



SUNDHEDSSTYRELSEN

Rådgivning om eksperimentel behandling for mennesker med livstruende sygdom

ÅRSRAPPORT 2015

2016

Rådgivning om eksperimentel behandling for mennesker med livstruende sygdom

Årsrapport 2015

© Sundhedsstyrelsen, 2016.

Publikationen kan frit refereres med
tydelig kildeangivelse.

Sundhedsstyrelsen
Islands Brygge 67
2300 København S

www.sst.dk

Sprog: Dansk

Version: 1,0

Versionsdato: 25.05.2016

Format: pdf

Udgivet af Sundhedsstyrelsen,
maj 2016.

Elektronisk ISBN:
978-87-7104-770-7

Indhold

1	Resume	4
2	Ordningen om eksperimentel behandling	6
2.1	Baggrund	6
2.2	Livstruende sygdom	7
2.3	Hvad er eksperimentel behandling?	7
3	Patientens muligheder for rådgivning om eksperimentel behandling	8
3.1	Vurdering af patientsager	8
3.2	Rådgivende panel	8
4	Årsopgørelse 2015	10
4.1	Antal sager	10
4.2	Typer af sygdomme	10
4.3	Vurdering og råd	13
4.4	Sagsbehandlingstid	15

1 Resume

Ordningen vedrørende eksperimentel behandling omhandler rådgivning om mulighederne for eksperimentel behandling for mennesker med livstruende sygdomme.

Ordningen blev etableret i 2003 og har således eksisteret i 13 år.

Ordningen vedrører patienter med livstruende sygdomme, og i relation til denne ordning forstås livstruende således, at sygdommen indenfor en kortere periode vil føre til, at den enkelte patient vil dø af sygdommen. En sygdom, som er kronisk eller invaliderende, behøves således ikke at være livstruende.

Generelt gælder det for rådgivning under ordningen at den gives 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 hvor eksperimentel behandling kan være den sidste mulighed.

Behandling kaldes eksperimentel, når der ikke findes samme grad af videnskabelig dokumentation for effekten af behandlingen som ved en etableret behandling og den ikke foregår i et forskningsmæssigt regi.

Patienter der lider af en livstruende sygdom og hvor den behandlende sygehuslæge vurderer at der ikke umiddelbart kan tilbydes yderligere behandling, kan få en vurdering af om der er muligheder for eksperimentel behandling i Danmark eller udlandet eller få rådgivning om supplerende undersøgelser eller behandling på offentlige sygehuse i landet. Patienten kan drøfte et sådant ønske med den behandlende sygehuslæge, der vurderer, om en anmodning om vurdering skal indsendes til Sundhedsstyrelsen.

Det er den behandlende sygehuslæge, der indsender en anmodning om rådgivning og vurdering af en konkret patient til Sundhedsstyrelsen. Hermed sikres, at de relevante aktuelle informationer foreligger som grundlag for panelets rådgivning, og at rådgivningen efterfølgende kan anvendes i det konkrete behandlingsforløb.

Den henvisende afdeling beslutter i samråd med patienten, om rådgivningen skal følges. Den behandlende læge vurderer patientens kliniske tilstand og afgør, om patienten vil kunne tåle behandlingen. Patienten vil tilsvarende på baggrund af informationer om effekt, bivirkninger mm. vurdere om han/hun ønsker den pågældende behandling.

I 2015 har panelet vurderet muligheder for eksperimentel behandling i 405 patientsager, hvoraf 371 var nye sager. Det er en let nedgang i forhold til 2014, hvor panelet vurderede 404 nye patientsager. Næsten alle de henviste patienter har livstruende kræftsygdomme, idet kun fire ud af 405 patientsager i 2015 omhandlede patienter med en anden livstruende sygdom end kræftsygdom.

De sygdomme patienterne hyppigst blev henvist med var lunge- og lungehindekræft, brystkræft, kræft i øvre mavetarmkanal og tyk- og endetarmskræft.

Sagsbehandlingstiden fra Sundhedsstyrelsen modtager en anmodning om vurdering, til der afsendes svar til den behandlende afdeling, er i gennemsnit på 8,6 arbejdsdage. Behandlingstiden i 2014 var 6,5 arbejdsdage.

