genomför tidiga kliniska prövningar. Göteborg arbetar med immunoterapier och regenerativ medicin. Malmö–Lund bedriver forskning kring stamcellsbehandlingar, neurodegenerativa sjukdomar, immunoterapi, genterapi (hemofili, onkologi) och är ett nordiskt behandlingscentrum för två olika genetiska sjukdomar. Uppsala bedriver forskning kring stamcellsbehandlingar (CAR-T-celler), medan Linköping, Örebro och Umeå bland annat arbetar med kliniska

studier och kliniska prövningar. Tillsammans täcker dessa centra stora delar av utvecklingskedjan, från preklinisk forskning till kliniska studier, kliniska prövningar, implementering och vård. De har dessutom ofta nära samarbeten med näringslivet.

Företag och näringslivspartners är också viktiga delar av det svenska ekosystemet inom ATMP. I Sverige finns såväl små som medelstora ATMP-företag som till exempel utvecklar cellterapier mot cancer och som arbetar med T-cellsbaserade behandlingar. Det finns även flera större internationella läkemedelsföretag som är aktiva i Sverige. Det förekommer forskningssamarbeten med akademiska centra och kliniska prövningar. Företagen verkar inom områden som forskning, kliniska prövningar, produktutveckling, framtagning av instrument, analysmetoder, GMP-tillverkning och kommersialisering av ATMP. CDMO bidrar med produktion och kvalitetskontroll, bland annat så att produkter kan tillverkas i GMP-standard och att kvaliteten är spårbar. Nationella satsningar på innovationshubbarna NorthX Biologics, Testa Center och CCRM Nordic har etablerats inom området.

Exempel på finansiärer som stödjer ATMP-projekt är offentligt finansierade program som *EU Horizon Europe* och nationella initiativ inom Vinnova. Därtill finns finansiering via privata riskkapitalfonder.

I Sverige finns flera patientorganisationer som är relevanta för ATMP. Se även nyckelfrågan om den nya medicinen.

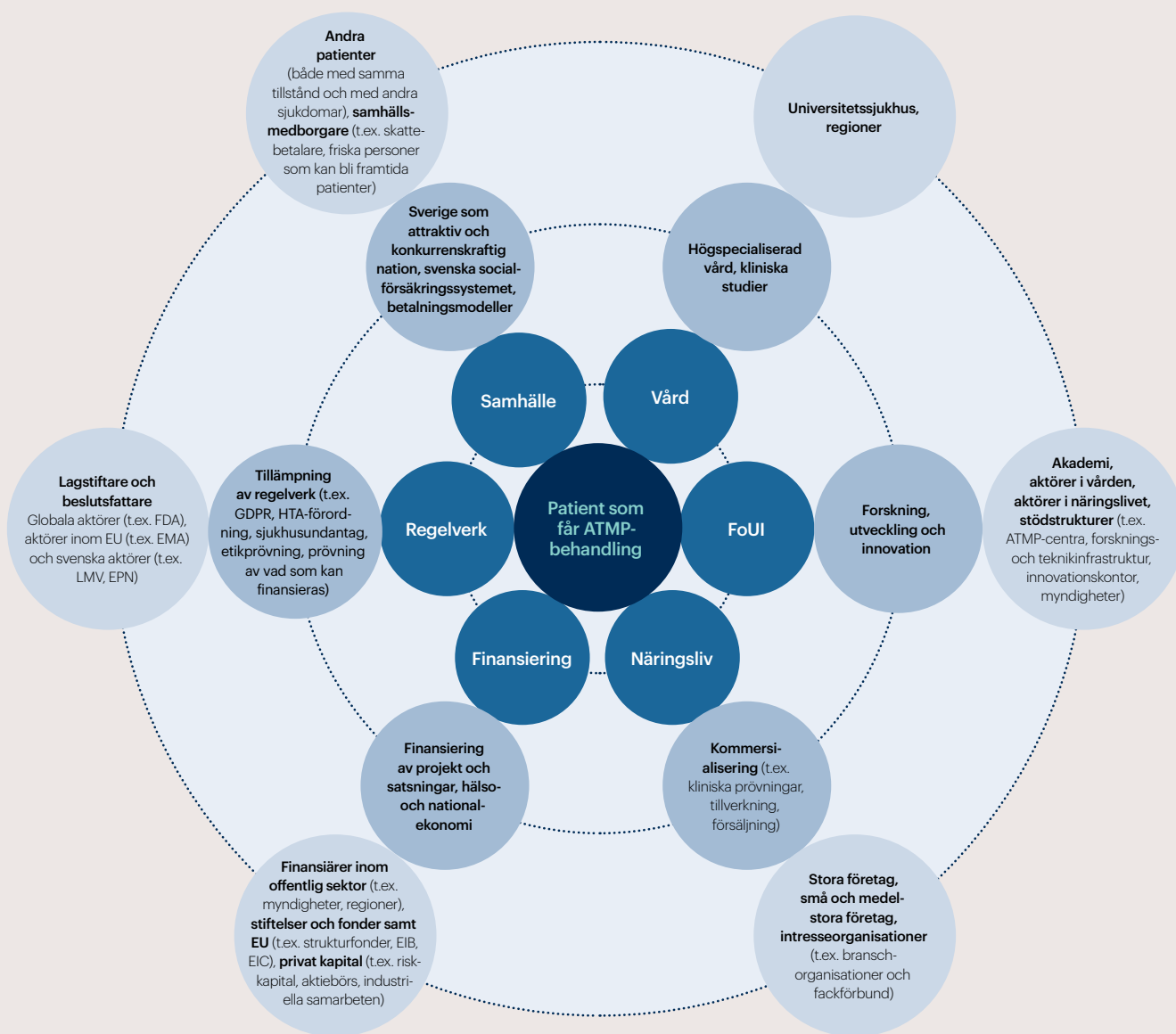
## ATMP styrs av flera regelverk

Inom EU regleras ATMP genom ett särskilt regelverk, bland annat förordning 1394/2007 som defi-

---

<sup>8</sup> Texten i detta avsnitt bygger till viss del på skriften ATMP Sweden (2024). *ATMP2030 Swedish Annual ATMP Report 2024*.

**FIGUR 2:** Figuren visar en schematisk översikt av aktörer kring en patient som får ATMP-behandling. Den inre cirkeln visar de områden där samverkan behövs, medan mittencirkeln visar exempel på insatser inom dessa områden. Den yttre cirkeln illustrerar exempel på aktörer som är involverade. Samverkan mellan alla aktörer är avgörande för att ge patienten bästa möjliga vård och för att stärka Sveriges attraktions- och konkurrenskraft. Runt patienten finns en privat sfär som omfattar till exempel partner, familj och vänner samt en social sfär som kan bestå av kollegor, studiekamrater och föreningsmedlemmar. Det finns också mer formella stödstrukturer, såsom patient- och anhörigföreningar.



### SVENSKT BOLAG FÖRVALTAR EN NY EU-FOND

Europeiska innovationsrådet har utsett ett svenskt investmentbolag till investeringsrådgivare och fondförvaltare för en ny EU-fond på 5 miljarder euro, *Scaleup Europe Fund*, som ska ge tillväxtkapital till europeiska teknikbolag inom bland annat innovation kopplad till bioteknik. Även om fonden inte är specifikt inriktad på ATMP är satsningen ändå relevant för utvecklingen inom området eftersom ATMP ofta kräver stora investeringar i forskning och produktion för att kunna nå patienter och marknad inom Europa.

Källa: Mer information om fonden finns via Europeiska innovationsrådet, länk: [eic.ec.europa.eu/eic-fund/scaleup-europe-fund\\_en](https://eic.ec.europa.eu/eic-fund/scaleup-europe-fund_en)

nierar vad ATMP är och hur dessa behandlingar ska bedömas av den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA). I vissa fall kan behandlingar som görs för enskilda patienter inom ett land undantas från centralt godkännande, så kallat sjukhusundantag, men behandlingarna måste ändå uppfylla krav på kvalitet, spårbarhet och säkerhet.

Sjukhusundantaget innebär att ATMP kan tillverkas och användas inom hälso- och sjukvården utan ett centralt marknadsgodkännande, under särskilda villkor. Syftet är att kunna erbjuda enskilda patienter behandlingar som utvecklats nära den kliniska verksamheten.

Det är angeläget att nyttjandet av sjukhusundantaget sker inom ramen för lagstiftningen och

utgår från Läkemedelsverkets vägledning för att säkerställa ett enhetligt och sammanhållet regulatoriskt system för framtagande och godkännande av ATMP. Undantaget väcker frågor om hur det ska tillämpas, vem som bär ansvaret och hur det förhåller sig till övriga regelverk. Hur sjukhusundantaget tillämpas i praktiken kan därför få stor betydelse för om forskning, utveckling, användning och implementering av ATMP samt tillhörande forskningsinvesteringar etableras i Sverige.

Reglerna för godkännande och användning av läkemedel inom EU är under förändring. Sedan januari 2025 omfattas ATMP och nya cancerläkemedel av gemensamma kliniska bedömningar inom EU, den så kallade HTA-förordningen.<sup>9</sup> Det kan göra kraven tydligare och mer förutsägbara, men kräver också att länderna anpassar sina egna system för beslut om pris och användning.

## Internationell utblick

I flera länder har riktade policyinitiativ och regulatoriska ramverk utvecklats för att främja utvecklingen av ATMP. Exempel är snabbspår för granskning, dubbla spår för prövningar och stärkt ersättningsystem inom sjukförsäkringen.

USA är globalt ledande inom ATMP med ett växande antal godkända cell- och generapier.<sup>10</sup> I USA pågår dessutom många olika kliniska studier, vilket innebär att många behandlingar befinner sig i utveckling, testas på patienter eller är nära godkännande.<sup>11</sup> Den amerikanska myndigheten Food and Drug Administration (FDA)

9 EU-förordning (EU) 2021/2282 om medicinsk teknikbedömning (HTA). Europeiska parlamentet och rådets förordning av den 15 december 2021.

10 U.S. Food and Drug Administration. (2024). *Approved cellular and gene therapy products*. Länk: [www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/approved-cellular-and-gene-therapy-products](https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/approved-cellular-and-gene-therapy-products). Information hämtad 7 maj 2026.

11 Vanhaeren, M., Gijsbers, R., Van Dyck, W., Huys, I., & Simoens, S. (2025). Advanced therapy medicinal products are coming of age: A pipeline analysis of the clinical trial landscape. *Drug Discovery Today*, 30(10). PMID: 40850492.

har infört särskilda snabbspår för att påskynda utveckling och granskning av regenerativa läkemedel.<sup>12</sup> Det amerikanska systemet inom ATMP stöds av avancerade regulatoriska mekanismer som snabbspår och accelererade godkännanden.<sup>13</sup> Många nya behandlingar inom cell- och genterapi introduceras först på den amerikanska marknaden, samtidigt som området är resurskrävande med höga utvecklingskostnader och komplex produktion.<sup>14</sup> Detta påverkar i sin tur tillgången till ATMP inom de patientgrupper för vilka läkemedlen utvecklats.

Kina har snabbt byggt upp ett expansivt ATMP-ekosystem med ökande antal kliniska studier och kliniska prövningar, nya godkännanden och omfattande statliga satsningar.<sup>15</sup> Regelverken har blivit tydligare och i högre grad harmoniserade med internationella standarder, samtidigt som investeringar i inhemsk produktion och leveranskedjor har ökat.<sup>16</sup> Kina har infört ett system med dubbla spår för prövningar.<sup>17</sup>

Frankrike har stärkt sin position inom ATMP genom strategiska satsningar. Inom ramen för initiativet *France 2030* har omfattande investeringar gjorts i bioterapi och bioproduktion.<sup>18</sup> Det franska initiativet omfattar särskilda satsningar på bioterapi, bioproduktion och avancerade terapier, där ATMP

### SJUKHUSUNDANTAG

Sjukhusundantaget för ATMP regleras inom EU:s läkemedelsregelverk, framför allt i förordning (EG) nr 1394/2007 om avancerade terapiläkemedel. I svensk lagstiftning genomförs sjukhusundantaget genom läkemedelslagen (2015:315) och kompletterande föreskrifter från Läkemedelsverket.

För mer information, se vägledning till Läkemedelsverkets föreskrifter (LVFS 2011:3) om läkemedel som omfattas av sjukhusundantag. Publicerad 13 maj 2024.

ingår som en viktig del. ATMP är därmed ett prioriterat område inom Frankrikes bredare satsning på framtidens biologiska läkemedel och på produktionskapacitet.

Tyskland har utvecklat en nationell strategi för gen- och cellterapi och stärkt ersättningsystemen inom sjukförsäkringen.<sup>19</sup> En viktig del för ATMP i Tyskland är systemet som bedömer nya läkemedels mervärde och sätter pris utifrån klinisk nytta. Det kräver stark evidens, vilket kan vara en utmaning för ATMP som kan ha begränsad

- 
- 12 Food and Drug Administration. (2025). *Expedited Programs for Regenerative Medicine Therapies for Serious Conditions*. Draft guidance for industry. Docket Number: FDA-2017-D-6159. Food and Drug Administration. (2024). *Split real-time application review (STAR) pilot program*.
- 13 U.S. Department of Health and Human Services. Food and Drug Administration. Center for Drug Evaluation and Research (CDER) Center for Biologics Evaluation and Research (2014). *Guidance for Industry. Expedited Programs for Serious Conditions – Drugs and Biologics*. OMB Control No. 0910-0765.
- 14 IQVIA Institute for Human Data Science (2025). *Global Trends in R&D 2025: Progress in recapturing momentum in biopharma innovation*. March 2025.
- 15 Tan, R., Hua, H., Zhou, S. et al. (2025) *Current landscape of innovative drug development and regulatory support in China*. *Sig Transduct Target Ther* 10, 220.
- 16 McKinsey's Life Sciences Practice (2022). *Vision 2028: How China could impact the global biopharma industry*. Article in collaborative effort by Jeffrey Algazy et al.
- 17 Xu, L. Lu, W., Xie, Z, Hao, X. (2026) *The role of investigator-initiated trials in advancing cell and gene therapy under China's dual-track regulatory system: Opportunities and challenges*, *Heliyon*, Volume 12, Issue 7.
- 18 Gouvernement de la République Française. (2021). *France 2030: A plan for innovation and industrial transformation*.
- 19 Bundesministerium für Gesundheit. (2024). *Nationale Strategie für Gen- und Zelltherapien*.

