



ÅRSRAPPORT 2007:
EKSPERIMENTEL BEHANDLING

2008



Årsopgørelse 2007

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

Med året 2007 har ordningen om eksperimentel behandling eksisteret i 5 år. Årsopgørelse 2007 vil derfor, udover at beskrive den eksperimentelle behandling i 2007, også give en kort status over de første fem år.

Årsopgørelsen er delt i tre; først beskrives ordningen om eksperimentel behandling, herefter beskrives og analyseres opgørelsen for 2007, og til sidst gives en kort status over de første fem års erfaringer.

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 § 26 i Bekendtgørelse om ret til sygehusbehandling m.v. nr. 1085 af 14. september 2007. 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 eller forskningsmæssig behandling i Danmark eller udlandet, når standard behandlingsmulighederne i Danmark er udtømte, og der ikke findes mulighed for højtspecialiseret behandling i udlandet. Panelet har således ikke mulighed for at anbefale en forskningsmæssig eller 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 de involverede 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 de eksperimentelle enheder 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 egentlige kliniske forsøg i en egentlig videnskabelig protokol.

NKU etablerer og koordinerer de eksperimentelle erfaringsprotokoller, der tilbydes på enhederne for eksperimentel kræftbehandling. NKU holder møder ca. hver 4. måned. 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.

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 tilstrækkelig 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. 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 abstrakts.

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.

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.

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, standard behandlingstilbud og forskningsmæssig behandling. Panelet kan indhente yderligere oplysninger, hvis det skønnes nødvendigt, herunder råd fra eksperter i ind- og udland.

Det rådgivende panel rådgiver altid i forhold til den konkrete patient og vurderer således hver gang, om der kan formodes en mulig effekt af behandlingen, og om denne i forbindelse hermed opvejer eventuel risiko og bivirkninger ved behandlingen.

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

1.5 Sagsbehandlingstiden

Sagsbehandlingstiden, fra Sundhedsstyrelsen har modtaget en anmodning om vurdering, til der afsendes svar til den behandlende læge, er opgjort for 1. kvartal 2008 til et gennemsnit på 9 kalenderdage, hvor den korteste sagsbehandlingstid var 1 dag og den længste 28 dage. 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.

2 Årsopgørelse 2007

2.1 Antallet af sager

Det rådgivende panel har vurderet henvendelser vedrørende 939 nye patienter i 2007. Antallet af patientsager er tilnærmelsesvis uændret fra 934 i 2006 til 939 i 2007. Udover de 939 nye patientsager i 2007 har det rådgivende panel vurderet 191 patientsager fra samme eller tidligere år (103 fra år 2007, 60 fra 2006, 21 fra 2005, 5 fra 2004 og 2 fra 2003). Til sammenligning vurderede panelet i 2006 98 patientsager fra samme eller tidligere år (49 fra 2006, 36 fra 2005, 11 fra 2004 og 2 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.

Fordelingen af mænd og kvinder i 2007 har været

- 433 kvinder
- 505 mænd

Aldersfordelingen er fra 8-84 år.

2.2 Kræftformer

Der har i 2007 været henvist patientsager med stort set alle kræftformer til vurdering med henblik på eksperimentel 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:

- 270 tyk- og endetarmskræft
- 202 urologiske kræftsygdomme (kræft i urinveje inkl. prostata), heraf 186 med nyrekræft
- 114 kræftsygdomme i øvre mavetarmkanal inkl. bugspytkirtel, lever og galdeveje
- 80 lunge- og lungehindekræft
- 61 gynækologiske kræftsygdomme, heraf 37 med kræft i æggestokken
- 41 med malignt melanom (modermærkekræft)
- 34 brystkræft

- 26 kræft i hjernen
- 18 hoved-/halskræft
- 92 med andre kræftformer

2.3 Behandlende/henvisende afdelinger

Alle hospitalsafdelinger kan henvise patientsager til vurdering med henblik på eksperimentel behandling. Årsopgørelsen 2007 tyder på, at der er et bredt kendskab til ordningen, da henvisningerne kommer fra mange forskellige afdelinger. Hovedparten af henvisningerne kommer naturligt fra de onkologiske 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.

