

ÅRSRAPPORT 2009:  
EKSPERIMENTEL BEHANDLING

2010



# Årsopgørelse 2009

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

Denne årsopgørelse beskriver ordningen vedrørende eksperimentel behandling og præsenterer og analyserer data og erfaringer fra 2009. Derudover diskuterer årsrapporten nogle af de samlede erfaringer med og konsekvenser af ordningen.

## 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. 62 af 20. januar 2010) 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
- Eksperimentel behandling i udlandet.

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

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

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 mindre fase 2 undersøgelser.

## 1.3 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 finder 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. Patienten vil tilsvarende på baggrund af informationer om effekt, bivirkninger mm. vurdere om hun/hun ønsker den pågældende behandling.

## 2 Årsopgørelse 2009

### 2.1 Antallet af sager

Det rådgivende panel har vurderet henvendelser vedrørende 818 nye patienter i 2009. Antallet af nye patientsager er faldet med 349 fra 2008 til 2009, svarende til et fald på 30%. Dette kan forklares med, at flere eksperimentelle behandlinger, der tidligere skulle godkendes via ordningen vedrørende eksperimentel behandling overgik til standard behandlinger i 2008 og 2009. Det drejer sig blandt andet om Sorafinib (Nexavar®) til patienter med nyrecellekræft, Sunitinib (Sutent®) til patienter med nyrecellekræft, Cetuximab (Erbix®) kombinationsbehandling til patienter med metastatisk tarmkræft og Sorafenib (Nexavar) til patienter med hepatocellulært carcinom (primær leverkræft)

**Tabel 1**

	2003	2004	2005	2006	2007	2008	2009
Antal nye patientsager	310	440	798	934	939	1167	818

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

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 818 nye patientsager i 2009 har det rådgivende panel genvurderet 249 patientsager fra samme eller tidligere år (87 fra 2009, 120 fra 2008, 25 fra 2007, 12 fra 2006, 1 fra 2005, 3 fra 2004 og 1 fra 2003). 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 2008 312 patientsager fra samme eller tidligere år.

Fordelingen af mænd og kvinder i 2009 var

- 433 kvinder (53%)
- 385 mænd (47%)

### 2.2 Kræftformer

Der har i 2009 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

des, 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:

- 157 tyk- og endetarmskræft
- 73 urologiske kræftsygdomme (kræft i urinveje inkl. prostata), heraf 39 med nyrekræft
- 144 kræftsygdomme i øvre mavetarmkanal inkl. bugspytkirtel, lever og galdeveje
- 119 lunge- og lungehindekræft
- 100 gynækologiske kræftsygdomme
- 66 brystkræft
- 23 kræft i hjernen
- 25 hoved-/halskræft
- 111 med andre kræftformer.

## 2.3 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.

I 2009 er nye patientsager indsendt til Sundhedsstyrelsen fra følgende sygehusafdelinger:

### Onkologiske afdelinger

- 541 fra de onkologiske landsdelsafdelinger
  - 141 fra Herlev Hospital
  - 82 fra Odense Universitetshospital
  - 118 fra Rigshospitalet
  - 78 fra Ålborg Sygehus
  - 122 fra Århus Sygehus
- 63 fra Vejle Sygehus
- 115 fra decentrale onkologiske og onkologiske/hæmatologiske afdelinger

- 29 fra Herning
- 25 fra Roskilde
- 25 fra Næstved
- 19 fra Hillerød
- 9 fra Esbjerg
- 2 fra Sønderborg
- 1 fra Viborg
- 1 fra Bornholm
- 4 fra Færøerne

#### Andre afdelinger

- I alt 99 fra andre afdelinger
  - 40 fra medicinske afdelinger
  - 33 fra kirurgiske afdelinger (inklusive fælles medicinsk/kirurgiske gastroenheder)
  - 11 fra urologiske afdelinger
  - 5 fra gynækologiske afdelinger
  - 4 fra hæmatologiske afdelinger
  - 4 fra pædiatriske afdelinger
  - 2 fra neurologiske afdelinger

**Tabel 2**

	<b>2003</b>	<b>2004</b>	<b>2005</b>	<b>2006</b>	<b>2007</b>	<b>2008</b>	<b>2009</b>
Onkologiske afdelinger	<b>213</b>	<b>340</b>	<b>725</b>	<b>820</b>	<b>799</b>	<b>1028</b>	<b>719</b>
Øvrige afdelinger	<b>97</b>	<b>100</b>	<b>73</b>	<b>114</b>	<b>140</b>	<b>139</b>	<b>99</b>

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. I 2009 er der for begge grupper sket et fald i henvisninger på ca. 30%.

## 2.4 Vurdering og råd fra det rådgivende panel for eksperimentel behandling

Det rådgivende panel har vurderet 818 nye patientsager. I 87% af patientsagerne blev der afgivet et konkret råd om behandling. I 13% af patientsagerne kunne det rådgivende panel ikke pege på yderligere former for behandling, som kunne forventes at gavne patienten.