## Nulägesbeskrivning av ATMP

mängd data initialt (eftersom patientgrupperna ofta är små). För att möta detta diskuteras mer flexibla bedömningar, bättre uppföljning och nya betalningsmodeller som delar risk mellan stat och företag, för att säkra fortsatt tillgång till ATMP-behandlingar.<sup>20</sup>

I Spanien har tillgången till ATMP länge varit långsam och ojämn på grund av fokus på kostnader och olika regler mellan de spanska regionerna. För att förbättra situationen har landet infört en nationell strategi för ATMP, som redan har lett till snabbare tillgång till behandlingar som CAR-T-terapi. Arbetet stöds av europeiska initiativ som RARE IMPACT inom EU, som samlar olika aktörer för att förbättra hur sådana behandlingar införs och görs tillgängliga för patienter. Trots framsteg kvarstår dock utmaningar kring kostnader och hur nya terapiers bedöms och godkänns.<sup>21</sup>

Storbritannien har satsat på nationella nätverk och snabbare processer för kliniska prövningar. Den myndighet som motsvarar svenska Läkemedelsverket (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency, MHRA) har etablerat snabbspåret *Innovative Licensing and Access Pathway* för att snabba upp utveckling, godkännande och tillgång till nya läkemedel och behandlingar. MHRA har också ett nätverk för att stödja innovation och implementering, *Advanced Therapy Treatment Centre Network*.<sup>22</sup>

Sydkorea har etablerat ett avancerat regulatoriskt ramverk för ATMP som i ökande grad harmoniserats med internationella standarder. Landet har bland annat infört en särskild lagstiftning för avancerade terapiers och utvecklat riktlinjer genom Ministry of Food and Drug Safety, den sydkoreanska motsvarigheten till svenska Läkemedelsverket inom läkemedelsreglering.<sup>23</sup>

Japan har infört flexibla regulatoriska system som ger möjlighet till villkorliga godkännanden och snabbare introduktion av terapiers.<sup>24</sup> Systemet för villkorliga godkännanden ligger inom Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, den japanska motsvarigheten till svenska Läkemedelsverket inom reglering av läkemedel och medicinsk teknik. Det finns även en kompletterande lagstiftning för regenerativ medicin.

---

20 Rare Impact (2020). Country Report Germany. Improving patient access to gene and cell therapies for rare diseases in Europe. A review of the challenges and proposals for improving patient access to advanced therapeutic medicinal products in Germany. V1. January 2020.

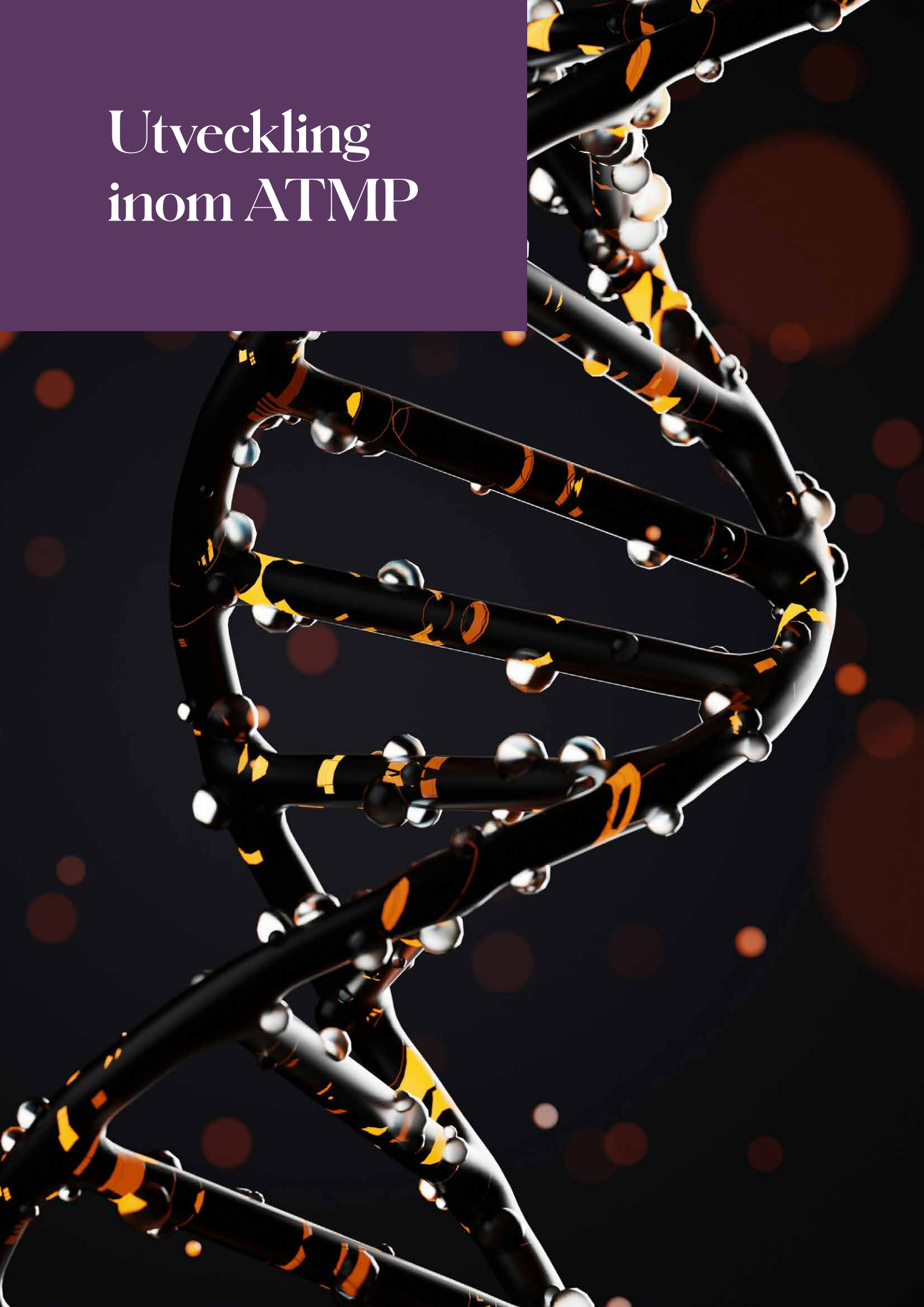
21 Rare Impact (2020). Country Report Spain. Improving patient access to gene and cell therapies for rare diseases in Europe. A review of the challenges and proposals for improving patient access to advanced therapeutic medicinal products in Spain. V1. January 2020

22 Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2022). *Innovative Licensing and Access Pathway (ILAP)*.

23 Yoon, J., Lee, S., Kim, J-H. (2026). New legal category of 'advanced regenerative medicine treatment' in Korea's amended regenerative medicine law: comparative lessons from Japan, Stem Cell Reports, Volume 21, Issue 4.

24 Pharmaceuticals and Medical Devices Agency. (2023). *Regulatory framework for regenerative medicine products in Japan*. Shinichi Noda, S. et al (2025). *Regulatory advancements in Japan's conditional and time-limited approval scheme for regenerative medical products: the first guidance on the approval scheme and the second review for full approval of the first conditional and time-limited approved cellular product*, HeartSheet, Cytotherapy, Volume 27, Issue 6.

# Utveckling inom ATMP



## Trender inom ATMP

Utvecklingen av ATMP har ökat snabbt globalt. Internationellt har många ATMP nått kliniska prövningar, men få produkter har ännu godkänts för marknads lansering. En genomgång som gjordes 2018 visade att över 500 kliniska prövningar genomfördes mellan 2009 och 2017, men dessa resulterade endast i 19 ansökningar om marknads godkännande och omkring 10 godkända produkter i Europa.<sup>25</sup>

Förväntningen är att nya behandlingar under det kommande decenniet även kommer att kunna riktas mot solida tumörer och folksjukdomar. Diabetes, autoimmuna sjukdomar och hjärt-kärlsjukdomar är några som har nämnts.

Hälsoekonomiskt bedöms detta på sikt vara positivt både för den enskilda individen och för samhället, eftersom belastningen på sjukvården och socialförsäkringssystemet förväntas minska. Detta öppnar upp möjligheter, men ställer höga krav på utveckling av regulatoriska processer och produktionsplattformar.<sup>26</sup> Även betalningsmodeller är viktiga. Dagens ATMP-forskning skapar förutsättningar för framtida nya behandlingar.

Sverige har under lång tid byggt upp en stark position inom life science och biologiska läkemedel, till exempel genom satsningar som GoCo, NorthX Biologics, Testa Center och CCRM Nordic. Svenska ATMP-projekt fokuserar ofta på små patient-

grupper.<sup>27</sup> De erfarenheter som finns från arbete med sällsynta metabola sjukdomar samt tillgång till data och en hög digitaliseringsgrad är av stor betydelse för möjligheten att utveckla ATMP-området.

Sverige har ett internationellt unikt program för screening av alla nyfödda för sällsynta sjukdomar, inkluderande långtidsuppföljning av alla identifierade barn.<sup>28</sup> Här finns grund för en nationell strategi för såväl införande som utveckling av nya terapier, parallellt med att screeningprogrammet utvidgas för att säkerställa att alla drabbade individer i befolkningen identifieras och erbjuds behandling innan svåra symtom uppstår. Den nationellt samordnade verksamheten medför även möjlighet att utveckla nya, utfallsbaserade, ekonomiska modeller. Programmet omfattar i dag 26 behandlingsbara sjukdomar. Ytterligare en sjukdom planeras att läggas till under 2026 till följd av att en ny genterapi blivit tillgänglig. Flera sjukdomar står på kö och potentialen för expansion är betydande tack vare utveckling av nya behandlingar, däribland ATMP.

Affärsmodeller som lyfter fram långsiktig investering framför tidig kostnad saknas dock, liksom en nationell färdriktning där befintliga satsningar och erfarenheter knyts ihop. Se även nyckelfrågan om hållbara företag och ekonomiskt nytänkande.

Sverige har integrerat utveckling av ATMP i den nationella life science-strategin.<sup>29</sup> I denna beskrivs ATMP som en del av framtida hälso- och sjukvård

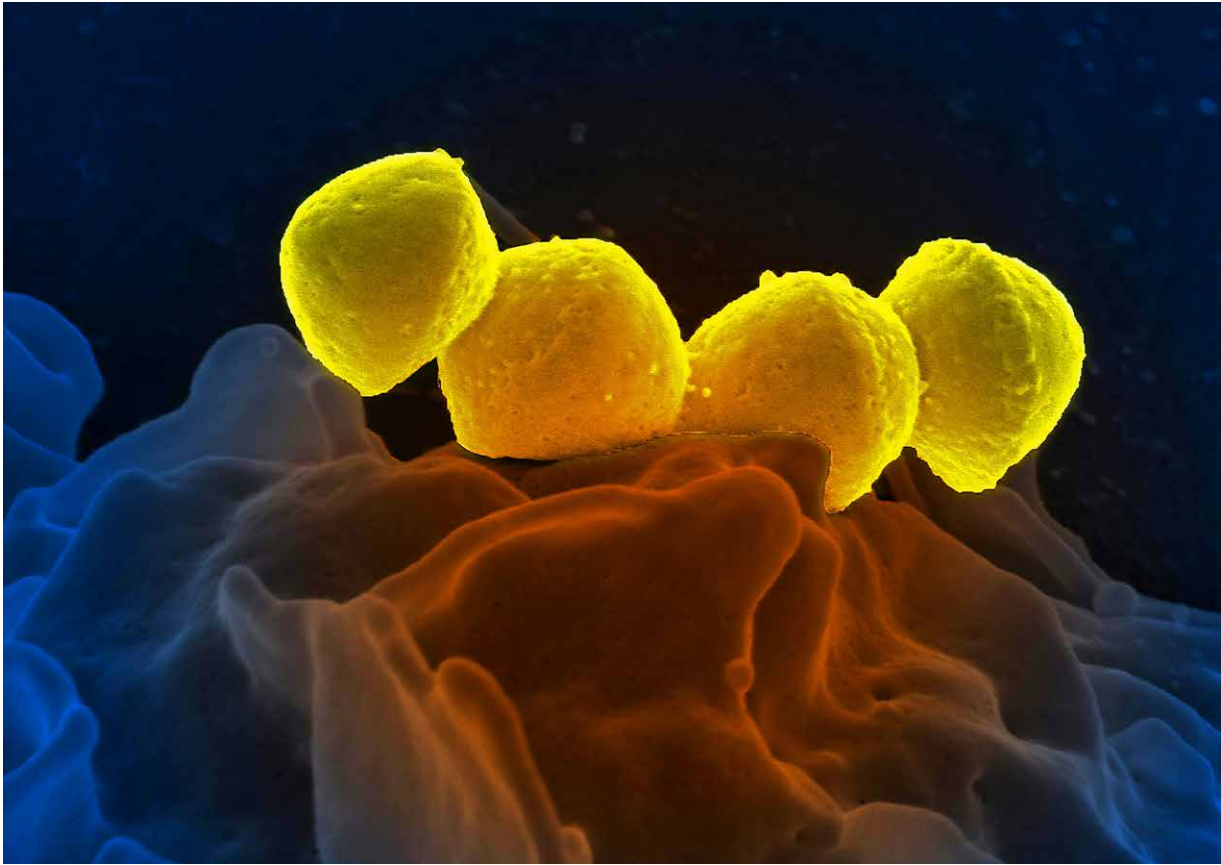
25 ten Ham, R. M. T. och medförfattare. (2018). *Challenges in Advanced Therapy Medicinal Product Development: A Survey among Companies in Europe*. *Molecular Therapy – Methods & Clinical Development*, 11, 121–130.

26 Bucciarelli A. och Antonella Motta A. (2026). *Advanced therapy medicinal products: Emerging therapeutic frontiers and evolving regulatory landscapes*, Precision Medicine and Engineering, Volume 3, Issue 1, 2026.

27 Information om ATMP i Europa finns tillgänglig via Europeiska läkemedelsverket, European Medicines Agency (EMA). *Advanced therapy medicinal products: Overview*.

28 Länk: [www.karolinska.se/vard/funktion/funktion-medicinsk-diagnostik-karolinska/cmms/centrum-for-medfodda-metabola-sjukdomar/pku-prov/](http://www.karolinska.se/vard/funktion/funktion-medicinsk-diagnostik-karolinska/cmms/centrum-for-medfodda-metabola-sjukdomar/pku-prov/). Information hämtad 24 april, 2026.

29 Regeringskansliet (2019). *Nationell life science-strategi – för en stark life science-sektor i Sverige*. Stockholm: Näringsdepartementet.



och ett område med stor potential för forskning och industriell utveckling. Regeringen har initierat stöd för nationella innovationskluster för avancerade läkemedel genom Vinnova, där fokus ligger på kommersialisering, kompetensutveckling och produktionskapacitet för ATMP i Sverige. Dessutom har regeringen gett TLV i uppdrag att vidareutveckla metoder för hälsoekonomiska utvärderingar och betalningsmodeller för precisionsmedicin och ATMP.

Inom EU har den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) etablerat ett särskilt vetenskapligt

ramverk för ATMP-utveckling, inklusive klassificering, rådgivning och godkännandeprocesser som är anpassade för dessa komplexa biologiska produkter.<sup>30</sup> EU-kommissionen ser över godkännande och uppföljningsmekanismer för avancerade terapier som en del av EU:s strategi för innovativ medicin. Målet är att främja den inre marknaden för ATMP och att bidra till ökad tillgång till innovativa behandlingar i medlemsstaterna.<sup>31</sup>

---

30 European Medicines Agency (EMA). (2026). *Advanced therapy medicinal products: Overview*.

31 European Commission. (2026). *Advanced therapies*. Länk: [health.ec.europa.eu/medicinal-products/product-types/advanced-therapies\\_en](https://health.ec.europa.eu/medicinal-products/product-types/advanced-therapies_en)

**EXEMPEL PÅ GODKÄNDA  
ATMP-BEHANDLINGAR**

CAR-T-, TCR- och TIL-terapier är olika former av immunterapi. CAR-T innebär att T-celler modifieras i laboratoriet så att de kan känna igen och döda cancerceller mer effektivt. TCR-terapi fungerar på liknande sätt, men använder T-cellens naturliga receptor för att identifiera cancerantigen inne i cellerna. TIL-terapi bygger på T-celler som redan finns i tumören. Dessa isoleras, förökas i laboratoriet och ges tillbaka till patienten för att stärka immunförsvarets angrepp på canceren.

