



Rådgivning om eksperimentel behandling - for mennesker med livstruende sygdom



**Rådgivning om eksperimentel behandling - for mennesker med
livstruende sygdom
ÅRSRAPPORT 2019**

© Sundhedsstyrelsen, 2020.
Publikationen kan frit refereres
med tydelig kildeangivelse.

Sundhedsstyrelsen
Islands Brygge 67
2300 København S

www.sst.dk

Elektronisk ISBN: 978-87-7014-205-2

Sprog: Dansk

Version: 1.0

Versionsdato:

Format: pdf

Udgivet af Sundhedsstyrelsen,

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 2019	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 17 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 behandelende 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 behandelende 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 behandelende læge, i samråd med patienten, om panelets råd skal følges. Den behandelende 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 2019 har panelet vurderet muligheder for eksperimentel behandling i 320 patientsager, hvoraf 293 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 2019 var tyk- og endetarmskræft og kræft i øvre mavetarmkanal.

Den gennemsnitlige sagsbehandlingstid, fra Sundhedsstyrelsen modtager en anmodning om vurdering, til der afsendes et panelsvar til den behandelende afdeling, var knap 13 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. 657 af 28/6/2019. 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 otte 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 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

Læger, der har patienter med 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.

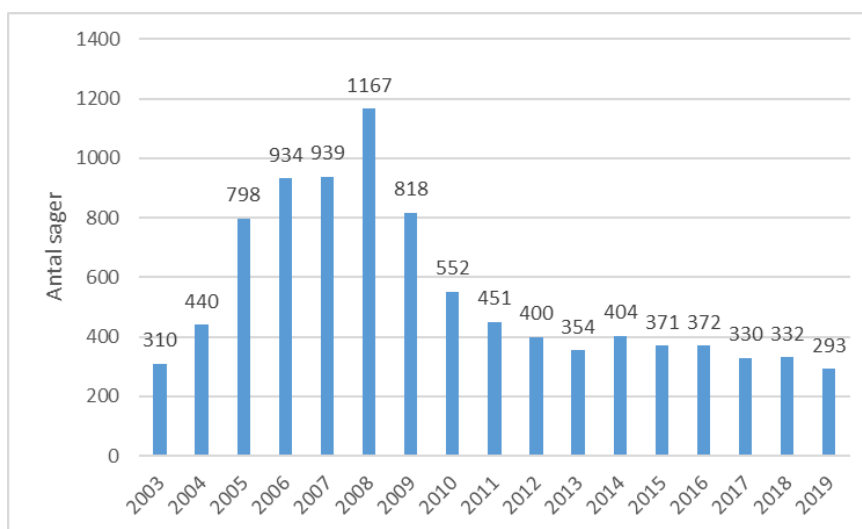
Sundhedsstyrelsens panel har otte faste medlemmer med særlig viden til at foretage vurderinger der omhandler livstruende kræftsygdomme. Herudover udpeger Sundhedsstyrelsen, ved behov, 'ad hoc' medlemmer til panelet med særlig viden inden for andre sygdomsområder.

4. Årsopgørelse 2019

4.1. Antal sager

I 2019 har panelet vurderet 320 patientsager om muligheder for eksperimentel behandling. Heraf var 293 nye sager, hvilket er lavere end sidste år og led i en svag faldend tendens

