



Rådgivning om eksperimentel behandling for mennesker med livstruende sygdom



Rådgivning om eksperimentel behandling for mennesker med livstruende sygdom
ÅRSRAPPORT 2017

© Sundhedsstyrelsen, 2017.
Publikationen kan frit refereres
med tydelig kildeangivelse.

Sundhedsstyrelsen
Islands Brygge 67
2300 København S

www.sst.dk

Elektronisk ISBN: 978-87-7014-036-2

Sprog: Dansk
Version: 1.0
Versionsdato: 01.09.2018
Format: pdf

Udgivet af Sundhedsstyrelsen,
September 2018

Indholdsfortegnelse

Resume	4
1. Ordningen om eksperimentel behandling	6
1.1. Baggrund.....	6
1.2. Livstruende sygdom.....	6
1.3. Eksperimentel behandling	7
2. Vurdering af patientsager	7
3. Det rådgivende panel	8
4. Årsopgørelse 2017	9
4.1. Antal sager	9
4.2. Typer af sygdomme	9
4.3. Vurdering og råd	12
4.4. Sagsbehandlingstid.....	14

Resume

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel vejleder læger om mulighederne for eksperimentel behandling for mennesker med livstruende sygdomme.

Ordnningen blev etableret i 2003 og har således eksisteret i 15 år.

Panelet rådgiver i sager, som vedrører patienter med livstruende sygdomme, forstået som sygdom der indenfor en kortere periode forventes at føre til patientens død som følge af sygdommen og hvor samtlige etablerede behandlingstiltag er forsøgt.

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

Panelet vejleder den behandlende læge om mulighederne for eksperimentel behandling i Danmark eller udlandet eller rådgiver om supplerende undersøgelser eller behandling på offentlige sygehuse i Danmark.

Patienter kan drøfte et sådant ønske med den behandlende læge. Det er den behandlende sygehuslæge, der vurderer, om det er relevant og indsender en anmodning om rådgivning og vurdering af den konkrete 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.

Når rådgivningen er indhentet beslutter afdelingen og den behandlende læge, i samråd med patienten, 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.

I 2017 har panelet vurderet muligheder for eksperimentel behandling i 355 patientsager, hvoraf 330 var nye sager. Det er en lille nedgang siden forrige år, hvor panelet vurderede 372 nye patientsager. Alle de henviste patienter på nær to (med neurodegenerative lidelser) havde livstruende kræftsygdomme, mens to patienter i 2016 ligeledes havde livstruende sygdomme, der ikke var kræft.

De sygdomme patienterne hyppigst blev henvist med i 2017 var tyk- og endetarmskræft, kræft i øvre mavetarmkanal og andre kræftsygdomme.

Den gennemsnitlige sagsbehandlingstid, fra Sundhedsstyrelsen modtager en anmodning om vurdering, til der afsendes svar til den behandlende afdeling var knapt 10 arbejdsdage.

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 bekendtgørelse BEK nr. 293 af 27/03/2017. Som følge af bekendtgørelsens § 30 har Sundhedsstyrelsen nedsat et rådgivende panel som, efter indstilling fra behandlende sygehusafdeling, rådgiver om muligheder for eksperimentel behandling hos patienter med livstruende sygdom, hvis 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.

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel foretager en konkret vurdering af den enkelte patients muligheder for eksperimentel behandling. Panelet har fem faste medlemmer med særlig viden om behandling af medicinske og kirurgiske kræftsygdomme til at foretage vurderinger, der omhandler livstruende kræftsygdomme. Når rådgivningen vedrører andre livstruende sygdomme, fx hæmatologiske eller neurodegenerative lidelser, udpeger styrelsen "ad hoc" medlemmer til panelet med særlig viden og ekspertise indenfor det pågældende sygdomsområde.

1.2. Livstruende sygdom

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

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

1.3. Eksperimentel behandling

Behandlingen betragtes som eksperimentel, når der ikke findes samme grad af videnskabelig dokumentation for effekten af behandlingen, som ved en etableret behandling. Behandling i forskningsmæssigt regi, falder uden for ordningen.

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

Udover behandlinger med lægemidler kan der rådgives om andre former for eksperimentel behandling som for eksempel partikel- eller 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.

2. Vurdering af patientsager

Patienter, der lider af en livstruende sygdom og som den behandlende læge ikke kan tilbyde yderligere behandling, overfor selve sygdommen, kan få en vurdering af om der er muligheder 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.

Patienten kan drøfte sit ønske med den behandlende sygehuslæge, som derefter kan søge rådgivning om eksperimentel behandling fra Sundhedsstyrelsen.

