

STAMCELLEBEHANDLING

De seneste års forskning i stamceller har skabt håb om at kunne behandle en lang række forskellige sygdomme og skader med celler udviklet fra stamceller ("stamcellebehandling"). Der er derfor stor interesse for området både i de faglige miljøer og fra medier, patienter og offentligheden i det hele taget.

Bortset fra transplantation af knoglemarv, hud og knogle er stamcellebehandling dog fortsat kun i udviklingsfasen med mange uafklarede spørgsmål. Når stamceller, eller celler udviklet i laboratoriet fra stamceller, i den sammenhæng anvendes til behandling af sygdomme eller skader, er der altså tale om forskningsmæssig eller eksperimentel behandling.

Det er Sundhedsstyrelsens opfattelse, at behandling med stamceller (fraset de nævnte dokumenterede behandlinger) skal foregå i kliniske studier, hvor der sker en systematisk erfaringsopsamling, og at eksperimentel behandling med stamceller, der kan være forbundet med alvorlige bivirkninger, kun helt undtagelsesvis bør forsøges, jf. vejledning om indførelse af nye behandlinger i sundhedsvæsenet¹.

Idet Sundhedsstyrelsen er blevet bekendt med, at danske patienter, herunder patienter med alvorlig og livstruende sygdom, på eget initiativ har søgt stamcellebehandling i udlandet, ønsker styrelsen hermed at give en generel information om området og at orientere om forhold, man bør være opmærksom på ved stamcellebehandling i udlandet.

Hvad er stamceller?

Celler er kroppens mindste levende byggesten, og der findes knap 300 forskellige typer af specialiserede celler i menneskekroppen, fx hudceller, nerveceller, muskelceller og leverceller.

Celler, der både kan lave nye kopier af sig selv og give ophav til celler, der kan specialisere sig videre til andre celletyper, kaldes stamceller. Der findes mange forskellige slags stamceller fra det helt tidligere fosterstadium til det nyfødte og voksne individ, og de skelnes fra hinanden blandt andet ud fra, hvor de forekommer, om de kan give ophav til mange eller få typer af andre celler, og hvilke linjer af specialiserede celletyper (fx blod, hud, muskel) disse datterceller danner.

11. november 2011
j.nr. 7-203-07-1/10/BRB

**Sygehusbehandling og
Beredskab
Sundhedsstyrelsen
Islands Brygge 67
2300 København S
Tlf. 7222 7400
Fax 7222 7405
E-post info@sst.dk**

E-post syb@sst.dk

¹ Vejledning nr. 11.052 af 2. juli 1999 om indførelse af nye behandlinger i sundhedsvæsenet

Findes der veletablerede stamcellebehandlinger?

Knoglemarvstransplantation har været anvendt i behandling af visse typer af blodkræft og andre blodsygdomme i mere end 40 år. Ved transplantation af knoglemarv overføres bloddannende stamceller til patienten. I nyere tid er mere avancerede teknikker til at ”høste” bloddannende stamceller direkte fra blodet blevet udviklet.

På ganske få andre områder anvendes vævsspecifikke stamceller som en veletableret standardbehandling, fx ved hudtransplantater i forbindelse med forbrændinger. Bortset fra disse områder er behandling med stamceller stadig eksperimentel eller forskningsmæssig. Dette betyder, at man for andre sygdomsområder endnu ikke ved, om behandlingen virker, er sikker eller har bivirkninger.

Forskningsmæssig og eksperimentel behandling

Forskningsmæssig behandling er en del af den stadige udvikling af nye behandlinger, fx nye lægemidler eller nye operationsteknikker. Forskningsmæssig behandling udføres i form af kliniske studier, hvor man gennem forskellige stadier med involvering af flere og flere personer og patienter, sammenligner den nye behandling med den hidtil bedste (eller med ingenting, hvis der ikke findes en behandling). Formålet med et klinisk studie er at skaffe viden om, hvorvidt behandlingen virker, og om den er sikker. I de fleste lande, herunder også i Danmark, findes der bestemmelser om, at kliniske studier skal opfylde en række krav, herunder bl.a. være godkendt af en videnskabetisk komite. Ved indførelse af nye behandlinger i sundhedsvæsenet i Danmark gælder desuden ovennævnte vejledning om indførelse af nye behandlinger i sundhedsvæsenet.