I dag används dessa behandlingar nästan uteslutande mot cancer, eftersom de är särskilt effektiva när det finns tydliga mål att rikta sig mot.

**ATMP utgör en avgränsad del av läkemedelsfältet**

ATMP utgör fortfarande en liten del av de läkemedel som godkänns årligen och når relativt få patienter globalt. Området befinner sig fortfarande i ett tidigt utvecklingskede, med en handfull godkännanden per år från den amerikanska läkemedelsmyndigheten de senaste fyra åren (att jämföra med enstaka produkter åren innan). År 2025 godkändes exempelvis två cellterapier, tre genterapi och en vävnadsteknisk produkt i USA. Som jämförelse godkändes 31 småmolekylära läkemedel och 12 biologiska läkemedel samma år. Det är värt att notera att nästan en tredjedel av inom

EU godkända ATMP dragits tillbaka, främst beroende på utebliven kommersiell framgång. Tio år efter första godkännandet 2015 finns i dag 19 ATMP med marknadsgodkännande inom EU.<sup>32</sup>

Antalet årligen godkända nya läkemedel domineras således fortfarande av småmolekyler och (i mindre utsträckning) biologiska läkemedel. Bland nya kompletterande teknologier som liksom ATMP nått godkännanden på senare tid finns exempelvis oligonukleotider, bispecifika antikroppar och antikropps-konjugat. Fler är på väg, som exempelvis teranostik med radioligander. Dessa läkemedel räknas inte som ATMP. Utvecklingen av nya terapiformer innebär fler och kompletterande sätt att behandla sjukdom och därmed hjälpa patienter som i dag står utan tillfredsställande behandling.

Det är för tidigt att bedöma om cell- och genterapi kommer att utgöra en växande andel av framtida godkända läkemedel. Baserat på vilken biologisk mekanism och process som ligger bakom den sjukdom man vill påverka, passar olika typer av läkemedel bättre eller sämre för att kunna göra ordentlig skillnad för patientgruppen.

Godkända behandlingar som bygger på ATMP finns i dag exempelvis inom sällsynta sjukdomar som drabbar nervsystemet, ögat och muskulaturen. Bland de ATMP som i dag är godkända finns olika typer av terapier som CAR-T, TCR- och TIL-terapi.

Den globala utvecklingsportföljen för ATMP omfattar flera tusen kandidater. Antalet varierar mellan ungefär 4 000 terapikandidater under utveckling globalt<sup>33</sup> och omkring 3 000 kandidater<sup>34</sup> (de

32 Vanhaeren, M., Gijsbers, R., Van Dyck, W., Huys, I., & Simoens, S. (2025). Advanced therapy medicinal products are coming of age: A pipeline analysis of the clinical trial landscape. *Drug Discovery Today*, 30(10).

33 Alliance for Regenerative Medicine. (2025). *Q4 2025 Sector Snapshot. A Look into Cell and Gene Therapy Sector Trends*.

34 International Society for Cell & Gene Therapy. (2024). *Fourth global regulatory report: 2024 H2*.

författare som beskrivit detta använder lite olika begrepp, definitioner och avgränsningar). Enligt en översiktsartikel befann sig strax över 2 000 ATMP i klinisk prövning hösten 2025.<sup>35</sup> Majoriteten av kandidaterna befinner sig fortfarande i preklinisk eller tidig klinisk fas.

Globalt initieras årligen i storleksordningen 40 000 kliniska prövningar, beroende på definition och datakälla.<sup>36</sup> Notera dock att antalet kliniska prövningar inte direkt speglar antalet unika tekniker eller läkemedelssubstanser, eftersom samma behandling eller teknologi ofta utvärderas i flera olika prövningar.

En uppskattning är därmed att ungefär fem procent av de kliniska prövningarna 2025 var inriktade på ATMP.

Samtidigt innebär dessa produkter också stora investeringsbehov i produktion. Ett exempel är att det behövs en investering i produktion om 4–6 miljarder dollar (motsvarande 40–65 miljarder kronor) för att ha kapacitet att kunna behandla mellan 5 000–15 000 patienter per år med så kallad autolog cellterapi. Sammanfattningsvis utgör ATMP en liten del av läkemedelsfältet, med stor potentiell klinisk betydelse i de patientgrupper de når, givet att en fungerande marknad kan etableras.

## Framtida potential för ATMP

Om säkerheten förbättras, leveransen till rätt organ optimeras och mer kostnadseffektiva tillverkningsmetoder för ATMP utvecklas, kommer fler sjukdomar att kunna behandlas. Förhoppningar finns

om att kunna använda ATMP för tillstånd som spänner över bredare områden i framtiden, från vanliga folksjukdomar och olika typer av cancer till mycket ovanliga genetiska tillstånd där det i dag saknas behandling. Några exempel ges nedan.

Inom blodcancer skulle behandlingarna kunna breddas till fler former av leukemi och myelom, särskilt om cellterapierna blir mer tillgängliga och säkrare. För att kunna behandla solida tumörer (till exempel lung-, bukspottkörtel- och hjärntumörer) krävs en bättre förmåga för cellterapierna att nå tumören och undvika biverkningar.

Vid autoimmuna sjukdomar (som reumatiska sjukdomar, multipel skleros och SLE) skulle ATMP i framtiden kunna användas för behandlingar som påverkar immunsystemet mer långvarigt än dagens immundämpande läkemedel. Liknande strategier kan minska risken för avstötning vid organtransplantation.

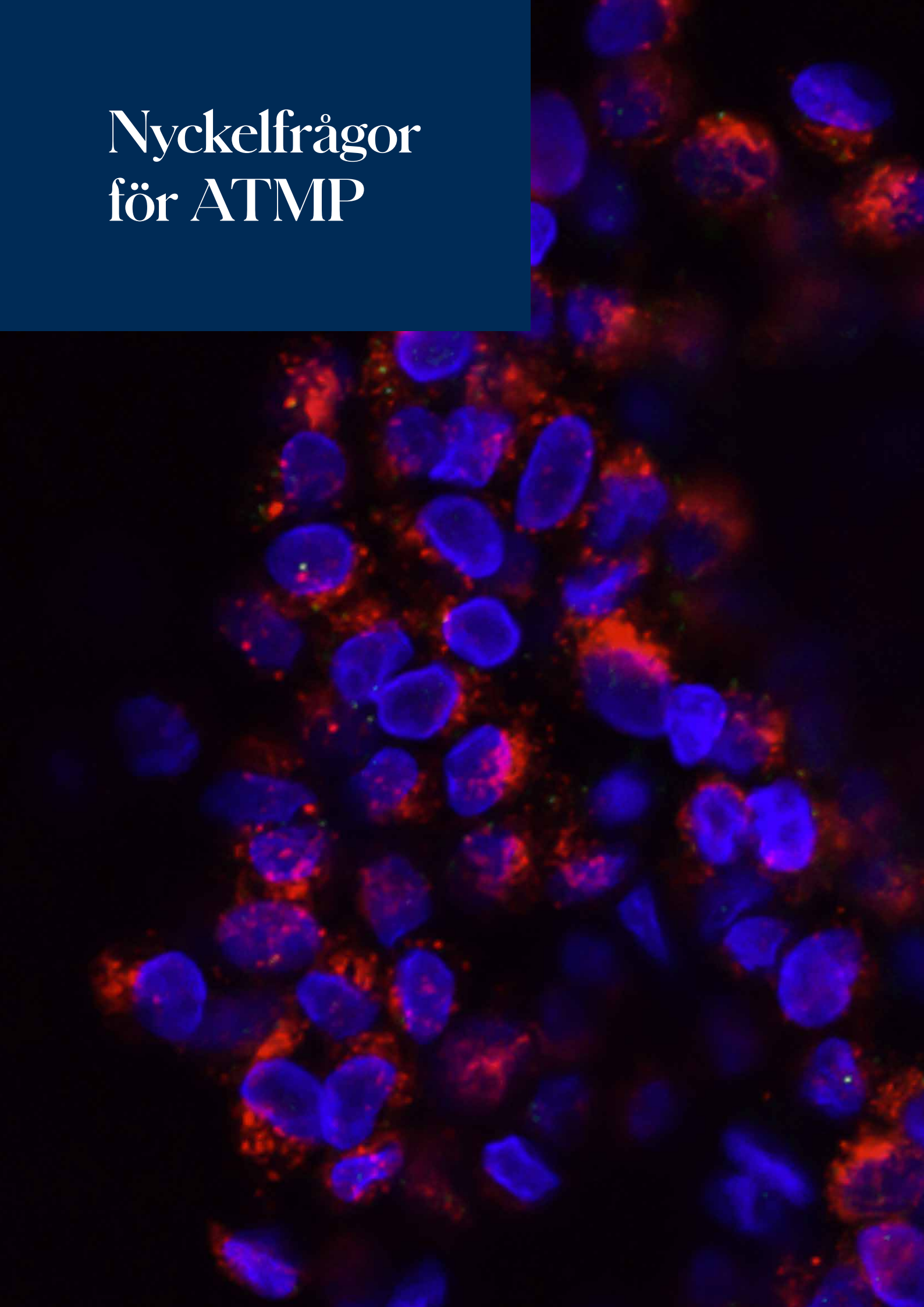
Vid ärftliga sjukdomar i blod, ämnesomsättning och nervsystem (till exempel hemofili, cystisk fibros, Parkinsons sjukdom och muskelsjukdomar) finns förhoppningar om att engångsbehandlingar i framtiden ska kunna ersätta livslång mediciner.

Även ögon-, hjärt-, lung-, hormon- och hudsjukdomar skulle kunna behandlas mer effektivt genom gen- och cellterapi, exempelvis genom att reparera eller ersätta skadade och döda celler.

35 Vanhaeren, M. och medförfattare. (2025). *Advanced therapy medicinal products are coming of age: A pipeline analysis of the clinical trial landscape*. *Drug Discovery Today*, 30(10), 104459.

36 Citeline (2025). *The Annual Clinical Trials Roundup 2025. Key Global Trends and Data Revealed*. Nov 17, 2025.

# Nyckelfrågor för ATMP



## Nyckelfråga 1: Hållbara företag och ekonomiskt nytänkande

Det finns flera utmaningar kopplade till att skapa långsiktigt hållbara företag med förutsättningar för en fungerande affärsmodell inom ATMP-området. Utvecklingskostnaderna inom ATMP är mycket höga, processerna är långa och patientgrupperna är i dag ofta små (även om det finns förhoppningar om att ATMP kan komma att användas i bredare patientgrupper och för folksjukdomar i framtiden). Till exempel kan en ATMP-behandling kosta flera hundra gånger mer än behandling av samma tillstånd med en annan typ av läkemedel. Detta ställer krav på att ATMP-behandlingar ger bättre effekt vid ett behandlingstillfälle eller på annat sätt kan motiveras ur kostnadssynpunkt.

Även om ATMP visar stark klinisk effekt finns en risk att de samtidigt blir så dyra att sjukvården inte kan använda dem brett. En behandling behöver således inte bara uppvisa medicinsk effekt, utan även vara möjlig att producera på ett kostnadseffektivt och skalbart sätt. Därför behöver industrialisering, automatisering och skalbar produktion beaktas redan i de tidiga utvecklingsfaserna.

Det finns företag som gjort detta till sin affärsidé och utvecklat en produktionsplattform som på sikt förväntas ge lägre kostnader och bredare tillgänglighet till behandlingar som bygger på ATMP. För att ATMP-behandlingar ska kunna implementeras brett krävs inte bara tydlig klinisk effekt, utan också förmågan att utveckla och leverera behandlingarna till en kostnad som är hållbar för sjukvården.

Det finns hinder i de delar av värdekedjan där forskningsresultat ska övergå till kommersiella

produkter eller tjänster. Det finns flera exempel på ATMP-produkter som fått godkännande från den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) men ändå inte nått marknaden. I vissa fall har godkännande dragits tillbaka av företaget av kommersiella skäl. I dessa fall verkar företaget ha bedömt att försäljningen har varit, eller förväntas bli, för låg, vilket gjort att kostnadseffektiviteten inte bedömts vara tillräckligt hög. Höga administrativa kostnader och ersättningssystemens utformning i Europa och Sverige begränsar också investeringsviljan inom ATMP.

Sverige behöver en starkare koppling till europeiska och internationella kapitalstrukturer för att överbrygga gapet mellan klinisk utveckling och kommersialisering. EU:s finansieringsinstitutioner spelar en viktig roll i detta arbete. Det gäller särskilt Europeiska investeringsfonden, som tillhandahåller riskkapital till företag och fonder, och Europeiska investeringsbanken, som finansierar större investeringsprojekt genom lån.

Begränsad tillgång till finansiering utgör en av de största utmaningarna för de mindre läkemedelsbolagen, så även inom ATMP-området. Medel via de statliga forsknings- och innovationsfinansierarna finns främst i tidiga faser, medan senare faser och de dyrare utvecklingsstegen har svårare att attrahera investeringar eftersom utmaningar avseende affärsmodell, betalningsvilja och produktionskostnader utgör tydliga hinder. Ett exempel är att den europeiska och svenska marknaden har mindre tillgång till såddfinansiering och investeringar i tidig fas jämfört med USA. Det finns ungefär 80 procent mindre kapital i tidiga skeden och för så kallad såddfinansiering i Europa jämfört med USA.<sup>37</sup> Dessutom

37 Commission Staff Working Document – The EU Startup and Scaleup Strategy: Choose Europe to start and scale (SWD(2025) 138 final). Brussels, 28 May 2025.

## Nyckelfrågor för ATMP

påverkar bristen på tidigare framgångsrika ATMP-projekt potentiella investerare vilja att satsa på området.

Ett tydligt hinder inom ATMP är det så kallade *valley of death*, alltså gapet mellan forskning och marknad, där många projekt faller bort. Dagens situation är problematisk eftersom Sverige generellt inom life science-området har många små och underinvesterade bolag som fastnar i detta gap.

Inom ATMP-området hänger detta ihop med faktorer som att affärsmodellerna inom ATMP uppfattas som särskilt osäkra, att patientmålgruppen ibland är liten och otydlig, att det finns risk för allvarliga biverkningar och att det är svårt att planera produktion i stor skala. Flera faktorer påverkar möjligheten att attrahera investeringar, bland annat immateriella rättigheter, affärsmodeller, patientgruppens storlek, betalningsvilja, regulatoriska krav och utmaningar kring produktion och skalning. För att attrahera riskkapital behöver projekt i regel redan tidigt kunna visa att det finns en realistisk produktionsstrategi och en tydligt definierad patientgrupp för att investerarna ska vara intresserade. Finansieringen upplevs ofta vara för begränsad för att projekt ska kunna ta sig vidare till klinisk utveckling och kommersialisering. ATMP är ett område med hög riskprofil, vilket gör det extra viktigt att tidigt bedöma om projekt verkligen har investeringspotential.

