

# OPPRETTELSE AV BIOBANKER FOR NAVLESTRENGSBLOD

Rapport fra en arbeidsgruppe nedsatt av Sosial- og  
helsedirektoratet.

## Innhold:

1.	Bakgrunn	s. 2
2.	Generelt om stamceller	s. 2
3.	Allogene navlestrengsblodbanker	s. 4
4.	Autologe navlestrengsblodbanker	s. 9
5.	Etiske forhold	s. 11
6.	Private navlestrengsblodbanker	s. 12
7.	Arbeidsgruppens konklusjoner	s. 15

# OPPRETTELSE AV BIOBANKER FOR NAVLESTRENGSBLOD

## 1. Bakgrunn

Sosialkomiteen i Stortinget påpekte i Inst. O.nr. 71 (2003-2004) at "navlestrengsblod hos nyfødte inneholder biologisk materiale som kan nyttiggjøres som stamceller for behandling av sykdom hos fødte individer" og mente at der det er praktisk mulig, bør dette materialet konserveres etter samtykke fra den fødende gjennom opprettelse av biobanker for navlestrengsblod. Komiteen fremmet følgende forslag: "Stortinget ber regjeringen om å utrede opprettelse av biobanker for navlestrengsblod og legge saken frem for Stortinget i forbindelse med revidert nasjonalbudsjett for 2005". Stortinget vedtok forslaget 9. juni 2004.

I brev av 21. juni 2004 fra Helsedepartementet gis Sosial- og helsedirektoratet (SHdir) i samarbeid med Nasjonalt Folkehelseinstitutt i oppdrag

- å foreta en faglig utredning av spørsmålet om opprettelse av biobanker for navlestrengsblod.
- å vurdere den faglige/medisinske nytteverdien i forhold til økonomiske og administrative konsekvenser
- å vurdere samarbeid på tvers av landegrenser, som for eksempel en felles nordisk navlestrengsbiobank som et alternativ til en eller flere biobanker i Norge.
- I forbindelse med utredningen bes direktoratet også om å vurdere forholdet til private selskaper som ønsker å etablere kommersielle navlestrengsbiobanker.

SHdir har nedsatt en arbeidsgruppe for å foreta utredningen. Arbeidsgruppen har vært sammensatt av:

Torstein Egeland	Rikshospitalet
Per Magnus	Nasjonalt Folkehelseinstitutt
Hans Petter Aarseth	SHdir
Vibeke Dalen	SHdir

Arbeidsgruppen har vurdert den faglige/medisinske nytteverdien av navlestrengsbiobanker for allogen og autolog bruk ut fra dagens kunnskap om eksisterende bruk og sannsynlig framtidig bruk. Arbeidsgruppen har videre vurdert økonomiske forhold i tilknytning til opprettelse og drift av slike biobanker samt forholdet til de private aktørene som pr. i dag befinner seg på det norske markedet. Når det gjelder spørsmålet om navlestrengsbiobank for autolog bruk, er arbeidsgruppen delt i et mindretall (Per Magnus) og et flertall (øvrige medlemmer).

## 2. Generelt om stamceller

En stamcelle er en celle som kan gi opphav til differensierte celler og vev samtidig som den opprettholder evnen til å fornye seg selv.

Det er tre hovedkilder for stamceller :

- stamceller isolert fra tidlige stadier av befruktete egg (embryonale stamceller)
- stamceller isolert fra aborterte fostre (føtale stamceller)
- stamceller isolert fra fødte individer (adulte stamceller). Fødte individer omfatter navlestrengsblod (NSB), nyfødte, barn og voksne. Stamcellene kan høstes fra ulike typer vev og fra blod, inklusive NSB.

NSB inneholder hematopoietiske stamceller som kan gi opphav til blodceller og som har den fordel at cellene har gjennomgått få celledelinger slik at cellene vil kunne dele seg flere ganger og dermed vedlikeholde den biologiske funksjon lenger.

Stamcellene kan i terapi brukes på to prinsipielt ulike måter.

Med *autolog* bruk menes transplantasjon der pasienten mottar sine egne stamceller (giver og mottaker er samme person).

Med *allogen* bruk menes transplantasjoner der pasienten mottar stamceller fra andre personer (giver og mottaker er ulike individer).

NSB kan høstes og kryopreserveres (fryses ned) forholdsvis enkelt ved enhver fødsel og har vært benyttet i transplantasjonsøyemed siden slutten av 80-tallet. Når NSB høstes, "melkes" også morkaken for stamceller.

Terapeutisk bruk av hematopoietiske stamceller fra NSB er omtalt i SMM-rapport nr 4/2003. Rapporten er basert på systematisk og kritisk gjennomgang av foreliggende dokumentasjon etter transplantasjon av hematopoietiske stamceller fra navlestreng/placenta. Den beskriver i tillegg praksis ved norske sykehus samt organisatoriske, økonomiske, etiske og sosiale aspekter. I rapporten konkluderes bl.a. med:

- Klinisk effekt kan bare evalueres for allogene transplantasjoner fordi det ikke er publisert data fra bruk av autologe stamceller.
- Transplantasjon av hematopoietiske stamceller fra NSB er i dag først og fremst et tilbud der givere av stamceller fra benmarg eller perifert blod ikke kan identifiseres blant familiemedlemmer eller i registre.
- Det er vist resultater av transplantasjon med NSB fra vevsforlikelig søsken med kjent malign blodsykdom eller alvorlig benmargssvikt og fra ubeslektet giver ved visse sjeldne benmargssykdommer og ved leukemier med høy risiko for tilbakefall.
- Barn vil kunne oppnå akseptable resultater.
- Hos voksne vil navlestrengsblodtransplantasjon bare unntaksvis kunne overveies avhengig av om det er tilstrekkelig antall stamceller i navlestrengsblodproduktet.
- Navlestrengsblodtransplantasjon er beheftet med samme bivirkninger og komplikasjoner som ved andre transplantasjoner.
- Det synes ikke å være medisinsk behov for å opprette egne norske biobanker for NSB for allogen bruk fordi Norge har et etablert samarbeid med internasjonale biobanker med NSB.
- Dokumentert oppbevaringstid i nedfrosset tilstand m.h.t klinisk effekt er pr. i dag inntil 10 år.
- Transplantasjoner med NSB er en kostbar behandlingsmetode.

Etter at rapporten er skrevet, er det ikke kommet nye opplysninger som endrer på rapportens konklusjoner.

*Allogen* transplantasjon av NSB og hematopoietiske stamceller fra beinmarg eller blod er i dag etablert behandling, enten med et familiemedlem eller med en ubeslektet donor som giver (se pkt 3.1 og 3.2) NSB som skal benyttes til allogen transplantasjon kan lagres i N<sub>2</sub> frysetank inntil bruk.

### 3. Allogene navlestrengsblodbanker

Allogen transplantasjon med NSB fra familiemedlem eller ubeslektet giver, er etablert praksis i Norge i dag. Når ubeslektet giver benyttes, stammer blodet fra internasjonale navlestrengsblodbanker som Norge samarbeider med.

Det benyttes NSB ved to typer allogene stamcelletransplantasjoner, begge basert på overføring fra frisk person til pasient. Behandlingen er basert på omfattende dokumentasjon i internasjonale medisinske tidsskrifter.

#### *3.1 Allogen stamcelletransplantasjon – transplantasjon med NSB fra vevstypenormert søsken*

Hvis et barn trenger en allogen stamcelletransplantasjon, og det ikke kan finnes en anvendbar stamcellegiver i familien, kan NSB fra en nyfødt søsken benyttes som stamcellekilde. Men en slik transplantasjon krever at det er tilstrekkelig grad av vevstypelikheter mellom det nyfødte barnet og pasienten, og at antallet stamceller er tilstrekkelig. Allogen transplantasjon med NSB utføres på Rikshospitalet og er et tilbud til pasienter fra alle helseregioner (landsfunksjon).

Rikshospitalet har i nær 10 år tilbudt denne behandling til gravide kvinner med et transplantasjonstrengende barn. I praksis tilbys slik behandling når en kvinne allikevel er gravid, og hun har et sykt barn fra før. Gjennom et samarbeid med det syke barnets egen lege, Barneklubben, Fødeavdelingen og Immunologisk institutt, Rikshospitalet, blir det lagt opp et program hvor kvinnen føder på Rikshospitalet, og hvor NSB blir samlet opp (høstet), vevstypet og lagret i N<sub>2</sub>-frysetank. Totalt dreier dette seg om lagring av 1-3 NSB-enheter per år. Siden kun ¼ av enhetene statistisk sett er vevstypenormerte med pasienten – og bare disse enhetene kan benyttes, utføres det mindre enn én transplantasjon med NSB fra søsken i året. Virksomheten har meget lite omfang og er vel inkorporert i de berørte avdelingenes praksis.

Rikshospitalet går i dag ikke ut med en bred informasjon om at barn som trenger stamcelletransplantasjon i ¼ av tilfellene evt. kan transplanteres med NSB fra en nyfødt søsken. Bakgrunnen for dette er hovedsakelig de kompliserte etiske problemstillinger som knytter seg til spørsmål om foreldre skal sette barn til verden for barnets egen skyld eller om barnet også skal kunne tjene "en funksjon". (Bestillingsbarn/reservedelsbarn).

Arbeidsgruppen har ikke tatt stilling til dette spørsmål, men mener det kan diskuteres om helsevesenet skal gå bredt ut med informasjon til kvinner om en mulig nytte av å bli gravid for så å kunne få lagret NSB, dersom de allerede har et barn som trenger stamcelletransplantasjon.

Arbeidsgruppen har heller ikke tatt stilling til om gravide kvinner som i familien har høy utbredelse av en alvorlig sykdom som kan behandles med allogen transplantasjon av NSB, skulle få tilbud om oppbevaring av NSB.

SMM rapport 4/2003 konkluderer med at "*resultater av transplantasjon med navlestrengsblod fra vevsnormert søsken til barn med kjent malign blodsykdom eller alvorlig benmargssvikt viser at stamcelletransplantasjon med beslektet giver av navlestrengsblod kan være likeverdig med transplantasjon med blod- eller benmargsstamceller med samme vevstypenormertighet.*"

På bakgrunn av ovenstående vil arbeidsgruppens konkludere med at faglige hensyn tilsier at dagens praksis m.h.t allogen stamcelletransplantasjon med NSB fra vevstypedorlikelighet søsken bør opprettholdes.

### *3.2 Allogen stamcelletransplantasjon – transplantasjon med NSB fra ubeslektet barn*

36 land i Europa, Nord- og Sør-Amerika, Asia og Australia har NSBbanker der enhetene er tilgjengelig for alle pasienter i alle land som måtte trenge allogen stamcelletransplantasjon og hvor det ikke finnes familiegiver eller voksen ubeslektet giver.<sup>1</sup> NSB (og placentalt blod) blir høstet ved fødsler etter skriftlig informert samtykke fra den fødende kvinnen, og produktet blir aidentifisert, vevstypet og lagret i en N<sub>2</sub>-frysetank.

Allogene transplantasjoner med NSB fra ubeslektede barn utføres på norske pasienter, enten på Rikshospitalet eller ved utenlandske sykehus. Det benyttes NSB fra utenlandske banker.

Kravet til vevstypedorlikelighet er mindre ved bruk av stamceller fra NSB enn ved bruk av stamceller fra blod eller benmarg. Flere pasienter kan derfor finne egnede stamcelleprodukter i NSB-bankene, og over tusen transplantasjoner har allerede funnet sted. Ved transplantasjon til voksne pasienter er det imidlertid et problem at det ofte ikke er tilstrekkelig antall stamceller i enheter med NSB til at man får et vellykket resultat. I praksis betyr dette at transplantasjoner med allogen NSB først og fremst gis til barn og ungdom.

Per 1. oktober 2004 er 180.660 vevstypede NSB-enheter lagret i 36 allogene NSB-banker i 21 land (Tabell 1, vedlegg 1). I tillegg finnes 9,147 millioner frivillige, vevstypede voksne givere som er tilgjengelige for pasienter over hele verden. På verdensbasis ble det i 2003 utført 6.385 transplantasjoner med stamceller fra ubeslektede givere<sup>2</sup>. Samme år ble det på verdensbasis utført 911 transplantasjoner med NSB fra 963 enheter.

Norge bidrar til dette internasjonale samarbeidet gjennom Det norske benmargsgiverregisteret som er fullverdig medlem og medaktør. Registeret bidrar pr oktober 2004 med 22.480 givere, alle rekruttert fra landets blodbanker og har donert stamceller 222 ganger til pasienter i 23 land siden starten i 1990 (Tabell 2- vedlegg 2). 27 givere i Det norske benmargsgiverregisteret donerte stamceller til pasienter i 13 land i 2003.

