



Rådgivning om eksperimentel behandling - for mennesker med livstruende sygdom



ÅRSRAPPORT 2018

**Rådgivning om eksperimentel behandling - for mennesker med
livstruende sygdom**
ÅRSRAPPORT 2018

© Sundhedsstyrelsen, 2019.
Publikationen kan frit refereres
med tydelig kildeangivelse.

Sundhedsstyrelsen
Islands Brygge 67
2300 København S

www.sst.dk

Elektronisk ISBN: 978-87-7014-105-5

Sprog: Dansk
Version: 1.0
Versionsdato: 29. april 2019
Format: pdf

Udgivet af Sundhedsstyrelsen,
Maj 2019

Indhold

Resume	4
1. Ordningen om eksperimentel behandling	5
1.1. Baggrund.....	5
1.2. Eksperimentel behandling.....	5
1.3. Livstruende sygdom.....	6
2. Vurdering af patientsager	6
3. Det rådgivende panel	7
4. Årsopgørelse 2018	8
4.1. Antal sager.....	8
4.2. Typer af sygdomme.....	8
4.3. Vurdering og råd.....	11
4.4. Sagsbehandlingstid.....	12
4.5. Afslag på rådgivning.....	13

Resume

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel vejleder sygehuslæger om mulighederne for eksperimentel behandling, for patienter med livstruende sygdomme, når der ikke umiddelbart er flere etablerede behandlingstilbud.

Ordnningen blev etableret for 16 år siden, i 2003.

Patienterne har ofte gennemgået flere forskellige behandlinger for deres livstruende sygdom, og eksperimentel behandling kan, hvis den findes, være den sidste mulighed.

Panelet vejleder den behandlende afdeling om mulighederne for eksperimentel behandling i Danmark eller udlandet. I den forbindelse kan panelet også rådgive om supplerende undersøgelser eller behandling på offentlige sygehuse i Danmark eller udlandet.

I samråd med patienten, vurderer den behandlende sygehuslæge, om det er relevant at søge rådgivning og indsender anmodning om rådgivning og vurdering 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.

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

I 2018 har panelet vurderet muligheder for eksperimentel behandling i 355 patientsager, hvoraf 332 var nye sager. Dette er på niveau med tidligere år. Næsten alle de patienters sager, der blev rådgivet om, drejede sig om livstruende kræftsygdom.

De sygdomme patienterne hyppigst blev henvist med i 2018 var tyk- og endetarmskræft og kræft i øvre mavetarmkanal.

Den gennemsnitlige sagsbehandlingstid, fra Sundhedsstyrelsen modtager en anmodning om vurdering, til der afsendes svar til den behandlende afdeling, var 11 dage.

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

1. Ordningen om eksperimentel behandling

1.1. Baggrund

Ordningen for ekspertrådgivning vedrørende eksperimentel behandling følger af Sundhedslovens § 89 og er nærmere beskrevet i Sygehusbekendtgørelsen, BEK nr. 293 af 27/03/2017. Som følge af bekendtgørelsens § 30 har Sundhedsstyrelsen nedsat et rådgivende ekspertpanel. Panelet rådgiver, efter indstilling fra behandlende sygehusafdeling, om muligheder for eksperimentel behandling hos konkrete patienter med livstruende sygdom. Ordningen omfatter enkeltpatienter der ikke umiddelbart kan tilbydes yderligere etableret behandling på offentlige sygehuse her i landet eller efter reglerne for højt specialiseret eller forskningsmæssig behandling i udlandet.

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel foretager en konkret vurdering af den enkelte patients sygdomstilfælde forud for rådgivning om muligheder for eksperimentel behandling.

I forbindelse med rådgivning om eksperimentel behandling, kan Panelet også pege på andre behandlingsmuligheder end de eksperimentelle, hvis det findes relevant; herunder etableret behandling, forskningsmæssig behandling, højt specialiseret behandling i udlandet, samt yderligere diagnostiske undersøgelser.