Den gennemsnitlige sagsbehandlingstid i 2015 ligger fortsat inden for de udmeldte frister om 1-2 uger og maksimalt 4 uger. Hvis sagsbehandlingstiden formodes at overstige 4 uger, fordi der eksempelvis indhentes ekspertvurdering i ind- eller udland, vil afdelingen modtage besked om den forlængede sagsbehandlingstid inden for 4 uger.

Rigsrevisionen har i 2014 gennemført en undersøgelse af ordningen vedrørende eksperimentel behandling. Beretningen har givet anledning til, at styrelsen i 2015 har haft fokus på en række områder. Områderne omtales under afsnit 2.1. Baggrund.

Mere information om ordningen vedrørende eksperimentel behandling for patienter med livstruende sygdomme samt tidligere årsrapporter kan findes på vores [hjemmeside](#).

2 Ordningen om eksperimentel behandling

2.1 Baggrund

Ordningen vedrørende eksperimentel behandling omhandler rådgivning om mulighederne for eksperimentel behandling.

Ordningen følger af sundhedslovens § 89 og er nærmere beskrevet i bekendtgørelse nr. 958 af den 29. august 2014 om ret til sygehusbehandling m.v. Det fremgår af bekendtgørelsens § 30, at Sundhedsstyrelsen nedsætter et rådgivende panel, som efter indstilling fra behandlende sygehusafdeling rådgiver om muligheder for eksperimentel behandling hos patienter med livstruende sygdom der ikke umiddelbart kan tilbydes behandling på offentlige sygehuse her i landet eller efter reglerne for højt specialiseret eller forskningsmæssig behandling i udlandet.

Eksperimentel behandling kan således kun tilbydes, såfremt etablerede behandlingsmuligheder er udtømte. Eksperimentel behandling kan foregå i Danmark eller i udlandet. Panelet kan rådgive om andre behandlingsmuligheder end de eksperimentelle, hvis det findes relevant, herunder etableret behandling, forskningsmæssig behandling, højt specialiseret behandling i udlandet, samt yderligere diagnostiske undersøgelser.

Det er Sundhedsstyrelsens rådgivende panel, der foretager den konkrete vurdering af den enkelte patients muligheder for eksperimentel behandling. Sundhedsstyrelsens panel har et antal faste medlemmer med særlig viden om behandling af medicinske og kirurgiske kræftsygdomme til at foretage vurderinger, der omhandler livstruende kræftsygdomme. Når det omhandler andre livstruende sygdomme, vil styrelsen som udgangspunkt udpege 'ad hoc' medlemmer til panelet med særlig viden og ekspertise indenfor det pågældende sygdomsområde, som f.eks. ved ALS (Amyotrofisk Lateral Sklerose) og livstruende hæmatologiske lidelser.

Rigsrevisionen har i 2014 gennemført en undersøgelse af ordningen vedrørende eksperimentel behandling. Beretningen har givet anledning til at styrelsen i 2015 har haft fokus på en række områder.

Sundhedsstyrelsen har styrket dialogen med både regioner og patientforeninger omkring ordningen. Der er blevet udsendt skriftlig information om ordningen til lægerne på de offentlige sygehuse og arrangeret møde med blandt andet Danske Regioner og patientvejlederkontorerne med henblik på at udbrede kendskabet til ordningen. Der er lagt vægt på, at både patienter med kræft og patienter med andre livstruende sygdomme kan få gavn af ordningen. Den patientrettede pjece er blevet opdateret i samarbejde med Danske Patienter, Kræftens Bekæmpelse og patientvejledere. En ny udgave blev udgivet den 24. juni 2015. Årsrapporter er også ændret til at have fokus på rådgivning vedrørende eksperimentel behandling af både mennesker med kræft men også mennesker med andre livstruende sygdomme.

2.2 Livstruende sygdom

Ordningen vedrører patienter med livstruende sygdomme, og i relation til denne ordning forstås livstruende således, at sygdommen indenfor en kortere periode vil føre til, at den konkrete patient vil dø af sygdommen. En sygdom, som er kronisk eller invaliderende, behøves således ikke at være livstruende.