I Norge ble det i 2003 utført 14 stamcelletransplantasjoner med ubeslektet giver (13) eller ubeslektet NSB (1). Siden starten på transplantasjonsprogrammet med ubeslektede givere i 1990 er 197 pasienter i Norge transplantert med stamceller fra ubeslektet giver/NSB. I Norge søkes det etter ubeslektet giver/NSB for ca 25 nye pasienter hvert år. Søkene foregår i registre og NSB-banker som alle er registrert i BMDW (Tabell 1- vedlegg 3). Mellom 10 og 15 prosent av pasientene i Norge blir transplantert med stamceller fra en norsk giver, resten med stamceller hentet fra utlandet (Tabell 3- vedlegg 2).

I praksis finnes en ubeslektet giver/NSB til ca 80% av pasientene. For de pasienter det ikke finnes giver til, har de fleste en ikke-europeisk etnisk bakgrunn.

For å kunne transplantere de pasientene som det i dag ikke finnes ubeslektet giver/NSB til, er det følgende muligheter:

- Verve flere givere
- Høste og lagre flere NSB-enheter
- Redusere kravene til vevstypelighet mellom giver og pasient

<sup>1</sup> Bone Marrow Donors Worldwide; BMDW, [www.bmdw.org](http://www.bmdw.org)

<sup>2</sup> Annual Report 2003, World Marrow Donor Association; [www.worldmarrow.org](http://www.worldmarrow.org)

- Redusere kravene til vevstypelikhhet mellom NSB og pasient

For å kunne diskutere dette, må det skilles mellom behovet for pasienter i Norge med europeisk og pasienter med ikke-europeisk etnisk bakgrunn. Dette fordi etniske nordmenn har vevstyper som er vanlige i den vestlige europeiske befolkningen samt blant givere i Amerika og Australia med røtter fra Europa. Disse vevstypene er *kraftig overrepresentert* (> 75%) i verdens giverregistre og NSB-banker. For pasienter med ikke-europeisk etnisk bakgrunn, derimot, er forholdene helt annerledes. Disse gruppene har andre frekvenser av ulike vevstyper og vevstypkombinasjoner, og de ulike gruppene har også store innbyrdes ulikheter. Deres vevstyper er derfor *kraftig underrepresentert* i de internasjonale registrene og NSB-bankene (<5% for individuelle etniske grupper).

#### Pasienter med europeisk etnisk bakgrunn

Gjennom det internasjonale samarbeidet er det uproblematisk å finne vevstypetilpasset NSB til pasienter med norsk etnisk bakgrunn. Den begrensende faktor kan imidlertid være antallet stamceller. Dersom vi ser på pasienter med norsk etnisk bakgrunn som det ikke er funnet giver til, og forutsetter at antallet stamceller i enhetene hadde vært tilstrekkelig, ville en egnet ubeselektet NSB-enhet ha vært funnet til alle pasientene.

For pasienter med norsk etnisk bakgrunn er det derfor ikke hensiktsmessig å øke antallet tilgjengelige NSB-enheter med europeisk bakgrunn, men heller støtte forskning som gjør det mulig å øke antallet stamceller; alternativt støtte utprøvende behandling med NSB-enheter fra flere fødte pr. transplantasjon. Slike studier og behandlingsforsøk har stor interesse, men foregår ikke her i landet.

I tillegg vil vi fortsette vårt internasjonale samarbeid med egne givere i Det norske benmargsgiverregisteret. På den måten vil Norge i tillegg til å nyte godt av det utstrakte internasjonale samarbeidet, også bidra.

#### Pasienter med ikke-europeisk etnisk bakgrunn

I dag er det meget vanskelig å finne givere til disse pasientene. Mange av våre nye landsmenn kommer fra land som ikke har egne giverregistre og NSB-banker. Internasjonalt er det stor oppmerksomhet rundt dette problemet, og mange ressurser brukes i verveøyemed mot ulike etniske grupper. I vestlige land med de største registrene og NSB-bankene (USA, Tyskland, England, Frankrike, Italia, Spania, Australia og Canada) er det store verveprogrammer rettet mot minoritetsgrupper, men registreringen av nye givere går sakte.

Da andelen givere og NSB-enheter fra ulike ikke-europeiske etniske grupper er liten i den internasjonale databasen, vil verving av nye givere og lagring av nye NSB-enheter fra disse gruppene gi stadig flere pasienter en mulighet for å bli transplantert. Pasienter med ikke-europeisk etnisk bakgrunn vil derfor ha store fordeler av at vervekampanjer rettet mot deres etniske grupper i betydelig grad styrkes. For å få dette bedre til, må registrene og NSB-bankene i de store vestlige landene få økonomisk støtte til å styrke og utvikle slike målrettede vervekampanjer (inkl. høsting/lagring av NSB, vevstyping og kvalitetskontroll). Fordi et lite land som Norge har relativt få innbyggere fra hver enkelt etnisk bakgrunn, og fordi Det norske benmargsgiverregisteret ikke har nødvendig infrastruktur og økonomiske midler, vil slike vervekampanjer gi liten uttelling hos oss.

Den beste måten å hjelpe våre landsmenn med ikke-europeisk etnisk bakgrunn på, synes derfor å være økonomisk støtte til de store vestlige landene for å styrke verving av slike givere samt til høsting/lagring av NSB, vevstyping og kvalitetskontroll. På den måten vil Norge bidra til videreutvikling av NSB-banker med større innslag av ikke-europeisk etnisk bakgrunn.

SMM rapport 4/2003 konkluderer med at:

*”Stamcelletransplantasjon med ubeslektet giver av navlestrengsblod kan være et potensielt kurativt alternativ til transplantasjon med blod- og benmargsstamceller hos pasienter, spesielt barn, med visse sjeldne benmargssykdommer der det ikke finnes gode alternative behandlingsmetoder og ved leukemier med høy risiko for tilbakefall og død uten transplantasjonsbehandling, der det ikke raskt nok kan identifiseres og klargjøres en akseptabel voksen giver.” og ”Barn vil kunne oppnå akseptable resultater ved transplantasjon med stamceller med vevsuforlikelighet ved bruk av navlestrengsblod sammenlignet med benmarg eller perifert blod.” og ” Hos voksne vil transplantasjon med stamceller fra navlestrengsblod bare unntaksvis kunne overveies avhengig av om det er tilstrekkelig antall stamceller i navlestrengsproduktet. Ut fra de data som foreligger er resultatene av behandlingsmetoden ved langtkommen malign blodsykdom hos voksne ikke gode (under 10% langtids sykdomsfri overlevelse)”.*

På bakgrunn av egne betraktninger og SMM rapportens konklusjoner, vil arbeidsgruppen konkludere med at behovet for NSB til allogene transplantasjoner i Norge best dekkes gjennom fortsatt deltakelse i det internasjonale NSB-bank nettverket. Norge bør imidlertid støtte verving av givere og høsting/lagring av NSB inklusive vestyping og kvalitetskontroll fra personer med ikke-europeisk etnisk bakgrunn. Vvi bør videre støtte forskning knyttet til å kunne øke antallet stamceller og/eller utprøvende behandling med NSB-enheter fra mer enn én fødsel.

Helse- og omsorgsdepartementet har i sitt oppdragsbrev bedt om at nordisk samarbeid vurderes spesielt.

Arbeidsgruppen viser til ovennevnte diskusjon om norsk støtte til utenlandske banker. Forholdene som der er diskutert for norske pasienter, vil også gjelde for pasienter i Sverige, Danmark og Island. Da ingen av disse landene i dag har NSB-banker, og da deres benmargsgiverregistre enten er små (Sverige og Finland) eller ikke finnes (Island), er fordelene ved å støtte de store bankene i kontinental-Europa, England eller Nord-Amerika atskillig større enn det som kan oppnås ved å etablere et nordisk samarbeid.

For Finland er imidlertid forholdene annerledes. Finnene har da også opprettet sin egen NSB-bank (2.272 enheter pr. september 2004). En viktig grunn til at finnene har en egen bank, er at den genetiske sammensetningen, inklusive vevstypene, er en god del annerledes enn i de øvrige deler av Europa. Finnene har derfor i langt større grad enn de andre nordiske landene måttet basere seg på egne frivillige stamcellegivere og NSB-enheter. Årsrapportene fra World Marrow Donor Association viser at finnene har betydelig mindre import (og eksport) av stamceller til bruk i transplantasjoner enn andre land.

### 3.3 Økonomiske forhold

I SMM-rapport 4/2003 s 58-64 berøres økonomiske aspekter ved innsamling, oppbevaring og transplantasjon av NSB. Rapporten angir at det finnes flere estimater på kostnadene ved en nasjonal biobank, men at det bare er én analyse som beskriver kostnadene på en tilfredsstillende måte. I henhold til den analysen, vil det koste ca 2 mill NOK pr transplanterte individ å drive en nasjonal biobank med stamceller fra NSB.

I SMM-rapporten angis at det de nærmeste årene vil være maks 10 tilfelle/år der man med dagens strategi ikke finner egnet giver. Det uttales at en nasjonal bank med NSB muligens ville kunne fylle det behovet, men at det ikke har vært mulig å anslå kostnader knyttet til en slik strategi.

Arbeidsgruppen vil mene at tallet på tilfelle der egnet giver ikke finnes, vil være høyere når problemene med å finne vevstypenforlikelig NSB til ikke-europeiske pasienter tas i betraktning. Som nevnt under pkt 3.2, vil imidlertid det lave antall personer i hver befolkningsgruppe i Norge, gjøre det vanskelig å basere seg på å etablere givere her.

Arbeidsgruppen har selv søkt å finne økonomiske data knyttet til å etablere og drive NSBbank, men det har vært vanskelig å skaffe oversikt. Vi har imidlertid mottatt overslag fra tre banker som allerede har vært i drift i flere år:

- Den australske NSB-banken [10.576 lagrede enheter, 1.744 nye enheter i regnskapsperioden 01.07.03 – 30.06.04, 19 donasjoner i perioden] oppgir kostnadene i regnskapsperioden til å være NOK 9,1 mill. Inntektene var NOK 2,3 mill., dvs. et negativt resultat på NOK 6,8 mill. i perioden.
- NSB-banken i Milano [Ca. 5.000 lagrede enheter, ukjent ant. nye enheter i 2003, 31 donasjoner i 2003] oppgir kostnadene i 2003 til NOK 7,5 mill. og inntektene til NOK 7,9 mill., altså et positivt resultat på NOK 0,4 mill.
- En engelsk NSB-bank har vurdert de årlige kostnadene (lønn og drift) til å lagre 600 nye NSB-enheter pr år (dvs. høste 1.200 enheter – kun 50% kan lagres på en tilfredsstillende måte) til å være om lag £ 1,2 mill (NOK 14,5 mill). I tillegg kommer en etableringsutgift på £ 0,94 mill. (NOK 11 mill).

Kostnadene ved å forberede, høste, fryse ned, vevstypen og kvalitetsteste 1 NSB-enhet ved Rikshospitalet beregnes i dag til 10.000 -15.000 kroner. I tillegg kommer lagringsutgifter (N<sub>2</sub>, overvåking av lagringstankene) samt utgifter til vaktgående personell. Ved stordrift kan utgiftene reduseres. Ved en evt. igangsettelse av en allogen NSB-bank må i tillegg betydelige kostnader påregnes i etableringsfasen, i det det vil kunne ta flere år før transplantasjonssentrene begynner å kjøpe tjenester, spesielt donasjoner av NSB.

Erfaringene fra Det norske benmargsgiverregisteret og tilsvarende registre er at det er betydelige etableringsutgifter de første fem årene av oppbyggingen et giverregister. Inntektene kommer først etter flere års virksomhet. En tilsvarende etableringskostnad over flere år må også påberegnes for en NSB-bank. Fordi pasienter med vest-europeisk etnisk bakgrunn er godt representert i giverregistre og eksisterende NSB-banker, er inntekspotensialet lavt (stor "konkurransen") dersom det i en norsk bank hovedsakelig lagres NSB fra etniske nordmenn. Inntekspotensialet er usikkert ved lagring av et større antall NSB-enheter fra ikke-europeiske etniske grupper. Dette skyldes bl.a. at vevstypenvariasjonene er betydelig mellom ulike etniske grupper, slik at banken må ha et meget stort antall lagrede enheter fra hver enkelt gruppe for i det hele tatt å monne noe. Det vil derfor være svært kostbart å bygge opp en så stor NSB-bank.