I figur 1 ses udviklingen i antal nye patientsager vurderet gennem de 17 år



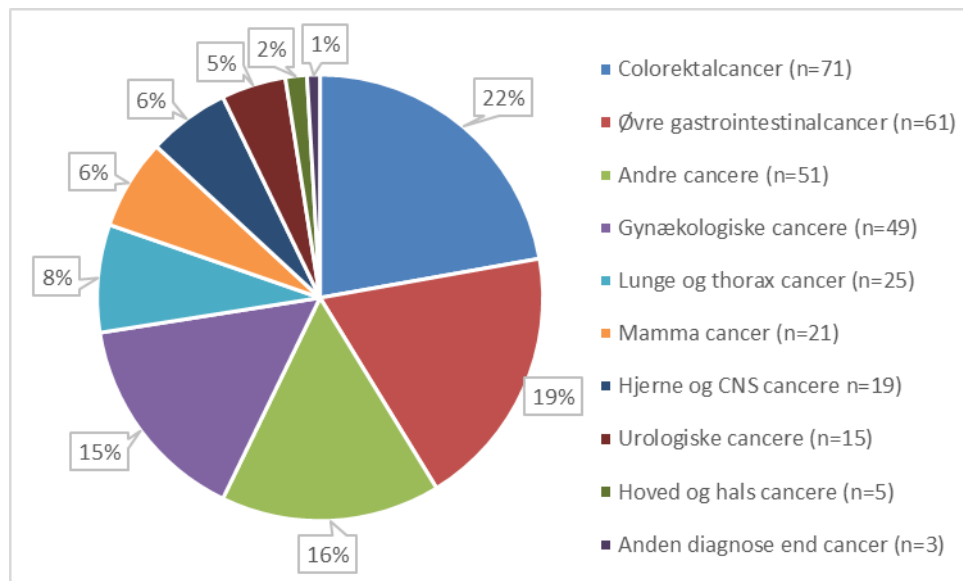
Figur 1 Antal nye sager vurderet fra 2003-2019

Ud over de 293 nye patientsager i 2019 har Sundhedsstyrelsens rådgivende panel revurderet 27 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 2019 drejer det sig om tre patienter, og på trods af øget fokus på området, er dette kun en patient mere end forrige år.

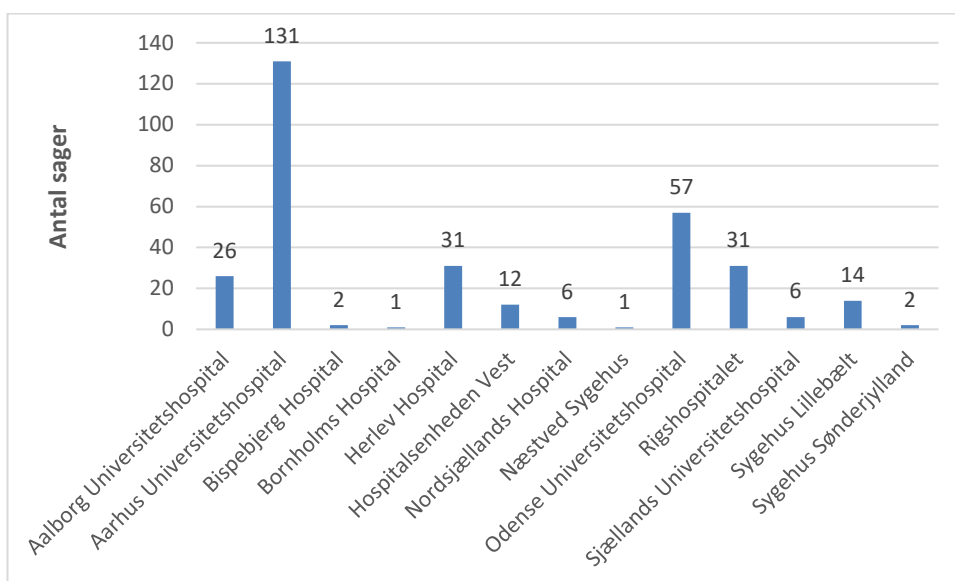
Figur 2 viser fordelingen af patienternes sygdomme sorteret i grupper ud fra henvisningsdiagnoser (320 sager i alt).



Figur 2 Fordelingen af sygdomme vurderet i det rådgivende panel i 2019

Alle sygehusafdelinger kan sende medicinsk resume og patientens journaloplysninger med anmodning om rådgivning fra panelet. Langt størstedelen (98%) af henvisningerne kommer fra onkologiske eller hæmatologiske afdelinger. De resterende patientsager kommer fra andre afdelinger (2%), herunder neurologiske, mave- og tarmkirurgiske, hud-sygdomme og medicinske sygdomme.

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



Figur 3 Fordelingen af patientsager vurderet af det rådgivende panel fra alle henvisende afdelinger i 2019

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;

Note: Landshospitalet Færøerne er kategoriseret under Rigshospitalet

Henvisningerne kommer fra alle fem regioner. I tabel 1 er henvisningerne sorteret efter hvilken region, de kommer fra (320 sager i alt).