Den behandlende sygehuslæge kan også på eget initiativ, 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 læge. Den henvisende afdeling og behandlende læge 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 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 imidlertid ikke panelets opgave at fastlægge et nyt generelt behandlingsniveau i Danmark eller give generelle anbefalinger fx om off label brug af lægemidler. Det er således ikke hensigten at panelet skal virke som en generel "genvej" til dyre lægemidler, som Medicinrådet eller De Regionale Lægemiddelkomiteer har afvist som rutinebehandling.

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 indenfor andre sygdomsområder.

Et nyt panel på fire medlemmer blev nedsat 1. okt. 2017. Senere på året blev panelet tilføjet endnu en kirurg således, at det nye panel ved udgangen af 2017 består af:

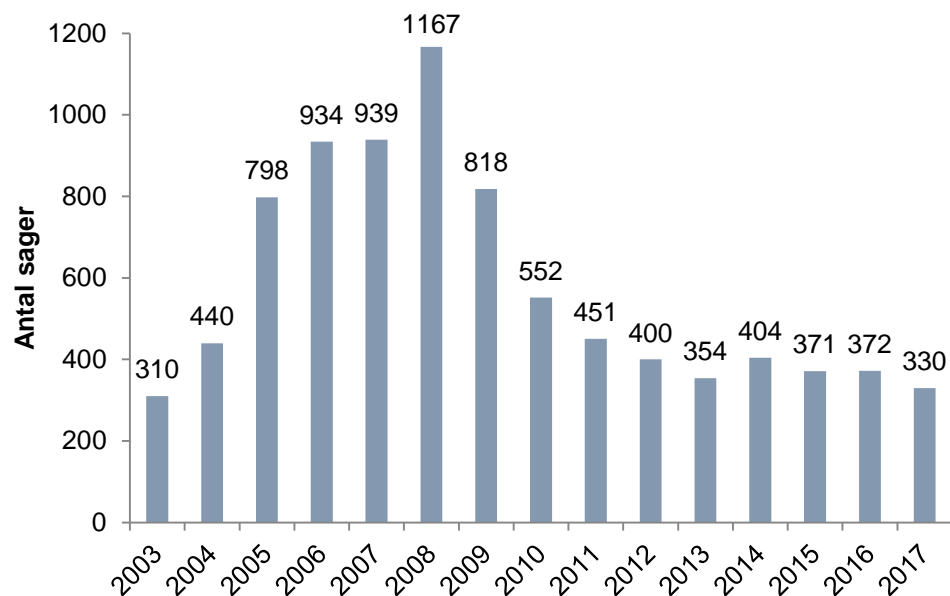
- Morten Ladekarl, lektor, overlæge, dr.med., kræftafdelingen, Aarhus Universitetshospital
- Morten Mau Sørensen, overlæge, onkologisk klinik, Rigshospitalet
- Dorte Nielsen, professor og overlæge, onkologisk afdeling, Herlev Hospital
- Henrik Kidmose Christensen, overlæge, dr.med., kirurgisk afdeling,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

4. Årsopgørelse 2017

4.1. Antal sager

I 2017 har panelet vurderet 355 patientsager om muligheder for eksperimentel behandling. Heraf var 330 nye sager. Der er således fortsat tendens til fald i antal sager.

I figur 1 ses udviklingen i antal nye patientsager vurderet gennem de 15 år ordningen har eksisteret.



Figur 1 Antal nye sager vurderet fra 2003-2017

Note: Kun sager modtaget fra de henvisende afdelinger mellem den 01/01/2017 og den 31/12/2017 er medtaget.

Udover de 330 nye patientsager i 2017 har Sundhedsstyrelsens rådgivende panel revurderet 25 patientsager, hvor den behandlende læge har bedt om fornyet rådgivning.

Der er diskret kønsforskel, idet 47 % af de nye patientsager vedrører mænd, og 53 % omhandler kvinder.

4.2. Typer af sygdomme

Patienter henvist til vurdering har altovervejende kræftsygdomme. Antallet af patienter med andre livstruende sygdomme end kræft, der er henvist til vurdering med henblik på

eksperimentel behandling, er generelt få og i 2017 var det to patienter. Til sammenligning blev der i 2015 henvist fire patient med anden livstruende sygdom end kræft.