På bakgrunn av ovenstående, konkluderer arbeidsgruppen med at det vil være betydelige kostnader knyttet til å etablere en NSB-bank i Norge, og at både inntekspotensialet og nytteverdien i fremtiden er usikker. Det vil etter arbeidsgruppens oppfatning være bedre anvendelse av midlene å styrke vervingen av minoritetsgrupper i utenlandske, veletablerte NSB-banker med god infrastruktur og god kontakt med ulike etniske grupper,



## 4. Autologe navlestrengsblodbanker

### 4.1 Praksis i Norge

Det er i dag ingen etablert praksis i Norge for bruk av autolog transplantasjon med NSB og det finnes heller ikke aksepterte protokoller for slik behandling. Det er imidlertid flere private initiativ for å etablere og drive *autologe* NSB-banker. De aktuelle firma høster NSB ved fødsel - enten ved bruk av eget personale eller ved avtalt bistand fra fødeavdelingens personale. NSB lagres i N<sub>2</sub>-frysetanker for å være en mulig seinere terapeutisk kilde for barnet selv – dersom det i løpet av en 15-20 års tid etter fødselen skulle trenge behandling med celler fra eget NSB. (iflg. SMM-rapporten er kun 10 års lagringstid dokumentert).

I markedsføringen presenteres lagring av autologt NSB som en "livsforsikring". Det framstilles som om blodet kan benyttes til å behandle/kurere kreft og andre alvorlige sykdommer. Referansene som benyttes i markedsføringen er for en stor del hentet fra publikasjoner vedrørende *allogene* transplantasjoner med NSB eller autolog behandling med stamceller fra pasientens egen beinmarg eller blodsirkulasjon. Dette har ingen ting med autolog bruk av NSB å gjøre (se under pkt 6 private NSBbanker).

De autologe NSB-bankene er vurdert i SMM-rapport nr 4/2003. Det konkluderes med at : (s.50) *"Autolog transplantasjon forutsetter at stamceller fra pasientens navlestrengsblod ble høstet ved fødselen for kryo-oppbevaring, samt at pasienten har en sykdom der behandling med hematopoietiske stamceller er dokumentert å ha en effekt eller der det er god grunn til å tro at behandlingen er effektiv. Stamcellene må ikke være affisert av sykdommen de er ment å kurere. Beregninger beheftet med stor usikkerhet antyder at et nyfødt barn som får sitt navlestrengsblod tappet har 0.005% sjanse for fremtidig å kunne trenge (egne) stamceller til behandling av sykdom"* og s. 33. *"Litteraturgjennomgangen har ikke identifisert kliniske studier eller kasuistikker som rapporterer erfaringer etter autolog transplantasjon av stamceller fra navlestrengsblod. Terapeutisk bruk av stamceller høstet fra eget navlestrengsblod er således ikke etablert som metode i dag."*

Etter at rapporten er skrevet, er det ikke kommet nye opplysninger som endrer på denne konklusjonen.

### 4.2 Praksis internasjonalt

I dokumentet "Ethical aspects of umbilical cord blood banking" fra the European Group on ethics in science and new technologies er regelverk og etiske betraktninger fra flere europeiske land og organisasjoner referert. Ingen av referansene anbefaler bruk av autolog transplantasjon med NSB. I selve uttalelsen går man ikke inn for forbud mot opprettelse av autologe biobanker, men understreker at dersom slike skal tillates, må forbruker få nøktern og korrekt informasjon om de framtidige muligheter for behandling som faktisk finnes. (kopi – vedlegg 3)

Europarådet har i "*Recommendation (Rec(2004)8 of the Committee of Ministers to member states on autologous cord blood banks and explanatory memorandum*" adopted by the committee of Ministers on 19. May 2004 at the 884<sup>th</sup> meeting of the Ministers' Deputies uttalt flg:

*The principal current use of blood cells collected at the time of birth from the umbilical cord (cord blood) is the collection of haematopoietic progenitor cells (HPC) that can be transplanted into patients with acquired or congenital diseases of the bone marrow. It is likely that such cells will, in the future, constitute a valuable source of cell therapies for the treatment of a wide range of diseases;*

*Cord blood stored only for autologous use, that is, by the donor or his or her immediate family, is only very rarely used. Furthermore, there is no scientific evidence that umbilical cord blood can be stored for long enough to be of any use to the vast majority of donors. Such storage could limit altruistic donation and thereby limit the possibility of treating those in need;*

*The unregulated collection of blood at the time of birth could distract the staff caring for mother and child at a critical time; Even if it is the case that these children do, in the future, develop diseases requiring an HPC transplant, there is evidence to suggest that it is preferable to use allogeneic transplantation to achieve the "graft vs. tumor effect" in haematological diseases. In cases of congenital disease and in some leukaemias with intrauterine cell mutations, autologous HPC transplantation is contraindicated;*

*The health services of member states should only provide their citizens with proven clinical and cost effective therapies as resources are always limited; With the aim of ensuring the availability of transplant treatments for an increasing number of people, Recommends to the member states that,*

- 1. If cord blood banks are established, they should be based on altruistic and voluntary cord blood donation and used for allogeneic transplantation and related research;*
- 2. The promotion of donation for autologous use and the establishment of cord blood banks for autologous use should not be supported by member states or their health services;*
- 3. Accurate information should be provided to the population about the advantages and disadvantages of cord blood banks;*
- 4. Where autologous cord blood banks are being established, the promotional material or information provided to families must be accurate, and fully informed consent to cord blood storage must be obtained;*
- 5. Autologous cord blood banks that are being established must meet the quality and safety standards set out in the Council of Europe's Guide to safety and quality assurance for organs, tissues and cells.*

Tilhørende Explanatory memorandum on autologous blood banks er vedlagt (vedlegg 4).

#### *4.3 Arbeidsgruppens betraktninger*

Det er reist spørsmål om private banker for autologt NSB høster og lagrer NSB på en måte som er kvalitetsmessig forsvarlig. Disse bankene er ikke underlagt offentlige krav til "good manufacturing practice" (GMP) – krav som de allogene NSB-bankene må etterleve.

Når det gjelder fremtidige muligheter for bruk av autologt NSB, kan det ikke utelukkes at NSB en gang i fremtiden *kan* komme til nytte ved fremtidige behandlingsprotokoller, f. eks. for reparativ medisin (replacement therapy). Dette er imidlertid et forskningsfelt i en veldig tidlig fase – langt fra mulig klinisk anvendelse.

Den teknologiske utvikling kan imidlertid like gjerne føre til at stamceller fra NSB blir mindre interessante fordi andre autologe stamcelletyper, spesielt fra benmarg, fettvev eller det aktuelle organet kan benyttes. Stamceller fra benmarg benyttes allerede i dag i utprøvende reparativ medisin for eksempel ved akutt hjerteinfarkt, claudicatio intermittens og Parkinsons sykdom.

De fremtidige mulighetene vil bl.a. være avhengig av at man finner en løsning på den antallsbegrensning som i dag er et problem med NSB,- særlig hos voksne. I tillegg kommer at den dokumenterte oppbevaringstid i nedfrosset tilstand av stamceller fra NSB med hensyn til klinisk effekt pr. i dag kun er 10 år (SMM 4/2003 s.11).

Videre vil autolog transplantasjon være uaktuell dersom personen har en alvorlig enkelt-gen sykdom som for eksempel thalassemi. Hvis en person med en slik lidelse får transplantert egne stamceller, vil disse ha samme feilen. Det samme kan gjelde enkelte kreftformer. Dersom en sykdom skal være kandidat for stamcellebehandling, må sykdommen være forårsaket av spesifikk celleødeleggelse og man må være sikker på at den celleødeleggende prosess er effektivt stoppet, Får man til dette, *kan* potensialet for behandling være stort. Både type 1 diabetes, hjerneslag, Parkinsons sykdom, Alzheimers sykdom, amyloτροφisk lateralsklerose, hjerteinfarkt, leversvikt, nyresvikt og multipel sklerose har vært nevnt i spekulasjonene om mulig fremtidig nytte av stamcellebehandling.

På bakgrunn av den pr. i dag lave anslåtte sannsynlighet (0.005%, ref SMM-rapporten) for at et barn skal kunne få bruk for sine egne stamceller til å behandle sykdom og på bakgrunn av ovenstående, konkluderer arbeidsgruppens flertall med at det på bakgrunn av dagens kunnskap ikke er faglig grunnlag for å lagre autologt NSB for bruk for en sykdom eller skade som barnet selv evt. måtte rammes av senere i livet. Dette gjelder uavhengig av om slik lagring organiseres offentlig eller privat, nasjonalt eller på nordisk/internasjonalt nivå.

Arbeidsgruppens mindretall mener at autolog NSB-bank verken bør tilrådes eller frarådes. Standpunktet er nærmere begrunnet i "Notat om grunnlaget for beslutning om opprettelse av en navlestrengsblodbank for autolog bruk" (vedlegg 5).

#### *4.4 Økonomiske forhold*

De private firma som tilbyr høsting og oppbevaring av NSB (se under pkt 5), opererer med kostnader på hhv. NOK 17400.- for høsting, testing og oppbevaring i 20 år og ca. NOK 7000.- for høsting og testing.

Dette stemmer godt overens med Rikshospitalets tall som beregner kostnadene ved å forberede, høste, fryse ned, vevstype og kvalitetsteste 1 NSB-enhet til 10.000 -15.000 kroner.

Det fødes ca 60 000 barn i Norge hvert år. Et tilbud til alle fødende om høsting og oppbevaring av NSB, vil dermed representere en årlig kostnad på 600- 900 mill NOK.

Arbeidsgruppens flertall er av den oppfatning at dagens behov for transplantasjoner med NSB ikke står i forhold til en årlig kostnad av denne størrelsesorden. Som nevnt under pkt 3.2 anser arbeidsgruppen at økonomisk støtte til verving av givere med ikke-europeisk etnisk bakgrunn er bedre anvendelse av økonomiske midler.

Når det gjelder eventuell fremtidig nytte, mener arbeidsgruppens flertall at den på det nåværende tidspunkt er altfor usikker til at årlige kostnader på 600-900 mill NOK kan forsvares.

### **5. Etske forhold**

I SMM rapport 4/2003 gis etiske og sosiale betraktninger om bruk av NSB (s 65-68). Det angis at av de tre hovedkilder for stamceller, er bruk av adulte stamceller, kanskje spesielt stamceller høstet fra NSB, ansett å være minst etisk betenkelig. Innsamling av NSB og eventuell terapeutisk bruk av disse, reiser likevel en del etiske spørsmål i forhold til giver og vedkommendes nære familie, mottakeren av stamcellene og samfunnet. Rapporten har betraktninger vedrørende informert samtykke, høsting , genetisk sykdom, bestillingsbarn, disposisjonsrett og anonymitet som arbeidsgruppen slutter seg til.

## 6. Private navlestrengsblodbanker

### 6.1. BioLante AS – aksjonær i Cryo-Save Nordic<sup>3</sup>

Cryo-Save Nordic samler, transporterer, tester og fryser ned NSB fra nyfødte. Det samles inn NSB i mange land, herunder Norge. Det framgår av firmaets webside ([www.cryo-save.no](http://www.cryo-save.no) -"Vår lab") at oppbevaring av materialet skjer i Belgia. Hensikten med innsamlingen er å oppbevare blodet for evt. seinere autolog transplantasjon.

I markedsføring beregnet på gravide fra august 2004 (se websiden) uttales bl.a. at *"Dette vil gi barnet et unikt fremtidig helsetilbud og uante behandlingsmuligheter ved en lang rekke alvorlige sykdommer, reoperasjon og reproduksjon av en lang rekke skadde eller ødelagte vev eller regenerering av beinmarg. .... Til tross for slike uomstøtelige bevis for hva som er mulig, har det dukket opp et veritabelt kor av folk som driver og baktaler plastisiteten til "adulte stamceller.", noen stiller seg tvilende til at den faktisk eksisterer, kanskje motivert av mer enn en liten grad av egeninteresse<sup>4</sup>.*

*Langt fra å vise at forskning på stamceller fra voksne er "opphauset" eller hvordan nå de enkelte avisene eller telegrambyråene har valgt å omtale det, viser det seg heller at cellefusjon både utfyller differensieringen av "adulte stamceller" og tilskynder den – noe som allerede har vist seg å være av stor verdi og som helt tydelig er svært lovende."*

I en annen brosjyre beregnet på gravide (udatert se [www.cryo-save.no](http://www.cryo-save.no)), uttales bl.a at *"Hvis barnet i løpet av de neste 20 år skulle få behov for behandling, vil man umiddelbart få tilgang til sine egen stamceller. Uten risiko for avstøtningssykdommer, noe det alltid vil være stor fare for ved å benytte stamceller fra andre."*<sup>5</sup> Under eksempler på realistisk behandling i dag listes diabetes, sigdcelleanemi, akutt myelogen leukemi, MS, Non Hodgkins lymfom opp.<sup>6</sup>

De referanser og pekere firmaet har lagt ut på sine nettsider, går dels på allogen bruk av NSB og benmarg, dels på autolog bruk av bloddannende stamceller (altså både fra benmarg og stamceller fra blod). Firmaet reserverer seg ikke i forhold til at man i dag ikke vet om referansene/pekerne er relevante for bruk av autolog NSB.<sup>7</sup>

Det framgår av avtale datert 1. april 2004 om tappeassistanse at materialet kun skal benyttes til medisinsk behandling av donor og at materialet ikke vil bli brukt i forskningsøyemed eller lignende. Overskuddsmateriale vil bli destruert. Firmaet må innhente nytt informert samtykke dersom de ønsker å benytte deler av overskuddsmateriale. Det framgår også i firmaets lagringsavtale pkt 3.6 at foreldrene/foresatte har eier-/disposisjonsrett over materialet. Det framgår ikke klart om mor/giver kan trekke sitt samtykke tilbake.