EU har tappat konkurrenskraft inom kliniska prövningar, bland annat till följd av ett fragmenterat och komplext regelverk som gör det svårare och långsammare att genomföra multinationella prövningar.<sup>38</sup> En global genomgång av kliniska

prövningar inom cellterapi visar att området växer snabbt och domineras av USA, Kina och Europa. USA och Kina står för flest kliniska prövningar, medan Europa har en stark forskningsposition och en hög andel sena fas III-prövningar. Framsteg inom forskningen driver utvecklingen av ATMP mot bredare klinisk användning, samtidigt som det finns regionala skillnader i forskningsfokus och regulatoriska ramverk.<sup>39</sup>

Förutsättningar finns om omständigheterna är fördelaktiga. Samtidigt begränsas klinisk forskning i Sverige av faktorer som vårdköer och att sjukvården prioriterar ordinarie produktion framför forskningsaktiviteter och kliniska prövningar.

ATMP-behandlingarna är ofta mycket dyra initialt, men kan ge långsiktiga besparingar genom att ersätta livslång vård (även om kostnaden för själva behandlingen fortfarande är hög). Trots detta fångar dagens ersättningssystem inte alltid långsiktiga värden. Dessutom uppstår kostnader och besparingar i olika delar av samhället, vilket försvårar en helhetsbedömning. Kostnaderna belastar ofta regionerna, medan besparingarna tillfaller sjukförsäkringssystem eller vårdgivare utanför regionerna (till exempel i form av minskade kostnader för kommunal omsorg). Intäkter i form av skatteintäkter då patienter är tillbaka i arbete kommer staten till del.

Tidiga och träffsäkra insatser inom diagnostik och behandling kan minska kostnader i andra delar av vårdsystemet, samtidigt som de förbättrar patienternas hälsa och livskvalitet. Detta är kärnan i precision medicin, som innebär ett skifte från standardiserad behandling av stora patientgrupper

38 Draghi, M. (2024). *The future of European competitiveness: A competitiveness strategy for Europe*. European Commission, Brussels.

39 Wang M, et al (2026) *Global Panoramic analysis of clinical research in cell therapy: clinical trial landscape, marketed products, and regulatory trends*. *Front. Pharmacol.* 17:1715984.

till mer individanpassad diagnostik och behandling. Utvecklingen lyfts nu fram allt tydligare på nationell nivå, bland annat genom en nationell färdplan och ett regeringsuppdrag till Socialstyrelsen kring implementering av precisionshälsa.<sup>40</sup> ATMP utgör en central del av denna omställning, vilket också speglas i Region Stockholms handlingsplan för precisionsmedicin där ATMP ges ett särskilt fokus.<sup>41</sup>

ATMP-området handlar inte bara om enskilda terapier, utan om ett bredare ekosystem. Hållbara företag kan finnas inom exempelvis produktion, infrastruktur och teknikplattformar längs hela

värdekedjan att forska fram, utveckla och producera ATMP. Samtidigt är tillgången till kapital avgörande för alla aktörer inom ATMP-området och investeringar påverkas inte enbart av vetenskaplig kvalitet utan också av möjligheten att skapa en fungerande och lönsam affär. Det finns behov av nya finansieringsmodeller där man gör kalkyler för hur mycket sjukvården (och hela samhället) kan spara på att använda behandlingar som bara behöver ges en gång för att uppnå effekt (eng. pay-for-performance). Intäktsperspektivet får ofta mindre uppmärksamhet än kostnader och besparingar. Finansiering bör ses som en investering för att minska framtida vård- och omsorgskostnader.

---

## Nyckelfråga 2:

### Kreativa och multidisciplinära miljöer

---

Kreativa miljöer uppstår när människor, organisationer och utbildning samverkar nära genom täta och direkta interaktioner och gemensamma strukturer mot gemensamma mål. Interdisciplinär excellens, stark innovationsinfrastruktur, öppen samarbetskultur och satsningar på talangutveckling och utbildning är viktiga komponenter.

Ett exempel är att samarbete mellan aktörer från akademi och näringsliv genom hela utvecklingskedjan från forskning till patient kan bidra till nya lösningar som ökar produktiviteten inom forskning och utveckling och gör behandlingarna säkrare, till exempel genom att behandlingen träffar precis

rätt organ i kroppen. Det kan också förbättra produktkvaliteten och sänka produktionskostnaderna, se faktaruta. I sådana starka miljöer samverkar framstående aktörer och arbetar med ambitiös och framåtblickande (eng. blue sky) kravställning. Tillgången till unika prototyper, specialiserade material och reagens, tidiga analysmetoder samt avancerade modeller och relevanta metoder inom maskininlärning bidrar till att systemgränserna kontinuerligt förskjuts.

Erfarenheter från GeneNova, ett konsortium inom genterapi som samlar akademi och näringsliv, visar hur samverkan kan driva innovation. Konsortiet har

---

40 Regeringsbeslut 2025-11-20. Uppdrag till Socialstyrelsen att genomföra insatser för en jämlik och samordnad implementering av precisionshälsa. S2025/01973 (delvis)

41 Region Stockholm. Stockholmsregionens life science strategi. Precisionsmedicin.

## Nyckelfrågor för ATMP

sänkt produktionskostnaderna till nivåer som är cirka 70 gånger lägre än i traditionella processer och tre produkter har nått marknaden. Varje företag i konsortiet genererar intäkter inom sitt respektive produktområde, vilket visar att modellen kombinerar innovation med kommersiell hållbarhet.

Organisation och arbetssätt påverkar hur väl kreativa miljöer fungerar. Kortsiktig finansiering och fokus på enbart akademisk meritering kan begränsa inriktningen till snäva frågeställningar, minska tvärdisciplinäritet och translationell forskning och leda till försämrade innovationsförmåga. I praktiken spelar nätverk och samverkan mellan olika aktörer och miljöer en stor roll, där mindre aktörer ofta är beroende av kopplingar till större sammanhang. Kompetensförsörjning är ytterligare en viktig aspekt. Förutom framstående forskare behövs även teknisk och operativ kompetens, till exempel inom produktion och utveckling. Träning och utbildning på grundutbildnings-, avancerad- och vidareutbildningsnivå bör vara en integrerad del av miljöerna.

Arbetet med att skapa kreativa och multidisciplinära miljöer inom ATMP bygger på erfarenheter från både nationella och internationella satsningar. I Sverige finns redan flera etablerade innovationsmiljöer och ATMP-verksamhet vid universiteten i Stockholm, Uppsala, Göteborg, Lund, Linköping, Örebro och Umeå. Dessa har även kopplingar utanför Sverige.

Sverige har ett antal större miljöer som samlar många olika aktörer inom ATMP-området i Stockholm–Uppsala, Västra Götaland–Oslo respektive i Skåne–Köpenhamn. Dessa miljöer samlar flera universitet, akademiska sjukhus och bioteknikföretag och kan på så sätt arbeta tvärs över hela värdekedjan från forskning till klinisk tillämpning. Två av miljöerna inkluderar aktörer från nordiska grannländer.

Innovation drivs både av konkurrens och samverkan. Erfarenheter visar att öppen innovation,

där flera aktörer samverkar och testar flera idéer parallellt, kan skapa synergier och stärka utvecklingen. Samtidigt måste arbetssätt och organisationer kunna hantera att nationella och regionala aktörer ibland har överlappande roller. Det är viktigt att tidigt etablera samarbete mellan forskningsbaserad innovation (som till exempel kan kanaliseras via ATMP-centra) och företag för att projekt ska kunna växa och på sikt ta fram behandlingar som kan implementeras i vården. Högspecialiserad vård fungerar samtidigt som drivkraft för forskning och innovation, där nationellt och internationellt samarbete ger möjlighet att utveckla och införa avancerade terapier inom bredare patientgrupper.

Erfarenheter från arbete med sällsynta sjukdomar visar också att integrerade miljöer, där forskning, klinik och teknik kombineras, är viktiga för både kunskapsutveckling och för patienterna. Det visar också att avancerade terapier kräver nya strategier och arbetsmodeller där högspecialiserad klinisk medicin kombineras med experimentell forskning. Detta kräver en systemansats där helheten är större än delarna. Den medicinska professionen bör även vara delaktig i beslut och utveckling. Detta förutsätter ett kontinuerligt engagemang i vården, inklusive tillgång till nödvändiga resurser. Multidisciplinära miljöer främjar både basala upptäckter och avancerad diagnostik och behandling, vilket kräver systematiskt samarbete och aktivt engagemang från den medicinska professionen. Integrerad datahantering, patientcentrerad strategi och långsiktig lärandeprocess stärker kvalitet och effektivitet inom miljöerna.

Kreativa och multidisciplinära miljöer kräver inte bara finansiering utan också fungerande samverkan, tydliga strukturer, långsiktighet samt ett gott ledarskap.

## Nyckelfråga 3: Innovativa tekniker

Innovativa tekniker handlar om den tekniska utveckling som behövs inom ATMP. Utvecklingen av ATMP skiljer sig från andra läkemedel genom att processerna är mer komplexa och kostsamma samt att marknadsförutsättningarna i nuläget är mer osäkra. Det innebär att tekniska lösningar inte bara handlar om ny utrustning, utan också om engagemang från aktörer inom vården och optimering av hela utvecklings- och produktionskedjan. Det räcker inte att Sverige står starkt inom vetenskaplig excellens. Erhållen kunskap måste kunna utvecklas och översättas till industriell produktion.

Till exempel nämns etablering av teknikplattformar som en möjlighet för att återanvända och utveckla lösningar över flera tillämpningar, vilket skulle kunna minska kostnader och effektivisera processen. Tekniska lösningar för hantering av celler liknar de som finns för andra områden. I praktiken innebär det att samma tekniska metod och applikation kan användas för flera olika terapier eller produkter, vilket sparar tid och resurser. Detta kräver väl fungerande processer där forskning, klinik och näringsliv integreras och där logistik och arbetsflöden fungerar smidigt.

Digitalisering och datahantering är centrala komponenter för teknikutvecklingen. Digital infrastruktur gör det möjligt att hantera stora datamängder från forskning och kliniska prövningar, vilket stärker forskningen och ger aktörer inom näringslivet underlag för hållbara affärsmodeller.

Verktyg och tekniker som används för att studera, utveckla och producera såväl konventionella läkemedel som cell- och genterapier är ett område där Sverige har en stark global position. Flera svenska innovationer som från början har sin grund inom forskningen har med tiden utvecklats

till internationella företag. Dessa utvecklar inte läkemedel i sig, utan tekniken som gör det möjligt att forska fram, utveckla och tillverka dem. Denna typ av teknikbolag är ofta relativt enkel för investerare att riskbedöma, vilket innebär att de kan nå marknaden snabbare än företag som är inriktade på läkemedelsutveckling.

Efterfrågan på teknikplattformar väntas öka snabbt, eftersom ATMP kräver helt nya lösningar för produktion, kvalitetssäkring och logistik. Det gör att framtidens läkemedel kommer att produceras och kontrolleras på nya sätt, där teknik och industriella system blir avgörande.

Sveriges styrka ligger i ett brett ekosystem av företag som utvecklar dessa lösningar. Exempel är företag som tillverkar bioprocessutrustning, utrustning för separation av celler och biologiska material, bioreaktorer, lösningar för rening och automation respektive sterila komponenter. Dessa kan i framtiden även komma att utveckla tekniker specifikt för produktion av ATMP, även om detta inte är ett av deras segment i dag. Det finns också flera mindre teknikbolag som utvecklar nya metoder för cellodling, analys och kvalitetssäkring. Sverige har dessutom flera företag som är inriktade på analys och kontroll, där tekniken används för att mäta och kvalitetssäkra cell- och genterapier.

Sveriges historiskt starka kompetens inom avancerad teknik och instrumentutveckling är en strategisk fördel. Innovativa tekniker är inte bara verktyg, dessa tekniker utgör en grund för långsiktig konkurrenskraft och utveckling av såväl ATMP som andra avancerade terapier.

## Nyckelfråga 4: Den nya medicinen

Utveckling och införande av nya terapier förutsätter tillgång till väl utredda patienter. Den kliniska medicinen genomgår för närvarande ett systemskifte tack vare tekniksprång som innebär att storskaliga metoder kan användas för diagnostik (precisionsdiagnostik). Ett starkt exempel utgörs av genomiken som har potential att i stor skala identifiera patienter med sällsynta sjukdomar. På Karolinska universitetssjukhuset/Karolinska Institutet har en gränsöverskridande miljö byggts upp där helgenomsekvensering skräddarsys för olika kliniska frågeställningar genom att den kombineras med högspecialiserad klinisk medicin i integrerade, specialitetsövergripande, patientflöden där akademisk och klinisk personal arbetar sida vid sida. I denna multidisciplinära miljö identifieras nu grupper av patienter med många olika sällsynta sjukdomar tidigt i sjukdomsförloppet, vilket möjliggör individanpassade behandlingar och lägger grunden för kliniska prövningar.<sup>42</sup> Nya biologiska orsaker till sjukdomar klarläggs också, vilket ger potential för utveckling av helt nya terapier. Nya organisatoriska modeller behövs för att stimulera och framtidssäkra denna typ av miljöer som har potential att sammanföra avancerad sjukvård, forskning och innovation.

Nationella initiativ pågår för implementering av så kallad precisionsmedicin i vården, exempelvis universitetssjukhusregionernas gemensamma initiativ för precisionsmedicin<sup>43</sup> och ett regerings-

uppdrag till Socialstyrelsen att genomföra insatser för en jämlik och samordnad implementering av precisionshälsa.<sup>44</sup>

Ett annat exempel är att precisionsmedicin utvecklas i riktning mot så kallad precisionsprevention inom Region Skåne, med fokus på att förebygga sjukdom mer träffsäkert istället för att enbart behandla den. Inom detta arbete har man även utvecklat en snabb helgenomsekvenseringsmetod som möjliggör screening av större populationer, exempelvis för att identifiera risker och sjukdomstillstånd i ett tidigare skede.

En strategisk fråga handlar om var kliniska studier och prövningar genomförs, eftersom detta påverkar var bolag senare etablerar sig. Även det omvända förhållandet gäller, alltså att företag genomför kliniska prövningar i högre grad i länder där de förväntar sig ett snabbt upptag och implementering. För svenska aktörer är det viktigt att behålla kontroll över tekniska plattformar och centrala delar av utvecklingsprocessen för att värdeskapande och kompetens inte ska flyttas ut ur landet. Även om patientunderlaget är begränsat, kännetecknas Sverige av hög klinisk kompetens samt en attraktiv miljö för medicinsk forskning. Detta ger ytterligare stöd för att skapa plattformar som innefattar en kombination av kompetenser inom klinik, forskning och teknik inom ATMP.

42 Lindstrand et al: *The Genomic Medicine Center Karolinska 10-year report on genome sequencing for rare diseases and a strategy for stepwise clinical implementation*. *Genome Med.* (2026) Mar 30;18(1):30.

43 Region Skåne, Region Stockholm, Region Uppsala, Region Västerbotten, Region Östergötland, Region Örebro län och Västra Götalandsregionen. (2025). *Ökad precision tillsammans*.

44 Regeringsbeslut 2025-11-20. *Uppdrag till Socialstyrelsen att genomföra insatser för en jämlik och samordnad implementering av precisionshälsa*. S2025/01973 (delvis).

Det behövs en tillräcklig mottagarkapacitet inom sjukvården för att ge utrymme för kliniska studier och kliniska prövningar. Dessa ger patienter tillgång till nya behandlingar och stärker samtidigt kompetens och förståelse för ATMP inom sjukvården. De kan också öka möjligheterna för att forskningsinvesteringar förläggs till Sverige.