Tabel 1 Regional fordeling af henvisninger vurderet af det rådgivende panel i 2019

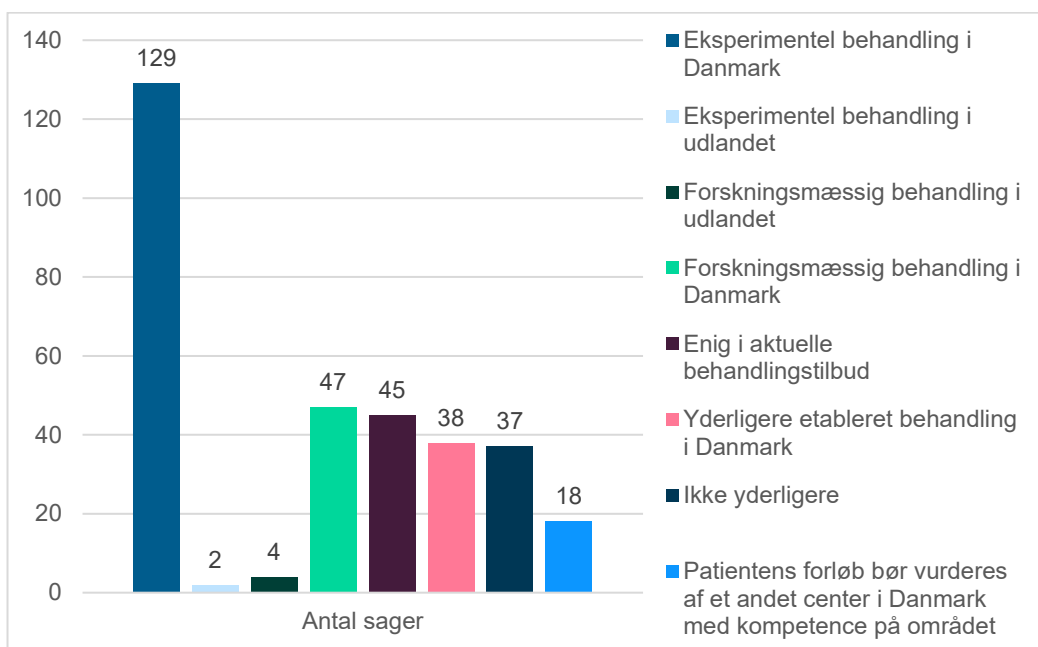
Region	Antal	Pct.	Regionens borgeres andel af Danmarks befolkning
Region Nordjylland	26	8 %	10%
Region Midtjylland	143	45 %	23%
Region Syddanmark	73	23 %	21%
Region Sjælland	7	2 %	14%
Region Hovedstaden	71	22 %	32%

4.3. Vurdering og råd

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel vurderede 320 patientsager i 2019.

Panelet har mulighed for at angive mere end ét forslag til behandling i hver enkelt patientsag. I 237 patientsager har Sundhedsstyrelsens rådgivende panel afgivet ét primært råd. I 83 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 320 sager vurderet af panelet i 2019.



Figur 4 Det primære råd givet af ekspertpanelet

I 45 tilfælde kunne panelet støtte de overvejelser afdelingen havde bedt om vurdering af. I 9 af de 45 sager gav panelet yderligere rådgivning om forskningsmæssig og/eller eksperimentel behandling i Danmark, hvis den aktuelle behandlingsstrategi skulle svigte.

I 182 tilfælde pegede panelet på konkrete muligheder for forskningsmæssig og/eller eksperimentel behandling i Danmark eller udlandet.

