



Rådgivning om eksperimentel behandling - for mennesker med livstruende sygdom



**Rådgivning om eksperimentel behandling - for mennesker med
livstruende sygdom**
Årsrapport 2020

© Sundhedsstyrelsen, 2021.
Publikationen kan frit refereres
med tydelig kildeangivelse.

Sundhedsstyrelsen
Islands Brygge 67
2300 København S

www.sst.dk

Elektronisk ISBN: 978-87-7014-385-1

Sprog: Dansk
Version: 1.0
Versionsdato:
Format: pdf

Udgivet af Sundhedsstyrelsen,
Oktober 2021

Indhold

Resume	4
1. Ordningen for eksperimentel behandling	6
1.1. Baggrund.....	6
1.2. Eksperimentel behandling	6
1.3. Livstruende sygdom.....	7
2. Vurdering af patientsager	7
3. Det rådgivende panel	8
4. Årsopgørelse 2020	9
4.1. Antal sager	9
4.2. Typer af sygdomme	9
4.3. Geografi.....	10
4.4. Vurdering og råd	12
4.5. Sagsbehandlingstid.....	14
4.6. Afslag på rådgivning	15

Resume

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

Ordningen blev etableret for 18 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.

Den behandlende sygehuslæge vurderer i samråd med patienten om det er relevant at søge rådgivning. Anmodning om rådgivning og vurdering sender sygehusafdelingen 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.

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 i udlandet.

Når rådgivningen er indhentet, beslutter afdelingen og den behandlende læge, sammen med patienten, om panelets råd skal følges. Den behandlende læge vurderer patientens kliniske tilstand og vurderer 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 2020 har panelet vurderet muligheder for eksperimentel behandling i 142 patientsager, hvoraf de 11 patienters sager tidligere var blevet vurderet af panelet. Antallet af sager, både indkomne og vurderede, er mere end halveret i forhold til 2019. Næsten alle de patienters sager, der blev rådgivet om, drejede sig om livstruende kræftsygdom.

Den hyppigste sygdom, patienter var diagnosticeret med i de henviste sager i 2020 er tyk- og endetarmskræft. Patienter med gynækologiske kræftdiagnoser, kræft i øvre mave-tarmsystem og kræft i lunger/brystkasse er de næststørste grupper, som blev henvist.

Den gennemsnitlige sagsbehandlingstid, fra Sundhedsstyrelsen modtager en anmodning om vurdering, til der afsendes et panelsvar til den behandlende afdeling, var i 2020 13 dage.

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

1. Ordningen for 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 28/06/2019. Som følge af bekendtgørelsens § 30 har Sundhedsstyrelsen nedsat et rådgivende ekspertpanel. Panelet rådgiver, efter indstilling fra behandlende sygehusafdeling, om muligheder for eksperimentel behandling af konkrete patienter med livstruende sygdomme. 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 ved behov.

Panelet har otte faste medlemmer. Fem medlemmer har særlig viden om behandling af medicinske og kirurgiske kræftsygdomme og foretager vurderinger, der omhandler patienter med livstruende kræftsygdomme. Tre medlemmer rådgiver i sager, som omhandler patienter med livstruende blodsygdomme.

Når anmodningen vedrører patienter med andre livstruende sygdomme end kræft og blodsygdomme, udpeger styrelsen "ad hoc" medlemmer til panelet med særlig viden og ekspertise inden for det pågældende sygdomsområde.

1.2. Eksperimentel behandling

En behandling betragtes som eksperimentel, når der ikke foreligger 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 til den konkrete patient.

Patienterne vil ofte have gennemgået flere forskellige behandlinger for deres livstruende sygdom inden der rettes henvendelse til Sundhedsstyrelsen, og eksperimentel behandling kan i visse situationer være den sidste mulighed.

Panelet kan rådgive om mulighederne for operation, partikel- eller strålebehandling eller behandling med lægemidler, herunder også avancerede terapiformer (Så kaldte 'advanced therapies').

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 godkendte lægemidler på baggrund af mindre sikker evidens i forhold til den pågældende indikation eller 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 muligvis 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

Panelet rådgiver sygehuslæger. I tilfælde hvor en sygehusafdeling ikke kan tilbyde yderligere behandling til en patient med en livstruende sygdom kan afdelingen, med patientens samtykke, anmode Sundhedsstyrelsen om at få panelets vurdering og rådgivning om eksperimentel behandling.