Sagerne er indsendt til Sundhedsstyrelsen fra følgende sygehusafdelinger:

Onkologiske afdelinger

- 639 fra de onkologiske landsdelsafdelinger
 - o 144 fra Rigshospitalet
 - o 141 fra Herlev Hospital
 - o 96 fra Odense Universitetshospital
 - o 200 fra Århus Sygehus
 - o 58 fra Ålborg Sygehus
- 79 fra Vejle Sygehus
- 81 fra decentrale onkologiske afdelinger
 - o 32 fra Næstved
 - o 18 fra Roskilde
 - o 14 fra Herning
 - o 5 fra Hillerød
 - o 3 fra Bornholm
 - o 9 fra Esbjerg

Andre afdelinger

- I alt 140 fra andre afdelinger
 - o 66 fra medicinske afdelinger
 - o 34 fra kirurgiske afdelinger
 - o 20 fra urologiske afdelinger
 - o 5 fra hæmatologiske afdelinger
 - o 4 fra neurologisk/neurokirurgisk afdeling
 - o 3 fra gynækologiske afdelinger
 - o 3 fra pædiatriske afdelinger
 - o 2 fra palliative afdelinger
 - o 2 fra plastikkirurgiske afdelinger
 - o 1 fra klinisk genetisk afdeling

2.4 Vurdering og råd fra det rådgivende panel for eksperimentel behandling

Det rådgivende panel har vurderet 939 patientsager, og rådgivningen fordeler sig som følger:

- 533 patienter: Eksperimentel behandling og forskningsmæssig behandling på enhederne for eksperimentel kræftbehandling i Danmark, deraf
 - o 486 patienter: Eksperimentel behandling
 - o 47 patienter: Forskningsmæssig behandling
- 4 patienter: Forskningsmæssig behandling på andre afdelinger i Danmark
- 32 patienter: Eksperimentel behandling i udlandet
- 2 patienter: Højt specialiseret behandling i udlandet
- 60 patienter: Rådgivning om yderligere diagnostik eller behandling i Danmark
- 118 patienter: Enig i aktuelle behandlingsstrategi
- 185 patienter: Ikke mulighed for yderligere behandling
- 5 patienter: Ikke afgivet råd pga. død eller tilbagetrækning af ansøgning

Eksperimentel behandling og forskningsmæssig behandling i Danmark

For i alt 537 patienter har panelet afgivet råd om eksperimentel eller forskningsmæssig behandling i Danmark, svarende til 57,2% af de 939 patientsager indsendt til vurdering. I 2006 fik 601 patienter svarende til 64% af patienterne et råd om eksperimentel behandling eller forskningsmæssig behandling i Danmark.

Eksperimentel behandling i udlandet

For 32 patienter svarende til 3,4% af de 939 patientsager er der afgivet råd om eksperimentel behandling i udlandet.

Det drejer sig i alle tilfælde om patienter med neuroendokrine tumorer, der har modtaget DOTATOC behandling i Basel, Schweiz.

Antallet af patienter for hvem der, der er givet rådgivning om eksperimentel behandling i udlandet, har været stabilt svarende til omkring 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 den eksperimentelle behandling kan tilbydes i Danmark.

Rådgivning om yderligere diagnostik eller behandling i Danmark

For 60 patienter er der givet 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 panelet 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.

Ikke mulighed for yderligere behandling

For 185 patienter 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 er afhængig af at patientens almentilstand forbedres. Der kan i nogle tilfælde desuden være afgivet råd om en rent symptomlindrende behandling.

2.5 Erfaringsprotokoller i 2007

Nedenfor er redegjort for de eksperimentelle erfaringsprotokoller og forskningsmæssige behandlinger, der er etableret i regi af NKU i 2007. Behandlingen finder sted på enhederne for eksperimentel kræftbehandling.

	Sygdom	Eksperimentel behandling / Forskningsmæssig behandling
1	Kræft i galdevejene	Kombinationsbehandling med 3 cytostatika (gemcitabin, oxaliplatin og capecitabin)
2	Leverkræft, lokoregional	Kemoembolisering (lokalindgift med cytostatika (doxorubicin))
3	Leverkræft, udbredt	Kombinationsbehandling med 3 cytostatika (etoposid, oxaliplatin og capecitabin)
4	Levermetastaser ved kolorektalkræft	Regional kemoterapi – lokalindgift af cytostatica i arteria hepatica capecitabin og oxaliplatin)
5	Kolorektalkræft	Kombinationsbehandling med cetuximab og irinotecan
6	Kræft i binyren	Kombinationsbehandling med docetaxel og cisplatin
7	Diverse solide tumorer	Stigende doser af nye cytostatika enten som enkeltstof eller i kombinationsbehandling.
8	Hjernetumorer	Behandling med cetuximab, irinotecan og bevacizumab til patienter tidligere behandlet med kirurgi, stråleterapi og temodal
9	Kræft i øvre mave-tarmkanal	Kombinationsbehandling med erlotinib og bevacizumab
10	Hjernetumorer	Kombinationsbehandling med bevacizumab og irinotecan
11	Nyrekræft	Behandling med sorafinib eller sunitinib
12	Kræft i æggestokken	Behandling med avastin
13	Kræft i tyk- og endetarm	Kombinationsbehandling med cetuximab, irinotecan, sunitinib

3 Ordningen om eksperimentel behandling fra 2003-2007

3.1 Antallet af patientsager

	2003	2004	2005	2006	2007
Antal sager	310	440	798	934	939
Råd om eksperimentel behandling i Danmark	0	0	380(47,6%)	601(64,3%)	533(56,8%)
Råd om eksperimentel behandling i udlandet	45 (14,5%)	127(28,9%)	33 (4,1%)	30 (3,2%)	32 (3,4%)

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% og fra 2006 til 2007 har antallet stabiliseret sig. Dog er antallet af fornyede vurderinger af samme patient steget fra 98 i 2006 til 191 i 2007.

