



ÅRSRAPPORT 2010:  
EKSPERIMENTEL BEHANDLING

2011



Årsrapport 2010: Eksperimentel behandling

Sundhedsstyrelsen

Islands Brygge 67

2300 København S

URL: <http://www.sst.dk>

Emneord: Eksperimentel behandling; Kræftbehandling; Kræftlægemidler

Sprog: Dansk

Kategori: Faglig rådgivning

Version: 1.0

Versionsdato: 6. juni 2011

Format: pdf

Elektronisk ISBN: 978-87-7104-203-0

Udgivet af: Sundhedsstyrelsen

I 2003 blev ordningen vedrørende eksperimentel behandling etableret. Samtidig nedsatte Sundhedsstyrelsen 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 2010.

# 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 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 faglige vurdering, om der foreligger tilstrækkeligt grundlag til at anbefale behandlingen til den enkelte patient.

Følgende typer behandling med lægemidler vil kunne komme på tale under ordningen om eksperimentel behandling:

- a. behandlinger med lægemidler, der er under udvikling i kliniske forsøg, men hvor patienten pga. formelle inklusions- eller eksklusionskriterier 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 eller lign.

### 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 Panelets sammensætning

Det rådgivende panel har de seneste år bestået af tre eksperter som alle besidder stor erfaring på det onkologiske område:

- Heine Høi Hansen - professor, onkologisk klinik, Rigshospitalet
- Hans von der Maase - professor, onkologisk klinik, Rigshospitalet
- Anders Jakobsen - professor, onkologisk afdeling, Vejle sygehus

Panelet er i 2010 blevet udvidet med en kirurgisk ekspert:

- Michael Bau Mortensen - overlæge, PhD, Øvre GI Sektion, Kirurgisk afdeling A, Odense Universitetshospital

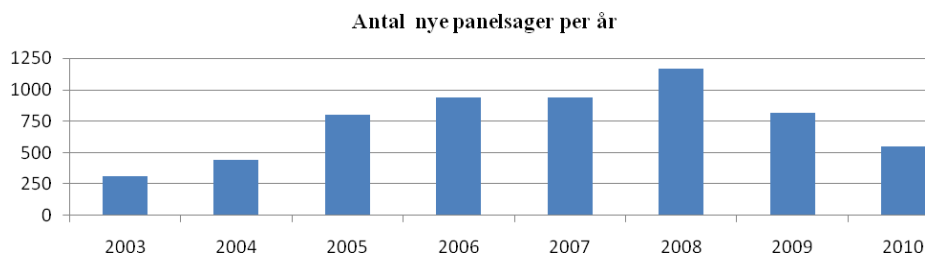
## 3 Årsopgørelse 2010

### 3.1 Antallet af sager

Det rådgivende panel har vurderet henvendelser vedrørende 552 nye patienter. Antallet af nye patientsager er faldet med 265 fra 2009 til 2010, svarende til et fald på ca. en tredjedel.

Dette fald i antallet svarer til faldet i 2009 og kan formentlig forklares ved at kræftafdelingerne i Danmark råder over langt flere behandlingsmuligheder nu end i de første fem år af ordningen vedr. eksperimentel behandling.

**Figur 1:** Antal nye panelsager



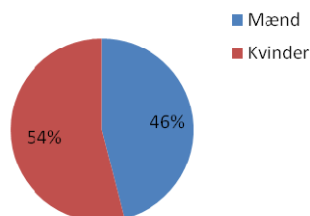
I figur 1 ses udviklingen i antallet af sager siden ordningen vedrørende eksperimentel behandling startede i 2003.

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 552 nye patientsager har det rådgivende panel genvurderet 160 patientsager fra samme eller tidligere år. 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 genvurderede det rådgivende panel i 2009 249 patientsager fra samme eller tidligere år.