Generel rådgivning om valg af andre etablerede behandlingstilbud (en såkaldt "second opinion") er ikke tanken bag denne ordning. Ved behov for en second opinion kan patienten vurderes af en anden speciallæge på samme afdeling eller henvises til revurdering

på et andet hospital. Panelet kan pege på muligheder for vurdering af patienten på andre afdelinger i Danmark eller udlandet i deres rådgivning.

Patienter med en livstruende sygdom kan drøfte et eventuelt ønske om eksperimentel behandling med den behandlende hospitalslæge, som derefter kan anmode Sundhedsstyrelsen om rådgivning om hvilke muligheder der foreligger.

Den behandlende sygehuslæge kan også selv tage 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 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 vurdering er altid en rådgivning til den behandlende afdeling, og beslutningen om hvorvidt anbefalinger skal følges tages af den behandlende læge i samråd med patienten.

Den behandlende læge vurderer patientens kliniske tilstand og vurderer, om patienten vil kunne tåle en eventuelt anbefalet behandling. Patienten kan tilsvarende på baggrund af informationer om effekt, bivirkninger mm. vurdere om hun/han 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 rådgivning om generelle behandlingsstrategier eller at fastlægge behandlingsniveauet i Danmark.

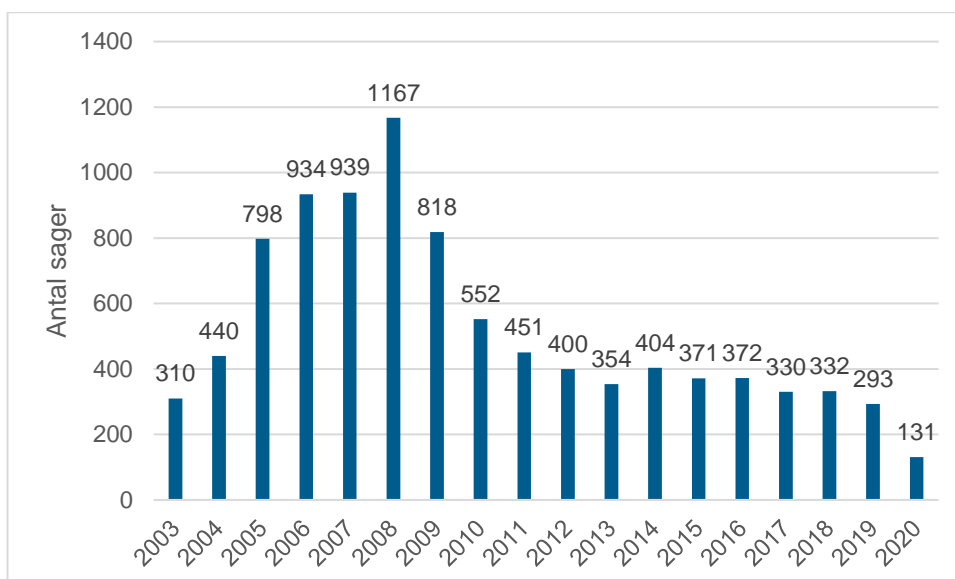
Sundhedsstyrelsens panel har otte faste medlemmer med særlig viden til at foretage vurderinger der omhandler livstruende kræftsygdomme. Herudover udpeger Sundhedsstyrelsen ved behov 'ad hoc' medlemmer til panelet med særlig påkrævet viden inden for andre sygdomsområder.

4. Årsopgørelse 2020

4.1. Antal sager

I 2020 har panelet i alt vurderet 131 nye sager om muligheder for eksperimentel behandling. Antallet er dermed mere end halveret i år 2020 i forhold til 2019. Dette til trods for at antallet af patienter, som blev udredt for kræft i 2020 var på niveau med de foregående år.

I figur 1 ses udviklingen i antal nye patientsager, som er blevet vurderet af panelet siden oprettelsen af ordningen.