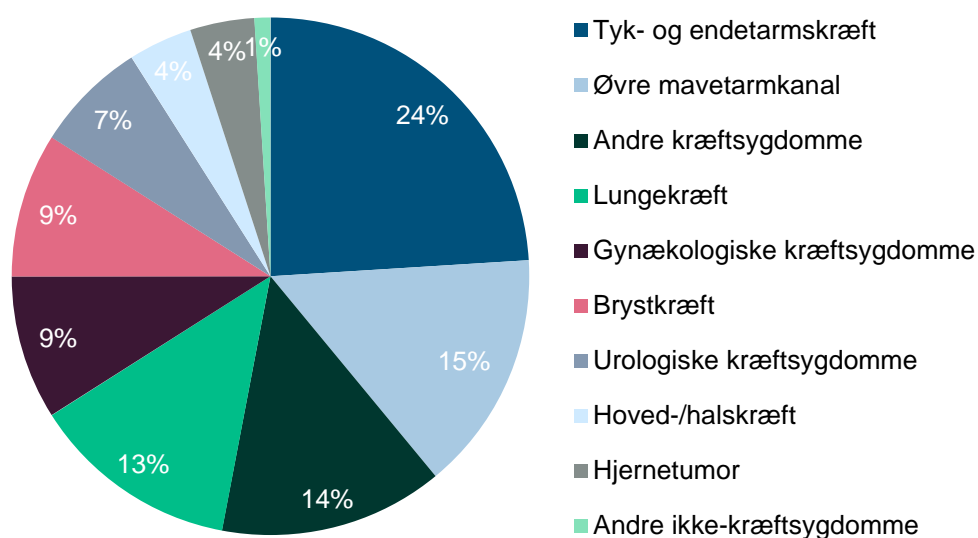
I tabel 1 er patienternes sygdomme sorteret i grupper ud fra henvisnings diagnoser (355 sager i alt).

Tabel 1 Fordeling af sygdomme vurderet af det rådgivende panel i 2017

Sygdomme	Antal	Pct.
Tyk- og endetarmskræft	84	24 %
Øvre mavetarmkanal	55	15 %
Andre kræftsygdomme	49	14 %
Lungekræft	45	13 %
Gynækologiske kræftsygdomme	33	9 %
Brystkræft	32	9 %
Urologiske kræftsygdomme	24	7 %
Hoved-/halskræft	16	4 %
Hjernetumor	15	4 %
Andre ikke-kræftsygdomme	2	1 %

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.

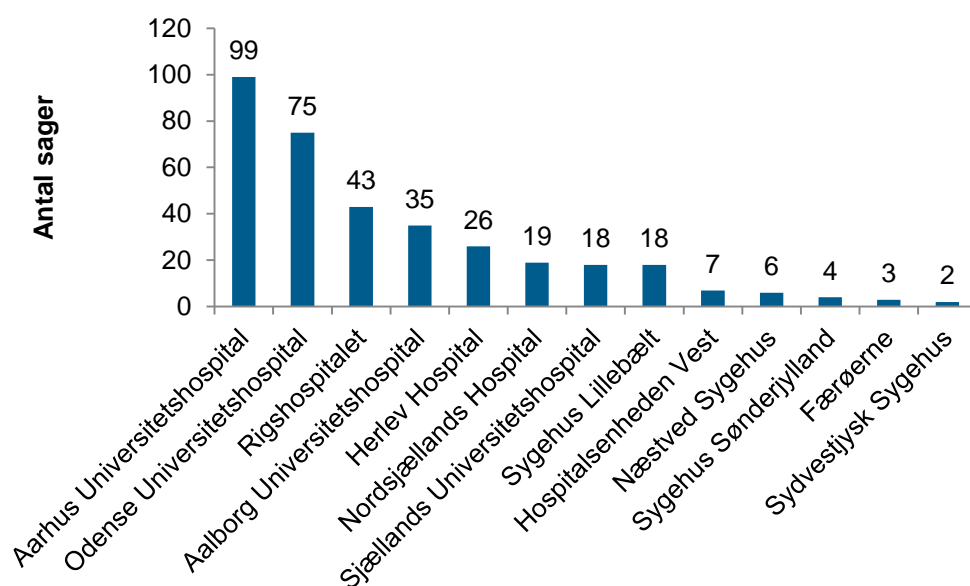
Den grafiske fordeling af sygdommene fremgår af Figur 2.



Figur 2 Fordelingen af sygdomme vurderet i det rådgivende panel i 2017

Alle sygehusafdelinger kan sende patientens journaloplysninger til en vurdering af panelet. Langt størstedelen (94 %) af henvisningerne kommer fra onkologiske afdelinger. De resterende patientsager kommer fra andre afdelinger (4 %), primært medicinske og kirurgiske afdelinger.