Det kan være vanskeligt generelt at definere, hvilke sygdomme der er livstruende. Sygdomme har forskellige faser, sværhedsgrader og forskellige forløb hos den enkelte patient.

Det vil således altid være en konkret lægefaglig vurdering, hvorvidt en sygdom er livstruende for den enkelte patient.

Desuden er behandlingsmulighederne for flere sygdomme i udvikling og nye behandlingsmuligheder medfører, at sygdomme, som tidligere blev anset for at være livstruende, i dag er at opfatte som en kronisk sygdom (fx HIV-infektion).

2.3 Hvad er eksperimentel behandling?

Behandlingen kaldes eksperimentel, når der ikke findes samme grad af videnskabelig dokumentation for effekten af behandlingen som ved en etableret behandling og den ikke foregår i et forskningsmæssigt regi.

Generelt gælder det for behandling, under ordningen om eksperimentel behandling, at den 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 der rådgives om andre former for eksperimentel behandling som for eksempel strålebehandling og kirurgi.

Det 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.

3 Patientens muligheder for rådgivning om eksperimentel behandling

3.1 Vurdering af patientsager

Patienter der lider af en livstruende sygdom og som af den behandlende læge ikke kan tilbydes yderligere behandling overfor selve sygdommen, kan få en vurdering af om der er muligheder for eksperimentel behandling. Patienten kan drøfte sit ønske med den behandlende sygehuslæge, som derefter kan søge rådgivning om eksperimentel behandling fra Sundhedsstyrelsen. Det kan også være patientens behandlende sygehuslæge, der tager initiativ til at anmode Sundhedsstyrelsens rådgivende panel om en vurdering af muligheder for eksperimentelle behandlinger. I så fald vil det altid ske med patientens samtykke.

Det er den behandlende sygehuslæge, der indsender en anmodning om rådgivning og vurdering af en konkret patient til Sundhedsstyrelsen. Hermed sikres, at de relevante aktuelle informationer foreligger som grundlag for panelets rådgivning, og at rådgivningen efterfølgende kan anvendes i det konkrete behandlingsforløb.

Den henvisende afdeling beslutter i samråd med patienten, om rådgivningen skal følges. Den behandlende læge vurderer patientens kliniske tilstand og afgør, om patienten vil kunne tåle behandlingen. Patienten vil tilsvarende på baggrund af informationer om effekt, bivirkninger mm. vurdere om han/hun ønsker den pågældende behandling.

I 2005 blev der i tilknytning til de onkologiske afdelinger oprettet enheder for eksperimentel behandling af kræft. Enhederne findes på Rigshospitalet, Herlev Hospital, Odense Universitets-hospital, Vejle Sygehus, Århus Universitetshospitals og Aalborg Universitetshospital. Patienter med kræft vil således kunne henvises direkte til en enhed for eksperimentel kræftbehandling af den behandlende sygehuslæge. Det betyder at patienter kan blive henvist til eksperimentel behandling på enhederne uden at deres sag har været vurderet af panelet. Det vurderes, at oprettelse af enhederne for eksperimentel kræftbehandling har medført et væsentligt forbedret behandlingstilbud til patienter med i øvrigt beskedne behandlingsmuligheder.

Efter ordningens indførelse er hovedparten af de behandlingsmuligheder i udlandet, som panelet rådgav om, indført som behandlingstilbud i Danmark enten som standard eller som led i protokollerede behandlingsforsøg.

3.2 Rådgivende panel

Det er Sundhedsstyrelsens rådgivende panel, der foretager den konkrete vurdering af den enkelte patients muligheder for eksperimentel behandling. Eksperterne til panelet vælges på baggrund af deres store erfaring indenfor eget speciale, herunder eksperimentel behandling.

Sundhedsstyrelsens panel har et antal faste medlemmer med særlig viden om behandling af kræftsygdomme til at foretage vurderinger, der omhandler livstruende kræftsygdomme. Når det omhandler andre livstruende sygdomme, vil styrelsen som udgangspunkt udpege 'ad hoc' medlemmer til panelet med særlig viden indenfor det pågældende sygdomsområde.

