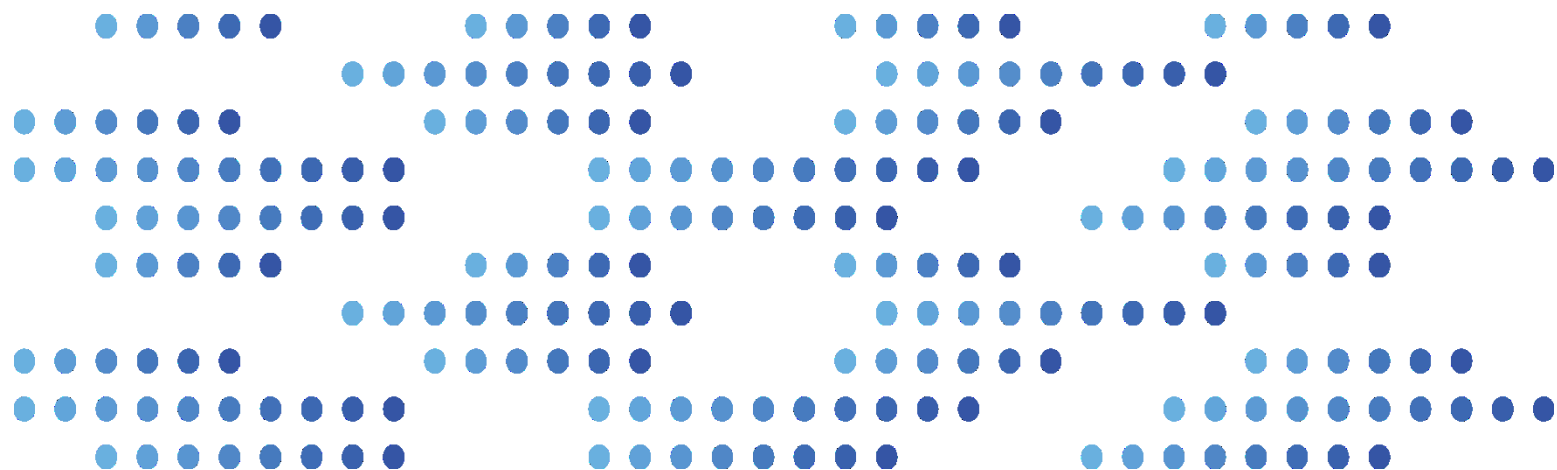


# Rådgivning om eksperimentel behandling for mennesker med livstruende sygdom

ÅRSRAPPORT 2016



2017

# Rådgivning om eksperimentel behandling for mennesker med livstruende sygdom

## Årsrapport 2016

© Sundhedsstyrelsen, 2017.

Publikationen kan frit refereres med  
tydelig kildeangivelse.

Sundhedsstyrelsen  
Islands Brygge 67  
2300 København S

[www.sst.dk](http://www.sst.dk)

Sprog: Dansk

Version: 1,0

Versionsdato: 28. april .2017

Format: pdf

Udgivet af Sundhedsstyrelsen,  
April 2017

Elektronisk ISBN:  
978-87-7104-895-7

# Indhold

## Resume

<b>Ordningen om eksperimentel behandling</b>	<b>6</b>
Baggrund	6
Livstruende sygdom	7
Hvad er eksperimentel behandling?	7
<b>Patientens muligheder for rådgivning om eksperimentel behandling</b>	<b>8</b>
Vurdering af patientsager	8
Rådgivende panel	8
<b>Årsopgørelse 2016</b>	<b>10</b>
Antal sager	10
Typer af sygdomme	10
Vurdering og råd	13
Sagsbehandlingstid	14

## 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 14 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 henvissende 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 2016 har panelet vurderet muligheder for eksperimentel behandling i 413 patientsager, hvoraf 372 var nye sager. Det svarer til tallene for 2015, hvor panelet vurderede 371 nye patientsager. Alle de henviste patienter på nær to har livstruende kræftsygdomme, mens fire patienter i 2015 havde livstruende sygdomme, der ikke var kræft.

De sygdomme patienterne hyppigst blev henvist med var som i 2015 lungekræft, tyk- og endetarmskræft, brystkræft og kræft i øvre mavetarmkanal.