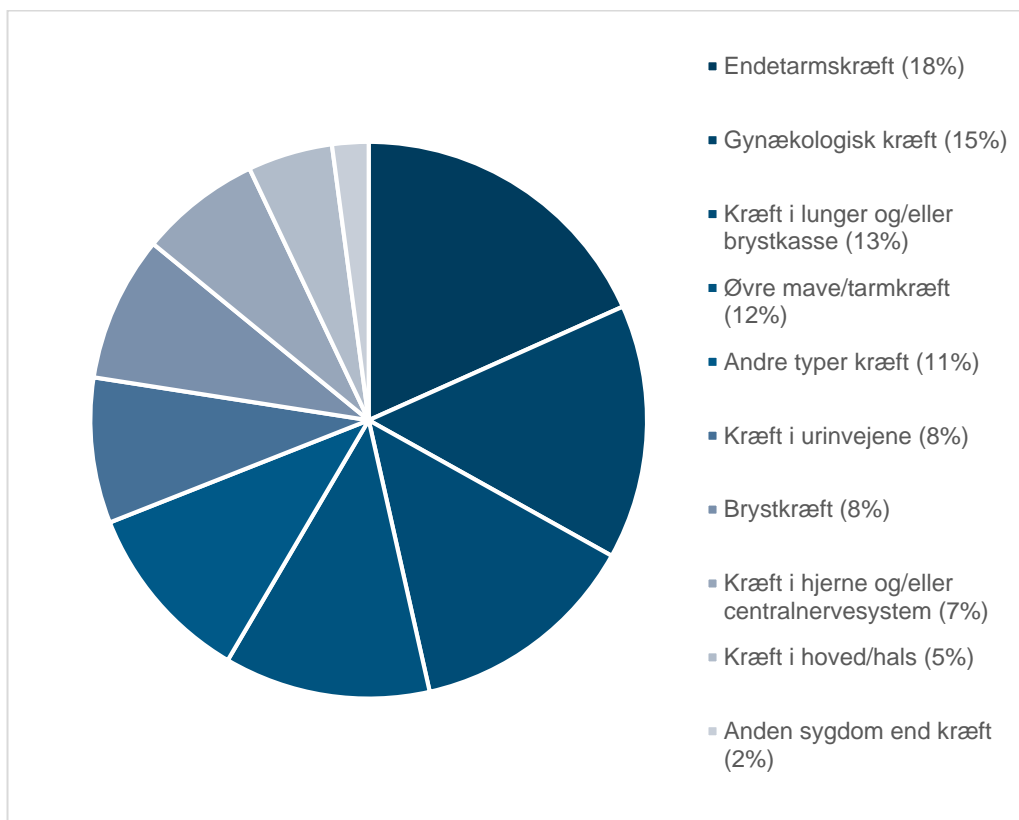
Figur 1: Antal nye sager vurderet af panelet fra 2003-2020

Det totale antal behandlede sager i 2020 er 142. Ud over de 131 nye patientsager i 2020 har Sundhedsstyrelsens rådgivende panel revurderet 11 patientsager, hvor den behandelende læge har bedt om fornyet rådgivning.

4.2. Typer af sygdomme

Patienter, hvis behandelende læge har anmodet om rådgivning, har oftest kræftsygdomme. Antallet af patienter med andre livstruende sygdomme end kræft, der er blevet vurderet med henblik på eksperimentel behandling i løbet af 2020, er generelt få. Dette på trods af øget fokus på området.

Figur 2 viser fordelingen af patienternes sygdomme sorteret i grupper ud fra henvisningsdiagnosen.