Et nyt panel blev nedsat 1. okt. 2015. Samtidig blev panelet udvidet med en kirurg således at det nye panel består af:

- Morten Ladekarl, lektor, overlæge, dr.med., kræftafdelingen, Aarhus Universitets Hospital
- Morten Mau Sørensen, overlæge, onkologisk klinik, Rigshospitalet
- Dorte Nielsen, professor og overlæge, onkologisk afdeling, Herlev Hospital
- Søren Laurberg, professor og overlæge, kirurgisk afdeling, Aarhus Universitetshospital
- Jens Hillingsø, klinikchef og overlæge, kirurgisk klinik, Rigshospitalet

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel vurderer på baggrund af de oplysninger, som behandlende sygehuslæge har samlet og indsendt til Sundhedsstyrelsen, mulighederne for eksperimentel behandling for den enkelte patient, men kan også rådgive om diagnostiske undersøgelser, etablerede behandlingstilbud og forskningsmæssig behandling. Panelet kan indhente yderligere oplysninger, hvis det skønnes nødvendigt, herunder råd fra eksperter i ind- og udland.

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

Sundhedsstyrelsens rådgivende panels svar er altid en rådgivning til den behandlende læge, som i samråd med patienten vil tilrettelægge det videre forløb, herunder om rådgivningen følges.

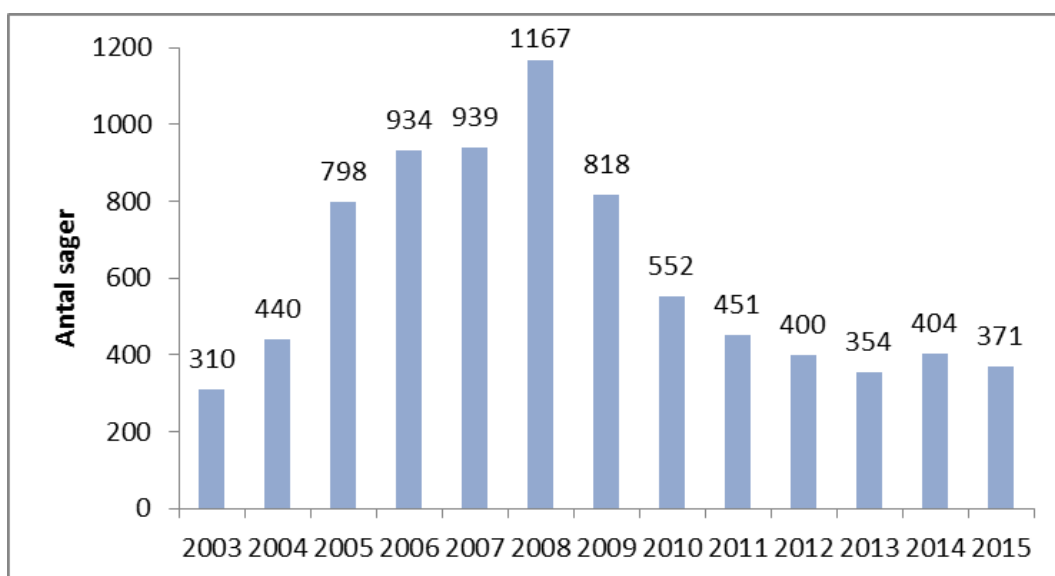
4 Årsopgørelse 2015

4.1 Antal sager

I 2015 har panelet vurderet muligheder for eksperimentel behandling i 405 patientsager, hvoraf 371 var nye sager. Det er stabilt forhold til 2014, hvor panelet vurderede 404 nye patientsager.

I figur 1 ses udviklingen i antal nye patientsager vurderet gennem de 13 år ordningen har eksisteret.

Figur 1 Antal nye sager vurderet fra 2003-2015



Note: Kun sager modtaget fra de henvisende afdelinger mellem den 01/01/2015 og den 31/12/2015 er medtaget.

