

HIDTIDIGE RESULTATER AF ORDNINGEN VEDRØRENDE EKSPERIMENTEL BEHANDLING

Introduktion

I 2003 etableredes ordningen vedrørende eksperimentel behandling, og Sundhedsstyrelsen nedsatte i januar 2003 et rådgivende panel. Panelet 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. (aktuelt § 29 i bekendtgørelse nr. 1541 af 27/12/2009). 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 udtømte, og der ikke findes mulighed for højtspecialiseret behandling i udlandet. Det rådgivende panel har således ikke mulighed for at anbefale eksperimentel behandling i udlandet, hvis der foreligger et relevant behandlingstilbud i Danmark.

Eksperimentel behandling 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.

Den danske second opinion-ordning i internationalt perspektiv

Den danske second opinion-ordning er unik i international sammenhæng, og andre lande har vist stor interesse for ordningen, herunder både dens muligheder for at tilbyde eksperimentel behandling og dens tilbud om en uvildig ekspertvurdering ved anden ekspert end patientens vanlige behandlende læge (second opinion). Der eksisterer Sundhedsstyrelsen bekendt ikke lignende ordninger i andre lande, men der er kræfter i gang for at indføre lignende ordninger. De danske erfaringer er blevet præsenteret for det norske Nasjonalt Råd for Kvalitet og Prioritering, og i december 2009 har rådet anbefalet

8. januar 2010
j.nr. 7-203-07-1/1

Sundhedsplanlægning
Sundhedsstyrelsen
Islands Brygge 67
2300 København S
Tlf. 72 22 74 00
Fax 72 22 74 05
E-post info@sst.dk

Dir. tlf. 7222 7683
E-post efp@sst.dk

”Et nasjonalt system for ny vurdering når det ikke lenger foreligger et etablert behandlingstilbud for alvorlige sykdommer” – en ordning der formentlig kommer til at inneholde elementer der ligner den danske second opinion-ordning.

Side 2
8. januar 2010
Sundhedsstyrelsen

Panelets rådgivning

Panelet har i perioden januar 2003 til ultimo november 2009 ydet konkret rådgivning for ikke mindre end 5349 patienter. Utviklingen i antallet af patientsager fra år til år kan ses af nedenstående tabel.

	2003	2004	2005	2006	2007	2008	2009 til ultimo november
Antal nye patient-sager	310	414	798	934	939	1167	761

Udover de nye patientsager har det rådgivende panel genvurderet en række patientsager fra samme eller tidligere år. Det drejede sig således i 2007 om 191 og i 2008 om 312 genvurderede sager. 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.

For nærmere information om de af panelet givne råd henvises til årsopgørelser for ordningen, der er offentliggjort på Sundhedsstyrelsens hjemmeside.

Det er i sagens natur vanskeligt at opgøre, hvilken effekt den enkelte patient har haft af den af panelet anbefalede behandling, men det store antal genbehandlede sager giver anledning til at tro, at en del af patienterne kan have haft gavn af den anbefalede behandling og at der har været tilfredshed med den først givne rådgivning.

En lang række eksperimentelle behandlinger, som panelet har anbefalet til konkrete patienter, er efterfølgende blevet taget i brug som standardbehandling. Som eksempler kan nævnes docetaxel til patienter med prostatakræft, sorafinib og sunitinib til patienter med nyrekræft, erlotinib til patienter med lungekræft og cetuximab i kombinationsbehandling til patienter med metastatisk tarmkræft.

Der er imidlertid også eksempler på, at panelet har anbefalet behandlinger, hvor der ikke efterfølgende har kunnet vises dokumentation for effekt af behandling. Som eksempel kan nævnes, at biologisk behandling til patienter med tarmkræft i starten blev anbefalet til en væsentligt større gruppe af patienter end dem, som man nu ved kan have effekt af behandlingen. Til visse patienter med ikke-småcellet lungekræft anbefalede panelet i en periode behandling med gefitinib. Et stort studie viste imidlertid efterfølgende, at stoffet ikke havde effekt på overlevelse eller progressionsfri periode. Behandlingen er derfor ikke blevet taget i brug som standardbehandling og anbefales naturligvis ikke længere af panelet.

Udover ovennævnte, der alene omfatter kræftpatienter, er der i regi af ordningen vedr. eksperimentel behandling vurderet behandlingsmuligheder for et mindre antal patienter med andre sygdomme end kræft, fx alvorlige og sjældne hjertesygdomme og neurologiske sygdomme. Sundhedsstyrelsen har i sådanne sager nedsat ad hoc-panel med den fornødne faglige ekspertise.

Side 3
8. januar 2010
Sundhedsstyrelsen

Enheder for eksperimentel kræftbehandling og Nationalt Koordinationsudvalg

I direkte forlængelse af ordningen vedrørende eksperimentel behandling i udlandet blev det senere vedtaget, at de dertil afsatte midler ligeledes kunne anvendes til eksperimentel behandling i Danmark. Ved de onkologiske centre er der således oprettet enheder for eksperimentel kræftbehandling. Disse enheder varetager eksperimentel behandling iværksat i samråd med Second Opinion panelet.

Enhedernes aktiviteter koordineres i regi af Det Nationale Koordinationsudvalg (NKU), der er sammensat af Second Opinion panelet, repræsentanter fra enhederne for eksperimentel kræftbehandling, Lægemiddelstyrelsen og Sundhedsstyrelsen. Hermed er der skabt en struktur, der medfører, at man meget hurtigt kan etablere eksperimentel behandling. Den største del af behandlingen gennemføres i regi af almindelige forskningsprotokoller eller såkaldte erfaringsopsamlingsprotokoller, og der er i øjeblikket 10 sådanne protokoller i NKU-regi.

