

FEBRUAR 2015

# RÅDGIVNING VEDRØRENDE EKSPERIMENTEL BEHANDLING FOR MENNESKER MED LIVSTRUENDE SYGDOMME

Årsrapport 2014

**RÅDGIVNING VEDRØRENDE EKSPERIMENTEL BEHAND-  
LING FOR MENNESKER MED LIVSTRUENDE SYGDOMME**

**ÅRSRAPPORT 2014**

© Sundhedsstyrelsen, 2015.

Du kan frit referere teksten i publikationen, hvis du tydeligt gør opmærksom på, at teksten kommer fra Sundhedsstyrelsen. Det er ikke tilladt at genbruge billeder fra publikationen.

Sundhedsstyrelsen  
Axel Heides Gade 1  
2300 København S  
sundhedsstyrelsen.dk

**Emneord**

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel, livstruende sygdom, eksperimentel behandling

**Sprog**

Dansk

**Version**

1.0

**Versionsdato**

25.02.2015

**Udgivet af**

Sundhedsstyrelsen, februar 2015.

**ISBN Elektronisk**  
**978-87-7104-116-3**

# INDHOLD

---

<b>1</b>	<b>Resumé</b>	<b>3</b>
<b>2</b>	<b>Ordningen om eksperimentel behandling</b>	<b>5</b>
	2.1 Baggrund	5
	2.2 Livstruende sygdom	6
	2.3 Hvad er eksperimentel behandling?	6
<b>3</b>	<b>Patientens muligheder for rådgivning om eksperimentel behandling</b>	<b>8</b>
	3.1 Vurdering af patientsager	8
	3.2 Rådgivende panel	8
<b>4</b>	<b>Årsrapport 2014</b>	<b>10</b>
	4.1 Antallet af patienter	10
	4.2 Typer af sygdomme	11
	4.3 Vurdering og råd	14
	4.4 Sagsbehandlingstid	15

---

# RESUMÉ

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 12 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 eksperimentel behandling kan i denne situation 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. 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 2014 er der en stigning i antallet af patienter der har fået deres muligheder for eksperimentel behandling vurderet. Patienterne er altovervejende patienter med livstruende kræftsygdomme, idet kun én patient ud af 404 nye patienter der i 2014 fik en vurdering af deres muligheder for eksperimentel behandling havde en anden livstruende sygdom end kræftsygdom.

De sygdomme patienterne hyppigst blev henvist med var urologiske kræftsygdomme, lunge- og lungehindekræft, tyk- og endetarmskræft, brystkræft og gynækologiske kræftsygdomme.

Sagsbehandlingstiden fra Sundhedsstyrelsen modtager anmodning om vurdering, til der afsendes svar til den behandlende læge, er i gennemsnit på 6,5 arbejdsdage.

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

Sundhedsstyrelsen vil således styrke dialogen med både regioner og patientforeninger omkring ordningen. I den forbindelse vil styrelsen have fokus på, hvordan både patienter med kræft og patienter med andre livstruende sygdomme kan få gavn af ordningen. Styrelsen vil i den forbindelse revidere den patientrettede pjece. Opdateringen af pjecen har blandt andet til formål at tydeliggøre, at alle patienter med livstruende sygdom har mulighed for at få deres sag vurderet og dermed få rådgivning om eventuelle eksperimentelle behandlinger.

Årsrapporterne om ordningen har hidtil fokuseret på eksperimentel behandling af patienter med kræft. Fremover vil årsrapporterne have fokus på rådgivning vedrørende eksperimentel behandling af både mennesker med kræft og med andre livstruende sygdomme. Denne årsrapport medtager således både rådgivning og procedure for rådgivning for patienter med kræft og med andre livstruende sygdomme.

---

# ORDNINGEN OM EKSPERIMENTEL BEHANDLING

## 2.1 BAGGRUND

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

Ordningen blev etableret i 2003 og har således eksisteret i 12 år.

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 Sundhedsstyrelsens 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 for 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. Panelet kan rådgive om andre behandlingsmuligheder end de eksperimentelle, hvis det findes relevant, herunder etableret behandling, forskningsmæssig behandling, højt specialiseret 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 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.