Det framgår videre av ovennevnte avtale at firmaet vil benytte fødeavdelingens helsepersonell til innsamlingen av NSB og at det betales 50 euro for denne tjenesten<sup>8</sup>

I flg. firmaets nettsted ( se [www.biolante.no](http://www.biolante.no)) var prisene pr. 27. september 2004 :

Innsamling, innsamlingsmatriell, testing, transport og nedfrysing	NOK 5950.-
Forskuddsvis ved lagring i 20 år	NOK 7700.-
alternativt NOK 435.-/ år i 20 år.	

Totalt NOK 17400.-/ Euro 2075.- ved lagerleie /år eller NOK 16400.- / Euro1950.- ved forskuddsvis betaling.

<sup>3</sup> Firmaet har kommentert teksten i e-post av 3. november 2004. Kommentarer inntatt i fotnoter.

<sup>4</sup> Iflg. firmaet er utsagnet hentet fra en kommentar i tidsskriftet Journal of Cell Science i februar 2003.

<sup>5</sup> Iflg. firmaet er dette utdrag av en kommentar i Nature av Helen Blau

<sup>6</sup> Iflg. firmaet referert fra rapporter og artikler som finnes på websiden. Med realistisk menes banebrytende

<sup>7</sup> Relevansen ligger iflg. firmaet i at voksne stamceller har vært brukt i allogen behandling i over 20 år med stor risiko for GVHD. Dette unngår man ved bruk av egne stamceller både fra benmarg og NSB

<sup>8</sup> Iflg. firmaet har de nå egne jordmødre som foretar innsamling. Betalingen gis dersom disse ikke rekker fram i tide.

## 6.2. CopyGene<sup>9</sup>

CopyGene samler, transporterer, tester og fryser ned oppsamlet NSB fra nyfødte i Danmark. Virksomheten utøves som privat biobank i hht til den danske Lov om patientrettigheder av 22. april 2004 og tar sikte på å oppbevare blodet for evt. senere autolog transplantasjon.

I sin markedsføring (se [www.copygene.no](http://www.copygene.no)) legger firmaet vekt på at oppbevaring av egne stamceller og bruk av dem på vedkommende selv, er nytt og er et område med begrenset erfaring. Det beskrives en del tilfelle der stamceller i dag har vært benyttet, men presiseres at dette gjelder ved bruk fra fremmed donor og det først seinere vil vise seg om autolog anvendelse er like effektiv. Det listes deretter opp en rekke (40) sykdommer der NSB har vært benyttet.

Når det gjelder den framtidige anvendelse, er presentasjonen litt mindre nøktern i det både hjerteslag, diabetes, Parkinson, Alzheimer, gikt og kreft angis som tilstander der *"forskerne spår at stamceller vil kunne brukes til å helbrede alvorlige sykdomme"*. I firmaets *"Kommercielle retningslinier"* av september 2004 heter det bl.a. at: *"CopyGenes kommercielle retningslinier er udarbejdet med det specifikke sigte, at tilsikre, at virksomheden i sin markedsføring og hele opræden, afspejler det forhold, at det der kan tilbydes udelukkende er en service for de kunder der ønsker at sikre seg en mulig option på fremtidens behandlingsformer, og ikke en service der garanterer, endsige sandsynliggør, at der med sikkerhed kan sikres en fremtidig anvendelse af de opsamlede stamceller"*

Sundhedsstyrelsen har i flg Copy Gene uttalt at innsamlingen ikke er underlagt offentlig tilsyn og at den kan foregå under forutsetning av at det ikke er fysisk pasientkontakt.

Donors mor har juridiske eiendomsrett over stamcelleprøver inntil donor er 18 år, deretter går eiendomsretten automatisk over til donor. Materialet kan kun benyttes til de formål eier har gitt sitt samtykke til. CopyGene har ingen rettigheter til materialet utover en mulighet til å destruere det dersom eier ikke betaler for oppbevaringen. Det framgår ikke om mor/giver kan trekke sitt samtykke tilbake.

Innsamlingen av NSB foretas av CopyGenes egne ansatte (jordmødre eller sykepleiere) etter firmaets egne prosedyrer. Gjennom prosedyrene vektlegges at innsamlingsarbeidet ikke må være til sjenanse for selve fødselen og at sykehusets eget personale ikke kan delta i prosessen.

CopyGene forbereder tilbud til norske foreldre fra høsten 2004. Firmaet planlegger å tilrettelegge arbeidet, markedsføringen og laboratoriedriften i overensstemmelse med dansk regelverk og sine eksisterende prosedyrer. Dette innebærer at en eventuell innsamling av NSB i Norge også vil bli utført av firmaets egne ansatte.

CopyGene er godkjent som biobank i Sverige og forhandler med Landstingen om betingelsene rundt virksomheten. Firmaet har videre foreløpige planer om å utvide virksomheten i Danmark slik at alle fødende ved et sykehus får tilbud om innsamling av NSB som de enten selv kan oppbevare, kan la inngå i en bank for allogene transplantasjoner eller destruere.

I flg. firmaet opereres det med flg. priser:

Innsamling, testing, nedfrysing	NOK 4000.-
Barselpakke	NOK 1000.-
Transport fra fødested til CopyGene	avhengig av avstand ( i Oslo NOK 500)
Årlig oppbevaringsavgift	NOK 850.-

<sup>9</sup> Firmaet har kommentert teksten i e-post av 1. november 2004 og uttaler at beskrivelsen er faktisk korrekt.

#### 6.4 Scancelle

Scancelle er iflg. Norsk Folkehelseinstitutt et investeringsselskap som har nærmet seg sentrale helseinstitusjoner i Norge for å diskutere opprettelse av en biobank basert på videre behandling av morkaker. Som et biprodukt vil de fryse ned stamceller fra morkake/navlestreng til eventuell senere bruk. Firmaets forretningsidé er knyttet til salg av bindevev fra morkake. Slikt bindevev kan være til nytte i rekonstruktiv kirurgi.

Det er etter arbeidsgruppens oppfatning ikke grunnlag for å si at Scancelles konsept når det gjelder stamceller representerer noe nytt og annet enn de øvrige private aktører. Firmaets planer om eventuell bruk av bindevevet fra morkaker i reparativ medisin er en helt annen teknologi enn stamcelleterapi og må eventuelt vurderes som en separat sak.

#### 6.5 Hvordan forholder sykehusene seg til de private aktørene ?

Arbeidsgruppen er kjent med at Helseministeren i enkelte tilfelle har gitt tillatelse til at sykehusene har tappet NSB ved fødsler der foreldrene har ønsket at blodet skulle oppbevares av et privat firma, men er ikke kjent med begrunnelsen for å gi slik tillatelse.

De regionale helseforetakene har fra juni 2002 fått fullmakt til i foretaksmøte å avgjøre om det enkelte helseforetak skal kunne samarbeide med de private aktørene når det gjelder å høste NSB for de foreldrepar som ønsker dette. Arbeidsgruppen har henvendt seg til de regionale helseforetakene for å få kunnskap om hvor mange slike henvendelser det dreier seg om og hvilken faglige begrunnelse som har vært benyttet ved de vedtak som er truffet. Nedenfor oppsummeres de tilbakemeldinger vi har mottatt:

HelseNord RHF opplyser at alle de tre fødeavdelingene ved Hålogalandsykehuset HF har mottatt henvendelse om tapping av NSB. Ingen av disse har imidlertid besvart henvendelsen eller inngått noen avtaler med firmaene. Nordlandssykehuset HF opplyser at kvinneklinikken har bistått ett eller to foreldrepar med innsamling av NSB. Det har ikke vært kontakt med noe firma i den forbindelse.

Sykehuset Buskerud opplyser at de vurderer situasjonen slik at det pr. i dag ikke er faglige holdepunkter for at slik innsamling er nyttig og at de derfor har besluttet ikke å medvirke til dette.

Helse Øst RHF opplyser at så langt de har kunnet bringe på det rene, er det ikke realitetsbehandlet noen saker om tapping av NSB hos dem.

Helse Vest har imidlertid hatt 5 slike saker. Av de begrunnelser som har vært benyttet ved avgjørelsen om NSB skulle tappes eller ikke, nevnes:

- sterk familiær opphopning av kreft som med stor sannsynlighet kan være arvelig betinget
- ”for pasienter med sjeldne kombinasjoner av vevstypantigener eller som tilhører etniske minoriteter og barn av blandingssekteskap kan det være vanskelig å finne egnet giver”
- det foreligger ikke spesielle omstendigheter som skulle tilsi at prøven tas

Arbeidsgruppen finner at HelseVest her har pekt på det samme problem som arbeidsgruppen med hensyn til at det for etniske minoriteter og sjeldne vevstypantigener kan være vanskelig å finne egnet giver. Arbeidsgruppen mener som tidligere nevnt ( se

under pkt 3.2 "Pasienter med ikke-europeisk etnisk bakgrunn") at dette problemet best kan løses ved at Norge medvirker til at verving av givere med ikke-europeisk etnisk bakgrunn styrkes.

Når det gjelder høsting av NSB i tilfelle med familiær opphopning av kreft, har arbeidsgruppen ikke tatt stilling til spørsmålet, men vil peke på at det eksisterer et tilbud om allogen stamcelletransplantasjon i slike tilfelle.

### *6.6 Arbeidsgruppens betraktninger*

Forholdet til de private aktørene på området NSB har vært drøftet av Bioteknologinemnda. I nemndas brev til Helsedepartementet av 5. mars 2004 (se [www.bion.no](http://www.bion.no)), uttaler nemnda bl.a. at sannsynligheten for at et barn får behov for celler fra sin egen morkake/navlestreng er meget lav. Nemndas flertall mener imidlertid at det ville være galt av det offentlige å nekte å medvirke til privat lagring av celler fra morkake/navlestreng fordi foreldrene selv bør kunne bestemme over bruken av " eget " materiale. To medlemmer i nemnda ville imidlertid fraråde at det gis tillatelse til forretningsdrift som innebærer privat lagring av celler fra morkaka/navlestreng.

Sosial- og helsedirektoratet har under behandling henvendelser fra de private aktørene om hvilket regelverk de skal forholde seg til i sin virksomhet.

Arbeidsgruppen vil konkludere med at det ikke synes å være grunnlag for å kunne nekte de private aktørene å tilby høsting og oppbevaring av NSB til autolog bruk. For at høsting av blodet ikke skal komme i konflikt med hensynet til mor og barn under fødselen, og i tråd med Europarådets uttalelse, forutsetter arbeidsgruppen at høsting av blodet foretas av annet personale enn de som bistår ved fødselen. Arbeidsgruppen forutsetter videre at i den grad sykehusets personale benyttes til høstingen, tar sykehuset betaling for dette arbeidet.

Arbeidsgruppen finner videre grunn til å stille spørsmål ved deler av den markedsføring firmaene benytter. Det synes som om den framtidige nytte beskrives i langt mer positive termer enn det pr. i dag er kunnskapsbasert grunnlag for. Arbeidsgruppen vil derfor anbefale at firmaenes markedsføring bedømmes i forhold til markedsføringslovgivningen.

## **7. Arbeidsgruppens konklusjoner**

Når det gjelder NSB som benyttes til allogene transplantasjoner, mener arbeidsgruppen at dagens ordning der Rikshospitalet tilbyr pasienter fra alle helseregionene behandling med NSB fra en nyfødt søsken og det for øvrig skaffes vevstypenforlikelig NSB fra internasjonale navlestrengsblodbanker, godt dekker behovet i Norge. Kostnadene ved å etablere navlestrengsblodbank i Norge vil måtte bli høye og arbeidsgruppen har ikke funnet faglige argumenter for å opprette en slik blodbank verken på nasjonalt eller nordisk nivå.

Arbeidsgruppen mener det er et etisk problem at sannsynligheten for å finne en vevstypenforlikelig giver er lavere for pasienter med ikke-europeisk etnisk bakgrunn. Norge bør bidra i et internasjonalt samarbeid som kan gi økt tilgang til NSB-enheter fra etnisk ikke-europeiske givere.