Varje år investerar läkemedelsbolag drygt 13 miljarder kronor i forskning och utveckling i Sverige. Av dessa medel går 5,2 miljarder (40 procent) till grundforskning. I Sverige görs kliniska prövningar inom cellterapi, vilket underlättar senare produktlanseringar och fungerar som modell för andra behandlingar. Klinisk forskning och kliniska prövningar är avgörande för svensk konkurrens- och attraktionskraft samt för den svenska innovationsförmågan.

Implementering i vården är en kritisk del av innovationskedjan. Det pågår arbete med att ställa om vården för att använda forskning och ny teknik i det dagliga arbetet, vilket skapar positiva effekter men också medför kostnader (till exempel för att införa ny teknik). Multidisciplinära miljöer som integrerar forskning, klinik och innovation har stor betydelse. Koncept som *first in healthcare*, förståelse av behandlingsrisker, integrering av diagnostik och behandling samt multidisciplinära miljöer skapar förutsättningar för att ATMP ska kunna utvecklas och implementeras effektivt.

Tillgången till användbara data är en central fråga inom svensk vård och forskning. Trots stora datamängder är informationen ofta svår att använda i kliniska miljöer eftersom den inte finns tillgänglig i rätt format eller i realtid. Detta gäller även de svenska kvalitetsregistren, där brist på data och varierande datakvalitet är ett återkommande problem (delvis på grund av att data ofta matas in manuellt). Liknande utmaningar finns internationellt, men Sveriges höga digitaliseringsgrad ger goda förutsättningar att hantera dem. Etiska och

#### FIRST IN HEALTHCARE

*First in healthcare* innebär att en ny medicinsk behandling, teknik eller metod för första gången används för behandling av patienter inom vården. Det sker ofta efter laboratorie- och djurstudier, när innovationen testas i en klinisk miljö. Det kan till exempel handla om nya läkemedel, medicintekniska produkter eller diagnostiska metoder. Begreppet används för att beskriva den tidiga introduktionen av innovationer i vården, där både nytta och risker fortfarande utvärderas i verklig klinisk användning.

En beskrivning av hur nya behandlingar introduceras och används i vården finns hos LäkeMedelsverket, se samlad information om *Så godkänns ett läkemedel*.

juridiska frågor kopplade till hälsodata, såsom opt-out-modeller och tolkning av EU:s dataskyddsförordning (GDPR), är andra viktiga aspekter. Den nya lagstiftningen avseende Europeiska hälsodataområdet (European Health Data Space) medger ett sådant opt-out-alternativ.

Kommunikation är viktig för att öka kunskapen om ATMP och tydliggöra Sveriges position. Detta gäller politiker, patientorganisationer och allmänheten.

# Önskad framtida riktning för ATMP



## Målbild

År 2035 har Sverige etablerat ett sammanhållet och internationellt konkurrenskraftigt ekosystem för ATMP där forskning, klinisk utveckling, näringsliv och vård samverkar i integrerade miljöer.

Sverige har etablerat sig som en attraktiv aktör inom ATMP-området, vilket stärker kompetensförsörjningen och bidrar till tillväxt. Vägen från vetenskaplig upptäckt till patientbehandling är kort, förutsägbar och effektiv. Detta gör att nya behandlingar snabbare når patienterna och stärker Sveriges attraktivitet för klinisk forskning, kliniska prövningar, investeringar och etableringar inom ATMP-området. Sverige är en stark och attraktiv aktör inom delar av ATMP, vilket gör att globala företag aktivt söker sig hit för samarbeten, investeringar och utveckling.

Innovationsmiljöer är organiserade i starka nationella och gränsöverskridande supermiljöer där aktörer inom medicin och teknik arbetar tätt tillsammans i gemensamma projekt. Dessa miljöer har tydliga roller och samordning och de är tillräckligt stora för att kunna skala upp nya lösningar snabbare och mer kostnadseffektivt. När tillräckligt många aktörer samlas uppstår en kritisk massa som gör att systemet blir mer resilient, robust och klarar störningar bättre.

Vården är en integrerad aktiv del av innovationssystemet, där data används säkert och strukturerat i realtid för att stödja utveckling, uppföljning och förbättring av behandlingar. Kliniska studier och införande av nya behandlingar är en naturlig del av vården genom samordnade arbetsätt och gemensamma regler. Det gör att patienter får tidigare tillgång till effektiva behandlingar och att onödiga eller ineffektiva insatser kan minska.

Det finns tydliga regelverk som stödjer innovation kopplat till ATMP, med snabbare och mer förutsägbara godkännandeprocesser både i Sverige och inom EU. Sverige driver aktivt på inom EU för

incitament som premierar innovation som leder till faktisk klinisk nytta. De regulatoriska systemen är samtidigt utformade för att möjliggöra kontinuerligt lärande och stegvis införande av nya behandlingar i vården.

Finansieringssystemet är utformat så att offentlig och privat sektor delar risk på ett strukturerat sätt, vilket gör att mer kapital kan mobiliseras till ATMP-projekt i alla utvecklingsfaser. Det leder till fler projekt, snabbare uppskalning och minskar risken för att lovande behandlingar inte når patienterna.

Sammantaget leder detta till att patienter får snabbare och mer träffsäkra behandlingar, särskilt vid allvarliga och svårbehandlade sjukdomar. Det bidrar också till lägre samhällskostnader genom färre komplikationer, kortare sjukdomsförlopp, mindre behov av långvarig vård och omsorg samt mer effektiv användning av vårdens resurser. Sverige stärker därmed både sin internationella konkurrenskraft och utvecklar ett mer hållbart och effektivt hälso- och sjukvårdssystem.

## Sex förslag för framtida utveckling av ATMP i Sverige

Detta avsnitt presenterar sex övergripande förslag för att stärka Sveriges konkurrenskraft inom ATMP, där varje förslag består av ett antal mer konkreta handlingspunkter. Utgångspunkten är att Sverige har goda förutsättningar att bli internationellt ledande inom delar av ATMP, genom stark forskning, klinisk expertis, avancerad sjukvård och ett till stora delar datadrivet ekosystem. Sverige har också hög kvalitet inom forskning, teknikutveckling och hälso- och sjukvård samt god samverkansförmåga, vilket skapar gynnsamma förutsättningar för utveckling och implementering. Samtidigt saknas i dag tillräcklig nationell samordning, en tydlig nationell inriktning och långsiktiga investeringar.

**FIGUR 3:** Förslagen täcker in alla steg i utvecklingsprocessen för ATMP.

<b>Grundforskning och idéfas</b>	Identifiera biologiska mekanismer och möjliga terapeutiska mål för att behandla en sjukdom.	
<b>Proof of concept</b>	Första experiment för att testa att idén fungerar i celler eller djurmodeller.	
<b>Preklinisk utveckling</b>	En kandidatprodukt testas för säkerhet, effekt och biologiska egenskaper.	
<b>GMP/ processutveckling</b>	Utveckling av en kontrollerad och reproducerbar tillverkningsprocess som följer de kvalitetskrav som gäller för läkemedel.	
<b>Regulatorisk rådgivning</b>	Dialog med myndigheter för att säkerställa att utvecklingen följer regelverken.	
<b>Klinisk fas I</b>	Produkten testas för första gången på människor. Fokus ligger på säkerhet och dosering.	
<b>Klinisk fas II</b>	Behandlingens effekt och lämplig dos utvärderas i en större patientgrupp.	
<b>Klinisk fas III</b>	Större studier genomförs för att bekräfta effekt och säkerhet, jämfört med standardbehandling.	
<b>Granskning inom EMA</b>	Den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) granskar data och lämnar en vetenskaplig rekommendation.	
<b>Formellt beslut</b>	EU-kommissionen fattar det juridiskt bindande beslutet om läkemedlet får marknadsföras i hela EU.	
<b>HTA/prisförhandling</b>	Nationella myndigheter bedömer kostnadseffektivitet och förhandlar om pris och införande i sjukvården.	
<b>Implementering i vården</b>	Sjukhus och andra aktörer inom vården bygger upp rutiner, utbildning och logistik för att kunna ge behandlingen.	
<b>Patientbehandling</b>	Patienten får ATMP-behandling under noggrann klinisk övervakning.	
<b>Långtids-uppföljning</b>	Alla patienter som fått ATMP-behandling följs över tid för att utvärdera långtidseffekt och eventuella sena biverkningar.	

Sverige kan inte vara ledande inom alla delar av ATMP. Resurserna behöver därför koncentreras till områden med starka miljöer och tydliga konkurrensfördelar. Särskild vikt bör läggas vid områden där det finns goda möjligheter att nå en internationell spetsposition och därmed en global marknad. Det förutsätter att resurser inte sprids över ett alltför stort antal initiativ. Mot denna bakgrund lämnar vi sex förslag till åtgärder, som också har bäring på varandra. Flera av förslagen bedöms kunna skapa betydande värden för hela life science-sektorn. Genomförandet behöver präglas av hög ambition, offensiv kraft och ett tydligt fokus på att omsätta idéer i konkreta resultat.

Det finns ingen inbördes prioritering mellan förslagen, alla behöver genomföras och arbetet bör starta omedelbart:

- Stärk utvecklingen av teknikplattformar
- Den nya medicinen: ställ om vården och hantera data bättre
- Satsa på supermiljöer och kreativa innovationsmiljöer
- Stärk finansieringen och skapa en bättre investeringsstruktur
- Utveckla regelverk och regulatorisk innovation
- Stärk EU- och nationella incitamentsstrukturer för innovation

**FIGUR 4:** Förslagen täcker in alla områden kring en patient som får ATMP-behandling.



I genomförandet av de sex förslagen skulle en ökad samverkan mellan flera departement vara en fördel. Det skulle särskilt vara värdefullt med större samarbete mellan de departement som är ansvariga för forskning, hälso- och sjukvård, näringsliv och finansiering. Det skulle stärka Sveriges position genom att Sverige i högre utsträckning kan agera samlat och bidra till en samlad nationell strategi. Det underlättar även för övriga aktörer i systemet,

eftersom mer enhetliga signaler då kan ges till de myndigheter som lyder under regeringen.

Men behovet av stärkt samverkan gäller inte enbart Regeringskansliet. Alla aktörer inom ATMP behöver arbeta mer samarbetsinriktat och prestigelöst. Det handlar inte bara om att införa nya strukturer, utan om att i grunden förändra arbetssätten och faktiskt samarbeta över gränserna.

---

## Förslag: Stärk utvecklingen av teknikplattformar

---

Sverige bör stärka utvecklingen av teknikplattformar som kan återanvändas över flera ATMP-applikationer (se nyckelfrågan om innovativa tekniker för beskrivning och exempel på teknikplattformar).

Fokus bör ligga på diagnostik, cellteknologi och så kallade branschagnostiska produktionssystem (där tekniska lösningar fungerar i flera branscher) för att lösa utmaningarna kring effektivitet i produktionen.

Konkreta handlingspunkter för att stärka utvecklingen av teknikplattformar:

- **Stöd uppbyggnaden av nationella teknikplattformar inom ATMP** genom att befintlig forskning och industriell kompetens samlas i framväxande plattformar som utformas för återanvändning över flera terapier och sjukdomsområden. Ansvar ska delas mellan universitet, industripartners och nationella statliga och privata forskningsfinansiärer.
- **Etablera tvärandustriella samarbeten** där medicin, teknik och näringsliv samverkar med inspiration från liknande internationella modeller. Detta görs genom gemensamma forsknings- och utbildningsmiljöer samt näringslivs-

relevanta testmiljöer och tekniska sandlådor där både utbildning och teknikutveckling integreras för att stödja utvecklingen av ATMP. Ledande universitet, framstående forsknings- och teknikinfrastrukturer och företrädare för relevanta företag ska vara centrala aktörer.

- **Harmonisera processer** och skapa förutsättningar för teknisk anpassning och återanvändning av existerande lösningar (eng. repurposing) för att minska kostnader och öka skalbarheten inom ATMP. Detta bör framför allt omfatta processer som rör automation, odling, sensorteknik, bioproduktion och digitala kontrollsystem. Ansvar ska ligga hos en kombination av aktörer inom näringslivet, relevanta myndigheter och nationella ATMP-centra.

På kort sikt handlar implementeringen om att identifiera och samla befintliga tekniska styrkeområden inom diagnostik, cellteknologi och produktion samt om att initiera gemensamma pilotprojekt mellan akademi och näringsliv. Fokus bör ligga på att koppla samman befintliga aktörer snarare än att bygga helt nya strukturer och på att testa hur tekniska lösningar kan återanvändas över olika ATMP-tillämpningar.

I ett nästa steg kan mer strukturerade teknikplattformar byggas upp, där diagnostik, cellodling, automation och produktionssystem integreras i gemensamma miljöer. Samverkan med industriaktörer som tar fram produktionsanläggningar och andra aktörer inom näringslivet bör fördjupas, särskilt inom områden som sensorteknik, automation och bioprocesser. Processer bör harmoniseras för att möjliggöra uppskalning. Tvärandustriella samarbeten bör etableras som ett praktiskt och obligatoriskt arbetssätt. Infrastruktur och löpande kostnader för reagenser vid produktion av ATMP är höga och behöver finansieras inom såväl utbildning och forskning, från grundnivå till avancerad nivå och livslångt lärande. Sådan finansiering har visat sig vara viktig för att locka läkemedelsbolag och stärka samverkan

mellan akademi och näringsliv. Exempel på detta är NIBRT i Dublin och iBET i Lissabon, två forsknings- och utbildningsmiljöer inom biofarmaci som har nära koppling till aktörer inom näringslivet och fungerar som viktiga mötesplatser för kompetens, utbildning och utveckling.

På tio års sikt bör Sverige ha utvecklat robusta, skalbara och återanvändbara teknikplattformar som kan användas i flera typer av avancerade ATMP-behandlingar. Dessa plattformar, exporterbara produkter och tjänster bör fungera som en bas för både nationell och internationell utveckling av ATMP och ha förutsättningar att kraftigt reducera utvecklingskostnader och korta ledtider.

---

## Förslag: Den nya medicinen – ställ om vården och hantera data bättre

---

Vården bör utvecklas mot multidisciplinära miljöer där diagnostik, behandling, kliniska studier och kliniska prövningar hänger ihop och är integrerade med forskning och innovation.

Storskaliga data behöver kunna användas i realtid i vården och integreras med klassiska vårddata enligt gemensamma standarder, för att möjliggöra multimodala analyser, återanvändning och vidare delning av data med omgivande aktörer. Tillgång till data och datahantering måste integreras tidigt i forsknings- och utvecklingsprocesser och skalbara system för patientdata och processutveckling är avgörande för framtidens avancerade terapier. Det europeiska hälsodataområdet (EHDS, European Health Data Space), samt möjligheten att använda pseudonymiserade hälsodata skulle i framtiden

kunna påskynda och underlätta tillgång till och användning av hälsodata.

Frågan om den nya medicinen behöver angripas steg för steg, eftersom vården omfattar många olika typer av verksamheter och vårdnivåer med sinsemellan olika behov. Särskild hänsyn behöver tas till den nya medicin som uppstått tack vare utvecklingen av modern storskalig teknik för diagnostik och nya avancerade terapier, eftersom dessa förutsätter tillgång till avancerad infrastruktur som inte kan bäras av regionerna. Staten bör ta ansvar för att säkerställa långsiktig, nationell kraftsamling för att förverkliga denna nya medicin, som förutsätter sömlöst samarbete mellan akademi och sjukvård och där universitets-sjukhusen har en nyckelroll.