Eksperimentel behandling er typisk behandling af alvorlig sygdom, hvor der ikke findes en veletableret eller forskningsmæssig behandling, men hvor der for en konkret patient er en vis grad af sandsynlighed (baseret på et videnskabeligt rationale) for, at behandlingen kan gavne.

Der foreligger i dag kun få resultater fra kliniske studier af forskningsmæssig behandling direkte baseret på stamceller. I dyremodeller er der dokumenteret virkning af stamcellebehandling for en række sygdomme og ved eksperimentel celleterapi med fosterceller til grupper af Parkinson- og diabetespatienter.

Som supplement til de generelle regler, der skal overholdes ved forskningsmæssig behandling, er der internationalt² opstillet guidelines med en række krav til udførelsen af de kliniske studier af forskningsmæssig stamcellebehandling. Disse guidelines anbefaler desuden at forbeholde eksperimentel stamcellebehandling til alvorligt syge patienter uden andre behandlingsmuligheder og under meget kontrollerede forhold.

Sundhedsstyrelsen henleder endvidere opmærksomheden på, at deltagelse i eksperimentel behandling med stamceller typisk vil betyde, at patienten ikke senere kan deltage i forskningsmæssig stamcellebehandling.

² International Society for Stem Cell Research: Guidelines for the Clinical Translation of Stem Cells, 2008.

Hvad er risikoen ved stamcellebehandling?

En mulig risiko ved stamcellebehandling er udvikling af godartede eller ondartede svulster (kræft). Denne risiko er tæt koblet til bestemte typer af stamceller og transplantation af blandinger af celler med indhold af embryonale og andre typer af umodne stamceller, hvilket understreger vigtigheden af at kunne frasortere disse celler. Det er ligeledes vigtigt, at behandlingsstedet kan dokumentere, at der ikke er risiko for overførsel af smitte ved behandlingen.

Varighed af en eventuel effekt og bivirkninger på kort og langt sigt er endnu ikke tilstrækkeligt kortlagt.

Den operation eller indsprøjtning, hvorved stamcellerne indføres i kroppen, er forbundet med en risiko, som det kendes fra andre typer af indgreb, fx i form af komplikationer til anæstesi eller infektion. Behandlingsstedets og de behandlende lægers erfaring kan ligeledes udgøre en risiko, og det er væsentligt, at de behandlende læger har stor erfaring også med den almindelige behandling af den konkrete sygdom. Der kan desuden ses afstødning af cellerne, hvilket dog kan undgås ved brug af patientens egne (autologe) stamceller. Bortset herfra er autologe celler ikke i sig selv mere virksomme eller sikre.

Hvis man opsøger behandling i udlandet på eget initiativ er man ikke omfattet af de danske regler for klage og erstatning. Skader eller bivirkninger opstået i forbindelse med behandlingen er ikke dækket af de danske regler om Patientforsikringen. Hvis man ønsker at klage over den behandling, man har modtaget i udlandet, skal man henvende sig til det pågældende lands sundhedsmyndigheder eller klageinstans.

Stamcellebehandling i udlandet

Sundhedsstyrelsen anbefaler på baggrund af ovenstående, at en personlig beslutning om at lade sig behandle med stamceller i udlandet ikke sker uden grundig forudgående diskussion med egen læge eller relevant speciallæge i Danmark. Hvis der allerede er kontakt til et udenlandsk behandlingssted, bør informationer fra behandlingsstedet indgå i drøftelserne. Man bør altid vurdere om den forventelige behandlingseffekt opvejer de mulige risici ved behandlingen.