Ut fra dagens kunnskap, er det svært lav sannsynlighet (0,005% ref SMM-rapporten) for at et barn skal kunne får bruk for sine egne stamceller til å behandle sykdom. Den eventuelle framtidige bruk av NSB i sykdomsbehandling er avhengig av utstrakt forskning og må betegnes som svært usikker. Arbeidsgruppens flertall mener derfor det ikke er faglig

grunnlag for å lagre autologt NSB for bruk for en sykdom eller skade som barnet selv evt. måtte rammes av senere i livet. Dette gjelder uavhengig av om slik lagring organiseres offentlig eller privat, nasjonalt eller på nordisk/internasjonalt nivå.

Arbeidsgruppens mindretall mener at autologe NSB-banker i dag verken kan tilrås eller frarådes på faglig grunnlag.

Arbeidsgruppen mener imidlertid at det ikke er grunnlag for å nekte de foreldre som eventuelt ønsker det, å benytte seg av eksisterende tilbud om å høste og oppbevare NSB fra sitt nyfødte barn. Aktiviteten må i så fall foregå på en måte som ikke øker risikoen ved selve fødselen og som ikke tar personalets oppmerksomhet bort fra mor og barn. Etter arbeidsgruppens oppfatning, bør det brukes dedikert personale til denne oppgaven - fortrinnsvis fra de(t) firma som tilbyr tjenesten. Dersom sykehusets personale benyttes, skal det være annet personale enn fødselspersonalet og sykehuset bør ta seg betalt for arbeidet.

Arbeidsgruppen mener det er grunn til å se nærmere på markedsføringen fra de firma som tilbyr høsting og oppbevaring av NSB og vil anbefale at markedsføringen vurderes i henhold til markedsføringsloven.



## Vedlegg 1 til Rapport om opprettelse av biobanker for navlestrengsblod

Tabell 1. Ant. NSB-enheter og frivillige givere registrert i BMDW per 01.10.2004

<b>Cord Blood Bank</b>	<b>Total</b>
Argentina	70
Australia	10 884
Austria	3
Belgium	5 033
Belgium-Leuven	4 548
China-Sino	5 794
Czechia	1 393
Duesseldorf	6 371
Finland	2 272
France	4 536
Germany	4 130
Israel-Hadassah	936
Israel-Sheba	165
Italy-Bologna	821
Italy-Milan	9 114
Italy-Sciacca	2 952
Italy-Treviso	411
Japan-Tokyo	3 489
Netherlands	2 860
Poland-Warsaw	41
Spain	16 349
Slovakia	49
Switzerland	894
Taiwan	398
Taiwan-StemCyte	8 587
Taiwan-Taipei	20
Turkey-Ankara	20
UK-BBMR	6 520
USA-ARCCBP	8 101
USA-Aurora	6 426
USA-Cedar Knolls	3 298
USA-CRIR	8 544
USA-Michigan	1 451
USA-New York	21 789
USA-NMDP	22 541
USA-Paramus NJ	1 606
USA-StemCyte	8 244
<b>UCB TOTAL</b>	<b>180 660</b>

<b>Donor Registry</b>	<b>Total</b>
Argentina	282
Armenia	8 090
Australia and New Zealand	162 604
Austria	52 027
Belgium	49 350
Canada-UBMDR	217 847
Croatia	124
Cyprus	2 971
Cyprus BMDR	92 272
Czechia-Central BMDR	27 436
Czechia-Czech BMDR	17 725
Denmark	9 588
Denmark-BMDC	4 317
Finland	19 360
France	126 515
Germany	2 311 470
Greece	17 575
Hong Kong	39 114
Hungary	4 467
India	1 205
Ireland	16 175
Israel-Ezer Mizion	169 977
Israel-Hadassah	34 608
Israel-Sheba	1 206
Italy	305 422
Japan	194 786
Mexico	3 601
Netherlands	33 979
Norway	22 480
Poland	3 087
Poland-ALF MDR	2 338
Poland-FUJ	10 519
Poland-POLTransplant	4 876
Poland-Warsaw	5 901
Portugal	13 980
Russia-RCH	13 895
San Marino	725
Slovakia	285
Slovenia	1 601
South Africa	44 611
Spain	48 965
Sweden	39 886
Switzerland	19 269
Taiwan	243 539
Turkey-Ankara	492
Turkey-Istanbul	25 436
UK-Anthony Nolan	361 026
UK-BBMR	220 276
UK-Wales	36 820
USA-ABMDR	33 522
USA-CRIR	48 873
USA-Gift of Life	76 746
USA-NMDP	3 944 356
<b>DONORS TOTAL</b>	<b>9 147 597</b>

TOTAL NUMBER OF UNIT AND DONORS

9 328 257

## Vedlegg 2 til Rapport om opprettelse av biobanker for navlestrengsblod

Tabell 2. Antall donasjoner fra Det norske benmargsgiverregisteret til pasienter i Norge og i utlandet 1990 – 01.10.2004.

Country	Numbers
USA	73
Germany	34
Norway	23
Sweden	19
France	17
Great Britain	11
Canada	8
Denmark	8
Australia	5
Finland	3
Poland	3
Spain	3
Austria	2
Belgium	2
Italy	2
Switzerland	2
Cuba	1
Cyprus	1
Czech Republic	1
Ireland	1
Netherlands	1
Slovenia	1
South Africa	1
<b>Donors total</b>	<b>222</b>

Tabell 3. Pasienter i Norge transplantert med stamceller fra ubeslektede givere 1990 – 01.10.2004. Oversikt over antall givere per land.

Country	Numbers
Germany	48
Great Britain	39
USA	33
Norway	25
France	8
The Netherlands	7
Australia	6
Sweden	6
Wales	5
Canada	4
Italy	4
Belgium	3
Switzerland	3
Austria	1
Denmark	1
Ireland	1
Singapore	1
Spain	1
Taiwan	1
<b>Donors total</b>	<b>197</b>



OPINION OF THE EUROPEAN GROUP ON ETHICS  
IN SCIENCE AND NEW TECHNOLOGIES  
TO THE EUROPEAN COMMISSION

No 19

16<sup>th</sup> March 2004

Original in English

**ETHICAL ASPECTS OF UMBILICAL CORD BLOOD BANKING**

Reference: Request from Romano Prodi, President of the European Commission

Rapporteurs: Dr. P. Puigdomenech Rosell and Prof. G. Virt

\*\*\*\*\*

The European Group on Ethics in Science and New Technologies (EGE),

Having regard to the request of Romano Prodi, President of the European Commission, to the EGE on 24 August 2001, to prepare an opinion on private cord blood banking;

Having regard to the Treaty on European Union and in particular its Article 6 of the common provisions concerning the respect for fundamental rights, and to Article 152 of the EC Treaty on public health, and in particular paragraph 4(a) referring to substances of human origin;

Having regard to the Charter of Fundamental rights of the European Union, approved by the European Council in Biarritz on October 14<sup>th</sup> 2000 and proclaimed solemnly in Nice by the European Parliament, the Council and the Commission on December 7<sup>th</sup> 2000, in particular its Article 1 on « Human dignity », Article 3 on the « Right to the integrity of the person », Article 8 on « Protection of personal data » and Article 38 on « Consumer protection »;

Having regard to the Directive of the European Parliament and of the Council on setting standards of quality and safety for the donation, procurement, testing, processing, preservation, storage and distribution of human tissues and cells adopted on 2<sup>nd</sup> March 2004;

Having regard to Directive 95/46/EC of the European Parliament and of the Council of the European Union of 24 October 1995 on the protection of individuals with regard to the processing of personal data and on the free movement of such data<sup>1</sup>;

---

<sup>1</sup> Official Journal L 281, 23/11/1995 P. 0031 - 0050

Having regard to the Council of Europe Convention on Human Rights and Biomedicine, signed on 4 April 1997 in Oviedo, in particular its Article 5 on “Informed consent” and its Article 21 on « Prohibition of financial gain » and the Additional Protocol on Transplantation of organs and tissues of human origin opened for signature on 24<sup>th</sup> February 2001;

Having regard to the Universal Declaration on the human genome and the rights of man adopted by the UNESCO on 11 November 1997;

Having regard to the various laws and rules applying in some Member States concerning cord blood;

Having regard to the opinions expressed by national instances on that issue, namely the Opinion n° 74 of 12 December 2002 of the National Consultative Ethics Committee on umbilical cord blood banks for autologous use or for research (France)<sup>2</sup>, the statement by the Belgian Medical Association addressed to gynaecologists and general practitioners<sup>3</sup>, the opinion paper of October 2001 of the Scientific Advisory Committee of the Royal College of Obstetricians and Gynaecologists (UK)<sup>4</sup>, the opinion of 7<sup>th</sup> December 2001 of the Belgian Health Council on the revision of tissue banks’ legislation<sup>5</sup> and the American Academy of Paediatrics’ recommendations of 14<sup>th</sup> July 1999<sup>6</sup>;

Having regard to the previous EGE Opinion No. 11 of 21.07.1998 on the ethical aspects of human tissue banking and Opinion No. 15 of 14.11.2000 on the ethical aspects of human stem cell research and use<sup>7</sup>;

Having regard to the hearings of experts and Commission departments on 16 September 2003, 18 November 2003 and 16 December 2003 in Brussels and 20 October 2003 in Rome;

Having heard the rapporteurs, Dr. P. Puigdomenech Rosell and Prof. G. Virt,

---

2 Internet: <http://www.ccne-ethique.fr/english/start.htm>

3 Internet: <http://www.ordomedic.be/braf/sangcordon.htm>

4 Internet: <http://www.rcog.org.uk/print.asp?PageID=430&Type=main>

5 Internet: [http://www.health.fgov.be/CSH\\_HGR/Francais/Avis/Avis\\_Banques\\_Tissus.htm](http://www.health.fgov.be/CSH_HGR/Francais/Avis/Avis_Banques_Tissus.htm)

6 Internet: <http://www.cordblood.med.ucla.edu/experts.html>

7 Internet: [http://europa.eu.int/comm/european\\_group\\_ethics/index\\_en.htm](http://europa.eu.int/comm/european_group_ethics/index_en.htm)

## **1. WHEREAS :**

### **BACKGROUND OF THE REQUEST**

The Group is issuing an Opinion on the ethical aspects of cord blood banking following a request from President Prodi in 2001. Concerns on commercial cord blood banks were also expressed in questions<sup>8</sup> from members of the European Parliament to the European Commission. There are concerns namely about the fact that promises about the benefits of cord blood transplantations to treat a number of diseases were made to convince future parents to store cord blood from newborn babies against payment with a view to using it to treat a disease incurred by the child or one of his family members and for which there is at present no medical evidence for the validity of the treatment.

### **INTRODUCTION**

Since 1988 it has been shown that the haematopoietic stem cells present in the blood of the umbilical cord can be used for allogeneic transplantation in a number of genetic diseases, blood malignancies and immune deficiencies, for example leukaemia. After transplantation, the haematopoietic stem cells can repopulate the bone marrow of the patient, providing a source of blood cells. It currently constitutes an increasingly used alternative to bone marrow transplantation.

In order to have cord blood cells available for transplantation a number of banks were created worldwide. These banks are run by either hospitals or non-profit organizations that collect the samples from donors and provide them when the cells are needed for transplantation.

Recently, private firms have been offering to future parents the conservation of blood from the umbilical cord of newborn children for one's own use or for the use of close relatives. Different types of cord blood banks can be distinguished : private or public, for-profit or non-profit.

---

<sup>8</sup> Written question E-1079/01 by Ria Oomen-Ruijten (OJ C 340 E of 04/12/2001, p. 166) and written question E-3677/02 by Bart Staes (OJ C 137 E of 12/06/2003, p. 238)

In this opinion, the Group considered: 1. public (non-profit) banks that store cord blood cells from donors and provide them when transplantation is prescribed to an unrelated patient and 2. ° Private banks that offer a commercial service to parents in order to preserve the cells to be used for their child or children in the future.

## **DEFINITIONS**

For the purposes of this Opinion:

- a) « cord blood » means: residual placental blood collected from the cord of the newborn;
- b) « stem cells » means cells that can both replicate and also differentiate into several types of cells ;
- c) « progenitor stem cells » means cells whose terminal progeny consist of a single cell type only ;
- d) « haematopoietic stem cells » means those cells that give rise to cells present in blood ;
- e) « pluripotent » means capable of giving rise to all cell types in the body ;
- f) « HLA (Human Leukocytic Antigen) types » are determined by proteins present on the surface of leukocytes that allow the cells from the individual to be recognized. Identical or similar HLA types are necessary for successful transplantation.
- g) « autologous transplantation » refers to the transplantation to a patient of his/her own cells ;
- h) « allogeneic transplantation » refers to the transplantation of cells from a donor to another person.

## **SCIENTIFIC BACKGROUND**

### **1.1. Characteristics of cord blood**

Umbilical cord blood was found to be rich not only in normal blood cells but also in haematopoietic stem cells. These stem cells are found only in insignificant numbers in normal adult peripheral blood. After transplantation, the haematopoietic stem cells can repopulate the bone marrow of the patient, providing a source of blood cells.