På baggrund af positive eksperimentelle resultater overgår behandlingen fra NKU-regi til at være standard ved de onkologiske afdelinger. Dette er for eksempel tilfældet med tredjeliniebehandling af colorectal cancer, hvor den eksperimentelle behandling viste, at effekten var begrænset til en gruppe patienter med en speciel genetisk ændring i svulsten (KRAS mutation). Herved blev man i stand til at målrette den biologiske behandling, der nu er indført som standard. På baggrund af aktiviteten i enhederne for eksperimentel kræftbehandling er Danmark som det første land i Norden blevet i stand til at tilbyde målrettet behandling til en gruppe patienter med en forventet levetid på få måneder og dermed forlænge overlevelsen til ca. 1 år.

Lignende forhold gør sig gældende for patienter med kræft i æggestokkene uden yderligere behandlingsmuligheder med traditionel kemoterapi. Disse patienter har med almindelig understøttende behandling et særdeles belastende forløb med en overlevelse på få måneder. I NKU-regi er der nu etableret en forskningsbaseret behandlingsprotokol. De første resultater tyder på, at man kan forlænge overlevelsen med ca. seks måneder og at man endvidere kan målrette behandlingen til en undergruppe af patienter, der får en betydelig forlænget overlevelse.

Oprettelsen af enhederne for eksperimentel kræftbehandling og samarbejdet i NKU har medført et væsentligt forbedret behandlingstilbud til patienter med i øvrigt beskedne behandlingsmuligheder. Der er skabt en struktur, der tillader, at nye behandlinger indføres på eksperimentel basis med meget kort varsel. Den protokollerede aktivitet medfører, at der skabes evidens for nye behandlinger, før de indføres som generel standard.

Behandling på enhederne for eksperimentel kræftbehandling har skabt mulighed for, at der opsamles erfaringer til gavn for kommende patienter. Der er allerede på nuværende tidspunkt udgået en del videnskabelige arbejder fra enhederne, og en bibliografi er under udarbejdelse. Denne vil være at finde på Sammenslutningen af Kræftafdelinger i Danmarks hjemmeside snarest.

Enhederne for eksperimentel kræftbehandling repræsenterer en væsentlig forbedring af den danske kræftbehandling.

Hurtig introduktion af nye behandlinger

På baggrund af rådgivning fra panelet vedrørende eksperimentel behandling har en række patienter fået mulighed for at få tilbud om behandlinger, som ikke har været indført i Danmark på det pågældende tidspunkt. Ved ordningens start måtte nogle patienter rejse til udlandet for at modtage medicinske behandlinger, der endnu ikke var indført i Danmark. For ordningens første år gælder således, at hovedparten af de behandlingsmuligheder i udlandet, som panelet rådgav om i et givent år, året efter var indført som behandlingstilbud i Danmark, enten som standard eller som led i protokollerede behandlingsforsøg.

Gennem de seneste år har behandlinger i stedet kunnet tilbydes på de ovenfor omtalte enheder for eksperimentel kræftbehandling, hvorved svært syge patienter har kunnet undgå ofte strabadserende rejser til udlandet. Behandlinger har kunnet tilbydes på enhederne, så snart lægemidlet var tilgængeligt i Danmark.

Øget fokus på behandling af sjældne kræftsygdomme

For sjældne kræftsygdomme gælder det, at det på grund af det lille patientantal kan være vanskeligt at opnå evidens for en given behandling på samme niveau som for de hyppige sygdomme. I regi af NKU gennemføres der derfor flere gange årligt en analyse af ”medical needs”, dvs. en vurdering af, om der er sygdomme – herunder især også sjældne kræftsygdomme – hvor behandlingstilbuddene kan forbedres. På baggrund af analysen vurderes det, hvilke nye behandlingstiltag der kan iværksættes, fx i regi af enhederne for eksperimentel kræftbehandling. Ordningen vedrørende eksperimentel behandling har således medført øget fokus på behandlingen af sjældne kræftsygdomme og forbedrede behandlingsmuligheder for patienter med sådanne sygdomme både i Danmark og – hvis behandlingen ikke kan tilbydes i Danmark – i udlandet.

Et eksempel herpå er behandlingen af sjældne neuroendokrine tumorer, hvor der tidligere var meget beskedne behandlingsmuligheder. De seneste år er en række patienter via ordningen om eksperimentel behandling blevet henvist til eksperimentel behandling i Schweiz. På baggrund af de positive erfaringer for disse patienter er behandlingen nu indført i Danmark.

Udbygget samarbejde med udenlandske afdelinger

I forbindelse med behandlingen af konkrete patienter i udlandet er der sket et øget samarbejde mellem danske og udenlandske hospitalsafdelinger.

Side 5
8. januar 2010
Sundhedsstyrelsen

Konklusion

Sammenfattende er det Sundhedsstyrelsens vurdering, at ordningen vedr. eksperimentel behandling i dens nuværende form og ikke mindst takket være panelets store faglige indsigt har medført konkrete behandlingstilbud for en lang række patienter, for hvem der ellers ikke var yderligere behandlingstilbud. Ordningen har været direkte medvirkende til at skabe fokus på behandlingstilbuddene til svært syge patienter, til etableringen af enheder for eksperimentel kræftbehandling i Danmark, hurtig introduktion af nye behandlinger, øget fokus på sjældne kræftsygdomme mv. Endelig skal det nævnes, at ordningen har medført en ensretning af behandlingstilbuddene for kræftpatienter i Danmark til gavn ikke blot for de patienter, der har fået deres sag vurderet af panelet, men også for en lang række andre patienter.