Reglerne for behandling i udlandet for offentlig regning er nærmere beskrevet på Sundhedsstyrelsens hjemmeside³ samt på Ministeriet for Sundhed og Forebyggelses hjemmeside⁴. Bemærk, at ansøgning om eventuel offentlig betaling altid skal ske før en behandling påbegyndes.

Sundhedsstyrelsen anbefaler endvidere, at informationer fra udenlandske behandlingssteder, der tilbyder stamcellebehandling, gennemgås kritisk før der tages stilling til behandling. Udførlig hjælp til personer, der overvejer stamcellebehandling i udlandet kan findes i Patient Handbook on Stem Cell Therapies⁵, der er udgivet af det internationale videnskabelige selskab. Fak-

³ www.sst.dk/Behandlingsforloeb%20og%20rettigheder/Behandling%20i%20udlandet.aspx

⁴ www.im.dk/Aktuelt/Nyheder/Sygehusvaesen/2008/November/Vejledning_om_daekning.aspx

⁵ International Society for Stem Cell Research: Patient Handbook on Stem Cell Therapies (www.isscr.org/clinical_trans/pdfs/ISSCRPatientHandbook.pdf)

taboksen nedenfor gengiver et af håndbogens afsnit, som præsenterer nogle af de emner i behandlingsstedets oplysningsmateriale, som bør læses med særligt kritiske øjne.

Side 4
11. november 2011
Sundhedsstyrelsen

Påstande baseret på patientudsagn. Patienter tror så meget på, at en behandling har hjulpet dem, at de kan overbevise sig selv om det. Man kan også have oplevet en vis bedring, der ikke er relateret til behandlingen. Medmindre der er gennemført kliniske studier, er det meget vanskeligt at vide, om der er en reel effekt af behandlingen, og hvad man kan forvente sig.

Flere forskellige sygdomme behandles med de samme celler. Kun hvis sygdommene biologisk set er koblede til hinanden og vedrører celler af samme slags, fx en gruppe af blodsygdomme, kan man forvente, at samme type af stamceller og samme måde at tilføre dem på vil have en virkning. Det er usandsynligt, at så forskellige sygdomme og tilstande som Parkinsons sygdom og hjertesygdomme kan behandles med brug af samme stamcelletype og samme måde at tilføre cellerne på. I øvrigt bør man behandles af en læge, der er specialist i ens sygdom.

Uklar dokumentation af kilden til cellerne og/eller selve behandlingen. Både celletype og deres oprindelse samt behandlingens udførelse bør fremgå af og forklares tydeligt i en samtykkeerklæring udfærdiget af behandlingsstedet. Behandlingens praktiske udførelse og relevant baggrundsmateriale bør fremgå af en 'protokol', der skitserer behandlingen i detaljer for patienten og dennes læge. Protokollen er at betragte som en 'håndbog' for behandlingen. Er disse oplysninger ikke umiddelbart til rådighed, bør de kunne udleveres, hvis man beder om dem. For en forskningsmæssig eller eksperimentel behandling bør protokollerne være gennemgået for videnskabelig kvalitet af uafhængige eksperter og godkendt af en videnskabsetisk komité for at sikre, at deltagernes rettigheder og interesser respekteres. Man bør kunne få oplyst, hvem der har godkendt protokollen, og for hvilken periode godkendelsen gælder.

Oplysning om at behandlingen er uden risiko. Der er altid en risiko forbundet med en behandling. Information om de mulige risici ved den pågældende behandling skal være tilgængelig og baseret på forudgående præklinisk eller klinisk forskning.

Høje udgifter til behandling eller skjulte omkostninger. Det er ikke normalt som patient at betale for at deltage i et klinisk studie. Hvis ikke det er et klinisk studie, overvej da, om det er rimeligt at betale for en behandling, hvis virkning og sikkerhed ikke er dokumenteret. Hvem dækker udgifterne til akut lægehjælp, behandling og hjemtransport, hvis noget går galt?