An important characteristic of cord blood cells is their immunological immaturity. Therefore, haematopoietic stem cells from cord blood are less likely to induce immunological reactions when transplanted than haematopoietic stem cells from bone marrow.

Furthermore, in laboratory experiments it has been shown that cord blood stem cells can differentiate into a number of different cell types, which could give rise to future potential new therapeutic uses.

### **1.2. Advantages of cord blood cells compared to bone marrow**

The collection of cord blood units is easy and non-invasive for the donor and therefore the number of potential donors is higher than for bone marrow.

Cord blood units are stored in advance and are therefore rapidly available when needed while bone marrow has to be collected from the donor just before transplantation and there is always a risk of last minute consent refusal.

The HLA type does not need to be a perfect match in case of allogeneic cord blood cell transplantation because these cells are less likely to induce immunological reactions than bone marrow cells.

### **1.3. Current uses of cord blood.**

Cord blood can be an alternative to bone marrow transplantation in the treatment of patients with blood and immune disorders requiring a source of haematopoietic stem cells.

Cord blood is currently being used for the treatment of leukaemia, lymphomas, aplastic anaemia and hereditary disorders of the blood.

It is also used as a source of stem cells for current research.

#### **1.4. Allogeneic transplantation**

In all the current uses of cord blood indicated above, the transplantations are allogeneic and the cells used are obtained from donation. The use of autologous graft would be inappropriate in case of a genetic disease as the cells of the patient would carry the same genetic defect, or in case of leukaemia, as the cells of the patient could also become malignant. In the case of an allogeneic transplantation there is always a risk that the body rejects the transplanted tissue. Therefore, HLA-typing is essential to have the best possible HLA matching between donor and recipient in order to minimize rejection effects and optimize the chances of therapeutic success.

The residual HLA differences between donor and recipient may induce a limited immunological reaction. In the treatment of leukaemia, this “graft against host reaction” is beneficial and contributes to destruction of the leukaemia cells.

#### **1.5. Limitations of the use of cord blood cells**

In order to be useful for transplantation samples have to contain a sufficient number of cells according to the patient’s weight and therefore mainly young patients of small weight can benefit from this kind of transplantation. Nevertheless, recent experience shows that it is possible to combine several samples in order also to treat adults<sup>9</sup>. Further, research on methods of cell expansion is actively being pursued in order to overcome the problem of the limited number of cells contained in cord blood samples, which would allow a more systematic treatment of adults. Until now between 2 500 and 3 000 transplantations from cord cells have been carried out worldwide<sup>10</sup>. Studies show higher survival rates for children than for adults.

#### **1.6. Autologous transplantation**

Most indications of autologous grafts concern adults who are undergoing aplasia following chemo- or radio-therapy. The aim of the transplantation is to repopulate the bone marrow of the patient with his/her own haematopoietic stem cells that will provide a source of blood cells. Such autologous grafts do not require one’s own cord blood stem cells to have been stored at birth. Indeed, such grafts can be performed by harvesting before the therapy stem cells from the peripheral blood of the patient after stimulation by a growth factor. Therefore, indications to store cord blood at birth in view of a future autologous graft are for the present time almost non-existent.

---

<sup>9</sup> Report “A worldwide study of umbilical cord cell banking” by Dr J. Gunning (June 2003)

<sup>10</sup> Hearing of Prof. Gluckman on 18 November 2003



The probability of needing an autologous transplantation has been estimated as approximately 1 in 20 000 during the first 20 years of life<sup>11</sup>.

Exceptions can however be mentioned. In case of rare HLA types or in a family at risk of specific leukaemia it may be appropriate to store cord blood of newborn children in order to have available cells in case of need for a member of the family. The purpose is then for an intra-familial allogeneic graft rather than for a strictly autologous use. Until January 2003, only 5 autologous transplants for the treatment of Neuroblastoma, Aplastic Anaemia, and Retino-blastoma<sup>12</sup> have been mentioned in the scientific literature.

### **1.7. Current research**

During recent years, research on stem cells has expanded rapidly. Research is taking place into differentiation of pluripotent stem cells into specific cell types which could be used for the treatment of chronic diseases such as Parkinson's, diabetes, cancer, or cardiac infarcts by means of human stem cells but no clear proof of the utility of these stem cells has been shown.

Stem cells from embryonic origin raise many ethical concerns as well as some scientific ones. Cord blood is another valuable source for research on stem cells.

The possibility of using one's own cord blood stem cells for regenerative medicine is currently purely hypothetical. Research in this field is only at a very early stage. To become a reality it would be necessary:

- To be able to control the differentiation of stem cells;
- To have evidence of the efficacy and safety of such therapy;
- To be able to store cord blood stem cells for decades;
- To be able to multiply cord blood stem cells.

Even if these conditions were met, it is not evident that the use of patient's own cord blood would be preferable to the use of his / her own bone marrow or to well-matched allogeneic stem cells from donation.

It is therefore highly hypothetical that cord blood cells kept for autologous use will be of any value in the future.

---

11 Annas, NEJM 2000 ; 340 :1521

12 Report "A worldwide study of umbilical cord cell banking" by Dr J. Gunning (June 2003)

### **1.8. Collection of cord blood**

During or immediately after the birth of a child residual blood from the umbilical cord and placenta can be collected. The collection is a technically simple procedure that poses, if carefully done, no foreseeable health risks to the mother or the child in a normal delivery. In Europe the most widely used technique involves collecting the umbilical cord blood while the placenta is still in utero, while another technique waits until the placenta is delivered and then places the placenta in a sterile supporting structure and finally collects the blood by venepuncture. The first technique is more intrusive, and has the potential to interfere with the mother's care after the delivery, while the latter requires extra and specially trained staff members and holds a greater risk of contamination. Cord blood can also be collected during delivery by Caesarean section.

The blood collected in order to be donated to public banks is collected in some maternity departments where it is done on a regular basis with well established procedures and by an experienced staff. However, in the case of autologous storage, the staff of the maternity hospital that has to collect the blood might have no prior experience of the procedure. Commercial cord blood banks simply issue collection kits to the expectant parents who pass them on to the obstetric staff.

### **1.9. Storage and quality of cord blood**

After collection, the cord blood is reduced in volume, frozen at a controlled rate and stored in liquid nitrogen at  $-196^{\circ}\text{C}$ .

According to current experience, cells are usable for transplantation for at least 15 years.

Before storage, quality control has to be performed. Cord blood units are screened for some infectious diseases before storage in order to diminish the risk of transmission of infections. Protection against infection requires checking the mother for HIV, hepatitis, etc. at the time of collection as well as several months after collection. In case of donation made for the purpose of allogeneic use, including within the family, the sample has to be HLA-typed. The HLA type is necessary to identify the sample which is compatible with the recipient.

To be clinically useful the sample, at the present time, has to contain a minimum number of cells; below this number it does not have at this moment any use. Therefore, more than half of cord blood units have to be discarded<sup>13</sup> (the minimum cell dose to be transplanted should be  $2.0 \times$

---

<sup>13</sup> Report « A worldwide study of umbilical cord cell banking » by Dr J. Gunning (June 2003)

10<sup>7</sup>/kg before freezing<sup>14</sup>). This might change if the samples of different donors are bulked or if cell expansion techniques are successfully developed.

### **1.10. Umbilical cord blood banking**

There are now about 100 cord blood banks worldwide<sup>15</sup>. The present geographical distribution is approximately as follows : 40 % in Europe, 30 % in US and Canada, 20 % in Asia, 10 % in Australia and none in Africa.

About 75 % of cord blood banks in the world are public or private non-profit banks, which offer a service for the public benefit. They store donated samples for the purpose of transplantation or research. They also store cord blood for family use in case of a known risk in a family with a rare HLA group.

The remaining 25 % are commercial banks, which propose as a service the conservation of cord blood cells for autologous use for the benefit of their customers. In Europe, there are commercial banks namely in Austria, Belgium, Germany, The Netherlands, Poland and the United Kingdom<sup>16</sup>.

### **1.11. Necessity of a great diversity of cord blood cells**

There is a need for a great diversity of cells with different genetic and HLA types from different populations in order to be able to find an acceptable donor for any recipient in need. The probability to find an acceptable donor is much lower for some ethnic populations. It is for example much easier to find a suitable donor for a patient of Caucasian origin than for one of an African origin, because most of the banks are set up in Western countries, and donors will be more frequently recruited within the Caucasian population.

### **1.12. Networks and registries**

Networks of banks and registries have been created around the world in order to share and exchange samples. Such co-operation between the banks is necessary in order to have the largest possible choice of donors. In general, data about the stored blood samples are held by the same registries which were originally holding information about bone marrow donors. The biggest international bone marrow and cord blood registry is the Bone Marrow Donors Worldwide

---

14 Hearing of Prof. Gluckman on 18 November 2003

15 Report "A worldwide study of umbilical cord cell banking" by Dr J. Gunning (June 2003)

16 Report "A worldwide study of umbilical cord cell banking" by Dr J. Gunning (June 2003)

(BMDW)<sup>17</sup>. It is a voluntary collaborative effort of bone marrow donor registries and cord blood banks with the goal of providing centralised and anonymous information on the HLA phenotypes and other relevant data of unrelated bone marrow donors and cord blood units. All cord blood registries participating in BMDW are expected to adhere to the guidelines of the WMDA (World Marrow donor association)<sup>18</sup>, which promotes the definition and standardisation of ethical, technical, medical and financial aspects of international haematopoietic stem cell transplantation. It has now extended its remit to cord blood registries. In 2003 the BMDW registry contained data on roughly 130 000 samples in about 34 different public banks all over the world.

### **1.13. The European Network**

The NETCORD Foundation<sup>19</sup> was established in 1998 with the aim of promoting the use of umbilical cord blood for allogeneic stem cell transplantation. It is a non-profit organization promoting the establishment of high quality umbilical cord blood banks and has issued statutes and guidelines in order to further promote studies and research on the collection, processing, characterization, preservation and ex vivo expansion of placental blood with the primary aim of improving the quality of such components for clinical cell therapy on an international level. 16 banks participate from 12 countries all over the world, currently totalling around 72 000 cord blood units and representing more than half of the units banked in the world<sup>20</sup>.

To facilitate the searches for cord blood units by transplant centres, NETCORD has also established an on-line search program, called the Virtual Office. By submitting a search request to the Virtual Office transplant centres will no longer have to search multiple data bases of the different cord blood banks, but they will receive a single unified search report on all units that are contained in the inventory of NETCORD.

In order to ensure high and uniform quality of all cord blood units in the NETCORD inventory, NETCORD has established quality standards in collaboration with the Foundation for the Accreditation of Cellular Therapy (FACT) on the collection, cryopreservation, storage and release of units. All NETCORD banks must obtain accreditation by FACT and thus have to comply with quality standards of FACT/NETCORD.

---

17 Internet: <http://www.bmdw.org>

18 Internet: <http://www.worldmarrow.org>

19 Internet: <https://www.netcord.org>

20 Hearing of Prof. Wernet, Chairman of NETCORD, on 18 November 2003

#### **1.14. Research in Europe**

The European Commission is financing in partnership with Member States research projects through its Research and Development Framework Programmes.

A research project called EUROCORD was initiated in 1996 by The European Group for Blood and Marrow Transplantation (EBMT)<sup>21</sup>. EBMT is a non-profit organisation established to allow scientists and physicians involved in clinical bone marrow transplantation to share their experience and to develop co-operative studies. It aims to promote all aspects associated with the transplantation of haematopoietic stem cells from all donor sources and donor types including basic and clinical research, education, standardisation, quality control, and accreditation for transplant procedures.

The objectives of EUROCORD include establishing a European Registry of patients treated by cord blood transplants. EUROCORD works in close collaboration with NETCORD banks and registries.

These objectives are in conformity with the recommendations made in the Opinion no. 11 of the European Group on Ethics concerning the necessity to promote surveys on practices relating to tissue banks and to use the surveys to provide information on perspectives in therapy, diagnosis and research offered by human tissues.

---

<sup>21</sup> Internet: <http://www.ebmt.org>

## **LEGAL BACKGROUND**

Most European countries have no specific legislation on cord blood banking. In fact, they have been following different practices. Only a very few, including Italy, have enacted specific rules on the issue.

When regulations on human tissue or human blood at large exist, such as in France then cord blood is considered as a tissue and not as blood because it is the haematopoietic progenitor cells contained in cord blood which are important for transplantation. For instance the Directive of the European Parliament and the Council on setting standards of quality and safety for the donation, procurement, testing, processing, preservation, storage and distribution of human tissues and cells, adopted on 2<sup>nd</sup> March 2004<sup>22</sup>, covers haematopoietic progenitor cells but excludes blood and other blood products. Another example is the Additional Protocol to the Convention on Human Rights and Biomedicine, on Transplantation of Organs and Tissues of Human Origin which applies to tissues and cells, including haematopoietic stem cells but does not apply to blood and blood derivatives.