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

Sundhedsstyrelsen vil således styrke dialogen med både regioner og patientforeninger omkring ordningen. I den forbindelse vil styrelsen have fokus på hvordan både patienter med kræft og patienter med andre livstruende sygdomme kan få gavn af ordningen. Styrelsen vil i den forbindelse revidere den patientrettede pjece.

Årsrapporter om ordningen har hidtil fokuseret på eksperimentel behandling af patienter med livstruende kræftsygdom. Fremover vil årsrapporterne have fokus på rådgivning vedrørende eksperimentel behandling af både mennesker med kræft og mennesker med andre livstruende sygdomme. Denne årsrapport medtager således både rådgivning og procedure for rådgivning for patienter med kræft og med andre livstruende sygdomme.

I forbindelse med Rigsrevisionens beretning er styrelsen blevet opmærksom på at brugen af betegnelsen 'second opinion' om ordningen vedrørende eksperimentel behandling kan være misvisende. Ordet 'second opinion'-ordningen kan foranledige til at tro at der er tale om en generel ordning for at søge lægefaglig revurdering af udrednings- og behandlingsforløb, hvilket der ikke er tale om. Patienter i Danmark har en række andre muligheder for at få en anden lægefaglig vurdering af deres sygdom og behandling, dvs. en 'second opinion' i ordets egentlige forstand. Sundhedsstyrelsen vil således fremadrettet alene bruge betegnelsen ordningen vedrørende eksperimentel behandling.

## 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 (diagnoser) 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.

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

- 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.

- Behandlinger med lægemidler, hvor det kliniske forsøg og den videnskabelige protokol er afsluttet, og markedsføring afventes.
- Behandlinger med lægemidler i en eksperimentel erfaringsprotokol
- Behandlinger med lægemidler på baggrund af mindre grad af evidens såsom mindre fase 2 undersøgelser eller lignende.



---

# 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 et sådant ønske med den behandlende sygehuslæge, der vurderer, om en anmodning om vurdering skal indsendes til 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 oprettet enheder for eksperimentel behandling af kræft. Enhederne findes på Rigshospitalet, Herlev Hospital, Odense Universitetshospital, Vejle Sygehus, Århus Universitetshospital og Aalborg Universitetshospital. Patienter med kræft vil således kunne henvises direkte til enhed for eksperimentel kræftbehandling af den behandlende sygehuslæge. Det betyder at de fleste patienter i Danmark der modtager eksperimentel behandling for livstruende kræftsygdom vil kunne gøre dette 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 foretager 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.

Panelets faste medlemmer var i 2014:

Hans von der Maase – professor, Onkologisk Klinik, Rigshospitalet

Anders Jakobsen – professor, Onkologisk Afdeling, Vejle sygehus

Michael Bau Mortensen – professor, Kirurgisk Afdeling, Odense Universitetshospital

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 hvis relevant 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.

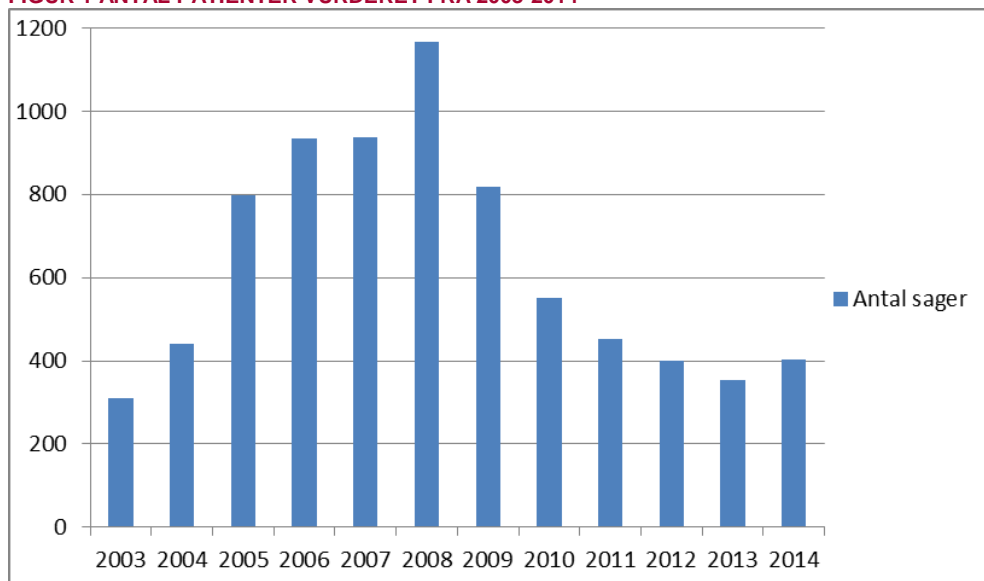
Sundhedsstyrelsens rådgivende panels svar er altid en rådgivning til den behandlende læge, som i samråd med patienten vil tilrettelægge det videre forløb, herunder om rådgivningen følges.

