



Rådgivning om eksperimentel behandling - for mennesker med livstruende sygdom



**Rådgivning om eksperimentel behandling - for mennesker med
livstruende sygdom**
Årsrapport 2021

© Sundhedsstyrelsen, 2022.
Publikationen kan frit refereres
med tydelig kildeangivelse.

Sundhedsstyrelsen
Islands Brygge 67
2300 København S

www.sst.dk

Elektronisk ISBN: 978-87-7014-432-2

Sprog: Dansk
Version: 1.0
Versionsdato:
Format: pdf

Udgivet af Sundhedsstyrelsen,
April 2022

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.....	13
4.6. Afslag på rådgivning	15

Resume

Sundhedsstyrelsens rådgivende panel (herefter omtalt som 'panelet') 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 19 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 sendes af sygehusafdelingen til Sundhedsstyrelsen. Hermed sikres, at de relevante og 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 og/eller forskningsmæssig behandling i Danmark eller udlandet. I den forbindelse kan panelet også rådgive om supplerende undersøgelser eller højtspecialiseret etableret 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 forventet effekt, risiko, bivirkninger mm. vurdere, om han/hun ønsker den pågældende behandling.

I 2021 har panelet vurderet muligheder for eksperimentel behandling i 105 patientsager, hvoraf de 10 patienters sager tidligere var blevet vurderet af panelet. Antallet af sager, både indkomne og vurderede, er faldet med knap en tredjedel i forhold til 2020 og mere end halveret i forhold til 2019.

Næsten alle patientsager, panelet rådgav i, drejede sig om livstruende kræftsygdom.

De tre hyppigste sygdomme, patienter var diagnosticeret med i de vurderede sager i 2021 er lungekræft, livmoderhalskræft og brystkræft. Patienter med kræft brystkassen, i øvre mave-tarmsystem og kræft i endetarmen er de tre største sygdomsgrupper, som blev henvist i løbet af året.

Den gennemsnitlige sagsbehandlingstid, fra Sundhedsstyrelsen modtager en anmodning om vurdering, til der afsendes et panelsvar til den behandlende afdeling, er i 2021 opgjort til 16 dage.

Mere information om ordningen vedrørende rådgivning i 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 panelet 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 i hvilke muligheder der foreligger.

Den behandlende sygehuslæge kan også selv tage initiativ til at anmode Sundhedsstyrelsen om rådgivning fra panelet. 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 patientsag 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.

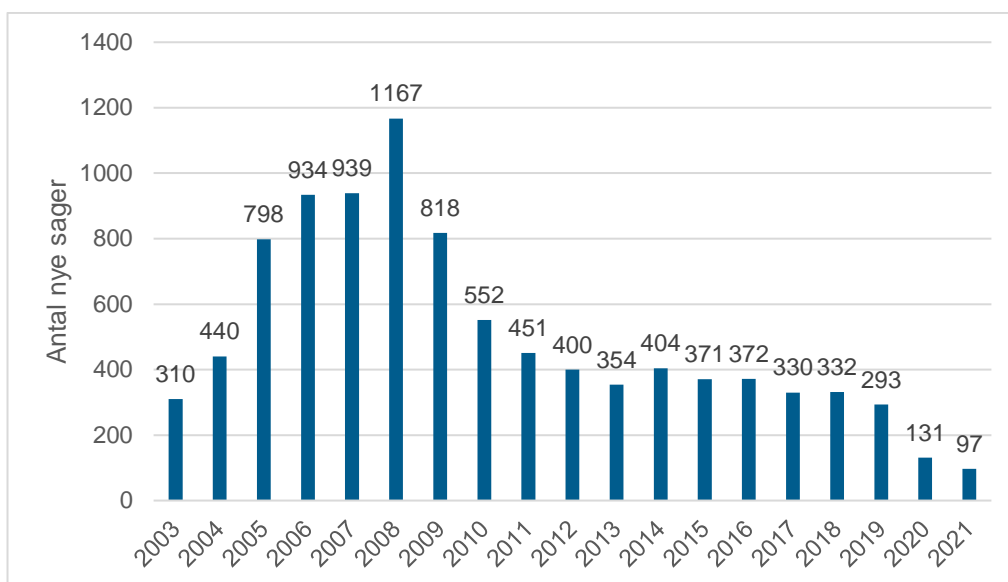
Sundhedsstyrelsens panel har otte faste medlemmer med særlig viden til at foretage vurderinger der omhandler livstruende kræftsygdomme. Herudover udpeger Sundhedsstyrelsen ved behov 'ad hoc' medlemmer til panelet med særlig påkrævet viden inden for andre sygdomsområder.