### **1.15. The European Community**

The Treaty establishing the European Community<sup>23</sup> in its Article 152 § 4(a) provides that *“the Council ... shall contribute to the achievement of the objectives referred to in this article through adopting measures setting high standards of quality and safety of organs and substances of human origin, blood and blood derivatives; these measures shall not prevent any Member States from maintaining or introducing more stringent protective measures.”*

In order to implement high quality standards, a legal framework has been adopted.

First, there is a directive 2002/98/EC of 27 January 2003<sup>24</sup> concerning the quality and safety of collection, storage and distribution of human blood and components but it does not apply to blood stem cells.

Second, the directive of the European Parliament and the Council on setting standards of quality and safety for the donation, procurement, testing, processing, preservation, storage and

---

<sup>22</sup> At the time of adoption of this Opinion an Official Journal number has not yet been attributed.

<sup>23</sup> The texts of the Treaties can be found on the Internet: [http://europa.eu.int/eur-lex/en/search/search\\_treaties.html](http://europa.eu.int/eur-lex/en/search/search_treaties.html)

<sup>24</sup> Official Journal L 033 , 08/02/2003 P. 0030 - 0040

distribution of human tissues and cells, adopted on 2<sup>nd</sup> March 2004, applies to cord blood banks as haematopoietic stem cells are considered as tissues. Transplantations of tissues and cells are increasingly offering greater opportunities for the treatment of as yet incurable diseases. The objective of the directive is to ensure the quality and safety of tissues and cells at European level, particularly in order to prevent the transmission of diseases.

Although the directive does not specifically mention commercial or for-profit private cord blood banks, it also applies to them. It therefore means that these types of institutions also have to apply the quality and safety standards set out in the directive, namely in terms of staff training or accreditation.

The European Community is however not competent when it comes to national measures on donation or medical use of organs and blood. Indeed, Article 152 § 5 of the Treaty establishing the European Community provides that *“Community action in the field of public health shall fully respect the responsibilities of the Member States for the organisation and delivery of health services and medical care. In particular, measures referred to in paragraph 4(a) shall not affect national provisions on the donation or medical use of organs and blood.”*

It can however be noted that the directive provides in its Article 12 that *“Member States shall take the necessary measures to encourage voluntary and unpaid donations of human tissues and cells with a view to ensuring that, insofar as is possible, they are obtained from such donations”, that “Member States shall report to the Commission on these measures” and that “on the basis of these reports the Commission shall inform the European Parliament and the Council of any necessary further measures it intends to take at Community level”*. It provides further that *“Member States shall encourage the procurement of tissues and cells to be carried out on a non-profit basis.”*

Concerning the duty of information, Article 28(d) refers to the information to be provided on the donation of cells and/or tissues.

Finally, the respect for fundamental rights is mentioned in the recitals of the directive. Mention of the EGE opinions is also made in the recitals.

### **1.16. The Council of Europe**

Article 21 of the Convention on Human Rights and Biomedicine<sup>25</sup> of the Council of Europe (Oviedo Convention) provides that *“the human body and its parts shall not, as such, give rise to financial gain”*.

The Additional Protocol to the same Convention<sup>26</sup> concerning transplantation of organs and tissues of human origin, opened for signature on 24 January 2002, provides in its article 2 that *“The provisions of this Protocol applicable to tissues shall apply also to cells, including haematopoietic stem cells.”*

The European Health Committee of the Council of Europe adopted a draft Recommendation on autologous blood banks. At the time of adoption of this opinion the recommendation has however not been adopted yet by the Committee of Ministers. It recommends to its member states that :

1. *“If cord blood banks are established, they shall be from altruistic and voluntary cord blood donation and used for allogeneic transplantation and related research.*
2. *The promotion of donation for autologous use and the establishment of cord blood banks for autologous use should not be supported by member States or their health services.*
3. *Accurate information should be provided to the population about the advantages and disadvantages of cord blood banking.*
4. *Where autologous cord blood banks are being established, the publicity and information provided to families must be accurate and fully informed consent to cord blood storage must be obtained.*
5. *Autologous blood banks that are being established must meet the same quality and safety standards as set out in the Council of Europe’s Guide to safety and quality assurance for organs, tissues and cells.”*

### **1.17. French legal framework**

Although there is no special regulation concerning the umbilical cord blood, there is every reason to admit that the rules of the code of public health relating to tissues and cells would be applicable to it. This would mean that umbilical cord blood can only be taken by establishments being the subject to an administrative authorization and only with a therapeutic or scientific aim.

---

<sup>25</sup> The text of the Convention can be found on the Internet: <http://conventions.coe.int/treaty/en/treaties/html/164.htm>

<sup>26</sup> The text of the Additional Protocol on Transplantation to the Convention can be found on the Internet: <http://conventions.coe.int/treaty/en/treaties/html/186.htm>



On the one hand, although the creation and functioning of a commercial private bank for the auto conservation of the cord blood are not expressly prohibited, such banks seem not to be in accordance with the principles and rules laid down by the code of public health. On the other hand, in the eyes of civil law of contracts and medical deontology, the validity or the enforceability of the contracts by which parents are prompted to the taking and conservation of the cord blood for their child, taking account in particular the absence of medical and current or future therapeutic usefulness, could be discussed.

In December 2002 the French National Consultative Ethics Committee (CCNE) gave an opinion on umbilical cord blood banks for autologous use or for research (opinion no. 74)<sup>27</sup>.

The CCNE concludes that although it cannot recommend that private banks should be prohibited, it draws attention to a number of risks:

- *“The gravest danger is for society in so far as setting up such banks is likely to contradict the principle of solidarity, without which no society can survive”;*
- *“Such banks raise hopes of utopia and disguise a mercantile project using assistance to children as a screen”;*
- If autologous use proved to be useful, the principles of justice and equity should predominate and autologous storage should become routine and taken in charge by public authorities;
- The uselessness of autologous storage and its cost could constitute a provocation for the poorest countries;
- At the moment of birth the attention and care for the mother and child could be diverted;
- The advertising made by private banks could play on the parents’ feelings such as fear and guilt, although it should be made clear that today there is no scientific justification to autologous storage;
- Should the management of an autologous bank be left to the State, the high cost for a currently useless technique would be unethical.

In conclusion, the CCNE recommends to public authorities to promote the development of public banks which store umbilical cord blood for allogeneic purposes.

---

<sup>27</sup> The text of the Opinion can be found on the Internet: <http://www.ccne-ethique.fr/english/start.htm>

### **1.18. The situation in Belgium**

The Belgian Health Council gave on 7th December 2001 an opinion on the revision of tissue banks' legislation<sup>28</sup>. It recommends in particular for the cord, cord blood and derived cells that :

- *“The cord and cord blood cells are part of the legislation regulating tissues and cells ;*
- *Quality standards for cord blood banks have to be worked out ;*
- *The therapeutic autologous uses for deferred preventive intentions have to be prohibited.”*

In its Annex II, the Health Council lists the conditions of approval and authorisation of the activities relating to cell and tissue banks. It stipulates in particular that *“each cell or tissue bank has to be approved by the Minister after a report of the relevant service and after the opinion of the Health Council and that this approval can only be granted for (...) non-profit-making organisms”*.

A Royal Decree is in preparation by the Ministry of Public Health<sup>29</sup> in order to have a clearer legislation regarding umbilical cord blood banks. The draft Decree provides that all tissue banks will have to be accredited by the Ministry of Health. The Royal Decree proposes that the accreditation will be granted to non-profit organizations only. The draft Decree also clearly forbids the use of umbilical cord blood cells for deferred preventive intentions as well as all discrimination aiming at favouring a person's access to therapeutic possibilities linked to tissues of human origin, any form of publicity and the research of profit.

### **1.19. The Italian law<sup>30</sup>**

An ordinance from the Ministry of Health was adopted on 30 December 2002 concerning urgent measures with respect to stem cells of the umbilical cord blood and replacing the ordinance adopted on 11 January 2002. It has been published in the official government announcements (Gazzetta Ufficiale) no. 27 of 3 February 2003 and is valid for one year. It provides the following:

- Cord blood banking is only authorized as a public conservation structure;
- Each bank is also subject to approval by the regional government where it is located;
- Private banking is forbidden;
- The import or export of cord blood must be authorized by the Ministry of Health;
- These provisions are believed necessary because therapies using stem cells from umbilical cord blood are still under study.

---

28 Internet: [http://www.health.fgov.be/CSH\\_HGR/Francais/Avis/Avis\\_Banques\\_Tissus.htm](http://www.health.fgov.be/CSH_HGR/Francais/Avis/Avis_Banques_Tissus.htm)

29 Internet: <http://www.lachambre.be/QRVA/pdf/50/50K0156.pdf> , p. 120

30 Internet: <http://www.cittadinolex.kataweb.it/Article/0,1519,22470|99,00.html>

## **ETHICAL BACKGROUND**

### **1.20. Fundamental ethical principles**

There are several fundamental ethical principles and values which can be considered relevant for this opinion :

- The principle of respect for human dignity and integrity, which asserts the principle of non commercialisation of the human body;
- The principle of autonomy or the right to self-determination on the basis of full and correct information;
- The principles of justice and solidarity, as regards to fair access to healthcare services;
- The principle of beneficence, or the obligation to do good, especially in the area of health care;
- The principle of non-maleficence, or the obligation not to harm, including the obligation to protect vulnerable groups and individuals, to respect privacy and confidentiality;
- The principle of proportionality which implies a balance between means and objectives.

There are also some value conflicts. The values of freedom and free enterprise can conflict with the principles of solidarity and justice, according to which access to healthcare should be on an equitable basis and based on realistic needs, as well as with the principle of protection of vulnerable groups.

### **1.21. Ethical concerns regarding tissue banking**

The ethical implications of cord blood banking in the case of donated samples for the purposes of allogeneic transplantation or research are the same as for any tissue bank. This issue has already been addressed in the EGE Opinion no. 11 on the ethical aspects of tissue banking (21 July 1998). The ethical values underlined in this opinion are the following: body integrity, respect of privacy and confidentiality of data, promotion of solidarity, fairness of access to healthcare and information and consent of the donors.

Regarding umbilical cord blood, the opinion no. 11 provides that *“the information provided to the woman or to the couple must clearly explain these prospective new treatments, but stress that they are still very much at the experimental stage”*. This opinion also provides that *“in principle, tissue bank activities should be reserved to public health institutions or non-profit making organisations”* but that *“tissue banks set up by industry should be subject to the same licensing*

*and monitoring requirements as non-commercial operators*". The Group insists on the ethical imperative to protect health by appropriate quality and safety rules and calls for a European legal framework in that field and finally recommends that *"the European Union should promote periodic surveys in the Member States to obtain and diffuse data on practices relating to human tissues, from procurement to distribution, the organisation of tissue banks, particularly concerning the profit-making or non-profit making aspect ... "*.

#### **1.22. Specific concerns raised by cord blood banking for autologous uses**

Cord blood banking for potential future autologous uses raises additional ethical concerns. Tissue banks were up till now relying on free donation for treatment to the benefit of other persons or for research, and by the fact that it implies an act of solidarity or generosity it contributes to the social cohesion, while the commercial cord blood banks are running for profit. This reflects a more general shift to a privately funded health care system from a health system based on solidarity and motivated by public health considerations, which has characterised Europe in the last decades.

The services proposed by these banks and for which parents pay do not have any realistic use in the foreseeable future. If proposed and endorsed by medical doctors, it may raise a problem of trust.

#### **1.23. Information to consumers/citizens**

Citizens may be tempted to take advantage of all possibilities proposed for health even if they are not validated. Furthermore, time of pregnancy and of birth represents a period when women / parents might be vulnerable. This vulnerability and the sense of guilt in the parents who wish to do everything possible for their child's good, induced by providing misleading or over optimistic information may lead people to invest money for something that they cannot really afford, and that may not be worth the money invested.

#### **1.24. Protection of vulnerable groups**

Special attention should also be made to gender aspects because the collection takes place within the delivery process. The pressure to perform the collection to satisfy a pressing request from the parents may be heavier than when the cord blood collection is a systematic procedure in the context of donation. It might then distract the attention of the practitioners from care of mother and child.

### **1.25. Reliability of the bank**

Commercial cord blood banks offer long-term storage but they might go bankrupt or at any time stop their activities. That could be detrimental to the customers' interest, should they not get what they think they have paid for.

### **1.26. Recruitment of donors**

Public banks need a great diversity of samples representing as many HLA types as possible in order to be able to find a suitable match for any recipient. However, if the number of private cord blood banks proliferates and their success increases, public banks could be deprived of potential donors who will prefer to have the newborn's cord blood stored for autologous use rather than to donate it. Therefore one may fear that public banks may have more difficulty to collect enough samples to reach the necessary critical mass.