Panelet har fem faste medlemmer med særlig viden om behandling af medicinske og kirurgiske kræftsygdomme til at foretage vurderinger, der omhandler livstruende kræftsygdomme. Når anmodningen vedrører patienter med andre livstruende sygdomme, fx hæmatologiske eller neurodegenerative lidelser, udpeger styrelsen "ad hoc" medlemmer til panelet med særlig viden og ekspertise inden for det pågældende sygdomsområde.

1.2. Eksperimentel behandling

Behandlingen betragtes som eksperimentel, når der ikke findes samme grad af videnskabelig dokumentation for effekt, risiko og bivirkninger, som ved en etableret behandling. Sundhedsstyrelsens ekspertpanel vurderer om den foreliggende grad af evidens er tilstrækkelig til at anbefale behandlingen for den konkrete patient.

Patienterne vil ofte have gennemgået flere forskellige behandlinger for deres livstruende sygdom, og eksperimentel behandling kan i denne situation være den sidste mulighed.

Panelet kan rådgive om mulighederne for operation, for partikel- eller strålebehandling eller for behandling med lægemidler, herunder som led i avancerede terapier.

Når Sundhedsstyrelsens ekspertpanel rådgiver om mulig eksperimentel farmakologisk behandling, til konkrete patienter, kan det omfatte:

- Behandling med lægemidler, der er under klinisk afprøvning, men hvor patienten ikke kan inkluderes i den videnskabelige protokol.
- Behandlinger med lægemidler, hvor kliniske forsøg er gennemført og overbevisende dokumenteret, men hvor godkendelse og markedsføring afventes.
- Behandling med lægemidler på baggrund af mindre sikker evidens i forhold til den pågældende indikation eller den konkrete patient.

Forskningsmæssig behandling, besluttet og planlægges i regionalt regi, og er ikke omfattet af denne ordning. Panelet kan dog, hvis de har kendskab til konkret forskningsmæssig behandling, der kan hjælpe patienten, pege på denne mulighed i deres rådgivning.

1.3. Livstruende sygdom

Ordningen vedrører patienter med livstruende sygdomme. I denne sammenhæng forstås livstruende således, at sygdommen inden for kort tid forventes at føre til, at patienten vil dø af sygdommen. En sygdom, som er kronisk eller invaliderende, er således ikke nødvendigvis, i sig selv, livstruende.

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

2. Vurdering af patientsager

Patienter, der lider af en livstruende sygdom, kan, hvis den behandlende afdeling ikke kan tilbyde yderligere behandling overfor selve sygdommen, få panelets vurdering af mulighederne for eksperimentel behandling.

Generel rådgivning om andre mulige etablerede behandlingstilbud (second opinion) er ikke tanken med denne ordning. Dette behov dækkes fx ved at patienten vurderes af anden overlæge på samme afdeling eller henvises til revurdering på andet hospital. Panelet kan evt. rådgive om hvordan en sådan vurdering kan foregå, fx ved at foreslå en konkret afdeling som patienten kan henvises til.

Patienter kan drøfte deres ønske om mulig eksperimentel behandling, med den behandlende sygehuslæge, som derefter kan søge rådgivning fra Sundhedsstyrelsen.

Den behandlende sygehuslæge kan også selv tage initiativ og 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 anmodningen 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.

Sundhedsstyrelsens rådgivende panels svar er altid rådgivning til den behandlende afdeling som i samråd med patienten beslutter om rådgivningen skal følges.

Den behandlende læge vurderer patientens kliniske tilstand og afgør, om patienten vil kunne tåle behandlingen. Patienten kan tilsvarende på baggrund af informationer om effekt, bivirkninger mm. vurdere om han/hun ønsker den pågældende behandling.