#### 4.1 ANTALLET AF PATIENTER

I 2014 har 404 nye patienter fået en vurdering af deres muligheder for eksperimentel behandling. Der er sket en mindre stigning i antallet af nye patienter fra 354 til 404 fra 2013 til 2014.

I figur 1 ses udviklingen i antallet af nye patienter vurderet gennem de 12 år ordningen har eksisteret.

**FIGUR 1 ANTAL PATIENTER VURDERET FRA 2003-2014**



Udover de 404 nye patientsager i 2014 har styrelsens rådgivende panel revurderet 41 patientsager fra samme eller tidligere år. For disse patienter har den behandlende læge således bedt om fornyet rådgivning. Antallet af patientsager, som er blevet revurderet, er faldet fra 2013, hvor 61 patientsager blev revurderet.

Kønsfordelingen er således at 48 % af patienterne er kvinder og 52 % er mænd.

## 4.2 TYPER AF SYGDOMME

Patienter henvist til vurdering har altovervejende forskellige typer af kræftlidelser. Antallet af patienter henvist med andre livstruende sygdomme end kræft er generelt få og i 2014 har der kun været henvist en til vurdering med henblik på eksperimentel behandling.

Tabel 1 viser hvilke sygdomme patienter henvist til rådgivning af panelet havde i 2014.

De sygdomme patienterne hyppigst blev henvist med var urologiske kræftsygdomme, lunge- og lungehindekræft, tyk- og endetarmskræft, brystkræft og gynækologiske kræftsygdomme. Figur 2 viser den grafiske fordeling af sygdommene.

**TABEL 1 FORDELING AF SYGDOMME VURDERET I DET RÅDGIVENDE PANEL I 2014**

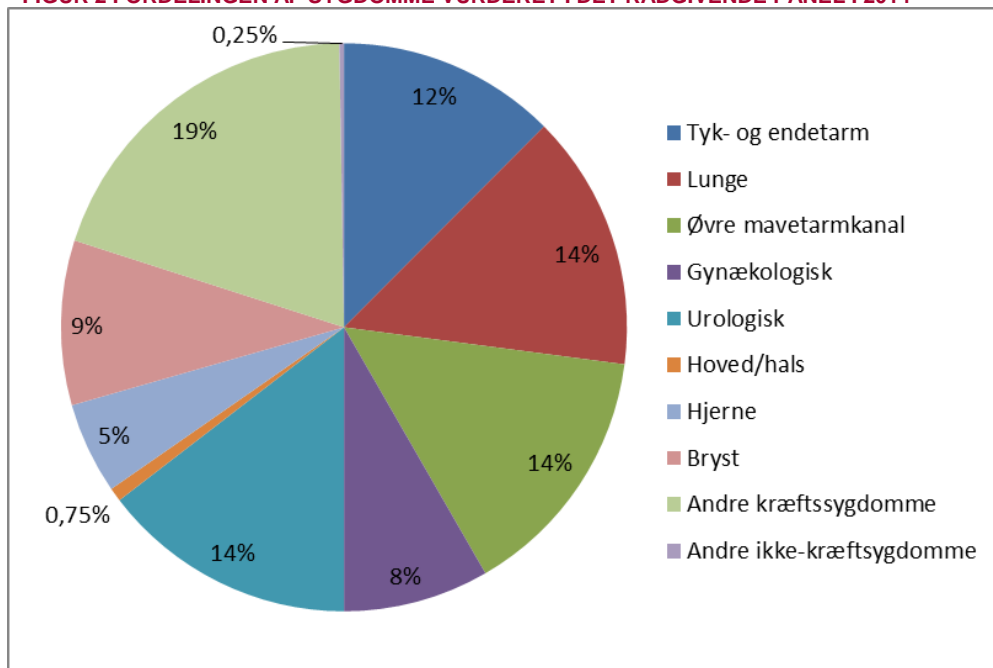
Sygdomme	Antal*
Urologiske kræftsygdomme (kræft i urinveje inkl. prostata)	59
Lunge- og lungehindekræft	57
Kræftsygdomme i øvre mavetarmkanal inkl. bugspytkirtel, lever og galdeveje	57
Tyk- og endetarmskræft	49
Brystkræft	37
Gynækologiske kræftsygdomme (kræft i de kvindelige kønsorganer)	35
Kræft i hjernen	19
Hoved-/halskræft	13
Andre kræftformer	77
Andre livstruende sygdomme	1