Sagsbehandlingstiden fra Sundhedsstyrelsen modtager en anmodning om vurdering, til der afsendes svar til den behandlende afdeling, er i gennemsnit på ca. 10 arbejdsdage. Behandlingstiden i 2015 var 8,6 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](#).

## Ordningen om eksperimentel behandling

### Baggrund

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

Ordningen følger af sundhedslovens § 89 og er nærmere beskrevet i bekendtgørelse nr. 1207 af den 22. september 2016 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.

I forbindelse med Kræftplan IV fra august 2016 blev det besluttet, at etablere 1-2 centre for eksperimentel kræftkirurgi i Danmark. Formålet er at sikre en høj international kvalitet i kræftkirurgien og en ensartet udbredelse af nye behandlingsformer. Der skal anvendes eksperimentelle kirurgiske teknikker, som skal evalueres i protokolleret regi. Samtidig skal centrene sikre læring til landets øvrige kræftcentre ved udbredelsen af behandlingerne. Patienter fra hele landet skal kunne henvises til dette/disse centre. Her vil patienter med kræftsygdomme evt. kunne tilbydes eksperimentel kirurgisk behandling, som de kirurgiske afdelinger normalt ikke tilbyder i Danmark. Patienter med fremskreden sygdom kan evt. også tænkes at få tilbudt behandling på dette/disse centre. Det indledende arbejde med at etablere dette/disse centre starter i marts 2017 og det forventes, at der kan åbnes op for den eksperimentelle kirurgi i 2017. Sundhedsstyrelsens rådgivende panel vil efter etableringen af centret/centre have mulighed for at rådgive om henvisning til en evt. eksperimentel behandling her.

## 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).

## 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.

## Patientens muligheder for rådgivning om eksperimentel behandling

### 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 Universitetshospital, Vejle Sygehus, Århus Universitetshospital 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 beskudne 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 behandlingforsøg.

### 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.

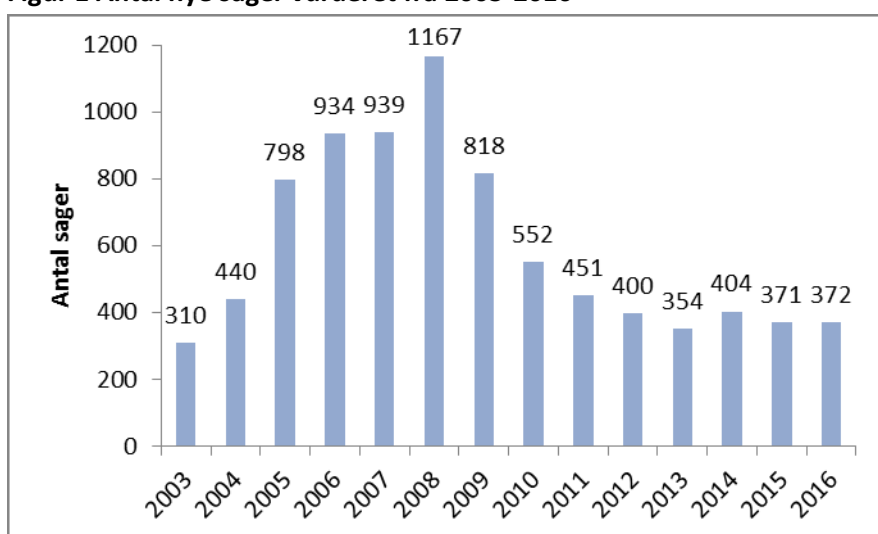
# Årsopgørelse 2016

## Antal sager

I 2016 har panelet i alt vurderet muligheder for eksperimentel behandling i 413 patientsager, hvoraf 372 var nye sager. Tallet er på niveau med 2015, hvor panelet vurderede 371 nye patientsager.

I figur 1 ses udviklingen i antal nye patientsager vurderet gennem de 14 år ordningen har eksisteret.

**Figur 1 Antal nye sager vurderet fra 2003-2016**



Note: Kun sager modtaget fra de henvisende afdelinger mellem den 01/01/2016 og den 31/12/2016 er medtaget.

Udover de 372 nye patientsager i 2016 har styrelsens rådgivende panel revurderet 41 patientsager, der blev oprettet før 2016. For disse patienter har den behandlende læge således bedt om fornyet rådgivning.