**Figur 2:** Fordelingen af mænd og kvinder:



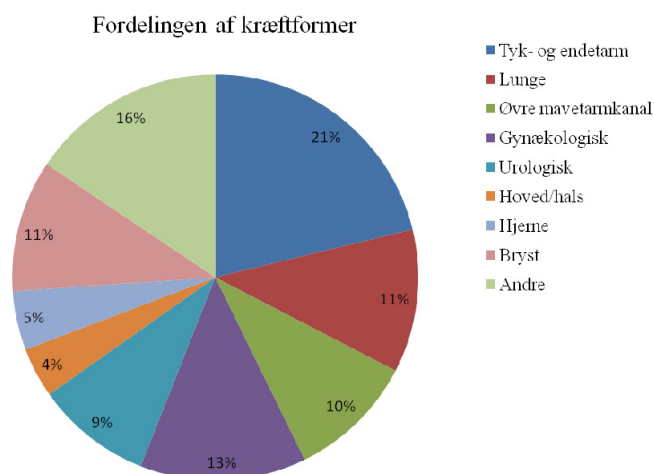
### 3.2 Kræftformer

Der har været henvist patienter 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:

- 117 tyk- og endetarmskræft
- 63 lunge- og lungehindekræft
- 56 kræftsygdomme i øvre mavetarmkanal inkl. bugspytkirtel, lever og galdeveje
- 73 gynækologiske kræftsygdomme (kræft i de kvindelige kønsorganer)
- 51 urologiske kræftsygdomme (kræft i urinveje inkl. prostata)
- 22 hoved-/halskræft
- 26 kræft i hjernen
- 58 brystkræft
- 86 med andre kræftformer

**Figur 3:** Fordelingen af kræftformer

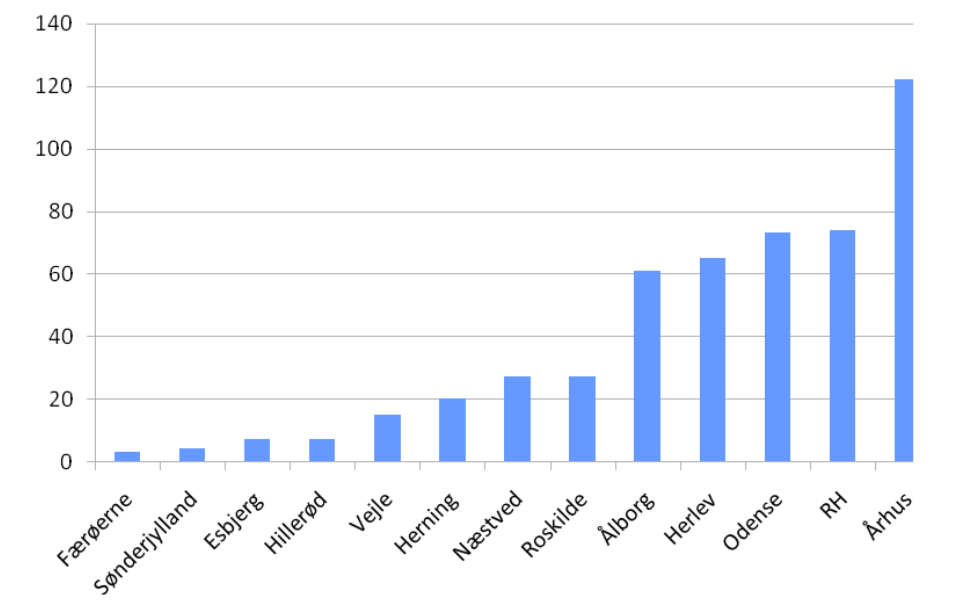


### 3.3 Behandler/henvisende afdelinger

Alle hospitalsafdelinger kan henvise patienter til vurdering med henblik på eksperimentel behandling, men størstedelen af henvisningerne kommer fra de onkologiske afdelinger.

