

 Sundhedsstyrelsen



ÅRSRAPPORT 2008:
EKSPERIMENTEL BEHANDLING

2009



Årsopgørelse 2008

I 2003 etableredes ordningen vedrørende eksperimentel behandling, og Sundhedsstyrelsen nedsatte i januar 2003 et rådgivende panel. Det rådgivende panel skulle rådgive om behandling af patienter med livstruende kræftsygdomme eller andre lignende livstruende sygdomme, for hvem der ikke umiddelbart var yderligere mulighed for behandling.

Denne årsopgørelse beskriver ordningen vedrørende eksperimentel behandling og præsenterer og analyserer data og erfaringer fra 2008.

1 Ordningen om eksperimentel behandling

1.1 Baggrund

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel vedrørende eksperimentel behandling rådgiver om behandling af patienter, der har en livstruende kræftsygdom eller anden lignende livstruende sygdom, som der ikke umiddelbart kan tilbydes behandling for på offentlige sygehuse her i landet eller i henhold til reglerne om højtspecialiseret og forskningsmæssig behandling i udlandet.

Regler for ordningen fremgår af bekendtgørelsen om ret til sygehusbehandling m.v. (sidste opdatering er nr. 1065 af 6. november 2008) Det rådgivende panel kan i henhold til reglerne give råd om yderligere udredning og behandling i Danmark, højt specialiseret behandling i udlandet, forskningsmæssig behandling i Danmark, forskningsmæssig behandling i udlandet, eksperimentel behandling i Danmark og eksperimentel behandling i udlandet.

Finansieringen af ordningen om eksperimentel behandling er fra 2007 overgået til regionerne.

Der kan kun gives råd om eksperimentel behandling i Danmark eller udlandet, når almindelige behandlingsmuligheder i Danmark er udtømt, og der ikke findes mulighed for højtspecialiseret behandling i udlandet. Det rådgivende panel har ikke mulighed for at anbefale eksperimentel behandling i udlandet, hvis der foreligger et relevant behandlingstilbud i Danmark.

Fra januar 2005 blev det muligt at modtage eksperimentel behandling i Danmark på de etablerede enheder for eksperimentel kræftbehandling på afdelinger i onkologi ved Rigshospitalet og Herlev Hospital, Odense Universitetshospital og Vejle Sygehus, Århus Sygehus og Ålborg Sygehus.

1.2 Det Nationale Koordinations Udvalg

I forbindelse med etableringen af enhederne for eksperimentel kræftbehandling nedsatte Sundhedsstyrelsen det Nationale Koordinations Udvalg (NKU) for eksperimentel behandling. I regi af NKU etableres eksperimentelle erfaringsprotokoller med det formål at indsamle systematisk viden omkring den eksperimentelle behandling. Denne viden giver mulighed for at vurdere, om den pågældende behandling har haft effekt, og om man evt. skal fortsætte med kliniske forsøg i en videnskabelig protokol.

NKU etablerer og koordinerer de eksperimentelle erfaringsprotokoller, der tilbydes på enhederne for eksperimentel kræftbehandling. NKU tager endvidere stilling til indførelse af nye eksperimentelle behandlinger på enhederne for eksperimentel kræftbehandling og til udfasning af behandlinger, der ikke længere betragtes som eksperimentelle. NKU holder møde ca. hver 4. måned.

1.3 Eksperimentel behandling

Generelt gælder for behandling med lægemidler under ordningen om eksperimentel behandling, at behandlingen iværksættes i relation til en bestemt patient med det formål at yde patienten den bedst mulige behandling i den konkrete situation. Patienterne vil ofte være i den situation, at de har gennemgået flere forskellige behandlinger for deres livstruende sygdom, og eksperimentel behandling er i denne situation den sidste mulighed for behandling.

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel foretager en konkret vurdering for hver enkelt patient. Det er panelets afgørelse, om der foreligger tilstrækkeligt grundlag til at anbefale behandlingen til den enkelte patient.