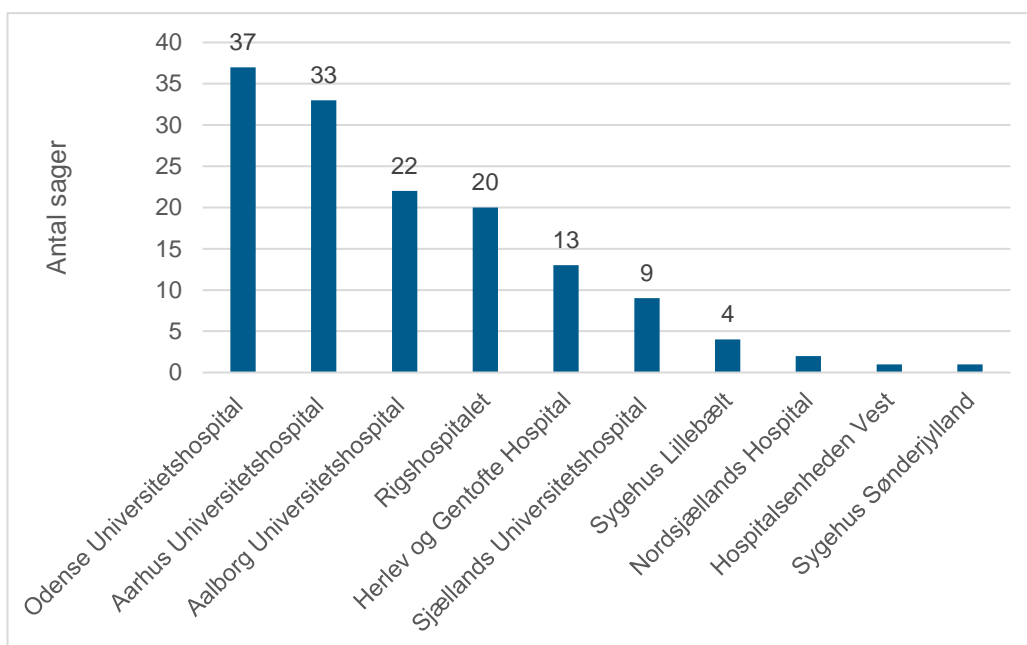


Figur 2: Fordelingen af sygdomme vurderet i det rådgivende panel i 2020

Alle typer af sygehusafdelinger kan anmode Sundhedsstyrelsen om en vurdering af en patientsag i panelet. Langt størstedelen af henvisningerne modtaget i Sundhedsstyrelsen kommer fra onkologiske (92%) eller hæmatologiske (6%) afdelinger. De resterende patientsager (2%) kommer fra neurokirurgiske, mave- og tarmkirurgiske, og afdelinger for medicinske sygdomme.

4.3. Geografi

I figur 3 vises fordelingen af henvisende hospitaler, hvis sager er blevet vurderet af det rådgivende panel.



Figur 3: Fordeling af patientsager vurderet af det rådgivende panel fra alle henvisende afdelinger i 2020

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

Knap halvdelen af alle de vurderede patientsager kommer fra Odense Universitetshospital og Århus Universitetshospital, der står for hhv. 26% og 23% af henvisningerne. Hhv. 15% og 14% kommer fra Aalborg Universitetshospital og Rigshospitalet.

I tabel 1 er henvisningerne, som Sundhedsstyrelsen modtog i 2020 og som blev vurderet af panelet sorteret efter hvilken region, de kom fra (i alt 142 sager).

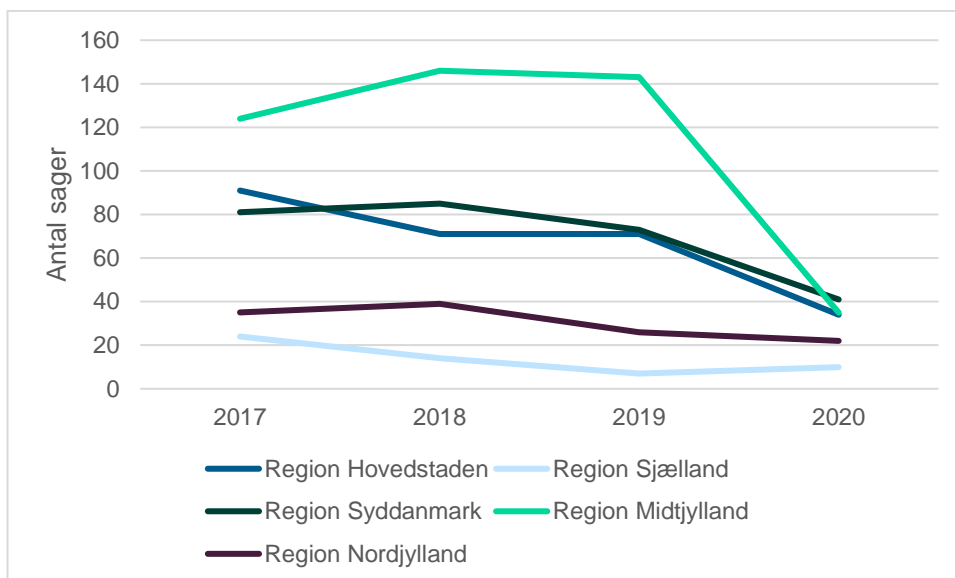
Region	Antal	Pct.	Regionens borgeres andel af Danmarks befolkning*
Region Syddanmark	41	29%	21%
Region Hovedstaden	34	24%	32%
Region Midtjylland	35	25%	23%
Region Nordjylland	22	15%	10%
Region Sjælland	10	7%	14%

Tabel 1: Regional fordeling af henvisninger vurderet af det rådgivende panel i 2020

*befolkningstal opgjort pr. 1. juli 2020

Henvisningerne kommer fra alle fem regioner, og fordelingen repræsenterer nogenlunde regionens borgeres andel af Danmarks befolkning. Andelen af henvisninger fra Region Syddanmark og Region Nordjylland er dog relativt overrepræsenterede i forhold til andelen af Danmarks befolkning i regionen.