#### Onkologiske afdelinger (91 %)

**Figur 4:** 505 patientsager fra de onkologiske afdelinger fordelt på sygehuse:

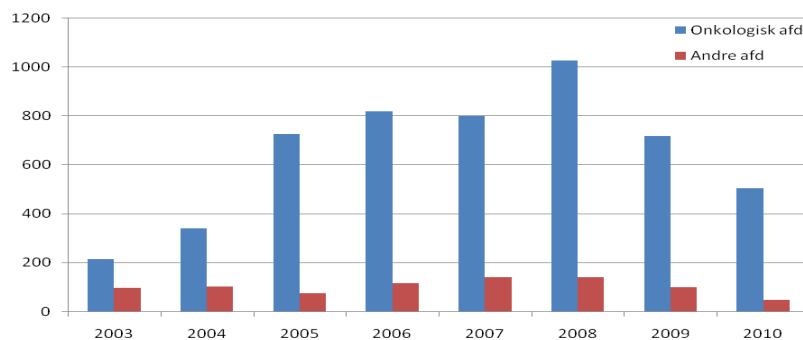


#### Andre afdelinger (9 %)

De resterende patientsager fordeles over flere afdelingstyper primært medicinske og kirurgiske afdelinger.

Henvisningerne fra de onkologiske afdelinger steg kraftigt i årene fra 2003 til 2008 hvorefter der sker et kraftigt fald i 2009 og 2010. Andelen af henvisninger fra ikke-onkologiske afdelinger har været svagt stigende fra 2003 til 2007; stabilt fra 2007 til 2008 og faldende fra 2008 til 2010.

**Figur 5:** Patientsager fra afdelinger fordelt over årene

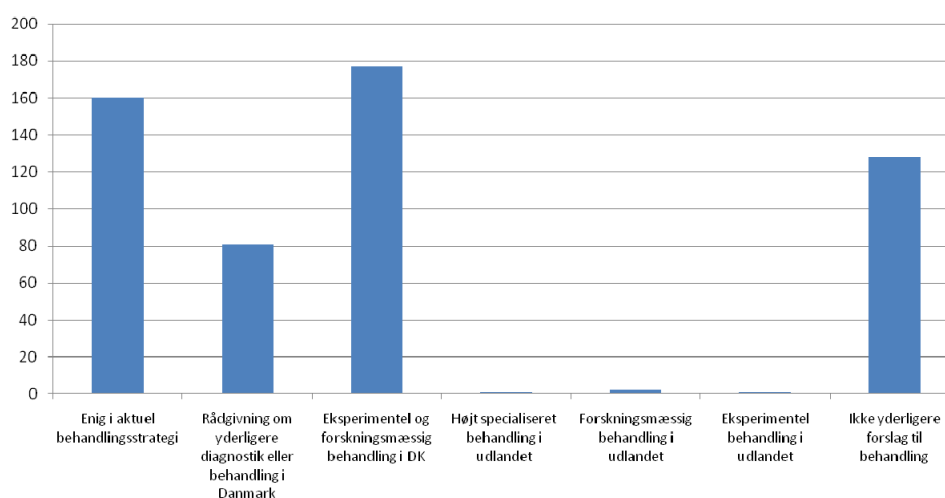


### 3.4 Vurdering og råd fra det rådgivende panel for eksperimentel behandling

Det rådgivende panel har vurderet 552 nye patientsager. I 32 % af patientsagerne blev der henvist til eksperimentel eller forskningsmæssig behandling i Danmark. I 29 % af sagerne var panelet enig i den aktuelle behandlingsstrategi. I 23 % af patientsagerne kunne det rådgivende panel ikke pege på yderligere former for behandling, som kunne forventes at gavne patienten.

Rådgivningen fordeler sig som følger:

**Figur 6:** Alle 552 patientsager fordelt på panelets rådgivning:



#### Enig i aktuel behandlingsstrategi

For 160 patienter har det rådgivende panel været enig i aktuel 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.

#### Rådgivning om yderligere diagnostik eller behandling i Danmark

For 81 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.

#### Eksperimentel og forskningsmæssig behandling i Danmark

Det rådgivende panel har i 177 patientsager afgivet råd om eksperimentel eller forskningsmæssig behandling i Danmark, svarende til 32 %.



### Højt specialiseret behandling i udlandet

For en enkelt patient er der afgivet råd om højt specialiseret behandling i udlandet.