Udover de 371 nye patientsager i 2015 har styrelsens rådgivende panel revurderet 26 patientsager fra 2015 og 8 patientsager fra tidligere år. For disse patienter har den behandlende læge således bedt om fornyet rådgivning..

Kønsfordelingen er således at 41 % af patientsagerne vedrører kvinder og 59 % af sagerne omhandler mænd.

4.2 Typer af sygdomme

Patienter henvist til vurdering har altovervejende kræftsygdomme. Antallet af patienter henvist med andre livstruende sygdomme end kræft til vurdering med henblik på eksperimentel behandling er generelt få og i 2015 var det fire patienter. Til sammenligning blev der i 2014 henvist én patient med anden livstruende sygdom end kræft.

Tabel 1 viser hvilke sygdomme patienter henvist til det rådgivende panel havde i 2015.

Tabel 1 Fordeling af sygdomme vurderet i det rådgivende panel i 2015

Sygdomme	Antal	Procent
Lunge- og lungehindekræft	73	18%
Andre kræftsygdomme	58	14%
Brystkræft	56	14%
Kræft i øvre mavetarmkanal	56	14%
Tyk- og endetarmskræft	55	14%
Gynækologiske kræftsygdomme	32	8%
Urologiske kræftsygdomme	27	7%
Hjernetumor	26	6%
Hoved/hals kræft	18	4%
Andre ikke-kræftsygdomme	4	1%

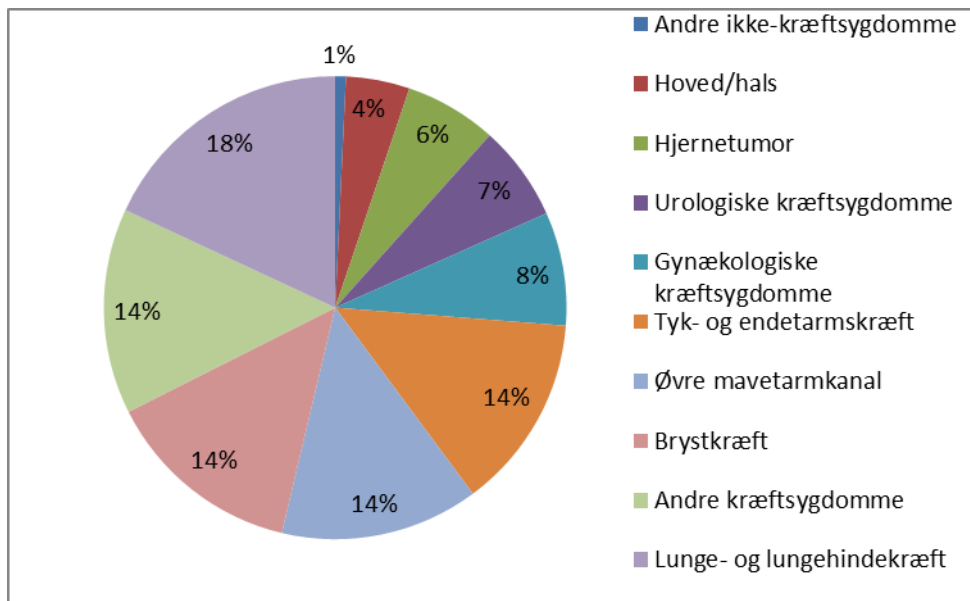
De sygdomme patienterne hyppigst blev henvist med var lunge- og lungehindekræft, brystkræft, kræft i øvre mavetarmkanal og tyk- og endetarmskræft

Der er fortsat få patienter med andre livstruende sygdomme end kræft, der henvises til vurdering af muligheder for eksperimentel behandling på trods af et øget fokus på området.

På baggrund af Rigsrevisionens beretning i 2014 iværksatte Sundhedsstyrelsen en række tiltag, der netop skulle øge fokus på andre livstruende sygdomme end kræft. På den baggrund udsendte styrelsen skriftlig information om ordningen til lægerne på de offentlige sygehuse. Der blev afholdt informationsmøder med henblik på at udbrede kendskabet til ordningen blandt andet med inddragelse af Danske Regioner og patientvejlederkontorerne hvor der er lagt vægt på, at både patienter med kræft og patienter med andre livstruende sygdomme kunne få gavn af ordningen. Ligeledes er den patient-rettede pjece blevet opdateret i samarbejde med Danske Patienter, Kræftens Bekæmpelse og patientvejledere. En ny udgave blev udgivet den 24. juni 2015.