I figur 4 vises hvordan antallet af sager fra hver region har været de seneste fire år.



Figur 4: Antal vurderede patientsager fordelt på region og årstal

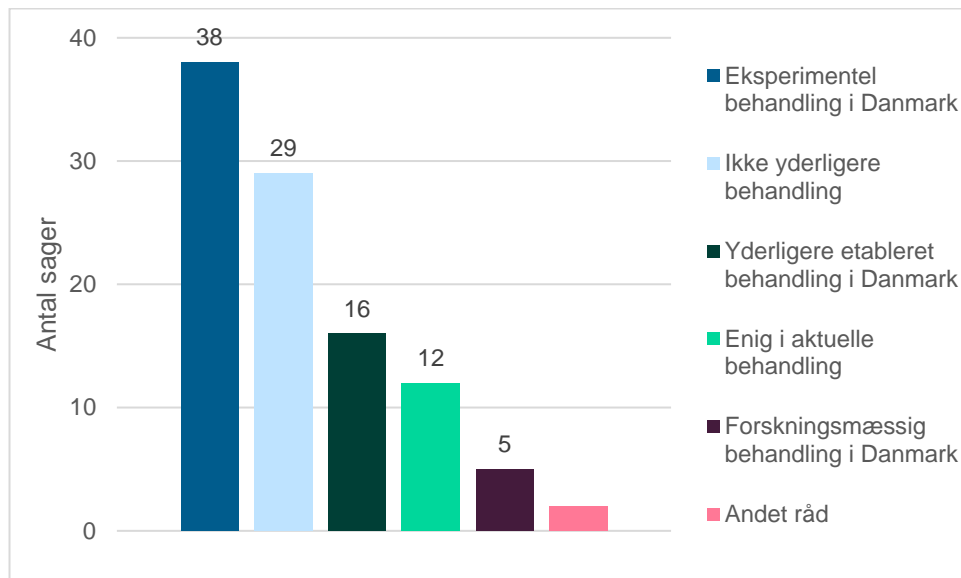
Der er generelt en nedgang i antallet af sager, som henvises til og vurderes af ekspertpanelet. Der er især set en nedgang i antallet af henvisninger fra Region Midtjylland, navnlig fra Aarhus Universitetshospital (data ikke vist).

4.4 Vurdering og råd

Panelet har mulighed for at angive mere end ét forslag til behandling i hver enkelt patientsag.

I 102 af de 142 vurderede patientsager har Sundhedsstyrelsens rådgivende panel givet ét primært råd. I 46 patientsager har panelet rådgivet om sekundære alternativer til det primære råd eller givet flere ligestillede råd.

I figur 5 illustreres fordelingen af de givne råd i de 102 sager hvor panelet gav ét primært råd.



Figur 5: Det primære råd givet af ekspertpanelet

Hyppigst rådgives om eksperimentel behandling, som kan foretages i Danmark. De 38 sager, hvor panelet rådgav om eksperimentel behandling i Danmark som primær behandlingsstrategi omhandlede alle kræftpatienter.

Som et led i ordningen kan panelet endvidere rådgive om andre muligheder end eksperimentel behandling, hvis de skønner dette relevant. I 16 patientsager rådgav panelet om etablerede behandlingsmuligheder i Danmark.

I fem patientsager blev rådgivet om forskningsmæssig behandling i Danmark. I to af disse blev vejledt om eksperimentel behandling i Danmark som sekundær option.

Ved 12 patientsager var panelet enige i, at det aktuelle behandlingstilbud var mest hensigtsmæssig for patienten.