3. Det rådgivende panel

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel vurderer på baggrund af de oplysninger, den behandlende sygehuslæge har samlet og indsendt til Sundhedsstyrelsen, mulighederne for eksperimentel behandling. Panelet kan indhente yderligere oplysninger, hvis det skønnes nødvendigt, herunder råd fra eksperter i ind- og udland.

Panelet 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. Det er ikke panelets opgave, at yde generel rådgivning eller at fastlægge behandlingsniveauet i Danmark.

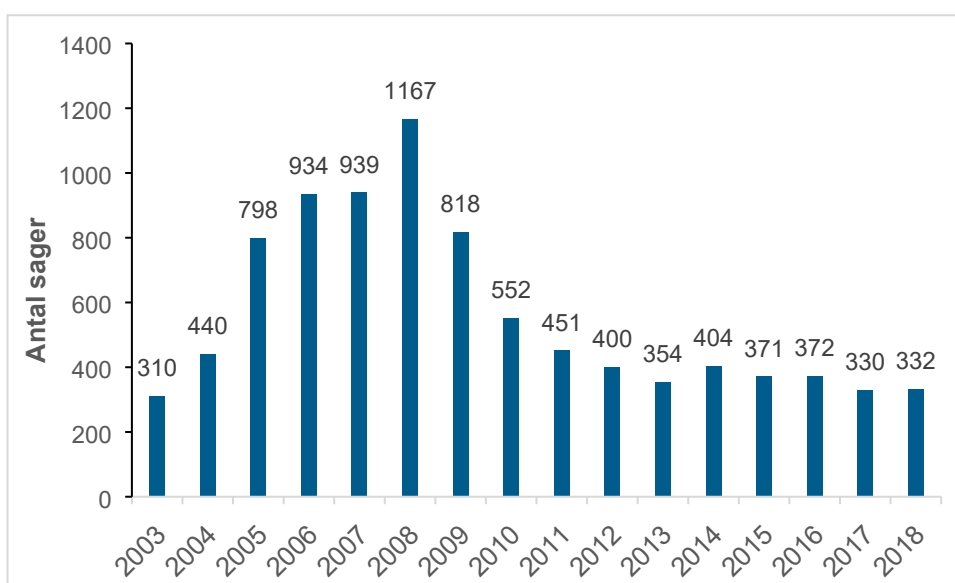
Sundhedsstyrelsens panel har fem faste medlemmer med særlig viden til at foretage vurderinger der omhandler livstruende kræftsygdomme. Herudover udpeger Sundhedsstyrelsen, ved behov, 'ad hoc' medlemmer til panelet med særlig viden inden for andre sygdomsområder.

4. Årsopgørelse 2018

4.1. Antal sager

I 2018 har panelet vurderet 355 patientsager om muligheder for eksperimentel behandling. Heraf var 332 nye sager, hvilket er på samme niveau som sidste år.