Følgende behandlinger med lægemidler kan godkendes under ordningen om eksperimentel behandling:

- a. behandlinger med lægemidler, der er under udvikling i kliniske forsøg, men hvor patienten pga. formelle inklusions- eller eksklusionskriterierne ikke kan indgå i den videnskabelige protokol
- b. behandlinger med lægemidler, hvor det kliniske forsøg og den videnskabelige protokol er afsluttet, og markedsføring afventes
- c. behandlinger med lægemidler i en eksperimentel erfaringsprotokol etableret i regi af det Nationale Koordinations Udvalg (NKU)
- d. behandlinger med lægemidler på baggrund af mindre grad af evidens såsom *kasuistikker* eller *abstracts*

Udover behandlinger med lægemidler kan det rådgivende panel anbefale andre typer af eksperimentel behandling f.eks. strålebehandling og kirurgi.

1.4 Vurdering af muligheden for eksperimentel behandling

Det er den behandlende hospitalslæge, der skal indsende en anmodning om rådgivning og vurdering af en konkret patient til Sundhedsstyrelsen. Dette for at sikre at der foreligger de relevante aktuelle informationer som grundlag for rådgivningen.

Det kan være den behandlende hospitalslæge og/eller patienten, der oplever et behov for at få en vurdering af det rådgivende panel. Patienten kan drøfte et ønske om en vurdering hos Sundhedsstyrelsens rådgivende panel med den behandlende hospitalslæge. Det er hospitalslægen der vurderer, om der skal indsendes en anmodning om vurdering til Sundhedsstyrelsen. Det rådgivende panels rådgivning er at betragte som en rådgivning fra læge til læge.

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel vurderer på baggrund af de foreliggende oplysninger mulighederne for eksperimentel behandling for den enkelte patient, men kan som nævnt ved behov også rådgive om diagnostiske undersøgelser, etablerede behandlingstilbud og forskningsmæssig behandling. Det rådgivende panel kan indhente yderligere oplysninger, hvis det skønnes nødvendigt, herunder råd fra eksperter i ind- og udland. Hvad angår udlandet indhenter det rådgivende panel råd fra eksperter på centre i de nordiske lande, en lang række europæiske lande, Japan og USA.

Det rådgivende panel rådgiver altid i forhold til den konkrete patient og vurderer således i hvert enkelt tilfælde, om den forventede effekt af behandlingen opvejer eventuel risiko og bivirkninger ved behandlingen.

Det er den behandlende/henvisende afdeling i samråd med patienten, der beslutter, om et råd skal følges. Den behandlende læge vil i den forbindelse vurdere patientens kliniske tilstand og afgøre, om patienten vil kunne tåle behandlingen.

2 Årsopgørelse 2008

2.1 Antallet af sager

Det rådgivende panel har vurderet henvendelser vedrørende 1167 nye patienter i 2008. Antallet af nye patientsager er steget med 228 fra 2007 til 2008, svarende til en stigning på 24%.

Tabel 1

	2003	2004	2005	2006	2007	2008
Antal nye patientsager	310	440	798	934	939	1167

I tabel 1 ses udviklingen i antallet af sager siden ordningen vedrørende eksperimentel behandling startede i 2003.

Antallet af patientsager er steget hvert år siden etableringen af ordningen. Fra 2003 til 2004 steg antallet af nye patientsager med 42%, fra 2004 til 2005 med 81%, fra 2005 til 2006 med 17%, fra 2006 til 2007 med 0,4% og fra 2007 til 2008 med 24%.

Antallet af patientsager steg mest markant fra 2004 til 2005, hvor antallet af sager blev næsten fordoblet. Dette falder sammen med etableringen af de danske enheder for eksperimentel kræftbehandling.

Udover de 1167 nye patientsager i 2008 har det rådgivende panel genvurderet 312 patientsager fra samme eller tidligere år (124 fra år 2008, 161 fra 2007, 21 fra 2006, 4 fra 2005 og 2 fra 2004). For disse patienter har den behandlende læge/afdeling således bedt om fornyet rådgivning - i hovedparten af tilfældene efter at patienten er blevet behandlet i henhold til tidligere rådgivning fra det rådgivende panel.

Til sammenligning vurderede det rådgivende panel i 2007 191 patientsager fra samme eller tidligere år (103 fra år 2007, 60 fra 2006, 21 fra 2005, 5 fra 2004 og 2 fra 2003).