\*Patienter der har været vurderet flere gange er kun talt med en gang.

At det hovedsagelig er patienter med livstruende kræftsygdom der henvises til vurdering, kan skyldes at der i gruppen af livstruende sygdommer er en hyppigere forekomst af kræftsygdomme. Herudover er der over en årrække fremkommet nye behandlinger til patienter med kræft og der har således været gode erfaringer med eksperimentel behandling for visse kræftsygdomme.

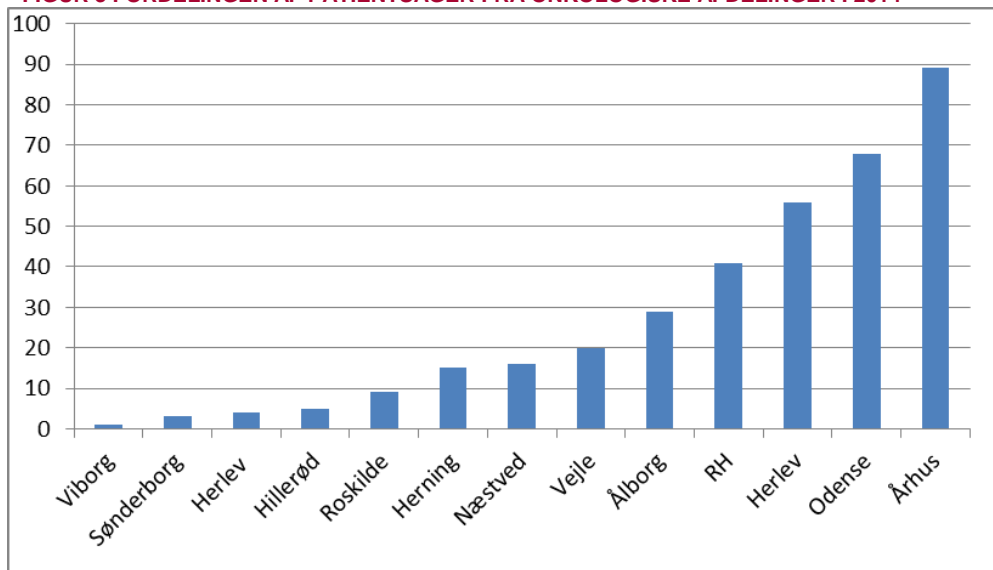
Herudover er der i 2014 peget på at der muligvis ikke har været informeret tilstrækkeligt om at ordningen også omhandler andre former for livstruende sygdomme. Dette vil styrelsen følge op på i 2015.