Kønsfordelingen er således, at 43 % af de nye patientsager vedrører mænd, og 57 % af de nye patientsager omhandler kvinder.

## 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 2016 var det to patienter. Til sammenligning blev der i 2015 henvist fire patient med anden livstruende sygdom end kræft.

I tabel 1 er patienternes sygdomme sorteret i grupper ud fra deres henvisnings diagnoser (413 sager i alt).

**Tabel 1 Fordeling af sygdomme vurderet af det rådgivende panel i 2016**

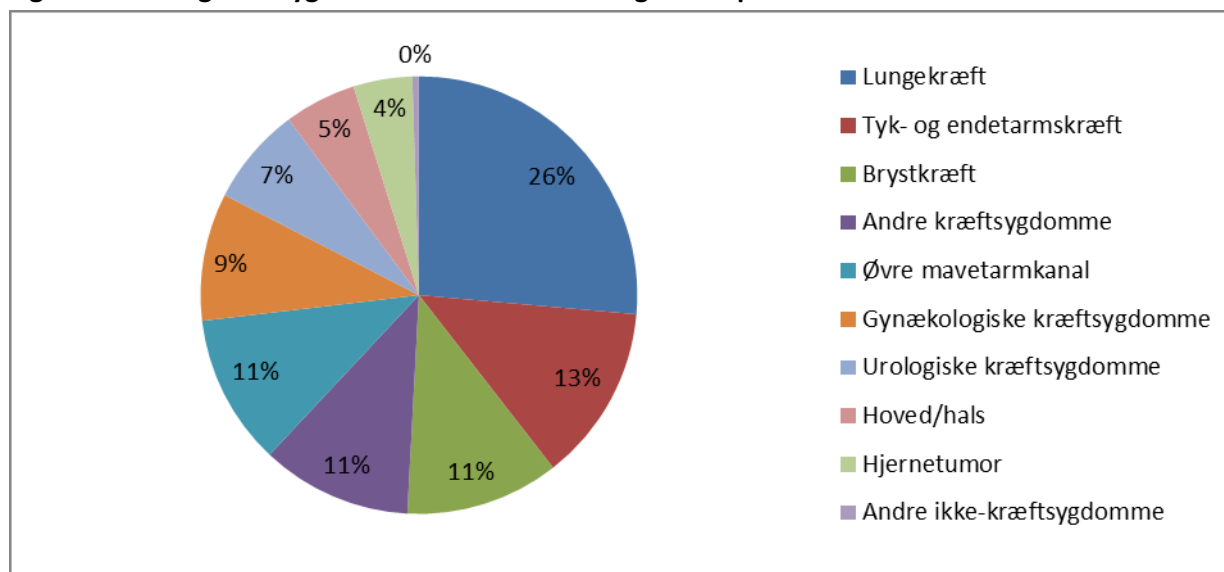
Sygdomme	Antal	Pct.
Lungekræft	109	26%
Tyk- og endetarmskræft	54	13%
Brystkræft	47	11%
Andre kræftsygdomme	46	11%
Øvre mavetarmkanal	46	11%
Gynækologiske kræftsygdomme	39	9%
Urologiske kræftsygdomme	30	7%
Hoved/hals	22	5%
Hjernetumor	18	4%
Andre ikke-kræftsygdomme	2	0%

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

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.