### Forskningsmæssig behandling i udlandet

Der er for to patienter afgivet råd om forskningsmæssig behandling i udlandet.

### Eksperimentel behandling i udlandet

Der er for en enkelt patient afgivet råd om eksperimentel behandling i udlandet. Dette er et udtryk for at hovedparten af de eksperimentelle behandlinger kan tilbydes i Danmark.

### Ikke mulighed for yderligere behandling

For 128 patienter svarende til 23 %, har panelet vurderet at der ikke foreligger yderligere former for specifik kræftbehandling, som kan forventes at gavne patienterne.

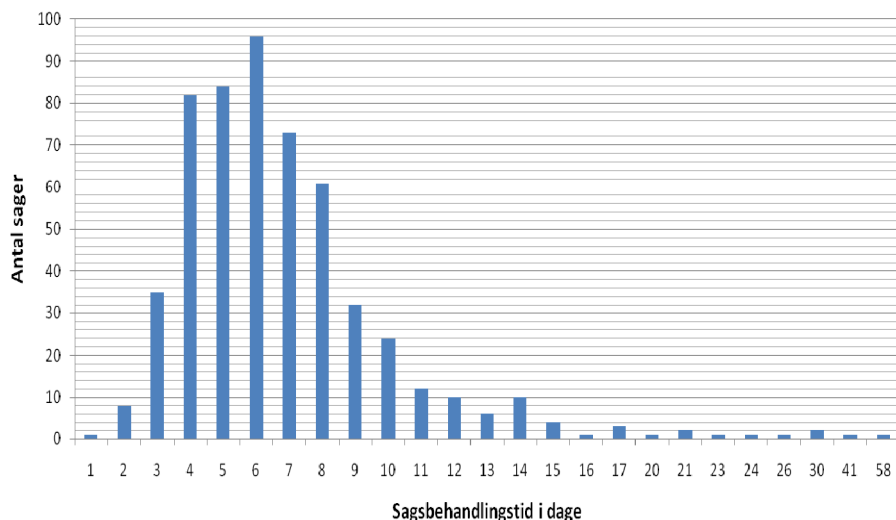
## 3.5 Sagsbehandlingstid

Sagsbehandlingstiden, fra Sundhedsstyrelsen har modtaget en anmodning om vurdering, til der afsendes svar til den behandlende læge, er opgjort til et gennemsnit på 7 arbejdsdage.

I særlige tilfælde, hvor der eksempelvis er brug for at indhente yderligere viden i Danmark eller udlandet, kan sagsbehandlingstiden være længere. Kun i 10 sager er sagsbehandlingstiden længere end 20 arbejdsdage svarende 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 7 viser at 90 % af svar afsendes indenfor 10 arbejdsdage svarende til 2 uger.

**Figur 7:** Svartider fordelt på antal sager



## 4 Koordinering af eksperimentel behandling

### 4.1 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.

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.

### 4.2 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.

### 4.3 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 behandlingsmuligheder for patienter med sådanne sygdomme både i Danmark og – hvis behandlingen ikke kan tilbydes i Danmark – i udlandet.

## 5 Konklusion

Ordningen med vurdering af individuelle patienter med henblik på mulig eksperimentel behandling har eksisteret i otte år, og har i den tid været i konstant udvikling. Fra 2003 til 2008 var antallet af patienter der er blevet vurderet af det rådgivende panel markant stigende, mens antallet fra 2008 til 2010 har været faldende. Dette kan formentligt forklares ved at kræftafdelingerne i Danmark råder over langt flere behandlingsmuligheder nu end i de første fem år af ordningen vedr. eksperimentel behandling.

Nogle væsentlige resultater er:

- Antal nye henvendelser har været 552 og er således fra 2009 til 2010 faldet med ca. en tredjedel.
- I 90 % af sagerne har sagsbehandlingstiden været maksimum 10 arbejdsdage svarende til 2 uger.
- Anmodningerne om vurdering omfatter patienter med stort set alle former for kræft

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.

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.