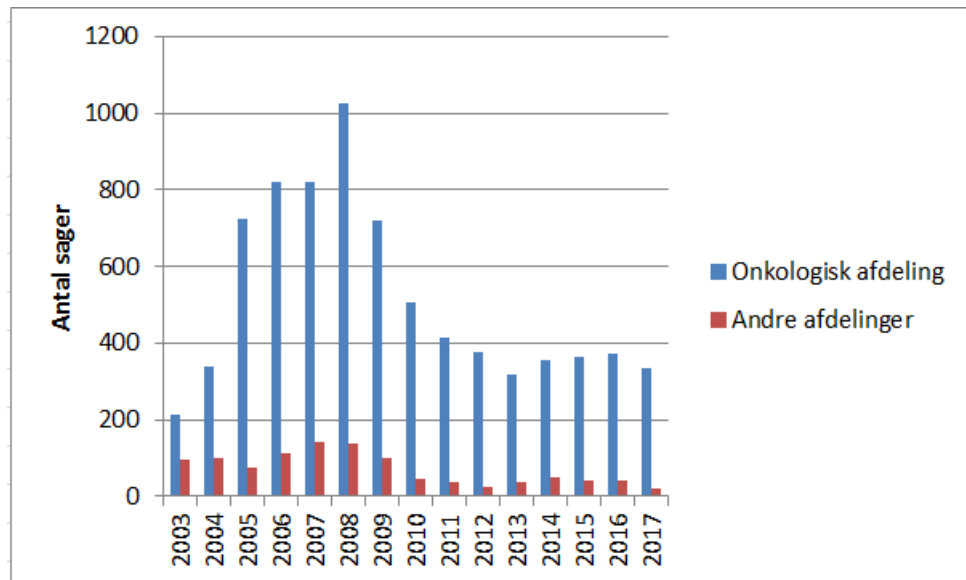
I figur 3 illustreres den hospitals-geografiske fordeling af henvisninger fra alle henvisende afdelinger.



Figur 3 Fordelingen af patientsager fra alle henvisende afdelinger i 2017

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

I figur 4 ses udviklingen i antallet af sager fra henholdsvis onkologiske og øvrige afdeling

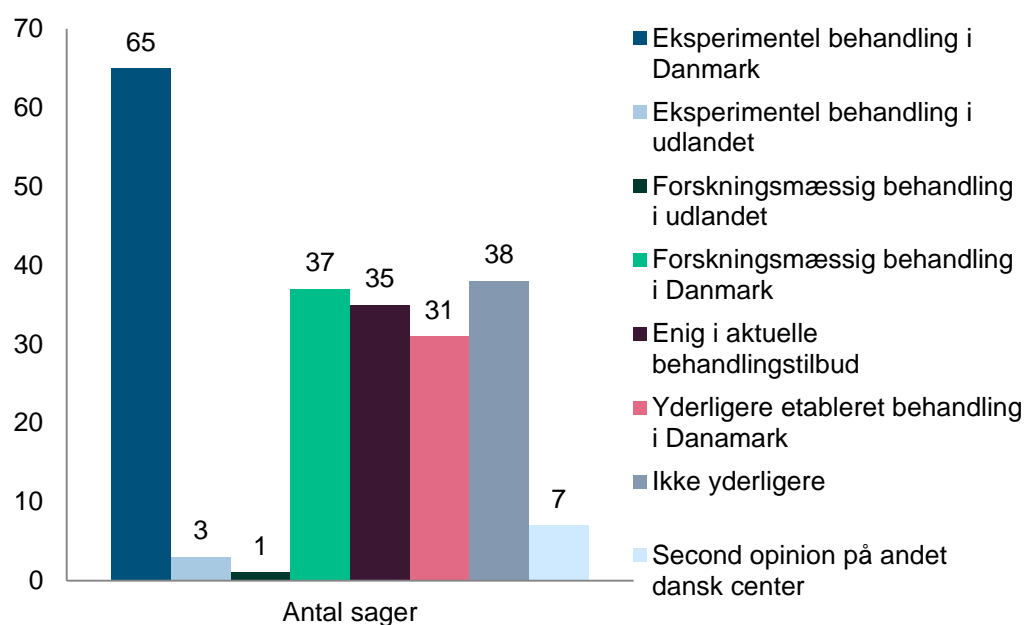


Figur 4 Patientsager fra onkologiske og andre afdelinger fra 2003-2017

4.3. Vurdering og råd

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel vurderede 355 patientsager i 2017.

Panelet har mulighed for at angive mere end ét forslag til behandling i hver enkelt patientsag. I 217 patientsager har Sundhedsstyrelsens rådgivende panel alene afgivet ét enkelt råd (se figur 5). I 138 patientsager har panelet rådgivet om to eller flere behandlingsanbefalinger i samme sag.