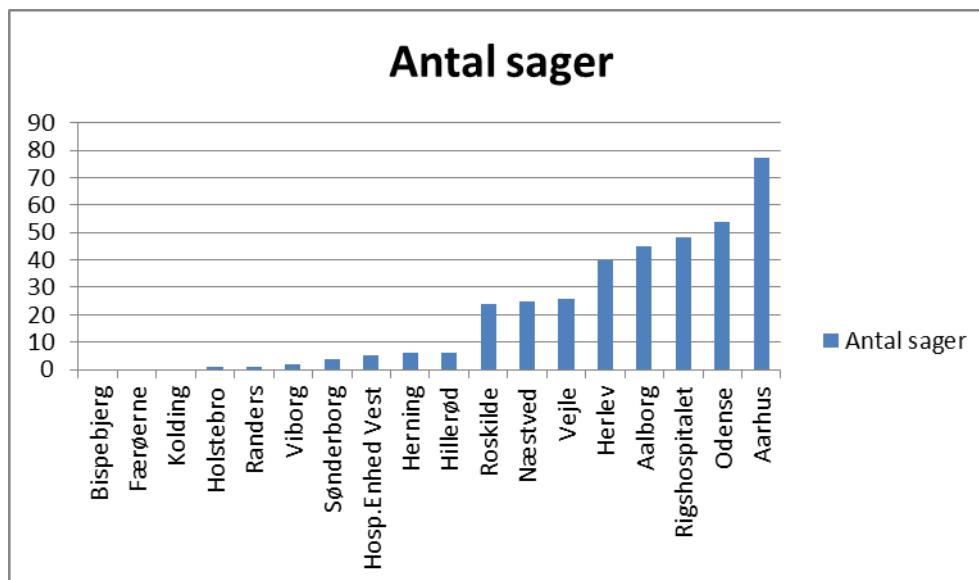
Figur 2 viser den grafiske fordeling af sygdommene.

Figur 2 Fordelingen af sygdomme vurderet i det rådgivende panel i 2015



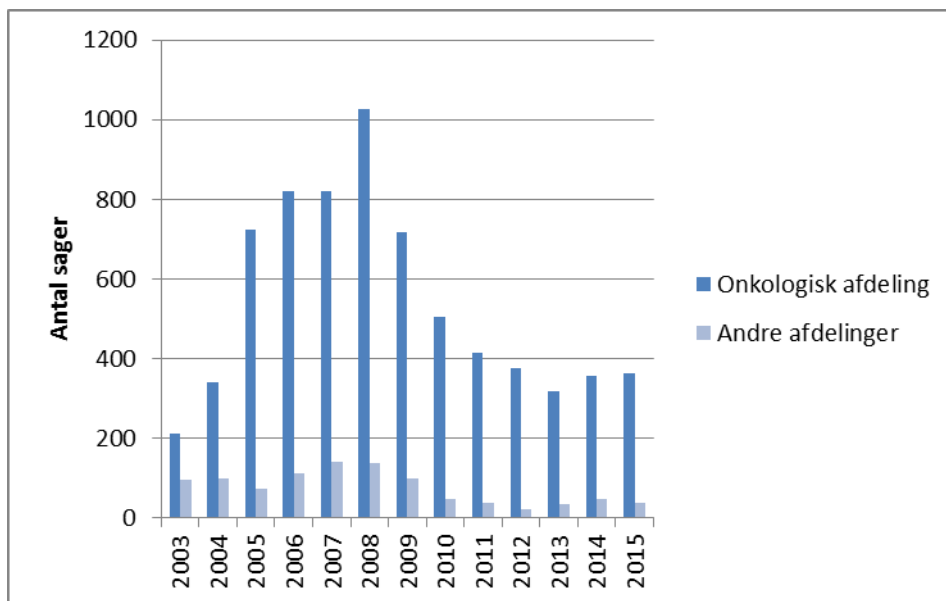
Alle sygehusafdelinger kan henvise patientens sag til en vurdering. Langt størstedelen (90 %) af henvisningerne kommer fra onkologiske afdelinger. I figur 3 kan man se den geografiske fordeling af henvisninger fra onkologiske afdelinger.