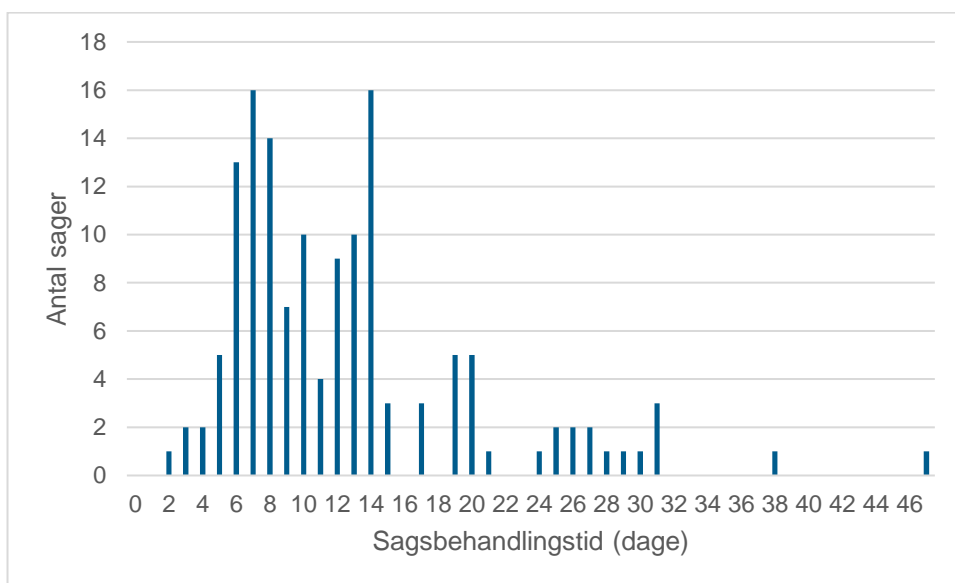
Ved 29 patientsager blev det vurderet, at der ikke er behandlinger, som patienten umiddelbart ville have gavn af fraset palliativ indsats.

Siden 2016 er der medtaget en ny kategori af rådgivnings svar - second opinion. Disse svar vedrør sager, hvor panelet anbefaler, at patienten vurderes klinisk på et andet dansk center. I 2020 anbefalede panelet kun få gange, at den behandlende læge skulle få en second opinion i den aktuelle patientsag.

4.5 Sagsbehandlingstid

Sagsbehandlingstiden regnes fra datoen Sundhedsstyrelsen modtager en anmodning om vurdering, til datoen der afsendes svar fra det rådgivende panel til den behandlende afdeling. Den gennemsnitlige sagsbehandlingstid er opgjort til 13 dage i 2020 (inklusive weekend og helligdage), hvilket er det samme som i 2019.

Figur 6 viser antal sager fordelt på sagsbehandlingstid i 2020.



Figur 6: Sagsbehandlingstid i 2020 fra modtagelse af anmodning til afgivet svar til afdelingen

En fjerdedel af patientsagerne blev vurderet af panelet inden for én uge efter modtagelse i Sundhedsstyrelsen. Halvdelen af alle patientsager blev vurderet af panelet inden for ti dage, og 77% blev vurderet inden for 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.

23% af sagerne havde en sagsbehandlingstid på mere end 14 dage, og den maksimale sagsbehandlingstid var 47 dage på en enkelt patientsag.

4.6 Afslag på rådgivning

Inden patientens sag sendes til det rådgivende panel, vurderer Sundhedsstyrelsen hvorvidt henvisningene fra afdelingerne falder inden for rammerne af Sygehusbekendtgørelsens § 30 (BEK nr. 657 af 28/06/2019).

Af de i alt 180 sager, som blev modtaget i 2020, afviste Sundhedsstyrelsen 38 sager, svarende til 21%. Det er i tråd med tallene fra 2019, hvor cirka 20% af sagerne blev afvist. Ingen af de i 2020 afviste sager er tidligere blevet vurderet af panelet. Sagerne, som i 2020 blev afvist kom jævnt fra alle fem regioner svarende til den regionale fordeling af indkomne sager.

Begrundelsen for afslag om rådgivning fra panelet er i de fleste tilfælde, at der eksisterer et etableret behandlingsforløb, som er relevant for patienten. I visse tilfælde er dette allerede planlagt eller startet op. Andre årsager kan være, at det fremgår af sagen, at afdelingen ønsker en vurdering af en specifik behandlingsplan, som i forvejen er iværksat, eller at patientens tilstand ikke muliggør yderligere behandling.

Sundhedsstyrelsen
Islands Brygge 67
2300 København S

www.sst.dk

Sundhed for alle ♥ + ●