Fordelingen af mænd og kvinder i 2008 var

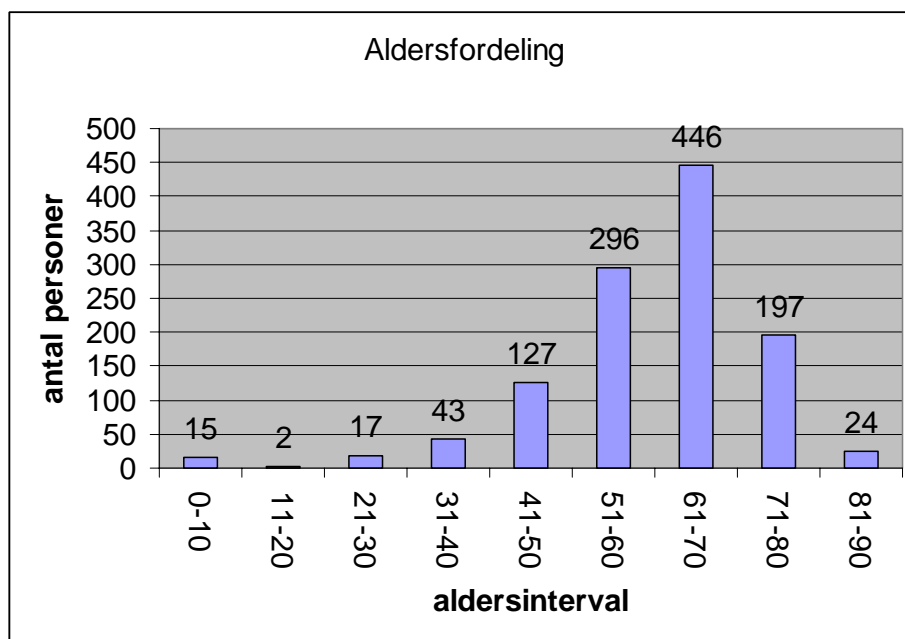
- 549 kvinder (47%)
- 618 mænd (53%)

2.2 Aldersfordeling

Patientsager i 2008 har omfattet alle aldersgrupper. Aldersintervallet går fra 1 år til 88 år. Gennemsnittet er 60 år.

I figur 1 ses fordelingen af patienter i aldersintervaller. Det aldersinterval med flest patienter er fra 61-70 år.

Figur 1



Alderen er beregnet ud fra patientens alder (i hele år) på henvisningstidspunktet.

2.3 Kræftformer

Der har i 2008 været henvist patientsager med stort set alle kræftformer til vurdering med henblik på behandling. Nogle kræftformer er hyppigere repræsenteret. Det kan skyldes, at kræftformen er hyppigt forekommende, men det kan også skyldes, at der har været gode erfaringer med eksperimentel behandling af visse kræftformer, eller at der for visse kræftformer kun er få etablerede behandlingsmuligheder.

Patienterne har haft følgende diagnoser:

- 314 tyk- og endetarmskræft

- 167 urologiske kræftsygdomme (kræft i urinveje inkl. prostata), heraf 143 med nyrekræft
- 234 kræftsygdomme i øvre mavetarmkanal inkl. bugspytkirtel, lever og galdeveje
- 97 lunge- og lungehindekræft
- 101 gynækologiske kræftsygdomme
- 54 brystkræft
- 25 kræft i hjernen
- 17 hoved-/halskræft
- 158 med andre kræftformer

2.4 Behandlende/henvisende afdelinger

Alle hospitalsafdelinger kan henvise patientsager til vurdering med henblik på eksperimentel behandling. Hovedparten af henvisningerne kommer naturligt fra de onkologiske afdelinger, men der kommer også henvisninger fra andre afdelinger. Henvisningerne vurderes at være jævnt fordelt over hele landet. Der er dog nogen forskel i antallet af henviste fra de forskellige hospitaler, hvilket kan skyldes, at visse behandlinger er samlet få steder i landet.

I 2008 er nye patientsager indsendt til Sundhedsstyrelsen fra følgende sygehusafdelinger:

Onkologiske afdelinger

- 795 fra de onkologiske landsdelsafdelinger
 - 209 fra Herlev Hospital
 - 86 fra Odense Universitetshospital
 - 202 fra Rigshospitalet
 - 89 fra Ålborg Sygehus
 - 209 fra Århus Sygehus
- 87 fra Vejle Sygehus
- 146 fra decentrale onkologiske og onkologiske/hæmatologiske afdelinger
 - 2 fra Bornholm
 - 13 fra Esbjerg
 - 41 fra Herning
 - 12 fra Hillerød
 - 34 fra Næstved
 - 43 fra Roskilde
 - 1 fra Sønderborg