I figur 1 ses udviklingen i antal nye patientsager vurderet gennem de 16 år



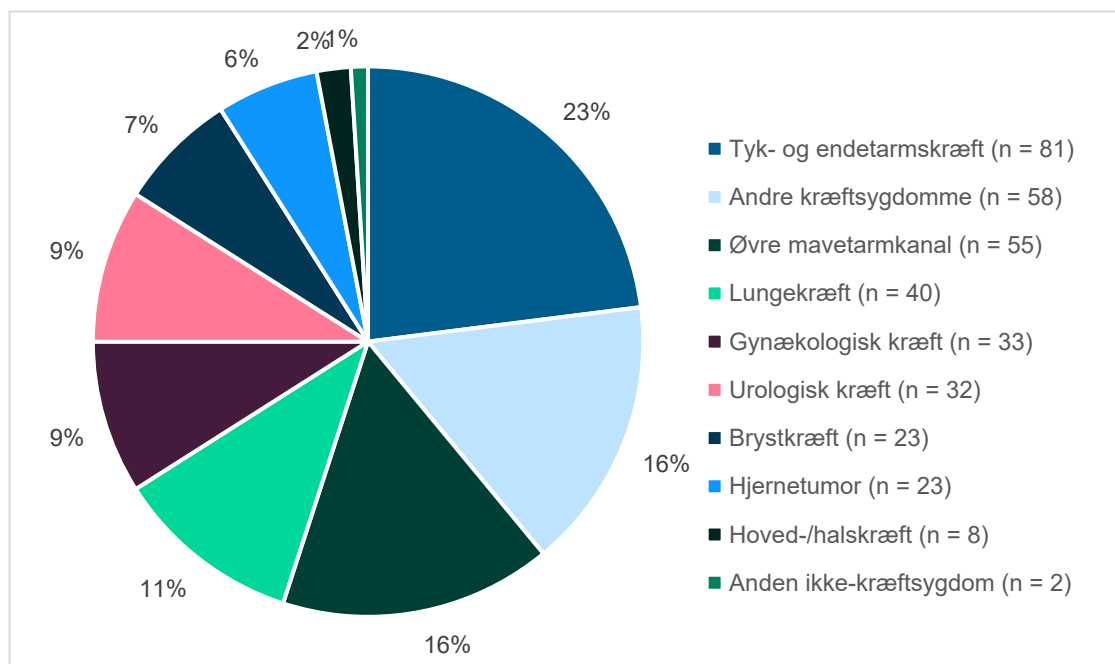
Figur 1 Antal nye sager vurderet fra 2003-2018

Ud over de 332 nye patientsager i 2018 har Sundhedsstyrelsens rådgivende panel revurderet 23 patientsager, hvor den behandlende læge har bedt om fornyet rådgivning.

4.2. Typer af sygdomme

Patienter henvist til vurdering, har altovervejende kræftsygdomme. Antallet af patienter med andre livstruende sygdomme end kræft, der er blevet vurderet med henblik på eksperimentel behandling, er generelt få. I 2018 drejer det sig om to patienter - det samme antal som i 2017, på trods af et øget fokus på området.

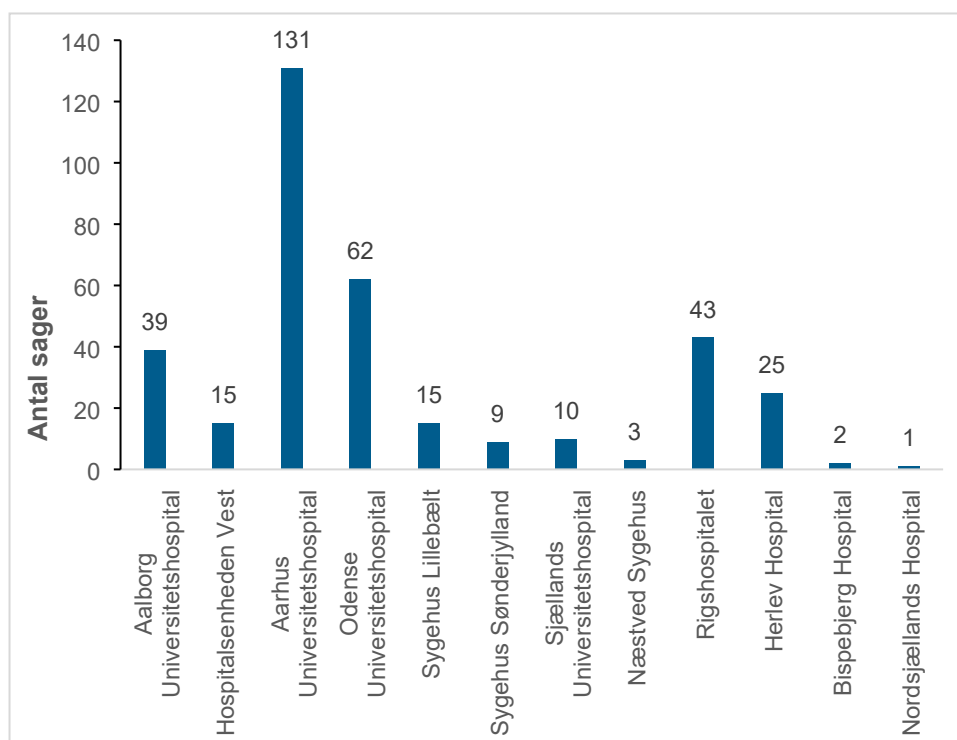
Figur 2 viser fordelingen af patienternes sygdomme sorteret i grupper ud fra henvisningsdiagnoser (355 sager i alt).