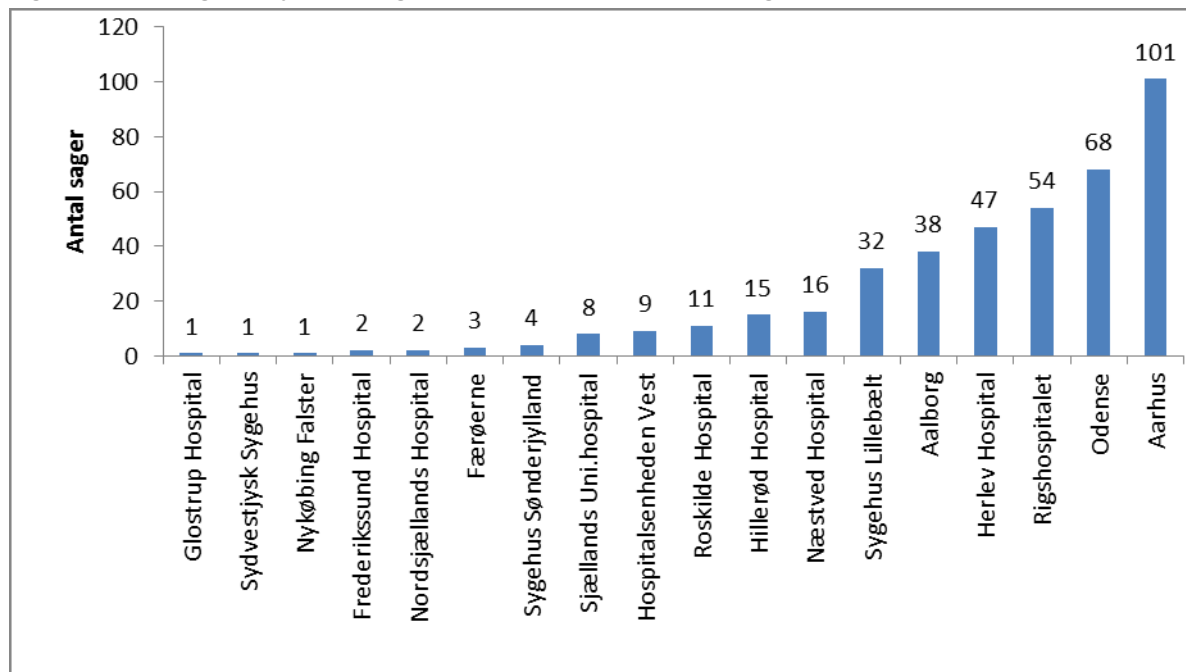
Den grafiske fordeling af sygdommene fremgår af Figur 2.

**Figur 2 Fordelingen af sygdomme vurderet i det rådgivende panel i 2016**



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

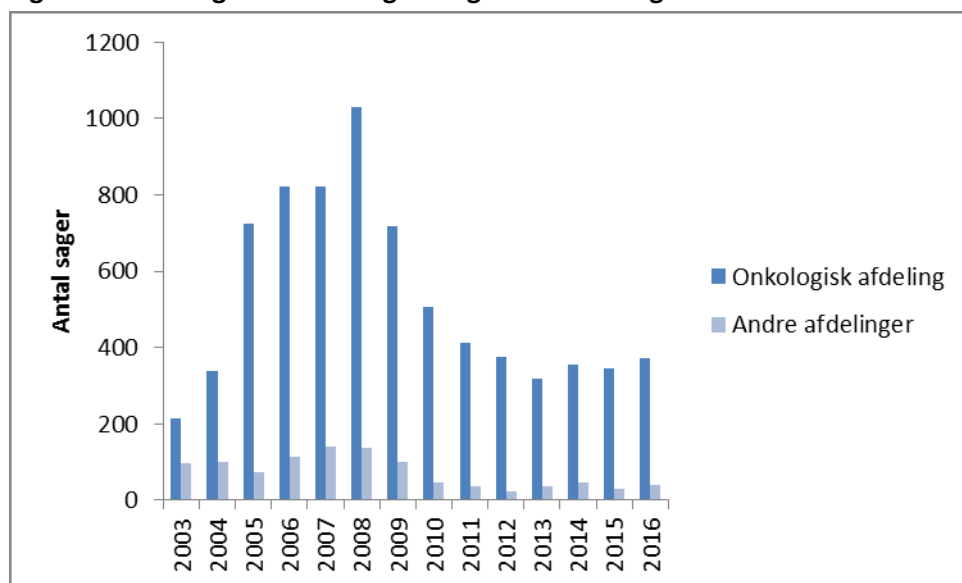
**Figur 3 Fordelingen af patientsager fra alle henvisende afdelinger i 2016**



Note: Følgende hospitalsenheder består af flere regionshospitaler. *Sygehus Lillebælt*: Give, Fredericia, 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; *Sydvestjysk Sygehus*: Esbjerg og Grindsted