## Önskad framtida riktning för ATMP

Sverige behöver bli bättre på implementerings-evidens och på att utveckla modeller för hur värdet av nya behandlingar ska bedömas och finansieras. Här kan ATMP fungera som ett pilot-område för bredare förändringar inom hälso- och sjukvården.

I dag saknar vården tydliga uppdrag kopplade till innovation, kommersialisering och regional utveckling. För att lyckas ställa om vården behöver flera nyckelaktörer inom hälso- och sjukvården få ett bredare uppdrag som även omfattar implementering av innovation.

Konkreta handlingspunkter för den nya medicinen där vården ställs om och data hanteras bättre:

- Integrera klinisk expertis i innovations- och utvecklingsarbete. För att minska gapet mellan forskning och klinik behöver strukturer och organisationssätt som frigör tid för kliniskt verksamma personer att delta i utvecklingsprojekt införas. Detta kan ske genom dedikerade tjänster, kliniska innovationsenheter och incitamentsystem. Universitetssjukhus och regioner bör vara ansvariga.
- Skapa nationella prövningsnätverk och lärande vårdstrukturer. Sverige bör etablera strukturer som kopplar samman screening, diagnostik, behandling och uppföljning i samma system. Sådana strukturer möjliggör snabbare kliniska studier och en kontinuerlig förbättring av vården. Universitetssjukhusen och regionerna är viktiga aktörer för att organisera och implementera detta. Staten behöver stödja denna typ av regionövergripande, nationella initiativ.
- Stärk den nationella digitala infrastrukturen genom att utveckla gemensamma dataplattformar som möjliggör insamling, standardisering och sekundäranvändning av hälsodata. Systemen ska stödja realtids-

analys och lärande vård. Ansvar ska ligga hos regionerna, Socialstyrelsen och e-Hälsomyndigheten i samverkan med akademien. Detta ligger i linje med pågående svenskt arbete med anpassning till det europeiska hälsodataområdet, EHDS. Detta arbete driver utvecklingen av nationell infrastruktur för hälsodata, ökad inter-operabilitet och gemensamma standarder. Syftet är att göra hälsodata mer tillgängliga och användbara över region- och systemgränser, för att möjliggöra bättre vård, stärkt forskning och ökad innovation.

På kort sikt ska implementeringen fokusera på att stärka infrastrukturen för vårddata, etablera gemensamma standarder, identifiera hinder i dagens regelverk och påbörja pilotprojekt för realtidsbaserad datainsamling i utvalda regioner. Samtidigt etableras testmiljöer för den nya, multidisciplinära medicinen med sömlös samverkan mellan akademi och sjukvård och ökad klinisk involvering i innovationsarbete.

Under de följande tre åren kan nationella datainfrastrukturer byggas upp till stöd för standardiserad insamling, delning och sekundäranvändning av hälsodata (i linje med svensk anpassning till EHDS). Dessa datainfrastrukturer ska kopplas till nationella prövningsnätverk där screening, diagnostik, behandling och uppföljning integreras i ett system som stöder lärande, verksamhetsutveckling och forskning. Vården ska stegvis utvecklas mot en mer datadriven och multidisciplinär struktur med sömlös samverkan mellan akademi och universitetssjukvård.

På tio års sikt skulle vi vilja se att den svenska vården har utvecklats till ett fullt integrerat lärande system där klinik, forskning och innovation är sammanlänkade i realtid. Data ska kunna användas kontinuerligt för att förbättra behandlingar, ge förutsättningar för precisionsmedicin och stödja både kliniska beslut och systemutveckling.

## Förslag: Satsa på supermiljöer och kreativa innovationsmiljöer

Sverige ska utveckla ett begränsat antal starka supermiljöer som interagerar och kopplar samman befintliga innovationsmiljöer inom ATMP, med målsättningen att attrahera EU-finansiering för dessa miljöer. Syftet är att skapa kritisk massa, bättre samordning och tydlig specialisering. Supermiljöerna bör bygga vidare på befintliga strukturer snarare än att ersätta dem. I gränsöverskridande miljöer, där svenska och norska eller danska aktörer samverkar, är det viktigt att båda parter bidrar med investeringar.

Supermiljöer blir allt mer attraktiva för både investeringar och kompetensförsörjning. Vi ser en tydlig trend internationellt där innovationsverksamhet i allt högre grad organiseras i större, mer sammanhållna och starka miljöer.

Inspiration till supermiljöerna kan hämtas från en modell som används internationellt, "nav och ekrar" (eng. hub and spoke). Modellen kallas så eftersom den beskriver en centraliserad nätverksstruktur där en central nod ("hub" eller nav) är ansluten till flera perifera noder ("spokes" eller ekrar). Navet håller ihop verksamheten och ekrarna sprider sig ut från navet i det dagliga och tillämpade arbetet. Målet är att få både bra samordning och närhet till det operativa arbetet samtidigt.

En hub and spoke-modell för en nationell industriplattform inom ATMP skulle innebära centrala nav som tillhandahåller avancerad infrastruktur och stöd för produktion, till exempel tillverkningsmoduler, laboratorier för kvalitetskontroll, kvalitets-säkring, digital spårbarhet och fryshantering. Runt dessa nav skulle det finnas flera mindre enheter som står för det kliniska arbetet, till exempel sjukhusens ATMP-centra och akademiska grupper. Dessa skulle hantera patientrekrytering,

provtagning, behandling, uppföljning samt tidig utvärdering av nya metoder och behandlingar. Modellen skulle göra det möjligt för avancerad produktion och kliniskt arbete att samverka effektivt i ett gemensamt system. Supermiljöer skulle också kunna fungera som nationella nav för kliniska prövningar och skapa enklare, snabbare och mer samordnade processer.

Konkreta handlingspunkter för att satsa på supermiljöer och kreativa innovationsmiljöer:

- **Formalisera tre nationella supermiljöer och integrera befintliga miljöer.** Detta innebär att dagens tre områden Stockholm-Uppsala, Västra Götaland-Oslo och Skåne-Öresund utvecklas som huvudnoder, där befintliga miljöer inom andra universitetsorter och innovationsplattformar kopplas in i strukturerade nätverk. Nationell koordinering behövs för att tydliggöra roller, specialisering och ansvar mellan supermiljöerna och för att samordna det nordiska samarbetet inom vissa av miljöerna. Ansvar för samverkan bör ligga på en styrelse där till exempel företrädare för universitetssjukhusen och regionerna kan medverka med finansiellt stöd från exempelvis Vinnova och Tillväxtverket. Finansiering kan även sökas från EU:s strukturfonder via Tillväxtverket. Samverkan säkerställer att verksamheter inte avvecklas eller fasas ut innan utvecklingen har nått tillräcklig mognad, samtidigt som den skapar förutsättningar för att olika arbetssätt kan prövas parallellt i ett tidigt skede. När utvecklingen senare har nått en mer etablerad fas bör parterna gemensamt ta ställning till om vissa delar av verksamheten bör koncentreras till en gemensam plats. Särskild omsorg ska läggas på att bygga upp

Önskad framtida riktning för ATMP

koordineringen mellan supermiljöerna på ett sådant sätt att den får legitimitet i hela ATMP-systemet och så att ledningspersonerna har ett brett förtroende inom sektorn.

- **Utveckla gemensamma arbetssätt** och organisera supermiljöerna så att medicin, teknik, data och näringsliv samverkar i gemensamma projekt istället för att arbeta var för sig i separata funktioner och strukturer. Detta kräver etablering av gemensamma teknik- och projektplattformar, tvärdisciplinära team och prövarnätverk. Universitetssjukhus, akademi och aktörer inom näringslivet behöver involveras i arbetet.
- **Inför en tydlig roll- och ansvarsfördelning mellan aktörer** för att undvika fragmentering. Nationella initiativ, såsom forsknings- och teknikinfrastrukturer och plattformar, samt regionala aktörer bör ha tydligt definierade roller och mandat inom forskning, klinik, produktion och innovation. Även forsknings- och sjukdomsområden behöver successivt fördelas mellan de olika supermiljöerna för att skapa kritisk massa, internationell konkurrenskraft och kompletterande styrkor. Exakta områden kan inte pekats ut i nuläget, men bör utvecklas och formas över tid i samverkan mellan supermiljöerna.
- **Etablera en nationell funktion som underlättar för finansiärer att hitta investeringsmöjligheter** genom att skapa en permanent funktion som kopplar ihop svenska ATMP-projekt med internationella investerare och strukturerar dem så att de blir investeringsklara. Sverige behöver också bygga nationella strukturer som hjälper företag att komma in i svenska och internationella investerarnätverk. Till exempel kan den nationella funktionen arbeta med data, immaterialrätt och regulatorisk strategi och utforma projekten så att de kan jämföras med internationella

investeringsstandarder. Viktiga aktörer i ett sådant arbete är Vinnova och innovationskontor vid universiteten.

På kort sikt handlar genomförandet om att tydliggöra och kartlägga befintliga innovationsmiljöer i Sverige och angränsande regioner och skapa en gemensam bild av hur de hänger ihop och adderar värde. Det innebär att pågående initiativ i Stockholm–Uppsala, Västra Götaland och Skåne–Öresund inventeras och att överlapp, luckor och styrkor identifieras. Parallellt ska en enkel nationell samordningsfunktion mellan regioner, universitetssjukhus och innovationsaktörer etableras för att börja arbetet med att minska fragmentering och stärka samverkan. Detta skulle kunna åstadkommas genom att förstärka det befintliga initiativet *Cell & Gene Therapy Sweden*, eller den samverkansstruktur mellan Sveriges universitetssjukvårdsregioner som syftar till att stärka samarbete inom högspecialiserad vård, forskning, utbildning och innovation (SUHA, Samverkan för universitetssjukvård och högspecialiserad vård).

Under de kommande åren ska tre supermiljöer formaliseras som organisatoriska och strategiska nav där flera akademier, akademiska sjukhus och aktörer inom näringslivet kopplas samman mer systematiskt. Befintliga miljöer ska integreras i dessa strukturer och kompletteras med tydligare roller, särskilt kring kliniska prövningar, datadriven innovation och industriell utveckling. Fokus ska ligga på att skapa fungerande nätverk snarare än nya fysiska strukturer, där särskild omsorg läggs på att bygga upp interoperabilitet och gemensamma arbetssätt.

På sikt vill vi se att supermiljöerna utvecklas till fullt integrerade innovations- och implementeringsmiljöer där hela värdekedjan från forskning till klinisk användning och industriell produktion är sömlöst sammanlänkad. Sverige fungerar då som ett system av samverkande noder med internationell attraktionskraft där nya terapier inom ATMP kan utvecklas, testas och implementeras i samma ekosystem.

## Förslag: Stärk finansieringen och skapa en bättre investeringsstruktur

För att stärka ATMP-området krävs bättre samspel mellan offentlig och privat finansiering samt minskad risk för investerare. Fokus bör ligga på att mobilisera kapital snarare än att skapa nya kostnadsstrukturer och på att göra sena utvecklingsfaser mer attraktiva. Systemet behöver därför kombinera riskdelning, långsiktiga incitament och bättre koppling mellan utveckling och faktisk betalningsförmåga i vården. För verklig långsiktig framgång behövs också en uppdatering av det värdebaserade ersättningssystemet, för att bättre anpassa det till nya typer av behandlingar.

Långsiktig utveckling inom ATMP kräver privat kapital, fungerande affärsmodeller och investerare som involveras tidigt i processerna. Om investeringar uteblir riskerar satsningarna att falla, trots god forskning och lovande projekt.

Konkreta handlingspunkter för att stärka finansieringen och skapa en bättre investeringsstruktur:

- **Utveckla resultatbaserade ersättnings- och betalningsmodeller** genom att införa betalningsmodeller där ersättning kopplas till faktisk klinisk effekt över tid, särskilt för engångsbehandlingar och avancerade terapier. Detta kräver strukturer för uppföljning av utfall i register samt avtal mellan regioner och företag som delar risk mellan vård och näringsliv. TLV och regionerna kan vara centrala aktörer tillsammans med aktörer inom näringslivet.

- **Skapa förutsättningar för uppskalning och produktion.** För att göra det lättare att investera i dyr produktionsutrustning kan staten utreda möjligheterna att ge kreditgarantier eller andra stöd som minskar risken vid byggnation av anläggningar och uppskalning enligt de regelverk som styr hur läkemedel och avancerade terapier ska tillverkas på ett säkert och kontrollerat sätt (eng. GMP). Det skulle göra det lättare för banker och privata investerare att finansiera industriell uppskalning av ATMP. Riksgälden kan vara ansvarig för kreditgarantier vid större industriella investeringar, medan Europeiska investeringsbanken (EIB) kan komplettera med lån och riskdelning för mindre aktörer. Detta ligger i linje med att EIB och Europeiska kommissionen har aviserat en gemensam satsning inom ramen för *TechEU* för att mobilisera cirka 10 miljarder euro i investeringar till Europas biotekniksektor under 2026–2027.<sup>45</sup>
- **Inför försäkringslösningar kopplade till leverans- och behandlingsrisk** genom att utveckla försäkringsmodeller som täcker risker i leveranskedjan (till exempel kopplade till logistik och spårbarhet) samt modeller där betalning delvis återbetalas om behandlingen inte ger förväntad effekt. Detta skulle minska osäkerheten för vårdgivare och finansörer och kan öka viljan att införa nya ATMP-baserade terapier. Staten skulle kunna utveckla dessa modeller tillsammans med försäkringsbolag, regioner och aktörer inom näringslivet.

45 European Investment Bank (2025). *European Commission and EIB Group announce new initiative to mobilise €10 billion investment for Europe's biotech sector*. Länk: [www.eib.org/en/press/news/european-commission-and-eib-group-announce-new-initiative-to-mobilise-eur10-billion-investment-for-europe-s-biotech-sector](https://www.eib.org/en/press/news/european-commission-and-eib-group-announce-new-initiative-to-mobilise-eur10-billion-investment-for-europe-s-biotech-sector)

- **Etablera offentlig-privata saminvesteringsmodeller.** Staten kan bära en del av den finansiella risken under tidiga och särskilt osäkra investeringsfaser, i syfte att reducera investeringsosäkerheten och därigenom stimulera inflödet av privat kapital till såväl ATMP-området som till innovativa life science-projekt mer generellt. Ett instrument för riskdelning kan vara portföljbaserade fonder med förstaförlustliknande strukturer, där offentliga medel tar första risken medan privata aktörer står för huvuddelen av kapitalet och erhåller den största delen av eventuell avkastning. Instrumentet kan också utformas med andra former av riskdelning. Det finns två nivåer för dylika strukturer. Det ena är en fond-i-fond-nivå, där offentliga medel kan kanaliseras till underliggande investeringsfonder. Det andra är en fondnivå där de faktiska investeringarna görs. Riskdelning mellan offentliga och privata aktörer kan tillämpas på båda nivåerna. Förvaltningsansvaret för de underliggande investeringsfonderna bör tillkomma professionella förvaltare, med tillgång till institutionellt kapital från såväl offentliga som privata källor.