Figur 2 Fordelingen af sygdomme vurderet i det rådgivende panel i 2018

Alle sygehusafdelinger kan sende medicinsk resume og patientens journaloplysninger til en vurdering af panelet. Langt størstedelen (97%) af henvisningerne kommer fra onkologiske eller hæmatologiske afdelinger. De resterende patientsager kommer fra andre afdelinger (3%), primært neurologiske og kirurgiske afdelinger.

I figur 3 illustreres den hospitals-geografiske fordeling af henvisninger, som er blevet vurderet af det rådgivende panel.



Figur 3 Fordelingen af patientsager fra alle henvisende afdelinger i 2018

Note: Følgende hospitalsenheder dækker over flere fysiske matrikler:

Sygehus Lillebælt: Kolding, Middelfart og Vejle;

Hospitalsenheden Vest: Lemvig, Holstebro, Ringkøbing, Tarm, Gødstrup og Herning;

Sjællands Universitetshospital: Køge og Roskilde;

Sygehus Sønderjylland: Aabenraa, Sønderborg og Tønder;

Nordsjællands Hospital: Hillerød og Frederikssund

Henvisningerne kommer fra alle fem regioner. I tabel 1 er henvisningerne sorteret efter hvilken region, de kommer fra (355 sager i alt).

Tabel 1 Regional fordeling af henvisninger vurderet af det rådgivende panel i 2018

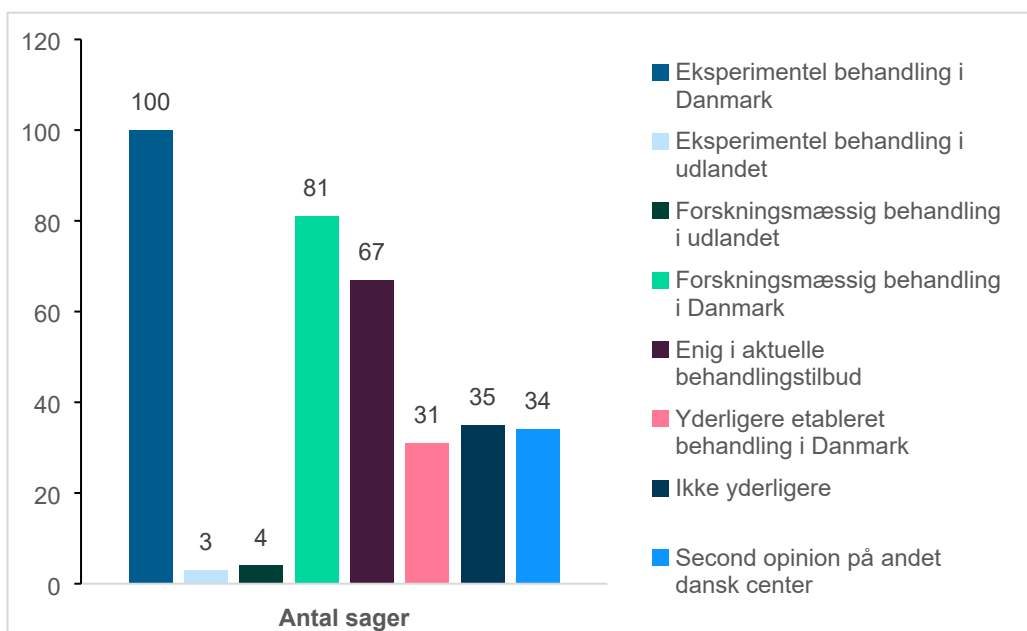
Region	Antal	Pct.	Regionens borgeres andel af Danmarks befolkning
Region Nordjylland	39	11 %	10%
Region Midtjylland	146	41 %	23%
Region Syddanmark	85	24 %	21%
Region Sjælland	14	4 %	15%
Region Hovedstaden	71	20 %	31%

4.3. Vurdering og råd

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel vurderede 355 patientsager i 2018.