Rådgivningen fordeler sig som følger:

- 341 patienter: Eksperimentel behandling eller forskningsmæssig behandling på enhederne for eksperimentel kræftbehandling i Danmark, deraf
  - 129 patienter: Eksperimentel behandling
  - 212 patienter: Forskningsmæssig behandling
- 5 patienter: Forskningsmæssig behandling på andre afdelinger i Danmark
- 7 patienter: Eksperimentel behandling i udlandet
- 1 patient: Højt specialiseret behandling i udlandet
- 116 patienter: Rådgivning om yderligere diagnostik eller behandling i Danmark
- 239 patienter: Enig i aktuel behandlingsstrategi
- 106 patienter: Ikke mulighed for yderligere behandling
- 3 patienter: Ikke afgivet råd pga. død eller tilbagetrækning af ansøgning

### Eksperimentel behandling og forskningsmæssig behandling i Danmark

I 2009 har det rådgivende panel i 341 patientsager afgivet råd om eksperimentel eller forskningsmæssig behandling i Danmark, svarende til 41,6 % af de 818 patientsager indsendt til vurdering.

### Eksperimentel behandling i udlandet

I 2009 er der for 7 patienter afgivet råd om eksperimentel behandling i udlandet, hvoraf tre har modtaget DOTATOC behandling i Basel, Schweiz. DOTATOC og DATATATE behandling er blevet indført på henholdsvis Århus Sygehus og Rigshospitalet, der i 2009 samlet har modtaget 17 patienter til disse behandlinger.

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 116 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 239 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

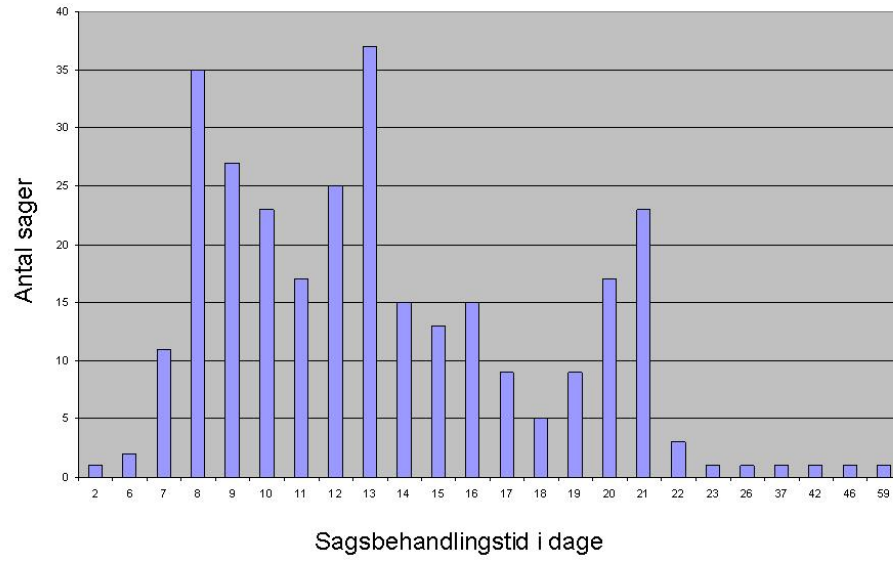
### Ikke mulighed for yderligere behandling

For 109 patienter svarende til 13 % 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.

## 2.5 Sagsbehandlingstid

Sagsbehandlingstiden, fra Sundhedsstyrelsen har modtaget en anmodning om vurdering, til der afsendes svar til den behandlende læge, er opgjort for 2009 til et gennemsnit på 13,6 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 21 dage.

**Figur 2**



## 3 Koordinering af eksperimentel behandling

### 3.1 Det Nationale Koordinations Udvalg og enhederne for eksperimentel kræftbehandling

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 er placeret på Rigshospitalet og Herlev Hospital, Odense Universitetshospital og Vejle Sygehus, Århus Sygehus og Aalborg Sygehus og varetager eksperimentel behandling iværksat i samråd med det rådgivende panel.

Enhedernes aktiviteter koordineres i regi af Det Nationale Koordinationsudvalg (NKU), der er sammensat af det rådgivende panel, 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.

Oprettelsen af enhederne for eksperimentel kræftbehandling og samarbejdet i NKU har medført et væsentligt forbedret behandlingstilbud til patienter med i øvrigt beskudne 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.

### 3.2 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 ibrugtaget 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.

### 3.3 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 der er brug for yderligere behandlingstilbud. På baggrund af den løbende opsamling af viden 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 behandlingstilbud for patienter med sådanne sygdomme både i Danmark og – hvis behandlingen ikke kan tilbydes i Danmark – i udlandet.

## 4 Konklusion

Ordnningen med vurdering af individuelle patienter med henblik på mulig eksperimentel behandling har eksisteret i syv år, og har i den tid været i konstant udvikling. Et stadigt stigende antal patienter er blevet vurderet af det rådgivende panel, indtil 2008, men antallet er fra 2008 til 2009 faldet. Dette kan forklares med, at flere eksperimentelle behandlinger, der tidligere skulle godkendes via ordningen vedrørende eksperimentel behandling overgik til standard behandlinger i 2008 og 2009.

Nogle væsentlige resultater i 2009 er:

- Antal nye henvendelser har i 2009 været 818 og er således fra 2008 til 2009 faldet med ca. 30%
- Anmodningerne om vurdering omfatter patienter med stort set alle former for kræft
- Sagsbehandlingstiden har i 2009 været 1-2 uger, i særlige tilfælde op til 4 uger. Gennemsnittet er på 13,6 dage
- DOTATOC behandling som hidtil har fundet sted i udlandet er nu hjemtaget til Århus Sygehus og Rigshospitalet.

Den danske ordning vedrørende eksperimentel behandling 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 fx i Norge.

Det er Sundhedsstyrelsens vurdering, at ordningen vedr. eksperimentel behandling 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.