Figur 3 Fordelingen af patientsager fra onkologiske afdelinger i 2015



De resterende patientsager kommer fra andre afdelinger (10 %), primært medicinske og kirurgiske afdelinger. I figur 4 kan man se udviklingen i antallet af sager fra henholdsvis onkologiske og øvrige afdelinger.

Figur 4 Patientsager fra onkologiske og andre afdelinger fra 2003-2015



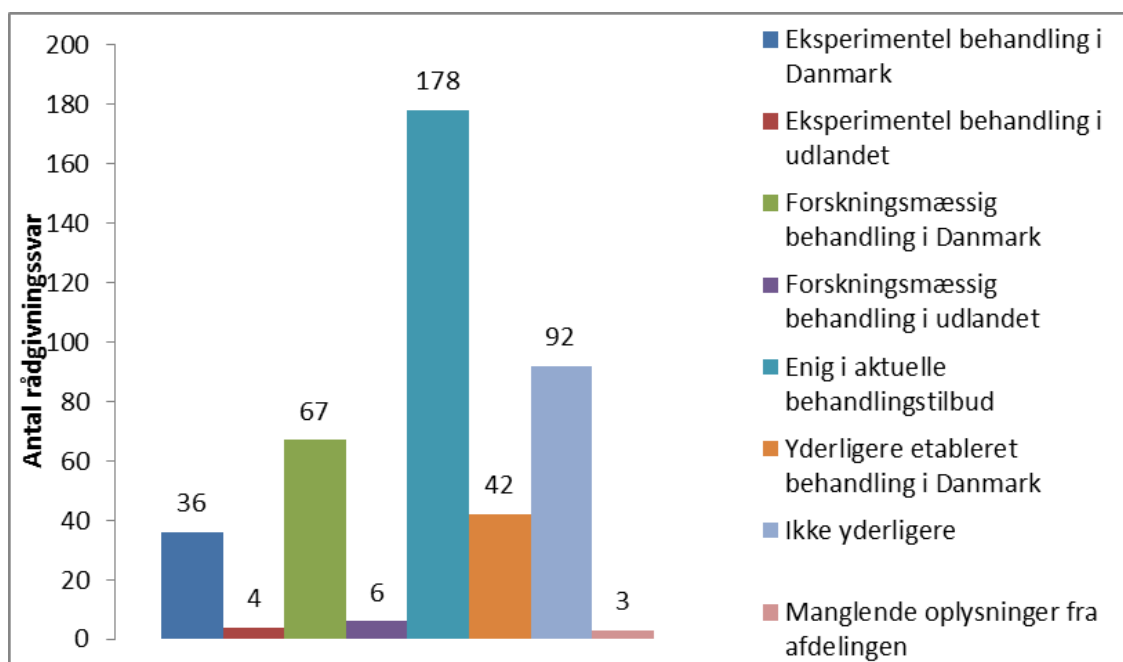
4.3 Vurdering og råd

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel vurderede 405 patientsager i 2015.

Panelet har mulighed til at afgive mere end ét forslag til behandling per sag. Derfor kan antal rådgivningssvar overstige antal sager. I 2015 blev det afgivet 428 rådgivningssvar.

Figur 5 viser fordelingen af panelets rådgivning.

Figur 5 Fordeling af 428 rådgivningssvar fra Sundhedsstyrelsens panel i 2015



Henvendelserne fra afdelingerne omfatter oftest et ønske om en vurdering af aktuel behandling og/eller muligheden for andre behandlingstilbud samt sager, hvor en specifik behandling ønskes vurderet.

I 178 tilfælde var det rådgivende panel enig i den aktuelle behandlingsstrategi, hvilket betyder, at panelet kunne tilslutte sig den henvisende afdelings behandlingsforslag.