Panelet har mulighed for at angive mere end ét forslag til behandling i hver enkelt patientsag. I 271 patientsager har Sundhedsstyrelsens rådgivende panel afgivet ét primært råd. I 84 patientsager har panelet rådgivet om yderligere et eller to alternativer til det primære råd.

I figur 4 illustreres fordelingen af det primære råd givet i de 355 sager vurderet af panelet i 2018.



Figur 4 Det primære råd givet af ekspertpanelet

I 67 tilfælde kunne panelet støtte de overvejelser afdelingen havde bedt om vurdering af. I 17 af de 67 sager gav panelet yderligere rådgivning om forskningsmæssig og/eller eksperimentel behandling i Danmark, hvis den aktuelle behandlingsstrategi skulle svigte.

I 181 tilfælde rådgav panelet om forskningsmæssig og/eller eksperimentel behandling i Danmark eller udlandet.

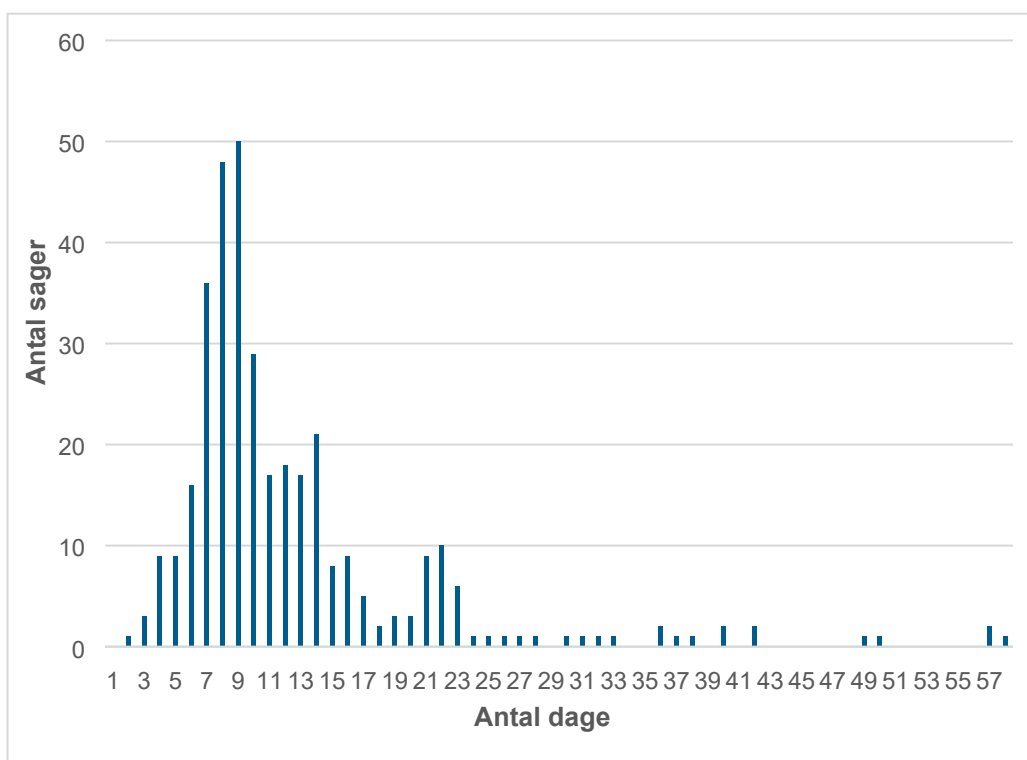
Som et led i ordningen kan panelet endvidere rådgive om andre muligheder end eksperimentel behandling, hvis de skønner dette relevant. I 31 tilfælde blev der givet råd om yderligere etableret behandling i Danmark og i 12 af de 31 sager gav panelet yderligere rådgivning om forskningsmæssig og/eller eksperimentel behandling i Danmark, hvis den etablerede behandlingsstrategi skulle svigte.