**FIGUR 2 FORDELINGEN AF SYGDOMME VURDERET I DET RÅDGIVENDE PANEL I 2014**



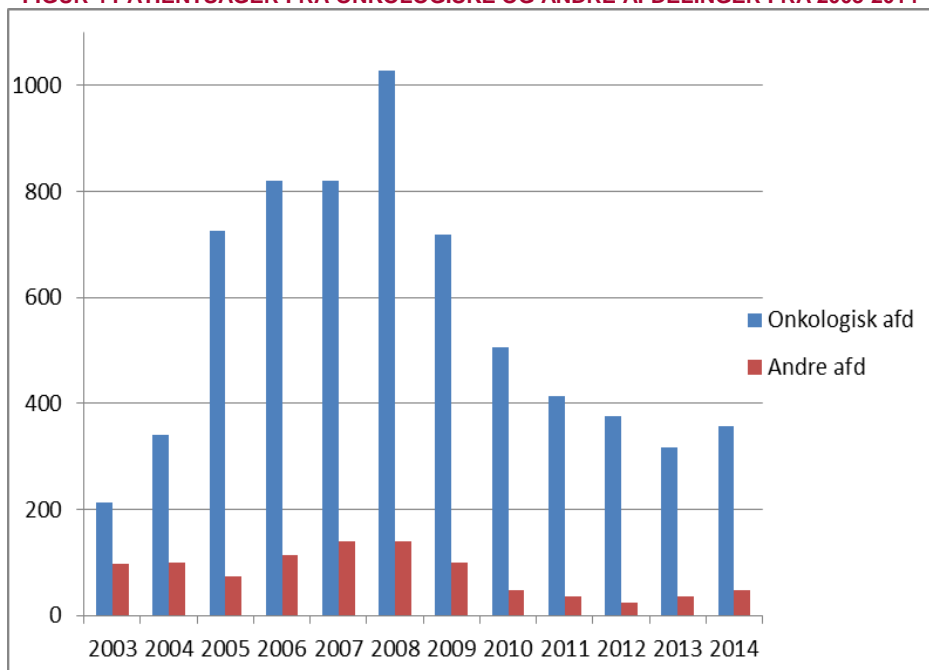
Alle sygehusafdelinger kan henvise patientens sag til en vurdering. Langt størstedelen (88 %) af henvisningerne kommer fra onkologiske afdelinger. I figur 3 kan man se den geografiske fordeling af henvisninger fra onkologiske afdelinger.

**FIGUR 3 FORDELINGEN AF PATIENTSAGER FRA ONKOLOGISKE AFDELINGER I 2014**



De resterende patientsager kommer fra andre afdelinger (12 %), primært medicinske og kirurgiske afdelinger. I figur 4 kan man se udviklingen i antallet af sager fra henholdsvis onkologiske og øvrige afdelinger.

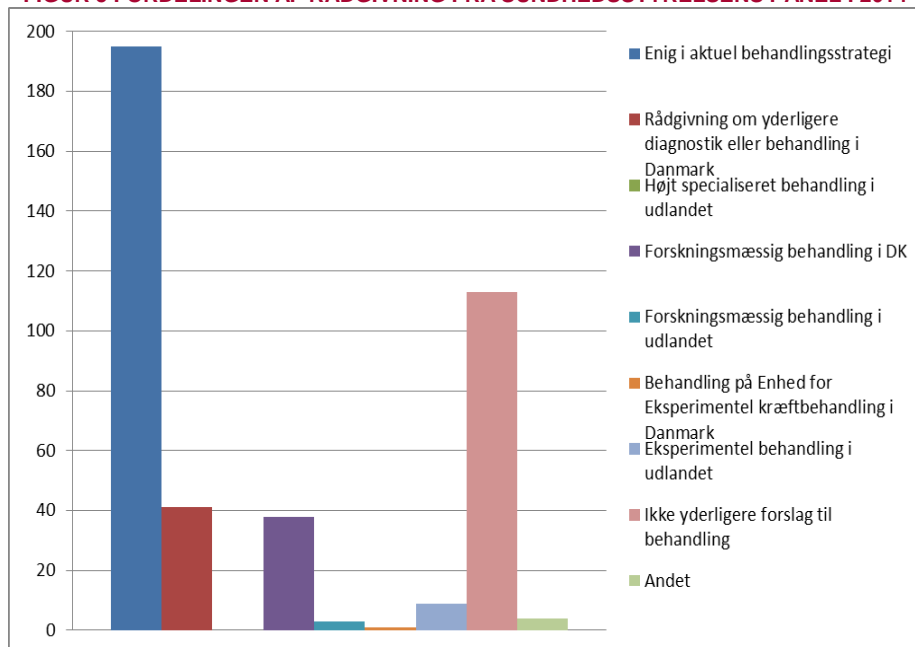
**FIGUR 4 PATIENTSAGER FRA ONKOLOGISKE OG ANDRE AFDELINGER FRA 2003-2014**



### 4.3 VURDERING OG RÅD

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel vurderede 404 nye patientsager i 2014. Figur 5 viser fordelingen af panelets rådgivning.