Någon form av offentlig-privat saminvesteringsmodell skulle även kunna användas för att stärka den statliga samfinansieringen av sena kliniska studier och övergång till marknad. Om de skulle tillämpas i sena faser och implementeringsstudier, där risken är hög men samhällsnyttan stor, skulle beroendet av privat kapital i den mest kapitalintensiva delen av utvecklingen minska. Det skulle i sin tur öka sannolikheten att fler svenska projekt når marknaden, till gagn för samhällsnyttan.

På kort sikt ska fokus ligga på att identifiera kapitalgap (särskilt i sena utvecklingsfaser) och på att utveckla pilotmodeller för riskdelning mellan offentlig och privat sektor. Samtidigt ska arbetet påbörjas med att designa garantimodeller, saminvesteringsstrukturer och nya ersättningslogiker i dialog mellan stat, regioner och investerare.

Under de följande åren kan mer strukturerade finansieringsinstrument implementeras, där staten agerar riskdelare genom fonder och garantier som mobiliserar privat kapital. Sverige och svenska bolag ska kopplas tätare till europeiska finansieringsinstrument och strukturer för att stödja bolag genom uppskalning bör etableras. Resultatbaserade ersättningsmodeller ska kunna börja införas i vården.

På tio års sikt skulle vi vilja se att det finns ett sammanhängande finansieringssystem som täcker hela värdekedjan från tidig forskning till kommersiell produktion. Offentlig och privat sektor kan dela risk på ett strukturerat sätt, så att finansiering inte längre utgör ett avgörande hinder för utvecklingen av ATMP i Sverige.

### **Det finns utrymme att utforma åtgärder i linje med statsstödsregler**

En stärkt finansiering och förbättrad investeringsstruktur för ATMP behöver utformas i enlighet med EU:s statsstödsregler. Erfarenheter från flera medlemsstater visar att regelverket i praktiken medger ett betydande handlingsutrymme, förutsatt att åtgärderna utformas på ett genomtänkt sätt.

Statsstödsfrågor aktualiseras när offentliga insatser ger företag en selektiv ekonomisk fördel på villkor som inte är marknadsmässiga, till exempel om staten tar större risk utan motsvarande ersättning i saminvesteringsmodeller eller erbjuder garantier och försäkringar till underpris. De kan också uppstå vid riktade stöd till enskilda företag, överfinansiering i sena utvecklingsfaser eller när flera stöd kombineras och leder till överkompensation. Det finns inget som talar för att ett land måste avstå från denna typ av stöd, men instrumenten behöver utformas inom ramen för etablerade EU-rättsliga regelverk.

Flera länder har visat att detta är möjligt. I Belgien och Nederländerna kanaliseras offentliga

investeringar i ATMP i hög grad genom forskningsinfrastruktur, akademiska centra och öppna plattformar. Detta bidrar till att minska risken för selektivt statsstöd och skapar mer robusta och öppna innovationsmiljöer. I Spanien integreras delar av utveckling och produktion av ATMP i hälso- och sjukvårdssystemet, vilket gör att finansieringen sker inom ramen för det offentliga vårduppdraget istället för som direkt företagsstöd. Dessa modeller illustrerar att statsstödsreglerna inte utgör ett hinder i sig, utan snarare ställer krav på hur insatserna utformas.

Mot denna bakgrund bör en mer detaljerad analys göras i den slutliga utformningen av förslagen, men inriktningen kan redan nu vara att utnyttja det handlingsutrymme som finns inom regelverket. Här anges främst en övergripande inriktning snarare än fullständigt färdiga och detaljerade förslag.

En preliminär bedömning är att flera av delförslagen har låg statsstödsrisk. Resultatbaserade ersättningsmodeller betraktas normalt som betalning för faktisk vårdnytta och faller därmed utanför statsstödsreglernas tillämpningsområde, särskilt när de tillämpas transparent via etablerade aktörer som TLV. Samarbete med Europeiska investeringsbanken och Europeiska investeringsfonden sker inom redan godkända ramar och innebär därför begränsad risk. Även nationella samordnings- och

matchningsfunktioner, exempelvis genom Vinnova, kan utformas så att de inte innebär selektiva ekonomiska fördelar. Försäkringslösningar kan i många fall hållas inom låg risk om premier sätts marknadsmässigt.

Andra delförslag kräver större eftertanke, men är samtidigt fullt genomförbara inom regelverket. Offentlig-privata saminvesteringsmodeller där staten tar en del av den initiala risken används redan i flera EU-länder. De förutsätter dock att villkoren speglar praxis inom marknaden, till exempel genom att avkastningen anpassas efter risk. Statligt stödda garantimodeller kan vara förenliga med reglerna om avgifter sätts i linje med faktisk risk. Statlig medfinansiering av sena kliniska studier ligger närmare marknaden, men kan struktureras inom EU:s regler för forskning, utveckling och innovation givet att principer om proportionalitet och undvikande av överkompensation tillämpas.

Erfarenheter från andra medlemsstater visar alltså att fokus bör ligga på att utforma åtgärder i linje med statsstödsreglerna, snarare än att avstå från dem. En mer pragmatisk tillämpning med stöd till systemnivå, infrastruktur och riskdelning på marknadsmässiga villkor kan skapa förutsättningar för en mer offensiv investeringsstrategi även i Sverige.

---

## Förslag: Utveckla regelverk och regulatorisk innovation

---

Regelverken behöver utvecklas för att bättre stödja snabb innovation, internationell konkurrenskraft och nya typer av behandlingar.

Konkreta handlingspunkter för att utveckla regelverk och regulatorisk innovation:

- **Utveckla snabbare regulatoriska processer för ATMP i EU och Sverige.** Sverige ska arbeta mer aktivt inom EU för att göra godkännandeprocesserna för ATMP snabbare och mer förutsägbara. Det handlar både om att driva på utvecklingen av snabbspår för

## Önskad framtida riktning för ATMP

avancerade terapier och att stödja incitament som "snabbkuponger", där företag som får ett godkänt ATMP kan få förtur i granskningen av andra läkemedel (se separat förslag nedan). Syftet är att minska den regulatoriska tidsosäkerheten och skapa starkare drivkrafter för utveckling och investeringar i nya behandlingar. Detta kräver att svenska aktörer inte enbart anpassar sig till EU-processer, utan aktivt påverkar dem. Läkemedelsverket ska ta en ledande roll i det regulatoriska arbetet och driva frågor i europeiska myndighetsnätverk, medan Regeringskansliet ansvarar för den politiska samordningen och för att svenska positioner förs in i EU-förhandlingar. Samverkan med aktörer inom näringslivet är viktig för att säkerställa att incitamenten utformas så att de faktiskt får genomslag i utvecklingsbeslut och investeringar.

- **Skapa testmiljöer i vården** genom att bygga upp särskilda kontrollerade miljöer där nya terapier, arbetssätt och datadrivna lösningar kan prövas i liten skala innan de införs brett i vården. Syftet är att påskynda lärande, ge bättre möjligheter att utvärdera regelverk i praktiken och stegvis anpassa både kliniska och regulatoriska processer i takt med att ny kunskap genereras. Detta är särskilt viktigt inom ATMP, där utveckling och implementering sker parallellt och där kliniska data snabbt behöver kunna återföras till både forskning och vård. Ansvaret ska ligga på Läkemedelsverket och TLV (regelverk) i nära samarbete med regioner och universitetssjukhus (klinisk miljö och patientnära genomförande). TLV ska kopplas in för att säkerställa att ersättnings- och införandefrågor kan hanteras parallellt, medan akademi och näringsliv bidrar med teknik, data och metodutveckling.
- **Tydliggör och harmonisera tolkning av befintliga regelverk.** Sverige ska minska den osäkerhet som i dag finns kring hur befintliga

regelverk tillämpas i klinisk innovation, särskilt när det gäller sjukhusundantaget och EU:s dataskyddsförordning (GDPR). Otydliga tolkningar skapar variation mellan länder, regioner och aktörer, vilket försvårar implementering av nya terapier och användning av hälsodata i forskning och utveckling. Detta kan åtgärdas genom att ta fram gemensamma nationella vägledningar som konkretiserar hur regelverken ska tillämpas i praktiken inom ATMP. Samtidigt behövs en tätare samordning mellan berörda myndigheter för att säkerställa en mer enhetlig tillämpning över landet och minska skillnader i praxis mellan regioner och vårdgivare. Läkemedelsverket ska ansvara för medicinsk och regulatorisk tolkning och Integritetsskyddsmyndigheten för frågor kopplade till dataskydd och sekundäranvändning av hälsodata.

På kort sikt ska implementeringen fokusera på att identifiera regulatoriska hinder och etablera dialog mellan svenska myndigheter och EU när det gäller olika processer som har betydelse för ATMP. Pilotprojekt för testmiljöer i vården kan initieras för att testa mer flexibla arbetssätt.

Under de kommande åren införs strukturerade testmiljöer i vården där nya terapier, data-användning och kliniska modeller kan testas i kontrollerade miljöer. Sverige ska arbeta aktivt inom EU för att påverka regelverk kring ATMP och hälsoekonomiska utvärderingar (HTA) och effektivisera de nationella processerna för kliniska prövningar.

På tio års sikt skulle vi vilja se att Sverige har ett adaptivt och innovationsvänligt regelverk där regulatorisk och klinisk utveckling är tätt integrerade. Godkännandeprocesserna är snabbare, mer datadrivna och bättre anpassade till ATMP.

## Förslag: Stärk EU- och nationella incitamentsstrukturer för innovation

För att öka utvecklingen av ATMP behöver Sverige aktivt använda och påverka EU:s incitaments-system och komplettera med nationella verktyg som gör det mer attraktivt att utveckla ATMP. Fokus ska ligga på att minska osäkerhet i godkännandeprocesser, öka förutsägbarheten och ge tydligare belöningar för innovation som leder till klinisk nytta. Detta kräver samordning mellan svenska myndigheter, EU:s institutioner och aktörer inom näringslivet för att säkerställa att incitamenten verkligen påverkar utvecklingsbeslut och investeringar.

Konkreta handlingspunkter för att stärka EU- och nationell incitamentsstruktur för innovation:

- **Inför en "snabbkupong" för ATMP.** Sverige ska arbeta för att företag som får ett ATMP-läkemedel godkänt av europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) kan få en "snabbkupong" som gör att ett läkemedel prövas snabbare. Det är viktigt att snabbkupongen innebär en kort handläggningstid hos läkemedelsmyndigheten och att denna snabbkupong är överlåtbar. Det innebär att det företag som utvecklar en ATMP och får den godkänd och erhåller marknadsgodkännande tilldelas en snabbkupong som företaget kan sälja till högstbjudande. Att komma ut på marknaden snabbare (kanske sex månader) kan ha ett mycket stort värde för vissa företag, som därför kan vara beredda att betala betydande belopp. ATMP-företaget säljer snabbkupongen och kan i många fall erhålla mer än hela utvecklingskostnaden. Svenska aktörer som Regeringskansliet och Läkemedelsverket behöver driva frågan inom EU:s arbete så att systemet fungerar i praktiken. Näringslivet ska också vara med tidigt för att säkerställa att incitamentet leder till fler investeringar i viktiga och kliniskt användbara behandlingar.
- **Skapa incitament för tidig klinisk användning.** Sverige ska införa stöd och fördelar för företag som genomför kliniska studier och tidigt inför sina behandlingar i svensk vård, till exempel snabbare införande i vården eller bättre ersättningsvillkor. Detta kan kopplas till att studier utförs i Sverige och att data samlas in i svenska vårdssystem. Ansvar ska ligga hos TLV och regionerna i samarbete med universitetssjukhusen.
- **Koppla godkännande och ersättning till faktisk patientnytta och datagenerering.** Incitament ska i högre grad baseras på att läkemedel och behandlingar inte bara godkänns, utan också följs upp i vården med strukturerade data och visar verklig klinisk effekt. För att detta ska fungera behöver EU:s hälsoekonomiska utvärderingar (HTA, inklusive gemensamma EU-bedömningar) och svenska kvalitetsregister kopplas samman så att effekterna kan följas över tid. Läkemedelsverket, TLV, EU:s HTA-samarbete och svenska kvalitetsregister ska samverka för att genomföra detta i praktiken.

På kort sikt kan implementeringen handla om att positionera Sverige i EU-arbetet med incitament som snabbkuponger. Analys av hur nationella incitament kan stärkas för att öka antalet kliniska studier i Sverige ska också göras. Dialog mellan myndigheter, regioner och näringsliv behöver intensifieras för att identifiera snabba förbättringar.

Under de kommande åren bör nationella incitament för klinisk implementering och datagenerering införas, samtidigt som Sverige aktivt anpassar sig till EU:s nya strukturer inom HTA. Kopplingen mellan kliniska studier, datainsamling och ersättning ska stärkas så att ekonomiska incitament i högre grad börjar baseras på faktisk patientnytta.



På tio års sikt skulle vi vilja se att incitamentsstrukturen mellan EU och Sverige är fullt integrerad. Regulatoriska och ekonomiska drivkrafter ska samverka för att snabbare föra effektiva ATMP-behandlingar till patienter och samtidigt stärka Sveriges roll som innovationsnation.

## Rekommendationer

Arbetsgruppen lämnar tre sammanfattande rekommendationer som stärker Sveriges konkurrensförmåga och attraktionskraft samt bidrar till en hållbar utveckling. De bidrar även till stärkt nationell samordning samt till ökad produktion och användning av ATMP, både nationellt och globalt.

Vi menar att rekommendationerna påskyndar utvecklingen och implementeringen av ATMP. De har förutsättningar att på sikt ge samhällsekonomiska vinster genom bättre hälsa, lägre vårdkostnader och mer attraktiva villkor för näringslivets investeringar.

Rekommendationerna baseras på en nulägesanalys av Sveriges position inom ATMP, internationella utvecklingstrender samt en genomgång av nyckelfrågor som identifierar hinder och möjligheter för Sveriges fortsatta utveckling. De sammanfattar ett antal förslag och handlingspunkter som redovisas mer utförligt ovan.

- Satsa på multidisciplinära supermiljöer med gemensamma teknikplattformar där akademi, näringsliv samt hälso- och sjukvård utvecklar ATMP och gör effektiv implementering möjlig.
- Möjliggör för vården att vara en integrerad aktiv del av forskning och innovation så att nya behandlingar snabbare når patienter.
- Förenkla regler och stärk incitament i Sverige och EU, samt förbättra samspelet mellan offentlig och privat finansiering för att mobilisera kapital och utveckla robusta affärsmodeller.

# Appendix



## Referenser

Alliance for Regenerative Medicine. (2025). *Q4 2025 Sector Snapshot. A Look into Cell and Gene Therapy Sector Trends*.

ATMP Sweden (2024). *ATMP2030 Swedish Annual ATMP Report 2024*.

Bucciarelli A. och Antonella Motta A. (2026). *Advanced therapy medicinal products: Emerging therapeutic frontiers and evolving regulatory landscapes*, Precision Medicine and Engineering, Volume 3, Issue 1, 2026.

Bundesministerium für Gesundheit. (2024). *Nationale Strategie für Gen- und Zelltherapien*.

Citeline (2025). *The Annual Clinical Trials Roundup 2025. Key Global Trends and Data Revealed*. Nov 17, 2025.

Commission Staff Working Document – *The EU Startup and Scaleup Strategy: Choose Europe to start and scale (SWD(2025) 138 final)*. Brussels, 28 May 2025.

Draghi, M. (2024). *The future of European competitiveness: A competitiveness strategy for Europe*. European Commission, Brussels.