I 113 tilfælde rådgav panelet om forskningsmæssig eller eksperimentel behandling i Danmark eller udlandet.

I 42 tilfælde blev der givet råd om yderligere diagnostik eller behandling i Danmark, mens det i 92 tilfælde blev vurderet at patienten ikke umiddelbart ville have gavn af yderligere behandling.

Tabel 2 viser en oversigt over rådgivningssvarene fra Sundhedsstyrelsens panel i 2015.

Tabel 2 Rådgivning fra Sundhedsstyrelsens panel i 2015

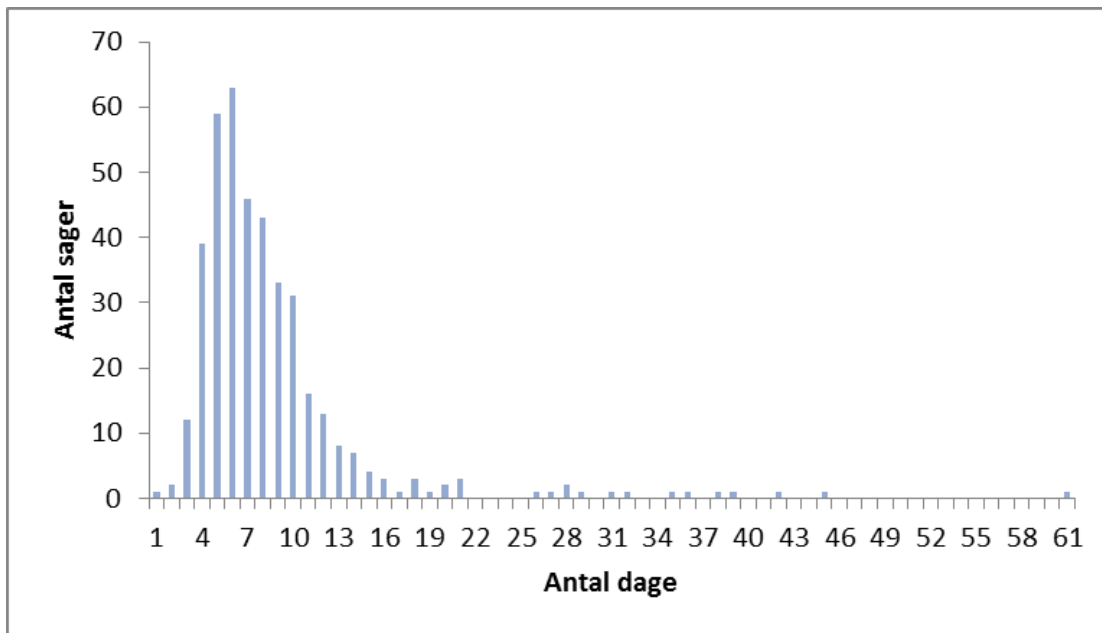
Rådgivning	Antal
Enig i aktuelle behandlingstilbud	178
Ikke yderligere behandling	92
Forskningsmæssig behandling i Danmark	67
Yderligere etableret behandling i Danmark	42
Eksperimentel behandling i Danmark	36
Forskningsmæssig behandling i udlandet	6
Eksperimentel behandling i udlandet	4
Manglende oplysninger fra den henvisende afdeling	3
Alle	428

4.4 Sagsbehandlingstid

Sagsbehandlingstiden fra Sundhedsstyrelsen modtager en anmodning om vurdering, til der afsendes svar til den behandlende afdeling, er opgjort til et gennemsnit på 8,6 arbejdsdage i 2015.

Figur 6 viser antal sager fordelt på sagsbehandlingstid i 2015.

Figur 6 Sagsbehandlingstid i 2015 fra anmodning til afgivet svar til afdelingen



92 % af svarene afsendes inden for ti arbejdsdage svarende til to uger. I særlige tilfælde, hvor der eksempelvis er brug for at indhente yderligere ekspertviden i Danmark eller udlandet, kan sagsbehandlingstiden være længere. I 17 sager var sagsbehandlingstiden længere end 20 arbejdsdage svarende til fire uger.