4. Årsopgørelse 2021

4.1. Antal sager

I 2021 har panelet i alt vurderet 97 nye sager om muligheder for eksperimentel behandling. Antallet er dermed faldet med 26% i forhold til 2020.

I figur 1 ses udviklingen i antallet af nye patientsager, som er blevet vurderet af panelet for hvert år siden oprettelsen af ordningen.



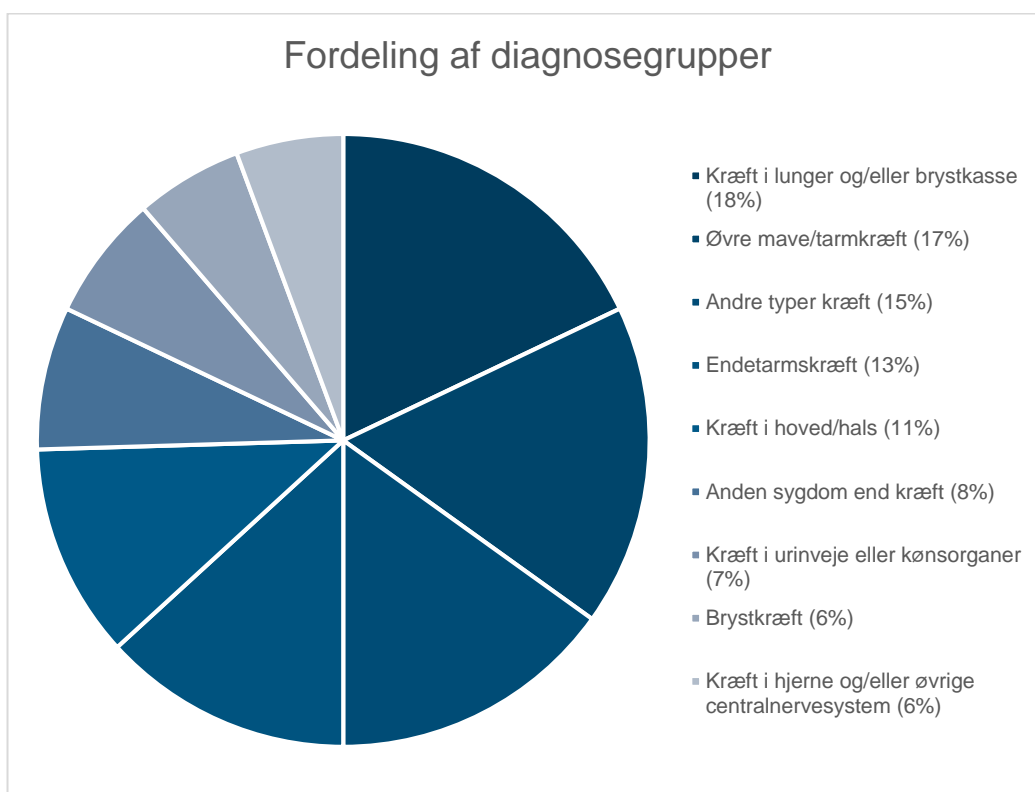
Figur 1: Antal nye sager vurderet af panelet fra år 2003-2021

Det totale antal sager, som blev behandlet i Sundhedsstyrelsens rådgivende panel i 2021, er 106. Ud over de 97 nye patientsager har panelet i 2021 revurderet 9 patientsager, hvor den behandlende læge har bedt om fornyet rådgivning.

4.2. Typer af sygdomme

Patienter, hvis behandlende læge har anmodet om rådgivning fra Sundhedsstyrelsens ekspertpanel, har oftest kræftsygdomme. Antallet af patienter med andre livstruende sygdomme end kræft, der er blevet henvist til vurdering med henblik på eksperimentel behandling i løbet af 2021, er generelt få.