Andre afdelinger

- I alt 139 fra andre afdelinger
 - 78 fra medicinske afdelinger
 - 41 fra kirurgiske afdelinger
 - 6 fra hæmatologiske afdelinger
 - 5 fra urologiske afdelinger
 - 3 fra Øre-næse- hals afdelinger
 - 2 fra gynækologiske afdelinger
 - 2 fra pædiatriske afdelinger
 - 2 fra palliative afdelinger

Tabel 2

	2003	2004	2005	2006	2007	2008
Onkologiske afdelinger	213	340	725	820	799	1028
Øvrige afdelinger	97	100	73	114	140	139

Henvisningerne fra de onkologiske afdelinger er over årene steget kraftigt, og der er således sket mere end en femdobling fra 2003 til 2008. Andelen af henvisninger fra ikke-onkologiske afdelinger har været svagt stigende fra 2003 til 2007 og er stabilt fra 2007 til 2008.

2.5 Vurdering og råd fra det rådgivende panel for eksperimentel behandling

Det rådgivende panel har vurderet 1167 nye patientsager. I 88% af patientsagerne blev der afgivet et konkret råd om eksperimentel, forskningsmæssig behandling, fortsættelse af aktuelle behandling eller yderligere udredning. I 12% af patientsagerne kunne det rådgivende panel ikke pege på yderligere former for behandling, som kunne forventes at gavne patienten.

Rådgivningen fordeler sig som følger:

- 693 patienter: Eksperimentel behandling eller forskningsmæssig behandling på enhederne for eksperimentel kræftbehandling i Danmark, deraf
 - 521 patienter: Eksperimentel behandling
 - 172 patienter: Forskningsmæssig behandling
- 3 patienter: Forskningsmæssig behandling på andre afdelinger i Danmark
- 2 patienter: Forskningsmæssig behandling i udlandet
- 48 patienter: Eksperimentel behandling i udlandet
- 1 patient: Højt specialiseret behandling i udlandet
- 100 patienter: Rådgivning om yderligere diagnostik eller behandling i Danmark
- 168 patienter: Enig i aktuelle behandlingsstrategi
- 144 patienter: Ikke mulighed for yderligere behandling
- 6 patienter: Ikke afgivet råd pga. død eller tilbagetrækning af ansøgning

Eksperimentel behandling og forskningsmæssig behandling i Danmark

I 2008 har det rådgivende panel i 693 patientsager afgivet råd om eksperimentel eller forskningsmæssig behandling i Danmark, svarende til 59,4% af de 1167 patientsager indsendt til vurdering.

I 2007 blev der afgivet råd om eksperimentel behandling eller forskningsmæssig behandling i 537 patientsager svarende til 57,2% af 939 patientsager.

I 2006 blev der afgivet råd om eksperimentel behandling eller forskningsmæssig behandling i Danmark i 601 patientsager svarende til 64% af 934 patientsager.

Eksperimentel behandling i udlandet

I 2008 er der for 48 patienter afgivet råd om eksperimentel behandling i udlandet, hvoraf hovedparten er patienter med neuroendokrine tumorer, der har modtaget DOTATOC behandling i Basel, Schweiz.

Antallet af patienter for hvem der er givet råd om eksperimentel behandling i udlandet, har været stabilt omkring ca. 30 i årene 2005, 2006 og 2007. Dette skal ses i forlængelse af etableringen af enhederne for eksperimentel kræftbehandling i Danmark og er udtryk for, at hovedparten af de eksperimentelle behandlinger kan tilbydes i Danmark.

Rådgivning om yderligere diagnostik eller behandling i Danmark

For 100 patienter er der afgivet råd om yderligere vurdering og behandling i Danmark, som ligger ud over, hvad der er foreslået fra den behandlende/henvisende afdeling.

Der kan være tale om tilfælde, hvor patienten ikke er tilbudt alle tilgængelige behandlinger, men der kan også være tale om tilfælde, hvor man allerede - uden at dette fremgår af det materiale, som det rådgivende panel er i besiddelse af - fra behandlende/henvisende afdeling har foretaget en afvejning af fordele og ulemper ved en given behandling for den konkrete patient og valgt ikke at tilbyde behandlingen.

Enig i aktuelle behandlings strategi

For 168 patienter er der afgivet råd om at det rådgivende panel har været enig i aktuelle behandlingsstrategi, det vil sige at det rådgivende panel kan tilslutte sig den af henvisende afdeling tilbudte behandling.