I 35 tilfælde blev det vurderet, at patienten ikke umiddelbart ville have gavn af yderligere behandling fraset palliativ indsats.

Siden 2016 er der medtaget en ny kategori af rådgivnings svar - *second opinion*. Disse svar vedrør sager, hvor panelet anbefaler, at patienten vurderes på et andet dansk center. Dette råd blev givet i 34 af sagerne i 2018.

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 ca. 11 dage i 2018 (inklusive weekend og helligdage). Figur 5 viser antal sager fordelt på sagsbehandlingstid i 2018.



Figur 5 Sagsbehandlingstid i 2018 fra modtagelse af anmodning til afgivet svar til afdelingen

I 80% af tilfældene afsendte Sundhedsstyrelsen sit svar til afdelingen inden for de mål-satte 14 dage. I særlige tilfælde, hvor der eksempelvis er brug for at indhente yderligere journaloplysninger fra afdelingerne, hvor sagen skal vurderes af såvel den kirurgiske som

den medicinske/onkologiske del af panelet eller at der skal indhentes supplerende ekspertviden i Danmark eller udlandet, kan sagsbehandlingstiden blive forlænget.

I efteråret 2018 har Sundhedsstyrelsen gennemført en intern kvalitetsundersøgelse (audit) af administration af ordningen. Herunder har udvalgte læger, der i årets løb har anmodet om rådgivning, været interviewet. Sagsbehandlingen oplevedes generelt, af de anmodende læger, som god og hurtigt med relevante lægefaglige håndtering.

4.5. Afslag på rådgivning

Inden anmodningerne om rådgivning sendes til det rådgivende panel, vurderer Sundhedsstyrelsen hvorvidt henvisningene fra afdelingerne falder inden for rammerne af Sygehusbekendtgørelsens § 30 (BEK nr. 293 af 27/03/2017).

Af de 372 nye sager, modtaget i 2018, afviste Sundhedsstyrelsen 40 sager, svarende til at cirka hver 10. sag. Sagerne som blev afvist kom jævnt fra alle 5 regioner svarende til den regionale fordeling af indkomne sager.

De forskellige begrundelser for afslag er listet op i tabel 2.

Tabel 2 Fordeling af begrundelser for afslag i 2018

Begrundelse for afslag	Antal	Pct.
Fortsat mulighed for etableret behandling	20	50%
Allerede igangsat eller tilbudt behandling	6	15%
Anmodning om sanktionering af behandlingsplan	4	10%
Ikke en livstruende tilstand	3	7,5%
Second opinion	2	5%
Ansøgning om økonomisk kompensation til patienten	2	5%
Anmodning handler om adjuverende*) behandling	1	2,5%
Ingen nationale eksperter, som kan vurdere sagen	1	2,5%
Anmodning om tilladelse til forskningsmæssig behandling i udlandet	1	2,5%

*) "Adjuverende behandling" betyder forebyggende behandling der gives til mennesker, der er radikalt behandlet for kræft, for at nedsætte risikoen for at sygdommen vender tilbage.

I halvdelen af afslagene var begrundelsen, at der fortsat var mulighed for etableret behandling i Danmark, som var relevant for patientens sygdom.

Sundhedsstyrelsen
Islands Brygge 67
2300 København S

www.sst.dk

Sundhed for alle ♥ + ●