Figur 5 Fordeling af de 217 sager, hvor panelet har afgivet ét enkelt råd.

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

I 106 tilfælde rådgav panelet om forskningsmæssig eller eksperimentel behandling i Danmark eller udlandet.

I 31 tilfælde blev der givet råd om yderligere etableret behandling i Danmark, mens det i 38 tilfælde blev vurderet, at patienten ikke umiddelbart ville have gavn af yderligere behandling.

Siden 2016 er der medtaget en ny kategori af rådgivnings svar (second opinion). Disse svar vedrører sager, hvor panelet anbefaler, at patienten vurderes på et andet dansk center. Dette råd blev givet i 7 sager i 2017.

Sekretariatet har endvidere registreret de sager, hvor panelet giver mere end ét råd. Dette har panelet i 2017 gjort i 138 sager. Tabel 2 viser en oversigt over alle rådgivnings svarene fra Sundhedsstyrelsens panel i 2017.

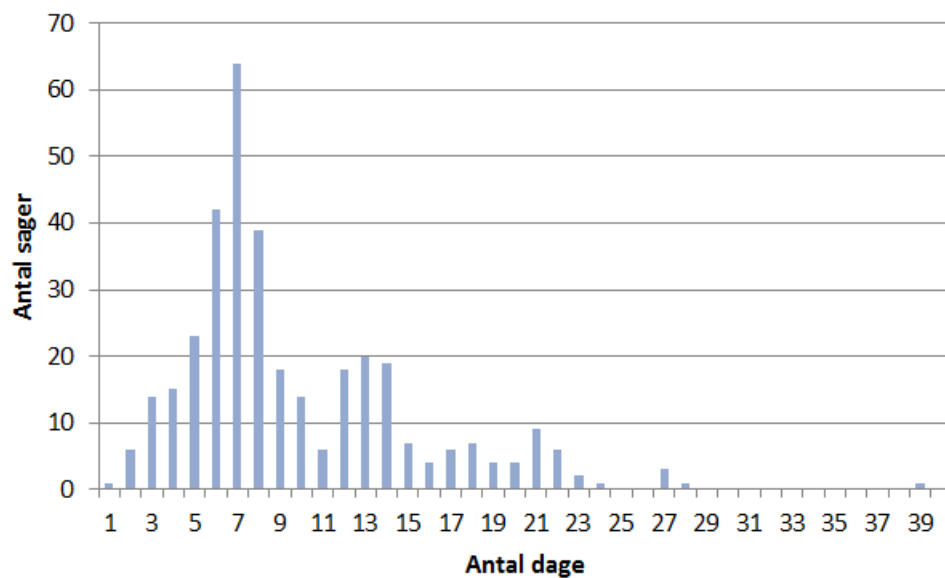
Tabel 2 Rådgivning fra Sundhedsstyrelsens panel i 2017

Panelets råd	Antal sager	%-fordeling
Eksperimentel behandling i Danmark	81	59 %
Forskningsmæssig behandling i Danmark	74	54 %
Enig i aktuelle behandlingstilbud	50	36 %
Yderligere etableret behandling i Danmark	49	36 %
Ikke yderligere	29	21 %
Second opinion på andet dansk center	12	9 %
Forskningsmæssig behandling i udlandet	6	4 %
Eksperimentel behandling i udlandet	1	1 %

Ofte foreligger der et helt konkret forslag til en behandlingsplan i en forespørgsel fra behandlende afdeling, til panelet. I mere end en tredjedel (50 sager) var panelet enig i at denne behandlingsplan ville være det bedste forsøg for patienten i den aktuelle situation. I lige så mange sager (49 sager) foreslog panelet dog at supplere med yderligere, etableret, behandlingstilbud i Danmark, mens panelet i godt en femtedel af sagerne (29 sager) desværre ikke kunne pege på yderligere mulige livsforlængende etablerede eller eksperimentelle behandlinger for patienten.

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. 10 dage i 2017 inklusiv weekend og helligdage. Figur 6 viser antal sager fordelt på sagsbehandlingstid i 2017.



Figur 6 Sagsbehandlingstid i 2017 fra modtagelse af anmodning til afgivet svar til afdelingen

I 84 % af tilfældene afsender 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 medicinsk/onkologiske del af panelet eller at der skal indhentes supplerende ekspertviden i Danmark eller udlandet, kan sagsbehandlingstiden blive forlænget. I én enkelt sag var sagsbehandlingstiden i 2017 længere end 4 uger.

Sundhedsstyrelsen
Islands Brygge 67
2300 København S

www.sst.dk

Sundhed for alle ♥ + ●