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

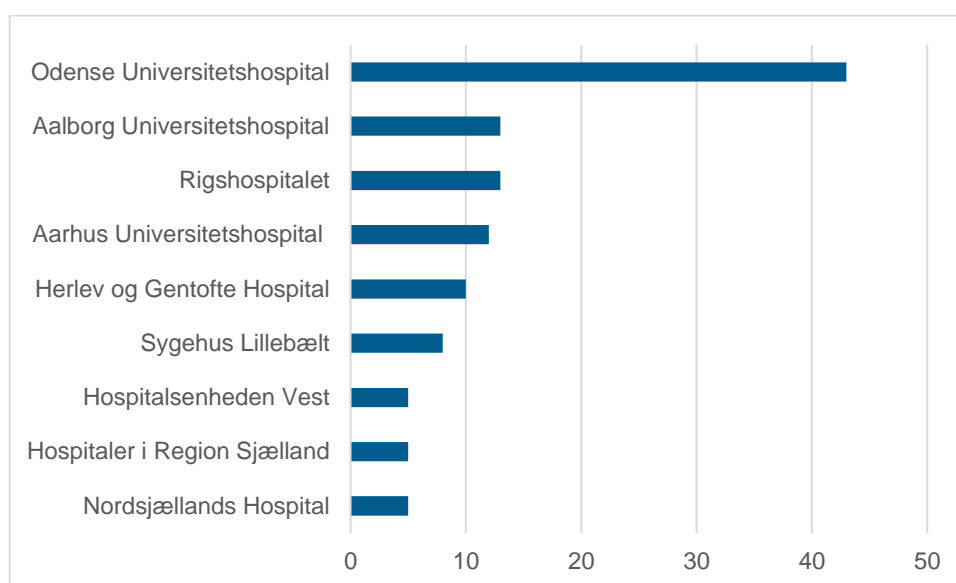


Figur 2: Fordelingen af sygdomme vurderet i det rådgivende panel i 2021

Alle typer af sygehusafdelinger kan anmode Sundhedsstyrelsen om en vurdering af en patientsag i panelet. Langt størstedelen af det samlede antal henvisninger modtaget i Sundhedsstyrelsen (140) kommer fra onkologiske afdelinger eller afdelinger for onkologisk stråleterapi (97%). De resterende henvisninger (3%) kommer fra afdelinger, som behandler andre medicinske eller kirurgiske sygdomme end kræft.

4.3. Geografi

I figur 3 vises fordelingen af de 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 2021

Note: Følgende hospitalsenheder dækker over flere fysiske matrikler:

Sygehus Lillebælt: Kolding, Middelfart og Vejle;

Hospitalsenheden Vest: Lemvig, Holstebro, Ringkøbing, Tarm, Gødstrup og Herning;

Sygehus Sønderjylland: Aabenraa, Sønderborg og Tønder;

Nordsjællands Hospital: Hillerød og Frederikssund

Knap halvdelen (41%) af alle de vurderede patientsager i 2021 kommer fra Odense Universitetshospital. Aalborg Universitetshospital og Rigshospitalet står hver for 12% af de vurderede henvendelser, mens Aarhus Universitetshospital står for 11%.

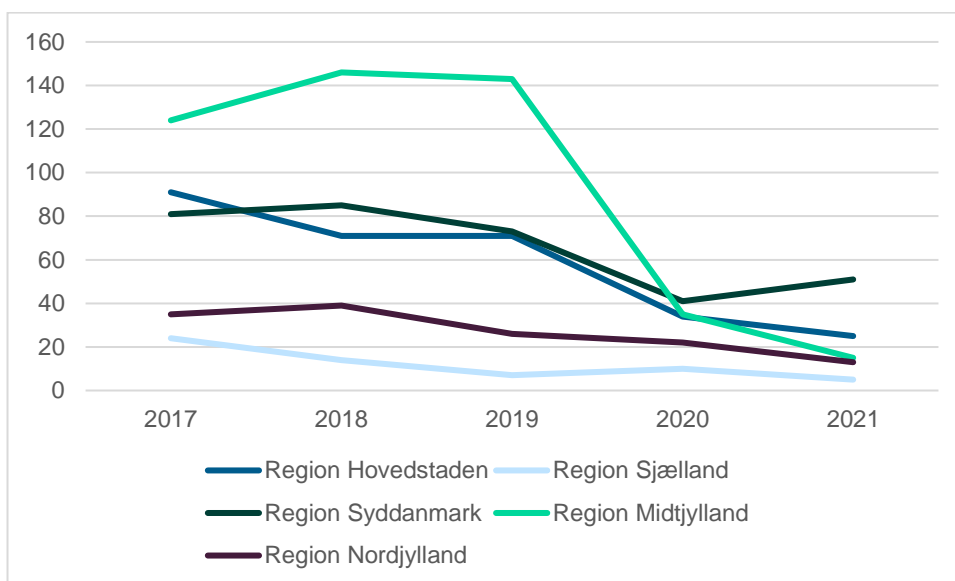
I tabel 1 er henvisningerne, som Sundhedsstyrelsen modtog i 2021, og som blev vurderet af panelet, sorteret efter hvilken region de kom fra (i alt 106 sager).