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 2003-2016**



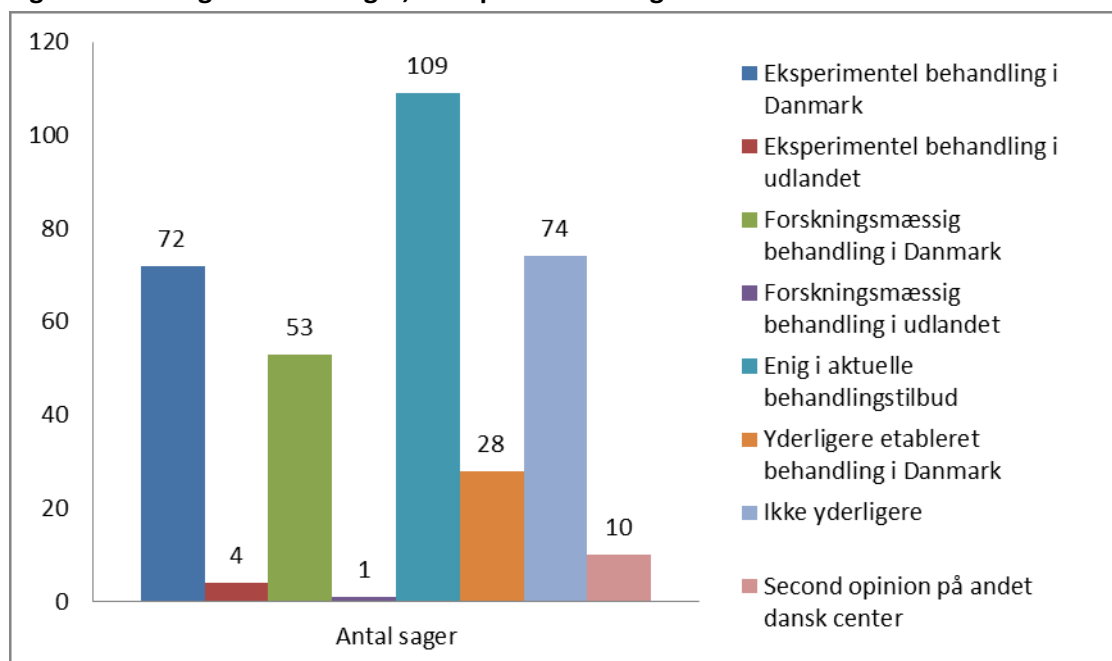
## Vurdering og råd

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel vurderede 413 patientsager i 2016.

I 351 patientsager har Sundhedsstyrelsens rådgivende panel afgivet ét enkelt råd (se figur 5)

Panelet har mulighed for at angive mere end ét forslag til behandling i hver enkelt patientsag. I 62 patientsager har panelet rådgivet om to eller flere behandlingsanbefalinger i samme sag. Figur 5 viser fordelingen af panelets rådgivning.

**Figur 5 Fordeling af de 351 sager, hvor panelet har afgivet ét enkelt råd.**



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

I 109 tilfælde var det rådgivende panel enig i den aktuelle behandlingsstrategi, hvilket betyder, at panelet kunne tilslutte sig den henvisende afdelings behandlingsforslag.

I 130 tilfælde rådgav panelet om forskningsmæssig eller eksperimentel behandling i Danmark eller udlandet.

I 28 tilfælde blev der givet råd om yderligere etableret behandling i Danmark, mens det i 74 tilfælde blev vurderet at patienten ikke umiddelbart ville have gavn af yderligere behandling.

I 2016 er der medtaget en ny kategori af rådgivnings svar (second opinion) i forhold til 2015. Disse svar vedr. sager, hvor panelet rådgiver om, at patienten vurderes på et andet dansk center. Dette råd blev givet i 10 sager i 2016.

I 2016 har sekretariatet endvidere samlet de sager, hvor panelet giver mere end ét råd. Dette har panelet gjort i 62 sager. Tabel 2 viser en oversigt over rådgivnings svarene fra Sundhedsstyrelsens panel i 2016.