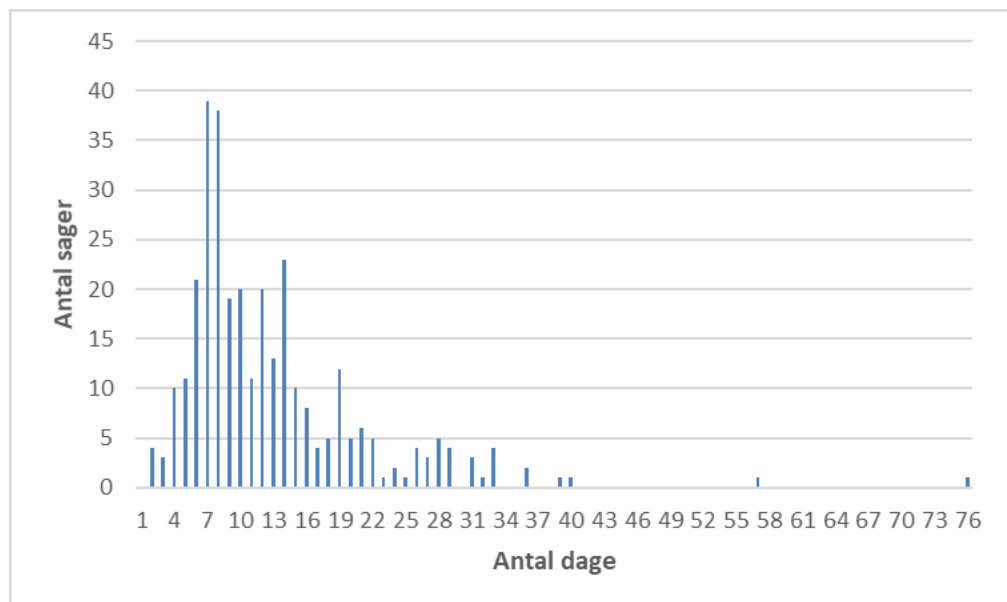
Som et led i ordningen kan panelet endvidere rådgive om andre muligheder end eksperimentel behandling, hvis de skønner dette relevant. I 38 tilfælde blev der givet primær råd om yderligere etableret behandling i Danmark.

I 37 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 vedrører sager, hvor panelet anbefaler, at patienten vurderes på et andet dansk center. Som primær råd blev dette givet i 18 af sagerne i 2019.

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. 13 dage i 2019 (inklusive weekend og helligdage). Figur 5 viser antal sager fordelt på sagsbehandlingstid i 2019.



Figur 5 Sagsbehandlingstid i 2019 fra modtagelse af anmodning til afgivet svar til afdelingen

I 72% 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.

4.5. Afslag på rådgivning

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

I 2019 modtog Sundhedsstyrelsen 391 henvendelser til panelet. Heraf afviste Sundhedsstyrelsen 85 sager.

Sagerne som i 2019 blev afvist kom jævnt fra alle 5 regioner svarende til den regionale fordeling af indkomne sager. En enkelt sag kom fra almen praksis. Ud af alle nye sager blev 10 sager annulleret, ofte i kraft af tilbagekaldelse af sagen fra henvisende afdeling.

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

Tabel 2 Fordeling af begrundelser for afslag i 2019

Begrundelse for afslag	Antal	Pct.
Fortsat mulighed for etableret behandling	42	49 %
Allerede igangsat eller tilbudt behandling	7	8%
Anmodning om sanktionering af behandlingsplan	15	18%
Ikke en livstruende tilstand	2	3 %
Anmodning om second opinion	14	16%
Anmodning om tilladelse til forskningsmæssig behandling i udlandet	1	1%
Patienten er endnu ikke diagnostisk afklaret	2	3%
Patientens tilstand muliggør kun palliativ behandling	1	1%
Anmodning om tilladelse til højtspecialiseret behandling i Danmark eller udlandet	1	1%

Antallet af afviste henvisninger i 2019 er fordoblet ift 2018. Halvdelen af afslagene var begrundet med at der fortsat var mulighed for etableret behandling i Danmark, som var relevant for patientens sygdom.

Sager med afslag i 2019 har indgået i en intern audit mhp at kvalitetssikre sagsbehandlingen i panelsagerne. Audit viste bla at sundhedsstyrelsens lægelige sagsbehandlere ofte er i dialog med henvisende læge forud for afslag. Endvidere fandtes at der hos en del af de henvisende læger mangler viden ift panelets rolle og at de forkerte henvisninger er udtryk for denne usikkerhed.

Sundhedsstyrelsen
Islands Brygge 67
2300 København S

www.sst.dk

Sundhed for alle ♥ + ●