Region	Antal	Pct.	Regionens borgeres andel af Danmarks befolkning*
Region Syddanmark	51	47%	21%
Region Hovedstaden	24	24%	32%
Region Midtjylland	15	14%	23%
Region Nordjylland	10-15	9-14%	10%
Region Sjælland	≤5	≤5%	14%

Tabel 1: Regional fordeling af henvisninger vurderet af det rådgivende panel i 2020
 *befolkningstal opgjort pr. 1. juli 2021

Henvisningerne kommer fra alle fem regioner. De fem regioner har forskellige grader af højt specialiserede afdelinger og samarbejder internt. Dette kan forklare fordelingen af henvisninger fra de fem regioner.

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



Figur 4: Antal vurderede patientsager fordelt på region og årstal
 NB: Antal sager fra Region Sjælland: ≤ 5 patientsager

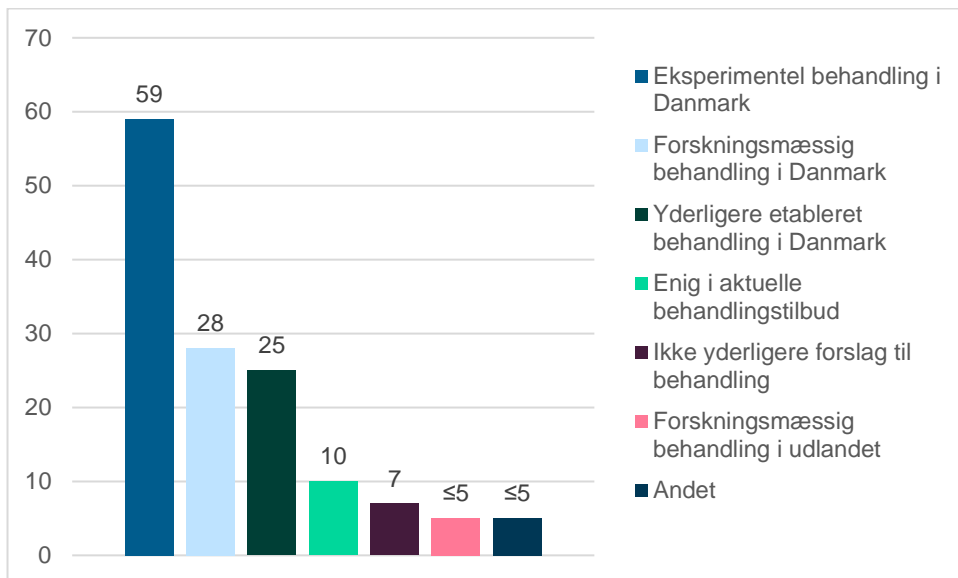
Der er generelt en nedgang i antallet af sager, som henvises til og vurderes af ekspertpanelet, fra alle fem regioner. Dog er der i 2021 kommet flere henvisninger fra Region Syddanmark end der gjorde i 2020.

4.4 Vurdering og råd

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

I 68 af de 106 vurderede patientsager har Sundhedsstyrelsens rådgivende panel kun givet ét råd eller forslag til videre behandling. I de resterende patientsager har panelet rådgivet om flere alternativer.

I figur 5 illustreres fordelingen af alle de givne råd i de 106 behandlede sager.



Figur 5: Råd givet af ekspertpanelet

Hyppigst rådgives om eksperimentel behandling, som kan foretages i Danmark. De 59 sager, hvor panelet rådgav om eksperimentel behandling i Danmark, omhandlede stort set alle kræftpatienter.

Som et led i ordningen kan panelet endvidere rådgive om andre muligheder end eksperimentel behandling, hvis de skønner dette relevant.