On the other hand, if public cord blood banks are sufficiently supplied with diversified types of blood, including the rare ones, and if there is a good networking of existing banks and development of registries, any individual will have a reasonable chance to find a compatible donor and to have access to the transplants necessary for his/her treatment in case of need.

### **1.27. Fairness of access to healthcare**

The use of one's own cord blood cells is currently highly hypothetical, but if in the future regenerative medicine developed in such a way that using autologous stem cells became possible, then the fact to have one's own cord blood being stored at birth could increase the chance of having access to new therapies. This would depend on the suitability of the autologous cord blood sample for the particular therapy needed. Not everyone may be able to afford the costs of storage. In that case, access would be related to financial resources.

## **2. OPINION**

The ethical aspects of human tissue banking in general have been addressed in the opinion no. 11 of the European Group on Ethics in Science and new Technologies on 21 July 1998. The statements made in this opinion n° 11 <sup>31</sup> are also valid for cord blood banking. There are however also specific ethical aspects of cord blood banking on which is the focus of this opinion, with a special attention to commercial banking for autologous use.

The Group submits the following opinion:

### **2.1.**

The legitimacy of commercial cord blood banks for autologous use should be questioned as they sell a service, which has presently, no real use regarding therapeutic options. Thus they promise more than they can deliver. The activities of such banks raise serious ethical criticisms.

### **2.2.**

While some members of the Group consider that this activity should be banned, the majority of the Group considers that the activities of these banks should be discouraged but that a strict ban would represent an undue restriction on the freedom of enterprise and the freedom of choice of individuals/couples. These banks should operate under strict conditions.

### **2.3.**

The Group notes that at least one Member State has already forbidden such commercial cord blood banks. Such banks could be considered illegal and the contracts voidable or unenforceable in other Member States. If commercial cord blood banks are allowed by a State, such activity must be subject to strict regulation. Such regulation should include previous licensing by the competent State Authority and close supervision of the procedures followed both in the public and the private domain.

---

<sup>31</sup> see point 1.20

#### **2.4.**

If commercial cord blood banks are allowed, appropriate information should be given to the consumers willing to use their services, including the fact that the likelihood that the sample may be used to treat one's child is currently negligible, that the future therapeutic possibilities are of a very hypothetical nature and that up until now there is no indication that the present research will lead to specific therapeutic applications of one's own cord blood cells. Therefore, information has to be particularly explicit that the auto conservation has little value in the current state of scientific knowledge. This information should be made clear on all media, including Internet, and in any contracts linking commercial banks to their customers.

#### **2.5.**

Any kind of advertising made by commercial cord blood banks in the media, including on the Internet, must be adequately controlled by public authorities.

#### **2.6.**

Commercial cord blood banks have to observe the same quality standards as any other tissue bank. Therefore, the EGE welcomes the Directive of the European Parliament and of the Council adopted on 2<sup>nd</sup> March 2004 on "setting standards of quality and safety for the donation, procurement, testing, processing, preservation, storage and distribution of human tissues and cells", which provides for a legal European framework, namely in terms of authorization, licensing, accreditation, inspections, controls, promotions and publicity and staff experience.

#### **2.7.**

Given the possibility of termination of business or bankruptcy of a commercial cord blood bank, information should be provided to the customers and insurances should guarantee the continuity of the storage and the transfer of the samples to another bank, or the indemnity of the customers.

## **2.8.**

The collection of cord blood must not disturb the process of delivery and should not present any risks for the mother and child.

## **2.9.**

At present, in the exceptional cases where cord blood storage for autologous use may be justified for families at risk of specific diseases or with rare HLA types, it should be proposed to them that storage should be by public cord blood banks in order to ensure fair access to healthcare services to everybody needing it.

## **2.10.**

Considering that the European population is increasingly multi-ethnic, and in order to allow a fair access to transplantation for any citizen whatever his/her ethnic origin, specific measures should be taken by public authorities to have enough donation from different ethnic groups with different HLA patterns so that for any patient needing a transplantation, an appropriate donor could be found.

## **2.11.**

In the future, should the development get to the point where the use of one's own cord blood cells may be of value, the storage should not be a service left to commercial banks but should be taken over by the public sector in order to ensure fair access to healthcare services for everybody.

## **2.12.**

Support for public cord blood banks for allogeneic transplantations should be increased and long term functioning should be assured. However cord blood banks are of limited use as long as networks and registries are not also supported. Indeed, in order to make sure that any patient needing transplantation will find a suitable sample, the development of networks between banks and registries of donors is essential to be able to find rapidly a matching donor and they should be encouraged and supported.



**2.13.**

A wide European debate on the increasing role of the market in the healthcare system and its advantages and disadvantages should allow European citizens to be aware of the present trends and their implications, in particular on the issues raised in the present opinion.

The European Group on Ethics in Science and New Technologies  
The Chairperson : Göran Hermerén

The Members:

Nicos C. Alivizatos

Inez de Beaufort

Rafael Capurro

Yvon Englert

Catherine Labrusse-Riou

Anne McLaren

Linda Nielsen

Pere Puigdomenech-Rosell

Stefano Rodota

Günter Virt

Peter Whittaker

## Vedlegg 4 til Rapport om opprettelse av biobanker for navlestrengsblod

**EXPLANATORY MEMORANDUM On autologous cord blood banks** The principal current use of umbilical cord blood (UCB) is the collection of haematopoietic progenitor cells that can be transplanted into patients with acquired or congenital diseases of the bone marrow. In addition, it is known that umbilical cord blood could be a source of stem cells. Autologous umbilical cord blood banks reserve the use of stored UCB for donors who develop pathologies that can be addressed by haematopoietic progenitor cell (HPC) transplantation. In certain cases, these banks also allow the use of a donor's UCB by his or her relatives. Some of the reasons given by the industry supporting the creation of these banks are analysed below: **Autologous UCB banks as a source of HPC** Reasoning: **UCB can be stored for possible future use if the child or its relatives develop pathologies that might be curable by HPC transplantation.** Explanation: \_ Currently, umbilical cord blood is one of the sources of HPC; these cells can be used to treat patients with acquired or congenital diseases of the bone marrow. The creation of autologous UCB banks and the promotion of donations for autologous use could endanger altruistic and voluntary UCB donations, essential for an important number of patients (in Spain, for example, more than 400 people a year need non-related donations). There is an international system in place for locating compatible donors. There are 8.5 million bone marrow donors in the world and about 141 000 stored units of voluntarily donated UCB. Even though the number of donors seems to be increasing, due to the need for HLA compatibility between donor and recipient, only 30-40% of patients succeed in finding a compatible donor. For that reason, a decrease in altruistic and voluntary donations will make it increasingly difficult to find HLA compatible donors. \_ The probability that the autologous UCB stored in these banks will be used (in other words the probability that these children will develop a pathologies requiring HPC transplantation) is very low. The vast majority of autologous stored UCB units will never be used. \_ Even if it is the case that these children do, in the future, develop diseases requiring an HPC transplant, there is evidence to suggest that it is preferable to use allogeneic transplantation to achieve the "graft vs. tumor effect" in hematological diseases. In cases of congenital disease and in some leukemias with intrauterine cell mutations, autologous HPC transplantation is contraindicated. However, if UCB is donated to a normal UCB bank it can be located in the future either for autologous or heterologous use. **Autologous UCB banks as a source of stem cells** Reasoning: **UCB could be a source of stem cells for the child in the future. It could be used to obtain cells or even organs for transplantation. For this reason, the storage of UCB of all newborns is justified.** Explanation: \_ From a scientific point of view, at present, the clinical use of stem cells from UCB is a promising treatment but is still in a research phase. Two ongoing experimental trials in mice demonstrate the potential of stem cells from UCB to regenerate nervous tissue. However, these studies are still in an early experimental phase and no clinical trials have been carried out in humans. Stem cell production from adult tissue is also a possibility and the methodology will probably be improved in the future. \_ Stem cells are also being used in clinical trials to regenerate heart muscle, but these cells can be harvested from adults. On the other hand, the development of organs from stem cells is not yet a realistic option. \_ The storage of UCB of all newborns would mean the creation of a significant number of UCB banks (autologous banks), and also the collection, storage and preservation of a very large number of UCB units. Sooner or later, these banks would fall under the auspices of national health systems, resulting in very high costs without any clear benefits. \_ The other option is private UCB autologous banks. Parents who voluntarily wish to store their child's UCB could do so by paying the bank for the collection, preservation and storage of UCB units. Such banks already exist countries such as the United States, the United Kingdom and Germany, but are prohibited in countries such as Italy. At present there is no scientific rationale for the universal storage of UCB. It is not justified that parents pay for an unproven service without definite therapeutic use. There is therefore a need for controls,

to facilitate the provision of accurate information to the family, and to ensure that proper informed consent is obtained. Autologous blood banks should be regulated by the same rules and should meet the quality standards recommended by the Council of Europe. There is a conflict of interest between parental freedom to invest money as they choose and the obligation of the administration, for public health reasons, to restrict this type of commercialisation. **UCB mixed banks (autologous banks and voluntary banks)** A UCB unit could be divided in two parts, one to be stored for autologous use and the other to be donated voluntarily to an allogeneic bank. \_ It is necessary to take into account that the viability of a UCB transplantation is dependent on the number of HPCs. Using only 50% of the volume of the unit could endanger the success of a transplant. \_ The other possibility is to collect a UCB aliquot of newborns and create a bank of UCB samples for their use in the future, and donate the rest of the UCB to an allogeneic bank. Currently, cellular expansion techniques are not well developed, therefore the collection of this aliquot is without value as its subsequent growth is not feasible.

## Vedlegg 5 til Rapport om opprettelse av biobanker for navlestrengsblod

### Notat om grunnlaget for beslutning om opprettelse av en navlestrengsblodbank for autolog bruk.

Det sentrale spørsmål når det gjelder opprettelse av en nasjonal navlestrengsblodbank for autolog bruk er den fremtidige helsegevinst. Hvis dagens kunnskapsnivå blir stående vil det ikke være noen vesentlig helsegevinst. På den annen side kan ny forskningsbasert kunnskap medføre at helsegevinsten kan være betydelig. Hvis vi velger å ikke opprette en biobank vil denne potensielle helsegevinst gå tapt. Problemet er at ingen fagfolk i dag kan angi hvor stor sannsynligheten er for at det blir en betydelig helsegevinst.

I en slik situasjon er det derfor en verdiavveining om man skal investere i et slikt risikofyllt prosjekt. Beslutningstakerne må veie økonomiske utgifter mot potensiell helsegevinst med ukjent sannsynlighet.

Denne potensielle helsegevinst kan simuleres ved å tenke seg alle tilstandene som i teorien kan behandles. Et eksempel er type 1 diabetes. Man kan anta at det koster 600 millioner kroner å etablere og drifte en biobank gjennom en lang periode, og man videre anta at det fødes 60 000 barn i året i Norge og at omtrent 1 % av dem (600 personer) vil utvikle type 1 diabetes i løpet av livet. Man kan tenke seg at det koster 10 000 kroner i året å behandle en diabetiker med dagens behandling. En behandling med egne stamceller vil koste 200 000 kroner. Videre kan vi anta at sannsynligheten for at fremtidens forskning gjør at navlestrengsstamceller kan være helbredende for type 1 diabetes er 10%. En slags kost-/nytte vurdering for et årskull norske barn kan da gjøres ved å se på følgende tabell:

	Lagring	Behandle med stamceller	Behandle med dagens tilbud	Sum	Sannsynlighet	Antall tilfeller
Ingen biobank	0	0	300 mill	300 mill	1	600
Biobank	600 mill	120 mill	0	720 mill	0,1	0
Biobank	600 mill	0	300	900 mill	0,9	600

I den første raden velger man å ikke opprette en biobank, og man vil ha 600 personer som utvikler type 1 diabetes og som ikke blir helbredet men lever med sin sykdom i gjennomsnittlig 50 år hver. Da blir det 300 millioner kroner som er utgifter til behandling. I neste rad har man en situasjon der man har valgt å opprette en biobank, og det viser seg at stamcellebehandlingen er vellykket. Alle behandles umiddelbart etter at diagnosen er stilt og alle helbredes. Da er utgiftene 720 millioner (merkostnaden er 420 millioner), men man unngår 600 tilfeller av sykdommen. Det siste tilfellet er ugunstigst, da bruker man 600 millioner i merkostnad og har ingen gevinst av det.

Det går an å beregne kost-/nytte brøker ved en slik simulering der sannsynlighetene og behandlingseffektene kan varieres. Man må huske at mange årskull må trekkes inn, og stamceller kan potensielt være av verdi for mange sykdommer. Det kan da lages scenarier der man kan komme svært gunstig ut, slik at helsegevinsten er stor i forhold til investeringen.

Konklusjonen er at spørsmålet om det er riktig eller galt å opprette en biobank ikke kan bestemmes på faglig grunnlag.

(10. november 2004 , Per Magnus)