Der kan være tale om patientsager, hvor patienten er blevet tilbudt eller har fået en behandling som læge og/eller patient ønsker vurderet eller hvor patienten specifikt har ønsket en vurdering af mulighederne for behandling i udlandet

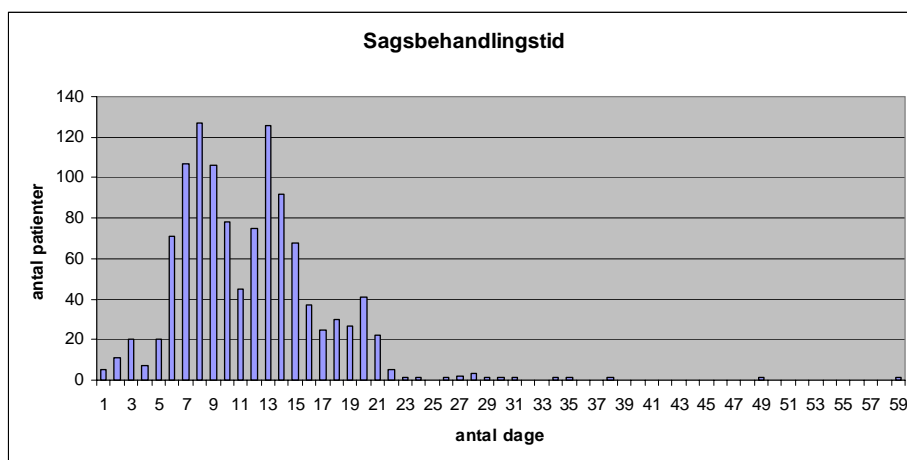
Ikke mulighed for yderligere behandling

For 144 patienter svarende til 12 % har der ikke umiddelbart været mulighed for at rådgive om yderligere specifik kræftbehandling, som kan forventes at gavne den aktuelle patient. Det rådgivende panel kan dog i nogle af disse tilfælde have givet råd om en konkret behandling, som vil kunne tilbydes, afhængig af at patientens almentilstand forbedres. Der kan i nogle tilfælde desuden være afgivet råd om en rent symptomlindrende behandling.

2.6 Sagsbehandlingstid

Sagsbehandlingstiden, fra Sundhedsstyrelsen har modtaget en anmodning om vurdering, til der afsendes svar til den behandlende læge, er opgjort for 2008 til et gennemsnit på 11,6 kalenderdage. Sagsbehandlingen tager således normalt 1-2 uger. I særlige tilfælde, hvor der eksempelvis er brug for at indhente yderligere viden i Danmark eller udlandet, kan sagsbehandlingstiden være op til 4 uger. Hvis sagsbehandlingstiden tager længere tid end 4 uger, fordi der indhentes ekspertvurdering i ind- eller udland, vil afdelingen modtage et foreløbigt svar indenfor 4 uger. Figur 2 viser at langt de fleste svar afsendes indenfor inden 21 dage.

Figur 2



3 Konklusion

Ordnningen med vurdering af individuelle patienter med henblik på mulig eksperimentel behandling har eksisteret i seks år, og har i den tid været i konstant udvikling. Et stadigt stigende antal patienter er blevet vurderet af det rådgivende panel, og fra 2007 til 2008 har der været en stigning på 24%.

Etableringen af enhederne for eksperimentel kræftbehandling i forbindelse med danske onkologiske afdelinger har været et vigtigt skridt og har bevirket, at flere patienter kan tilbydes eksperimentel behandling i Danmark. Det har også betydet, at enhederne for eksperimentel kræftbehandling får mulighed for at samle yderligere erfaring gennem erfaringsprotokoller og forskningsmæssige behandlinger. Desuden har ordningen om eksperimentel behandling betydet, at behandlinger på baggrund af de danske erfaringer er blevet til standardbehandlinger.

Nogle væsentlige resultater i 2008 er:

- Antal nye henvendelser har i 2008 være 1167 og er således fra 2007 til 2008 steget med 24%
- Anmodningerne om vurdering omfatter patienter med stort set alle former for kræft
- Sagsbehandlingstiden har i 2008 været 1-2 uger, i særlige tilfælde op til 4 uger. Gennemsnittet er på 11,6 dage
- DOTATOC behandling som hidtil har fundet sted i udlandet bliver nu hjemtaget til Århus Sygehus og Rigshospitalet