**FIGUR 5 FORDELINGEN AF RÅDGIVNING FRA SUNDHEDSSTYRELSENS PANEL I 2014**



For 195 patienter var det rådgivende panel enig i den aktuelle behandlingsstrategi, hvilket betyder, at panelet kunne tilslutte sig den henvisende afdelings behandlingsforslag. Der kan dels være tale om sager, hvor læge og/eller patient ønsker en vurdering af aktuelle behandling og/eller muligheden for andre behandlingstilbud, dels sager hvor patienten har ønsket en vurdering af en specifik behandling.

For 51 patienter rådgav panelet om forskningsmæssig eller eksperimentel behandling i Danmark eller udlandet.

For 41 patienter blev der givet råd om yderligere diagnostik eller behandling i Danmark, mens det for 113 patienter ikke var muligt at give råd om yderligere behandling.

Tabel 2 viser en oversigt over de råd der blev afgivet i 2014.

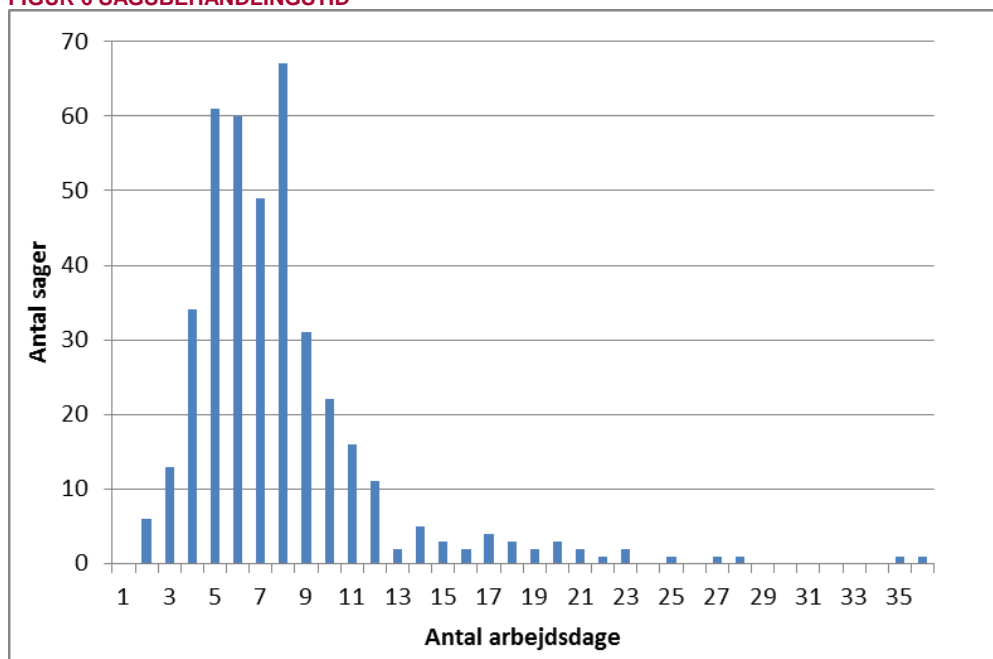
**TABEL 2 RÅDGIVNING FRA SUNDHEDSSTYRELSENS PANEL**

<b>Rådgivning</b>	<b>Antal</b>
Panelet enig i aktuell behandlingsstrategi	<b>195</b>
Yderligere diagnostik eller behandling i Danmark	<b>41</b>
Højt specialiseret behandling i udlandet	<b>0</b>
Forskningsmæssig behandling uden for de Eksperimentelle Enheder i Danmark	<b>38</b>
Behandling på en Enhed for Eksperimentel Kræftbehandling i Danmark	<b>1</b>
Råd om forskningsmæssig behandling i udlandet	<b>3</b>
Råd om eksperimentel behandling i udlandet	<b>9</b>
Råd om yderligere behandling	<b>113</b>
Andre råd end ovennævnte	<b>4</b>

#### 4.4 SAGSBEHANDLINGSTID

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

Figur 6 viser sagsbehandlingstiden fordelt på antal sager.

**FIGUR 6 SAGSBEHANDLINGSTID**



85 % 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 ti sager var sagsbehandlingstiden længere end 20 arbejdsdage svarende til fire uger. I seks af de ti sager, er der indhentet ekspertvurderinger. Hvis sagsbehandlingstiden overstiger fire uger, vil afdelingen modtage et foreløbigt svar inden for fire uger.