I 28 patientsager blev således rådgivet om forskningsmæssig behandling i Danmark, og i 25 patientsager rådgav panelet om etablerede behandlingsmuligheder i Danmark.

Ved 10 patientsager var panelet enige i, at det aktuelle behandlingstilbud var mest hensigtsmæssig for patienten.

Ved 7 patientsager havde panelet ikke forslag til hverken eksperimentelle, forskningsmæssige eller etablerede behandlinger, som patienten umiddelbart ville kunne have gavn af.

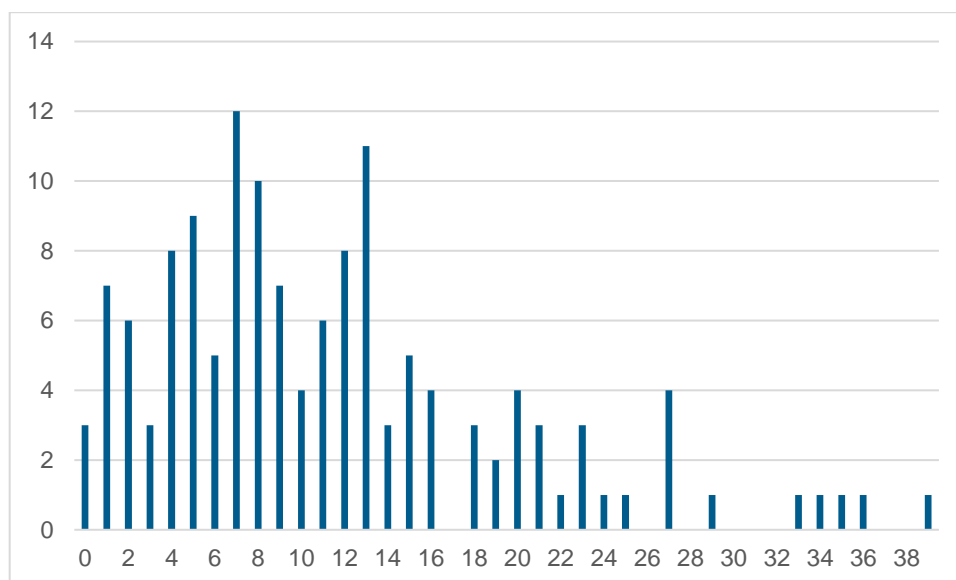
Herudover er der rådgivet om forskningsmæssig eller etableret behandling i udlandet.

4.5 Sagsbehandlingstid

Sagsbehandlingstiden regnes fra datoen Sundhedsstyrelsen modtager en anmodning om vurdering, til datoen der afsendes svar til den behandlende afdeling. Den gennemsnitlige sagsbehandlingstid for sager behandlet i panelet er 16 dage i 2021 (inklusive weekend og helligdage).

Sundhedsstyrelsen varetager akut sagsbehandling alle dage om året.

Figur 6 viser antal sager fordelt på sagsbehandlingstid i 2021.



Figur 6: Sagsbehandlingstid i 2021 fra modtagelse af anmodning til afgivet svar til afdelingen

24% af patientsagerne blev vurderet af panelet inden for én uge efter modtagelse i Sundhedsstyrelsen og 68% 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.

32% af sagerne havde en sagsbehandlingstid på mere end 14 dage, og den maksimale sagsbehandlingstid var 39 dage i 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 140 sager, som blev modtaget i 2021, afviste Sundhedsstyrelsen 34 sager, svarende til 24%. Det er i en smule højere end i 2019 og 2020, hvor cirka 20% af sa-

gerne blev afvist. Få af de i 2021 afviste sager er tidligere blevet vurderet af panelet. Sagerne, som i 2021 blev afvist, kom jævnt fra alle fem regioner svarende nogenlunde til den regionale fordeling af indkomne sager.

Begrundelsen for afslag om rådgivning fra panelet er i langt 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 patientens tilstand ikke muliggør yderligere behandling, eller at afdelingen ønsker en såkaldt second opinion eller en godkendelse af en planlagt behandlingsplan. I sådanne tilfælde har Sundhedsstyrelsen vejledt afdelingen herom.

Sundhedsstyrelsen
Islands Brygge 67
2300 København S

www.sst.dk

Sundhed for alle ♥ + ●