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.

3.2 Henvisende/behandlende afdelinger

	2003	2004	2005	2006	2007
Antal patientsager	310	440	798	934	939
Onkologiske afdelinger	213	340	725	820	799
Øvrige afdelinger	97	100	73	114	140

Henvisningerne fra de onkologiske afdelinger er over årene steget kraftigt, og der er således sket mere end en tredobling fra 2003 til 2007. Andelen af henvisninger fra ikke-onkologiske afdelinger har været svagt stigende fra 2003 til 2007, og 2007 er det år, hvor der er kommet flest henvisninger fra øvrige afdelinger.

3.3 Behandling i Danmark og udlandet

Frem til 2005 blev alle patienter, der modtog eksperimentel behandling, henvist til behandling i udlandet. I 2005 oprettede man enhederne for eksperimentel kræftbehandling i tilknytning til de onkologiske landsdelsafdelinger i Danmark, hvor man nu kan tilbyde eksperimentel behandling til en række forskellige patientgrupper, som således ikke længere generelt henvises til udlandet.

I 2005 fik 47,6% af patienterne et råd om eksperimentel behandling i Danmark, i 2006 steg denne andel til 64,3% og i 2007 var andelen faldet til 56,8%.

NKU og de første eksperimentelle erfaringsprotokoller og forskningsprotokoller i regi af enhederne for eksperimentel kræftbehandling blev etableret i løbet af efteråret 2004, hvorefter arbejdet i enhederne for eksperimentel kræftbehandling blev påbegyndt i januar 2005. Antallet af patienter, der har fået råd om eksperimentel behandling i udlandet, er således tilsvarende faldet fra 28,9% i 2004 til 4,1% i 2005, 3,2% i 2006 og 3,4% i 2007. De råd, der er givet vedrørende eksperimentel behandling i udlandet i 2005, 2006 og 2007 har drejet sig om en række forskellige behandlingsformer til meget forskellige kræftsygdomme. Der er hovedsageligt givet råd om behandling i Tyskland, Schweiz, England og Sverige. I 2007 blev der udelukkende rådgivet om DOTATOC behandling i Schweiz.

3.4 Status over eksperimentel behandling der er overgået til standard behandlingstilbud pr. 1. januar 2008

Nogle af de behandlinger, der starter som eksperimentelle behandlinger, vil når man har opnået tilstrækkelig viden kunne overgå til standard behandlingstilbud. Nedenstående er eksempler på behandlinger der siden 2003 blevet givet som eksperimentel behandling i udlandet eller i Danmark og nu anvendes som et standard behandlingstilbud:

- Behandling af patienter med kræft i galdegangene i form af gemcitabinholdig kemoterapi
- Behandling af patienter med kræft i mavesækken i form af docetaxelholdig kemoterapi
- Kemoembolisering af levertumorer
- Behandling af patienter med lungehindekræft med kemoterapi i form af pemetrexed (Alimta)
- Behandling af patienter med lungekræft med kemoterapi i form af pemetrexed (Alimta).

- Behandling af patienter med prostatakraft med kemoterapi i form af docetaxel
- Efterbehandling af patienter opereret for lungekræft med kemoterapi i form af platinholdigt stof og vinorelbine
- Behandling af patienter med lungekræft med et biologisk målrettet stof i form af erlotinib (Tarceva)

4 Konklusion

Ordningen med vurdering af individuelle patienter med henblik på mulig eksperimentel behandling har eksisteret i fem år, og har i den tid været i konstant udvikling. Et stadigt stigende antal patienter er blevet vurderet af det rådgivende udvalg.

Etableringen af de eksperimentelle afdelinger 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 de eksperimentelle enheder 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 er:

- Antal henvendelser er på 5 år steget fra 310 til 939 årligt
- Efter etablering af de danske eksperimentelle enheder i 2005 er antal patienter, som har fået råd om behandling i DK, steget til ca. 60 %, mens antallet, som får råd om behandling i udlandet, er faldet fra 15-30 % til 3-4 %
- Ansøgningerne omfatter patienter med kræft i stort set alle organer
- 13 behandlinger er gået fra at være eksperimentelle til at være standardbehandlings tilbud
- Sagsbehandlingstiden er i 2008 normalt 1-2 uger, i særlige tilfælde op til 4 uger.

Ordningen om eksperimentel behandling vil også fremover give patienter med livstruende sygdomme en sidste mulighed for behandling, derudover vil ordningen også kunne bidrage til at finde nye og mere effektive behandlinger til gavn for patienternes overlevelse og livskvalitet.