EU-förordning (EU) 2021/2282 om medicinsk teknikbedömning (HTA). Europeiska parlamentet och rådets förordning av den 15 december 2021.

European Commission. (2020). *Pharmaceutical strategy for Europe*.

European Commission. (2025). *European Biotech Act*. 2025/0406(COD) 16/12/2025.

European Commission. (2026). *Advanced therapies*. Länk: [health.ec.europa.eu/medicinal-products/product-types/advanced-therapies\\_en](https://health.ec.europa.eu/medicinal-products/product-types/advanced-therapies_en)

European Investment Bank (2025). *European Commission and EIB Group announce new initiative to mobilise €10 billion investment for Europe's biotech sector*. Länk: [www.eib.org/en/press/news/european-commission-and-eib-group-announce-new-initiative-to-mobilise-eur10-billion-investment-for-europe-s-biotech-sector](https://www.eib.org/en/press/news/european-commission-and-eib-group-announce-new-initiative-to-mobilise-eur10-billion-investment-for-europe-s-biotech-sector)

European Medicines Agency. (2017). *Guideline on advanced therapy medicinal products (ATMPs)*.

European Parliament and Council. (2007). *Regulation (EC) No 1394/2007 on advanced therapy medicinal products*.

European Medicines Agency (EMA). (2026). *Advanced therapy medicinal products: Overview*. Länk: [www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview](https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview)

Gouvernement de la République Française. (2021). *France 2030: A plan for innovation and industrial transformation*.

International Society for Cell & Gene Therapy. (2024). *Fourth global regulatory report: 2024 H2*.

IQVIA Institute for Human Data Science (2025). *Global Trends in R&D 2025: Progress in recapturing momentum in biopharma innovation*. March 2025.

IVA (2025). *Sveriges position inom strategiskt viktiga tekniker. Investeringsprioriteringar, styrkor och utmaningar*.

Karolinska (webbplats, PKU-prov). Information hämtad 24 april, 2026. Länk: [www.karolinska.se/vard/funktion/funktion-medicinsk-diagnostik-karolinska/cmms/centrum-for-medfodda-metabola-sjukdomar/pku-prov/](https://www.karolinska.se/vard/funktion/funktion-medicinsk-diagnostik-karolinska/cmms/centrum-for-medfodda-metabola-sjukdomar/pku-prov/).

- Lindstrand et al. *The Genomic Medicine Center Karolinska 10-year report on genome sequencing for rare diseases and a strategy for stepwise clinical implementation*. *Genome Med.* (2026) Mar 30;18(1):30.
- Läkemedelsverket. Avancerade terapiläkemedel (ATMP). Baserad på Europaparlamentets och rådets förordning (EG) nr 1394/2007.
- McKinsey's Life Sciences Practice (2022). *Vision 2028: How China could impact the global biopharma industry*. Article in collaborative effort by Jeffrey Algazy et al.
- Medicines and Healthcare products Regulatory Agency. (2022). *Innovative Licensing and Access Pathway (ILAP)*.
- Noda, S. et al. (2025). *Regulatory advancements in Japan's conditional and time-limited approval scheme for regenerative medical products: the first guidance on the approval scheme and the second review for full approval of the first conditional and time-limited approved cellular product*, *HeartSheet, Cytotherapy*, Volume 27, Issue 6.
- Pharmaceuticals and Medical Devices Agency. (2023). *Regulatory framework for regenerative medicine products in Japan*.
- Rare Impact (2020). Country Report Germany. Improving patient access to gene and cell therapies for rare diseases in Europe. *A review of the challenges and proposals for improving patient access to advanced therapeutic medicinal products in Germany*. V1. January 2020.
- Rare Impact (2020). Country Report Spain. Improving patient access to gene and cell therapies for rare diseases in Europe. *A review of the challenges and proposals for improving patient access to advanced therapeutic medicinal products in Spain*. V1. January 2020.
- Regeringsbeslut 2025-11-20. *Uppdrag till Socialstyrelsen att genomföra insatser för en jämlik och samordnad implementering av precisionshälsa*. S2025/01973.
- Regeringskansliet (2019). *Nationell life science-strategi – för en stark life science-sektor i Sverige*. Stockholm: Näringsdepartementet.
- Region Skåne, Region Stockholm, Region Uppsala, Region Västerbotten, Region Östergötland, Region Örebro län och Västra Götalandsregionen. (2025). *Ökad precision tillsammans*.
- Region Stockholm. *Stockholmsregionens life science strategi*. Precisionsmedicin.
- State Council of the People's Republic of China. (2015). *Made in China 2025*.
- State Council of the People's Republic of China. (2016). *The 13th Five-Year Plan for Economic and Social Development*.
- Tan, R. et al. (2025). *Current landscape of innovative drug development and regulatory support in China*. *Sig Transduct Target Ther* 10, 220.
- ten Ham, R. M. T. et al. (2018). *Challenges in Advanced Therapy Medicinal Product Development: A Survey among Companies in Europe*. *Molecular Therapy – Methods & Clinical Development*, 11, 121–130.
- U.S. Department of Health and Human Services. Food and Drug Administration. Center for Drug Evaluation and Research (CDER). Center for Biologics Evaluation and Research (2014). *Guidance for Industry. Expedited Programs for Serious Conditions – Drugs and Biologics*. OMB Control No. 0910-0765.
- U.S. Food and Drug Administration. (2019). *Framework for the regulation of regenerative medicine products*.

U.S. Food and Drug Administration. (2024). *Split real-time application review (STAR) pilot program*.

U.S. Food and Drug Administration. (2024). *Approved cellular and gene therapy products*. Länk: [www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/approved-cellular-and-gene-therapy-products](http://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/approved-cellular-and-gene-therapy-products). Information hämtad 7 maj 2026.

U.S. Food and Drug Administration. (2025). *Expedited Programs for Regenerative Medicine Therapies for Serious Conditions*. Draft guidance for industry.

Van Eldere, J. et al. (2026). *A roadmap for supporting the development of advanced therapy medicinal products in a European framework*. The Lancet Regional Health – Europe, 2026; 66.

Vanhaeren, M. et al. (2025). *Advanced therapy medicinal products are coming of age: A pipeline analysis of the clinical trial landscape*. Drug Discovery Today, 30(10).

Wang, M. et al (2026). *Global Panoramic analysis of clinical research in cell therapy: clinical trial landscape, marketed products, and regulatory trends*. Front. Pharmacol. 17:1715984.

Xu, L. et al. (2026). *The role of investigator-initiated trials in advancing cell and gene therapy under China's dual-track regulatory system: Opportunities and challenges*. Heliyon, Volume 12, Issue 7.

Yoon, J. et al. (2026). *New legal category of 'advanced regenerative medicine treatment' in Korea's amended regenerative medicine law: comparative lessons from Japan*, Stem Cell Reports, Volume 21, Issue 4.

## Ordlista

### **Antikroppskonjugat**

Läkemedel där en antikropp är kopplad till en aktiv substans, ofta ett cellgift, vilket gör att behandlingen kan riktas direkt till sjuka celler och därmed minska påverkan på friska celler.

### **ATMP (eng. Advanced Therapy Medicinal Products)**

Avancerade terapiläkemedel.

### **Autolog terapi**

Individanpassad behandling där patientens egna celler används, vilket minskar risken för att de tillförda cellerna stöts bort av kroppen.

### **Biologiska läkemedel**

Läkemedel som framställs i levande celler, till exempel bakterier, jäst eller djurceller som odlas i laboratorier. De består av stora och komplexa molekyler som proteiner och riktar in sig på specifika processer i kroppen.

### **Bioreaktor**

En behållare där celler eller mikroorganismer odlas under kontrollerade förhållanden för att producera till exempel läkemedel eller biologiska substanser.

### **Bispecifika antikroppar**

Antikroppar som kan binda till två olika mål samtidigt och därmed föra ihop till exempel immunceller och cancerceller för att hjälpa immunförsvaret att känna igen och döda sjukdomsframkallande celler mer effektivt.

### **CDMO (eng. Contract Development and Manufacturing Organization)**

Företag som utvecklar och tillverkar läkemedel åt andra.

**CRO (eng. Contract Research Organization)**

Företag som genomför delar av den kliniska forskningen och utvecklingen på uppdrag av läkemedels- och bioteknikföretag. Det kan till exempel handla om kliniska studier, kliniska prövningar, dataanalys och regulatoriskt arbete.

**EMA (eng. European Medicines Agency)**

Den europeiska läkemedelsmyndigheten.

**EPL**

Lag (2003:460) om etikprövning av forskning som avser människor, ofta kallad etikprövningslagen.

**GDPR (eng. General Data Protection Regulation)**

En EU-förordning som reglerar behandling av personuppgifter och syftar till att skydda enskildas integritet genom att ställa krav på hur organisationer får samla in, lagra och använda information om individer. På svenska används ofta begreppet EU:s dataskyddsförordning.

**GMP (eng. Good Manufacturing Practice)**

Regler som säkerställer att läkemedel tillverkas på ett säkert och kontrollerat sätt med hög kvalitet.

**LMV**

Läkemedelsverket.

**Oligonukleotider**

Korta kedjor av byggstenarna i DNA eller RNA som kan användas som läkemedel för att påverka hur gener uttrycks i kroppen.

**Opt-out**

Inom så kallade opt-out-modeller kan en persons data automatiskt användas, men personen har möjlighet att aktivt välja att inte delta eller att motsätta sig användningen av uppgifterna.

**Pseudonymiserade uppgifter**

Data där information som kan kopplas till en person har ersatts med en kod så att individen inte direkt kan identifieras utan tillgång till separat kompletterande information.

**SLE (systemisk lupus erythematosus)**

En autoimmun inflammationssjukdom som kan påverka hela kroppen.

**Småmolekylära läkemedel**

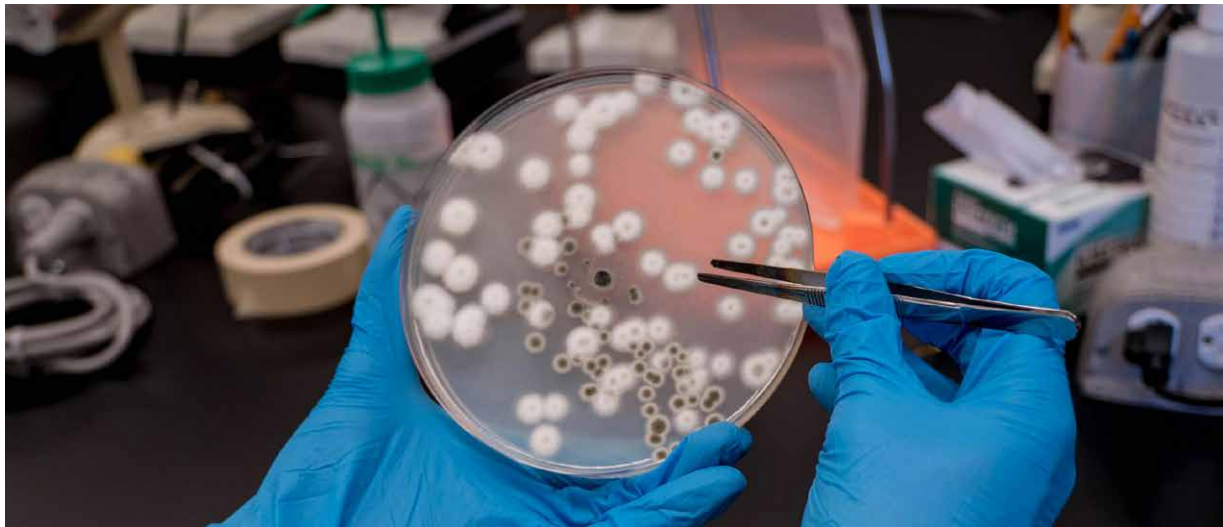
Läkemedel som består av mycket små kemiska ämnen som kan tas upp i kroppen och påverka specifika processer i celler.

**Teranostik med radioligander**

Metod där radioaktiva molekyler används både för diagnostik och behandling av sjukdom, ofta cancer. Samma (eller liknande) substans används först för att avbilda var i kroppen sjukdomen finns och sedan för att rikta strålning direkt mot de sjuka cellerna.

**TLV**

Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket.



## Exempel på svenska företag inom ATMP

Det finns svenska företag och aktörer som på olika sätt är aktiva inom ATMP-området och har olika roller och funktioner i ekosystemet runt cell- och genterapier. Sammanställningen nedan ska ses som exempel och inte som någon heltäckande lista.

Exempel på företag som arbetar med T-cellsbaserade behandlingar är **Anocca**, **Elicera Therapeutics**, **CuraCell**, **Strike Pharma** och **Neogap Therapeutics**.

Flera större läkemedelsföretag har också verksamhet inom ATMP-området i Sverige, till exempel **AstraZeneca**, **Thermo Fisher Scientific**, **Novartis** och **Bristol Myers Squibb**.

Det finns också företag som direkt stöder utveckling och produktion av cell- och genterapier genom bioprocessing, material och tillverkning, exempelvis **Cytiva**, **NorthX Biologics**, **BioLamina**, **Biotage** och **Cellevate**.

Inom analys och biologiska verktyg för ATMP-forskning finns exempelvis **quTEM** och **Mabtech**.

Det svenska ATMP-ekosystemet består även av aktörer som inte utvecklar terapier direkt, men som är viktiga för industrialisering, skalning och miljöbyggande runt sektorn.

Detta inkluderar infrastruktur- och innovationsmiljöer som **Testa Center**, **CCRM Nordic**, **GoCo Health** och **Vectura Fastigheter**, som möjliggör testning, uppskalning och etablering av life science-verksamhet i Sverige.

Det inkluderar också bredare industribolag som bidrar till processer och infrastruktur, till exempel **Alfa Laval** (separation av celler och biologiska material), **Getinge** (bioreaktorer) och **Trelleborg** (sterila komponenter).

Några exempel på forsknings- och innovations-samarbeten mellan universitet, sjukvård och industri inom ATMP-området är **AdBIOPRO**, **GeneNova** och **IndiCell**. Dessa är inte traditionella bolag utan samverkansinitiativ som ofta finansieras genom svenska innovationsprogram, till exempel via Vinnova.



Kungl. Ingenjörsvetenskapsakademien är en fristående akademi med uppgift att främja tekniska och ekonomiska vetenskaper samt näringslivets utveckling. I samarbete med näringsliv och högskola initierar och föreslår IVA åtgärder som stärker Sveriges konkurrenskraft.

**Utgivare:** Kungl. Ingenjörsvetenskapsakademien (IVA), 2026

Box 5073, SE-102 42 Stockholm

**Telefon:** 08-791 29 00

**IVA-R 537**

**ISSN:** 1100-5645

**ISBN:** 978-91-89181-83-0

**Författare:** Arbetsgruppen i samverkan med Charlotte Hall

**Redaktör:** Charlotte Hall

**Projektledning:** Lisa Thelin, IVA

**Grafisk form:** Pelle Isaksson, IVA

Denna rapport finns att ladda ned på [www.iva.se](http://www.iva.se).



IVAs visionsprojekt **Svenska framtider** ska resultera i en väl förankrad och tydlig vision för Sverige som ledande teknik- och innovationsland år 2035 – med fokus på konkurrenskraft, hållbarhet och säkerhet.



**Kungl. Ingenjörsvetenskaps  
Akademien**