**Tabel 2 Rådgivning fra Sundhedsstyrelsens panel i 2016**

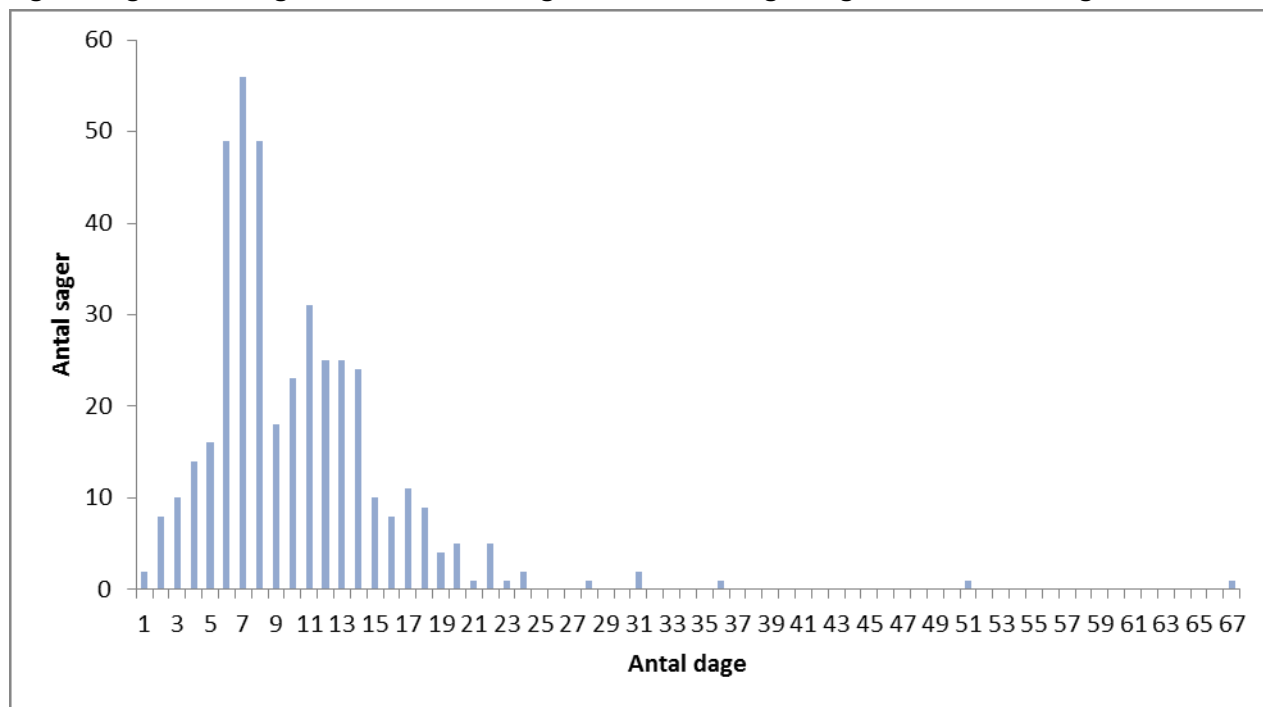
Panelets råd	Antal sager	%-fordeling
Enig i aktuelle behandlingstilbud	109	26%
Ikke yderligere	74	18%
Eksperimentel behandling i Danmark	72	17%
Flere råd	62	15%
Forskningsmæssig behandling i Danmark	53	13%
Yderligere etableret behandling i Danmark	28	7%
Second opinion på andet dansk center	10	2%
Eksperimentel behandling i udlandet	4	1%
Forskningsmæssig behandling i udlandet	1	0%

I forhold til 2015 var det rådgivende panel enig i den henvisende afdelings aktuelle behandlingsstrategi i 178 sager sammenlignet med 109 sager i 2016. Forskellen kan skyldes, at det kan være svært at afgøre, hvilken svarkategori panelets råd skal placeres i.

## Sagsbehandlingstid

Sagsbehandlingstiden fra Sundhedsstyrelsen modtager en anmodning om vurdering, til der afsendes svar til den behandlende afdeling, er opgjort til et gennemsnit på ca. 10 arbejdsdage i 2016. Figur 6 viser antal sager fordelt på sagsbehandlingstid i 2016.

Figur 6 Sagsbehandlingstid i 2016 fra modtagelse af anmodning til afgivet svar til afdelingen



I 85 % af tilfældene afsender Sundhedsstyrelsen sit svar til afdelingen inden for 14 dage, som er målsætningen. I særlige tilfælde, hvor der eksempelvis er brug for at indhente yderligere journaloplysninger fra afdelingerne, eller at der skal indhentes supplerende ekspertviden i Danmark eller udlandet, kan sagsbehandlingstiden blive forlænget. I 6 sager var sagsbehandlingstiden længere end 4 uger.